



Roma, 27 febbraio 2017 – A pochi giorni dalla Giornata Internazionale delle Malattie Rare, martedì 28 febbraio, la prestigiosa rivista “Cell Reports” ha pubblicato il lavoro dei ricercatori della Fratagene Therapeutics, guidati dalla dott.ssa Alessandra Rufini, sull’identificazione di un nuovo target terapeutico rilevante per la Atassia di Friedreich (AF). Lo studio è in collaborazione dei ricercatori del Dipartimento di Biomedicina e Prevenzione dell’Università di Roma “Tor Vergata”.

La AF è una malattia rara neurodegenerativa su base genetica che colpisce bambini e giovani adulti portandoli progressivamente alla disabilità, causata dalla carenza di frataxina. Solo negli Stati Uniti, Canada ed Europa sono oltre 15 mila i pazienti affetti da AF, soprattutto bambini e giovani adulti, per i quali al momento non esiste una terapia approvata.

“La scoperta di un nuovo target terapeutico per la Atassia di Friedreich – spiega la dott.ssa Rufini, direttore scientifico di Fratagene Therapeutics – ovvero di un enzima, la ligasi RNF126, la cui inibizione porta ad un aumento dei livelli di frataxina nelle cellule dei pazienti, apre la via al possibile sviluppo di una nuova classe di farmaci che potrebbero fornire una speranza di cura”.

fonte: ufficio stampa