

TRIAL IN ITINERE

Il “pianeta Sla” in attesa del cocktail terapeutico

DI MARIO MELAZZINI *

Negli ultimi 40 anni circa 180 sperimentazioni cliniche sono state effettuate nella ricerca di strategie terapeutiche efficaci per i pazienti affetti da Sla. Allo stato attuale, solo il riluzolo, un farmaco in grado di proteggere i neuroni del movimento dal processo di degenerazione causato dalla malattia, ha dimostrato una modesta efficacia nel prolungare di pochi mesi la sopravvivenza ed è stato pertanto approvato dalla Food and Drug Administration per il trattamento della Sla. Tuttavia gli studi di laboratorio sull'esordio e la progressione della malattia hanno permesso l'identificazione di numerose nuove molecole che potrebbero essere efficaci nei pazienti: replicare in questi i successi ottenuti nelle sperimentazioni rappresenta una grande sfida.

Infatti, i ricercatori devono misurarsi con difficoltà sempre nuove e diverse: per esempio, si sperimentano possibili terapie su modelli animali (es. il topo Sod1) che hanno solo alcune alterazioni genetiche della malattia, mentre si stanno cercando di scoprire ulteriori geni coinvolti nell'insorgere della patologia. Inoltre si rafforza la certezza che la malattia abbia manifestazioni cliniche diverse.

Ciò nonostante sono numerose le sperimentazioni promettenti che stanno valutando l'efficacia di farmaci con attività neuro-

protettiva, cioè in grado di proteggere il motoneurone. Non solo, si stanno mettendo a punto molecole che cercano di contrastare l'accumulo di proteine che a lungo andare danneggiano il motoneurone. Anche l'eritropoietina (Epo), in studi recenti, ha evidenziato il rallentamento della malattia sia nel modello animale, sia in pazienti.

Molto promettenti si stanno dimostrando le terapie dirette nei confronti della funzione mitocondriale: a esempio, gli studi preclinici stanno valutando come il cholest-4-en-3-one oxime (Tro19622) migliori le prestazioni motorie, ritardi l'esordio dei sintomi e incrementi la sopravvivenza nel modello animale di malattia (Sod1 mutato).

Il futuro sarà rappresentato dall'utilizzo di cocktail di farmaci con meccanismi di azione diversi, come pure dalle cellule staminali adulte, sia in un'ottica rigenerativa, sia di liberazione di fattori di crescita, tanto come neuroprotettivi quanto come vettori di farmaci.

Il lato oscuro della malattia potrà essere solo illuminato alla luce di questa importante e continua attività di ricerca, focalizzata sulla sconfitta della malattia.

Replicare nei malati gli esiti sperimentali

* *Presidente AriSla
Agenzia di ricerca per la Sla*

© RIPRODUZIONE RISERVATA