



UNIONE EUROPEA



REPUBBLICA ITALIANA



REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA

REGIONE AUTONOMA DELLA  
SARDEGNA

LEGGE REGIONALE 7 AGOSTO 2007, N. 7  
PROMOZIONE DELLA RICERCA SCIENTIFICA E  
DELL'INNOVAZIONE TECNOLOGICA IN SARDEGNA"

MODELLO PER LA PROPOSTA DI TEMATICHE DI RICERCA DI  
CARATTERE SPECIFICO E DI STRETTO INTERESSE REGIONALE (TENDER)

**TITOLO DEL TENDER**

**Studio degli effetti della palmitoiletanolamide ( PEA ) sulla evoluzione a medio e lungo termine in malati affetti da sclerosi laterale amiotrofica ( SLA )**

**OBIETTIVI GENERALI**

La SLA è una malattia ad evoluzione gravemente infausta quoad valetudinem e / o quoad vitam.

L'età di insorgenza che, in passato, quando l'età media della vita era di circa 70 anni per gli uomini e di 75 anni per le donne, era > di 60 -65 anni, negli ultimi anni si è abbassata notevolmente, tanto da colpire persone di età media intorno ai 40 anni.

Uno studio osservazionale condotto da Clemente e coll. e, presentato come Poster al Congresso della Società Italiana di Riabilitazione Neurologica il 6 maggio 2012, su due malati di SLA (1 paziente con forma sporadica e 1 paziente con una forma familiare ) ha dimostrato che la PEA è in grado di determinare significativa diminuzione del quadro sintomatologico e di contrastare l'evoluzione della malattia, a distanza di 7 mesi dall'inizio della cura. Risultati molto incoraggianti si sono ottenuti dall'osservazione, nel breve periodo, di altri 18 malati.

Trattandosi di una malattia con costi sociali molto alti, la possibilità che il protocollo Clemente ( somministrazione di PEA associata ad esercizio terapeutico riabilitativo o progetto riabilitativo mirato – per i casi più gravi ), determini risultati terapeutici curativi su tutti i malati affetti, in particolare sui nuovi casi e i casi di media gravità, può allentare, per il futuro, il carico assistenziale non solo in termini economici, ma anche familiari.

**OBIETTIVI SPECIFICI**

1 ) Riconoscimento del protocollo Clemente, quale primo protocollo che, a livello mondiale, è stato in grado di determinare risultati su 2 pazienti evidenti a distanza di 7 mesi e su 18 pazienti nel breve periodo

2 ) Testare il protocollo su un numero di malati non minore di 80 casi, con lo scopo di analizzare i risultati ottenuti su un campione più vasto, identificare i targhet di azione specifica del farmaco e standardizzare procedure riabilitative

### 3 ) Formazione del personale

- medici, in particolare specialisti della riabilitazione, e tutti gli specialisti che, si occupano di monitorare le varie problematiche della malattia ( anestesisti, neurologi, pneumologi, neurofisiologi .. )
- terapisti e logopedisti

### **ATTI PROGRAMMATICI E RIFERIMENTI LEGISLATIVI COMUNITARI E NAZIONALI CHE IDENTIFICANO LA TEMATICA TRA LE PRIORITA' IN AMBITO REGIONALE E RELATIVE MOTIVAZIONE CHE SOTTENDONO ALLE PRIORITA' DELLA STESSA.**

#### **OSSERVATORIO LEGISLATIVO INTERREGIONALE**

Atti Nazionali : Fondo nazionale per le politiche sociali, istituito dalla legge 449/1997 ; Legge di stabilità per il 2011 (legge 220/2010 ); Decreto Interministeriale del 17 giugno 2011; Decreto legge 78/2009 di istituzione del Fondo per le attività di carattere sociale di pertinenza regionale

Atti Regionali : Delibera n. 10/43 del 2009, Delibera n. 26/15 del 2008, Delibera n. 49/14 del 2011

### **STATO DELL'ARTE**

-Studi orientati alla ricerca della causa della malattia nelle forme familiari (identificazione del pattern genetico). Mutazioni genetiche sono presenti nel 20 % di pazienti colpiti da malattia apparentemente sporadica ( non familiare )

-Studi in atto relativi all'utilizzo sperimentale di nuovi farmaci ( EPO, tamoxifen, ceftriaxone, minociclina, ONO-2506 e IGF-1.

-Trapianto di cellule staminali, già operativo in altri Stati ed attuato in alcuni Centri ( Genova e Novara ) anche in Italia, con risultati ancora da valutare.

Da segnalare che, FINORA nessun trial ha evidenziato risultati quali quelli dimostrati sui due pazienti osservati nello studio Clemente e collaboratori

### **IMPATTO SUL TERRITORIO E RISULTATI ATTESI NEL BREVE PERIODO**

Miglioramento della qualità della vita dei malati affetti, fin dal breve periodo.

Presenza di flussi di turismo sanitario da altre Regioni di Italia, da Stati Europei e non con conseguente indotto economico per la Sardegna

Rallentamento della progressione della malattia e possibilità che l'affezione riduca notevolmente, nel medio – lungo periodo, il carico socio assistenziale futuro per i malati con recente insorgenza di malattia.

### **MODALITA' DI SVOLGIMENTO DELLA RICERCA**

Reclutamento di un numero di malati non inferiore ad 80 ( per una validità statistica dei dati ). La valutazione di ciascun malato avverrà in team : specialista della riabilitazione neuro fisiatra o neurologo e fisiatra, terapeuta e logopedista nelle forme bulbari, anche anestesista e/o pneumologo nella compromissione respiratoria e in funzione della gravità del quadro, psicologo per aiutare i malati e i familiari a gestire le emozioni. Verrà documentato, in primis, il tempo zero, si prosegue con il Test al PEA, che oltre a testare l'efficacia del principio attivo, consente di individuare gli obiettivi riabilitativi, seguendo i parametri previsti dal Protocollo Clemente ( che consentono la misurazione obiettiva di ogni dato ). Le visite di controllo per il monitoraggio dovranno egualmente seguire la medesima procedura con lo scopo di rendere sempre misurabili e paragonabili i risultati.

Oltre al monitoraggio clinico ogni mese si effettuano controlli strumentali mirati a verificare miglioramento / stabilizzazione / peggioramento. Ed è a tal fine che si deve costituire il team di specialisti che effettui la prima valutazione ed il successivo monitoraggio non solo attraverso la clinica, test di valutazione e filmati, ma anche effettuando esami strumentali specifici quali Elettromiografia ( neurologo-neurofisiologo ) con la ricerca delle unità motorie reclutabili nel prosieguo del trattamento rispetto a quelle presenti al momento zero, emogasanalisi arteriosa, spirometria ( Pneumologo e/o Anestesista )

## **LOCALIZZAZIONE SUL TERRITORIO DELLA SARDEGNA**

Intero contesto regionale.

## **SCADENZE E TEMPISTICHE DA RISPETTARE**

I malati verranno tutti ammessi entro 3 mesi dall'inizio del progetto.

I risultati dovranno essere elaborati, in itinere, dopo 15 giorni, dopo 1 mese, dopo 2 mesi, dopo 3 mesi dall'ammissione e poi dopo 6 mesi, 8 mesi e 1 anno.