

Brescia, 5 - 6 luglio 2012

Aula Magna
Facoltà di Medicina e Chirurgia
Università degli Studi di Brescia
Viale Europa 11 - Brescia

ANDREA GIUSTINA

Direttore Cattedra Endocrinologia

Università degli Studi di Brescia

Quali sono le novità nella terapia ormonale sostitutiva nell'insufficienza delle ghiandole surrenaliche?

Come da determinazione [AIFA n 6/2012 dell'11/5/2012](#), l'idrocortisone a rilascio modificato è stato inserito nell'elenco dei medicinali della legge 648. Il farmaco sarà dunque erogabile a totale carico del Servizio sanitario nazionale per il trattamento dell'insufficienza surrenalica negli adulti.

Per che cosa si usa questa nuova formulazione di idrocortisone ?

E' usata per il trattamento di insufficienza surrenalica negli adulti. L'insufficienza surrenalica (compresa l'insufficienza primaria o morbo di Addison) è una condizione in cui le ghiandole surrenali (cosiddette perché situate proprio al di sopra dei reni) non producono un ormone chiamato cortisolo, fondamentale per il normale funzionamento dell'organismo

Comitato Scientifico

E. Ghigo Co-Chair
A. Giustina Co-Chair
M.L. Brandi
J.P. Bilezikian
P. Bouchard
F. Casanueva
A. Lenzi
S. Melmed
A. Pinchera
R. Vigneri

Segreteria Scientifica

M. Dogo
G. Mazzotti
T. Porcelli
Referente Sig.ra Manuela Rossini
Tel. 030 9963477

Segreteria Organizzativa

A.I.C. Asti Incentives & Congressi
Piazza S. Uomobuono, 30
56126 Pisa
Tel 050 598808 - 541402
Fax 050 598688
e-mail: luanamasini@aicgroup.it

Brescia, 5 - 6 luglio 2012

Aula Magna
Facoltà di Medicina e Chirurgia
Università degli Studi di Brescia
Viale Europa 11 - Brescia

in quanto è il principale ormone che ci aiuta in condizioni di stress ma anche contribuisce a regolare il metabolismo degli zuccheri e regola la pressione arteriosa e la funzione immunitaria, cioè la nostra capacità di difenderci dagli agenti patogeni e dalle infezioni.

Come si presenta l'insufficienza surrenalica nell'adulto?

Intanto occorre dire che è una delle più clinicamente severe malattie endocrine generalmente oggi causata da un'inflammazione delle ghiandole surrenaliche su base autoimmune. I sintomi più comuni comprendono dimagrimento, indebolimento muscolare, astenia, facile affaticabilità, bassa pressione arteriosa e imbrunimento della pelle. L'insufficienza surrenalica può anche manifestarsi in modo acuto e pericoloso per la vita con shock (pressione arteriosa molto bassa e perdita di conoscenza), disidratazione, dolori addominali ed alterazioni degli elettroliti sodio e potassio. Pertanto, deve essere trattata con terapia ormonale sostitutiva lungo tutto l'arco della vita. Il numero di pazienti affetti da insufficienza surrenalica è basso (circa 14 pazienti su 100.000 persone), la malattia è considerata "rara" e quindi idrocortisone a rilascio modificato è stato designato "farmaco orfano".

Comitato Scientifico

E. Ghigo Co-Chair
A. Giustina Co-Chair
M.L. Brandi
J.P. Bilezikian
P. Bouchard
F. Casanueva
A. Lenzi
S. Melmed
A. Pinchera
R. Vigneri

Segreteria Scientifica

M. Dogo
G. Mazziotti
T. Porcelli
Referente Sig.ra Manuela Rossini
Tel. 030 9963477

Segreteria Organizzativa

A.I.C. Asti Incentives & Congressi
Piazza S. Uomobuono, 30
56126 Pisa
Tel 050 598808 - 541402
Fax 050 598688
e-mail: luanamasini@aicgroup.it

Brescia, 5 - 6 luglio 2012

Aula Magna
Facoltà di Medicina e Chirurgia
Università degli Studi di Brescia
Viale Europa 11 - Brescia

Quali sono i limiti delle terapie attualmente disponibili per l'insufficienza surrenalica nell'adulto?

L'insufficienza surrenalica è un malattia nota da molti anni con il nome di Morbo di Addison. La terapia sostitutiva ormonale è oggi prevalentemente basata sulla somministrazione del cortisone. Purtroppo, non è sempre facile con le classiche due o tre somministrazioni al giorno di questo ormone ottenere una sostituzione "fisiologica" delle ghiandole surrenaliche. Infatti, talvolta si può determinare un sovradosaggio della terapia che può portare ad effetti collaterali come ipertensione arteriosa o una perdita di osso come da noi dimostrato in uno studio eseguito all'Università di Brescia e pubblicato l'anno scorso sulla importante rivista scientifica *European Journal of Endocrinology*.

Quali sono gli aspetti qualificanti della terapia con idrocortisone a rilascio modificato ?

