

Audit civico per la distrofia di Duchenne e Becker

► Si è tenuto il primo corso di formazione dedicato alle équipes che si occuperanno di effettuare la rilevazione nei primi dodici Centri Clinici di Riferimento per la distrofia muscolare di Duchenne e Becker tra quelli che hanno aderito al Progetto di Audit Civico. La metodologia è ideata da Cittadinanzattiva, finanziata da Parent Project onlus e realizzata in collaborazione con l'Associazione Italiana di Miologia (AIM). Con questo incontro l'Audit Civico entra nella seconda fase operativa per preparare i gruppi di lavoro che vengono formati su alcune tematiche specifiche sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker e sulle modalità di somministrazione dello strumento di rilevazione civica. La terza e ultima fase del Pogetto, si concluderà con l'analisi dei questionari raccolti in tutta Italia e con l'elaborazione dei dati da parte di Cittadinanzattiva, per la realizzazione del primo Rapporto dedicato alla valutazione civica della qualità del servizio d'assistenza dedicato ai pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker. Questo lavoro consentirà di far emergere la fotografia delle attività svolte nei Centri per verificare che la presa in carico sia conforme ai livelli standard europei di trattamento e di proporre iniziative di miglioramento quando necessario. Lo scopo finale è quello di proporre ai pazienti Centri Clinici con standard omogenei sul territorio nazionale, in modo da permettere loro di essere seguiti vicino al proprio domicilio.

■ Per maggiori informazioni sull'Audit Civico e sui progetti: www.parentproject.it

Cistinosi: la malattia rara finalmente ha una cura

► Approvata dalla FDA la prima terapia per il trattamento della cistinosi, una rara malattia genetica che colpisce circa 2000 persone nel mondo e che consiste in depositi di cristalli di cistina nella cornea. Può essere causa di ipertiroidismo, diabete, epatosplenomegalia con coinvolgimento muscolare cerebrale, lacrimazione e fotofobia. Si tratta di una soluzione oftalmica di cisteamina, per la quale Sigma-Tau ha ottenuto il riconoscimento ufficiale della National Organization for Rare Disorders (NORD) statunitense.

Antiandrogeno nella terapia del carcinoma prostatico

► La stimolazione da parte del carcinoma prostatico della produzione di testosterone permette una ripresa della crescita tumorale, rendendo inefficace la terapia ormonale classica. La scoperta del meccanismo ha permesso la sintesi di abiraterone, un inibitore dell'enzima CYP17, elemento chiave della sintesi del testosterone. Il farmaco si è dimostrato in grado di prolungare la vita di questi pazienti in fase metastatica, e di migliorarne la qualità di vita: riduce, rispetto ai pazienti in trattamento tradizionale, di più del 25% il rischio di morte e aumenta la sopravvivenza del 40%. Abiraterone si somministra per via orale tramite compresse. È stato approvato nell'aprile 2011 dalla FDA e nel settembre 2011 dall'EMA per il trattamento del Ca prostatico resi-

stente alla terapia ormonale classica in pazienti che hanno già ricevuto un trattamento chemioterapico con docetaxel. Da aprile di quest'anno è disponibile anche in Italia con la medesima indicazione.



Neutralità cardiovascolare per insulina glargine

► L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) ha espresso parere favorevole all'inclusione nel Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto (RCP) di insulina glargine dei dati di sicurezza ed efficacia ottenuti nello studio sugli outcome cardiovascolari (CV) di insulina glargine, denominato ORIGIN (Outcome Reduction with Initial Glargine INtervention). ORIGIN è uno studio clinico della durata di oltre 6 anni, che ha randomizzato oltre 12.500 partecipanti ad alto rischio CV, con diabete mellito di tipo 2 di recente diagnosi, alla monosomministrazione giornaliera di insulina glargine versus un trattamento standard (trattamento limitato a 0/1 antidiabetico orale).

Insulina glargine non ha modificato il rischio relativo di malattia CV e mortalità CV rispetto alla terapia standard, e questo è un dato di sicuro interesse nell'attuale contesto di crescente dibattito sulla sicurezza cardiovascolare dei farmaci per il trattamento del diabete mellito.

