



Cambridge, Massachusetts, 4 giugno 2022 - Una luce di speranza si accende oggi per la comunità dei pazienti con la Sclerosi Laterale Amiotrofica-SLA. Questa malattia così poco certa nella sua storia e nella prospettiva futura, oggi subisce una battuta di arresto grazie al progredire della ricerca. Annunciato ieri al congresso annuale ENCALIS (European Network to Cure ALS), i dati a 12 mesi dello studio in aperto mostrano un beneficio clinicamente significativo su diversi parametri.

Prima di tutto i dati mostrano che il trattamento precoce con tofersen rallenta il declino sia della capacità respiratoria vitale lenta sia della capacità muscolare. Non solo. Sono state osservate riduzioni della proteina SOD1 totale e del neurofilamento, vale a dire di uno dei marcatori associati al danno assonale e alla neurodegenerazione. La maggioranza dei partecipanti, inoltre, è sopravvissuta senza ventilazione permanente (PV), questo lascia pensare che il farmaco agisca positivamente sia sulla sopravvivenza che sulla capacità di prevenire eventi avversi.

“L’informazione

che abbiamo ricevuto da Biogen pochi minuti fa su questi nuovi incredibili risultati dello studio è una notizia che ci entusiasma - dichiara Fulvia Massimelli presidente nazionale AISLA - Il prof. Mario Sabatelli ha fortemente creduto e combattuto per accelerare le risposte di questa molecola che, seppur in fase sperimentale, dimostrava già chiaramente importanti risposte per il trattamento delle persone colpite da SLA con mutazione del gene SOD1. AISLA ringrazia tutti i pazienti e le famiglie che hanno accettato di partecipare allo studio. La fase determinante, tuttavia, è stata senz'altro l'apertura della somministrazione a tutti i pazienti SOD1. Non possiamo che essere profondamente grati verso tutti i medici che li hanno seguiti, primi fra tutti i Centri Clinici NeMO che non hanno esitato a mettere a disposizione ogni mezzo per accogliere i pazienti”.

Un cambiamento di prospettiva terapeutica che segna per la prima volta, dopo 150 anni, l'inizio di una prima nuova pagina della malattia. L'appello di AISLA è che tutti i pazienti SLA SOD-1 in Italia possano accedere tempestivamente al farmaco. Il Centro di Ascolto AISLA (<https://www.aisla.it/il-centro-di-ascolto/>) è a completa disposizione per agevolare ogni paziente con le caratteristiche adeguate per accedere al farmaco.

È bene ricordare che la mutazione su cui agisce è una forma genetica rara della malattia che riguarda circa il 2-3% delle persone con SLA, cioè circa 120-150 persone in Italia. Ad oggi ci risultano trattate poco più di 50 persone (dato non confermato).

“Nella

SLA, le persone con malattia a progressione più rapida hanno livelli di neurofilamenti più elevati, molto probabilmente perché i loro neuroni e assoni stanno degenerando più rapidamente - ha affermato Merit Cudkowicz, MD, co-principale ricercatore dello studio VALOR e co-fondatore della SLA nord-orientale Consortium, Direttore dell'Healey & AMG Center for ALS e Chair of Neurology presso il Massachusetts General Hospital e Julieanne Dorn Professor of Neurology presso la Harvard Medical School - Tofersen ha abbassato i livelli di neurofilamento di circa il 40-50 per cento. La combinazione di questi risultati dei biomarcatori e dei dati sugli esiti clinici fornisce ulteriori prove del potenziale di tofersen di rallentare efficacemente la progressione incessante della SOD1-ALS”.

È un risultato molto importante per la comunità dei pazienti, sempre in attesa di avanzamenti che

possano garantire opportunità terapeutiche a tutti. La ricerca su questa malattia e su ulteriori approcci terapeutici, però, non si può né si deve fermare.