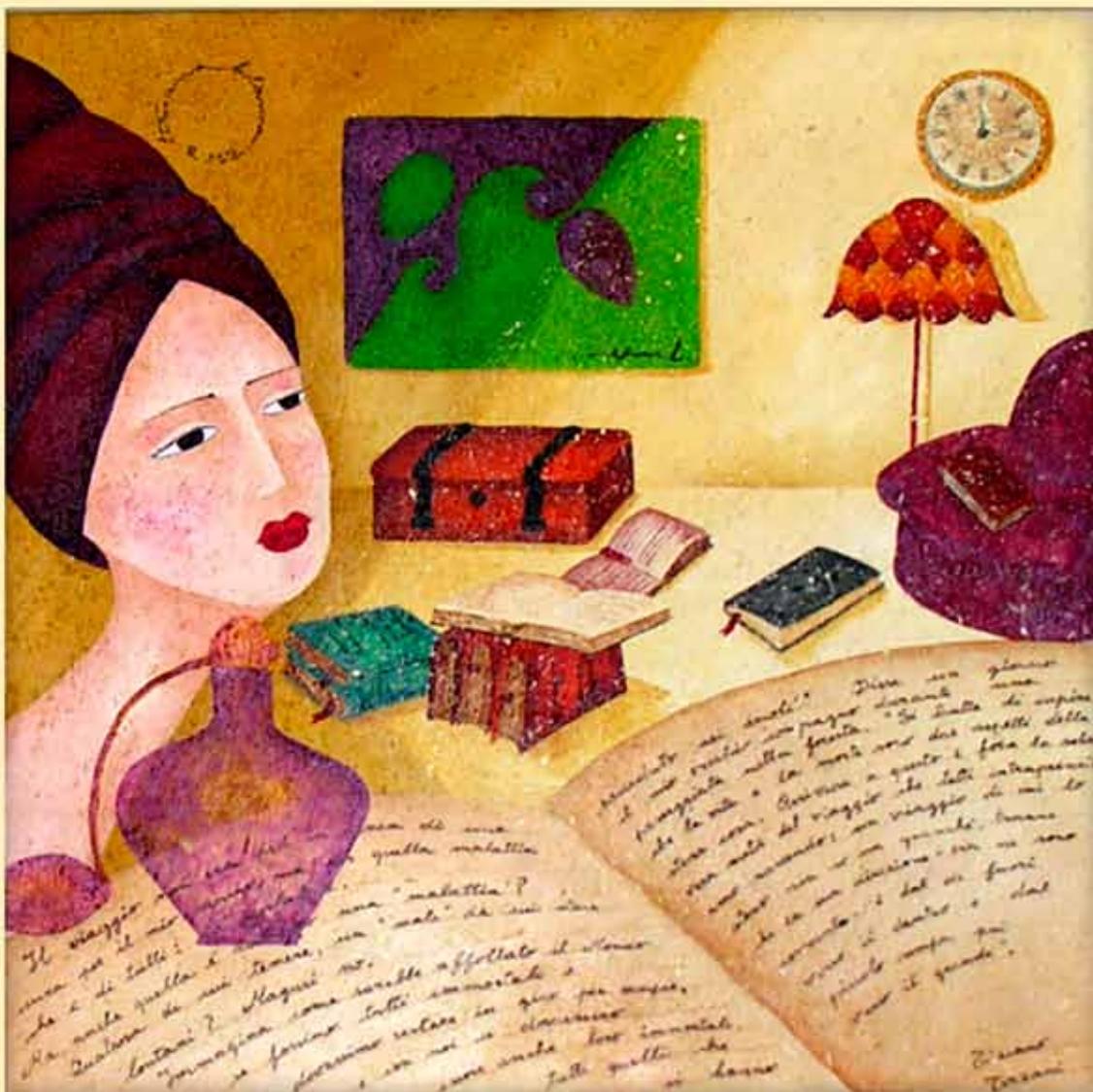


Numero 13 - 2014

morfo logie

Rivista della Associazione Persone con Malattie Reumatiche ONLUS

Spedizione in Abbonamento Postale - D.L. 353/2003 (conv. in L. 27/02/2004 n.46) art. 1, comma 2 e 3, S1/LE



