



### Consorzio CureCN

Genethon **Francia**  
Assistance Publique – Ospedale di Parigi **Francia**  
UMC Amsterdam, Centro Medico Universitario **Olanda**  
Medizinische Hochschule Hannover **Germania**  
Azienda Ospedaliera Papa Giovanni XXIII **Italia**  
Università Degli Studi di Napoli Federico II. **Italia**  
Genosafe SAS **Francia**  
Organizzazioni Pazienti Crigler **Francia, Italia, Olanda**  
MC Toxicology Consulting GmbH **Austria**  
Università di Leicester **UK**  
Eurice – European Research and Project Office GmbH **Germania**



#### Coordinatore

Dr Federico Mingozi  
Genethon

fmingozzi@genethon.fr

#### Direzione

Melanie Haupenthal  
Eurice – European Research  
and Project Office GmbH  
m.haupenthal@eurice.eu

#### Associazioni di pazienti

AFCN / CiamiOnlus / DeNajjarStichting  
crigler-najjar@gonline.fr  
segreteria@ciami.it  
secretariaat@najjar.nl



Sviluppo di un terapia genica curativa  
per la Sindrome di Crigler-Najjar

[www.curecn.eu](http://www.curecn.eu)



Il progetto CureCN ha ricevuto fondi dal programma europeo di ricerca e innovazione Horizon 2020 con l'accordo di finanziamento No 755225.



1.1.2018–31.12.2022



6.25 M €



11 partners da 6 nazioni

CureCN

Terapia genica mediante virus adeno-associati  
AAV per la Sindrome di Crigler – Najjar

### A proposito di Crigler-Najjar

La Sindrome di Crigler-Najjar (CN) è una patologia del fegato estremamente rara e potenzialmente fatale che si manifesta subito dopo la nascita. La malattia è causata dalla mancanza di uno specifico enzima del fegato con il conseguente accumulo in tutti i tessuti del corpo di bilirubina non coniugata e quindi tossica. Non trattata la Sindrome di CN causa danni neurologici irreversibili e può portare alla morte. L'unico trattamento curativo definitivo ad oggi è il trapianto di fegato che implica un alto rischio di complicazioni. Al momento i pazienti sono trattati con fototerapia (speciali luci blu) che riduce i sintomi ma non elimina il rischio di picchi potenzialmente fatali di bilirubina.

“La terapia genica con vettori (AAV virus adeno associati) ha mostrato risultati promettenti nella sperimentazione pre-clinica e noi crediamo fermamente che saremo in grado di fornire una cura per pazienti CN molto giovani così come per pazienti adulti che hanno una immunità preesistente al virus AAV. Se verrà confermata l'efficacia nella nostra sperimentazione clinica, la terapia genica con AAV potrà curare non solo la Sindrome di CN ma anche altre malattie ereditarie del fegato.”

Dr Federico Mingozzi  
CureCN coordinator

### Obiettivo di CureCN

Complessivamente l'obiettivo del progetto di ricerca europeo CureCN è quello di mettere a punto una terapia genica per curare la sindrome di CN. Per raggiungere questo scopo, il progetto include una sperimentazione clinica volta a dimostrare la sicurezza e l'efficacia di una terapia innovativa basata sul trasferimento di gene nel fegato tramite un virus adeno-associato (AAV). Inoltre CureCN intende affrontare limiti importanti della tecnologia con AAV come l'immunità preesistente al virus vettore o la necessità di una ulteriore somministrazione della terapia.



Watch our video

### Coinvolgimento dei pazienti CN

Il consorzio CureCN comprende le associazioni di pazienti europee che, essendo in diretto contatto con i pazienti e le loro famiglie, rendono possibile un vivace scambio di informazioni e un reale coinvolgimento dei diretti interessati nel processo di ricerca. Inoltre CureCN intende realizzare il primo Registro Mondiale dei pazienti CN. I dati ottenuti saranno analizzati per permettere di avere un quadro generale del naturale decorso della malattia e confrontare le modalità di trattamento esistenti.