

## PRESS RELEASE/ANNOUNCEMENT

### Abstract - United States Patent # 7,517,669 Issued April 14, 2009

A method is described for regulating gene expression related to iron metabolism to ameliorate diseases that include sickle cell, cancers, neurodegenerative diseases, Friedreich's ataxia, and other neuromuscular disorders, and atherosclerosis. This approach is illustrated by recent findings that show that ferritin-H, an iron-binding protein that is present in cell nuclei can repress the human  $\beta$ -globin gene, the gene that is mutated in sickle cell disease. **Increased expression of ferritin-H** or a related ferritin-family peptide, **given to mutated cells** either as the peptide itself (or a part thereof), as an expression clone of the ferritin-H-subfamily gene, or via a gene regulator that increases expression of the ferritin-H-subfamily gene itself, **prevents or ameliorates expression of the disease state in disorders where increased availability of iron is implicated** in the etiology of the disease, including those named above.

[Text in blue presents the essential argument and finding.]

### Sommaire du Brevet No. 7,517,669 des Etats-Unis Emis le 14 avril 2009

Une thérapie est décrite pour régler l'expression génétique afférant au métabolisme de fer afin d'améliorer les symptômes des victimes de certaines maladies telles que la drépanocytose, des cancers, des maladies neurodégénératives, l'ataxia de Friedreich, autres désordres neuromusculaires, et l'athérosclérose. Des découvertes récentes illustrent que cette thérapie à base de la ferritine-H, une protéine qui fixe le fer et qui se trouve dans les noyaux des cellules, peut réprimer le gène humain  $\beta$ -globine, le gène qui porte la mutation drépanocytaire. **L'expression accrue de la ferritine-H** ou d'une peptide liée à la famille des ferritines, **donnée aux cellules mutées** -- soit sous forme d'une peptide (ou d'une partie en conséquence), soit comme une expression clône du gène de la sous-famille ferritine-H, soit par voie d'un gène régulateur qui fait accroître l'expression du gène de la ferritine-H lui-même **empêche l'expression ou améliore les symptômes des maladies dans les cas où une disponibilité accrue du fer est impliquée** dans leur étiologie y compris les désordres cités en haut.

[Le texte en bleu présente l'essentiel de l'argument et la découverte.]