



Torino, 22 settembre 2022 - Sono stati pubblicati oggi sulla più prestigiosa rivista scientifica mondiale in ambito medico *New England Journal of Medicine* i risultati dello studio internazionale sul Tofersen, che ha dimostrato un rallentamento e in alcuni casi addirittura un'inversione della progressione clinica della Sclerosi laterale amiotrofica (SLA). Il trattamento è efficace nelle persone portatrici della mutazione nel gene SOD1. Si tratta di un risultato clinico straordinario, mai osservato precedentemente nel trattamento della SLA.

La SLA è una malattia neurodegenerativa e riduce l'aspettativa di vita, causando anche una graduale e progressiva disabilità motoria. L'effetto positivo del farmaco si manifesta in modo netto nel corso del primo anno di trattamento e successivamente persiste nel tempo.

*Prof. Adriano Chiò*

Il prof. Adriano Chiò (Direttore del Centro regionale Esperto per la SLA dell'ospedale Molinette della Città della Salute di Torino e facente parte del Dipartimento di Neuroscienze 'Rita Levi Montalcini' dell'Università di Torino) afferma la straordinaria importanza di questo risultato. Il Centro di Torino è stato l'unico in Italia ed uno dei pochi nel mondo ad essere stato coinvolto direttamente nella conduzione della sperimentazione contribuendo con il maggior numero di pazienti rapidi nel mondo.

Il Tofersen è un oligonucleotide antisenso (ASO) che agisce selettivamente sull'RNA messaggero, bloccando la sintesi della proteina alterata. La terapia viene somministrata mediante puntura lombare, e tale metodica è molto ben tollerata.

Lo studio sperimentale ha coinvolto 108 individui affetti da SLA con mutazione nel gene SOD1 divisi in pazienti a rapida e lenta progressione ed ha avuto due fasi una prima di 6 mesi ed una seconda di estensione dello studio tuttora in corso. Rilevante è la significativa riduzione della proteina SOD1 e dei neurofilamenti nei casi sottoposti a questa terapia innovativa.

Gli operatori del Centro SLA di Torino ringraziano le persone con SLA e i loro parenti che hanno partecipato allo studio e la Città della Salute di Torino per aver supportato questa fondamentale ricerca autorizzando i reclutamenti ed il proseguimento dello studio anche durante il periodo di lockdown per la pandemia Covid.