



ORGANIZZAZIONE SINDROME DI ANGELMAN

Via Bressa n° 8 31100 TREVISO

Tel. 0422411132 Fax.0422319571

C.F.94047800266

<http://www.sindromediangelman.org>

Email: orsa@sindromediangelman.org



È stata lanciata una nuova compagnia biotech per il programma di targeting antisense per la sindrome di Angelman

La FAST (Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics) ha annunciato oggi il lancio di una compagnia biotech, la GeneTx Biotherapeutics LLC (GeneTx), una sussidiaria di FAST, per lo sviluppo e la commercializzazione di un farmaco antisense, GTX-101, per il trattamento della sindrome di Angelman (SA). FAST ha scelto Paula Evans, presidente di FAST, per servire come CEO di GeneTx e Allyson Berent, il CSO di FAST, come primo COO di GeneTx. La signora Evans e il dottor Berent hanno accettato di lavorare in tali ruoli su base non retribuita.

"Il lancio di GeneTx è il passo successivo nella missione di FAST per curare la sindrome di Angelman", ha affermato la signora Evans. "Vogliamo garantire che i potenziali trattamenti per AS siano portati a ciascun paziente nel modo più rapido e sicuro possibile, e vogliamo essere attivamente coinvolti nel processo che va dal bancone al paziente, per avere una voce forte nelle decisioni riguardo il prezzo e l'accessibilità dei possibili trattamenti per le famiglie AS in tutto il mondo. "

GTX-101 di GeneTx Biotherapeutics è un oligonucleotide antisense progettato per compensare la carenza di Ube3a nella SA. GeneTx ha stipulato un accordo di licenza a livello mondiale con il Texas A & M University System e un accordo di collaborazione di ricerca con Texas A & M AgriLife Research, in base al quale GeneTx spera di sviluppare ulteriormente e commercializzare questo nuovo oligonucleotide antisense che potrebbe potenzialmente servire come terapia mirata per i pazienti SA. "Negli ultimi otto anni, FAST ha investito nella ricerca e in tecnologie all'avanguardia per trattare la causa e i sintomi debilitanti della sindrome di Angelman", ha affermato il dott. Berent. "Il nostro programma di ricerca aggressivo e la collaborazione con Texas A & M AgriLife Research hanno identificato e caratterizzato una promettente terapia per affrontare la sindrome di Angelman.

Due pionieri della ricerca hanno aderito a GeneTx come consulenti scientifici, Arthur L. Beudet e James M. Wilson,. Baudet è un pioniere nella ricerca sulla sindrome di Angelman. Il suo laboratorio e il laboratorio di Wagstaff identificarono indipendentemente che il gene UBE3A è coinvolto nella sindrome di Angelman nel 1997. "Rispetto ad altri 30 disordini neurologici pediatrici, direi che la



ORGANIZZAZIONE SINDROME DI ANGELMAN

Via Bressa n° 8 31100 **TREVISO**

Tel. **0422411132** Fax. **0422319571**

C.F.94047800266

<http://www.sindromediangelman.org>

Email: orsa@sindromediangelman.org



sindrome di Angelman ha una delle maggiori possibilità di cura", ha detto Beaudet." La tecnologia degli oligonucleotide antisense offre una promettente possibilità di cura per i sintomi della sindrome di Angelman".

James M. Wilson, M.D., Ph.D., ha lavorato per tre decenni per sviluppare strategie efficaci per trattare e curare varie malattie genetiche. Il Dr. Wilson è stato riconosciuto come uno dei 12 pionieri nella ricerca di cellule e geni con il Pioneer Award conferito da Human Gene Therapy, e dirige l'Orphan Disease Center (ODC) nella Perelman School of Medicine dell'Università della Pennsylvania, che si concentra sulla ricerca sulle malattie rare. "Le organizzazioni di pazienti con malattie rare stanno diventando sempre più parte integrante dello sviluppo di nuove terapie", ha affermato Wilson. "Il lancio di GeneTx dimostra una visione acuta di FAST che credo possa essere emulata da altre organizzazioni non profit per le malattie rare nel far progredire i loro programmi di ricerca."

COSA VUOL DIRE QUESTO IN PRATICA?

Il lancio della compagnia biotech GeneTx fa pensare che la ricerca sugli oligonucleotidi antisense portata avanti da FAST sia a buon punto con i trial pre-clinici e ci siano molecole pronte per iniziare a pensare ai primi trial clinici. Non vengono fornite informazioni precise al riguardo ma si ricorda che le sperimentazioni cliniche richiedono anni di studi (5-8 anni, anche se per i farmaci "orfani" per le malattie rare esistono legislazioni facilitatorie, che variano a seconda del paese in cui avvengono).