

## **GoFAR rinforza la partnership con il Powell Gene Therapy Center dell' Università della Florida (UF) per sviluppare una terapia genica per l' atassia di Friedreich**

Torino-Italia, 20 Aprile 2018. Nel mese di Gennaio, GoFAR ha conferito a Manuela Corti P.T., Ph.D., assistant professor del Dr. Barry Byrne M.D., Ph.D direttore del UF Powell Gene Therapy Center l'addizionale finanziamento di 450.000 \$. Originariamente, GoFAR ha iniziato la collaborazione con l'UF Powell Gene Therapy Center nel 2016 con un finanziamento di 750.000\$ per sviluppare una AVV-mediated terapia genica per la AF. Il finanziamento globale di 1,2 milioni di dollari è stato pianificato per coprire le tappe necessarie al determinazione della strategia terapeutica clinica per il trattamento della AF. Il recente finanziamento sarà impiegato per completare gli studi preclinici e a disporre di tutti i dati necessari da sottomettere alla americana Food and Drug Administration ( FDA), all' European Medecine Agency (EMA) e all' autorità regolatoria italiana Istituto Superiore della Sanità (ISS) per attivare stidi clinici sui pazienti AF. Siamo fiduciosi che i trials possano iniziare verso la fine di questo anno.

Informazioni più dettagliate sulla press release della Università della Florida (UF) del 20 Aprile c.a. qui di seguito tradotta in Italiano.

### ***GoFAR (Go Friedreich's Ataxia Research) finanzia il programma di ricerca di terapia genica per l'Atassia di Friedreich all' UF Health***

*GAINESVILLE, Florida - Ricercatori del dipartimento della salute dell' Università della Florida (UF) hanno ricevuto dall' organizzazione italiana no profit GoFAR il finanziamento di 450.000 \$ per continuare lo sviluppo di una terapia genica per l'atassia di Friedreich (AF), patologia genetica con aspettativa di vita ridotta che danneggia il sistema nervoso.*

*Nel mese di gennaio c.a. GoFAR ha conferito il finanziamento a Manuela Corti P.T., PhD, assistant professor del dipartimento di pediatria del College di Medicina dell' UF. Nel 2016 GoFAR ha iniziato una collaborazione con il Powell Gene Therapy Center dell' UF conferendo circa 750.000\$ a Manuela Corti per lo sviluppo della terapia genica per la AF.*

*I sintomi della AF generalmente compaiono nella tarda infanzia e includono la progressiva perdita di coordinazione e delle funzioni neuromuscolari. La patologia, che colpisce circa 50.000 persone, può anche causare problemi cardiaci e diabete.*

*Il progetto di terapia genica è animato a trattare sia gli aspetti cardiaci che quelli neurologici della patologia, usando un inoffensivo piccolo virus adeno- associato capace di trasportare un gene funzionale della fratassina nel cuore e nel sistema nervoso. Ridotti livelli di fratassina impediscono alle cellule di produrre sufficiente energia, inducendo affaticamento muscolare, problemi al muscolo cardiaco, difficoltà di visione, udito e parola.*

*Quest'ultimo finanziamento sarà utilizzato per completare gli studi preclinici e preparare la documentazione necessaria da sottoporre alla Food and Drug Administration (FDA) in U.S., alla European Medicine Agency (EMA) e all' Istituto Superiore della Sanità (ISS) in Italia per attivare gli studi clinici sui pazienti AF.*

*Corti, responsabile del progetto, ha affermato che il gruppo di ricerca è grato a GoFAR per il supporto ricevuto e riconoscente ai pazienti che collaborano. "I nostri sforzi in favore della comunità AF si spera correggano il problema di base della patologia inducendo un significativo miglioramento della qualità della vita per i pazienti e le loro famiglie" dice.*

*Barry J. Byrne, M.D., Ph.D., direttore del UF Powell Gene Therapy Center e professore di pediatria al UF College di Medicine, afferma che la "partnership" con GoFAR consente ai ricercatori di continuare gli studi fino al raggiungimento dell' obiettivo finale: un trattamento di terapia genica per l'AF.*

*Filomena D'Agostino, presidente del Comitato RUDI onlus, anche noto come GoFAR dichiara: sono felice che il finanziamento di GoFAR abbia contribuito, decisamente e in così breve tempo, agli sforzi del UF Powell Gene Therapy Center verso il primo trattamento clinico di terapia genica con l'AVV-mediated virus per la AF"*

*La finalità del progetto di terapia genica è la diminuzione della severità dei sintomi negli individui AF. Ci si aspetta che le sperimentazioni cliniche inizino entro questo anno al UF Clinical and Translational Science Institute.*

*“Siamo entusiasti di supportare progetti come questo, in cui i ricercatori, i pazienti e le loro famiglie collaborano per fare la differenza nella vita delle persone”, dice David R. Nelson, M.D., direttore del UF Clinical and Translational Science Institute.*

*Ricercatori: Barry J. Byrne, M.D., Ph.D., è il direttore del UF Powell Center for Rare Disease Research and Therapy al UF College of Medicine; è professore di pediatria, genetica molecolare e microbiologia al Dipartimento di Pediatria. Manuela Corti, Ph.D., è assistant professor e ricercatrice al Dipartimento di Pediatria.*

*GoFAR: Il Comitato RUDI Onlus è un' associazione onlus registrata in Italia il cui scopo è quello di promuovere e facilitare la ricerca scientifica per trovare una cura per l' Atassia di Friedreich. Maggiori informazioni sul sito **[www.fagofar.org](http://www.fagofar.org)**.*