FAST
Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics
ITALIA
CUREAngelman.it

Un solo obiettivo: la cura.

FAST

Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics

ITALIA

CUREAngelman.it

Associazione FAST Italia

Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics

Sede legale

GORGONZOLA - Via Carioni 26, 20064 Gorgonzola

Sedi operative

MONZA - Viale Margherita di Savoia 1, 20900 Monza
BRESCIA - Via Rossini 27, 25010 San Zeno Naviglio (BS)
GENOVA - Via Mansueto n.55/14, 16159 Genova

Codice Fiscale

91584170152

Coordinate bancarie

IBAN: IT42L0306909606100000144810
oppure IBAN: IT55N0311132810000000001623

OUR WELCOME

On behalf of the entire FAST family, I want to extend a warm welcome to you. FAST was founded in 2008 with an urgent mission: cure Angelman syndrome. Today, with operations in the United States, Canada, Australia, Great Britain and **Italy**, our organization is the largest non-governmental funder of Angelman syndrome research, and we take this responsibility seriously. FAST has set the research agenda for Angelman syndrome by bringing together a multidisciplinary team of more than two-dozen scientists from top research universities and pharmaceutical companies to join forces on a focused path to a cure. Now is the time for action. FAST's Roadmap to a Cure is bold, ambitious, and, with your help, achievable. Please join us by making a financial gift, spreading the word with friends and family members, and fundraising to help us cross the finish line. Our ultimate goal is to successfully complete this race - and no longer be necessary - by finding a cure.

Paula M. Evans
Chairperson
FAST

IL NOSTRO SALUTO

Sono onorata di rappresentare le tante famiglie in Italia che si prodigano ogni giorno nell'assicurare assistenza ed amore alle persone affette da Sindrome di Angelman, senza mai risparmiare le forze o perdere di vista il nostro unico obiettivo: la cura.
La nascita di FAST Italia nel 2019 costituisce la naturale prosecuzione del coraggioso cammino intrapreso da un gruppo di genitori nel creare l'associazione senza scopo di lucro "Il Sorriso Angelman".
Trasparenza, serietà e dedizione, che hanno caratterizzato il nostro operato negli anni passati, trovano continuità nelle azioni poste in essere da FAST Italia al fine di sensibilizzare la nostra Nazione ai temi delle malattie rare e della ricerca scientifica, sempre in coerenza con quanto definito da Vision e Mission dell'associazione.
Nel ringraziare i soggetti che, a vario titolo, supportano il nostro operato, incoraggio tutti voi ad unirvi alla nostra causa: trovare la cura alla Sindrome di Angelman, e farlo ora!

Benedetta Sirtori
Tesoriere
FAST Italia

Che cosa è la Sindrome di Angelman?

La Sindrome di Angelman (SA) è una malattia genetica rara del neurosviluppo che colpisce una persona su 15.000, circa 500.000 persone in tutto il mondo.

I bambini e gli adulti con SA presentano in genere difficoltà di equilibrio e motorie, soffrendo inoltre di attacchi epilettici debilitanti. Alcuni non camminano mai, la maggior parte non parla. I disturbi del ciclo del sonno possono inoltre rappresentare un grave problema sia per il soggetto affetto, sia per il caregiver e la famiglia. Gli individui con SA richiedono cure continue e non sono in grado di vivere in modo autonomo; hanno una normale aspettativa di vita.

Ad oggi, questa è la vita per le persone che vivono con la Sindrome di Angelman, ma esiste una concreta speranza di cambiamento. Gli scienziati concordano nel ritenere che la SA sia la sindrome genetica neurologica a maggior potenziale di cura, e che FAST (Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics) abbia un piano ben avviato per raggiungere questo obiettivo.

C'È SPERANZA PER UNA CURA.

La Sindrome di Angelman è stata curata in più modi nei topi e i progressi che stanno facendo i nostri scienziati sono a dir poco entusiasmanti.

NON SIETE SOLI.

Siamo tutti genitori di bambini con la Sindrome di Angelman e siamo pronti a rispondere alle vostre domande e ad assistervi.

FAST
Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics
ITALIA
CUREAngelman.it

La nostra Vision

Sostenere la ricerca scientifica per la cura della Sindrome di Angelman e promuovere il miglioramento della qualità della vita dei pazienti e delle loro famiglie.

