

USO DEL DEFERIPRONE PER L'AF la risposta dei medici alle nostre domande

Informazioni ottenute da colloqui con Prof. Piga (Ospedale S. Anna Centro SQUID - To), Dott.ssa Longo (Ospedale S. Anna, Centro SQUID - To) Dott. Taroni (Istituto Neurologico Besta - Mi), Dott. Forni (Ospedali Duchessa di Galliera - Ge)

Si è diffusa la notizia della prescrizione del Ferriprox per uso compassionevole, presso il Centro Microcitemie di Torino, da parte dell'equipe del Prof. Piga.

Molti hanno contattato il Centro per poter eseguire la valutazione clinico-strumentale del ferro corporeo per l'eventuale prescrizione del farmaco.

Fatta la prenotazione si è chiamati per l'appuntamento in due giornate successive: la prima all'ospedale San Luigi di Orbassano (To), ove il Centro Microcitemie si è recentemente trasferito, qui i pazienti vengono sottoposti alla risonanza magnetica cardiaca; il secondo giorno presso il Centro SQUID ancora ubicato presso l'Azienda Ospedaliera OIRM-S. Anna per la quantificazione non invasiva del ferro epatico tramite SQUID, la valutazione neurologica, gli esami del sangue, ed un colloquio informativo.

La prescrizione del deferiprone a scopo compassionevole è iniziata nel marzo 2007; i pazienti in terapia eseguono scrupolosi controlli periodici.

Dal mese di Dicembre però, alcuni pazienti che hanno richiesto di accedere al Centro per la valutazione del ferro corporeo, non hanno avuto la prescrizione del farmaco, altri ancora sono stati richiamati per il rinvio della visita.

Questo ha creato confusione e disorientamento perciò abbiamo chiesto ai diretti interessati.

Prof. ANTONIO PIGA

Chiariamo: "questo è un momento di apparente confusione, ma direi più che altro un momento interlocutorio. Abbiamo intrapreso con chiarezza uno studio non controllato, non randomizzato, su 17 pazienti con Atassia di Friedreich della durata di un anno a partire da marzo 2007.

Lo studio sta procedendo piuttosto bene sia dal punto di vista dell'attuazione del protocollo, sia rispetto ai risultati attesi. Ci riteniamo abbastanza soddisfatti: si sono evidenziati rallentamenti nell'evoluzione della malattia e solo in pochi casi il trattamento è stato interrotto temporaneamente per cause diverse.

Questo studio è stato intrapreso in attesa della sperimentazione controllata, randomizzata in doppio cieco, che ora sta partendo proprio in questi giorni presso l'Istituto Besta di Milano ed in altri centri a livello mondiale.

Abbiamo molte volte sollecitato e caldeggiato l'avvio di tale sperimentazione. Facciamo parte del comitato che ha preparato il protocollo e la randomizzazione dello studio. Finalmente quindi è entrato in fase operativa il trial anche in Italia all'Istituto Besta. Come Centro abbiamo preso la decisione di rallentare la presa in carico dei pazienti, in modo da non ostacolare l'arruolamento di pazienti per lo studio in partenza, indispensabile per poter trarre conclusioni scientifiche sull'efficacia del deferiprone.

È un momento di incontro e di confronto a livello Medico Scientifico.

Pensiamo perciò di completare bene nei prossimi mesi il programma avviato e, se ci saranno risultati positivi ed i pazienti acconsentiranno, si deciderà sull'eventuale proseguimento

All'Istituto Besta lo studio coinvolgerà un gruppo di

pazienti in età pediatrica con possibile estensione anche ai pazienti adulti; negli altri centri europei saranno interessati solo pazienti adulti. Nel complesso comunque l'80% dei pazienti arruolati assumerà il farmaco ed il 20% il placebo; lo studio durerà sei mesi.

I nostri risultati (di Torino) saranno messi a disposizione dello studio multicentrico, per dare maggiore attendibilità alle informazioni raccolte. In uno studio di qualità, sono i risultati a dimostrare che funziona.

Praticamente ci muoviamo su tre fronti:

- 1) Vogliamo continuare con la somministrazione del farmaco se ci saranno risultati positivi
- 2) Vogliamo collaborare affinché lo studio randomizzato-controllato parta al meglio in Italia.
- 3) Vogliamo più estendere lo studio che stiamo conducendo. (Besta, Torino, Genova)

Ci auguriamo che si riesca ad approfondire l'argomento anche attraverso l'attivazione di forze nuove, ad esempio potrebbe essere avviata una collaborazione con un valido Centro di neurologia a Torino oppure con altri riferimenti ospedalieri.

Chiediamo pertanto di pazientare ancora per un periodo massimo di 2 mesi.

Ad alcuni che hanno fatto la visita da noi, abbiamo chiesto di fornirci un elettrocardiogramma tradizionale. Questo permetterà di evidenziare il funzionamento dei nuovi macchinari, confrontando con risultati ottenuti con i metodi tradizionali".

Il Prof Piga è disponibile a partecipare alla prossima assemblea o incontro per chiarire la posizione attualmente assunta.

Dott. FRANCO TARONI

"All'Istituto Besta stanno partendo due trial: il primo con EPO per il quale sono stati già individuati 19 pazienti. Per un anno sarà somministrato il farmaco per endovena, sarà valutata l'efficacia e, nel secondo anno, se avrà funzionato, lo studio sarà allargato a quanti vorranno accedervi. Se invece i risultati saranno negativi, lo studio sarà bloccato.

Il secondo trial è con il FERRIPROX. Sono già stati individuati i pazienti. Ne erano richiesti una decina ma si potrà arrivare forse a dodici pazienti, estendendo oltre l'età pediatrica richiesta dall'Apopharma".

Dott. GIANLUCA FORNI

"Dal prossimo Aprile avremo anche presso l'Ospedale Galliera di Genova, la possibilità di effettuare la Risonanza Magnetica Cardiaca ed abbiamo già un macchinario analogo allo SQUID che permette di evidenziare la presenza di accumulo di ferro nel fegato.

Abbiamo ottenuto dal comitato Etico l'autorizzazione ad usare il farmaco Ferriprox ogni qual volta ci sia sovraccarico di Ferro.

Pertanto possiamo collaborare con il gruppo del Prof Piga per la somministrazione del farmaco oppure creare a Genova un gruppo autonomo con neurologo oltre che ematologo, e applicare lo stesso protocollo di utilizzo del farmaco".

**Interviste effettuate da Maria Litani
Segretaria generale AISA Onlus**