



COMUNICATO STAMPA

(embargato - fino alle ore 17 del 10/4/2017)

FIBROSI CISTICA: DALLA TIMOSINA UNA NUOVA TERAPIA

*L'Università di Perugia e l'Università San Raffaele Roma insieme alleate
per sconfiggere la Fibrosi Cistica (FC)*

*Lo rivela uno studio pubblicato oggi su Nature Medicine che svela i meccanismi correttori ed
antinfiammatori di timosina $\alpha 1$ (T $\alpha 1$)*

Romani: *"La molecola è già sintetizzata ed è sicura"*

Garaci: *"Adesso gli studi clinici e nel giro di poco potremo avere un'arma contro la fibrosi cistica"*

Nuove prospettive di cura per la FC grazie all'impiego di T $\alpha 1$, un peptide presente nel timo che potrebbe agire efficacemente nella cura della FC. La ricerca condotta da **Luigina Romani** dell'Università di Perugia e da **Enrico Garaci** dell'Università San Raffaele Roma pubblicata oggi su Nature Medicine ha dimostrato come questa molecola sia capace di attivare meccanismi in grado di ricostruire il sistema immunitario e di ridurre i processi infiammatori polmonari ricorrenti nei pazienti colpiti da FC.

"Abbiamo dimostrato l'efficacia di azione di questa molecola su cellule prelevate da alcuni pazienti con risultati sorprendenti" dichiarano **Luigi Maiuri** dell'Università degli Studi di Novara e **Mauro Pessia** dell'Università degli Studi di Perugia, altri ricercatori che hanno partecipato allo studio.

La FC è una patologia genetica cronica che colpisce in particolare i polmoni ed il sistema digestivo e ha un impatto sulla popolazione mondiale equivalente circa a 80.000 persone di cui 30.000 negli USA.

La FC è causata da mutazioni nel gene che codifica la "cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR)" e che portano ad una compromissione dell'attività del canale del cloro. La più comune mutazione p.Phe508del porta alla produzione di una proteina degradata che presenta un'attività canalare estremamente ridotta.

L'alterata permeabilità del cloro, l'infiammazione cronica persistente e le ricorrenti infezioni polmonari fanno sì che la patogenesi della malattia sia complessa tanto da richiedere protocolli terapeutici composti da molti farmaci.

Al momento attuale non è disponibile un farmaco dotato di tale pleiotropismo.

In questo lavoro gli autori descrivono la capacità di T $\alpha 1$ - peptide dotato di un eccellente profilo di sicurezza nella clinica - di correggere i molteplici difetti funzionali nei topi FC come in cellule di pazienti colpiti dalla mutazione p.Phe508del.

Infatti, T $\alpha 1$ presenta la combinazione di due proprietà che sono in grado di contrastare la patologia FC: riduzione dell'infiammazione secondo i dati già pubblicati da **Luigina Romani**, ma anche correzione ed aumento della funzione della proteina CFTR.

Grazie a questo studio, possiamo considerare T $\alpha 1$ come un potenziale singolo agente efficace nella terapia della FC, è il commento di Allan Goldstein della George Washington University USA, che ha partecipato alla ricerca.

**"Sono dati solidi ed importanti che indicano l'importanza di avviare al più presto gli studi clinici",
conclude Enrico Garaci.**

UFFICIO STAMPA

Tiziana Balsamo – tiziana.balsamo@sanraffaele.it - 347 6694454

Chiara Odierna – chiara.odierna@sanraffaele.it - 06 5225 2076 - Oderica Lusi – oderica.lusi@sanraffaele.it - 06 5225 2075