

Brillanti risultati di due prove di terapia genica nel Parkinson.

Lunedì 23 Ottobre 2006

Sia il gene per la nurrina inserito nel putamen, che il gene per la GAD, inserito nel subtalamo, sono ben tollerati e riducono i sintomi parkinsoniani.

I risultati del primo studio, frutto della collaborazione tra il Medical Center della Rush University e l'Università di California, San Francisco, sono stati presentati il 16 ottobre 2006 al Congresso Annuale dell'American Neurological Association tenutosi a Chicago. I risultati del secondo studio, condotto al Presbyterian Hospital di New York e al Weill Cornell Medical Center, sono stati presentati il 17 Ottobre al 36° Convegno Annuale della Società di Neuroscienze ad Atlanta. Entrambe le prove, di Fase I e quindi miranti come fine primario ad accertare la sicurezza del trattamento, hanno interessato 12 pazienti ed hanno utilizzato come vettore del gene un adeno-virus non patogeno.

Nel primo studio, il prodotto utilizzato, il CERE-120, associava il virus vettore al gene per la nurrina, proteina che ha la funzione di mantenere attivi e vitali i neuroni che producono dopamina. La nurrina appartiene alla famiglia del GDNF (fattore neurotrofico derivato dalle cellule gliali), del quale condivide le proprietà farmacologiche. A prova ultimata, i pazienti che avevano utilizzato la dose più bassa presentavano un miglioramento del 40% dopo 9 mesi, mentre quelli che avevano assunto una dose 4 volte maggiore avevano lo stesso grado di miglioramento con tre mesi di anticipo. Il tempo in "off" era ridotto del 50% e l'"on" di buona qualità era raddoppiato.

Il secondo studio, della durata di un anno, ha utilizzato un prodotto della Neurologix Inc., che contiene il virus vettore con il gene per la GAD (decarbossilasi dell'ac. glutammico), inserito nel nucleo subtalamico. Si sono impiegati tre livelli di dose, ciascuno utilizzato in quattro pazienti. Non si sono verificati effetti collaterali. L'insieme dei pazienti ha mostrato un miglioramento clinico del 25%, che in 9 era del 37% e in 5 si situava tra il 40 e il 65%, Rilievi con la PET (tomografia a emissione di positroni) indicavano un significativo miglioramento del metabolismo cerebrale.

E' prematuro entusiasarsi per questi dati, che devono essere confermati su casistiche più larghe e con metodi di studio controllati; ma il passaggio dalle terapie attuali che trattano solamente i sintomi a quelle che riescano a modificare la malattia di base merita tutto il nostro interesse.

Fonte: Marks WJ (UCSF); During MJ (Neurologix)