



Cari amici di AICARM

ci sono novità importante sul fronte dei farmaci. Mentre attendiamo il ritorno nelle farmacie del Nadololo, che secondo quanto indicato dall' Agenzia Italiana del Farmaco dovrebbe essere imminente, è già disponibile per "l'uso compassionevole" del Mavacamten. Ciò significa che il farmaco è già disponibile e può essere fornito dal produttore a un determinato paziente in attesa che diventi rimborsabile. Il professor Iacopo Olivotto fa il punto della situazione e illustra le caratteristiche e lo stato della sperimentazione su questo medicinale.

Per quanto riguarda l'attività della nostra Associazione, dobbiamo registrare con soddisfazione il potenziamento del servizio dei volontari presso l'Unità di Careggi. Ne parla uno di loro, Valerio Pelini, nostro vicepresidente. Non è banale ricordare come sia importante il contatto personale con il paziente soprattutto nel momento iniziale della diagnosi che gli cambia la vita. Il lavoro dei volontari sul campo integra il servizio Cuori in Ascolto, che offre un primo essenziale contatto a chi ha bisogno di supporto immediato.

Buona lettura.

Il Presidente

**Prof. Franco Cecchi**

## **Il braccio operativo di Aicarm, Intervista a Valerio Pelini**

**Di Francesca Conti**

*Aicarm opera nel contesto di una regione ricchissima sotto il profilo del volontariato, che è un enorme capitale sociale. Presso l'unità di diagnosi e cura delle cardiomiopatie di Careggi aumentano i volontari che si mettono a disposizione dei pazienti che affrontano la prima diagnosi o vi si recano per una visita di controllo. Li informano e si mettono a loro disposizione per ogni esigenza. E' un servizio della stessa natura di Cuori in Ascolto, ma con un contatto umano diretto.*

**Che ruolo hanno i volontari Aicarm a Careggi? Come si inserisce nelle attività di Aicarm il volontariato presso l'ambulatorio per le cardiomiopatie? E qual è il rapporto con lo sportello telefonico Cuori in ascolto?**

A Careggi esiste un'unità di diagnosi e cura delle cardiomiopatie e noi abbiamo deciso, d'intesa con i medici che gestiscono questa attività, di attivare anche un servizio di supporto ai pazienti che si presentano per le visite ambulatoriali. Questa attività si esplica fondamentalmente in un'azione di informazione che i nostri volontari fanno nei confronti di queste persone che arrivano per una prima visita della quale viene fuori la diagnosi oppure per le visite di controllo.

Questa attività si inserisce in quel filone delle attività di Aicarm di supporto ai pazienti, che è una delle finalità più importanti dell'associazione.

**Come si inseriscono questi volontari nell'ambulatorio a Careggi?**

Noi volontari siamo in ambulatorio il martedì e il giovedì, il martedì anche nel pomeriggio e abbiamo una stanza a disposizione e dei materiali.

Abbiamo l'elenco delle visite dei pazienti che ci viene fornito alla Unit delle cardiomiopatie. Noi ci presentiamo ai pazienti che sono in attesa della visita per illustrare qual è l'attività dell'associazione, quali sono le sue finalità, i servizi offerti, partendo dal presupposto che è un'associazione di pazienti e di medici che ha la finalità di migliorare qualità della vita dei pazienti e dei loro familiari.

Questa attività è un Cuori in ascolto fatto con diversa modalità. Nel caso di Cuori in ascolto siamo noi che riceviamo la telefonata, in questo caso noi siamo coloro che si propongono e si presentano ai pazienti.



**Come viene percepita e accolta presso l'ambulatorio questa presenza di Aicarm? Che tipo di sinergia si crea?**

Dal punto di vista del rapporto con i professionisti della Unit vi è una perfetta sintonia, abbiamo programmato insieme l'attività. C'è un rapporto di collaborazione molto stretto, nel senso che i pazienti che vengono convocati per la visita ricevono l'informazione, che ci saranno a loro disposizione i volontari di Aicarm.