La nostra Mission

FAST ITALIA è un'organizzazione senza scopo di lucro fondata al fine di sensibilizzare la collettività italiana sulle malattie rare e sull'attività di ricerca scientifica, promuovendo l'avanzamento dei risultati a livello internazionale.

Le nostre Priorità

Siamo impegnati al 100% nell'accelerare le terapie e la ricerca di una cura per la Sindrome di Angelman (SA). Troppo a lungo i sintomi della SA sono stati poco affrontati dalla comunità scientifica. Le ricerche volte ad individuare terapie per i disturbi del movimento, le convulsioni ed i tratti comportamentali della Sindrome di Angelman sono la priorità di FAST nel mondo. FAST è orgogliosa di investire in progetti di ricerca che hanno già prodotto risultati positivi e promettenti. Una cura per la SA è oggi a portata di mano, ma richiede l'esperienza e la collaborazione delle menti più brillanti, provenienti da una varietà di settori della ricerca e della scienza.

La nostra Ricerca ed il suo Impatto

FAST è il più grande finanziatore non governativo della ricerca sulla Sindrome di Angelman.

$17,329,657

investiti in otto anni

Le menti più brillanti si alleano nella sfida per la cura

FAST ha riunito un team multidisciplinare di oltre venti scienziati provenienti dalle migliori università di ricerca ed aziende farmaceutiche. Questi talenti rappresentano oggi i maggiori esperti mondiali sulla Sindrome di Angelman (SA) e hanno unito le proprie forze nell'intraprendere un percorso mirato alla cura.

Perché finanziare la Ricerca AS?

La cura della Sindrome di Angelman (SA) porterà indubbi benefici alla società intera. Il gene che causa la Sindrome di Angelman è stato infatti collegato a numerose altre malattie e disturbi genetici che coinvolgono la memoria e l'apprendimento. Il lavoro svolto dai ricercatori FAST potrebbe quindi costituire la via d'accesso alle cure per altre patologie che influenzano la vita di milioni di persone.

- Esiste una correlazione dimostrata tra la Sindrome di Rett e la Sindrome di Angelman.
- Esiste una correlazione dimostrata tra SLA e la Sindrome di Angelman.
- La proteina AS UBE3A è ridotta nella Malattia di Alzheimer. La proteina precorritrice della beta-amiloide è un bersaglio dell'UBE3A.
- Esiste una correlazione dimostrata tra la Sindrome dell'X Fragile e la Sindrome di Angelman.
- Esiste un legame genetico tra la Sindrome di Angelman e l'autismo.
- I ricercatori comprendono la causa genetica dell'epilessia negli individui con la Sindrome di Angelman.

Poiché sappiamo esattamente cosa provoca la SA, ed è già stata trovata una cura in laboratorio, contribuire alla ricerca FAST è un investimento di portata globale.

FAST Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics ITALIA CUREAngelman.it

La Roadmap alla Cura

FAST sta ultimando il lavoro sui fondamenti scientifici di base necessari a testare le terapie in studi clinici sull'uomo. Vi invitiamo a leggere come la nostra Roadmap cambierà la vita delle persone con la Sindrome di Angelman e, potenzialmente, di altri milioni che soffrono di disturbi correlati quali l'autismo e la Malattia di Alzheimer.

La Roadmap di FAST si concentra su tre strategie per il trattamento della Sindrome di Angelman. La SA non è una malattia degenerativa e pertanto si ritiene che questi approcci, già stati testati su modelli animali, abbiano il potenziale per invertire gli effetti della patologia in bambini, adolescenti e adulti.

1

Terapia Genica

La maggior parte dei casi di SA sono associati a mutazioni della copia materna del gene codificante UBE3A. La terapia di sostituzione genica utilizza vettori virali per veicolare una versione corretta del gene difettoso nelle cellule. L'obiettivo è che l'organismo inizi a produrre la giusta quantità di proteina UBE3A. Alcune terapie geniche sono già state approvate in Europa per il trattamento di disturbi rari (ad es. Strimvelis). Inoltre, negli Stati Uniti sono in corso numerose sperimentazioni di terapia genica per diverse malattie (ad es. la Malattia di Batten o Sindrome di Sanfilippo).

