

Comunicato Stampa

Malattia di Huntington: è italiano il primo centro in Europa a dare il via allo studio clinico di fase II 'Pride - HD'

I primi due pazienti europei entrano nello studio clinico sperimentale il 21 maggio 2014 presso l'IRCCS Neuromed, Centro Coordinatore per l'Italia, sotto la direzione del ricercatore Ferdinando Squitieri.

Pride - HD è uno studio di fase II, dosimetrico, randomizzato, a gruppi paralleli, in doppio cieco, controllato, con placebo, finalizzato alla valutazione della sicurezza e dell'efficacia di pridopidina 45 mg, 67, 5 mg, 90 mg e 112,5 mg due volte al giorno (rispetto al placebo) per trattamento sintomatico in pazienti affetti da Malattia di Huntington.

La Malattia di Huntington è una malattia genetica rara, neurodegenerativa, riconoscibile con un test sul DNA - a tutt'oggi priva di una cura - che indebolisce sia il corpo che la mente e conduce ad una progressiva disabilità. I figli hanno una probabilità del 50% di ereditare la malattia da un genitore ammalato. Si stima che in Italia vi siano circa 7.000 persone ammalate e circa 35.000 a rischio.

Scopo principale dello studio è valutare l'effetto che la molecola 'pridopidina' ha sulla disabilità motoria, sulle performance fisiche e sul ragionamento dopo 26 settimane di trattamento, oltre a quello di raccogliere informazioni sulla sicurezza e sulla tollerabilità del farmaco. La pridopidina può avere effetti benefici sui sintomi della malattia che dipendono dalla cattiva funzione della **dopamina**, sostanza naturalmente prodotta dall'organismo umano in varie aree cerebrali e che ha un impatto sul modo in cui le persone si comportano, pensano e si muovono.

Vi è grande aspettativa da parte della comunità internazionale - sia dei pazienti che dei ricercatori - nei confronti di questo studio, molto complesso, che abbassa per la prima volta l'età dei partecipanti a 21 anni (purché la malattia sia insorta dopo i 18 anni) e che coinvolge 29 Centri in Europa e 22 negli Stati Uniti (per un totale di circa 400 pazienti). Due studi precedenti avevano già indicato questo farmaco come uno dei più promettenti per la cura sintomatica della malattia di Huntington. "Ora finalmente ci avviciniamo ad una fase, speriamo, conclusiva della fase sperimentale di questo farmaco che potrebbe cambiare la storia della malattia di Huntington e la qualità di vita di tanti pazienti", afferma Ferdinando Squitieri, che è anche Presidente della LIRH - Lega Italiana Ricerca Huntington e malattie correlate onlus (www.lirh.it) ed ha già coordinato per l'Italia uno studio precedente con questo farmaco contribuendo con il più alto numero al mondo di pazienti reclutati.

L'Italia - primo paese in Europa - ha tagliato il nastro di partenza presso il Centro di Neurogenetica e Malattie Rare dell'IRCCS Neuromed diretto da Ferdinando Squitieri, Centro coordinatore per l'Italia (la Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta di Milano, l'Azienda Ospedaliera Universitaria Careggi di Firenze e l'Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II di Napoli sono gli altri Centri coinvolti in questo studio, il cui sponsor è la multinazionale Teva Branded Pharmaceutical Products R&D, Inc.).