Dott. Pierangelo Cifelli

Palermo, 5 marzo 2016 – Dalla collaborazione fra Università Sapienza, Fondazione Ri.MED, IRCCS San Raffaele Pisana e Università della California arrivano i risultati di uno studio che per la prima volta identifica il muscolo come possibile target terapeutico per la SLA.

Pierangelo Cifelli, ricercatore della Fondazione Ri.MED, dopo il training all'Università di Pittsburgh, è attualmente impegnato presso il laboratorio di Eleonora Palma al Dipartimento di Fisiologia e Farmacologia dell'Università "La Sapienza", grazie a un accordo scientifico fra i due enti. Il dott. Cifelli è fra gli autori dello studio *"Acetylcholine receptors from human muscle as pharmacological targets for ALS therapy"*, appena pubblicato sulla prestigiosa rivista PNAS.

Il dott. Cifelli si dichiara davvero soddisfatto dei risultati ottenuti: "L'approccio proposto è potenzialmente rivoluzionario, perché apre la strada alla ricerca di cure a livello muscolare e non necessariamente neuronale; posso dire che la soddisfazione per i risultati ottenuti mi ripaga non solo a livello professionale, per i 3 anni di lavoro, ma anche moltissimo a livello umano: questo studio mi ha

permesso di verificare con mano cosa significhi riuscire a traslare la ricerca di base a quella clinica".

La Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) è una malattia neurodegenerativa progressiva che colpisce i motoneuroni, provocando una paralisi progressiva e irreversibile della muscolatura, con una perdita della normale capacità di deglutizione, dell'articolazione della parola e del controllo dei muscoli scheletrici, fino ad arrivare alla compromissione dei muscoli respiratori e al blocco respiratorio.

Per lo studio sono stati arruolati presso il "Centro Malattie Neuromuscolari Rare del Policlinico Umberto I" 76 pazienti affetti da SLA e 17 pazienti con quadro di denervazione causato da altre patologie. È stata utilizzata una tecnica particolarmente innovativa basata sul microtrapianto di membrane muscolari ottenute da biopsie effettuate da muscoli di pazienti SLA in cellule uovo di una rana sudafricana, che ha la capacità di fondere le membrane umane esponendo tutte le proteine native sulla loro membrana. Mediante l'utilizzo di specifiche tecniche elettrofisiologiche, è stato inoltre possibile studiare le correnti dovute all'attivazione dei recettori muscolari e gli effetti di un endocannabinoide, il palmitoiletanolamide (PEA), il cui effetto sulla forza muscolare di un singolo paziente affetto da SLA era stato precedentemente dimostrato.

L'ipotesi era che il PEA potesse potenziare l'attività dei muscoli che restano continuamente stimolati, come sono quelli respiratori. I risultati raggiunti hanno dimostrato come il PEA sia in grado di ridurre nei pazienti il declino della loro capacità vitale forzata (FVC), con significativo miglioramento della performance respiratoria.

I risultati dello studio traslazionale rafforzano quindi l'ipotesi che il muscolo partecipi all'evoluzione della patologia SLA, indicandolo come possibile nuovo target terapeutico e suggerendo la necessità di ricercare anche nel muscolo, e non solo nei motoneuroni, i biomarkers patologici nella fase pre-sintomatica di malattia.

"Acetylcholine receptors from human muscle as pharmacological targets for ALS therapy"
Eleonora Palma[a,b], Jorge Mauricio Reyes-Ruiz[c], Diego Lopergolo[d] ,Cristina Roseti[b], Cristina Bertollini[a], Gabriele Ruffolo[a], Pierangelo Cifelli[a,e], Emanuela Onesti[d], Cristina Limatola[a,f], Ricardo Miledi[c,g] & Maurizio Inghilleri[d]

[a]Department of Physiology and Pharmacology, Istituto Pasteur-Fondazione Cenci Bolognetti, University of Rome Sapienza, Rome, Italy; [b]IRCCS San Raffaele Pisana, Rome, Italy; [c]Department of Neurobiology and Behavior, University of California Irvine, CA, USA; [d]Department of Neurology and Psychiatry, University of Rome Sapienza, Rome, Italy; [e]Ri.MED Foundation Palermo, Italy; [f]IRCCS Neuromed, Pozzilli, Italy;[g]Instituto de Neurobiología, Querétaro, México.

fonte: ufficio stampa