

DISTROFIA DI DUCHENNE, I PRIMI RISULTATI DELLA SPERIMENTAZIONE DEL FARMACO GIVINOSTAT

Italfarmaco, gruppo farmaceutico con sede a Milano, presenta le conclusioni del primo studio che ha coinvolto un gruppo di bambini affetti da distrofia di Duchenne. La sperimentazione ha dimostrato che il farmaco givinostat, somministrato al gruppo di pazienti del trial, è in grado di aumentare la forza muscolare e di rallentare la "morte" cellulare dei tessuti muscolari allungando, in questo modo, le prospettive di vita dei pazienti. «Siamo molto soddisfatti di questo risultato che è un esempio delle modalità con cui una charity può avere un impatto sul paziente – ha commentato Francesca Pasinelli, direttore generale di Telethon –: selezionare scienziati eccellenti, favorire l'approdo della ricerca alla clinica, promuovere la collaborazione tra tutti gli attori del sistema. Pier Lorenzo Puri ha portato avanti questa ricerca nel corso di una carriera decennale nell'Istituto Telethon Dulbecco e i centri clinici coinvolti nello studio fanno parte di un network cresciuto negli anni anche grazie al bando clinico Telethon-Uildm».

La selezione di scienziati eccellenti

Lo studio sul farmaco givinostat - promosso da Italfarmaco e a cui ha contribuito anche un finanziamento dell'associazione Parent Project - è un esempio dell'impegno quotidiano di Telethon al fianco dei malati rari. L'intuizione e lo sviluppo della strategia terapeutica è opera di Pier Lorenzo Puri, ricercatore tra i primi a far parte dell'Istituto Telethon Dulbecco (Dti). I suoi 10 anni di carriera nel Dti sono stati anni importanti per lo sviluppo della strategia terapeutica approdata alla sperimentazione del farmaco.

L'impatto di Telethon sulla ricerca clinica

Dal 2001, Telethon e Uildm (Unione Italiana Lotta alla distrofia muscolare) dedicano i fondi raccolti dai volontari Uildm a un bando dedicato a progetti di ricerca clinica che abbiano come obiettivo il miglioramento della qualità della vita dei malati neuromuscolari. Il bando sostiene studi clinici mirati alla prevenzione, diagnosi, terapia e riabilitazione nel campo delle malattie neuromuscolari.

La promozione di un dialogo collaborativo tra tutti gli attori del sistema

Da sempre al fianco di Uildm, l'associazione che in Italia difende i diritti delle persone con distrofia muscolare, Telethon sta contribuendo in questi anni anche alla nascita e al consolidamento di alleanze strategiche tra tutti gli attori del sistema interessati allo sviluppo di ricerche e cure per le malattie neuromuscolari. Basti ricordare l'impegno, in Italia, per fondare e sostenere i centri clinici per malati neuromuscolari (Centro Clinico NeMO di Milano e di Messina) e all'interno del Registro dei pazienti neuromuscolari mentre, in ambito internazionale, la presenza di Telethon nella piattaforma internazionale formata da associazioni ed enti senza scopo di lucro che finanziano attività volte a facilitare l'incontro e la formazione di gruppi di ricerca che si occupano di malattie neuromuscolari (Enmc - European Neuromuscular Center).

I prossimi passi

Sulla base dei risultati prodotti dalla sperimentazione, Italfarmaco incontrerà a breve le Autorità Regolatorie Europee e Statunitensi per definire lo studio clinico da condurre a sostegno di una domanda di registrazione del farmaco in Europa e negli Stati Uniti e valutare la possibilità di usufruire di percorsi di approvazione accelerati dedicati ai farmaci altamente innovativi.

FONTE: TELETHON