



BILANCIO AL 31 DICEMBRE 2018

**STATO PATRIMONIALE
CONTO ECONOMICO**

RELAZIONE SULLA GESTIONE

STATO PATRIMONIALE

ATTIVO	31/12/2018	31/12/2017
---------------	-------------------	-------------------

A) CREDITI VERSO ASSOCIATI PER QUOTE

B) IMMOBILIZZAZIONI

<i>I) Immobilizzazioni immateriali</i>
--

Totale immobilizzazioni immateriali (I)	0	0
---	---	---

<i>II) Immobilizzazioni materiali</i>

1) Immobili	0	0
-------------	---	---

2) Impianti e attrezzature	0	0
----------------------------	---	---

3) altri beni	0	0
---------------	---	---

Totale immobilizzazioni materiali (II)	0	0
--	---	---

<i>III) Immobilizzazioni finanziarie</i>
--

1) partecipazioni	0	0
-------------------	---	---

2) crediti	0	0
------------	---	---

3) altri titoli	325.105	472.037
-----------------	---------	---------

Totale immobilizzazioni finanziarie (III)	325.105	472.037
---	---------	---------

Totale immobilizzazioni (B)	325.105	472.037
------------------------------------	----------------	----------------

C) ATTIVO CIRCOLANTE

<i>I) Rimanenze</i>

1) Materie prime, sussidiarie e di consumo	0	0
--	---	---

2) Prodotti finiti e merci	0	0
----------------------------	---	---

3) materiale generico contribuito da terzi e da utilizzare in occasione di attività di found rising	0	0
--	---	---

4) Altro	0	0
----------	---	---

Totale rimanenze (I)	0	0
----------------------	---	---

<i>II) Crediti</i>

1) Verso clienti

a) Esigibili entro 12 mesi	0	0
b) Esigibili oltre 12 mesi	0	0
Totale crediti verso clienti (1)	0	0
2) Crediti per liberalità da ricevere		
a) Esigibili entro 12 mesi	0	0
b) Esigibili oltre 12 mesi	0	0
Totale crediti per liberalità da ricevere (2)	0	0
3) Verso altri		
a) Esigibili entro 12 mesi	0	0
b) Esigibili oltre 12 mesi	0	0
Totale crediti verso altri (3)	0	0
Totale crediti (II)	0	0
<i>III) Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni</i>		
1) titoli	0	0
Totale Attività finanziarie che non costituiscono immobilizzazioni (III)	0	0
<i>IV) Disponibilità liquide</i>		
1) Depositi bancari e postali	238.676	337.040
2) Assegni	0	0
3) Denaro e valori in cassa	0	0
Totale disponibilità liquide (IV)	238.676	337.040
Totale attivo circolante (C)	238.676	337.040
TOTALE ATTIVO	563.781	809.077

PASSIVO**31/12/2018****31/12/2017****A) PATRIMONIO NETTO**

I) Patrimonio libero	809.077	983.189
1) Risultato gestionale esercizio in corso	(245.296)	(174.112)
2) Risultato gestionale da esercizi precedenti	809.077	983.189
2) Riserve statutarie	0	0
3) Contributi in conto capitale liberamente utilizzabili	0	0
II) Fondo di dotazione dell'Ente	0	0
III) Patrimonio vincolato	0	0

Totale patrimonio netto (A)	563.781	809.077
------------------------------------	----------------	----------------

B) FONDI PER RISCHI E ONERI	0	0
------------------------------------	----------	----------

C) TRATTAMENTO DI FINE RAPP. DI LAVORO SUB.	0	0
--	----------	----------

D) DEBITI

1) Debiti per contributi ancora da erogare		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti per contributi ancora da erogare (1)	0	0
2) Debiti verso banche		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti verso banche (2)	0	0
3) Debiti verso altri finanziatori		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti verso altri finanziatori (3)	0	0
4) Debiti verso fornitori		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0

Totale debiti verso fornitori (4)	0	0
5) Debiti tributari		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti tributari (5)	0	0
6) Debiti vs istituti di prev. e secur. sociale		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti vs ist. prev. e secur. soc. (13)	0	0
7) Debiti per rimborsi spese nei confronti di lavoratori volontari		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale debiti per rimb. spese nei confronti di lav. volontari (14)	0	0
7) Altri debiti		
a) Entro 12 mesi	0	0
b) Oltre 12 mesi	0	0
Totale altri debiti (14)	0	0
Totale debiti (D)	0	0
TOTALE PASSIVO	563.781	809.077

