



L'USO DELL'ERITROPOIETINA PER IL TRATTAMENTO DELLA MELITE TRASVERSA ACUTA VOL.6 – 1° EDIZIONE

Autore Principale: Sanjay C. Keswani, MBBS/MRCP

co-autori: Douglas A. Kerr, MD PhD; Peter A. Calabresi, MD; Craig Jones, PhD; Chitra Krishnan, MHS; Susumu Mori, PhD

La Mielite Trasversa (**MT**) è un processo infiammatorio focale del midollo spinale con conseguenze potenzialmente devastanti. In seguito ad un attacco di MT, due terzi dei pazienti riportano disabilità permanenti, confinati su di una sedia a rotelle o a letto a causa della debolezza degli arti inferiori. Sebbene nella MT la demielinizzazione infiammatoria sia la risultanza patologica predominante, analogamente a quanto riportato per la sclerosi multipla (**SM**), il danno assonale secondario e la perdita neuronale sono, con molta probabilità, più rilevanti per lo sviluppo della disabilità permanente. Questo studio mira ad investigare sull'efficacia di un promettente agente neuroprotettivo, la eritropoietina, per il trattamento dei pazienti con MT.

E' stato dimostrato in numerosi studi sugli animali che l'eritropoietina protegge i neuroni del sistema nervoso centrale dalle lesioni dovute ad una varietà di danni, inclusi l'ipossia, i radicali liberi e l'eccitotossicità da glutammato, per mezzo dell'attivazione dei percorsi nervosi di sopravvivenza mediata NF - κ B.

A questo scopo, l'eritropoietina contrasta i danni secondari, accresce marcatamente il recupero neurologico da un trauma midollare e previene l'apoptosi dei moto neuroni e la disabilità neurologica nelle lesioni ischemiche midollari.

Proponiamo uno studio clinico pilota prospettico, randomizzato, a doppio cieco, con controllo placebo e 6 mesi di follow up , in 30 soggetti tra i 18 e i 70 anni con MT diagnosticata di recente. I pazienti che daranno il

proprio consenso ad entrare nel gruppo di studio saranno randomizzati per la somministrazione di una dose subcutanea di 40,000 U di PROCRIT (ricombinante umano della eritropoietina) oppure una terapia placebo. A distanza di due settimane dalla prima somministrazione, ne riceveranno una seconda di eguale dose e modalità. Tutti i pazienti seguiranno un regime terapeutico di boli steroidei per 5 giorni (1g IV solumedrol qd), seguito da una graduale diminuzione del dosaggio, che è ad oggi la cura standard.

Lo scopo principale di questo studio è ottenere dati preliminari sulla sicurezza e sulla tollerabilità del PROCRIT in pazienti con MT. Una misura dei risultati secondari, sono i cambiamenti nella funzione neurologica, valutati in base la scala EDSS (Scala di Invalidità Espana) e la scala MSFC (Multiple Sclerosis Functional Composite) tra 1 e 6 mesi e la valutazione, mediante risonanza magnetica (**RMN**), convenzionale, DTI (Immagine del tensore di diffusione) e MTw della perdita assonale midollare. Come ricombinante è stata utilizzata l'eritropoietina umana (rhEPO) già impiegata per decenni per il trattamento dell'anemia in pazienti con malattie renali croniche e patologie ematiche maligne e è nota essere sicura e con pochi effetti collaterali. Ci si attende che la rhEPO sarà sicura anche per i nostri pazienti. I dati generati da questo studio pilota saranno utilizzati per determinare se si potrà condurre in sicurezza un test clinico più vasto (fase III).

1. ALTRE RISORSE

Transvere Myelitis Association

www.myelitis.org

Johns Hopkins Transverse Myeopathy Center

www.med.jhu.edu/jhtmc

DECLINAZIONE DI RESPONSABILITA'

La TMA non approva nessuna delle terapie, dei farmaci e dei prodotti riportati in questo documento. Le informazioni fornite hanno scopo puramente informativo. Si raccomanda ai lettori di consultare sempre e in ogni caso il proprio medico specialista curante riguardo alle terapie e ai farmaci menzionati.