



Malattie rare, Manganelli (Asnp): “Contro neuropatie disimmuni in sviluppo terapie mirate”

Descrizione

Il panorama terapeutico delle neuropatie disimmuni sta cambiando rapidamente. Accanto alle terapie tradizionali, che continuano ad avere un ruolo fondamentale, la ricerca sta sviluppando nuovi trattamenti diretti contro target biologici sempre più specifici: i linfociti B, il recettore FcRn delle immunoglobuline G (IgG) e il complemento. L'obiettivo è rispondere ai bisogni ancora insoddisfatti, migliorare il controllo della malattia, ridurre la dipendenza dai trattamenti di mantenimento e, soprattutto, prevenire la progressione della disabilità. Lo ha detto Fiore Manganelli, presidente Asnp-Associazione italiana per lo studio del sistema nervoso periferico, intervenendo al webinar “Dalla ricerca alla vita. Quando le biotecnologie diventano qualità della vita”, realizzato da WeHealth con il contributo non condizionato di Argenx e promosso dall'Associazione italiana dei pazienti di neuropatie disimmuni (Cidp) Italia Aps in occasione della Settimana europea delle biotecnologie 2026.

Le neuropatie disimmuni sono un gruppo di patologie rare del sistema nervoso periferico causate da un'errata aggressione del sistema immunitario contro i nervi. Il gruppo più importante è rappresentato dalle Cidp, cioè dalle polineuropatie infiammatorie croniche demielinizzanti, sia nella forma tipica sia nelle diverse varianti, spiega Manganelli. Accanto alla Cidp esistono le neuropatie paraproteinemiche, legate agli anticorpi contro una specifica struttura della mielina, la Mag. Un altro capitolo è rappresentato dalle nodo-paranodopatie, una categoria di neuropatie disimmuni che negli ultimi anni ha acquisito una crescente rilevanza e nella quale rientrano anche forme come le neuropatie motorie multifocali.

Tutti gli avanzamenti tecnologici arricchiscono l'armamentario del clinico, ma tutto passa attraverso la presa in carico del paziente: oltre a erogare la terapia, dobbiamo fare il percorso assieme a lui, avverte l'esperto. Attualmente, contro le Cidp disponiamo di tre principali strategie terapeutiche di induzione: le immunoglobuline endovena, i corticosteroidi e la plasmaferesi. Nella maggior parte dei casi vengono utilizzate soprattutto le immunoglobuline e i corticosteroidi. La terapia di mantenimento può essere effettuata con immunoglobuline per via endovenosa, a intervalli variabili, oppure con immunoglobuline sottocute. Un'ulteriore possibilità è rappresentata dalle immunoglobuline sottocute facilitate, nelle quali l'aggiunta della ialuronidasi consente di

somministrare volumi maggiori di immunoglobuline, riducendo il numero delle infusioni•. Nonostante i progressi, nella Cidp rimangono ancora importanti bisogni terapeutici insoddisfatti. •?Circa il 20-30% dei pazienti risponde in maniera insufficiente alle terapie disponibili •? puntualizza Manganelli •? Inoltre, circa la metà• necessita di una terapia di mantenimento a lungo termine. Inoltre, circa il 30% dei pazienti presenta una disabilità• moderata o severa•.

La ricerca biotecnologica si sta concentrando •?in tre principali target terapeutici riguardano: linfociti B; il riciclo delle immunoglobuline, in particolare delle IgG; il sistema del complemento •? illustra l'esperto •? Per i linfociti B, il paradigma •? rappresentato dal rituximab che rappresenta una terapia importante anche in un'altra neuropatia disimmune cronica: la neuropatia paraproteinica anti-Mag, caratterizzata dalla presenza di anticorpi contro la glicoproteina associata alla mielina, la Mag. L'Agenzia italiana del farmaco ha previsto l'utilizzo del farmaco in presenza di un determinato grado di severità, definito attraverso la scala Incat. In queste patologie, la risposta non •? universale, per questo la ricerca sta valutando nuovi approcci. Sono in corso trial importanti su farmaci che agiscono sempre sui linfociti B, ma attraverso un meccanismo differente, come gli inibitori delle tirosin-chinasi di Bruton•. Il rituximab assume un ruolo di interesse anche nelle nodo-paranodopatie, •? una categoria di malattie che ha acquisito grande rilevanza negli ultimi 5-10 anni •? puntualizza Manganelli •? Si tratta di neuropatie disimmuni caratterizzate dalla presenza di anticorpi diretti contro specifiche strutture del nervo, in particolare a livello del nodo e del paranodo•.

Un secondo importante filone di ricerca riguarda il riciclo delle immunoglobuline, in particolare delle IgG. •?L'attenzione si •? concentrata sul recettore neonatale del frammento Fc delle immunoglobuline, l'FcRn •? continua l'esperto •? Questi farmaci riducono le IgG circolanti, comprese quelle patogene e coinvolte nella patogenesi della Cidp. Il prototipo di questa classe di farmaci •? rappresentato dall'FcRn IgG modulator. •? comunque necessaria una corretta selezione dei pazienti che possono beneficiare del passaggio dalle terapie convenzionali ai nuovi approcci terapeutici. Oltre all'FcRn IgG modulator, •? stato studiato anche il rozanolixizumab e sono in corso ulteriori trial di fase 2 e 3 altre molecole dirette contro FcRn•.

L'ultimo grande target terapeutico, che negli ultimi anni sta assumendo un ruolo sempre più importante, riguarda l'inibizione del sistema del complemento che •? sembra avere un ruolo particolarmente rilevante in un sottogruppo di pazienti •? sottolinea Manganelli •? Alcuni di questi farmaci sono già stati studiati o sono in fase di studio anche in altre malattie neuromuscolari. Tra le molecole in fase di sviluppo più avanzata vi sono il riluzolumab e l'efgartigimod. I dati disponibili sono particolarmente interessanti e sembrano indicare una possibile efficacia nella Cidp, ma anche in un'altra neuropatia autoimmune cronica, la neuropatia motoria multifocale. Siamo quindi in attesa dei risultati dello studio Arda, uno studio di fase 2 •? conclude •? attualmente in corso di completamento, che potrà fornire ulteriori informazioni sull'efficacia di questo approccio•.

•?

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 6, 2026

Autore

redazione

default watermark