



**R. P. LIGURIA**

ASSOCIAZIONE per la RETINITE PIGMENTOSA  
e altre MALATTIE DELLA RETINA  
Sede: Ospedale S. Martino Pad. 8 P. Terra  
Largo R. Benzi, 10 – 16132 GENOVA  
Tel. 010 541120 – 346 0310624  
C.C.P. 26221168 – C.F. 95042920108

**Aprile 2020**

**ONLUS** Iscr. Registro Gen. Region. Volontariato con decreto n° 113 del 26/01/1999

*R.P. LIGURIA INFORMA* .....

### **Indice:**

- Dal mondo della ricerca
- Una (quasi) novità da R.P.Liguria...
- Quando il faidate diventa pericoloso...
- Comunicazione

*Cara/o socia/o,*

In questo periodo, in cui non mancano i motivi di apprensione causa notizie sul coronavirus, ogni annuncio di risultati positivi riguardante la ricerca sulle patologie di nostro interesse, assume un valore ancora più gradito, in particolare quando si parla della ricerca in ambito delle cellule staminali, cellule che, come ben oramai abbiamo compreso, se sviluppate correttamente, possono avere la proprietà di ripristinare, almeno in parte, la funzione visiva perduta.

In queste ultime settimane sono stati annunciati i risultati di uno studio sviluppato negli Stati Uniti davvero interessante e molto incoraggiante. Per questo, speriamo di farti cosa gradita, riportando di seguito i punti salienti del comunicato stampa emanato dall'azienda che abbiamo tradotto, accompagnati da ulteriori informazioni che siamo riusciti a reperire dal sito dell'Azienda stessa.

### **DAL MONDO DELLA RICERCA...**

**Dati positivi a lungo termine nello studio clinico sulla retina  
Effetti clinici significativi osservati nei pazienti fino a 12 mesi dopo il  
trattamento.**

**L'espansione dello studio di fase 2a in corso include i piani per  
aprire un sito clinico nel Regno Unito.**

ReNeuron Group plc (AIM: RENE), azienda leader nello sviluppo di terapie su base cellulare, è lieta di annunciare i dati a lungo termine dello studio clinico di fase 1 / 2a della sua sperimentazione clinica per la retinite pigmentosa (RP) e dei piani di sviluppo degli studi in corso (...)

**Nell'ottobre 2019, i dati positivi sull'efficacia provvisoria di pazienti trattati nel segmento Fase 2a dello studio Fase 1/2 in corso sono stati annunciati dalla Società e successivamente presentati dal Dr. Pravin Dugel all'American Academy of Ophthalmology nel Meeting di San Francisco. I dati hanno mostrato un gruppo di soggetti che attraverso una procedura chirurgica hanno avuto miglioramenti clinicamente rilevanti nell'acuità visiva rispetto alla linea di base (mostrata in precedenza n.d.r.), misurata dal numero di lettere lette sulla carta ETDRS (la carta oculare standardizzata utilizzata per misurare l'acuità visiva negli studi clinici). I successivi dati di efficacia a lungo termine dello studio mostrano un significativo effetto clinico continuo dal momento della terapia fino a dodici mesi dopo il trattamento (...)**

**La Società (a seguito di ciò n.d.r.) ha presentato alla FDA degli Stati Uniti una modifica del protocollo al fine di ampliare lo studio di Fase 1 / 2a con il trattamento di massimo altri nove pazienti nel segmento di Fase 2a dello studio, con una dose di due milioni di cellule hRPC, per confronto (con i risultati ottenuti n.d.r.) con la dose di un milione di cellule utilizzate nello studio precedente. Il protocollo di sperimentazione clinica modificato, consente anche di includere pazienti con una più ampia gamma di acuità visiva di base pre-trattamento, inoltre prevede modifiche che migliorano l'utilizzo dei test microperimetrici per misurare e rilevare i cambiamenti nella sensibilità della retina nei pazienti trattati. Questa modifica renderà possibile verificare l'efficacia osservata nello studio sino a oggi, poiché rende il protocollo meglio delineato e ampliato da un gruppo più grande e più definito di pazienti con RP.**

**Inoltre, la Società ha presentato una richiesta all'MHRA (L'agenzia britannica che regola i prodotti di medicina e cura n.d.r.) e al fine di aprire la sperimentazione in corso anche in un sito clinico britannico di grande esperienza, l'Oxford Eye Hospital, con il professor Robert MacLaren, leader di fama mondiale nel trattamento delle malattie della retina, in qualità di investigatore principale. La Società prevede, già nel corso del 2020, di presentare ulteriori dati dall'ampliata sperimentazione clinica di Fase 1 / 2, e di disporre di dati sufficienti per consentirle di ottenere, nella prima metà del 2021, l'approvazione per avviare uno studio clinico pilota con la sua terapia cellulare hRPC per la RP.**

**Il programma clinico di ReNeuron in RP ha ottenuto la designazione di farmaco orfano sia in Europa che negli Stati Uniti, nonché la designazione Fast Track della FDA negli Stati Uniti. La designazione di farmaco orfano offre il potenziale per un periodo significativo di esclusività del mercato dopo l'approvazione della terapia in tali territori. La designazione Fast Track fornisce l'idoneità per un processo accelerato di approvazione e revisione prioritaria da parte della FDA.**

**Olav Hellebø, Amministratore delegato di ReNeuron, ha commentato: "Rimaniamo fortemente incoraggiati dai dati dello studio clinico di Fase 1 / 2a del nostro candidato alla terapia cellulare hRPC in pazienti con RP. I dati di follow-up a lungo termine sono particolarmente degni di nota, dimostrando che la terapia sembra mantenere i suoi effetti benefici fino ad almeno un anno dopo il trattamento."**