C

ONTO ECONOMICO

	31/12/2018	31/12/2017
A) PROVENTI		
1) Proventi da attività tipiche	0	0
a) Da contributi su progetti	0	0
b) Da contratti con enti pubblici	0	0
c) Da soci ed associati	0	0
d) Da non soci	0	0
a) Altri proventi	0	0
2) Proventi da raccolta fondi	145.578	171.336
a) Raccolta di fondi "GoFAR"	65.824	86.007
b) Proventi da contributi 5x1000	79.754	85.329
c) Ricavi di vendita	0	0
3) Proventi da attività accessorie	0	0
a) Da contributi su progetti	0	0
b) Da contratti con enti pubblici	0	0
c) Da soci ed associati	0	0
d) Da non soci	0	0
e) Altri proventi	0	0
4) Proventi finanziari e patrimoniali	6.580	6.949
a) Da depositi bancari	3.512	3.030
b) Da altre attività	0	0
c) Da patrimonio edilizio	0	0
d) Da altri beni patrimoniali	3.068	3.919
5) Proventi straordinari	0	0
a) Da attività finanziaria	0	0

b) Da attività immobiliari	0	0
c) Da altre attività	0	0
6) Altri proventi	0	0

Totale proventi (A)	152.158	178.285
----------------------------	----------------	----------------

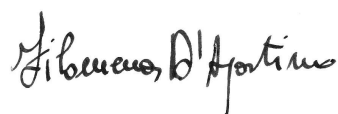
B) ONERI

1) Oneri da attività tipiche	394.986	347.625
a) Materie prime	0	0
b) Servizi	394.986	347.548
c) Godimento beni di terzi	0	0
d) Personale	0	0
e) Ammortamenti	0	0
f) Oneri diversi di gestione	0	77
2) Oneri promozionali e di raccolta di fondi	0	0
a) Campagna di sensibilizzazione e raccolta GoFar	0	0
b) Attività ordinaria di promozione	0	0
3) Oneri da attività accessorie	0	0
a) Materie prime	0	0
b) Servizi	0	0
c) Godimento beni di terzi	0	0
d) Personale	0	0
e) Ammortamenti	0	0
f) Oneri diversi di gestione	0	0
4) Oneri finanziari e patrimoniali	488	2.446
a) Su prestiti bancari	0	0
b) Su altri prestiti	0	0
c) Da patrimonio edilizio	0	0
d) Da altri beni patrimoniali	488	2.446
5) Oneri straordinari	0	0
a) Da attività finanziaria	0	0
b) Da attività immobiliari	0	0

c) Da altre attività	0	0
6) Oneri di supporto generale	1.980	1.980
a) Materie prime	0	0
b) Servizi	1.880	1.880
c) Godimento beni di terzi	0	0
d) Personale	0	0
e) Ammortamenti	0	0
f) Oneri diversi di gestione	100	100
7) Altri oneri	0	0
Totale oneri (B)	397.454	352.397
23) AVANZO (DISAVANZO) DI GESTIONE	(245.296)	(174.112)

Il Presidente

Filomena D'AGOSTINO



RELAZIONE SULLA GESTIONE

PREMESSA

Il “Comitato RUDI” nasce con l’intento di compiere azioni finalizzate alla solidarietà economica, civile e culturale nel campo dell’assistenza sociale e socio sanitaria a favore di tutti i soggetti affetti dall’Atassia di Friedreich (AF).

L’Atassia di Friedreich (AF) è stata descritta per la prima volta dal dottor Nikolaus Friedreich nel 1863. La malattia è causata dalla mutazione di un gene, detto X25, scoperto nel 1996 (senior author Prof. Massimo Pandolfo) e localizzato sul cromosoma 9. Oggi la AF è facilmente identificabile mediante un test genetico molecolare eseguibile con un semplice prelievo di sangue.

