

## Progetto FARM7XE439

**approvato e finanziato dall’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)**

“Study of efficacy of statins in association with bisphosphonates in  
Mandibuloacral Dysplasia”

L’obiettivo principale del progetto è stato lo studio dell’efficacia e della tolleranza di pravastatina in associazione con acido zolendronico per il trattamento di sindromi progeroidi associate a mutazioni nel gene *LMNA* e note come laminopatie. In particolare, lo studio di fase III, della durata di un anno, ha previsto il reclutamento e il trattamento farmacologico di 4 pazienti affetti da Displasia Mandibuloacrale (MADA; OMIM #248370).

Il primo paziente è stato reclutato nel gennaio 2009; il protocollo terapeutico, la raccolta dei dati e la valutazione dei risultati ottenuti dopo il trattamento farmacologico dei pazienti stessi sono stati completati a giugno 2011.

Abbiamo osservato una modulazione del metabolismo osseo e del rapporto colesterolo totale/colesterolo HDL in tutti i pazienti . Due pazienti hanno riportato eventi avversi lievi. Infine, come risultato non atteso, tutti i pazienti hanno sperimentato un notevole miglioramento del proprio stato di benessere fisico e psicologico.