



Rompere le barriere: il primo paziente al mondo affetto da Glicogenosi di tipo Ia è stato sottoposto al trattamento sperimentale di Moderna, a base di mRNA, presso l'UConn Health

(Breaking Barriers – the First Patient in the World Receives Moderna mRNA Trial Infusion for Glycogen Storage Disease at UConn Health)

Il 1° giugno, Loveah Hernandez, una coraggiosa ragazza Texana affetta da Glicogenosi di tipo Ia (GSD Ia), è stata la prima persona al mondo a partecipare allo studio "Ba1ance".

Lo studio Ba1ance ha lo scopo di valutare se il nuovo farmaco sperimentale, mRNA-3745, sia sicuro e tollerabile per il trattamento pazienti con GSD Ia e quali effetti abbia sulla glicemia durante il digiuno.

Con la speranza che la stessa tecnologia che ha avuto successo nei vaccini Covid-19 possa funzionare anche nel trattamento della glicogenosi tipo Ia.

La tecnologia mRNA utilizza l'acido ribonucleico messaggero (mRNA), una molecola che si trova naturalmente nel corpo e che trasporta informazioni alle cellule. In questo caso, Moderna sta studiando se l'mRNA sia in grado di istruire il corpo umano a produrre la proteina che manca nelle persone con GSD Ia.

In questo studio clinico di fase 1, mRNA-3745 viene somministrato come singola infusione endovenosa.

Se tale farmaco funzionasse, mRNA-3745 insegnerebbe alle cellule dei pazienti affetti da GSD Ia a scomporre efficacemente il glicogeno, correggere i livelli di glucosio nel sangue ed evitare l'assunzione di amido.

"L'obiettivo è fornire una migliore qualità della vita ai pazienti con GSD Ia in modo che non dipendano dalla terapia con amido di mais", afferma Karen J. Loechner MD, PhD, il Principal Investigator (PI) dello studio Ba1ance.