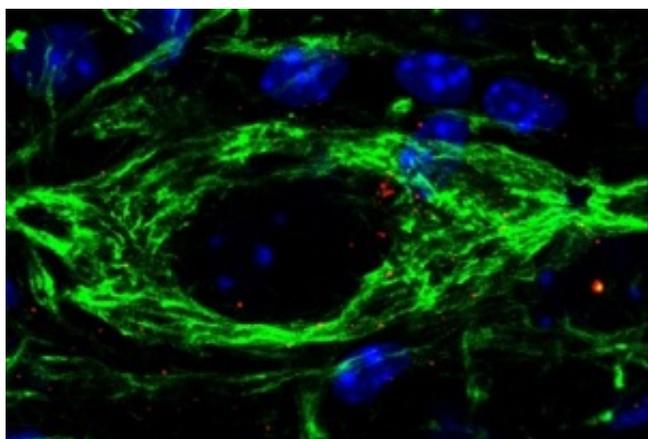




UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI
DI TORINO

Una ricerca dell'Università di Torino, pubblicata sulla prestigiosa rivista americana Proceedings of the National Academy of Sciences (PNAS), ha recentemente dimostrato come una piccola molecola sintetica chiamata MR-409, sia capace di rallentare la progressione dell'Atrofia Muscolare Spinale (SMA)



Torino, 12 gennaio 2023 - L'Atrofia Muscolare Spinale (SMA) è una malattia neuromuscolare rara dell'infanzia, caratterizzata dalla perdita dei motoneuroni, le cellule nervose che trasportano i segnali dal sistema nervoso centrale ai muscoli, controllandone il movimento. La SMA, che ha un'incidenza di circa 1 su 10.000 nati vivi, provoca debolezza, atrofia muscolare progressiva e complicazioni respiratorie. È causata da mutazioni del “gene per la sopravvivenza del motoneurone” e conseguente carenza della proteina SMN (Survival Motor Neuron), essenziale per la sopravvivenza e il normale funzionamento dei motoneuroni.

Fino a poco tempo fa, il trattamento della SMA era esclusivamente sintomatico, finalizzato a migliorare la qualità di vita dei pazienti. Oggi, invece, sono stati approvati nuovi farmaci in grado di incrementare la produzione di proteina SMN funzionale, ma non sono ancora considerati come cura definitiva per la SMA.

Uno studio dell'Università di Torino, coordinato dalla prof.ssa Riccarda Granata, della Divisione di Endocrinologia e Malattie del Metabolismo (diretta dal prof. Ezio Ghigo) del Dipartimento di Scienze Mediche e dal prof. Alessandro Vercelli, direttore del NICO - Neuroscience Institute Cavalieri Ottolenghi, Dipartimento di Neuroscienze, ha recentemente dimostrato come una piccola molecola sintetica chiamata MR-409, analoga del growth hormone-releasing hormone (GHRH, neurormone che stimola il rilascio dell'ormone della crescita), sia capace di rallentare la progressione della SMA.

MR-409 è prodotta a Miami nel laboratorio del prof. Andrew Viktor Schally, Premio Nobel per la Medicina e co-autore del lavoro. Nello specifico, i ricercatori che hanno condotto lo studio, la prof.ssa Marina Boido, il dott. Iacopo Gesmundo e la dott.ssa Anna Caretto, hanno evidenziato come MR-409 sia in grado di migliorare le funzioni motorie, attenuare l'atrofia muscolare e promuovere la maturazione delle giunzioni neuromuscolari in un modello sperimentale di SMA. Inoltre, MR-409 contrasta la perdita dei motoneuroni e riduce l'infiammazione nel midollo spinale. Questi risultati suggeriscono che MR-409 possa rappresentare un potenziale farmaco, in associazione ad altre terapie, nel trattamento della SMA.

Lo studio, pubblicato sulla prestigiosa rivista americana [Proceedings of the National Academy of Sciences \(PNAS\)](#), è il risultato di una collaborazione tra il gruppo di neuroscienziati, da anni impegnati nella ricerca sulla SMA, e il gruppo di endocrinologia cellulare e molecolare, che insieme al prof. Schally e i suoi collaboratori, ha dimostrato già in precedenza gli effetti protettivi degli analoghi del GHRH, anche a livello cardiaco e muscolare.

Pur non essendo ancora disponibili per uso umano, sono in corso ulteriori studi per l'autorizzazione di queste sostanze per uso clinico, definite "agonisti" del GHRH, così come degli "antagonisti", promettenti farmaci antitumorali, già studiati nel mesotelioma pleurico maligno e nei tumori ipofisari.