

## **Aperto il reclutamento per la sperimentazione MirtaRett**

E' aperto ufficialmente il reclutamento delle pazienti affette dalla Sindrome di Rett per la prima sperimentazione clinica a livello mondiale del farmaco mirtazapina nella Sindrome di Rett, denominata **MirtaRett**. Ne danno annuncio l'Università di Trieste, centro coordinatore, e i quattro ospedali dove si svolgerà la sperimentazione **MirtaRett** ovvero, il Santi Paolo Carlo di Milano, l'IRCCS Gianna Gaslini di Genova, il Policlinico S. Maria Le Scotte di Siena e il Policlinico Gaetano Barresi di Messina. La sperimentazione coinvolgerà in totale 54 pazienti di età compresa tra 5 e 40 anni, suddivisi in tre gruppi di 18 pazienti di diverse fasce d'età (5-10, 11-17 e 18-40 anni). Le famiglie possono da subito contattare i centri per fissare le visite gratuite di screening che si svolgeranno a partire dal 1° Settembre 2025.

La sperimentazione MirtaRett è stata autorizzata dall'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), sentito il parere positivo del Comitato Etico nazionale pediatrico, ed è interamente sostenuta da sovvenzioni senza scopo di lucro, in particolare dal progetto no-profit "*Angelini for future*" di Angelini Pharma SpA, assieme alle Fondazioni Canali Onlus, Ico Falck Onlus, e Amedei e Setti Onlus. Il management della sperimentazione è gestito dal Consorzio per Valutazioni Biologiche e Farmacologiche (CVBF), una organizzazione non-profit che fornisce servizi per la ricerca clinica in Italia.

L'obiettivo primario della sperimentazione MirtaRett-2025 è osservare un miglioramento o una stabilizzazione dei sintomi motori e comportamentali rilevati da una scala di valutazione clinica utilizzata dai medici specialisti per la Rett, denominata MBAS (Motor-Behavioral Assessment Scale). In un precedente studio retrospettivo su 40 pazienti Rett adulte – di età compresa tra i 18 e 42 anni - condotto dai medici del Policlinico S.M. Le Scotte di Siena in collaborazione con l'Università di Trieste (Flores Gutiérrez et al., 2020), era stato rilevato che il trattamento con mirtazapina per 1-5 anni continui, è in grado di migliorare significativamente alcuni sintomi rilevati dalla scala MBAS quali irritabilità, aggressività, auto-aggressività, apatia, iperattività. Nello stesso studio del 2020, la mirtazapina si è rivelata in grado di impedire il peggioramento progressivo di sintomi come la regressione della comunicazione, la mancanza di risposta sociale e di contatto visivo, le crisi epilettiche, la difficoltà nel mangiare, l'iperventilazione e il trattenere il respiro, e di prevenire il peggioramento di tutta la sequela di disturbi motori alle mani e alle gambe e della struttura ossea e muscolare (scoliosi, ipertonica, rigidità). Come obiettivi secondari, la sperimentazione MirtaRett del 2025 considera la qualità del sonno, la qualità dell'umore con particolare attenzione ad ansia e depressione e la qualità della respirazione (in particolare le apnee).

Lo studio prevede inoltre il monitoraggio dei parametri vitali mediante delle T-shirt intelligenti di fabbricazione italiana – a forma di top sportivo - nelle quali il cotone naturale in cui sono tessute è arricchito di nano-particelle che formano una rete del tutto impercettibile per chi le indossa. La rete di nano-particelle è collegata ad una centralina delle dimensioni di una grande moneta che trasmette ad un cellulare tutti i dati di battito cardiaco, ritmo respiratorio, temperatura e movimenti corporei. Grazie alla generosità dei donatori, si potrà anche dotare gli ospedali di Messina, Milano e Siena della strumentazione per condurre al domicilio delle pazienti l'actigrafia

– il monitoraggio della qualità del sonno - mediante un rilevatore da polso. Inoltre, la sperimentazione MirtaRett ha come obiettivo di valutare, mediante un apposito questionario, il carico di stress di genitori e caregivers delle pazienti. MirtaRett condurrà anche una innovativa rilevazione di tre fattori neurotrofici presenti nel sangue che verranno utilizzati come biomarcatori per valutare gli effetti del farmaco sul riavvio dello sviluppo nervoso –nella Rett è interrotto alle fasi iniziali dello sviluppo - e sulla plasticità del sistema nervoso.

