

Da sin: Samuela Tarantino, Laura Papetti, Michela Ada Noris Ferilli, Massimiliano Valeriani, Martina Proietti Checchi

Roma,

30 maggio 2024 - Alle soglie della Giornata mondiale dedicata, taglia il traguardo dei 10 anni di attività il Centro Sclerosi Multipla dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù, attivo dal 2014 per la diagnosi, il trattamento e il follow-up di bambini e ragazzi sotto i 18 anni. Il Centro offre cure personalizzate per questa malattia neurodegenerativa, utilizzando le terapie più adatte ai pazienti pediatrici. La partecipazione a trial clinici internazionali consente, inoltre, l'accesso a nuove cure avanzate mentre è in corso la fase di approvazione per l'età pediatrica.

La sclerosi multipla (SM)

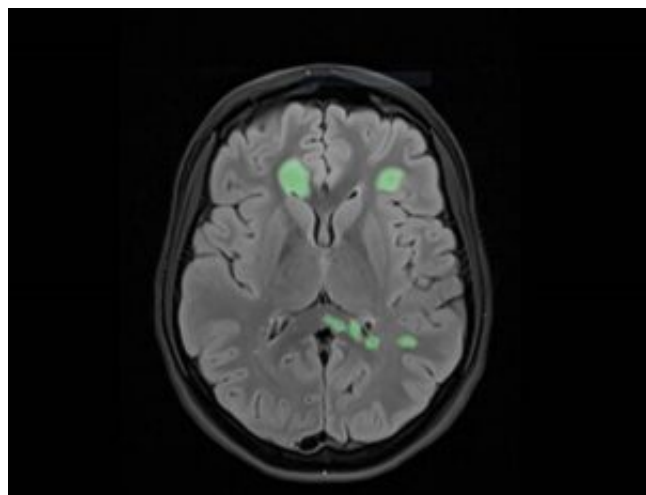
La sclerosi multipla (SM) è una malattia infiammatoria del sistema nervoso centrale caratterizzata dalla perdita di mielina (la sostanza bianca che

riveste come una guaina le fibre nervose) in più aree del cervello e del midollo spinale, con la formazione di lesioni (placche) che possono evolvere da infiammatorie a croniche.

La

SM può manifestarsi con sintomi diversi a seconda delle regioni interessate, come difficoltà a camminare, problemi di equilibrio o deficit della vista. Sebbene possa insorgere a qualsiasi età, colpisce principalmente giovani adulti tra i 20 e i 40 anni. Nel 10% dei casi, la malattia si manifesta tra i 10 e i 18 anni, mentre è più raro l'esordio prima dei 10 anni.

Il Centro del Bambino Gesù



Risonanza magnetica cerebrale con segni di sclerosi multipla (in verde)

La

sclerosi multipla in età pediatrica ha peculiarità cliniche, diagnostiche e terapeutiche che la differenziano dalla forma adulta, richiedendo un approccio specifico. Il sistema nervoso centrale e il sistema immunitario dei bambini sono in sviluppo, quindi l'uso dei farmaci deve tenere conto di questa particolarità. Nel bambino la SM generalmente non causa gravi disabilità permanenti, più comuni negli adulti. Un centro dedicato ai bambini aiuta anche a mitigare l'impatto psicologico che potrebbe derivare dal contatto con le disabilità dell'adulto.

Il

Centro Sclerosi multipla del Bambino Gesù offre servizi di diagnosi e cura specifici per i pazienti sotto i 18 anni, comprese valutazioni psicologiche. Attualmente segue circa 50 pazienti in terapia con agenti modificanti il decorso della malattia, cioè farmaci in grado di rallentarne la progressione. Segue anche pazienti con malattie simili alla sclerosi multipla, tra cui circa 10 pazienti con neuromielite ottica, una malattia spesso legata a degli autoanticorpi.

I trial clinici

Sebbene

i progressi della ricerca farmacologica sulla SM siano notevoli, i nuovi farmaci sono raramente autorizzati per i minori di 18 anni, poiché gli studi iniziali coinvolgono solo popolazioni adulte. Il Bambino Gesù partecipa a diversi trial clinici, offrendo ai pazienti l'opportunità di accedere a cure avanzate non ancora approvate per i bambini. In particolare il Centro si sta occupando dei primi casi pediatrici al mondo trattati con ocrelizumab, un nuovo anticorpo monoclonale approvato negli ultimi anni per la terapia della SM dell'adulto.

Prospettive di ricerca

Secondo

Massimiliano Valeriani, responsabile di Neurologia dello Sviluppo del Bambino Gesù: “Le aspettative dei pazienti con SM sono migliorate radicalmente negli ultimi anni grazie alle terapie modificanti il decorso della malattia. La ricerca farmacologica propone nuovi trattamenti con efficacia superiore a quelli attuali, fondamentali per garantire una vita qualitativamente elevata ai bambini e adolescenti”.

Negli

ultimi cinque anni, il Bambino Gesù ha prodotto diverse pubblicazioni scientifiche in questo campo di ricerca. È impegnato, in particolare: “nello studio dei

fattori prognosticamente sfavorevoli per identificare il miglior trattamento per i piccoli pazienti”.

In

Italia vengono adottati per il trattamento della patologia due tipi di farmaci: di prima linea e di seconda linea. “I farmaci di seconda linea, come il natalizumab e il fingolimod - spiega Valeriani - sono utilizzati in caso di fallimento di quelli di prima linea, che sono i farmaci di prima scelta.

Abbiamo però potuto constatare - e lo conferma la letteratura scientifica - che ci sono bambini in cui la sclerosi multipla esordisce in maniera particolarmente aggressiva, mettendoli a rischio di sviluppare disabilità nei primi anni dopo l'esordio o in età adulta. In questi casi può essere più utile iniziare la terapia direttamente con farmaci più efficaci, quelli di seconda linea, saltando completamente il trattamento con quelli di prima linea, per prevenire le disabilità e permettere al paziente di condurre una vita normale, inclusa la scuola, lo sport e le attività ricreative”.

Tra

gli obiettivi futuri del Centro, avendo a disposizione un follow-up più lungo sui pazienti trattati con i farmaci di seconda linea, “c'è la possibilità di identificare ulteriori fattori sfavorevoli e quindi determinare fin dall'esordio della malattia quale farmaco è più appropriato per ogni paziente specifico. Come in altri ambiti della medicina, la ricerca si orienta sempre più verso una ‘terapia di precisione’, adattata alle caratteristiche specifiche del paziente”.