



Studio pilota: valutazione di sicurezza ed efficacia dell'allenamento dei muscoli inspiratori a breve e lungo termine nei pazienti affetti da malattia di Pompe a esordio tardivo

(Safety and efficacy of short- and long-term inspiratory muscle training in late-onset Pompe disease (LOPD): a pilot study)

Stephan Wenninger S, Greckl E, Babačić H, Stahl K and Schoser B.

Journal of Neurology, 2018

La malattia di Pompe a esordio tardivo (Late-Onset Pompe Disease: LOPD) è caratterizzata da un graduale indebolimento muscolare e da un progressivo deterioramento della capacità ventilatoria dovuto principalmente al coinvolgimento dei muscoli inspiratori. L'unico trattamento autorizzato per tale patologia è la terapia enzimatica sostitutiva (alglucosidasi alfa). La Società Toracica Americana e La Società Respiratoria Europea (The American Thoracic Society/European Respiratory Society: ATS/ERS) raccomandano l'allenamento dei muscoli inspiratori (Inspiratory Muscle Training: IMT) nelle linee guida per la riabilitazione polmonare nei pazienti con sospetto o confermato danno muscolare. Il numero di studi riguardanti l'allenamento dei muscoli respiratori nella LOPD è limitato, gli autori di questo articolo hanno svolto uno studio pilota per valutare la sicurezza e l'efficacia dell'IMT in 11 pazienti con LOPD, sottoposti a terapia enzimatica sostitutiva. Il primo obiettivo è stato quello di determinare l'efficacia degli allenamenti per 6 settimane, con un graduale aumento della resistenza inspiratoria, attraverso la misurazione della massima pressione inspiratoria (MIP) in posizione eretta. Il secondo obiettivo ha compreso valutazioni spirometriche, misurazioni della resistenza muscolare in periodi di tempo definiti, ossimetria e capnometria, test di funzionalità motoria, misurazione della qualità della vita attraverso somministrazione di questionari specifici. Inoltre, al termine delle 6 settimane è stata estesa la valutazione di tutte le misurazioni dopo un periodo di 6 settimane di pausa dall'allenamento, per altre 40 settimane, per un tempo totale di studio pari a 52 settimane.

I risultati ottenuti mostrano che l'allenamento dei muscoli inspiratori è stato ben tollerato da tutti i pazienti con un incremento statisticamente significativo della MIP dopo 6 settimane di allenamento ($p = 0.024$). Inoltre si è osservato un incremento della massima pressione espiratoria (MEP) durante il periodo di non allenamento. Per quanto riguarda tutti i secondari outcome, non si sono osservate differenze significative a seguito del training. Tenendo in considerazione gli studi presenti in letteratura sull'allenamento dei muscoli respiratori in pazienti con LOPD, gli autori di questo studio hanno confermato le evidenze scientifiche.

Complessivamente, un IMT frequente migliora la MIP e di conseguenza migliora la debolezza diaframmatica. Tuttavia, né questo studio né quelli pubblicati in precedenza hanno dimostrato che questo miglioramento abbia un impatto significativo su: misurazioni spirometriche, ossimetria, capnometria e funzione motoria. L'IMT è comunque raccomandato nei pazienti con LOPD. Inoltre i dati di questo studio confermano che l'aumento della resistenza nell'allenamento non aumenta il numero di effetti collaterali correlati a esso, a condizione che sia supervisionato e che la resistenza sia adattata individualmente al grado di affaticamento percepito dal paziente.

Sono necessari nuovi studi clinici multicentrici, randomizzati e controllati, a lungo termine, effettuati su un largo numero di pazienti e con una combinazione di allenamenti di forza e resistenza muscolare per poter definire le raccomandazioni per il trattamento respiratorio nei pazienti con LOPD e valutare più accuratamente gli effetti di un frequente IMT nel lungo periodo.