### **Ulteriori Informazioni:**

**Lo studio sopra descritto, è stato condotto su un gruppo di pazienti negli Stati Uniti in due siti: Massachusetts Eye and Ear Infirmary a Boston e Retinal Research Institute a Phoenix. Si tratta di uno studio in aperto per valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia preliminare di una singola iniezione sub-retinica del candidato alla terapia con cellule staminali hRPC in pazienti con RP avanzata.**

**Al follow-up più recente, i soggetti dello studio hanno mostrato un miglioramento medio rispetto al basale nell'acuità visiva di 23 lettere nell'occhio trattato. Gli occhi di controllo non trattati non hanno mostrato miglioramenti significativi (variazione media rispetto al basale di 5 lettere, intervallo da -2 a +12 lettere).**

**Un miglioramento di + 23 lettere equivale a leggere altre quattro righe di lettere sulla tabella ETDRS, La tabella standardizzata utilizzata per misurare l'acuità visiva negli studi clinici. Un miglioramento di almeno + 15 lettere dal basale del grafico ETDRS è considerato clinicamente significativo dalla Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti, come affermato nella loro recente guida sulla terapia genica per i disturbi della retina.**

<b>UNA (QUASI) NOVITA' DA R.P. LIGURIA...</b>
---

**Passiamo ora a parlare di casa nostra. Siamo particolarmente lieti di informarti che c'è una bella novità nella "Sezione informatica di R.P."**

**Ma facciamo un passo indietro: fin dagli albori, R.P. ha la fortuna di poter contare sulla preziosa collaborazione di Massimiliano che, in remoto, aiuta, principalmente, a gestire il sito e i contratti di posta elettronica; inoltre, già da qualche anno, come passa veloce il tempo, il nostro caro Silvio, quasi ogni settimana, non lo fermano il troppo sole, la pioggia, il vento o la neve, viene in sede e aiuta l'associazione nell'affrontare ogni tipo di sfida informatica che si presenti, dalla creatività grafica al crudo scaricare le fatture elettroniche. A loro va la profonda riconoscenza di tutti.**

**Bene, da oggi, la squadra si arricchisce di un nuovo elemento: Cinzia che, da un paio di mesi, con tanta tenacia e determinazione, ha attivato un servizio di informazione e recensione sui dispositivi elettronici assistivi esistenti sul mercato. Questo per aiutarci a conoscerne le molte utilità e individuare quelli più adatti alle specifiche esigenze di ognuno di noi, al fine di migliorare il nostro livello di autonomia e la vita quotidiana. Conoscendo il vulcano della sua mente, siamo certi che non impiegherà molto ad estendersi in altri campi d'azione. Quindi, benvenuta Cinzia e grazie!**

**Per erogare questo servizio, Cinzia ha attivato una mailing list, alla quale potete accedere iscrivendovi mediante il seguente link:**

[rpliguria+subscribe@googlegroups.com](mailto:rpliguria+subscribe@googlegroups.com)

Si aprirà una mail, dove non è necessario scrivere nulla, che va semplicemente inviata all'indirizzo già indicato.

Una nota, doverosa, da parte nostra: come potete immaginare, una persona sola non può, umanamente, portare avanti questo tipo di attività, quindi, se c'è qualcuno disposto a supportarla, si faccia avanti! A nessuno verrà richiesto un impegno maggiore di quello che si sentirà di dare.

### QUANDO IL FAI DA TE DIVENTA PERICOLOSO...

#### ATTENZIONE IMPORTANTE ..!!

Premettendo che quello che segue non è un consiglio medico, a cui è sempre necessario rivolgersi quando se ne ravvisi la necessità, ci è giunta la notizia che su molti social circola l'informazione che, tra gli approcci per contrastare gli effetti devastanti del coronavirus, si parla di cloroquina o idrossicloroquina.

Questo può indurre il singolo cittadino a procurarsi il farmaco, magari con "metodi pochi ortodossi" e procedere con il fai da te.

Sottolineiamo che l'uso di queste sostanze deve essere fatto esclusivamente sotto stretto controllo medico e in presenza di coronavirus accertato, non certo per profilassi.

Ricordiamo che cloroquina e idrossicloroquina presentano diverse controindicazioni, non solo in caso di cardiopatie o favismo ma, particolarmente non devono essere somministrati a persone con alterazioni retiniche e del campo visivo e in caso di maculopatie.

Per lo stesso motivo, si raccomanda vivamente in ogni occasione di informare il medico sulle proprie condizioni retiniche, maculari o del campo visivo, affinché possa valutare la situazione nella sua completezza e prendere le decisioni più idonee.

#### COMUNICAZIONE

Informiamo tutti i soci che a seguito dei Decreti del Presidente del Consiglio dei Ministri emanati in materia di misure di contenimento e dell'emergenza da coronavirus, sono sospese tutte le attività a contatto diretto con il pubblico fino a data da definirsi. Ma noi non ci fermiamo, lo sportello informativo rimane attivo:

- via e-mail [info@rpliguria.it](mailto:info@rpliguria.it)

- tramite telefono 346/0310624 – 338/3251726 tutte le mattine dal lunedì al giovedì 8 - 12 e il mercoledì anche al pomeriggio 15 – 17.

Confidando e augurando di poter ritornare al più presto alla normalità.

Si ringrazia per la collaborazione

Carissimi saluti

R.P. Liguria