



Demenza frontotemporale Grn mutata, Besta Milano in studio su terapia genica

Descrizione

(Adnkronos) ?? Arrestare la progressione della demenza frontotemporale con mutazioni del gene Grn. ?? l??obiettivo di AviadoBio, azienda pionieristica nel campo della terapia genica, dedicata allo sviluppo e alla fornitura di farmaci potenzialmente rivoluzionari per le malattie neurodegenerative, che ha annunciato oggi ??avvio in Italia della sperimentazione clinica di fase 1-2 Aspire-Ftd. La sperimentazione valuta Avb-101, una terapia genica sperimentale, nelle persone affette da demenza frontotemporale (Ftd) con mutazioni del gene Grn (Ftd-Grn). ??Istituto neurologico Carlo Besta di Milano ?? l??unico centro italiano che partecipa allo studio.

La Ftd ?? una forma devastante di demenza a esordio precoce che varia da individuo a individuo, informa la farmaceutica in una nota. ?? la causa pi?? comune di demenza nei soggetti di et?? inferiore ai 65 anni. I sintomi possono includere cambiamenti nella personalit?? o comportamenti insoliti, perdita progressiva del linguaggio, perdita delle funzioni esecutive e delle capacit?? cognitive, apatia e mobilit?? ridotta. Le persone affette da Ftd che presentano mutazioni del gene Grn, responsabile della malattia, producono una quantit?? ridotta della proteina progranulina. Avb-101 ?? una terapia sperimentale somministrata una sola volta, progettata per fornire una copia funzionale del gene Grn direttamente al cervello e ripristinare cos?? i livelli di progranulina. Se questo meccanismo ?? in azione si riveler?? effettivo, il trattamento potrebbe contrastare la progressione della malattia nei pazienti affetti da Ftd-Grn.

??Siamo orgogliosi ?? dichiara David Cooper, Chief Medical Officer di AviadoBio ?? dei significativi progressi compiuti nell?? avanzamento della parte dedicata all?? aumento del dosaggio?? del trattamento ??nella sperimentazione clinica Aspire-Ftd a livello globale, e siamo lieti di collaborare con ??Istituto neurologico Carlo Besta per portare questa importante ricerca sulla terapia genica Ftd-Grn ai pazienti italiani affetti da Ftd. La missione di AviadoBio ?? quella di trasformare la vita delle persone affette da devastanti malattie neurodegenerative e non vediamo ??ora di condividere gli aggiornamenti clinici man mano che continuiamo a portare avanti questo programma fondamentale??.

??Siamo lieti di partecipare a questa sperimentazione clinica in qualit?? di centro leader nel Paese nella ricerca sulle malattie neurologiche, attivamente coinvolto nel promuovere scoperte significative

sulle strategie terapeutiche innovative per i disturbi neurologici ?? afferma Giuseppe Di Fede, responsabile dell'Unit? di Neurologia 8 ?? Dementze e patologie degenerative del sistema nervoso centrale del Besta, e principal investigator del trial clinico ?? La prima fase dello studio, attualmente limitata a un numero ridotto di pazienti in tutto il mondo, mira essenzialmente a testare la sicurezza del trattamento ?? come obiettivo primario ?? e la sua efficacia preliminare nel contrastare la progressione della malattia. Se questi obiettivi saranno raggiunti nella prima fase della sperimentazione, la terapia genica sperimentale sar? probabilmente estesa a un numero elevato di individui affetti da Ftd-Grn. In caso di successo, questo approccio innovativo potrebbe un giorno portare benefici alle famiglie che convivono con la Ftd-Grn, non solo in Italia, ma in tutto il mondo?•.

Avb-101 ?? spiega la nota ?? viene somministrato come trattamento una tantum utilizzando una procedura neurochirurgica stereotassica minimamente invasiva direttamente nella parte del cervello chiamata talamo. Il talamo ?? un centro nevralgico per la connettivit? nel cervello con proiezioni diffuse in tutto l'organo, compresa la corteccia, un'area chiave colpita dalla Ftd-Grn. La procedura neurochirurgica per somministrare Avb-101 bypassa la barriera emato-encefalica, limitandola quindi solo al cervello stesso, dove ?? pi? necessaria. Allo stesso tempo, ci? riduce potenzialmente la quantit? di dose richiesta e l'esposizione sistemica in altre parti del corpo.

??Il Dipartimento di Neurochirurgia dell'??Istituto Besta ?? sempre stato all'anguardia nelle terapie e nelle tecnologie innovative ?? evidenzia Vincenzo Levi, neurochirurgo funzionale del Besta e sub investigator del trial clinico ?? Da un punto di vista chirurgico, va sottolineato come il bypass della barriera emato-encefalica possa aumentare la possibilit? di ripristinare i livelli di progranulina in questi pazienti, con l'intento di rallentare o arrestare ?? qualora tale approccio si rivelasse realmente efficace ?? la progressione della Ftd-Grn. Inoltre, l'esecuzione dell'??intervento chirurgico sotto guida Rm?•, risonanza magnetica, ??migliora la sicurezza ?? rimarca lo specialista ?? e fornisce una conferma in tempo reale del posizionamento della cannula e della copertura dell'??infusione. In qualit? di uno dei centri leader a livello nazionale nel campo della neurochirurgia, siamo entusiasti di sostenere questo importante studio di terapia genica nella nostra struttura dotata di risonanza magnetica intraoperatoria?•.

??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 18, 2025

Autore

redazione