

Novità dalla ricerca sulla Malattia di Huntington In un linguaggio semplice. Scritto da ricercatori. Per la comunità mondiale MH.

## Nuova sperimentazione del PBT2 prodotto dalla Prana Biotech per la malattia di Huntington: notizie importanti



Lo studio clinico su BPT2 della Prana Biotech: che sappiamo finora & che ha a che fare il rame con la proteina mutant

Di Dr Ed Wild su 17 Maggio 2012

A cura di Dr Jeff Carroll; Tradotto da Panel Traduttori Volontari di AICH-Roma ONLUS  
Articolo pubblicato per la prima volta 03 Ottobre 2011

*La Prana Biotech's ha annunciato una fase 2 della sperimentazione in pazienti affetti da malattia di Huntington australiani e statunitensi. Verrà qui presentato quello che sappiamo di questo studio clinico, della Prana Bioteeh, del farmaco testato e del sodalizio tra rame e proteina mutante.*

### Annuncio di sperimentazione su PBT2

Un nuovo studio clinico internazionale su un farmaco che potrebbe rallentare la progressione della malattia di Huntington è destinato a suscitare clamore. Quando l'annuncio di una nuova sperimentazione coincide con l'apertura del Congresso Mondiale sulla Malattia di Huntington e l'azienda farmaceutica che sta dietro òla sperimentazione ha base nella città che ospita il congresso, i titoli in prima pagina sono garantiti.

Anche voi quindi potreste aver sentito che il\* PBT2 *prodotto dalla \*Prana Biotech\*\** sarà testato attraverso uno studio clinico internazionale a partire dalla fine del 2011 in Australia e USA. Intendiamo fornire qui per quello che possiamo dei dettagli sulla sperimentazione e sul farmaco, e allo stesso tempo esaminare le prove che il PBT2 potrebbe essere effettivamente funzionare nella malattia di Huntington.



### La sperimentazione

Le sperimentazioni di farmaci che riguardano pazienti umani sono divise in tre fasi:

La\* fase 1\* consiste nel far assumere il farmaco a persone sane. Nella *fase 2* *il farmaco è dato per la prima volta a pazienti sintomatici ma lo scopo principale è verificarne la sicurezza e che non peggiori le cose. Le sperimentazioni di \*fase 3\*\** sono più ampie, coinvolgono svariate centinaia di volontari e lo scopo è acquisire tutte le prove necessarie perchè un farmaco venga approvato.

La sperimentazione del PBT2 è uno studio clinico di **fase 2**, ciò significa che coinvolgerà un gruppo abbastanza piccolo di circa un centinaio di volontari. In un comunicato stampa, l'azienda farmaceutica ha dichiarato che intende coinvolgere circa \*15 centri \*in Australia e negli USA che significa una media di 6 volontari per ogni centro. Lo studio clinico coinvolgerà individui che sono nella fase iniziale della malattia di Huntington. Parlando genericamente, verranno coinvolte quelle persone che presentano dei sintomi di MH come movimenti involontari abbastanza lievi che gli permettono ancora di camminare, lavorare e di svolgere dei compiti casalinghi.

Ciascuno di questi volontari in fase iniziale di malattia sarà arruolato per\* 6 mesi\* ma, dal momento che l'azienda non ha ancora comunicato il disegno completo dello studio, non possiamo dire a quanti verrà somministrato il farmaco o, per comparazione, una pasticca di placebo che non contiene farmaco. Non è neanche noto come gli effetti del farmaco verranno valutati e se in questa sperimentazione verranno condotti degli esami come la risonanza magnetica cerebrale.

Un altro aspetto ancora non noto riguarda i centri che saranno scelti in Australia e negli USA, tuttavia il Massachusetts General Hospital a Boston (USA) e la Johns Hopkins University a Baltimore (USA) sono stati confermati come partner. Data le connessioni locali della Prana, sarebbe sorprendente se pure Melbourne non fosse inclusa come uno dei siti Australiani.

L'azienda ha annunciato che i primi risultati sono attesi per **la fine del 2013**.

