



AIG - Associazione Italiana Glicogenosi
Associazione di Volontariato **ONLUS** di Diritto
Via Roma 2/G 20090 Assago (MI)

Associata a:



EURORDIS
Rare Diseases Europe



Movimento
Italiano Malati
Rari Italia



Dimension Therapeutics sviluppare trattamenti terapia genica per i pazienti con Ornitina transcarbamilasi (OTC) Glicogenosi tipo Ia (GSDIa)

Cambridge, Massachusetts, 23 aprile 2015 -.

Dimension Therapeutics, Inc, una società di malattie rare che si occupa di studiare trattamenti del fegato al fine di curare i disordini genetici, ha annunciato oggi che la società sta seguendo degli specifici programmi per il trattamento di due malattie rare: ornitina transcarbamilasi (OTC) e Glicogenosi 1A (GSDIa).

Dimension sta sviluppando nuovi approcci di terapia genica per sostituire il gene mancante o difettoso, in modo da correggere il difetto di base e per ripristinare la funzione metabolica.

"E' un passo importante sia per i pazienti sia per la DIMENSION: stiamo lanciando i nostri primi due programmi per curare malattie metaboliche associate al fegato, in modo da raggiungere una cura definitiva, che escluda l'opzione TRAPIANTO.

I trapianti sono spesso associati a notevoli rischi sia durante la procedura sia nel lungo termine", ha detto il CEO di Dimension Annalisa Jenkins.

"La nostra missione - in collaborazione con le comunità a sostegno dei pazienti e con i principali ricercatori clinici di tutto il mondo - è quella di sviluppare rapidamente e responsabilmente nuove terapie che possano offrire speranza e una salute migliore per i pazienti che necessitano di aiuto."

Dimension auspica di continuare il lavoro già finanziato da varie organizzazioni, tra cui il Fondo delle Glicogenosi per la ricerca, che ha finanziato gran parte del lavoro preclinico esistente relativo allo studio della GSD 1a.

Eric Crombez, Medico e Chief Medical Officer di Dimension, ha commentato, "Dimension sta sviluppando e potenziando le partnership con le comunità dei pazienti, le famiglie e medici focalizzandosi sul miglioramento della vita dei pazienti affetti da deficit di OTC e GSD1a.

Faremo in modo che le organizzazioni dei pazienti, come partner chiave, svolgano un ruolo attivo nello sviluppo di questi programmi clinici.

"L'azienda inizierà le sperimentazioni cliniche, in entrambe le popolazioni di pazienti, nel 2016"

David A. Weinstein, MD, MMSc, Direttore del programma di cura per la GSD1A, presso l'Università della Florida, ha osservato, "Il nostro programma di ricerca, il più grande al mondo per perseguire trattamenti per GSDIa, ha dedicato notevoli risorse per consentire la terapia genica, che in ultima analisi, credo sarà l'approccio più promettente per l'assistenza a lungo termine per pazienti affetti GSDIa. Le nuove terapie sono assolutamente necessarie, e non vedo l'ora che Dimension promuova il suo programma di terapia genica in clinica. "

Adenovirus di Dimension (AAV Vettore)

Dimension sviluppa terapie basate su una piattaforma di AAV di nuova generazione.

Gli attuali sforzi di Dimension si sono concentrati su AAV8 e AAVrh10, due forme di vettori AAV che colpiscono selettivamente le cellule del fegato.

Le Prime indicazioni evidenziano un immediato benefici, utilizzando questo approccio, in pazienti che vivono con emofilia B.

ENTRALLEGGIO PER STAMPARE



AIG - Associazione Italiana Glicogenosi
Associazione di Volontariato **ONLUS** di Diritto
Via Roma 2/G 20090 Assago (MI)

Associata a:



EURORDIS
Rare Diseases Europe



Movimento
Italiano Malati
Rare Onlus



L' articolo originale lo potete trovare al seguente indirizzo

Link: <http://www.dimensiontx.com/pressrelease/dimension-therapeutics-to-develop-gene-therapy-treatments-for-patients-with-ornithine-transcarbamylase-otc-deficiency-and-glycogen-storage-disease-type-ia-gsdi/>