**La sperimentazione MirtaRett è registrata sui siti dei clinical trials europeo e statunitense:**

EU Clinical Trial No. 2024-515411-21-00 – CTIS sito web: <https://euclinicaltrials.eu/search-for-clinical-trials/?lang=en&EUCT=2024-515411-21-00>

NIH Clinical Trial dal titolo: “Repurposing Mirtazapine in Rett Syndrome: a Multicentric Open Label Phase II Study (MirtaRett)” Link web: <https://www.clinicaltrials.gov/>

**Centri e ricercatori coinvolti nella sperimentazione**

**Coordinatore-** Prof. Enrico TONGIORGI, dott.ssa Viviana CIRACI, Dipartimento Scienze della Vita, Università di Trieste. Contatto: [tongi@units.it](mailto:tongi@units.it)

**Partner 1** – Prof.ssa Maria Paola CANEVINI, dott.ssa Ilaria VIGANÒ, ASST Ospedale Santi Paolo Carlo - Via di Rudinì 8; Milano; e Prof.ssa Aglaia VIGNOLI (MD) Università Statale di Milano, Milano.

**Contatti Centro Rett:** Tel. 0039 02 8184.4201 Mail: [epilessia.hsp@asst-santipaolocarlo.it](mailto:epilessia.hsp@asst-santipaolocarlo.it)

**Contatti diretti medici:**

Dott.ssa Ilaria Viganò, [ilaria.vigano@asst-santipaolocarlo.it](mailto:ilaria.vigano@asst-santipaolocarlo.it)

Prof.ssa Aglaia Vignoli - [aglaia.vignoli@unimi.it](mailto:aglaia.vignoli@unimi.it)

**Partner 2** – Prof. Lino NOBILI, dott.ssa Giulia PRATO, dott.ssa Ramona Cordani – Dipartimento di Neuroscienze, Riabilitazione, Oftalmologia, Genetica e scienze materno-infantili (DINOGLI), Università di Genova, Genova. - Unità di Neuropsichiatria Infantile, IRCCS, Istituto Giannina Gaslini, Genova.

**Contatti Centro Rett:** Tel. 010 5636 2432 – Mail: [neuropsichiatria@gaslini.org](mailto:neuropsichiatria@gaslini.org)

**Contatti diretti medici:**

Dott.ssa Giulia Prato – Tel. 010 56363760 – Mail: [giuliaprato@gaslini.org](mailto:giuliaprato@gaslini.org)

Dott.ssa Ramona Cordani - [ramonacordani@gaslini.org](mailto:ramonacordani@gaslini.org)

**Partner 3** – Dott. Salvatore GROSSO, Dott. Claudio DE FELICE – Centro di Ricerca e Sperimentazione Sindrome di Rett – Unità Pediatrica/Neuropediatrica, DAI Materno Infantile – Policlinico “S. M. alle Scotte”, Siena.

**Contatti Centro Rett:** Tel. 0039 0577 586547

**Contatti diretti medici:**

Prof. Salvatore Grosso - [salvatore.grosso@ao-siena.toscana.it](mailto:salvatore.grosso@ao-siena.toscana.it)

Dott. Claudio De Felice: Tel. 0039 347 330.9885 – Mail [geniente@gmail.com](mailto:geniente@gmail.com)

Dott. Michele Minerva - [michele.minerva@ao-siena.toscana.it](mailto:michele.minerva@ao-siena.toscana.it)

**Partner 4 – Prof.ssa Gabriella DI ROSA, dott. Antonio NICOTERA** - Dipartimento di Patologia Umana dell'Adulto e dell'Età Evolutiva "Gaetano Barresi", Policlinico Universitario "G. Martino, Università di Messina, Messina.

**Contatti Centro Rett:** [neuropsichiatria.infantile@polime.it](mailto:neuropsichiatria.infantile@polime.it) Tel. 0039 090 2212911

**Contatti diretti medici:**

Dott. Antonio Gennaro Nicotera - [antoniogennaro.nicotera@polime.it](mailto:antoniogennaro.nicotera@polime.it)