



*Uniti nella fedeltà  
e nella diversità*

## **COORDINAMENTO MONARCHICO ITALIANO**

### **IL PORTAVOCE**

#### ***Comunicato stampa***

5 settembre 2009

#### **Il CMI a Roma**

Il CMI ha partecipato, oggi a Roma, alla presentazione di un'importante novità nel panorama della lotta alle malattie neuromuscolari, non solo dal punto di vista medico-scientifico, ma anche da quello sociale, perché renderà il paziente un protagonista attivo della ricerca biomedica, al fianco di ricercatori e clinici.

Si tratta del *Registro dei Pazienti Neuromuscolari*, creato per raccogliere dati anagrafici, genetici e clinici dei pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker, da amiotrofia spinale e da sclerosi laterale amiotrofica. L'iniziativa entrerà a far parte anche di un registro internazionale, consentendo la condivisione dei dati a livello europeo. Finora non esisteva una panoramica completa e dettagliata su quanti siano questi pazienti in Italia e sulle loro condizioni cliniche: si stima che in totale siano almeno 10.000.

Disporre di questi dati è però fondamentale per ricercatori e clinici impegnati nella messa a punto di terapie: infatti, maggiori sono i dettagli a disposizione - soprattutto se raccolti con criteri standardizzati e omogenei come quelli adottati anche a livello internazionale - maggiore è la probabilità di disegnare uno studio clinico di successo, che possa dare cioè risultati attendibili. Grazie dunque a questo strumento - costantemente aggiornato - i medici impegnati nella pianificazione di sperimentazioni cliniche saranno in grado di contattare nel minor tempo possibile tutti i pazienti potenzialmente idonei agli studi in preparazione. E il fattore tempo è un elemento molto importante per chi aspetta una cura. A garanzia della tutela dei diritti dei pazienti e della correttezza procedurale, le attività del registro saranno poi sotto il controllo di un Comitato Etico. I dati resi disponibili dai pazienti saranno depositati in un database tramite una procedura che tutela la privacy e la sicurezza, secondo i più rigorosi criteri disponibili. La consultazione delle informazioni da parte di ricercatori o altri utenti sarà regolata dal Comitato Etico, che valuterà le richieste ricevute per la congruenza scientifica e per gli aspetti etici.

Tale Registro non si limita al contesto italiano: è parte anche di un registro internazionale coordinato da TREAT-NMD, la rete europea sulle malattie neuromuscolari, alla quale saranno trasmessi, tutelando la privacy dei soggetti, i dati dei vari registri nazionali: ora sarà quindi possibile condividere le informazioni a livello europeo e favorire lo sviluppo di studi clinici multicentrici internazionali. Si tratta perciò di un'importante novità nel panorama della lotta alle malattie neuromuscolari, non solo dal punto di vista medico-scientifico, ma anche da quello sociale, perché rende il paziente un protagonista attivo della ricerca biomedica, al fianco di ricercatori e clinici.



Eugenio Armando Dondero