La sinergia è forte, il lavoro che fa la Unit è un lavoro di diagnosi e di cura, il lavoro che facciamo noi è un lavoro di supporto al paziente e di disponibilità per tutte le esigenze che può manifestare. I pazienti hanno un atteggiamento di grande disponibilità e attenzione quando

noi ci presentiamo. Il riscontro è assolutamente positivo, come lo è quello di Cuori in ascolto, dove ormai siamo a centinaia di contatti. Nella maggioranza dei casi il paziente o il familiare che telefona è soddisfatto del tipo di supporto che riceve.

Anche presso lo sportello succede che il paziente sia accompagnato, quindi la presentazione dell'associazione è rivolta sia al paziente che al familiare. >>



### **Qual è la tipologia dei volontari? Quali sono le motivazioni del loro impegno nel volontariato?**

Siamo quattro volontari per adesso, che stanno per due giorni in ambulatorio, e ci occupiamo di tutte le tipologie di cardiomiopatie. Era rimasta fuori la cardiomiopatia dilatativa ed è per questo che abbiamo deciso di aumentare la presenza. Tre di questi sono pazienti, la quarta è una volontaria.

Le motivazioni dell'attività di volontariato sono quelle che ci hanno portato ad aderire ad Aicarm. È importante però ribadire che non facciamo nessuna attività che abbia contenuto né di diagnosi né di cura ma solo un'attività di supporto. Questo è lo scopo di Aicarm: migliorare la qualità della vita del paziente e dei suoi familiari.

### **Nella malattia c'è anche una dimensione di solitudine, tutto questo serve anche a non far sentire soli i pazienti**

Spesso capita che la prima visita produca la diagnosi e la diagnosi è uno tsunami perché la cardiomiopatia ha anche un risvolto genetico dato che può essere trasmessa. Il supporto di Aicarm è legato anche alle problematiche che la diagnosi crea a livello psicologico.

### **Stiamo parlando di questo caso specifico che coinvolge Aicarm e Careggi, ma per fortuna il volontariato è molto diffuso in Toscana. Possiamo dire che il volontariato fa girare il paese?**

La Toscana ha numeri importanti da questo punto di vista. Nella nostra regione ci sono 27.000 associazioni di volontariato e 500.000 volontari su una popolazione di tre milioni e mezzo di persone, quindi 71 volontari ogni diecimila abitanti mentre a livello nazionale ce ne sono 55.

La Toscana è terra di volontariato e di solidarietà, sensibile ai temi della giustizia sociale.

Aicarm è dentro il contesto di una regione ricchissima sotto il profilo del volontariato e questo è indubbiamente un enorme capitale sociale. Il volontariato è la parte bella del paese, l'Italia non è soltanto scandali e inefficienza, ma anche solidarietà. Questa è l'Italia che funziona e dobbiamo esserne orgogliosi e consapevoli.

## **Nuovi farmaci. Intervista al professor Iacopo Olivetto di Francesca Conti**

*Mavacamten e Aficamten sono i due nuovi farmaci per la CMI. Mavacamten è entrato nella fase compassionevole mentre Aficamten è un po' più indietro nel processo di sperimentazione. Uso compassionevole significa che il farmaco è già disponibile e si chiede alla ditta produttrice di fornirlo ai pazienti dietro prescrizione, in attesa che il farmaco diventi rimborsabile. È importante in questa fase che il farmaco sia utilizzato da mani esperte*

### **A che punto sono gli studi clinici con i farmaci Mavacamten e Aficamten?**

Gli studi clinici con Mavacamten sono completati per quanto riguarda la registrazione del farmaco per le cardiomiopatie di tipo ostruttivo. In molti paesi per i pazienti con ostruzione il farmaco è già disponibile e rimborsabile, in Italia sarà ancora necessario un anno per avere la rimborsabilità. Nel frattempo possiamo procedere con l'uso compassionevole per i pazienti con indicazioni precise. Invece, per le forme non ostruttive è in corso un grosso studio che si chiama Odissey che finirà tra un paio d'anni, abbiamo finito adesso l'arruolamento con tempi molto buoni e appena l'ultimo paziente avrà finito il trattamento ci vorranno un paio d'anni per avere i risultati. Per quanto riguarda Aficamten lo studio sulle forme ostruttive è finito e verrà presentato in primavera, per il non ostruttivo lo studio è in corso e deve essere completato.

