

21 settembre 2016 10:20

ITALIA: Una molecola per trattare la SM progressiva, entro quattro anni

Una molecola da sperimentare come trattamento per le forme progressive di sclerosi multipla, nel giro di quattro anni. E' questo l'obiettivo del progetto "BRAVEinMS - Bioinformatica e riprogrammazione di cellule staminali per lo sviluppo di una piattaforma in vitro per scoprire nuovi trattamenti per la SM progressiva", coordinato da Gianvito Martino, direttore della Divisione di Neuroscienze dell'IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano: uno dei tre progetti di punta al mondo, selezionati dall'International Progressive MS Alliance. Il progetto italiano prevede la collaborazione fra 13 gruppi di ricercatori, provenienti da 8 centri di ricerca di tutto il mondo ed e' stato finanziato con 4,2 milioni di euro. ?In quattro anni - spiega Martino - vogliamo arrivare a identificare con buona sicurezza almeno una molecola che possa essere sperimentata come trattamento per la forma progressiva di SM, ad oggi priva di cure, e garantire a tante persone una vita migliore, meno segnata dalla disabilita'. Cerchiamo, in particolare, molecole con capacita' neuro protettive e rimielinizzanti, capaci di proteggere il neurone danneggiato dalla SM e, possibilmente, di riattivare la capacita' degli oligodendrociti delle persone con SM progressiva di produrre nuova mielina. BRAVEinMS vuole anche verificare se queste molecole ad attivita' neuroprotettiva e rimielinizzante si "nascondano" tra farmaci gia' autorizzati per l'uso nell'uomo per malattie diverse dalla SM. Un risultato positivo in questo senso aprirebbe la strada al "riposizionamento" di una molecola da una malattia all'altra? Il progetto e' innovativo sotto diversi punti di vista. Il primo e' l'uso di un modello di analisi dei big data - genetici e clinici - sviluppato da Sergio Baranzini all'Universita' di San Francisco, che si e' dimostrato capace di estrapolare utili informazioni genetiche e molecolari sulla sclerosi multipla, che si traducono poi in specifiche caratteristiche che una molecola deve avere per candidarsi a farmaco efficace contro la malattia. Le molecole che rispetteranno queste caratteristiche, dopo un test in vitro e prima di essere studiate sugli animali, verranno messe alla prova su un modello in provetta di malattia, realizzato utilizzando cellule staminali ottenute dai pazienti. E' in questa fase che l'Unita' di ricerca di Neuroimmunologia guidata dal professor Martino mettera' in gioco la sua esperienza ventennale con le cellule staminali: ai pazienti con sclerosi multipla progressiva verranno prelevate cellule della pelle che saranno riprogrammate in cellule staminali pluripotenti e quindi differenziate in cellule nervose. Con queste cellule sara' possibile creare un modello in miniatura di rete neurale che dovrebbe riprodurre piu' fedelmente i meccanismi patologici della sclerosi multipla. Su di essa si potra' studiare in modo inedito l'azione dei potenziali farmaci ed eventualmente scartarli prima di passare alla sperimentazione sugli animali. ?Prevediamo di partire con decine di migliaia di molecole e di arrivare alla fine di questo processo, dopo quattro anni, con due o tre molecole promettenti con cui avviare un primo studio nell'uomo?, spiega Gianvito Martino. La sclerosi multipla progressiva colpisce un milione di persone in tutto il mondo e 25mila solo in Italia: sono forme ancora orfane di cura. Nel 2012 AISM insieme alle analoghe associazioni americana, inglese e internazionale lancio' una sfida alla comunita' scientifica: trovare terapie per le forme progressive della sclerosi multipla. Da quelle quattro associazioni nacque la Progressive MS Alliance (oggi conta 15 organizzazioni), che gia' nel 2013 avvio' un programma di ricerca pluriennale di ampio respiro. Ora l'International Progressive MS Alliance ha assegnato il suo terzo bando di ricerca, il "Collaborative Network Award", per un investimento complessivo di 12,6 milioni di euro, ben 4,2 milioni di euro a ciascuno dei tre vincitori. Si tratta delle tre reti di ricerca globali di eccellenza che hanno lavorato insieme e dato prova di avere il potenziale per fare progressi cruciali nella comprensione delle forme progressive di SM. Per arrivare a mettere in piedi le reti e i tre progetti che ora hanno vinto il 'Collaborative Network Award', si e' partiti nel 2014, quando l'Alleanza finanzia' 21 progetti di ricerca innovativi. Nel 2015, l'alleanza finanzia' altri 11 progetti con un Bando che ha portato ricercatori di tutto il mondo, specializzati in aree scientifiche diverse, a lavorare insieme per superare le barriere nella ricerca sulla SM progressiva (Collaborative Network Planning Grants). Gli 11 progetti selezionati nel 2015 con il Bando 'Planning' hanno predisposto la proposta di ricerca per essere selezionati al Collaborative Network Award nel 2016. Quasi 23 milioni di euro sono gia' stati investiti globalmente nella ricerca sulla SM progressiva. Insieme al progetto di Gianvito Martino, volto alla selezione in vitro di molecole candidate a diventare terapia per le forme progressive di sclerosi multipla, due altri progetti finanziati: riguardano lo sviluppo di marcatori di risonanza magnetica di nuova generazione di progressione (Douglas Arnold, McGill University, Canada, in collaborazione con 16 gruppi di ricerca provenienti da varie parti del mondo) e lo sviluppo di una pipeline per la scoperta di nuovi farmaci per la sclerosi multipla progressiva (Francisco Quintana, Brigham and Women's Hospital, USA).