

TIRCON

Trattamento della Neurodegenerazione con Accumulo di Ferro ad esordio infantile



Opuscolo informativo

www.tircon.eu

FP7 (277984-2)



TIRCON – Progetto dedicato allo studio della Neurodegenerazione con Accumulo Cerebrale di Ferro (NBIA) finanziato dall’Ue

TIRCON (“Trattamento della Neurodegenerazione con Accumulo di Ferro ad esordio infantile”) è un consorzio finanziato dalla UE nell'ambito del 7 ° FP, che comprende 13 gruppi di ricerca (partner) in 8 paesi diversi. L’obiettivo di TIRCON è mettere insieme le competenze esistenti - e ad oggi frammentate - sulla NBIA sia nel campo della ricerca scientifica che dell’assistenza ai pazienti, in Europa e nel mondo. Il progetto mira a creare una rete strutturata per migliorare la diagnosi e il trattamento della malattia.

Focalizzazione del TIRCON

Si definisce Neurodegenerazione con Accumulo Cerebrale di Ferro (NBIA) un gruppo clinicamente e geneticamente eterogeneo di malattie neurodegenerative rare ereditarie, caratterizzate da alti livelli di ferro nel cervello. Molti casi di NBIA sono caratterizzati da insorgenza precoce nell’infanzia, rapida e disabilitante progressione, ed esito fatale. La forma più frequente di NBIA è la neurodegenerazione associata alla pantotenato-chinasi (PKAN). Attualmente, non esiste una terapia efficace per arrestare o curare la PKAN o qualunque altra forma di NBIA. Tuttavia, sia l’accumulo di ferro nel cervello che il difetto biochimico dovuto a mutazioni della PKAN potrebbero essere bersagli di trattamenti farmacologici. L’assenza di adeguati studi clinici randomizzati non dipende, cioè, dalla mancanza di potenziali terapie, piuttosto è legata alla rarità della malattia, all’assenza di registri dei pazienti e alla generale frammentazione della ricerca scientifica nel campo.

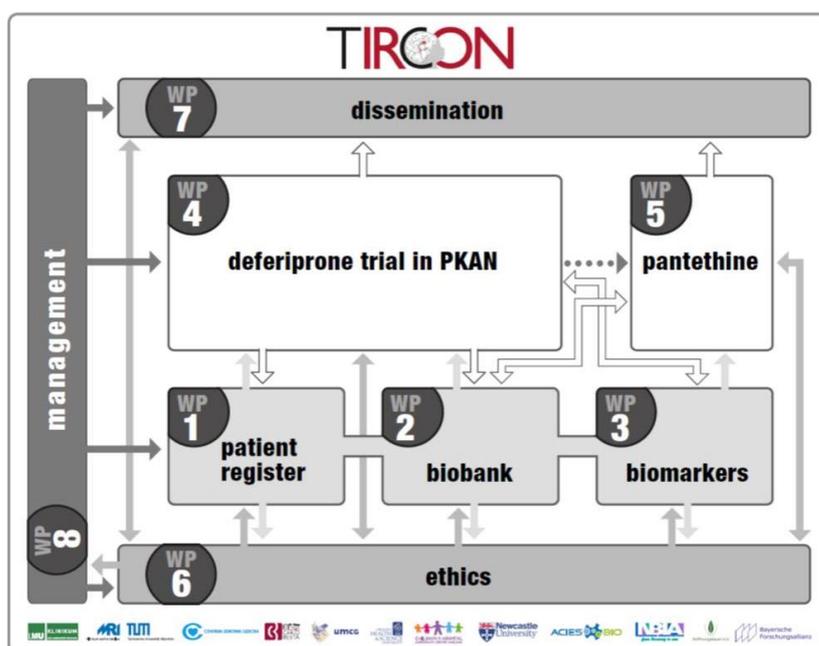
Con TIRCON, per la prima volta, un gruppo internazionale di scienziati e medici ha elaborato un progetto che coinvolge anche le associazioni dei pazienti e le imprese farmaceutiche impegnate nel campo dei farmaci orfani.

