



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

Descrizione

(Adnkronos) - Arrestare la progressione della demenza frontotemporale con mutazioni del gene Grn. È 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 l'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). L'Istituto neurologico Carlo Besta di Milano è l'unico centro italiano che partecipa allo studio.

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

Siamo orgogliosi di dichiarare 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 l'Istituto neurologico Carlo Besta per portare questa importante ricerca sulla terapia genica Ftd-Grn ai pazienti italiani affetti da Ftd. La missione di AviadoBio è quella di trasformare la vita delle persone affette da devastanti malattie neurodegenerative e non vediamo l'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 qualità di centro leader nel Paese nella ricerca sulle malattie neurologiche, attivamente coinvolto nel promuovere scoperte significative

sulle strategie terapeutiche innovative per i disturbi neurologici â?? afferma Giuseppe Di Fede, responsabile dell'Unit  di Neurologia 8 â?? Demenze e patologie degenerative del sistema nervoso centrale del Besta, e principal investigator del trial clinico â?? 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 â?? come obiettivo primario â?? 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 mondoâ?•.

Avb-101 â?? spiega la nota â?? 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'avanguardia nelle terapie e nelle tecnologie innovative â?? evidenzia Vincenzo Levi, neurochirurgo funzionale del Besta e sub investigator del trial clinico â?? 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 â?? qualora tale approccio si rivelasse realmente efficace â?? la progressione della Ftd-Grn. Inoltre, l'esecuzione dell'intervento chirurgico sotto guida R , risonanza magnetica, â??migliora la sicurezza â?? rimarca lo specialista â?? 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 intraoperatoriaâ?•.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 18, 2025

Autore

redazione