

MeB – Pagine Elettroniche

Volume IV

Maggio 2001

numero 5

APPUNTI DI TERAPIA

Il deflazacort nella distrofia muscolare di Duchenne

G. Bartolozzi

Indirizzo per corrispondenza: bartolozzi@unifi.it

polmonare in bambini con DMD; gli effetti collaterali sono risultati limitati.

La distrofia muscolare di Duchenne (DMD) è un'affezione recessiva legata all'X, che colpisce principalmente i muscoli scheletrici e il muscolo cardiaco. I maschi con DMD mostrano un progressivo, predicibile deterioramento della funzione muscolare. I bambini, compiuto il primo anno di età, possono ritardare nell'inizio della deambulazione o possono camminare in modo goffo. Nella maggior parte dei casi i bambini fra i 7 e i 12 anni perdono progressivamente la capacità di camminare. Segue nella seconda decade un'altrettanto progressiva insufficienza respiratoria. Si sviluppa nel frattempo una scoliosi, che li obbliga a usare una sedia a rotelle. E' stato visto nel passato che il prednisone preserva la funzione muscolare nella DMD, attraverso un meccanismo di azione che non è risultato chiaro: probabilmente per un aumento della massa muscolare e per un rallentamento dell'alterazione del tessuto muscolare striato.

Nonostante ciò l'applicazione del prednisone è stata limitata dalla presenza di evidenti effetti collaterali. Di recente l'interesse si è rivolto a un derivato oxazolone del prednisone: il deflazacort, col quale fino a oggi sono state condotte ricerche limitate. In una recente pubblicazione (**Biggar WD et al., J Pediatr 2001, 138:45-50**) sono studiati gli effetti a lungo termine del deflazacort sulla forza muscolare, sulla funzione polmonare e sugli effetti collaterali dannosi. Sono stati trattati con deflazacort (dose iniziale di 0,9/kg/die per oltre un anno) 30 bambini da 7 a 15 anni di età, affetti da DMD; insieme al corticosteroide i bambini assumevano un supplemento per bocca di 1.000 U di vitamina D e 750 mg di calcio, per ogni giorno. 20 bambini sono stati considerati come controlli e non sono stati trattati. I bambini non trattati smisero di camminare a 9,8 +/- 1,8 anni. 7 dei 30 bambini trattati smisero di camminare a 12,3 +/- 2,7 anni ($P < 0,5$) e 23 dei bambini che camminavano ancora, 21 avevano già più di 10 anni. La funzione polmonare fu significativamente maggiore nei bambini trattati, all'età di 15 anni (88% +/- 18%) che nei bambini non trattati (39% +/- 20%) ($p < 0,001$). Fra i 9 e i 15 anni i bambini trattati avevano una statura più bassa e pesavano di meno fra i 9 e i 13 anni. Dopo i 13 anni i bambini trattati mantennero il loro peso, mentre i bambini non trattati persero parte del loro peso. Una cataratta asintomatica si sviluppò in 10 dei 30 bambini trattati con deflazacort. Altri effetti collaterali del corticosteroide sono stati l'ipertensione, la glicosuria, l'acne, l'infezione e le ecchimosi: tutti eventi presenti molto di rado. Viene concluso che il deflazacort riesce a preservare parte dell'attività muscolare e della funzione