**Malattie Rare e cure con cellule staminali.
Intervista a Bruno Dallapiccola**

Lo scienziato da 50 milioni di dollari. Intervista a Mauro Ferrari

L'AIFA verso una nuova cultura del Farmaco. Intervista a Luca Pani

**Il Congresso internazionale sulla Sclerodermia.
Intervista a Marco Matucci Cerinic**

SOMMARIO

- 4 **Ciao Pina, ciao Alessio**
- 6 **Gli studi clinici. Cosa sono e come saperne di più**
- 8 **Intervista a Bruno Dallapiccola**
Malattie rare e cure con cellule staminali.
- 10 **Speciale Stamina:**
storia di una truffa ai danni dei pazienti.
- 14 **Intervista a Mauro Ferrari**
Lo scienziato da 50 milioni di dollari
- 16 **Intervista a Luca Pani**
L'AIFA verso una nuova cultura del farmaco
strumenti e strategie per il coinvolgimento
pro-attivo dei cittadini
- 18 **Intervista a Marco Matucci**
Il Congresso Internazionale sulla Sclerodermia.
Obiettivo diagnosi precoce
- 19 **Cellule staminali contro la tubercolosi**
multiresistente
- 20 **Intervista a Lucia Spiri**
...E piantiamola! A Racale in Puglia il primo
"cannabis social club d'italia" per l'utilizzo della
canapa a fini terapeutici
- 22 **Una ricerca misura le performance dei Sistemi**
Sanitari Regionali, con l'aiuto di APMAR

EDITORIALE

Anche nel loro nome

di Antonella Celano, Presidente APMAR Onlus



È di fronte ad avvenimenti laceranti come la perdita delle persone care che le nostre certezze vacillano. Più del dolore provocato dalle situazioni personali, la nostra lotta viene fiaccata dall'assenza improvvisa dei nostri compagni di battaglia e per un attimo rimaniamo senza parole e senza forze. Un attimo è il tempo che

possiamo permetterci, solo un attimo, per poi rialzarci e continuare, anche nel loro nome. In questi mesi la nostra Associazione ha subito un duro colpo con la perdita di due persone speciali: Pina Fagnoli, membro del nostro Direttivo, Responsabile di FESCA (Federation Scleroderma Association) e referente della Sezione APMAR di Foggia, che ci ha lasciati a causa di una improvvisa complicanza della sua Sclerodermia; Alessio Mustich, il nostro piccolo angelo, "l'attore protagonista", come lui stesso si definiva, del nostro spot sulla reumatologia pediatrica. Entrambi lasciano un vuoto incolmabile per tutti coloro che li conoscevano e naturalmente, per le loro famiglie. Entrambi erano delle persone speciali che sono state un esempio positivo per tutti noi, forti, entusiasti, pieni di luce e di energia. E per loro dobbiamo trovare la forza e il coraggio perché la nostra lotta per la diagnosi precoce, per la qualità della vita, per la qualità del Sistema Salute, sia ancora più incisiva. Le questioni relative alle patologie reumatiche, alle malattie rare e croniche devono anche tener conto della fondamentale questione della trasparenza dell'intero sistema nei confronti dei Pazienti: per questo abbiamo deciso, in questo numero, di parlare di studi clinici, della vicenda Stamina, di staminali. Il paziente deve sapere quali sono le sue reali possibilità di cura e quali sono le tutele che la scienza stessa deve assicurargli. L'accesso alle cure deve essere garantito a tutti ma in piena sicurezza, senza mai valicare il confine della scienza per ricadere in quello dell'improvvisazione. Per tutte queste ragioni APMAR è impegnata da anni e non da adesso, nel formare i "pazienti esperti", i cittadini cioè che devono essere in grado di riconoscere la differenza tra i millantatori e i professionisti cui affidare la loro Salute, che conoscano i meccanismi di una patologia, ne sappiano gestire i sintomi e partecipare alla terapia migliorando il proprio benessere. La vicenda Stamina e tutto quello che è successo in quest'ultimo anno nel nostro Paese è molto preoccupante e pone problemi di diversa natura, etici, morali, scientifici. Soprattutto, guardando l'intera storia dal nostro punto di vista - dal punto di vista dei pazienti - occorre rimarcare come non debba mai accadere che la malattia renda vulnerabili a tal punto da tentare il tutto per tutto, senza sapere a cosa si va incontro. La stessa politica si è mostrata indecisa di fronte ad un protocollo inesistente, mostrando di essere debole rispetto alla spinta di una parte dell'opinione pubblica. La nostra posizione quindi è l'unica possibile rispetto ad avvenimenti del genere ed è quella della certezza della cura, sempre e comunque. Una certezza che ci garantisce tutti e che deve seguire il percorso riconosciuto dalla comunità scientifica. Per Pina, per Alessio e per tutti coloro che nutrono grandi speranze nel presente e nel futuro della medicina, ci auguriamo che un simile caso rimanga isolato e che si concluda nel minor tempo possibile. Soprattutto ci auguriamo che questo Stato si concentri nel promuovere e finanziare una ricerca seria e proficua per tutti i suoi cittadini.

