



COMITATO RUDI - ONLUS

www.fagofar.org

Relazione di previsione sulla gestione dell'esercizio 2019

Entrate

I fondi di cassa al 31/12/2018 verranno incrementati dai proventi della Campagna di Sensibilizzazione e Raccolta fondi GoFAR 2019 mediante il proseguimento delle attività di raccolta fondi con iniziative specifiche, con la previsione di un risultato attivo delle entrate pari a quello ottenuto nell'esercizio 2018 derivante da donazioni di enti, imprese e privati. Altra fonte di entrata quantificabile in circa 85.000 € deriverà dal versamento da parte del Ministero delle Finanze della erogazione del 5 per mille (Art.1, comma 337, lett.A), della Legge n° 266 del 2005), maturata nell'anno 2017.

Uscite

L'esercizio 2019 prevede le seguenti attività:

Spese per attività di ricerca e studi preclinici:

A seguito della buon andamento degli studi preclinici condotti nell'Università della Florida i ricercatori hanno costituito una start-up denominata AAVANTI che ha lo scopo di condurre uno studio clinico di Fase II/b su pazienti a seguito di risultati incoraggianti derivanti dal primo studio di fase I/II su un numero limitato di pazienti condotto all'UF e interamente coperto finanziariamente. Come riportato nel suo Business Plan, AAVANTI nasce con l'intento di condurre uno studio clinico di fase IIb per il trattamento dell'ataxia di Friedreich utilizzando la tecnologia AAV. Lo studio di fase I/II è progettato per stabilire la sicurezza del prodotto AAV e la dose attiva, vale a dire la dose necessaria a ripristinare i livelli di fratassina (proteina carente nei pazienti) e potenzialmente a indurre un beneficio terapeutico.

Al fine di conferire una certa credibilità economica ad AAVANTI, GoFAR ha in animo di investire 500,000 \$ nel prossimo anno, comunque a seguito della sottomissione di documenti formali da sottoporre ai propri consulenti. Il potenziale valore della missione di AAVANTI LLC che è quello di condurre la Fase clinica IIb è determinato dal fatto che tale fase è successiva allo studio clinico di Fase I/II oggetto della IND del progetto finanziato da GoFAR e che l'attività di AAVANTI LLC è

finalizzata a studi di fase IIb che consentiranno di estendere il potenziale trattamento ad un numero esteso di pazienti.

Il Comitato RUDI onlus si propone di assicurare tutto il supporto economico necessario all'avanzamento dello studio di terapia genica, anche attraverso il finanziamento feed (seme) per il lancio della start-up universitaria per la attivazione di trials clinici di efficacia su pazienti affetti da atassia di Friedreich.

Spese per attività di sensibilizzazione e censimento:

A cura del Comitato RUDI onlus sono previste spese complessive di Euro 10.000 per le seguenti attività:

- pubblicazione di materiale informativo, con lo scopo di diffondere la presa di coscienza dell'esistenza della FRDA, delle problematiche intercorrenti e la possibilità di trattamento;
- campagna di sensibilizzazione e raccolta fondi GoFAR 2019.

Sono altresì previste spese complessive per circa 5.000 €.

- la partecipazione a workshop di definizione delle modalità operative per la stesura dei protocolli clinici di terapia genica con gli enti autorizzativi FDA, EMA e ISS.

Spese per attività di divulgazione e informazione scientifica:

A cura del Comitato RUDI onlus sono previste spese complessive di Euro 5.000 per le seguenti attività:

- promozione di incontri informativi con i pazienti e tra le Associazioni dei pazienti FRDA.

Torino 28/4/2019

Il Presidente
Filomena D'Agostino

