



## COMUNICATO STAMPA A DIFFUSIONE IMMEDIATA

### ALCUNE SCOPERTE SCIENTIFICHE DI BASE FANNO FARE PASSI IN AVANTI ALL'EPATOLOGIA

- **I progressi compiuti nell'ambito della virologia si traducono in nuovi farmaci promettenti per la lotta all'epatite C**
- **La spiegazione sul funzionamento delle vie oncogeniche offre un valido contributo alla ricerca sul tumore epatico**
- **Le cellule staminali rappresentano un potenziale terapeutico nel trapianto di fegato**
- **La biologia dei sistemi contribuisce a risolvere alcune epatopatie complesse**

**Milano, 26 aprile 2008** – Nel corso delle sessioni odierne della 43<sup>ma</sup> riunione annuale dell'Associazione Europea per lo Studio del Fegato (EASL), gli esperti hanno illustrato i progressi compiuti nella ricerca di base, che hanno importanti implicazioni per il trattamento futuro dei pazienti affetti da epatopatie croniche.

La scienza biomedica di base o “fondamentale” si propone di conoscere e comprendere il proprio soggetto di indagine senza però riferirsi ad un particolare problema pratico. La scienza “traslazionale” trasforma la conoscenza di base in termini pratici. La ricerca “applicata”, come i “trial clinici”, sviluppa ulteriormente le scoperte ad opera della ricerca di base e le utilizza per risolvere problemi medici specifici chiaramente definiti. La ricerca di base, la ricerca traslazionale e la ricerca applicata sono tutte necessarie per compiere passi avanti in campo medico incluso quello dell'epatologia.

In ambito virologico, ad esempio, grazie ai notevoli progressi, si è raggiunta una maggiore conoscenza della struttura del virus responsabile dell'epatite C (HCV) e conseguentemente è stato possibile lo sviluppo di nuovi farmaci sperimentali come gli inibitori della proteasi e gli inibitori della polimerasi, farmaci che inibiscono la produzione del virus. Alcuni di questi farmaci sono stati ampiamente testati e sono attualmente sottoposti a trial clinici di fase II. In base ai risultati a oggi disponibili, si è constatato che questi farmaci possono essere estremamente efficaci se associati all'Interferone pegilato ed alla Ribavirina. Sono attualmente in fase di pianificazione trial clinici di fase III.

Nel campo della genetica e della biologia dei sistemi sono inoltre state illustrate importanti innovazioni scientifiche di base che introducono nuovi e potenziali sviluppi delle strategie finalizzate al trattamento del carcinoma epatocellulare (HCC). Mediante l'utilizzo della genomica e dei microarray, per l'individuazione dell'espressione del gene, gli scienziati hanno scoperto l'esistenza di diverse vie biologiche denominate “vie oncogeniche” che portano all'insorgenza dell'HCC. Questa scoperta corregge un'ipotesi, in passato ampiamente diffusa ma errata, che vedeva come unica causa dell'HCC un unico processo patologico. In base alla nuova scoperta i ricercatori possono ora classificare e studiare diversi sottotipi di HCC, nonché programmare e testare per via sperimentale trattamenti mirati per i singoli pazienti basati sul rispettivo sottotipo tumorale. Secondo il Professor Michael Trauner, Docente di Medicina e Epatologia Molecolare presso l'Università Medica di Graz in Austria, “è estremamente interessante studiare profili di espressione genica differenti, appartenenti a pazienti affetti dalla stessa patologia e constatare l'esistenza di gruppi diversi che potrebbero essere associati a patologie caratterizzate da livelli di aggressività differenti. In campo tumorale, ad esempio, profili di



*espressione genica diversi sono associati a prognosi più o meno favorevoli del carcinoma epatocellulare*". Oltre alle firme genetiche, sono inoltre in fase di studio nuove proteine e marcatori metabolici in grado di individuare, in fase precoce, la presenza di neoplasie tra i pazienti considerati a rischio. È importante sottolineare che oggi sono disponibili nuovi farmaci in grado di individuare le cascate di trasduzione del segnale che, in caso di patologia, favoriscono la crescita e la proliferazione delle cellule tumorali. Questi farmaci innovativi comprendono gli inibitori della multichinasi come il Sorefenib, che si è recentemente dimostrato efficace nel ritardare la progressione dell'HCC. Inoltre, altre piccole molecole in grado di rilevare la proliferazione delle cellule tumorali saranno, a breve, disponibili per la sperimentazione in trial clinici.

