

MENU

Sei qui: [Home](#) > [News](#) > [Sperimentazioni](#) > Malformazione cavernosa cerebrale, procede con successo la sperimentazione sul propranololo[Sperimentazioni](#)

Malformazione cavernosa cerebrale, procede con successo la sperimentazione sul propranololo

Autore: Redazione, 26 Aprile 2021



La professoressa Elisabetta Dejana e il dottor Roberto Latini

Nello studio sono stati arruolati 71 pazienti con malattia in forma ereditaria: i primi risultati dovrebbero arrivare a inizio 2022

Sei grandi centri di ricerca italiani sono coinvolti in una importante sperimentazione su una rara malattia della circolazione cerebrovascolare: **lo studio Treat-CCM**, un trial clinico multicentrico, randomizzato e controllato che è stato avviato ad aprile del 2018 e che **valuterà gli effetti del propranololo nel trattamento della malformazione cavernosa cerebrale (CCM)**. La CCM è un'afezione dei vasi sanguigni del cervello contraddistinta dalla

presenza di angiomi cavernosi, anche detti cavernomi, definiti come dilatazioni dei vasi che sfociano in strutture a "bolla" gonfie di sangue e delimitate da una corona di cellule endoteliali.

Queste malformazioni, che nell'aspetto fanno pensare a grappoli di lamponi (possono infatti insorgere in forma singola o multipla), **sono responsabili di una corposa sequela di sintomi** che vanno dalle crisi epilettiche alle cefalee, fino alle emorragie cerebrali. Oltre a questi, possono essere presenti altri segni distintivi, quali deficit cognitivi, disturbi della vista o alterazioni dello stato di coscienza. **I segni clinici della malattia possono variare, specialmente in funzione dell'età d'insorgenza**: nei bambini sono più comuni le crisi epilettiche, mentre negli adulti sono più frequenti le emorragie subaracnoidee. La CCM **può presentarsi in forma sporadica, ma in circa un paziente su 20-50 di quelli che sviluppano i cavernomi la malattia è di tipo ereditario** (FCCM, [malformazione cavernosa cerebrale familiare](#)). In questi casi, sono state riscontrate specifiche mutazioni a danno dei geni CCM1, CCM2 e CCM3, che hanno fatto dello screening genetico un'arma importante per individuare la malattia con elevato grado di sicurezza prima ancora che possa manifestarsi.

La terapia per questa terribile patologia si basa sulla **rimozione chirurgica delle lesioni** o sull'impiego della **radiochirurgia stereotassica**. Qualsiasi altra forma di trattamento è solamente sintomatica o di supporto, e questo rende **prioritaria l'individuazione di nuove terapie farmacologiche** che possano essere efficaci nel contenere i sintomi o arrestare la progressione della malattia.

Tra i diversi beta-bloccanti allo studio c'è il **propranololo**, un farmaco che, in uno studio clinico di Fase III, è già risultato efficace nel trattamento di malformazioni vascolari come gli emangiomi cutanei infantili, e che, **in alcuni pazienti affetti da CCM, è stato in grado di ridurre la sintomatologia classica della malattia**. Questo farmaco, inoltre, ha un solido profilo di sicurezza, documentato in migliaia di pazienti di tutte le età. Per tale ragione, i ricercatori sono stati indotti a pensare che il propranololo possa costituire un valido agente farmacologico per il trattamento della CCM e hanno progettato e dato inizio allo studio Treat-CCM che, come spiega il dott. **Roberto Latini**, dell'Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri di Milano (tra i referenti della sperimentazione), si propone di **valutare se il trattamento con propranololo sia in grado di ridurre le manifestazioni cliniche della FCCM**. In particolare, l'endpoint primario dello studio è la riduzione dell'insorgenza di emorragie intracerebrali o di eventi neurologici, come le crisi epilettiche, nei soggetti trattati con propranololo rispetto al gruppo di controllo. Saranno inoltre valutate le caratteristiche cliniche delle lesioni, la presenza di eventuali emorragie microvascolari o di altri deficit cognitivi, nonché la qualità di vita dei pazienti.

