

Padova, 5 febbraio 2019

## L'ECCELLENZA DELLA RICERCA CLINICA SULLE MALATTIE RARE

### L'Agencia Italiana del Farmaco premia due progetti padovani sulla cura di due tumori dell'ipofisi

Due progetti di ricerca presentati dal gruppo di ricerca coordinato dalla prof.ssa Carla Scaroni, direttore della UOC di Endocrinologia della Azienda Ospedaliera-Università di Padova, sono stati premiati dalla Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), classificati tra i primi tre sui 12 finanziati dopo la selezione fatta su più di 350 proposte presentate.

**I due progetti, uno esclusivamente padovano coordinato dalla prof.ssa Carla Scaroni e uno in collaborazione con altri centri italiani, hanno lo scopo di identificare nuove cure per due malattie rare endocrinologiche, il morbo di Cushing e l'acromegalia. Si tratta di tumori rari a carico della ipofisi, ghiandola posta alla base del cervello, caratterizzati da quadri clinici complessi.**

Carla Scaroni coordinerà i centri di Endocrinologia universitaria a Torino Molinette, Milano istituto Auxologico IRCCS, Ancona e Napoli Federico II.

«Ci occuperemo di testare nuovi farmaci per la cura della **malattia di Cushing** – spiega la **prof.ssa Scaroni** -, raro tumore della ghiandola ipofisi che produce in eccesso ormone ACTH, la cui iperproduzione causa un innalzamento del livello dell'ormone del surrene, il cortisolo, che è l'equivalente naturale dei cortisonici, il quale, se in grande quantità, arreca danni a tutto l'organismo di persone giovani, spesso donne di 20-40 anni che avranno obesità addominale, fragilità di ossa e pelle, squilibri della pressione arteriosa, del potassio, problemi di eccesso di coagulazione (rischio trombotico) problemi psichiatrici anche gravi, diabete mellito, problemi del ciclo e con un



umentato rischio di malattie cardiovascolari (infarto, ictus). Si arriva alla loro diagnosi dopo almeno due o tre anni di insorgenza perché all'inizio simulano altre malattie come la sindrome metabolica o la sindrome ovaio policistico molto più comuni; ma il morbo di Cushing è grave e va trattato il prima possibile in modo efficace.»

Il secondo progetto, in cui Padova è soggetto collaborante assieme alla genetica del Dipartimento di Biologia, è diretto dall'Università di Messina, si occupa dell'Acromegalia, ovvero



della ricerca di marcatori che facciano riconoscere i pazienti con acromegalia che potranno meglio rispondere alla cura medica con analoghi della somatostatina.

**L'Acromegalia** è un'altra malattia rara provocata dal tumore dell'ipofisi che secreta in eccesso GH, *growth hormone*, l'ormone della crescita che fa crescere i bambini. Nell'adulto però questo ormone causa anomalo accrescimento di mani e piedi, ingrossamento dei tratti del volto, malattie cardiovascolari, diabete mellito, precoce e severa artrosi, ingrandimento di altri organi quali tiroide, ecc. con il rischio aumentato di secondi tumori (colon, tiroide, vie urinarie).

I ricercatori dovranno quindi, attraverso l'individuazione di marcatori specifici, poter fare una diagnosi nei tempi brevi, e capire così quale sia la cura migliore a seconda delle caratteristiche che presenta di volta in volta questo tipo di tumore.

Gli studi premiati da AIFA sono un esempio di lavoro multidisciplinare che è iniziato con esperimenti nel laboratorio di Endocrinologia, dove vari farmaci sono stati testati su modelli di cellule simili a quelle del tumore umano, poi seguiti da uno studio clinico pilota su pochi pazienti (approvato da AIFA anni fa). Il progetto ora premiato prevede l'estensione ad un numero molto più ampio di casi e l'utilizzo di più farmaci, anche in combinazione, per aumentare l'efficacia del trattamento, riducendone le dosi e limitando così gli effetti negativi.

Risulta essenziale il ruolo del laboratorio di analisi padovano diretto dal prof Mario Plebani, che rappresenterà il punto di riferimento italiano per tutte la diagnostica ormonale.

«Il successo di oggi è in linea con il riconoscimento ottenuto dall'Azienda Ospedaliera-Università di Padova nel campo delle malattie rare. Il complesso padovano, infatti, è risultato al primo posto in Europa per la diagnosi e la cura di tali malattie, grazie anche al coordinamento del Centro Regionale delle Malattie Rare – **commenta il prof. Mario Plebani, Presidente della Scuola di Medicina e Chirurgia dell'Università di Padova** -. Si tratta di una chiara dimostrazione che si vince lavorando in gruppo, come in una orchestra formata da esperti di varie discipline (endocrinologia, neuro-radiologia, chirurgia, otorino, patologia, oncologia) indispensabile per affrontare queste complesse malattie.»

A Padova esiste un gruppo multidisciplinare di eccellenza dedicato ai problemi della ipofisi, coordinato dalla prof.ssa Scaroni, che nel 2018 è stata nominata nel direttivo europeo dedicato alle malattie rare endocrine.