2

Terapia di Attivazione Genica

Tutte le cellule somatiche del nostro organismo sono diploidi, hanno cioè due copie di ogni cromosoma: uno di origine paterna, l'altro di origine materna. In un soggetto sano, il gene UBE3A nei neuroni del cervello è espresso dall'allele materno, mentre in quello paterno il gene è silenziato- un fenomeno meglio noto come imprinting. Negli individui con la SA, la copia materna del gene non funziona correttamente. L'obiettivo è quindi attivare la copia paterna del gene, normalmente silenziato, ed ottenere la produzione della necessaria quantità di proteina UBE3A.

3

Terapia Downstream

La terapia "Downstream" prevede l'utilizzo di farmaci per il trattamento dei sintomi della Sindrome di Angelman, al fine di migliorare la qualità della vita dei pazienti. L'Unione Europea ha stabilito dei criteri per l'assegnazione della qualifica di medicinali orfani e prevede incentivi per stimolare la ricerca, lo sviluppo e la commercializzazione di farmaci per la terapia delle malattie rare. Promuovere un fondo europeo destinato alla ricerca traslazionale di nuovi farmaci orfani potrebbe essere il modo più rapido di offrire nuove opportunità terapeutiche per la Sindrome di Angelman.

Come Puoi Aiutarci

FAST Italia si impegna a sostenere la ricerca scientifica per la cura della Sindrome di Angelman e a promuovere il miglioramento della qualità della vita dei pazienti e delle loro famiglie.

PER FARLO ABBIAMO PERÒ BISOGNO DEL TUO AIUTO!

1

Fai una donazione libera

Tutte le donazioni effettuate a favore di FAST Italia sono fiscalmente deducibili. Per ottenere il beneficio fiscale occorre effettuare un bonifico a FAST Italia scrivendo nella causale "Erogazione liberale" e conservare la ricevuta.

IBAN: IT42L0306909606100000144810 oppure **IBAN: IT55N0311132810000000001623**

2

Dona il tuo 5x1000

Devolvi il **5 PER MILLE** a **FAST Italia**: basta inserire il codice fiscale **91584170152** nel riquadro dedicato alle organizzazioni non lucrative di utilità sociale e firmare la casella.

Stampa il promemoria e portalo al CAF insieme alla tua dichiarazione dei redditi.

3

Diventa volontario

Ci sono molti modi per aiutare **FAST Italia** e le famiglie Angelman. Sono varie e numerose le opportunità di volontariato per individui, gruppi e gruppi aziendali.

Se vuoi saperne di più, contattaci o visita il nostro sito Web.

4

Aiutaci con la tua azienda

Quando un'azienda sceglie di essere al fianco di **FAST Italia** trova un'associazione non a scopo di lucro che sostiene la ricerca scientifica e aiuta le famiglie Angelman.

Una collaborazione è in grado di valorizzare le politiche di responsabilità sociale della tua impresa e di aumentare il coinvolgimento di tutti.

5

Dona con un lascito testamentario

Lascia un segno indelebile. Disponi un lascito testamentario a favore di **FAST Italia**.

Un tuo lascito, piccolo o grande, è un atto concreto di cui beneficeranno esclusivamente la ricerca scientifica e le famiglie Angelman.

VISITA IL SITO WWW.CUREANGELMAN.IT PER MAGGIORI INFORMAZIONI.

FAST ITALIA

Ti invitiamo a visitare il nostro sito e a seguirci sui nostri profili social.
Scrivici nei direct delle nostre pagine social oppure invia un'email.

www.cureangelman.it

info@cureangelman.it

www.facebook.com/cureangelman

www.twitter.com/cureangelmanIT

www.youtube.com/cureangelmanIT

FAST nel mondo

FAST (USA)
www.cureangelman.org

FAST AUSTRALIA
www.cureangelman.org.au

FAST CANADA
www.cureangelman.ca

FAST GREAT BRITAIN
www.cureangelman.co.uk

FAST ITALIA
www.cureangelman.it

FAST
Foundation for Angelman Syndrome Therapeutics
ITALIA
CUREAngelman.it