



COMITATO RUDI - ONLUS

www.fagofar.org

PRESS RELEASE

Un ampio lavoro di squadra conduce alla sperimentazione clinica first-in-human il candidato farmaco della RepliGen, RG2833 su pazienti affetti da Atassia di Friedreich

Torino -Marzo 2012- La Repligen Corporation ha annunciato l' inizio del trial clinico di fase 1 dell' RG2833 in adulti affetti da Atassia di Friedreich (AF), severa malattia neuro muscolare attualmente incurabile che colpisce bambini e giovani adulti. Il candidato farmaco denominato RG2833, appartenente ad una famiglia di inibitori di classe 1 delle istoni deacetilasi (HDAC), è stato disegnato in maniera specifica per riattivare il gene silente nei pazienti AF in modo da indurre il ripristino dei normali livelli della proteina frataxina carente nei malati a seguito dell' anomalia genetica.

“La biologia dell' atassia di Friedreich suggerisce l'evidenza che un piccolo incremento dell' espressione del gene difettoso possa rallentare la progressione della malattia” afferma James R. Rusche, Ph.D., Senior Vice Presidente, Ricerca e Sviluppo della RepliGen. “ L' RG2833 è il primo composto che abbia l' obiettivo di attivare il gene difettoso. Se il nostro innovativo approccio di usare piccole molecole per ripristinare i corretti valori della proteina risulterà di successo, ciò potenzialmente produrrà un significativo miglioramento delle prestazioni dei pazienti AF. Noi speriamo che il trial di fase 1 possa mettere in luce il ruolo dell' inibizione delle HDAC nei pazienti AF, fornendo le indicazioni necessarie per studi futuri rivolti a testare l' efficacia del trattamento”.

Lo studio, primo e unico al mondo, è condotto a Torino nell' Azienda Ospedaliera Universitaria S. Luigi Gonzaga sotto la guida del prof. Luca Durelli, presso la Divisione Universitaria di Neurologia (Direttore Prof. Luca Durelli) del Dipartimento di Scienze Cliniche e Biologiche della facoltà di Medicina e Chirurgia S. Luigi Gonzaga.

Il risultato ottenuto è il frutto della ricerca collaborativa ad opera dei migliori ricercatori presenti sul panorama internazionale nel campo dell'AF (Joel Gottesfeld e collaboratori dello Scripps Research Institute in La Jolla-CA., Massimo Pandolfo e collaboratori dell' Ospedale Erasme in Brussels-BE, Mark Pook e collaboratori della Brunel University,Uxbridge-UK) e della casa farmaceutica RepliGen Corporation di Boston-US. Essa si è avvalsa del supporto senza precedenti della componente dei pazienti; GoFAR ha coordinato le azioni rivolte al sostegno di tutta la ricerca preclinica correlata allo sviluppo del farmaco con un finanziamento diretto per complessivi 700.000 euro nel corso dei cinque anni trascorsi e ha favorito il

cofinanziamento delle organizzazioni dei pazienti tra le più attive nel modo quali, FARA US e Ataxia UK. Inoltre ha strettamente collaborato con la Repligen allo sviluppo del farmaco coordinando la partecipazione dei pazienti e delle famiglie alla ricerca preclinica ed il passaggio agli studi clinici sui pazienti con un addizionale finanziamento di 500.000 \$.

GoFAR ha operato in maniera da facilitare i rapporti tra la RepliGen e gli organismi autorizzativi EMA (European Medicine Agency), ISS (Istituto Superiore della Sanità) e Ospedale San Luigi Gonzaga di Torino, avvalendosi del contributo del Prof. Antonio Piga (Direttore Centro SQUID) del Dipartimento Universitario di Scienze Cliniche e Biologiche della facoltà di Medicina e Chirurgia S. Luigi Gonzaga, al fine di attivare lo studio presso l'Ospedale San Luigi.

“Sono molto felice di aver contribuito all' attivazione di questo primo importante studio clinico con il candidato farmaco specifico per il trattamento dell' AF della RepliGen” dichiara Filomena D'Agostino, Presidente del Comitato RUDI onlus – GoFAR. “ Mi auguro che il trial risulti di successo aprendo la strada a futuri studi di efficacia. Ringrazio quanti ci hanno sostenuto rendendo possibile l' avanzamento alla clinica di questo promettente approccio terapeutico, in particolare l' associazione – Ogni giorno per Emma Onlus – e quanti a vario modo continueranno a farlo “.

Contatti:

Filomena D'Agostino

minagofar@yahoo.com

tel +39 393 1635824

VIA GIACOSA 21BIS - 10125 Torino

TEL.+39 011 657381

C.F. 97638210019

minagofar@yahoo.com