Intanto, viene assunto solo una volta al giorno, anche se il dosaggio deve essere adeguato individualmente in base alla reazione del paziente. In situazioni di eccessivo stress fisico o mentale o di malattia, i pazienti possono aver bisogno di ulteriori dosi di idrocortisone. In questi casi, le compresse di idrocortisone possono essere somministrate due o tre volte al giorno oppure è possibile ricorrere a somministrazione di idrocortisone per via iniettiva. L'idrocortisone sostituisce il cortisolo naturale mancante nei pazienti affetti da insufficienza surrenalica. Poiché è disponibile sotto forma di

Comitato Scientifico

E. Ghigo Co-Chair
A. Giustina Co-Chair
M.L. Brandi
J.P. Bilezikian
P. Bouchard
F. Casanueva
A. Lenzi
S. Melmed
A. Pinchera
R. Vigneri

Segreteria Scientifica

M. Dogo
G. Mazzotti
T. Porcelli
Referente Sig.ra Manuela Rossini
Tel. 030 9963477

Segreteria Organizzativa

A.I.C. Asti Incentives & Congressi
Piazza S. Uomobuono, 30
56126 Pisa
Tel 050 598808 - 541402
Fax 050 598688
e-mail: luanamasini@aicgroup.it

Brescia, 5 - 6 luglio 2012

Aula Magna
Facoltà di Medicina e Chirurgia
Università degli Studi di Brescia
Viale Europa 11 - Brescia

comprese a rilascio modificato, idrocortisone viene rilasciato per un periodo più lungo, permettendo in tal modo un'assunzione una volta al giorno. Va assunto la mattina presto poiché la quantità di cortisolo nel sangue normalmente è fisiologicamente più elevata al mattino.

Quali sono le evidenze scientifiche sugli effetti benefici e sugli eventuali rischi associati alla terapia con Idrocortisone a rilascio modificato?

La registrazione europea (EMA) ed italiana (AIFA) del farmaco si basa su uno studio multicentrico internazionale prospettico e randomizzato pubblicato quest'anno sulla prestigiosa rivista internazionale *Journal of Clinical Endocrinology and Metabolism*.

In questo studio, 64 pazienti affetti da insufficienza surrenalica sono stati seguiti in terapia con idrocortisone a rilascio modificato (1 compressa al giorno) o idrocortisone standard (3 compresse al giorno) per un periodo iniziale di 3 mesi con successive estensione di 6 mesi ottenendo un profilo dell'ormone più aderente alla secrezione fisiologica dell'ormone da parte dell'organismo. Questo dato sembrerebbe spiegare il contenimento nell'aumento del peso corporeo e della pressione arteriosa ed il miglioramento del metabolismo glucidico nei pazienti in terapia con

Comitato Scientifico

E. Ghigo Co-Chair
A. Giustina Co-Chair
M.L. Brandi
J.P. Bilezikian
P. Bouchard
F. Casanueva
A. Lenzi
S. Melmed
A. Pinchera
R. Vigneri

Segreteria Scientifica

M. Dogo
G. Mazziotti
T. Porcelli
Referente Sig.ra Manuela Rossini
Tel. 030 9963477

Segreteria Organizzativa

A.I.C. Asti Incentives & Congressi
Piazza S. Uomobuono, 30
56126 Pisa
Tel 050 598808 - 541402
Fax 050 598688
e-mail: luanamasini@aicgroup.it

Brescia, 5 - 6 luglio 2012

Aula Magna
Facoltà di Medicina e Chirurgia
Università degli Studi di Brescia
Viale Europa 11 - Brescia

idrocortisone a rilascio modificato. iniziale di 3 mesi con successive estensione di 6 mesi. Ciò che è emerso da questo studio è che, con idrocortisone a rilascio modificato, si evita generalmente il rischio di esporre il paziente a valori elevati di cortisolo circolante. Il rovescio della medaglia è che in alcuni pazienti trattati con questa nuova formulazione di idrocortisone la terapia può essere sottodosata e, sempre nello studio registrativo, questa potrebbe essere stato associata ad un maggior presenza di astenia o in casi isolati di maggior suscettibilità alle infezioni.

Pertanto, dato che in alcuni pazienti è possibile che con questa nuova terapia i livelli di cortisolo si abbassino troppo nel pomeriggio, si può far fronte a questo problema aggiungendo ulteriori dosi di idrocortisone se necessario.

Comitato Scientifico

E. Ghigo Co-Chair
A. Giustina Co-Chair
M.L. Brandi
J.P. Bilezikian
P. Bouchard
F. Casanueva
A. Lenzi
S. Melmed
A. Pinchera
R. Vigneri

Segreteria Scientifica

M. Dogo
G. Mazziotti
T. Porcelli
Referente Sig.ra Manuela Rossini
Tel. 030 9963477

Segreteria Organizzativa

A.I.C. Asti Incentives & Congressi
Piazza S. Uomobuono, 30
56126 Pisa
Tel 050 598808 - 541402
Fax 050 598688
e-mail: luanamasini@aicgroup.it