

NOTA STAMPA

**Malattia di Batten: il trealosio potrebbe aprire nuove prospettive terapeutiche grazie al progetto pilota dell'IRCCS Fondazione Stella Maris.
L'Azienda Farmacap mette a disposizione il Citoplas per sei mesi**

Colmare la mancanza di misure terapeutiche efficaci e testarne la sicurezza. Sono questi gli obiettivi di un innovativo studio che ha ricevuto di recente l'approvazione del Comitato Etico Pediatrico della Toscana. Parliamo del progetto pilota del Laboratorio di Medicina Molecolare, Neurogenetica e Malattie Neuromuscolari diretto dal dr. Filippo Santorelli dell'IRCCS Fondazione Stella Maris che prevede l'utilizzo del trealosio, un integratore alimentare, per cercare di modificare almeno parzialmente la storia della Malattia di Batten, un gruppo di patologie neurodegenerative frequenti in età pediatrica.

A fornire questo integratore è Farmacap di San Felice Circeo (LT), l'azienda produttrice del Citoplas, un complesso contenente trealosio, che lo fornirà per sei mesi al team di ricerca della Stella Maris. "Scopo di questo studio - spiega il dr. Santorelli - è quello di valutare in un progetto pilota la sicurezza e la tollerabilità del trealosio come possibile terapia nella Malattia di Batten e raccogliere dati preliminari sull'effetto che questa molecola può avere sulla storia di malattia. Attualmente non ci sono sperimentazione controllate sul trealosio nè ci sono interventi terapeutici controllati per la gran parte dei pazienti con malattia di Batten".

"Accolgo con onore e grande soddisfazione l'esito favorevole della procedura relativa all'ottenimento del parere da parte del Comitato Etico Scientifico della regione Toscana, che permette di dare avvio alla fase di sperimentazione clinica del Citoplas, la cui azienda Farmacap di cui ne sono titolare, renderà disponibile la terapia al fine di valutarne efficacia e sicurezza - dice il dr. Avanzino Capponi, titolare dell'Azienda - Sono onorato altresì di poter collaborare con il Laboratorio di ricerca della Fondazione Stella Maris condotto egregiamente dal prof. Santorelli. La mia azienda ha messo a punto il Citoplas contenente il trealosio in combinazione con alcuni neuroprotettori utili al trattamento delle patologie in questione. Farmacap è la prima azienda in Europa e nel mondo a puntare sulla nuova frontiera terapeutica definita "Bioprotettiva" che grazie proprio alla formulazione del Citoplas dimostrerebbe la sua nuova azione di protezione intracellulare. Farmacap, in tal modo, inaugura una visione aziendale rivoluzionaria nel settore del parafarmaco, che avrebbe come scopo quello di approntare terapie che andrebbero ad agire all'interno delle cellule e non solo all'esterno (come finora avvenuto) e questo è il nuovo paradigma sul quale l'azienda intende investire nel prosieguo della propria attività. Sono estremamente soddisfatto di poter dare una nuova speranza a chi non riesce a migliorare la propria qualità di vita a causa di malattie purtroppo spesso degenerative ed invalidanti."

Le Ceroidolipofuscinosi Neuronal, anche conosciute come Malattia di Batten o con la sigla NCL, sono un gruppo di malattie genetiche rare con interessamento del Sistema Nervoso Centrale, che colpiscono prevalentemente il bambino in età prescolare, meno frequentemente l'adolescente e raramente l'adulto. L'andamento è spesso rapidamente progressivo e invalidante, con perdita graduale della vista, del linguaggio, delle funzioni motorie e cognitive ed importanti disturbi del sonno. Sin dall'esordio è presente epilessia resistente ai farmaci, mioclonie e gravi disturbi comportamentali, segue difficoltà ad alimentarsi e a respirare autonomamente, fino ad arrivare alla morte prematura.

Queste patologie, che rientrano nelle Malattie da Accumulo Lisosomiale, hanno una conseguente perdita di funzionalità cellulare. "All'interno della cellula i materiali di scarto non vengono eliminati in maniera appropriata - spiega il dr. Santorelli - si accumulano, tutte le cellule soffrono, ma solo il sistema nervoso si ammala e si ha una progressiva degenerazione fino ad incorrere in una demenza. Infatti la malattia di Batten è una delle cause più frequenti di demenza infantile. In attesa di avere una terapia genica, in cui il gene malato viene rimpiazzato dal nuovo gene, si è cercato di capire se ci sono strumenti terapeutici".

Da dove nasce lo studio approvato dal Comitato Etico Pediatrico?

“Uno strumento terapeutico dalla sperimentazione osservata nel modello animale - prosegue il responsabile del Laboratorio di Ricerca - è quello di uno zucchero, un integratore alimentare che si chiama Trealosio, che è in grado di attivare dei meccanismi cellulari per cui quell'accumulo viene in qualche modo smaltito. Si immagini un termovalorizzatore entrato in sciopero; il trealosio è la chiave che fa saltare lo sciopero e consente all'impianto di ricominciare a smaltire i rifiuti accumulati. E' importante ricordare che questo zucchero sembra avere lo stesso effetto in molte malattie neurodegenerative, ed in alcuni tipi di tumore. E' nostra intenzione infatti testare la sicurezza ed efficacia di Citoplas anche in altre patologie nel prossimo futuro (come ad esempio in alcune patologie motorie e paraplegia), sicuramente nel modello murino con Malattia di Batten ha dimostrato una sua efficacia. Nel nostro studio, per ora unico nel panorama internazionale, il vantaggio è quello di poter somministrare il trealosio nel setting clinico controllato di un Centro di Riferimento e in piena sicurezza. A fornire l'integratore è l'azienda Farmacap di Roma che ha prodotto bustine che contengono il trealosio più altri due neuroprotettori che potrebbero essere efficaci per queste malattie”.

Il progetto di ricerca coinvolgerà 4 pazienti che saranno seguiti per un anno. Dopo il reclutamento, si proseguirà con una fase di trattamento e i pazienti saranno monitorati come avviene nella pratica clinica, con attenzione a tutto quello che potranno riportare dalla somministrazione del trealosio. La dose di integratore si basa sulla valutazione dei pazienti con Malattia di Batten che negli Stati Uniti hanno volontariamente assunto il trealosio e hanno riferito effetti positivi sulle loro performance motorie. La sicurezza verrà valutata tramite il rilevamento di eventuali eventi avversi e l'analisi dei parametri ematochimici.

L'effetto del trealosio verrà valutato tramite visite mediche periodiche che fanno parte del regolare follow-up semestrale che viene già seguito dai soggetti affetti da NCL che afferiscono all'IRCCS Fondazione Stella Maris.