### **Possiamo spiegare cosa si intende per uso compassionevole? Quanti pazienti sono o saranno coinvolti?**

L'uso compassionevole non è più sperimentazione, significa che il farmaco è già disponibile e si chiede alla ditta produttrice di fornirlo ai pazienti con indicazione in attesa che il farmaco diventi rimborsabile.

Al momento non c'è nemmeno un paziente in Italia perché questa fase è partita a gennaio, noi stiamo mandando le schede con i dati dei pazienti che reputiamo idonei e il produttore deve dare la sua approvazione. A quel punto ci verrà inviato il farmaco nominale per i vari pazienti. È un impegno grosso, richiede molti controlli e molta burocrazia. Ci attendiamo a livello italiano un centinaio di pazienti, ma in Italia non c'è un tetto all'ingresso di pazienti per l'uso compassionevole. È importante in questa fase che il farmaco sia utilizzato da mani esperte perché un farmaco nuovo se dato al paziente sbagliato potrebbe creare problemi, sarebbe un peccato rischiare così di rovinare la reputazione a un farmaco che invece ha una grande potenzialità.

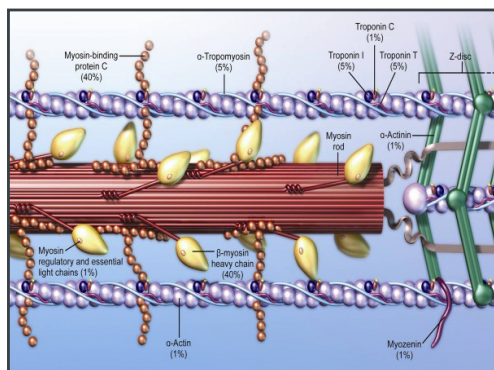
Ci sarà un registro italiano che collezionerà i dati dei pazienti e che sarà coordinato dall'Università di Firenze e un board che comprende una decina di centri italiani dove lavorano gli esperti della patologia. Ci sono già una ventina di centri che hanno chiesto di partecipare, si potrebbe arrivare a una quarantina.



### **Qual è la differenza di azione dei due farmaci? In futuro ce ne saranno altri nuovi?**

La differenza più importante è che Mavacamten ha un'emivita molto lunga, circa nove giorni. Questo vuol dire che per avere un effetto pieno bisogna aspettare almeno un mese e quindi ha anche una titolazione anche lenta, il processo per arrivare alla dose ottimale per il paziente può durare anche sei mesi. Inoltre può avere alcune interazioni con alcuni farmaci come farmaci antifungini e antiretrovirali. >>

Per concludere, è stata somministrata per la prima volta una terapia genica a un paziente ipertrofico, un progetto davvero ambizioso il cui risultato ancora è molto difficile da prevedere.



Il problema è sempre quello della sicurezza perché possono succedere degli eventi che creano degli allarmi, ma a questo punto è improbabile perché abbiamo già 5 anni di esperienza ma è presto per cantare vittoria da questo punto di vista. Anche nelle linee guida questi farmaci sono classificati come classe 2 e non 1 come i farmaci più vecchi e meno efficaci. L'azienda può sempre bloccare la produzione.

Dare un'informazione corretta è molto importante. La prima cosa da capire è che ricevere la diagnosi non vuol dire automaticamente aver accesso al farmaco perché il farmaco ha delle indicazioni molto precise per sottogruppi di pazienti che hanno le stesse caratteristiche dei pazienti dello studio clinico. È importante non creare false aspettative. Il secondo punto è che l'accesso al farmaco consta di un protocollo molto complesso e di un'importante organizzazione che non tutte le strutture sono in grado di garantire, soprattutto in questo momento in cui le strutture sanitarie sono oberate. Ma quanto abbiamo visto finora con le sperimentazioni ci dà grandi speranze.

