

Curare la atassia di Friedreich

La scoperta del gruppo di ricerca guidato da Roberto Testi

Trovare una terapia per la atassia di Friedreich, una grave malattia genetica che colpisce in prevalenza bambini, è l'obiettivo del gruppo di ricerca guidato dal professor Roberto Testi.

A tal fine, lo European Research Council (Erc), l'ente di ricerca più selettivo a livello europeo, ha finanziato negli ultimi anni il progetto "Fast" (acronimo di Friedreich Ataxia Seeks Therapy, ovvero "la atassia di Friedreich è in cerca di terapia"), con il prestigioso Advanced Grant. "I risultati non si sono fatti attendere - commenta con

soddisfazione Roberto Testi, direttore del Laboratory of Signal Transduction presso il dipartimento di Biomedicina e Prevenzione dell'Università di Roma Tor Vergata, dove è anche ordinario di Immunologia -. L'Erc ha infatti deciso di finanziare con un secondo Grant, denominato Proof of Concept Grant (PoC grant), il possibile sviluppo commerciale dei prodotti sviluppati grazie al nostro progetto".

Il gruppo di ricerca diretto da Testi ha ideato molecole chimiche innovative in grado di aumentare i livelli di frata-

xina, un'importante proteina intracellulare di cui sono carenti i pazienti affetti da atassia di Friedreich. "Un farmaco in grado di farne risalire i livelli può rappresentare una soluzione terapeutica vincente - spiega il professor Testi -. Naturalmente, in assenza di altre opzioni terapeutiche, un farmaco efficace potrebbe essere velocemente approvato dalle agenzie regolatorie e fornito al paziente in tempi rapidi. Questo iter accelerato, tipico dei farmaci rivolti alle 'malattie orfane', ovvero quelle malattie che ancora mancano di terapia, è di grande interesse per l'industria farmaceutica".

Raramente però l'industria farmaceutica si interfaccia in modo efficace con l'accademia. Il PoC Grant si propone quindi di permettere agli inventori, in questo caso di una possibile terapia, di colmare il gap tra accademia e industria, fornendo fondi per la validazione definitiva dell'idea, per la protezione della proprietà intellettuale e per lo scouting di partner industriali.



Il professor Roberto Testi, direttore del Laboratory of Signal Transduction presso il dipartimento di Biomedicina e Prevenzione dell'Università di Roma Tor Vergata