Dal punto di vista clinico la AF insorge solitamente nell’infanzia o nell’adolescenza, con meno frequenza in età adulta. Caratterizzata da una progressiva perdita della coordinazione motoria, i primi sintomi sono la difficoltà nella corsa e nelle attività sportive in genere. Vengono colpiti generalmente per primi gli arti inferiori, provocando instabilità nel cammino. Successivamente compaiono disturbi nella coordinazione delle mani e nell’articolazione della parola. Anche se i disturbi sono progressivi, il decorso della malattia è variabile. Tuttavia sono molti i pazienti costretti all’uso della sedia a rotelle dopo circa dieci anni dall’esordio.

Attualmente non c’è evidenza di una terapia farmacologica efficace. Assume pertanto particolare importanza il trattamento terapeutico riabilitativo.

In data 4 novembre 2005, con atto pubblico a rogito notaio Ettore MORONE in Torino, Repertorio 107.660 – Raccolta 16.549, il Comitato RUDI si è dotato di un nuovo statuto sociale conforme alle disposizioni previste dal Decreto Legislativo 4 dicembre 1997, n. 460 ed ha ottenuto l’iscrizione all’anagrafe delle Organizzazioni non lucrative di utilità sociali tenuto presso l’Agenzia delle entrate.

Il “Comitato RUDI - ONLUS” si propone di:

- 1) svolgere le sue attività a favore delle persone affette da AF ed ai loro familiari diffondendo le problematiche inerenti la patologia, utilizzando tutti i mezzi di comunicazione e mediante incontri presso sedi e strutture ricettive;
- 2) fornire assistenza socio-sanitaria alle persone colpite dall' AF e divulgare le conoscenze e le novità in materia di trattamento terapeutico;
- 3) prestare assistenza sociale nel senso di far confluire le condizioni di svantaggio concernenti gli indigenti, gli anziani ed i portatori di handicap;
- 4) organizzare convegni e congressi collaborando con le associazioni già esistenti, presenti anche all'estero, favorendo l'attività di volontariato, anche per facilitare gli scambi di informazione scientifica a livello nazionale ed internazionale.

Per il raggiungimento degli scopi sociali e socio-sanitari e per favorire l'avanzamento della ricerca scientifica per la cura dell' AF, il "Comitato RUDI" ha sollecitato e sollecita la collaborazione delle autorità, di enti ed istituti anche mediante la raccolta di fondi ed effettua opera di sensibilizzazione tra la gente, sottolineando il carattere di patologia rara e le possibilità di cura.

Ad oggi, il Comitato RUDI ONLUS può contare su numerosi e volenterosi sostenitori che svolgono attività di sensibilizzazione e perseguono le finalità sociali del Comitato in maniera assolutamente volontaria ed a titolo esclusivamente gratuito in quasi tutte le regioni italiane.

DESCRIZIONE SULLE ATTIVITÀ SOCIALI DELL'ESERCIZIO CHIUSO AL 31.12.2018

Fund raising

Nel corso dell'esercizio 2018 attività sociali si sono sviluppate e consolidate in maniera consistente grazie agli sforzi profusi da numerosi sostenitori attivamente impegnati nelle attività di raccolta fondi e sensibilizzazione. Il 31 dicembre 2018 si è conclusa la dodicesima campagna internazionale di sensibilizzazione e raccolta fondi GoFAR.

Nell'esercizio sociale 2018 il Comitato RUDI ha raccolto donazioni per complessivi **Euro 145.578**; occorre evidenziare il versamento del **5x1000 per l'annualità 2015** pari a **Euro 79.754**.

Le disponibilità liquide, tutte depositate presso istituti di credito italiani, hanno generato proventi finanziari per **Euro 6.580**.

L'approccio innovativo da noi proposto ha reso possibile in questo anno appena conclusosi, il consolidamento di una reale alleanza tra le associazioni mondiali dedicate all'atassia di Friedreich e la finalizzazione degli sforzi dei ricercatori verso obiettivi ben precisi e verificabili.

Obiettivi di natura non finanziaria perseguiti

Nell'anno 2018 il Comitato RUDI ha proseguito la sua opera di facilitazione tra i diversi gruppi dei ricercatori, clinici, case farmaceutiche e i rappresentanti dei pazienti. Tali interventi sono stati finalizzati a portare all'interno dei gruppi di lavoro le esigenze e gli interessi dei malati FRDA.