Dal momento che si tratta di uno studio di fase 2 i principali obiettivi sono assicurarsi che il farmaco sia "sicuro e ben tollerato"- in altre parole, che non causi un peggioramento dei sintomi o la comparsa di effetti collaterali inattesi e, di conseguenza, di stabilire la dose ottimale che sarà impiegata nella più estesa sperimentazione di fase 3. Tuttavia l'azienda spera che già la sperimentazione di fase 2 suggerirà che PBT2 può cambiare il decorso della malattia di Huntington nella giusta direzione in maniera da affrontare con fiducia la onerosa fase 3.

## L'Azienda

Prana Biotech è una compagnia farmaceutica relativamente piccola fondata a Melbourne nel 1997. Nella filosofia Hindu, "Prana" è una misteriosa e potente forza che sostiene la vita. Tuttavia, la ricerca della Prana è molto più terrena: si concentra sull'interazione tra le proteine, gli apparati molecolari che supportano le più importanti funzioni nelle nostre cellule, e i metalli.

L'idea che il nostro corpo è basato sui metalli può sembrare strana, ma sappiamo tutti, ad esempio dai cartoni animati di Braccio di Ferro, che il ferro è essenziale per la nostra salute. Lo stesso è vero per altri metalli qualche volta chiamati "elementi traccia"



Se i metalli possono aiutare le proteine a far bene, possono anche contribuire al danno causato dalle proteine anormali?

## Proteine e metalli: amici inaspettati



Il ferro è un buon esempio di interazione tra proteine e metalli. Il nostro sangue trasporta l'ossigeno che respiriamo all'interno dei nostri organi attraverso i globuli rossi. Queste cellule sono rosse perché contengono una proteina di colore rosso nota come emoglobina. La capacità dell'emoglobina di trasportare ossigeno è dovuta a una piccola quantità di ferro che risiede all'interno della proteina. La mancanza di ferro causa l'anemia che si manifesta attraverso con pallore e affanno del respiro dovuto proprio al fatto che il sangue non trasporta abbastanza ossigeno.

I ricercatori sono sempre più sicuri che molte proteine hanno bisogno di un piccolo aiuto da parte dei metalli per svolgere le proprie funzioni. Sappiamo inoltre che a volte le proteine possono diventare cattive e produrre dei danni. La proteina mutante huntingtina, prodotta nelle cellule di persone che hanno un gene MH espanso, ne è un perfetto esempio, ma ce ne sono molti altri: la malattia di Alzheimer e quella di Parkinson sono entrambe patologie nelle quali i danni sono prodotti dalle proteine che formano degli ammassi nelle cellule del cervello noti come "aggregati".

Ma se i metalli possono aiutare le proteine a fare il loro lavoro, possono anche contribuire al danno prodotto dalle proteine anomale? I ricercatori sono sempre più convinti di questo ed è proprio la risposta su cui ha scommesso la Prana.

## **Rame, PBT2 e Alzheimer**

La Prana è particolarmente interessata al ruolo giocato dal rame negli effetti dannosi prodotti dalle proteine anomale. Il PBT2 è stato inizialmente sviluppato come trattamento della malattia di Alzheimer, dove la proteina dannosa, la amiloide, diventa più appiccicosa quando degli atomi di rame si legano a questa. Il PBT riduce il numero di atomi di rame che si legano alla amiloide.

Nel 2008, uno studio clinico di fase 2 del PBT2 , pubblicato sulla rivista Lancet Neurology, su pazienti malati di Alzheimer ha dimostrato una diminuzione della proteina amiloide nel liquido spinale che circonda il cervello e, inoltre, che il farmaco non provoca effetti collaterali di rilievo. La Prana ha programmato ulteriori studi per determinare l'effetto del PBT2 sulla quantità di amiloide nel cervello e già pensa ad una ampia sperimentazione di fase 3 nell'Alzheimer.

## **E la malattia di Huntington?**

Gli effetti possibili del rame sulla malattia di Huntington non sono ancora stati studiati in dettaglio come per l'Alzheimer. Sappiamo però che dei depositi di rame sono stati trovati nelle zone del cervello più danneggiate e che la proteina huntingtina ha diverse zone dove gli atomi di rame si possono attaccare.

