

Comunicato Stampa

Video Clip del Progetto di Ricerca EU CureCN

Luglio 2018 –dopo il grande successo dell’avvio all’inizio del 2018, il progetto finanziato dalla Unione Europea CureCN ha pubblicato un video sulle sue attività e i suoi scopi. Nella clip, diversi scienziati e le organizzazioni di pazienti spiegano l’importanza del progetto che si propone di trovare una terapia genica che curi la Sindrome di Crigler-Najjar, fino ad ora incurabile.

Watch the video

La Sindrome di Crigler-Najjar è una malattia del fegato potenzialmente fatale che colpisce un neonato su un milione, è causata dalla mancanza totale o parziale di uno specifico enzima del fegato che non metabolizza la bilirubina, sostanza tossica che si accumula nei tessuti e può portare danni neurologici irreversibili. Al momento non ci sono trattamenti disponibili per curarla definitivamente al di fuori del trapianto di fegato. Fino ad ora il trattamento con fototerapia (speciali luci blu) riduce i livelli di bilirubina per mantenere in vita i pazienti, ma il trattamento necessita di molte ore al giorno e non cura in modo definitivo.

Il progetto di ricerca Europeo CureCN intende sviluppare una terapia genica curativa per la SCN. Il consorzio multidisciplinare ha come obiettivo di confermare in una sperimentazione clinica la validità di questa terapia innovativa basata sul trasferimento di un gene curativo nel fegato grazie ad un virus adeno-associato (AAV).

“Siamo molto orgogliosi e felici di aver iniziato questo programma e siamo molto riconoscenti per il supporto dato dai ricercatori e dall’Unione Europea” dichiara Marylene Beinat, coordinatrice delle tre associazioni di pazienti di Francia, Italia e Olanda coinvolte nel progetto CureCN. “Con la terapia genica ora testata nella sperimentazione clinica speriamo di dare un trattamento curativo ai pazienti che per ora dipendono dal trattamento con fototerapia che costituisce un enorme peso per loro e le loro famiglie.

Il consorzio CureCN riunisce 11 partner di 6 paesi europei che lavoreranno al progetto per cinque anni.

Project facts

Project acronym:	CureCN
Duration:	01.01.2018-31.12.2022
Budget:	€ 6.25 million
Coordination:	Genethon (France), Dr Federico Mingozzi

Press Contacts

Project Coordinator:

Dr Federico Mingozzi

Genethon

Phone: +33 (0) 6 24 01 42 89

email: fmingozzi@genethon.fr



Questo progetto ha ricevuto fondi dal programma europeo di ricerca e innovazione Horizon 2020 con l’accordo di finanziamento N.755225