Contestualmente il Comitato RUDI, avvalendosi di consulenti scientifici di comprovata esperienza a livello mondiale, ha continuato il monitoraggio dell'avanzamento del progetto di terapia genica condotto dai Dottori Manuela Corti, PT, PhD e Barry Byrne direttore del Powell Gene Therapy Center dell'Università della Florida, rivolto a correggere il difetto di base che determina l'atassia di Friedreich (AF). Il 10 Aprile 2018 viene firmato l' Amendment 1 del valore di 453.000 \$ (Allegato 1) per condurre i necessari studi sui primati non umani (NHP) che determinano la conclusione dell'intero progetto della ricerca preclinica fissata al 15 Gennaio 2019 e comunque dopo la presentazione della IND (Investigational New Drug) alla FDA (Food and Drug Administration-US) e ISS (Istituto Superiore della Sanità-Italia) necessaria ad ottenere il permesso di attivare un primo studio clinico su un numero limitato di pazienti. In esso è previsto che l'ultimo pagamento di 151,000 \$ avvenga dopo la presentazione della IND.

Il Comitato RUDI ha proseguito la sua opera di sensibilizzazione relativa alle problematiche della patologia rivolta ad Istituzioni e singoli cittadini mediante comunicazioni a mezzo stampa e telematico.

Impieghi

Nell'anno 2018 il Comitato RUDI per perseguire i suoi scopi ha sostenuto i seguenti oneri finanziari:

- Finanziamento progetto di ricerca su terapia genica Università della Florida (B. Byrne e M. Corti), contratto n°AWD00638 INVM00235648:

data 15/1/2018 per 121.455,59 €,

data 29/5/2018 per 131.395,75 €,

data 23/10/2018 per 132.549,16 €

Totale **385.400 €**

FATTI ACCADUTI DOPO LA CHIUSURA DELL'ESERCIZIO

A seguito della buon andamento degli studi preclinici condotti nell'Università della Florida finanziati dal Comitato RUDI (GoFAR) i ricercatori Manuela Corti e Barry Byrne Corti costituiscono una start-up universitaria denominata AAVANTI LLC che ha lo scopo di condurre uno studio clinico di Fase II/b su pazienti a seguito di un primo studio clinico di fase I/II sui pazienti condotto all'UF e interamente coperto finanziariamente.

COMMENTO ALLE VOCI DEL BILANCIO AL 31.12.2018

Entrate

Nell'anno 2018 il Comitato RUDI ha registrato entrate per Euro 152.158 così dettagliate:

Contributi 5x1000 annualità 2015	Euro	79.754
Proventi da depositi bancari e attività finanziaria	Euro	6.580
Altri contributi da privati e aziende	Euro	65.824

Uscite

Il totale delle uscite è stato pari ad Euro 397.454 come sotto specificato:

Finanziamento Progetti di ricerca	Euro	385.400
Rimborso congresso scientifico	Euro	9.586
Oneri diversi di gestione	Euro	2.468

Gestione finanziaria

Nel corso dell'esercizio 2018 il Comitato RUDI Onlus non ha contratto nessun debito finanziario ed ha proseguito con l'attività di investimento liquidità non ancora utilizzata. Al 31 dicembre 2018 risultavano investimenti a basso profilo di rischio per Euro 325.105.

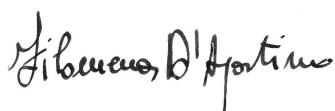
Disponibilità liquide finali d'esercizio

Le disponibilità liquide finali d'esercizio al 31.12.2018 presentano un saldo positivo pari ad Euro 238.676.

I fondi sono tutti depositati nei conti correnti bancari e postali presso UNICREDIT Banca S.p.A. e Poste Italiane S.p.A.

Torino, lì 28.04.2019

Il Presidente
Filomena D'AGOSTINO



Allegato 1

**Amendment No. 1 to
Research Agreement (AGR00005328)
between
University of Florida Board of Trustees
and
Comitato Rudi onlus, A/K/A GoFar**

Comitato RUDI onlus, A/K/A GoFAR with offices located at Via Giuseppe Giacosa 21 bis, 10125 TORINO (ITALY) (hereinafter "Sponsor") and the University of Florida Board of Trustees, a public body corporate of the state of Florida with offices at the Division of Sponsored Programs, 207 Grinter Hall, Gainesville, FL 32611-5500 ("University"), collectively referred to as the "Parties," mutually agree as of the date of last signature below (hereinafter the "Effective Date") that the Research Agreement (Sponsor ID Number AGR00005328) for the project entitled "Clinical trial readiness for AAV-mediated gene therapy in Friedreich's Ataxia" entered into between them on August 26, 2016, ("Agreement") shall be modified to amend the Period of Performance, the reports, the funding, the terms regarding research funded by third parties, and the statement of work for Phase 2.