Alla conferenza internazionale sulla malattia di Alzheimer nel 2010, il Prof. Robert Cherny della Prana Biotech ha presentato dei dati di uno studio sul PBT2 in topi affetti da MH. Gli animali a cui è stato somministrato il farmaco hanno migliorato il controllo del movimento sono

sopravvissuti il 40% più a lungo rispetto agli altri non trattati. Questo successo nel modello murino di MH ha convinto la Prana ad effettuare uno studio clinico su pazienti affetti da malattia di Huntington.

## PBT2 e rame nel contesto

E' rinfrescante vedere un nuovo giocatore come la Prana entrare in campo per la ricerca sulla malattia di Huntington perché è difficile pensare di trovare e verificare trattamenti che rallentino il corso della MH senza l'intervento diretto di aziende farmaceutiche.

Visto che la cautela si abbina bene con l'ottimismo, è opportuno ricordare un paio di cose a proposito della PBT2.

Mentre i risultati ottenuti dalla PBT2 su topi affetti da MH sono incoraggianti, bisogna ricordare che tutti i farmaci che hanno funzionato sui topi MH hanno poi fallito quando sono stati applicati agli esseri umani. Ovviamente ciò sarà vero fintanto che non sarà trovato un farmaco che funziona anche su pazienti umani e il PBT2 potrebbe essere proprio questo farmaco. I topi tuttavia non sono dei modelli ideali per riprodurre gli effetti della MH sugli esseri umani e molti ricercatori concordano che i nuovi farmaci devono essere prima provati su differenti tipi di modelli animali prima di effettuare sperimentazioni negli umani.

Tenendo a mente le nostre “dieci regole d'oro” per leggere una notizia sulle novità della ricerca nella MH.,abbiamo notato che i risultati sono stati presentati ad una conferenza ma non sono stati ancora pubblicati su una rivista dove un articolo viene accettato per la pubblicazione solo dopo un'attenta valutazione di esperti esterni.

In conclusione, noi siamo consapevoli che ogni persona malata o a rischio vuole sapere cosa può fare per dare al proprio cervello le migliori possibilità di difesa. Vogliamo tuttavia evidenziare che nonostante il suo ruolo importante, la malattia di Huntington non è dovuta ad un eccesso di rame nel cervello o nelle rimanenti parti del corpo. Quindi non c'è ragione di credere che adottando una dieta povera di rame o assumendo sostanze in grado di rimuovere il rame si possano avere dei benefici nelle persone con la mutazione MH.

Con questi avvertimenti in mente, aspettiamo di sentire ulteriori dettagli sulla sperimentazione non appena saranno divulgati, e vi terremo informati su tutti i sviluppi principali.

Tradotto da Stefano Paoloni

Membro del Panel di Traduttori VColontari di AICH-Roma Onlus



PBT2 ha lo scopo di evitare che il rame si attacchi alla proteina mutata huntingtina - un possibile passo sulla strada della malattia di Huntington.

---

*Gli autori non hanno conflitti di interesse da dichiarare Per ottenere più della informazione riguarda la nostra norma di divulgazione, leggi il nostro FAQ...*

---

## Glossario

**Proteina huntingtina** Proteina prodotta dal gene della MH.

**Risonanza magnetica** Una tecnica che utilizza potenti campi magnetici per produrre immagini dettagliate del cervello negli esseri umani e animali

**Placebo** Un placebo è un farmaco fittizio che non contiene principi attivi. L'effetto placebo è un effetto psicologico che induce la gente a sentirsi meglio, anche se sta prendendo una pillola che non funziona.

---

© HDBuzz 2011-2018. Il contenuto di HDBuzz è condivisibile sotto Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License.

HDBuzz non è una fonte di consigli medici. Ulteriori informazioni disponibili a [hdbuzz.net](http://hdbuzz.net)

Creato al 16 Gennaio 2018 — Scaricato da <https://it.hdbuzz.net/051>