

## Gaslini, studio sulle terapie a basso dosaggio nella cura delle malattie renali

di **Redazione**

11 Marzo 2021 - 14:08



**Genova.** Nella Giornata Mondiale del Rene l'Istituto Giannina Gaslini presenta lo studio randomizzato, pubblicato sulla prestigiosa rivista JAMA Pediatrics il 22 Febbraio 2021, condotto presso l'Istituto G Gaslini di Genova da parte dell'equipe nefrologica sull'efficacia delle terapie a basso dosaggio nella cura della sindrome nefrosica idiopatica.

La ricerca di base ed i forti investimenti dell'industria farmaceutica hanno completamente rinnovato negli ultimi 5 anni la disponibilità di farmaci ad uso clinico. Per la sindrome nefrosica idiopatica sono stati sviluppati farmaci cosiddetti 'risparmiatori di cortisone' perché permettono di interrompere e sostituire l'uso di sostanze che hanno fino ad oggi permesso la gestione di malattie infiammatorie ma che hanno, nel contempo, determinato forti effetti collaterali dannosi se protratti nel tempo.

Oggi sono disponibili per la sindrome nefrosica due farmaci: il micofenolato mofetile (MMF) e il rituximab (Rtx), che hanno meccanismi differenti d'azione ma determinano effetti positivi paragonabili. La frontiera ora è definire strategie terapeutiche 'a basso dosaggio' utilizzando posologie ridotte che inducano effetti collaterali di minor peso clinico. La definizione dei livelli minimi utili di Rtx è stata completata negli ultimi 5 anni ed abbiamo oggi una ragionevole stima del livello minimo utile di Rtx, da utilizzare in pazienti pediatrici ed adulti.

“Obiettivo dello studio randomizzato pubblicato su JAMA Pediatrics è stata l’esatta definizione dei livelli minimi utili di micofenolato mofetile (MMF): lo studio è stato condotto interamente presso l’Istituto G Gaslini di Genova da parte dell’equipe nefrologica e verteva a paragonare in maniera rigorosa l’efficacia di dosi di MMF ridotte al 60% della dose ad oggi riconosciuta utile, prendendo come paragone di efficacia il Rtx a dose minima già definita. Lo studio prova che riducendo la dose di MMF si ottengono risultati molto peggiorativi rispetto allo standard care previsto e prodotto dalla terapia con Rtx” spiega il dottor Gian Marco Ghiggeri direttore dell’UOC Nefrologia e Trapianto dell’Istituto Giannina Gaslini.

La conclusione dello studio chiarisce in maniera definitiva la dose necessaria di micofenolato mofetile (MMF) nella sindrome nefrosica idiopatica e contribuisce pertanto in maniera significativa agli sviluppi terapeutici in tale patologia. E’ possibile estendere le informazioni avute dallo studio a tutte le condizioni infiammatorie ed al trapianto di organo solido che richiedono l’uso di MMF come immunodepressore.

“Nel 2019 - ricorda il presidente della Regione Liguria e assessore alla Sanità Giovanni Toti - sono stato orgoglioso di consegnare la bandiera di Regione Liguria al dottor Ghiggeri, il primo nefrologo pediatra ad aver ricevuto, in quell’anno, il prestigioso premio Luigi Migone per l’innovazione in campo nefrologico e in tema di trapianto renale. Quella stima e quella riconoscenza per l’impegno profuso nella ricerca e nella cura dei più piccoli si rinnovano oggi, non solo nei suoi confronti ma anche - conclude - di tutti i professionisti dell’ospedale pediatrico Gaslini che si conferma un’eccellenza ligure, italiana e internazionale”.

Lo studio tutto italiano e quasi al 100% genovese è un ulteriore tassello nella lunga carriera clinica e scientifica del dottor Gian Marco Ghiggeri - autore di oltre 350 pubblicazioni su riviste internazionali e consulente di numerose riviste e organizzazioni di ricerca europee - caratterizzata dall’alto valore dei suoi studi sulla recidiva del trapianto nella glomerulosclerosi focale e nelle malattie renali genetiche ad essa correlate. Il dottor Ghiggeri ha affiancato al lavoro clinico in Ospedale pediatrico un’intensa attività didattica e di ricerca, soprattutto nel campo delle malattie renali, delle malattie rare e del trapianto.

Ha organizzato e diretto per trenta anni un gruppo di ricercatori di base che hanno dato origine ai primi studi di proteomica applicata alla patologia umana, ed ha partecipato a importanti studi nel campo della genetica umana, attivando una stretta collaborazione con il Centro di Nefrologia della Columbia University (New York City).

Il gruppo operativo diretto dal dottor Ghiggeri presso l’Istituto pediatrico scientifico Gaslini ha inoltre condotto studi considerati basilari nell’ambito dell’autoimmunità in malattie renali primitive e dopo trapianto.

Non ultimo sono state utilizzate terapie innovative per le malattie renali primarie e post trapianto. Il gruppo ha pubblicato numerosi ricerche su riviste ad alto impatto scientifico quali l’American Journal of Transplantation, il Journal of American Society of Nefrology, e il New England Journal of Medicine.