



## L'Università della Florida e GoFAR Annunciano un programma di Terapia Genica per l' Atassia di Friedreich

Gainesville, FL, 13 Settembre, 2016 – Ricercatori dell'Università della Florida hanno ricevuto dall' associazione italiana dei pazienti GoFAR un finanziamento per lo sviluppo di un programma di terapia genica rivolto a trattare l' Atassia di Friedreich, un progressivo e debilitante disordine neuromuscolare.

GoFAR ha conferito il finanziamento di circa 750.000 \$ a Manuela Corti, PT, PhD del Powell Gene Therapy Center dell'Università della Florida per lo svolgimento di un programma completo di terapia genica della durata di 18 mesi, rivolto a correggere il difetto di base che determina l'atassia di Friedreich (AF). Il programma includerà sia gli studi preclinici sia la pianificazione degli studi clinici sugli umani. La AF è una malattia genetica causata dal funzionamento difettoso del gene della frataxina. I sintomi della AF usualmente compaiono nella tarda infanzia e includono la progressiva perdita delle funzioni neuro-muscolari e della coordinazione fisica. La AF colpisce circa 1 persona ogni 50.000 e può anche causare problemi cardiaci, diabete e morte prematura.

Questo progetto di terapia genica mira a trattare contemporaneamente sia l'aspetto cardiologico sia quello neurologico della patologia, mediante l'inserimento nel cuore e nel sistema nervoso di un gene della frataxina funzionante, utilizzando come vettore un virus adeno-associato. Per raggiungere gli obiettivi preposti, il progetto impiegherà diverse nuove procedure.

La dottoressa Corti, insieme al Direttore del Gene Therapy Center, Dottor Barry Byrne, MD, PhD, inizierà il programma questo mese. "Il progetto rappresenta una importante pietra miliare nello sviluppo di una strategia di cura che potrebbe migliorare drasticamente la qualità di vita dei pazienti" ha affermato Manuela Corti.

Filomena D'Agostino, Presidente del Comitato RUDI ONLUS, conosciuto anche come GoFAR, ha dichiarato, "GoFAR è felice di attribuire questo finanziamento alla Dott.ssa Corti e al Dottor Byrne per quello che si connota essere il primo programma completo di terapia genica per la AF. GoFAR garantirà supporto continuativo a questo team e ad altri impegnati ad avanzare negli studi clinici sulle persone i trattamenti di terapia genica per la AF. Noi ci auguriamo che la innovativa strategia adottata da GoFAR nel supportare finanziariamente una istituzione pubblica con esperienza significativa nei trattamenti di terapia genica per le malattie rare, aumenti notevolmente l' opportunità per i pazienti di partecipare allo sviluppo di un trattamento efficace"

“Al Clinical and Translational Science Institute (CTSI) dell’Università della Florida, siamo entusiasti della collaborazione con GoFAR di questa portata; ciò consente di ridurre la distanza che ci separa dallo sviluppo clinico” ha dichiarato David R. Nelson, MD:, Assistant Vice President Research and Director del CTSI. “La collaborazione tra accademici e associazioni dei pazienti è il fondamento per sviluppare terapie innovative per le malattie rare”.

UF: il Powell [Gene Therapy Center](#) dell’ Università della Florida è leader mondiale nel campo della terapia genica, avendo condotto con successo trials nei disordini ereditari della retina, nella malattia di Pompe e relativi disturbi neuromuscolari a essa connessi. I ricercatori dell’ UF sono stati pionieri dell’ uso come vettore di varianti non pericolose dei virus adeno-associati, usati per trasportare copie corrette dei geni dove necessitano.

GoFAR: Il Comitato RUDI è un’associazione ONLUS di volontari registrata in Italia (n.7603044400-1, Torino), dedicata a favorire e promuovere la ricerca scientifica per la cura dell’ Atassia di Friedreich. Per maggiori informazioni su GoFAR, visitare [www.fagofar.org](http://www.fagofar.org).

Contatto: Filomena D’Agostino (Mina), [filomena.dagostino@fagofar.org](mailto:filomena.dagostino@fagofar.org)

Per la richiesta di informazioni da parte dei media negli U.S., contattare Mindy Cameron al 317-853-6294 o inviare una email a [mindycameron@ufl.edu](mailto:mindycameron@ufl.edu)

Per la richiesta di informazioni da parte dei media in EU, contattare Annaluisa Ponchia al +39 339 562 3766 o inviare una email a [aponchia@fagofar.org](mailto:aponchia@fagofar.org)