

Standard internazionali per i Registri e le biobanche per la CIDP

Data: 12-14 Maggio 2017
Numero: 231
Città Naarden, The Netherlands

Organizzatori:

dr. Filip Eftimov (Amsterdam, The Netherlands), Prof. Dr. Yusuf Rajabally (Birmingham, United Kingdom), dr. Luis Querol (Barcelona, Spain).

Descrizione del workshop:

Il 231° workshop della ENMC dal titolo “Standard internazionali per i Registri e le biobanche per la CIDP” si è tenuto a Naarden, Olanda, dal 12 al 14 maggio 2017. Un gruppo multidisciplinare di 24 persone provenienti da 13 nazioni (Olanda, Regno Unito, Stati Uniti d’America, Francia, Italia, Spagna, Belgio, Danimarca, Malesia, Serbia, Germania, Curacao e Australia) ha partecipato al workshop. Il gruppo comprendeva ricercatori compresi alcuni giovani, clinici esperti sulle neuropatie infiammatorie e un rappresentante dei pazienti della “Spierziekten Nederland” e della Fondazione Internazionale GBS/CIDP.

Background

La poliradicoloneuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) è una neuropatia cronica infiammatoria che può provocare un grave disabilità. La CIDP è una malattia alquanto eterogenea che può avere diverse presentazioni cliniche. Inoltre nonostante vi siano diversi set di criteri diagnostici non tutti i pazienti con CIDP riescono ad essere identificati. Nonostante vi siano numerose terapie di provata efficacia in questa malattia al momento non ci sono parametri clinici e biologici che possano predire la risposta al trattamento, l’attività della malattia e la sua evoluzione. Sono pertanto necessarie ulteriori ricerche per definire i criteri clinici ed elettrofisiologici della CIDP e delle sue varianti cliniche e per definire il ruolo di possibili nuovi marcatori di malattia sia strumentali, quali la ecografia, sia biologici per confermare la diagnosi di malattia, monitorare la sua attività e per predire la risposta alla terapia e la sua prognosi a lungo termine.

Allo scopo di affrontare questi aspetti della ricerca è necessario condurre studi prospettici su una ampia casistica di pazienti con CIDP ben definita con un lungo periodo di follow-up raccogliendo dati clinici ed elettrofisiologici di ottima qualità e ben standardizzati e materiale biologico dai pazienti studiati.

Negli ultimi anni sono stati avviati numerosi registri nazionali sulla CIDP allo scopo di raccogliere in modo sistematico i dati da questi pazienti. Purtroppo anche nei paesi più grandi questi registri possono non essere in grado di raccogliere un numero sufficientemente grande di paziente per risolvere le principali problematiche sopra esposte. Un registro internazionale che permetta di includere un numero molto ampio di pazienti di pazienti è pertanto necessario per ottenere dei validi modelli prognostici che permettano di predire la risposta alla terapia in ciascun paziente con CIDP.

Finalità del workshop:

Raggiungere un consenso internazionale sulla inclusione di pazienti con CIDP, sulla definizione di una scheda di raccolta dati, e sul materiale biologico dei pazienti da raccogliere.

Risultati:

Abbiamo confrontato otto registri nazionali attualmente attivi per verificare la infrastruttura e la tipologia di dati clinici, diagnostici e biologici raccolti.

Si è raggiunto un consenso su:

- Criteri di inclusione: sospetto clinico di CIDP. Esclusione: altre diagnosi.
- Necessità di includere in modo esteso i parametri clinici e diagnostici dei pazienti al fine di permettere una migliore caratterizzazione clinica e diagnostica dei pazienti anche se i requisiti minimi di inclusione devono essere ancora definiti.
- Durata flessibile del follow-up dei pazienti anche se si è ritenuto che il periodo debba essere almeno di due anni. Si è concordato che le valutazioni minime durante il follow-up debbano includere in tutti i pazienti: a) forza muscolare valutata con il vigorimetro, fatica, disabilità (INCAT e RODS), qualità della vita (EuroQol) e b) una valutazione della evoluzione della compromissione da parte della malattia basata sulle caratteristiche individuali di ciascun paziente stabilita discrezionalmente da ciascun curante.
- Un protocollo minimo per lo studio elettrofisiologico è stato proposto.
- La raccolta di materiale biologico (siero, liquido cefalorachidiano, biopsie di nervo) deve avvenire secondo protocolli standardizzati prevedendo almeno la raccolta di siero al momento della inclusione. Questo materiale verrà conservato presso i centri partecipanti oppure presso i centri di coordinamento.
- Infrastruttura: verrà sviluppato un registro centrale (INCbase) dove i dati dei vari registri potranno essere inseriti. Un serie di requisiti per il registro centrale è stato definito. I registri correnti continueranno comunque la loro attività.
- Tutti i centri mantengono la proprietà dei propri dati e potranno chiedere di ritirarli dal registro centrale INCbase.

Proposta di lavoro:

- Gruppo di lavoro per: A) combinare i dati inclusi negli attuali registri sulla CIDP; B) armonizzare i protocolli di tali registri; C) organizzare un registro centrale.
- Il gruppo di lavoro ha fissato un programma temporale per lo sviluppo e la finalizzazione di questo registro al fine di poter includere in esso il primo nuovo paziente con CIDP entro marzo 2018.
- Le informazioni su questa proposta di consenso e sul protocollo del registro verranno presentate e discusse a luglio al prossimo congresso della Peripheral Nerve Society..

Partecipanti:

Dr. S. Reddel (Sydney, Australia), Prof. dr. J. Vallat (Limoges, Francia), Prof. dr. J. Antoine (Saint-Etienne, Francia), Dr. J. Allen (Minnesota, USA), Dr. I. Basta (Belgrade, Serbia), Prof dr. A. Uncini (Chieti, Italia), Dr. K. Doppler (Wurzburg, Germania), Dr. R. Hadden (London, UK), Dr. T. Harbo (Aarhus, Danimarca), Dr. H. Lehmann (Cologne, Germania), Prof. dr. P. Van den Bergh (Brussels, Belgio), Prof. dr. D. Cornblath (Baltimore, USA), Dr. S. Goedee (Utrecht, Olanda), Dr. M. Lunn (London, Regno Unito), Dr. I. Merkies (Maastricht, Olanda, Curacao), Prof. dr. E. Nobile-Orazio (Milan, Italia), Prof. dr. B. Jacobs (Rotterdam, Olanda), Mrs. P. Blomkwist-Markens (GBS/CIDP Foundation International, rappresentante dei pazienti), Drs. FL. Hiew (Kuala Lumpur, Malesia), Drs. M. Adrichem (PhD-studente Amsterdam, Olanda), Drs. C. Bunschoten (studente PhD, Rotterdam, Olanda), Prof. dr. Y. Rajabally (Birmingham, Regno Unito), Dr. L. Querol (Barcelona, Spagna) e Dr. F. Eftimov (Amsterdam, Olanda).
Un report complete di questo ENMC workshop verrà pubblicato su Neuromuscular Disorders.