



---

COMITATO RUDI - ONLUS

[www.fagofar.org](http://www.fagofar.org)

***Tavolo di lavoro (Workshop) delle Associazioni dei pazienti per l'Atassia di Friedreich (AF) 30-31 Marzo 2007***

GoFAR ha organizzato un workshop delle principali associazioni che supportano la ricerca scientifica sull'Atassia di Friedreich.

La maggior parte delle associazioni mondiali invitate ha aderito: FARA- *Friedreich's Ataxia Research Alliance* (USA), FARA Australiasa-*Friedreich's Ataxia Research Alliance* (Australia & New Zealand), Ataxia UK (Great Britain), FASI-*Friedreich's Ataxia Society Ireland* (Ireland) Euro ATAXIA (EU), AFAF- *Association Francaise de l'Atassie de Friedreich* e certamente GoFAR-*Friedreich's Ataxia Research* (Italy).

Il workshop si terrà a Torino (Italia) il 30-31 Marzo 2007. I lavori avranno inizio venerdì alle ore 13.00 fino alle ore 19.00 e sabato dalle ore 8.30 alle ore 19.00

Obiettivo del workshop è quello di discutere gli aspetti ed i problemi inerenti i differenti approcci clinici per l'AF, allo scopo di indirizzare alla comunità dei ricercatori le necessità dei pazienti. Noi crediamo che oggi sia molto importante evidenziare la posizione dei pazienti, le linee guida delle associazioni dei pazienti, le priorità, le aspettative e anche le modalità di come le sperimentazioni cliniche debbano essere condotte.

L'idea è quella di istigare costruttive e trasparenti relazioni tra le organizzazioni dei pazienti, i ricercatori e le case farmaceutiche e fare in modo che i pazienti risultino gli unici esperti della loro patologia (per es. condizioni di vita correlate alla malattia, aspettative dei pazienti, ciò che essi accettano o rifiutano).

***Programmazione del lavoro:***

a. Ogni associazione provvederà a preparare un breve riassunto dei progetti finanziati di recente e ciò dovrebbe includere i seguenti punti:

1. Gruppi di ricerca finanziati e fondi stanziati
2. Progressi della ricerca entro i termini previsti
3. Risultati riportati dai ricercatori, impressioni, commenti e opinioni personali.

Lo scopo di questa sezione è quello di monitorare le linee di ricerca correnti finanziate e valutare la distanza esistente tra le aspettative e l'attuale stato della ricerca medesima.

E' molto importante ricavare il totale dei fondi stanziati per ogni progetto allo scopo di valutare la correlazione esistente tra soldi/sforzi e risultati ottenuti. Ciò può risultare di aiuto per orientare i futuri finanziamenti.

b. Altre “calde e aperte” problematiche che richiedono una posizione comune di tutte le associazioni dei pazienti dell' AF sono:

1. *Idebenone* trial multicentrico controllato in doppio cieco con il placebo organizzato dalla Santhera
2. Trial multicentrico controllato in doppio cieco con il placebo con il chelante orale (*deferiprone*)
3. Opportunità di un test clinico con il *pioglitazone*
4. Trial clinico con *EPO*
5. *EPI-A0001* nel programma RAID (intervento e sviluppo di rapido accesso)
6. Opportunità ed efficacia della partecipazione dei pazienti a trials multicentrici controllati in doppio cieco con il placebo
7. Come le associazioni di volontariato dei pazienti possano contribuire ad un più rapido passaggio di nuovi composti, quali le HDACi, in farmaci agendo presso le case farmaceutiche, gli sponsor accademici e le Agenzie mediche di regolazione.

Lo sviluppo di una medicina è un processo lungo e difficile. Possono essere necessari molti anni dal momento in cui una molecola è identificata come potenzialmente attiva per combattere una malattia a quando un trattamento o farmaco diventi disponibile per i pazienti. Una parte essenziale in questo processo è il trial clinico nel quale le organizzazioni dei pazienti hanno un naturale interesse.

c. E' necessario produrre una **Richiesta scritta** da indirizzare ai ricercatori il più presto possibile con suggerimenti, priorità e raccomandazioni.

Il workshop richiede di prendere decisioni operative, non solo per quanto attiene i finanziamenti, ma anche per esprimere il punto di vista delle associazioni dei pazienti a riguardo dello sviluppo e velocizzazione della ricerca clinica.

Speriamo che ciò possa rappresentare una nuova opportunità per chiunque lotti contro l' AF, che incontri l' interesse di tutti e che si compia un effettivo e fruttuoso lavoro.