SPORTELLO LEGALE
OMAR
DALLAPARTEDEIRARI**MALATTIE RARE
E CORONAVIRUS**
L'Esperto risponde**SPECIALE VACCINO
ANTI COVID-19**

Iscriviti alla Newsletter

Iscriviti alla Newsletter per ricevere Informazioni, News e Appuntamenti di Osservatorio Malattie Rare.

Invia

Seguici sui Social

**Invalidità civile e Legge 104, tutti i diritti dei malati rari****Malattie rare - Guida alle**

nuove esenzioni

Lo studio, diretto dalla prof.ssa **Elisabetta Dejana** (IFOM, Milano) e finanziato da AIFA (Bando 2016), ha arruolato il primo paziente ad aprile del 2018 e ha una durata triennale, per cui si prevede la conclusione del lavoro nel dicembre 2021. Lo studio era partito con la previsione di includere 60 pazienti, ma grazie alla collaborazione dei centri clinici partecipanti e alle associazioni di pazienti, il centro promotore ha aumentato a 71 i soggetti maggiorenni con FCCM coinvolti. La randomizzazione si esegue in rapporto 2:1 per ricevere il trattamento standard più propranololo o il solo trattamento standard. **I partecipanti dovevano presentare una diagnosi genetica di FCCM o una storia clinica di sintomi specifici della malattia.** I pazienti assegnati al braccio propranololo hanno ricevuto una dose iniziale pari a **20 mg di propranololo due volte al giorno**, che potrà eventualmente aumentare fino a 160 mg con le stesse modalità di somministrazione. I soggetti affetti da bradicardia, o a cui sia stato impiantato un pacemaker, sono stati esclusi dallo studio. Le procedure di follow-up prevedono una visita alle settimane 2 e 4, per l'eventuale correzione della dose, e una visita ogni 6 mesi per un totale di 24 mesi. Le visite a 12 e 24 mesi, in particolare, implicheranno l'esecuzione di una risonanza magnetica, la cui lettura sarà centralizzata, così come la valutazione degli eventuali eventi avversi.

Lo studio Treat-CCM coinvolge, oltre all'ANACC (Associazione Nazionale Angioma Cavernoso Cerebrale), **sei ospedali italiani**: la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano (dott.ssa Silvia Lanfranconi), Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta di Milano (dott.ssa Maria Rita Carrero), l'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda di Milano (dott.ssa Laura Tassi), l'IRCCS Centro Neurolesi "Bonino Pulejo" di Messina (dott.ssa Silvia Marino), la Fondazione Policlinico Universitario Gemelli di Roma (dott. Roberto Pallini) e l'Ospedale Casa Sollievo della Sofferenza di San Giovanni Rotondo (dott. Marco Castori). **Il primo partecipante è stato arruolato ad aprile del 2018 e complessivamente sono stati inclusi 83 pazienti, di cui 71 con CCM familiare.** Considerata la rarità della malattia, **il Treat-CCM è il più grande studio controllato al mondo sulla CCM familiare attualmente in corso.**

Articoli correlati

- > 09-09-2019 - Malformazione cavernosa cerebrale, da un vecchio farmaco una possibile terapia
- > 13-06-2019 - Malformazione cavernosa cerebrale, ancora possibile iscriversi allo studio clinico sul propranololo
- > 03-09-2018 - Malformazione cavernosa, parte in Italia una sperimentazione sul propranololo
- > 08-04-2011 - Linfangiomatosi diffusa, il propranololo può essere un'alternativa terapeutica per i bambini
- > 19-11-2015 - Emangioma infantile, presto anche in Italia il primo farmaco destinato ai bambini
- > 07-03-2014 - Emangiomi infantili: ok del Chmp per il propranololo
- > 21-06-2013 - Cavernomi cerebrali, studio italiano identifica possibile terapia farmacologica
- > 18-02-2014 - 26 Febbraio 2014, Torino. Malformazioni cavernose cerebrali: dai meccanismi patogenici alle strategie terapeutiche

Con il contributo di



GRIFOLS



Partner Scientifici



Informazioni Mediche

Tutte le informazioni presenti nel sito **non sostituiscono** in alcun modo il giudizio di

> [Privacy Policy](#)

> [Cookie Policy](#)