NOW, THEREFORE, in consideration of the mutual covenants and agreements, the Parties agree as follows:

1. Paragraph 1.2 shall be deleted in its entirety and replaced with the following:
 - 1.2 Period of Performance. The period of performance (the "Period of Performance") for the Project will begin on July 15, 2016, and end on January 15, 2019.
2. Paragraph 5.2 shall be deleted in its entirety and replaced with the following:
 - 5.2 Reports. The Principal Investigator shall deliver written progress report to the Sponsor Technical Representative that assess the accomplishments of the Project as follows:

<u>Report Type</u>	<u>Due Date</u>
Every 6 months	January 15, 2017: July 15, 2017, January 15, 2018, and July 15, 2018
Final Report	30 days after expiration or termination of the Agreement, unless otherwise agreed to in writing by the <u>Sponsor</u> <u>Technical Representative</u> .

3. Paragraphs 6.1 and 6.2 shall be deleted in its entirety and replaced with the following:
 - 6.1 Total Funding. Sponsor shall fund a maximum amount of One Million, Two Hundred Thousand, Seven Hundred Forty-Nine (\$1,200,749.00) U.S. Dollars, for the Project.
 - 6.2 Payments. University acknowledges receipt of prior payments from Sponsor in the total amount of \$747,749.00 for this Project. Sponsor shall pay University the remaining funds in accordance with the following schedule after receipt of an invoice:

Amount	Date or Event
\$151,000	May 15, 2018
\$151,000	September 15, 2018
\$151,000	Approximately January 15, 2019, upon Submission of IND to FDA and ISS

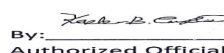
4. Phase 2 of Appendix A is hereby deleted in its entirety and replaced with Appendix A-2 which is attached to this Amendment and incorporated herein in its entirety. Except as hereby modified, all other terms and conditions of the Agreement remain unchanged and are in full force and effect.

IN WITNESS WHEREOF, the duly authorized representatives of the Parties hereto have executed this Amendment #1 for the purposes herein expressed.

Comitato Rudi onlus, A/K/A GoFar

By: 
FILomena D'Agostino
 IL LEGALE RAPPRESENTANTE
 Name and Title
 Date 10/14/2018

University of Florida Board of Trustees

By: 
Kaden Canfield, Asst. Dir. of Research
 Name and Title
 Date 10 April 2018

APPENDIX A-2

PHASE 2 SCOPE OF WORK

Phase 2 outline

Objective 1: Assess the safety, biodistribution and immunogenicity of combined IV and intrathecal (IT) delivery of rAAV9-CBA-FXN in rats (Sprague-Dawley) and non-human primates. The rat study will be conducted at the Toxicology Center facility at the University of Florida. The NHP study will be conducted at the University of Alabama, Birmingham.

Objective 2: Clinical trial readiness. Activities for this objective will include application for Orphan Drug Designation (ODD) in the EU and US; clinical trial protocol preparation, approvals by IRB and FDA. We will also submit regulatory application to ISS.

Objective 1 will include 3 studies. Details for each study is described below.

Study 1. Non-GLP Pilot study. The study will be conducted in Sprague-Dawley rats. The purpose of the study will be to establish the target dose and to justify the superiority of combined IV and intrathecal (IT) delivery of rAAV9-CBA-FXN in transducing the target tissues.

Group	Strain	Test Article (vg/kg)	Sacrifice time post-AAV dosing	Route of Administration
1 (n=3)	SD	Vehicle	28 days	IV
2 (n=3)	SD	Vehicle	28 days	IT
3 (n=3)	SD	Vehicle	28 days	IV + IT
4 (n=3)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	28 days	IV
5 (n=3)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	28 days	IT
6 (n=3)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	28 days	IV + IT
7 (n=3)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	28 days	IV
8 (n=3)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	28 days	IT
9 (n=3)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	28 days	IV + IT
10 (n=3)	SD	AAV-hFXN (5xCD ³)	28 days	IV
11 (n=3)	SD	AAV-hFXN (5xCD ³)	28 days	IT
12 (n=3)	SD	AAV-hFXN (5xCD ³)	28 days	IV + IT

¹CD=clinical dose (*Active dose)
²2xCD= two times the clinical dose
³5xCD= five times the clinical dose

Study 2. GLP study in rats. The study will be conducted in Sprague-Dawley rats. The purpose of the study will be to establish safety, biodistribution and immunogenicity of combined IV and intrathecal (IT) delivery of rAAV9-CBA-FXN in rats.