Un terzo ambito nel quale la scienza di base offre valide potenzialità per il progresso clinico in epatologia è rappresentato dall'utilizzo delle cellule staminali embrionali per la riparazione del danno epatico. Una delle principali limitazioni per lo sviluppo di terapie per la rigenerazione delle cellule epatiche è costituita dalla carenza di epatociti umani. Molti laboratori hanno pertanto concentrato la loro attenzione sulle cellule staminali come fonte rinnovabile di epatociti (sebbene la formazione e la sostituzione estesa di tessuto epatico non siano state ancora ottenute né con cellule staminali embrionali né con cellule staminali adulte). Gli epatociti immortalizzati potrebbero innestarsi, proliferare e correggere il fenotipo patologico del fegato di un soggetto ricevente ma le questioni legate alla sicurezza (ad es. la formazione tumorale) non sono state del tutto chiarite. Oggi studi di laboratorio hanno dimostrato che le cellule staminali si differenziano in cellule simili agli epatociti e in altri tipi di cellule epatiche e vengono tutte utilizzate per ripristinare la funzionalità epatica nei topi con insufficienza epatica. Per alcuni ricercatori ciò rappresenta un potenziale trattamento che, in caso di applicazione con esito positivo sugli esseri umani, consentirà la correzione di difetti congeniti del metabolismo o permetterà ai pazienti di vivere abbastanza a lungo fintanto che si renderà disponibile un organo per il trapianto. Alcuni scienziati ritengono che le cellule staminali potrebbero addirittura consentire la totale autoguarigione del fegato evitando così il trapianto. Secondo il Professor Trauner il successo di quest'ultima applicazione, sebbene costituisca un elemento di interesse, potrebbe essere limitato a causa delle gravi alterazioni dell'architettura epatica nelle epatopatie avanzate come la cirrosi che riduce la funzionalità delle nuove cellule trapiantate. In futuro, tuttavia, le cellule staminali potrebbero essere utilizzate anche per la regressione delle cicatrici fibrose nella cirrosi epatica.

Un quarto ambito scientifico promettente è costituito dall'applicazione della biologia dei sistemi -- disciplina che rivolge la sua principale attenzione alle interazioni dei sistemi biologici -- ai problemi clinici in epatologia. L'esplorazione sistematica di RNA, con profili proteici e metabolici di epatiti, steatosi e tumori potrebbero contribuire ad individuare i pazienti particolarmente a rischio di sviluppare forme gravi di tali patologie, a anticiparne la prognosi e a definire potenziali obiettivi terapeutici per i singoli pazienti. Tale approccio consente di compiere un decisivo passo in avanti verso una scienza medica più personalizzata e rivolta all'individuo con una migliore capacità di previsione delle prognosi individuali e di scelta della migliore terapia per ogni singolo paziente.

### **Che cos'è l'EASL**

L'Associazione Europea per lo Studio del Fegato (EASL) si propone di promuovere la ricerca sulle epatopatie e migliorare i trattamenti attualmente esistenti per la cura di tali patologie. Con le sue riunioni annuali l'Associazione tenta di informare ed educare la comunità scientifica e la società civile sull'incidenza in costante aumento delle epatopatie oltre a mettere in evidenza l'importanza di comprendere tali patologie al fine di prevenirle e curarle. Dalla sua creazione nel 1966, il congresso dell'EASL è stato ospitato in 20 diversi paesi europei. L'Associazione conta attualmente oltre 1400 membri e il congresso annuale richiama ogni anno ben più di 6000 delegati provenienti da oltre 65 paesi.



###

**Per ulteriori informazioni, contattare:**

**Carolina Annand / Karine Elkobbi / Melisa Corrigan**

**carolina.annand@eurorscg.com / karine.elkobbi@eurorscg.com / melisa.corrigan@eurorscg.com**

**Tel. +33 617 43 03 38 / +33 6 61 17 44 77 / 328 411 01 38**

**Euro RSCG Life**