

LA SICILIA

Sab 27/02/2021 – Nazionale

Farmacologia oculare: la Cenerentola è diventata regina l'innovativa terapia di origine italiana a base di staminali

L'INTERVENTO

FILIPPO DRAGO*

È passato il tempo dei colliri da pochi euro. È passato davvero il tempo degli oculisti che prescrivevano solo gocce oculari, raramente farmaci per via orale. La Farmacologia dell'occhio fino a una dozzina di anni fa era la Cenerentola di tutte le farmacologie: ricordo che l'ultimo grande balzo sulla strada dell'innovazione fu compiuto nel 1977 con l'introduzione in terapia di un beta-bloccante, il timololo (anch'esso tuttavia in collirio) che sorpassò in efficacia e tollerabilità la vecchia pilocarpina. Nel 1980 fu la volta di una prostaglandina semisintetica, il latanoprost, un prodotto in collirio che oltre ad abbassare la pressione intraoculare fa crescere le ciglia e macchia l'iride di un discutibile colore violaceo. Prodotti topici a basso prezzo che sono ancora prescritti senza limitazioni. Bisogna arrivare al 2008 per conoscere il primo farmaco ad alto potenziale innovativo nel campo della farmacologia oculare e non formulato in collirio: il ranibizumab, un anticorpo monoclonale che viene iniettato per via intravitteale nella terapia della degenerazione maculare umida. Ma quello che distingueva questo farmaco dai precedenti prodotti formulati in collirio era il prezzo: una fiala per mono-somministrazione costava in Italia circa 800 euro, una bella differenza rispetto ai pochi euro dei colliri antiglaucoma. L'introduzione dei farmaci per le malattie degenerative della retina è stata il vero salto di qualità della Farmacologia oculare che dopo decenni di marginalità, con questi prodotti è diventata una delle aree terapeutiche a innovatività più avanzata. Questo si può dire non solo dei farmaci che seguirono il ranibizumab nella stessa area terapeutica (bevacizumab, aflibercept), ma di altri prodotti che sono stati sviluppati per patologie oculari

rare e orfane.

Uno di questi è di invenzione italiana, Holoclar, un trattamento a base di cellule staminali che viene utilizzato per sostituire le cellule danneggiate sulla superficie (epitelio) della cornea, la membrana trasparente che riveste l'iride (la parte colorata dell'occhio). È usato in pazienti affetti da deficit di cellule staminali limbari provocato da ustioni oculari (comprese le ustioni provocate da agenti chimici).

Nel 2018 l'americana Spark Therapeutics ha ottenuto una storica approvazione dell'Agenzia americana per il suo farmaco Luxturna, la prima terapia genica progettata per curare i pazienti con perdita della vista dovuta a una rara malattia, la maculopatia ereditaria.

La terapia consiste in una iniezione al di sotto della retina di un vettore virale che trasmette il gene sano alla retina malata, determinando la guarigione di una malattia fino a oggi incurabile. La procedura dura appena 45 minuti e i primi effetti si osservano dopo un mese. A differenza di altre terapie geniche, è necessaria una sola somministrazione del prodotto.

Altri farmaci innovativi già approvati e introdotti in terapia sono l'ocriplasma per la trazione vitreo-maculare, il fattore di crescita nervoso (Nerve Growth Factor) per la cheratite neurotrofica, un antagonista del recettore glutammatergico per il glaucoma, un anticorpo monoclonale per la oftalmopatia di Graves, un farmaco per la ptosi palpebrale, un chemioterapico per la cheratite da acantameba.

Malattie oculari dal nome appena pro-

nunciabile e incurabili fino a oggi, potranno esserlo in breve tempo grazie a terapie geniche già in fase avanzata di sviluppo.

Tra queste, la terapia genica per la retinite pigmentosa legata al cromosoma X, quella per la coroideremia, per l'atrofia geografica, per la neuropatia ottica ereditaria di Loeber, per degenerazione maculare umida, per la malattia di Batten. Si tratta di un enorme capitolo della farmacoterapia di malattie rare e fino a oggi incurabili, spesso causa di un gravissimo deficit della visione fino alla cecità. Ma si sa, grazie agli enormi progressi della ricerca in Farmacologia, oggi la parola "incurabile" non ha più lo stesso significato che aveva anche solo dieci anni fa anche in Oculistica.

*Farmacologo, Università di Catania