

Le Scienze

edizione italiana
di Scientific American

MEDICINA

Sperimentata sul modello murino



Distrofia: utile una combinazione farmaci già in uso

L'uso combinato di un antinfiammatorio non steroideo e di un farmaco della famiglia dei nitrati capace di rilasciare ossido d'azoto si è dimostrato efficace nel rallentare la progressione della malattia in un gruppo di topi affetti da distrofia in seguito al silenziamento dei geni che presiedono alla produzione di alfa-sarcoglicano

Medicina

Sperimentata sul modello murino

Distrofia: utile una combinazione farmaci già in uso

La somministrazione di un antinfiammatorio non steroideo e di un farmaco della famiglia dei nitrati ha mostrato di rallentare la progressione della malattia nel topo



L'uso combinato di due farmaci già utilizzati singolarmente nell'uomo ha dimostrato, in un modello murino della distrofia di Duchenne di essere in grado di migliorare la struttura del muscolo. E' questo il risultato di uno studio - condotto presso l'Irccs "E. Medea" - La Nostra Famiglia, in collaborazione con ricercatori dell'Università di Milano, dell'Ospedale Sacco e dell'Irccs San Raffaele coordinati da Emilio Clementi - che ha testato gli effetti della somministrazione congiunta di un antinfiammatorio non steroideo e di un farmaco della famiglia dei nitrati capace di rilasciare ossido d'azoto a topi affetti da distrofia in seguito al silenziamento dei geni che presiedono alla produzione di alfa-sarcoglicano, una proteina di membrana.

Come viene illustrato in [un articolo pubblicato sul *British Journal of Pharmacology*](#), alla fine della sperimentazione, durata un anno, i topi ai quali era stata somministrata la combinazione di farmaci hanno manifestato un aumento della resistenza allo sforzo muscolare, un miglioramento della struttura muscolare con riduzione delle componenti fibrotica e infiammatoria e un rallentamento del decorso della patologia murina in assenza di effetti collaterali. Il fatto che gli effetti benefici si siano mantenuti per tutto il periodo di studio è un indicatore importante di potenziale efficacia per una patologia a decorso cronico e progressivo come è la distrofia muscolare umana.

L'approccio farmacologico - osservano i ricercatori - non è certamente risolutivo di patologie su base genetica, come le distrofie, tuttavia il rallentamento del decorso clinico e il fatto che il trattamento possa essere utilizzato in tutte le forme di distrofia muscolare è certamente un risultato importante, anche se la sua validità nelle distrofie umane necessita ancora di una prova clinica.

"Il nostro intento è quello di identificare approcci farmacologici innovativi capaci in se stessi di rallentare il decorso della malattia ma anche di fornire sostegno adeguato alla terapia cellulare", spiega Clementi. "In questa combinazione abbiamo riscontrato proprietà farmacologiche importanti, che possono migliorare il quadro patologico e agire in sinergia terapeutica con le cellule staminali".

I risultati dello studio - che è stato finanziato da Telethon Italia e Association Francaise contre les Myopathies - saranno ora oggetto di un trial clinico per la tollerabilità e sicurezza del trattamento nell'uomo grazie al sostegno economico di Parent Project onlus Italia e dell'Irccs "E Medea". (I ricercatori avvertono che il reclutamento per il trial è già chiuso.)

(gg)