Le raccomandazioni specifiche per diverse fasce di età tengono conto delle esigenze fisiologiche in rapida evoluzione durante la crescita e lo sviluppo. Ad esempio, i neonati richiedono una quantità di acqua proporzionale al loro peso corporeo, mentre bambini e adolescenti hanno esigenze diverse a seconda dell'età e del sesso. »



Vi sono poi condizioni ambientali che possono aumentare il fabbisogno di acqua, come temperature più elevate e livelli di attività fisica più intensi. Durante l'estate o in circostanze di maggiore sudorazione, potrebbe essere necessario aumentare l'assunzione di acqua per mantenere una corretta idratazione. L'acqua svolge un ruolo cruciale nella salute cardiaca e circolatoria, con diversi benefici legati al suo consumo adeguato. L'acqua ha effetti positivi sul cuore riducendo la viscosità del sangue, regolando le attività cellulari e riducendo i livelli di colesterolo.

Le persone che assumono farmaci per l'ipertensione devono prestare particolare attenzione alla pressione arteriosa, soprattutto durante l'esposizione prolungata al caldo. In caso di valori anomali, è consigliabile consultare il medico per eventuali aggiustamenti della terapia.

In conclusione, seguire le linee guida dell'EFSA e adattare la quantità di acqua in base alle esigenze individuali e alle condizioni ambientali è un modo efficace per garantire una corretta idratazione e contribuire alla salute generale e a quella del cuore.

## Notizie AICARM

### A Milano Corso di formazione per Pazienti esperti in malattie ereditarie del miocardio

Si svolgerà a Milano il 23 marzo 2024 il corso di formazione per Pazienti esperti in malattie ereditarie del miocardio. Nel corso si approfondiranno concetti di fondamentale rilevanza concernenti la diagnosi, le terapie e lo stile di vita per i pazienti con cardiomiopatia. Sarà data la possibilità ai presenti di porre quesiti e condividere esperienze; ed inoltre, saranno aperti dibattiti ed ulteriori approfondimenti sulle opzioni terapeutiche farmacologiche inerenti alle cardiomiopatie e le procedure chirurgiche specifiche, come la miectomia e la plastica mitralica. La sede è l'Ospedale San Luca - Istituto Auxologico Italiano, Piazzale Brescia, 20 - 20149 - Milano - Sala Riunioni Piano Ottavo. Il corso è gratuito, finanziato dalla Associazione AICARM APS ed è svolto in collaborazione con l'Ospedale San Luca - Istituto Auxologico Italiano.

Per maggiori informazioni o iscriversi al corso visitate la pagina sul sito web di AICARM:

SOSTIENI  
**AICARM**  
con una donazione



Una donazione è un gesto semplice che può fare la differenza. Con una donazione offri ad AICARM la possibilità di sviluppare progetti ed iniziative per migliorare la qualità della vita a chi è affetto da Cardiomiopatia e ai loro familiari.

Sul nostro sito troverai tutte le indicazioni per sostenere AICARM, scegliere il metodo di pagamento preferito e ottenere le agevolazioni fiscali previste.

Visita la pagina [www.AICARM.it/donazioni/](http://www.AICARM.it/donazioni/) oppure inquadra il codice qui a fianco con la fotocamera del tuo cellulare.



**AICARM APS**

PER I PAZIENTI CON CARDIOMIOPATIA  
ED I LORO MEDICI

Via dello Studio 5, 50122 Firenze

055 291889 - 371 453 3840

[www.AICARM.it](http://www.AICARM.it) - [info@AICARM.it](mailto:info@AICARM.it)

**AICARM APS** può richiedere finanziamenti per realizzare progetti di ricerca scientifica anche in collaborazione con altre Fondazioni, Università ed Ospedali.

I fondi saranno principalmente utilizzati per il rimborso di spese sanitarie o di viaggio per pazienti bisognosi, l'erogazione di Borse di studio per personale sanitario (Laureati in Medicina e Scienze infermieristiche) e l'acquisto di strumentazione sanitaria destinata ad Ospedali, Università e Centri di ricerca IRCCS.

Secondo il suo Statuto, l'Associazione **AICARM APS** si finanzia anche con:

- i contributi degli associati, donazioni, lasciti e contributi di natura non corrispettiva
- l'assegnazione del **5 per mille (CF 94288930483)** nel modulo della Dichiarazione dei redditi

Realizzato con il contributo di:



Abbiamo bisogno anche del tuo aiuto:  
sostieni **AICARM** con una donazione.

Visita il sito [www.AICARM.it](http://www.AICARM.it)

