Amiloidosi: un nuovo trattamento

Data 30 ottobre 2002
Categoria metabolismo

Nei pazienti affetti da amiloidosi, una proteina circolante denominata SAP (Serum Amyloid P) si deposita nei tessuti continuativamente.
Questi depositi di proteina insolubile causano l’amiloidosi sitemica con compromissione di diversi organi e apparati e il quadro classico conclamatoi della malattia.
Si è scoperta recentemente una piccola molecola, denominata CPHPC in grado di ridurre notevolmente i livelli di SAP circolanti e di inibire l’adesione della SAP ai depositi di amiloide insolubile in topi geneticamente modificati producenti amiloide di tipo umano.
I depositi di amiloide in topi trattati risultarono significativamente minori rispetto ai controlli, senza segnalare effetti tossicirilevanti.
In 19 pazienti con amiloidosi sistemica, la somministrazione endovenosa o sottocutanea di CPHPC ridusse notevolmente i livelli di SAP circolante.
Un paziente affetto da amiloidosi terminale morì 6 mesi dopo l’inizio del trattamento: il reperto autoptico dimostrò una riduzione notevole dei depositi di amiloide nei tessuti.
Non furono rilevati effetti collaterali.
In definitiva il trattamento con CPHPC puo' costituire, se i prossimi studi confermeranno questa osservazione, una nuova efficace terapia per i soggetti affetti da amiloidosi.

Nature 2002 May 16; 417: 245-9

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 13/11/2026 alle ore 20:33 | Pagina 1 di 1