

## Secondo Webinar "Covid-19 and Duchenne Muscular Dystrophy"

Erano presenti al webinar due clinici: Jarod Wong, endocrinologo dell'Università di Glasgow e Annamaria De Luca, farmacologa dell'Università di Bari, che hanno risposto a una serie di domande relative soprattutto all'impiego di steroidi e di altri farmaci o integratori.

In una breve introduzione, Elizabeth Wroom ha confermato che al momento ancora non sono stati registrati casi di contagi da COVID-19 in pazienti Duchenne o Becker a livello mondiale. Le indicazioni principali provenienti dal webinar precedente (riassunte in un documento di 15 pagine scaricabili al [seguente link](#)) sono di evitare i contatti con l'esterno e non cambiare il proprio regime farmacologico.

Elizabeth comunica che sia la FDA che l'EMA hanno fornito delle indicazioni rispetto ai trial clinici in questo periodo di emergenza. Queste indicazioni sono state inserite sul sito del WDO, si stanno inoltre raccogliendo indicazioni dalle company e relative a eventuali cambiamenti nei trial clinici.

La prima serie di domande sono state rivolte al Dott. Wong e sono relative all'impiego steroidi. Di seguito i punti salienti:

- Si sa che gli steroidi hanno un beneficio a livello di danno muscolare, tuttavia potrebbero avere degli effetti sull'abbassamento del sistema immunitario, questo è anche il motivo per cui le vaccinazioni sono assolutamente raccomandate in questi pazienti. Tuttavia, in generale, non sono state osservate infezioni inusuali e gravi nei pazienti DMD sotto steroidi.
- Allo stato attuale non ci sono casi di pazienti DMD con infezione da COVID-19. In teoria è possibile che se infettati, l'infezione possa essere più grave, ma non lo sappiamo e comunque le manifestazioni più gravi potrebbero essere dovute ad altri fattori concomitanti presenti nei pazienti.
- Gli steroidi non vanno assolutamente interrotti anche perché se ciò avvenisse ci può essere un serio rischio per la salute (insufficienza surrenalica). Questo è anche il motivo per cui quando abbiamo bisogno di interrompere gli steroidi è necessario farlo in modo molto graduale, nel corso di diversi mesi e si ricorre a forme di steroidi iniettabili nel caso di vomito o diarrea.
- In generale, ragazzi più grandi che assumono dosi più basse di cortisone, potrebbero aver bisogno di aumentare le dosi se si ammalano, ma sempre e solo dietro indicazione del clinico di riferimento.
- In caso di emergenze che obblighino il paziente a recarsi in ospedale non bisogna mai dimenticare di informare i medici che si è in presenza di un paziente in trattamento da lungo tempo con steroidi segnalando, se necessario, il protocollo di P.J. Nicholoff per gestire

adeguatamente una eventuale crisi surrenalica. Ricordate la semplice parola LAST, che è in realtà la prima da dire in situazione di emergenza:

- **L**ong term steroid treatment (trattamento con steroidi da lungo tempo)
- **A**drenal suppression (soppressione surrenalica)
- **S**teroid dependent (dipendente da steroidi)
- **T**reat with extra steroid when unwell (somministrare dose aggiuntiva di steroide in caso di malessere)

La seconda serie di domande sono state rivolte alla Dott.ssa De Luca e sono relative all'impiego di integratori e altri farmaci. Di seguito i punti salienti:

- Non c'è indicazione ad assumere integratori per rafforzare il sistema immunitario. Tutti i minerali e le vitamine di cui abbiamo bisogno si assumono mediante una dieta ricca e variata che è sempre indicata.
- Nel caso in cui ci siano deficit specifici, come ad esempio carenza di vitamina D, spesso presente nei pazienti Duchenne, la somministrazione va seguita come da indicazione del clinico di riferimento.
- Gli integratori potrebbero avere delle interazioni e degli effetti indesiderati. Inoltre andrebbero acquistati solo attraverso le farmacie, altrimenti potrebbero avere un contenuto non appropriato del principio attivo e potrebbero avere dei contaminanti. Ciò è vero anche per la melatonina, il cui utilizzo va scoraggiato a meno che non sia indicato dal clinico di riferimento.
- Gli steroidi potrebbero avere un effetto positivo sul COVID-19, in quanto vanno ad agire contrastando la tempesta di citochine che potrebbe avere luogo in seguito all'infezione.
- Anche gli ACE inibitori non vanno interrotti perché non ci sono evidenze scientifiche che supportino una maggiore suscettibilità all'infezione o un'eventuale forma più severa.
- In caso di febbre è meglio utilizzare il paracetamolo a dosi basse e per brevi periodi, questo perché è importante essere consapevoli dello stato febbrile perché è uno dei sintomi riconducibili alla diagnosi di COVID-19. Sarebbe meglio non utilizzare i FANS (farmaci antinfiammatori non steroidei) anche se in realtà non ci sono evidenze chiare. Ma comunque per i pazienti Duchenne/Becker gli antinfiammatori in generale non sono raccomandati per via dell'interazione con gli steroidi.
- Non ci sono al momento farmaci specifici per trattare l'infezione da COVID-19. Studi in corso stanno valutando l'efficacia di vari farmaci:

- Cloroquina, un antimalarico che potrebbe ridurre l'ingresso del virus nelle cellule ma che ha effetti collaterali importanti sulla funzionalità cardiaca, di rilievo anche nella DMD/BMD;
- Antivirali usati verso altri virus (HIV, Ebola) che hanno caratteristiche biologiche simili al coronavirus (ad es. ribavirina, ramdesivir);
- Alcuni antibatterici per combattere eventuali infezioni opportunistiche concomitanti;
- Inibitore dell'interleuchina 6, utilizzato per l'artrite reumatoide, per controllare la tempesta di citochine che si potrebbe scatenare in seguito a infezione da virus;
- Si sta inoltre lavorando per sviluppare un vaccino per il COVID-19 e si sta valutando l'impiego del plasma derivato dai pazienti guariti. Siamo in presenza comunque di una situazione dinamica, che cambia giorno dopo giorno.
- È importante sottolineare che qualsiasi farmaco deve essere prescritto, usato sotto controllo medico adeguato e mai su iniziativa personale, soprattutto per i pazienti che hanno una patologia complessa come la Duchenne.

Ci sarà un nuovo webinar sabato prossimo. Chiunque volesse sottoporre delle domande da sottoporre agli esperti che intervengono, può inviarle nel corso della settimana al seguente indirizzo mail: [scienza@parentproject.it](mailto:scienza@parentproject.it).