Una terapia per il rene policistico

Data 22 dicembre 2013
Categoria nefrologia

Uno studio italiano suggerisce che gli analoghi della somatostatina potrebbe essere usati in futuro per il trattamento del renepolicistico.

Il rene policistico è una patologia ereditaria di tipo autosomico dominante caratterizzata dalla formazione di cisti multiple in entrambi i reni. Queste cisti hanno la tendenza ad aumentare di numero e di dimensioni e, col passare degli anni, provocano una insufficienza renale grave/terminale in circa il 50% dei casi.
A livello genetico la malattia è caratterizzata dalla mutazione di due geni, il PKD1 (la forma di gran lunga più frequente) e il PKD2. Il primo gene si trova nel cromosoma 16, il secondo nel cromosoma 4.
Si tratta di una malattia molto frequente, con una incidenza di circa un caso ogni 1000 abitanti.
Pur essendo di tipo genetico la malattia si manifesta in genere in età adulta con sintomi come dolenzia a livello delle logge renali, ematuria (macro o microscopica), ipertensione arteriosa.
Possono essere colpiti dalla formazione di cisti anche altri organi splancnici oltre che i vasi con formazione di aneurismi.
In genere il gene PKD1 provoca una malattia ad esordio più precoce ed evoluzione più grave.

Non esiste al momento una terapia efficace, sono possibili solo trattamenti sintomatici per il dolore lombare. In alcuni casi si ricorre alla chirurgia di palliazione. Ovviamente nei casi di grave riduzione della funzionalità renale si ricorre alla dialisi.

Ma uno studio recente suggerisce che potrebbero aprirsi nuovi orizzonti terapeutici. Si tratta di uno studio randomizzato e controllato effettuato in Italia in cui sono stati reclutati 79 pazienti adulti (età > 18 anni) affetti da rene policistico con una velocità di filtrazione glomerulare di almeno 40 mL/min per 1,73 m2. Dopo randomizzazione i partecipanti sono stati trattati per 3 anni con un analogo della somotostatina (octeotride a rilascio prolungato, due iniezioni intramuscolari di 20 mg ogni 28 giorni) oppure placebo (soluzione di cloruro di sodio allo 0,9%).
L'endpoint primario era l'aumento del volume dei reni valutato mediante risonanza magnetica a 1 e a 3 anni.
Il volume renale risultava aumentato in maniera minore nel gruppo trattato rispetto al gruppo controllo.
Il numero di eventi avversi gravi era simile nei due gruppi, anche se quattro casi di litiasi della colecisti o di colecistite acuta si sono verificati nel gruppo octeotride.
Secondo gli autori questi risultati dovrebbero essere uno stimolo per valutare in RCT adeguati gli effetti degli analoghi della somatostatina su endpoint come la progressione verso l'insufficienza renale terminale.

Come si vede si tratta di uno studio ancora preliminare, con una casistica limitata e con outcome surrogato (l'aumento di volume dei reni), ma ci sono le premesse teoriche per sperare che in futuro sia possibile disporre di farmaci che riescono a ridurre esiti importanti per il paziente come il ricorso alla dialisi, le complicanze cardiovascolari e la mortalità.

RenatoRossi

Bibliografia

Caroli A et al. for the ALADIN study group. Effect of longacting somatostatin analogue on kidney and cyst growth in autosomal dominant polycystic kidney disease (ALADIN): a randomised, placebo-controlled, multicentre trial. Lancet 2013 Nov 2; 382:1485-1495.