

Nuovo trattamento per l'Alzheimer: perché è ancora presto per esultare

L'INTERVENTO

FILIPPO DRAGO *

L' Agenzia americana per i medicinali e gli alimenti (Fda) ha approvato ieri Aduhelm (aducanumab) per il trattamento dell'Alzheimer, una malattia neurodegenerativa che colpisce 6,2 milioni di americani. In Italia, si registrano 1,4 milioni di malati, inclusi quelli affetti dalla forma iniziale o prodromica. La notizia ha suscitato un grande entusiasmo sul web, e diversi esponenti della Medicina ufficiale hanno parlato di una storica svolta nella terapia di questa terribile malattia. Bisogna però ricordare che Aduhelm è stato approvato utilizzando la procedura dell'approvazione accelerata, che può essere impiegata per un farmaco che fornisce un significativo vantaggio terapeutico rispetto ai trattamenti esistenti per una malattia grave o pericolosa per la vita. È necessario precisare che questa modalità di approvazione si basa su un effetto del farmaco non clinico ma biologico (endpoint surrogato), ragionevolmente predittivo di un reale beneficio per i pazienti. In altre parole, questa non rappresenta ancora l'evidenza che l'aducanumab migliori il quadro clinico dell'Alzheimer. È solo la dimostrazione che esso agisce su un parametro biologico della malattia.

«Il morbo di Alzheimer è una malattia devastante che può avere un profondo impatto sulla vita delle persone a cui è stata diagnosticata la malattia e dei loro cari», ha affermato l'italiana Patrizia Cavazzoni, direttore del Centro per la valutazione e la ricerca sui farmaci dell'Fda. «Le terapie attualmente disponibili trattano solo i sintomi della malattia; questa opzione di trattamento è la prima terapia a colpire e influenzare il processo patologico sottostante dell'Alzheimer. Come abbiamo appreso dalla lotta contro il cancro, il percorso accelerato di approvazione può portare più rapidamente le

terapie ai pazienti, stimolando al contempo più ricerca e innovazione».

L'Alzheimer è una malattia cerebrale progressiva e irreversibile che demolisce lentamente la memoria e la capacità cognitiva di un individuo e, alla fine, la sua abilità a svolgere compiti semplici nella vita di ogni giorno. Sebbene le cause specifiche della malattia di Alzheimer non siano completamente note, essa è caratterizzata da alterazioni cerebrali ormai ben conosciute, quali la formazione di placche di beta-amiloide e grovigli neurofibrillari, che provocano la morte dei neuroni e la scomparsa delle loro connessioni.

L'efficacia di Aduhelm è stata valutata su un totale di 3.482 pazienti in tre studi separati che hanno dimostrato una significativa riduzione dose e tempo-dipendente della formazione di placche di beta-amiloide dopo trattamento con il farmaco. Questa è attualmente l'unica evidenza, dimostrata mediante tomografia a emissione di positroni (Pet), che ha supportato l'approvazione accelerata di Aduhelm.

Le informazioni sulla prescrizione di Aduhelm includono, inoltre, un'avvertenza circa la possibilità che il farmaco induca un edema cerebrale apparentemente temporaneo, con sintomi come cefalea, confusione, vertigini, alterazioni della vista o nausea. Un altro avvertimento riguarda il rischio di reazioni di ipersensibilità, inclusi fenomeni di angioedema.

In base alle disposizioni di approvazione accelerata, che forniscono ai pazienti con Alzheimer un accesso anticipato al trattamento, l'Fda ha richiesto alla Biogen (l'Industria Farmaceutica di Cambridge, Massachusetts, che ha messo a punto il farmaco) di condurre un nuovo studio clinico randomizzato e controllato per verificare il beneficio clinico dell'aducanumab. Se lo studio non dovesse confermare il beneficio clinico atteso sulla malattia, l'Agenzia potrebbe avviare un procedimento per ritirare l'approvazione del farmaco.

* Farmacologo, [Università di Catania](#)

