

Il Comitato RUDI Onlus, nasce come piccola associazione fondata nel 2003 da Filomena D'Agostino e Bernardo Ruggieri, genitori di due ragazzi affetti da atassia di Friedreich con l'obiettivo di trovare una cura per questa debilitante malattia rara, dovuta ad una mutazione genetica di cui entrambi i genitori sono portatori sani, che induce la insufficiente produzione di una proteina mitocondriale denominata fratassina.

Generalmente compare in età scolare manifestandosi con disturbi dell'equilibrio ingravescenti che costringono all'uso della sedia a rotelle entro 10 anni dal suo esordio.

Nel 2005, Il Comitato RUDI Onlus dà vita al programma internazionale GoFAR (Go Friedreich's Ataxia Research) che, grazie al sostegno di famiglie e piccole organizzazioni di pazienti, oggi rappresenta una risorsa leader per tutte le persone con AF, nonché un autorevole stimolo per la comunità scientifica mondiale e le case farmaceutiche interessate alla patologia con cui interagisce costantemente agendo come leva per un uso sempre più mirato delle risorse a beneficio dei pazienti. Dunque, pur essendo rivolto all'intera comunità mondiale dei pazienti AF, l'operato di GoFAR guarda con occhio particolare agli italiani che determinano il bacino privilegiato del sostegno di cui gode, benchè importanti donazioni provenienti dal di fuori dei nostri confini non cessino di mancare, a sottolineare il carattere di internazionalità dell'operato svolto. Esso è atto a promuovere e accelerare tutte le fasi della ricerca scientifica che spaziano, dagli studi di base allo sviluppo preclinico / clinico ad opera delle case farmaceutiche a cui si fornisce supporto finanziario e logistico. In questa ottica è da sottolineare il successo italiano ottenuto da GoFAR che nel recente passato ha determinato il rapido avanzamento alla clinica di un composto di nuova concezione per l'AF appartenente agli inibitori delle istone deacetilasi, frutto del primo programma globale di ricerca mondiale finalizzata all'obiettivo preciso della individuazione di un trattamento farmacologico sicuro ed efficace. Lo studio condotto in Italia su 20 pazienti AF, primo ed unico al mondo, approvato dall'EMA e dall'Istituto Superiore della Sanità, ha evidenziato il potenziale vantaggio di trattare l'AF con tale composto, confermando gli studi preclinici che indicano la sua capacità di arrestare la progressione della malattia e di revertirne i sintomi. Il programma di avanzamento è condotto dalla BioMarin (USA) con cui GoFAR collabora instancabilmente allo scopo di incentivarne il rapido svolgimento. Per quanto attiene i farmaci già in commercio, è invece da sottolineare l'interesse condiviso in ambito internazionale verso l'Interferone gamma e il conseguente impegno di GoFAR ad attivare a breve uno studio clinico con detto farmaco in Italia. Infine, oggi la nuova sfida in un prossimo futuro è la terapia genica per il trattamento della AF supportata da un background scientifico già consolidato per le caratteristiche della patologia stessa; ciò ha aperto uno scenario necessariamente da percorrere e finalizzare verso obiettivi concreti. I molteplici interventi in atto e quelli in animo di essere avanzati, rispondono ad una strategia di approccio complessivo ed organico, resa

possibile solo ed esclusivamente dalla forte motivazione che anima le famiglie che mettono a disposizione le loro competenze, dedicandosi quotidianamente a titolo esclusivamente volontario a tutte le attività necessarie, dalla sensibilizzazione e raccolta fondi, all'organizzazione di congressi scientifico, nonché alle relazioni con i ricercatori e le case farmaceutiche, sotto la guida del legale rappresentate Filomena D'Agostino. Nessuno è a libro paga, non sono previsti rimborsi, ogni denaro donato è utilizzato per fini istituzionali per non sottrarre neanche una goccia delle risorse alla sfida di offrire un futuro migliore ai propri cari. Maggiori informazioni sul sito www.fagofar.org

gofar Comitato RUDI Onlus
Friedreich's Ataxia Research

 Sostieni la ricerca per la cura
dell'Atassia di Friedreich
con il **5 per mille** al
Comitato RUDI Onlus
C.F.: 97638210019