



Importanti aggiornamenti sul Trial Clinico “AURORA” di Ultragenyx

Gent.me. Famiglie di OR.S.A.,

Nella giornata di ieri, **14 gennaio 2026**, ho partecipato ad un'importante incontro con i referenti dei tre centri d'eccellenza Italiani, designati per la sperimentazione della **terapia genica di Fase 3 “AURORA”** promossa da Ultragenyx:

il **Dott. Stefano D'Arrigo** dell'Istituto Besta di Milano, il **Prof. Renzo Guerrini** dell'Ospedale Meyer di Firenze e la **Prof.ssa Domenica Battaglia** del Policlinico Gemelli di Roma.

Questi tre centri sono stati selezionati per coprire il territorio nazionale e rappresenteranno i punti di riferimento per questo importante percorso scientifico.

La terapia genica rappresenta una finestra di speranza straordinaria per la Sindrome di Angelman. Ma realisticamente, ora, non dobbiamo aspettarci miracoli immediati, bensì un progresso scientifico serio, rigoroso e graduale.

È importante sottolineare che la sperimentazione terapeutica comporta una **complessità logistica e metodologica significativa**. Per questo motivo, l'adesione è raccomandata esclusivamente a chi è realmente intenzionato e motivato ad affrontare l'intero percorso, scegliendo, per ragioni pratiche, il centro clinico geograficamente più vicino alla propria residenza.

Ultragenyx ha previsto l'arruolamento di un **numero limitato di pazienti**, inferiore rispetto alle aspettative iniziali e proprio per questo riteniamo fondamentale fornirvi informazioni complete e trasparenti, affinché possiate compiere una scelta consapevole.

La selezione dei pazienti sarà effettuato **esclusivamente dai centri clinici**, nel pieno rispetto dei rigorosi protocolli stabiliti dalla casa farmaceutica.

Il reclutamento è suddiviso per fasce d'età con criteri specifici:

- soggetti con **un'età compresa tra ≥ 4 e < 18 anni** con una diagnosi **geneticamente confermata di SA con UPD/ICD**;
- soggetti con **un'età compresa tra ≥ 4 e < 18 anni** e avere una **diagnosi geneticamente confermata di mutazione di tipo AS**.
- soggetti con **un'età compresa tra ≥ 1 e < 4 anni** con una diagnosi **geneticamente confermata di SA con delezione**.
- soggetti con **un'età compresa tra ≥ 18 e < 65 anni** con una **diagnosi geneticamente confermata di SA, qualsiasi genotipo**.

I medici selezioneranno i partecipanti sulla base di caratteristiche cliniche imprescindibili, definite a monte da Ultragenyx.



ORGANIZZAZIONE SINDROME DI ANGELMAN

Via Bressa n° 8 31100 TREVISO

Tel. 0422411132 Fax. 0422319571

C.F. 94047800266

<http://www.sindromediangelman.org>

Email: orsa@sindromediangelman.org



Consapevoli dei dubbi e delle domande che una notizia di questa portata può generare e prima di procedere con le selezioni definitive, con i centri di riferimento, abbiamo concordato di organizzare un **incontro collegiale**, che coinvolgerà tutti e tre centri clinici e tutte le famiglie che saranno interessate.

Sarà un'occasione preziosa per rispondere a quesiti tecnici e logistici, chiarire eventuali dubbi e aspetti ancora poco chiari e, soprattutto, **rafforzare la motivazione** di quelle famiglie che intendono presentare domanda di partecipazione al trial.

Il percorso di sperimentazione è lungo, complesso e può presentare difficoltà ed è pertanto fondamentale essere certi di poterlo affrontare fino al termine.

L'Or S.A., continua sempre e con determinazione a sostenere la ricerca, ma la nostra assoluta priorità rimane la **tutela e l'informazione chiara e onesta alle famiglie**, per informazioni e/o chiarimenti inviate email alla nostra casella: orsa@sindromediangelman.org;

Per le famiglie che sono interessate a partecipare devono inviare richiesta alle seguenti email:

- Azienda Ospedaliera Universitaria Meyer Prof. Renzo Guerini email : renzo.guerrini@meyer.it
- Istituto Neurologico Besta Milano Dott. Stefano D'Arrigo email: stefano.darrigo@istituto-besta.it
- Policlinico Universitario Agostino Gemelli Roma Prof. Domenica Immacolata Battaglia email: domenicaimmacolata.battaglia@policlinicogemelli.it

Un caloroso saluto

Treviso 16 Gennaio 2026

Il Presidente