Group	Strain	Test Article (vg/kg)	Sacrifice time post-AAV dosing	Route of Administration
1 (n=10)	SD	Vehicle	7 days	IV + IT
2 (n=10)	SD	Vehicle	28 days	IV + IT
3 (n=10)	SD	Vehicle	84 days	IV + IT
4 (n=10)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	7 days	IV + IT
5 (n=10)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	28 days	IV + IT
6 (n=10)	SD	AAV-hFXN (CD ¹)	84 days	IV + IT
7 (n=10)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	7 days	IV + IT

8 (n=10)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	28 days	IV + IT
9 (n=10)	SD	AAV-hFXN (2xCD ²)	84 days	IV + IT
10 (n=10)	SD	AAV-hFXN (5xCD ²)	7 days	IV + IT
11 (n=10)	SD	AAV-hFXN (5xCD ²)	28 days	IV + IT
12 (n=10)	SD	AAV-hFXN (5xCD ²)	84 days	IV + IT

Outcomes:

Necropsy:

Tissues to be collected for fixation and/or biodistribution and transgene expression: Cerebellum, Cerebrum, Diaphragm, Dorsal Root Ganglia, Gonad (Testes or Ovary), Heart (Left Ventricle), Kidney (R), Liver, Lung, Lymph Node (Mesenteric), Pancreas, Quadriceps (R), Skin, Spleen, Spinal Cord (Lumbar), Stomach, Thymus, TA (R) and Tongue. Includes costs of unscheduled deaths.

Toxicology:

Serum chemistries and CBC will be collected at sacrifice

Biodistribution:

The following tissues will be tested: Cerebellum, Cerebrum, Diaphragm, Dorsal Root Ganglia, Gonad (Testes or Ovary), Heart (Left Ventricle), Kidney (R), Liver, Lung, Lymph Node (Mesenteric), Pancreas, Quadriceps (R), Skin, Spleen, Spinal Cord (Lumbar), Stomach, Thymus, TA (R) and Tongue. In addition, blood for biodistribution will be analyzed at Day 7 and sacrifice.

Transgene Expression:

The following tissues will be tested: Cerebellum, Dorsal Root Ganglia, Heart (Left Ventricle), Pancreas.

Study 3. Non-GLP study in primates. The study will be conducted in non-human primates. The purpose of the study will be to establish safety, biodistribution and immunogenicity of combined IV and IT delivery of rAAV9-CBA-FXN in unaffected non-human primates.

Group	Number of animals	Test Article	Sacrifice time	Route of Administration
1	3	AAV-hFXN (CD)	90 days	IV + IT
2	3	AAV-hFXN (3.14xCD)	90 days	IV + IT
3	3	AAV-hFXN (CD) + Immune suppression	90 days	IV + IT
4	3	AAV-hFXN (3.14xCD) + Immune suppression	90 days	IV + IT
5	2	Vehicle + Immune suppression	90 days	IV + IT

¹ CD=clinical dose

Outcomes:

Pre and post treatment serum and PBMCs will be collected.

After treatment, animals will be closely followed and euthanized at 28 days post-injection.

All animals will be weighed on the day of dosing and on the day of necropsy. Additionally, each animal will be weighed weekly during the course of the study.

At the completion of the in-life period, tissue samples will be collected for follow-up analyses by the laboratories of Drs. Corti and Byrne. Specifically, at sacrifice, organs will be saved for vector biodistribution, FXN expression, IEF and H&E staining. Gene transfer efficiency will be assessed on specific organs for spread of vector. A small portion of the following tissues from each animal will be frozen in Lysis Matrix D (RIP Biomedicals) for aconitase activity over baseline. All designated organs from each animal will also have a small portion of tissue fixed in 3% glutaraldehyde/0.2M Sodium Cacodylate or 10% neutral buffered formalin (H&E).