



La comunità scientifica è al corrente e condivide le frustrazioni che molti individui affetti direttamente dal diabete e le loro famiglie esprimono in forme differenti. Noi tutti abbiamo lo stesso desiderio: trovare una cura per il diabete tipo 1, ADESSO!

In generale, è deplorabile che molta enfasi sia data a risultati di ricerche che sono ancora molto preliminari e lontani dall'essere testati e, si spera, confermati in ambito clinico. A volte questo è da attribuire all'eccessiva semplificazione ed al grande entusiasmo nel trasmettere un messaggio; non considererei questo atteggiamento deliberatamente fuorviante. Naturalmente, è da considerare criminale dare false speranze che non possono essere supportate da dati e fatti. Questo è un problema da relazionare all'etica professionale di ciascun individuo che risponde a titolo personale per ciò che dice e scrive. È importante sottolineare che questo non dovrebbe avere ripercussioni negative su tutta la comunità scientifica che include nei suoi ranghi un vasto numero di individui che, coi piedi per terra, serietà e senso critico giudicano i risultati delle proprie ricerche ed offrono aspettative reali basate sui concreti progressi del campo in cui operano.

Non ci sono, purtroppo, scorciatoie per giungere ad una CURA. Dal canto nostro, proviamo a collegare i vari elementi per accelerare il passo delle scoperte, sperando che i progressi a cui stiamo assistendo in questi anni, siano effettivamente più rapidi che mai!

Esistono modelli animali che sono indispensabili per aumentare le nostre conoscenze in area differenti della biologia in quanto forniscono modelli *in vivo* particolarmente utili e che sono pertanto considerati parte integrante dell'armamentario a disposizione degli scienziati che vengono usati per accelerare i progressi nella comprensione, nel trattamento ed eventualmente nell'ottenere una cura per una specifica malattia. Alcuni di questi modelli non riescono a riprodurre fedelmente le complesse caratteristiche di condizioni umane e pertanto i risultati ottenuti con essi devono essere interpretati con le dovute cautele e con la consapevolezza dei limiti intrinseci del modello stesso.

Nel contesto della ricerca sulle malattie autoimmuni, il topo NOD (non-obese diabetic), nonostante i molti limiti, ha rappresentato un indispensabile strumento per aiutare a comprendere meglio la fisiopatologia del diabete tipo 1. Va riconosciuto che il topo NOD rimane a tuttoggi il SOLO modello 'preclinico' di diabete tipo 1 disponibile per studiare fattori di predisposizione genetici, difetti immunitari e per valutare l'efficacia di nuove strategie terapeutiche per trattare e, si sepra, curare questa complessa condizione.

Una solida letteratura medico-scientifica supporta le strette analogie sulle cause del diabete nell'uomo e nel topo NOD, con scoperte fatte inizialmente sul topo poi confermate nell'uomo e vice versa. Bisogna essere coscienti che studi di prevenzione dell'insorgenza del diabete che hanno dato risultati positivi nel topo NOD non sono stati riprodotti fedelmente quanto sperimentati nella pratica clinica. Nonostante cio', non e' giustificato scartare a priori come irrilevanti i risultati ottenuti nel modello murino NOD. Va infatti sottolineato che una volta sviluppata l'autoimmunita', le regole del gioco sono molto differenti persino nel topo NOD, il che rende molto piu' difficile ottenere risultati positivi con qualunque approccio terapeutico. E' infatti possibile che le piu' difficili sfide da affrontare nel topo NOD possano essere simili a quelle che ci troveremo davanti nella clinica.

Purtroppo, attualmente non esistono modelli di diabete su base autoimmune (tipo 1) in animali di grossa taglia (per esempio nelle scimmie). D'altro canto, sperimentare nuove terapie direttamente nell'uomo non e' eticamente accettabile.

Esistono numerosi ed interessanti sviluppi nell'ambito degli interventi terapeutici per il diabete tipo 1. Molti protocolli sperimentali basati su singolo trattamento non hanno fornito i risultati desiderati nell'ambito clinico. La speranza e' che lavorando di concerto con le agenzie preposte alla regolamentazione degli studi clinici sia possibile promuovere ed attuare rapidamente nuovi studi basati sulla combinazione di molteplici approcci che possano contribuire ad aumentare le possibilita' di successo in un futuro molto immediato.

Miami, FL - USA January 30, 2011

□

Antonello Pileggi, M.D., Ph.D.

Associate Professor □

Diabetes Research Institute - University of Miami

www.diabetesresearch.org

ATTENZIONE: Il contenuto di questo documento deve essere considerato come opinione(i) personale(i) dell'autore che non necessariamente riflettono la posizione ufficiale del DRI, DRIF o delle altre agenzie che supportano il lavoro dell'autore. L'uso del materiale contenuto in questo documento, anche parziale, senza il consenso dell'autore e' illegale.