

## COMUNICATO STAMPA

### Inizio di una nuova era di trial farmacologici

#### PRIMI PAZIENTI INSERITI NEL TRIAL PRAG-MS

## AVVIATO IL PRIMO TRIAL PRAGMATICO INTERNAZIONALE RANDOMIZZATO SULLA SCLEROSI MULTIPLA

Il trial PRAG-MS potrà colmare un importante gap nel comprendere il trattamento della sclerosi multipla. Fornirà utili informazioni per aiutare i pazienti ed i loro caregivers nella comprensione delle opzioni di cura e della loro efficacia. “Abbiamo avviato il primo trial pragmatico randomizzato sulla sclerosi multipla, **dice la dott.ssa Silvia Rossi, ricercatrice della Fondazione I.R.C.C.S. Istituto Neurologico Carlo Besta, e responsabile del progetto a livello internazionale**” ed un primo paziente ha già effettivamente iniziato la terapia dopo randomizzazione. Si tratta di un evento importante per la ricerca clinica, soprattutto nell’ambito della sclerosi multipla, ma anche trasversalmente in più aree mediche. La randomizzazione, - processo per cui un trattamento è scelto casualmente, attraverso un programma computerizzato dedicato -, è fondamentale per eliminare bias e avere dati oggettivi di confronto nella valutazione dell’efficacia farmacologica. Accettata universalmente nella metodologia di ricerca per i trial registrativi che confrontano in modo oggettivo il profilo di efficacia di un farmaco nei confronti di placebo o farmaco di chiara bassa potenza, la randomizzazione è purtroppo non considerata nello studio post-marketing tra farmaci di simile profilo. Le aziende farmaceutiche non sono responsabili di ciò, perché la ricerca aziendale deve avere meno rischi possibili, quando un farmaco ha già avuto autorizzazione per il commercio e detti trial potrebbero non essere di immediato vantaggio, rischiando di dimostrare l’inferiorità del proprio prodotto con un competitor diretto. Mancano trial clinici randomizzati di confronto tra farmaci approvati e questo impedisce la formulazione di chiari algoritmi terapeutici. Qui deve intervenire il modo accademico, per sostenere e condurre una ricerca obiettiva anche nella normale pratica clinica”.

PRAG-MS è il primo protocollo pragmatico randomizzato tra due farmaci orali già approvati per la sclerosi multipla recidivante-remittente. E’ un protocollo spontaneo non finanziato dall’industria, che nasce da un progetto di ricerca supportato economicamente da una fondazione no-profit americana, il Patient Centered Outcomes Research Institute (PCORI). Per la prima volta, un paziente con sclerosi multipla prescrivibile per indicazioni locali e giudizio clinico sia a fingolimod che a dimetil-fumarato, è stato randomizzato durante una visita ambulatoriale; la scelta terapeutica è stata formulata casualmente e ciò permetterà, se si raggiungerà un campione idoneo di pazienti, di rispondere a domande fondamentali per chi si occupa o vive con la sclerosi multipla: quale farmaco è più efficace? quale farmaco è più efficace per me?

Nel protocollo PRAG-MS, infatti, oltre ad investigare la superiorità di un farmaco rispetto all’altro, si studiano profili di efficacia specifici dei due farmaci su più aspetti della malattia, come sintomi psichiatrici, fatica, qualità della vita, performance cognitiva. Verranno anche valutati potenziali biomarcatori predittivi di risposta clinica e tolleranza, nel tentativo di applicare la medicina personalizzata anche in sclerosi multipla.

Ulteriori centri clinici in Italia, in Spagna, Svizzera, Germania, Israele e USA sono in via di attivazione e contribuiranno ad offrire ai loro pazienti la possibilità di essere inclusi nel protocollo.

La dott.ssa Laura Brambilla, neurologa dell’Istituto Besta è responsabile della conduzione dello studio presso l’Istituto Besta ed è coordinatrice dell’attivazione degli altri centri. Il progetto è stato approvato per un costo di \$ 3.386.735 milioni di finanziamento premio da parte dell’organizzazione indipendente, no profit PCORI - Patient-Centered Outcomes Research Institute ([www.pcori.org](http://www.pcori.org)).

“Questo progetto rappresenta l’inizio di una nuova era di trial farmacologici,” **dice il dott. Renato Mantegazza, Direttore dell’ Unità Operativa Neuroimmunologia e Malattie Neuromuscolari e Responsabile del Servizio Ricerca e Sviluppo Clinico della Fondazione I.R.C.C.S. Istituto Neurologico Carlo Besta,**” i risultati di questo studio rappresenteranno un passo avanti in quella che oggi si definisce Medicina di precisione. Ci sono varie terapie per la sclerosi multipla e questo studio del team di ricercatori del Besta farà una comparazione oggettiva di efficacia delle opzioni di trattamento”.

Questo primo studio pragmatico multicentrico randomizzato controllato che, ripetiamo, confronta direttamente l'efficacia di due farmaci orali (fingolimod/gilenya contro dimethyl- fumarate/tecfidera) sull'esperienza globale di malattia, coinvolge fin dall’inizio pazienti, familiari e delegati di associazioni di pazienti direttamente in tutte le fasi della ricerca, dall’ideazione, alla conduzione, alla supervisione dello studio proprio per l’approccio innovativo del progetto. Lo studio viene condotto negli Stati Uniti, in Israele e in Europa con centri clinici partecipanti specializzati nell’immunoterapia in Italia, Svizzera, Germania, Israele, Spagna e Stati Uniti ed è rivoluzionario nel suo approccio super partes.

**UFFICIO STAMPA FONDAZIONE I.R.C.C.S. Istituto Neurologico C. BESTA**  
**tel 3389282504**

**email: [cinzia.boschiero@istituto-besta.it](mailto:cinzia.boschiero@istituto-besta.it) – [cinziaboschiero@gmail.com](mailto:cinziaboschiero@gmail.com)**