La struttura del TIRCON:

Ogni partner ha compiti specifici all’interno di una o più delle 8 attività previste da TIRCON.

Obiettivi del TIRCON:

1. Impostazione di un registro internazionale NBIA
2. Implementazione di una biobanca



3. Sviluppo di biomarcatori per la malattia;
4. Conduzione di uno studio clinico randomizzato del Deferiprone (farmaco ad effetto chelante sul ferro) nei pazienti con NBIA legata alla PKAN;
5. Sviluppo preclinico di derivati della pantetina per il trattamento della NBIA legata alla PKAN.

Impatto del TIRCON

Attraverso un'azione coordinata e di respiro internazionale, TIRCON stabilirà la cornice all'interno della quale migliorare le pratiche di gestione clinica della malattia e promuovere l'avanzamento della ricerca scientifica. L'iniziativa avrà un impatto a livelli diversi:

- **Impatto Strutturale:** Attraverso lo sforzo congiunto dei principali centri clinici che si occupano di NBIA in Europa e negli Stati Uniti, e a quello delle associazioni dei pazienti NBIA e dell'industria biotecnologica, TIRCON metterà insieme per la prima volta in modo strutturato e funzionale i pazienti e il loro dati, le competenze scientifiche e cliniche esistenti, e quelle dell'industria biotecnologica.
- **Impatto Scientifico:** Strutturando lo studio su scala internazionale si potrà avere accesso a coorti di pazienti sufficientemente ampie per dare validità statistica allo studio stesso e ottenere risultati scientifici solidi; in questo modo si creeranno nuove conoscenze sulla NBIA da tradurre in terapie farmacologiche grazie al coinvolgimento dell'industria.
- **Impatto Economico:** La partecipazione della SME in TIRCON aumenterà l'innovatività e la competitività delle industrie del settore sanitario in Europa.
- **Impatto sulla Salute:** Grazie al dialogo con organismi sanitari pubblici e privati, i risultati della ricerca scientifica potranno essere tradotti in terapie e nuovi approcci assistenziali.
- **Impatto sociale:** TIRCON contribuirà a identificare nuove di opzioni terapeutiche per risolvere una malattia progressiva, invalidante e spesso rischiosa per la vita, e porterà al miglioramento delle condizioni di presa in carico e assistenza dei pazienti.

Contatti:

TIRCON centro di studio:
FONDAZIONE I.R.C.C.S. ISTITUTO NEUROLOGICO CARLO BESTA
Via Celoria 11
20133 MILANO (MI)
tel. 02.2394.2210
fax 02.2394.2181
e-mail: segreteriaipi@istituto-besta.it

Associazione NBIA:
AISNAF – ASSOCIAZIONE ITALIANA SINDROMI NEURODEGENERATIVE DA ACCUMULO DI FERRO
Via Fellino, 5 - 87067 ROSSANO (CS)
tel. 334.9349907
e-mail: info@aisnaf.org
Website: www.aisnaf.org

TIRCON partner:



Ludwig-Maximilians-Universität München, Germania



Children's Hospital Oakland, Stati Uniti



umcg

University Medical Centre Groningen, Paesi Bassi



Klinikum rechts der Isar



Technische Universität München

Technische Universität München, Germania



Newcastle University, Regno Unito



Oregon Health & Science University, Stati Uniti



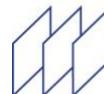
ApoPharma, Canada



Children's Memorial Health Institute, Polonia



ACIES BIO, Slovenia



Bavarian Research Alliance

Bayerische Forschungsallianz GmbH, Germania



Fondazione Istituto Neurologica Carlo Besta, Italia



NBIA Disorders Association, Stati Uniti



Hoffnungsbaum e.V.

Hoffnungsbaum e.V., Germania