

NOTIZIE DI NAPOLI

Da Napoli la speranza per i bimbi malati di SMA: scoperti benefici di una nuova terapia

Di Redazione

Dal CEINGE di Napoli giungono nuove prospettive terapeutiche per i bambini affetti da SMA: i ricercatori partenopei hanno scoperto una certa correlazione tra i livelli di neuroinfiammazione e severità dell'Atrofia Muscolare Spinale, aprendo la strada all'utilizzo di ulteriori farmaci.

Dal CEINGE di Napoli la speranza per i bambini con SMA

La SMA è una patologia neuromuscolare rara contraddistinta dalla precoce morte dei motoneuroni, ovvero le cellule nervose che trasportano i segnali dal sistema nervoso centrale ai muscoli, controllandone la struttura, la forza e il movimento.

Per questo motivo, la malattia determina atrofia muscolare progressiva e debolezza, andando a colpire in particolar modo gli arti inferiori e i muscoli respiratori. Inoltre, è noto che nel 95% dei casi, la patologia è causata da specifiche mutazioni nel gene SMN1, che codifica per la proteina SMN (Survival Motor Neuron), essenziale per la sopravvivenza e il normale funzionamento dei motoneuroni.

Studiando il liquido cerebrospinale dei piccoli colpiti dalla forma più grave della SMA, gli studiosi napoletani hanno scoperto il nesso che c'è tra i livelli di neuroinfiammazione e la gravità della malattia. La ricerca, pubblicata su *Communications Medicine*, è stata condotta nei laboratori di Neuroscienze traslazionali del CEINGE – Biotecnologie avanzate Franco Salvatore, in collaborazione con la Columbia University di New York e le Università campane Luigi Vanvitelli e Federico II, insieme agli ospedali pediatrici Bambino Gesù di Roma e Giannina Gaslini di Genova.

Le conclusioni hanno rilevato i possibili benefici derivanti dall'associazione di agenti antinfiammatori mirati alla terapia farmacologica con Nusinersen: un mix che potrebbe potenziare l'efficacia del trattamento clinico andando a rappresentare una valida terapia.

“Nonostante gli straordinari progressi della medicina e i miglioramenti clinici ottenuti nei pazienti grazie alle nuove terapie, è ormai ampiamente accettato che non esiste ancora una vera e propria cura per la malattia. Per questa ragione, l'identificazione di specifiche alterazioni biochimiche o molecolari che correlino con la gravità della malattia nei bambini malati di SMA e riflettano accuratamente il miglioramento clinico o l'assenza di miglioramento da parte delle terapie attuali è fondamentale anche per guidare lo sviluppo futuro di nuovi farmaci” – spiega Alessandro Usiello, professore di Biochimica Clinica e Biologia Molecolare Clinica dell'Università Vanvitelli, direttore del Laboratorio di Neuroscienze Traslazionali del CEINGE e ideatore della ricerca.

“I nostri risultati rivelano per la prima volta l'esistenza di una condizione di neuroinfiammazione specificamente presente nel liquido cerebrospinale dei bambini affetti dalla forma più grave della

malattia (SMA1) ma non nelle forme meno gravi e che veniva solo parzialmente attenuata dalla terapia con Nusinersen” – conclude.

“Abbiamo scoperto che il trattamento con Nusinersen riduce significativamente i livelli liquorali solo di alcune citochine pro-infiammatorie nei pazienti SMA1. Ciò ci suggerisce che l’utilizzo di agenti antinfiammatori mirati potrebbe contribuire a migliorare i benefici clinici del farmaco stesso e, eventualmente, di altri trattamenti in grado di favorire l’aumento di SMN” – aggiunge Tommaso Nuzzo, primo autore del lavoro, ricercatore di biochimica clinica dell’Università Vanvitelli, post doc presso il lab di Neuroscienze CEINGE.

[Dal CEINGE di Napoli la speranza per i bambini con SMA \(vesuviolive.it\)](https://www.vesuviolive.it)

