

SCHEDA VALORIZZAZIONE ATTIVITA' DI TERZA MISSIONE

Area di intervento (principale) da selezionare tra:

- [...] INNOVAZIONE E IMPRENDITORIALITA'
- [...] BENI E RISORSE ARTISTICO-CULTURALI
- [x] SALUTE PUBBLICA E BENESSERE
- [...] RESPONSABILITÀ SOCIALE E SOSTENIBILITA'
- [...] FORMAZIONE CONTINUA E PLACEMENT
- [...] CITTA' E TERRITORIO

Referente attività: Prof. Giovanni Ristori

Denominazione dell'iniziativa: RILUZOLE (GLENTEK) IN PATIENTS WITH SPINOCEREBELLAR ATAXIA TYPE 7: A RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, PLACEBO-CONTROLLED PILOT TRIAL WITH A LEAD IN PHASE

Eventuale riferimento ad attività con:

CARCERI MIGRANTI SCUOLE ALTRO X malattie rare

Periodo di svolgimento: 2021 in corso

Luogo/luoghi di svolgimento (specificare indirizzo o, se in Sapienza, l'edificio specifico): UOC Neurologia AOU S.Andrea

Breve descrizione degli obiettivi e delle azioni: L'Agenzia Italiana del Farmaco ha approvato il finanziamento di uno studio che prevede la sperimentazione del Riluzolo (una molecola attualmente autorizzata per la terapia della sclerosi laterale amiotrofica) in pazienti affetti da Atassia Spinocerebellare di tipo 7 (SCA7). La ricerca è nata grazie alla collaborazione fra il Centro di Neurogenetica dell'AO S.Andrea, l'Università degli Studi di Roma La Sapienza, l'Università di Ferrara e l'Istituto Superiore di Sanità. L'obiettivo dello studio sarà quello di valutare l'efficacia dell'utilizzo del Riluzolo assunto al dosaggio di 50 mg per via orale due volte al giorno (dosaggio valido per gli adulti) confrontando i punteggi delle scale neurologiche utilizzate e degli esami oftalmologici eseguiti dai partecipanti prima e dopo la terapia. La durata complessiva dello studio sarà di 18 mesi, metà dei soggetti assumeranno la terapia per 6 mesi e la restante parte per 12 mesi. Durante tutto lo studio i soggetti verranno sottoposti ogni 3 mesi a visita neurologica con somministrazione della "Scale for the assessment and rating of ataxia" (SARA) dal quale si otterrà un punteggio del grado di compromissione delle funzioni neurologiche e una visita oculistica con esecuzione di numerosi esami oftalmologici.

Soggetti coinvolti (interni/esterni): Pazienti affetti da SCA7

Contatti per conoscere e/o partecipare all'iniziativa:

giovanni.ristori@uniroma1.it

silvia.romano@uniroma1.it