

Comunicato stampa

**GIORNATA NAZIONALE DELLA SLA:
PUBBLICATI STUDI SPERIMENTALI SU NUOVE TERAPIE**

Roma, ... settembre 2020. **Domenica 20 settembre si celebra la Giornata Nazionale sulla Sclerosi Laterale Amiotrofica**, una malattia neurodegenerativa progressiva dell'età adulta che conduce alla paralisi dei muscoli volontari fino a coinvolgere anche quelli respiratori. In Italia colpisce **5.000 persone** e causa un'aspettativa di vita media dopo la diagnosi **pari a 3-5 anni**.

In questa occasione, **la Società Italiana di Neurologia** diffonde un aggiornamento sulle principali sperimentazioni in corso riguardo **nuove opportunità terapeutiche**.

Durante l'ultimo anno, nonostante negli ultimi sei mesi anche il mondo della ricerca sia stato travolto dalla pandemia da COVID-19, si sono accese grandi speranze per i malati affetti da malattia del motoneurone.

Innanzitutto la comunità scientifica nazionale ed internazionale ha affrontato l'emergenza producendo rapidamente linee **guida per la gestione clinica e domiciliare dei pazienti affetti da SLA**, pubblicando inoltre numerosi lavori scientifici su temi come la **telemedicina e l'impatto della malattia in relazione alla pandemia**.

“Sono stati pubblicati numerosi **studi sperimentali** – ha affermato il **Prof. Andrea Calvo**, coordinatore del Gruppo di Studio Malattie del Motoneurone della SIN e Docente del Dipartimento di Neuroscienze "Rita Levi Montalcini" Università degli Studi di Torino AOU Città della Salute e della Scienza di Torino – di cui due sono usciti sul New England Journal of Medicine, la più prestigiosa rivista scientifica in campo medico: il **primo** è inerente ai risultati della **fase 1-2 della sperimentazione sui pazienti affetti da SLA con mutazione genetica del gene SOD1 con gli Oligonucleotidi Antisenso (ASO)**, cioè brevi molecole a singolo filamento di DNA complementari a una specifica sequenza. L'ASO, legandosi a una specifica molecola di mRNA ne blocca la traduzione, **impedendo la sintesi della proteina mutata**. E' in corso la fase 3, che coinvolge, tra i vari centri nel mondo, anche il CRESLA di Torino. Analoga sperimentazione è in corso per le **forme con mutazione C9ORF72**. Si tratta, quindi, di risultati sulle mutazioni genetiche più frequenti nella SLA che giustificano una concreta speranza”.

Il **secondo lavoro**, uscito più recentemente sulla prestigiosa rivista, riguarda uno studio americano su **un'associazione di due molecole, il fenilbutirrato e l'acido taurodesossicolico**.

“Questo studio - ha commentato il Prof. Gioacchino Tedeschi, Presidente della Società Italiana di Neurologia - ha dimostrato **un rallentamento significativo della progressione di malattia** nei pazienti in trattamento rispetto al gruppo di controllo sottoposto a placebo. Inoltre, a breve **partirà**

uno studio confermativo di fase 3. E' in corso da un anno anche uno studio multicentrico europeo coordinato dall'Italia per valutare l'efficacia dell'acido taurodesossicolico nella SLA".

Sono stati inoltre pubblicati diversi studi clinici di notevole importanza, come la proposta di nuovi **criteri diagnostici per la sclerosi laterale amiotrofica e per la sclerosi laterale primaria**, variante più rara e benigna delle malattie del motoneurone, e nuovi **modelli di predizione e di progressione** della malattia.

Persistono però tutt'oggi importanti **limiti** metodologici riguardanti il disegno degli studi clinici e la valutazione dell'efficacia dei trattamenti sperimentali, in particolare per **la mancanza di biomarcatori diagnostici e prognostici**. La ricerca sta investendo molte risorse in questo campo, e **qualche positivo sta emergendo, in particolare per i marcatori prognostici**. Per questi studi l'Italia contribuisce da oltre 20 anni con registri di popolazione in diverse regioni, grazie ai quali sono emersi dati fondamentali di tipo clinico ed epidemiologico.