

Repligen Friedreich's Ataxia team meeting Washington DC, Sabato 15 Novembre 2008

Aggiornamento sul programma di Sviluppo degli inibitori delle HDAC per l'ataxia di Friedreich

La casa biofarmaceutica Repligen sta sviluppando una famiglia di composti conosciuta come inibitori delle istone deacetilasi (HDACi) quale potenziale terapia per l'ataxia di Friedreich, malattia neurodegenerativa causata dai bassi livelli di produzione della proteina frataxina.

In studi preliminari di laboratorio, gli scienziati dello Scripps Institute, hanno dimostrato che gli inibitori delle HDACi possono aumentare la produzione della frataxina in cellule provenienti dai pazienti affetti da ataxia di Friedreich e in modelli preclinici della patologia.

Attualmente la Repligen sta valutando molti inibitori delle HDAC, sia mediante test di laboratorio che in modelli preclinici, al fine di stabilire se uno di questi composti possa essere idoneo a diventare un valido candidato per futuri *trials* clinici sugli esseri umani.

I farmaci sperimentali prima di essere somministrati agli esseri umani, devono sottostare a rigide valutazioni che comprendono la caratterizzazione della loro attività, il metabolismo del farmaco, la loro sicurezza in generale, la sicurezza rispetto alla funzionalità cardiaca, la tossicità e la loro potenziale attività mutagenica. In aggiunta, i farmaci sperimentali devono essere prodotti sotto rigorose e controllate condizioni, correntemente note come Pratiche di Buona Produzione (*Good Manufacturing Practices*, cGMP) per assicurare che il farmaco sia di elevata purezza e qualità. I test preclinici e la produzione del farmaco in accordo alle cGMP, sono condizioni richieste ed indispensabili al fine di stabilire se un farmaco sperimentale risulterà sicuro all'atto dei test clinici sugli esseri umani.

La Repligen prevede di selezionare un appropriato composto candidato per la clinica, di procedere al suo ulteriore sviluppo e di avanzare tale composto in *trials* clinici sulle persone nel corso del 2009, a seguito di revisione e relativa approvazione della domanda inoltrata ad una agenzia regolatoria per l'approvazione dei farmaci, quale la FDA (*Food and Drugs Administration*).

Inoltre, la compagnia provvederà a rendere pubblicamente disponibili tutti i dettagli con i quali sarà pianificata la sperimentazione clinica sugli esseri umani.

Gli inibitori delle HDAC possono anche avere un uso terapeutico per il trattamento di altri disordini neurodegenerativi, quali la corea di Huntington e l'atrofia muscolo spinale. La Repligen ha ricevuto fondi per supportare il suo programma di sviluppo degli inibitori delle HDAC da autorevoli organizzazioni no-profit quali Muscular Dystrophy Association (MDA), Friedreich's Ataxia Research Alliance (FARA), la National Ataxia Foundation (NAF) e Friedreich's Ataxia Research (GoFAR). Per ulteriori informazioni, contattare minagofar@yahoo.com

Per iscriversi al Registro dei Pazienti: <http://www.fagofar.org/registro.html>