

## **Prese di posizione su tentativi terapeutici Acido valproico in caso di retinite pigmentosa: AKF diffida dall'automedicazione**

Nella sua recente presa di posizione, AKF, il gruppo di lavoro per le questioni cliniche del comitato medico-scientifico di Pro Retina Deutschland e.V. e Retina Suisse consiglia ai pazienti RP di distanziarsi dall'idea di assumere dei farmaci per decisione propria, cioè senza una prescrizione medica. Lo stesso vale per farmaci non testati scientificamente per la RP. Inoltre AKF dice ufficialmente quali sono i requisiti di efficacia cui un farmaco deve adempiere.

Non è sempre facile identificare gli effetti desiderati e indesiderati di farmaci. Può per esempio darsi che farmaci autorizzati per una determinata patologia prescritti per un certo periodo di tempo indichino un effetto anche per altre malattie di quelle per cui vige l'indicazione. Simili osservazioni possono dare origine a nuove applicazioni per farmaci in commercio. Tuttavia sia ben chiaro che l'impiego di un tale medicamento per una nuova applicazione deve essere verificato in funzione degli effetti desiderati e indesiderati al fine di determinarne il profilo di rischio per un'applicazione specifica. L'acido valproico, un farmaco in uso da molti anni per la cura delle epilessie, è uno dei prodotti che sembra avere effetto anche su altre malattie. Nel corso degli anni si è notato un suo effetto protettivo sul nervo ottico (v. Biermann et al, 2010) e forse anche un effetto positivo sulla retinite pigmentosa (v. Clemson et al, 2010). Nella ricerca di Clemson furono studiati 13 occhi di sette pazienti curati con acido valproico per quattro mesi. Le conclusioni di detta ricerca dicono che l'acido valproico potrebbe avere un effetto protettivo, ma che tuttavia occorre assolutamente una verifica per mezzo di una vasta ricerca. Questo nuovo studio è in corso negli USA, i risultati non sono però ancora disponibili (Studio-no. NCT01233609). Per l'acido valproico non sono disponibili esperienze sul lungo periodo cioè riguardo a una somministrazione pluriennale. Sono tuttavia note osservazioni individuali indicanti casi di pazienti epilettici dagli occhi sani in cui la somministrazione di acido valproico dà adito a un sospetto di perdita di campo visivo (v. Titz et al, 2010). Nella retina, l'acido valproico influisce tra l'altro sulla stessa sostanza neurotrasmettitrice come l'anti-epilettico Vigabatrin, del quale è noto che può provocare importanti perdite di campo visivo (v. Verrotti et al, 2007). È più che comprensibile che pazienti RP si pongano la domanda a sapere perché un farmaco eventualmente efficace debba prima sottostare a complesse e spesso lunghe analisi e verifiche. Si pone pure la domanda se non sia il caso di cominciare da sé una terapia con un farmaco disponibile sul mercato. A tal proposito si impone

un grosso avvertimento prudenziale per i seguenti motivi:

1. Che il farmaco possa servire è una semplice ipotesi. Simili ipotesi, basanti su osservazioni fatte su pochi pazienti, si sono rivelate più volte prive di fondamento. Infatti un effetto positivo sul campo visivo registrato in pochi pazienti e con pochi controlli potrebbe anche essere casuale.

2. Un possibile effetto positivo fu osservato soltanto durante un breve lasso di tempo. È tuttavia importante sapere se una somministrazione di lunga durata produce soltanto effetti desiderati o se magari ne risultano anche effetti indesiderati. All'atto pratico i farmaci di cui, a causa di uno sfavorevole profilo utili-rischi, la ricerca rinuncia a proseguire lo studio sono più numerosi di quelli che arrivano sul mercato.

3. Non si sa nulla sul dosaggio giusto. Il dosaggio di uno stesso farmaco può variare fortemente a dipendenza dello scopo terapeutico perseguito. Perciò per ogni nuova indicazione si impone una nuova definizione del dosaggio. In particolare nel caso dell'acido valproico sono noti numerosi effetti collaterali, tra cui disfunzioni del fegato che possono andare fino all'insufficienza epatica, disturbi della coagulazione del sangue, dell'udito, delle funzioni cerebrali che possono sfociare persino in demenza. Recentemente l'autorità statunitense di controllo dei farmaci ha ammonito di non somministrare acido valproico durante la gravidanza in quanto lo sviluppo mentale del bambino potrebbe esserne disturbato e potrebbero persino insorgere malformazioni. L'autorità sanitaria statunitense sconsiglia per principio la somministrazione di acido valproico a donne in età di procreazione, menzionando in via del tutto eccezionale, unicamente l'indicazione per malattie potenzialmente letali. È inoltre importantissimo sapere che chi prende acido valproico non deve in nessun caso interromperne l'assunzione senza averne parlato con il proprio medico in quanto anche l'interruzione improvvisa può produrre effetti negativi.

In sintesi occorre specificare che quello che i pazienti percepiscono come lentissimo sviluppo di un farmaco ha unicamente lo scopo di garantire, al momento dell'applicazione, la sicurezza di tutte e tutti i pazienti. La prudenza è d'obbligo in quanto persino in grosse ricerche non è certa la scoperta di tutti gli effetti indesiderati che potrebbero insorgere nell'applicazione del farmaco. Perciò da parte nostra non possiamo che sconsigliare l'assunzione per decisione propria (automedicazione) di acido valproico come pure di altri farmaci non sufficientemente testati scientificamente.

Indicazioni bibliografiche riguardanti il presente articolo si trovano sul sito [www.pro-retina.de/ forschungsforderung/wissenschaftliche beratungsgremien/empfehlungen](http://www.pro-retina.de/forschungsfoerderung/wissenschaftliche-beratungsgremien/empfehlungen) (in lingua tedesca).

Per il gruppo di lavoro per le questioni cliniche AKF del comitato medico-scientifico di Pro Retina Deutschland e.V.: prof. dott. med. U. Kellner, presidente.

Giornale Retina Suisse, 114, 2011