



San Giovanni Rotondo, 1 giugno 2023 - L'Unità di Neurologia dell'IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza di San Giovanni Rotondo, diretta dal neurologo Giuseppe d'Orsi, ha recentemente somministrato con successo, ad una donna della Provincia di Foggia, l'Eculizumab, un nuovo farmaco da poco autorizzato dall'AIFA anche per il trattamento della miastenia gravis.

La miastenia gravis è una malattia autoimmune rara che colpisce circa 130 soggetti per milione di abitanti, risulta più frequente nelle giovani donne tra i 30 ed i 40 anni e negli uomini più adulti tra i 60 ed i 70 anni. In questi pazienti gli anticorpi, che normalmente difendono dalle aggressioni esterne, si dirigono "erroneamente" contro alcune proteine dell'organismo (il recettore dell'acetilcolina e la chinasi muscolo-specifica) che permettono il corretto passaggio del segnale dai nervi ai muscoli volontari.

La malattia si caratterizza principalmente per quella che viene definita faticabilità muscolare. Essa può manifestarsi con visione doppia, abbassamento del tono della voce, difficoltà nel masticare, ingoiare o respirare oppure nello svolgere alcune semplici attività della vita quotidiana, come pettinarsi e spazzolare

i denti. I sintomi sono caratteristicamente fluttuanti, a fasi di relativo benessere si alternano periodi di recrudescenza di malattia.

L'Eculizumab è un farmaco già utilizzato per altre patologie ematologiche, recentemente è stato approvato dall'AIFA anche per due patologie neurologiche: la miastenia gravis AChR-positiva refrattaria e la neuromielite ottica AQP4-positiva. Nel caso della miastenia l'Eculizumab agisce sul sistema del complemento, una serie di proteine che normalmente si attivano per difenderci dalle aggressioni esterne soprattutto a genesi microbica.

Nelle malattie autoimmuni, come la miastenia gravis, invece, esso può attivarsi anche per distruggere la membrana post sinaptica, bloccando così di fatto la comunicazione nervo-muscolo. Eculizumab agisce impendendo al nostro sistema di difesa l'errata individuazione del bersaglio.

“Il farmaco è stato somministrato per la prima volta in Puglia su una donna di 65 in cura da diversi anni in Ospedale, refrattaria ad ogni altro trattamento disponibile - spiegano i neurologi Paolo Alboini e Lucia Florio, rispettivamente responsabili degli ambulatori di Neuroimmunologia e Sclerosi laterale amiotrofica di Casa Sollievo - Dopo il secondo trattamento, che non ha determinato alcun effetto collaterale avverso, il farmaco ha avuto una efficacia rapidissima con un marcato miglioramento sui sintomi e sulle attività della vita quotidiana. È doveroso aggiungere che il medicinale, prescrivibile dallo specialista neurologo, è destinato ad un numero molto limitato di pazienti miastenici con positività per gli anticorpi anti-acetilcolina, in cui le tradizionali terapie immunosoppressive non hanno determinato alcun beneficio sulla malattia”.

Nell'Ambulatorio di Neuroimmunologia vengono seguiti i pazienti con miastenia, o affetti da altre malattie neuromuscolari a patogenesi infiammatoria, autoimmune o neurodegenerativa (neuromielite ottica, miopatie, polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante, neuropatia motoria multifocale).

Le malattie neuromuscolari sono patologie rare e spesso invalidanti che generano affaticamento, disturbi motori e della sensibilità ma anche difficoltà di alimentazione e respirazione, solo per citare le problematiche più comuni con cui i pazienti si confrontano quotidianamente.

L'Unità Operativa Complessa di Neurologia di San Giovanni Rotondo è da oltre un decennio un Centro di riferimento regionale per la miastenia, avvalendosi di un'equipe multidisciplinare composta da neurologi, otorinolaringoiatri, pneumologi e rianimatori.