**Da Morfologie
n°2 del 2011**

Diagnosi precoce, l'obiettivo della mia lotta alla Sclerodermia

di Pina Fagnoli



In copertina "La Riflessione di Pina" della pittrice Tiziana Blanco

Leggo. Sono a letto, mi piace leggere di notte. C'è un grande silenzio e le parole lette sembrano volarmi intorno leggere e piene di mondi lontani. Questa notte però, la lettura non è tranquilla, il mio cuore batte veloce e ho il respiro affannoso, la tosse stizzosa che mi accompagna da alcuni mesi, è più insistente del solito. Sono quasi spaventata e penso che dovrei consultare un medico prima delle festività natalizie che sono alle porte, piuttosto che immaginare tutto posticipato al nuovo anno quando le mie figlie saranno ripartite. Sono in visita. Il cardiologo mi pone una strana domanda: "ha mai avuto da bambina problemi di tipo reumatico?". Da quel momento nel giro di un mese mi sottopongo a tanti, tanti esami invasivi e non, per giungere alla diagnosi: "Sclerodermia". Nella mia vita non avevo mai sentito parlare di Sclerodermia o Sclerosi Sistemica mentre da quel momento ho stretto una relazione particolare con questa patologia. Ci siamo studiate per alcune settimane poi ho deciso che ero io a dover guidare questo rapporto e non il contrario; la Sclerodermia ha fatto un bel viaggio nel mio organismo ma, con l'aiuto dei medici, quel tour momentaneamente l'ho circoscritto.

Certamente non posso dire che la mia vita sia uguale a due anni orsono ma nel contempo e paradossalmente, devo dire grazie a questa patologia che mi ha consentito di conoscere un mondo a molti di noi sconosciuto e di conoscere persone che mi hanno insegnato tanto. Ho scoperto APMAR e la mia idea di provare a far diventare veloce per tutti la diagnosi di questa malattia, piano, piano potrebbe diventare realtà ed a quel punto il viaggio con la Sclerodermia potrei definirlo felice poiché la meta raggiunta sarebbe preziosa per tutti. Dico grazie alla mia Associazione per avermi aiutato a trasformare l'incontro con la Sclerodermia in una collaborazione personale con la malattia, che vede la mia persona gestire il problema di salute e non il contrario.

Ciao Pina,

Ognuno di noi avrebbe voluto scrivere qualcosa che lasciasse il segno per Alessio e Pina. Ad ognuno sembrava di avere pronte quelle parole adatte a ricordare le loro personalità e le loro storie eccezionali. In realtà ogni contributo era troppo personale, intimo, e raccontava dei rapporti meravigliosi, intensi, unici che con ognuno, Pina

Negli anni più faticosi hai spesso pronunciato le parole che furono di un grande combattente della storia recente. Dicevi: "Chi lotta può perdere, chi non lotta ha già perso". Così sei stata salutata, come coraggiosissima e indomita combattente, fiera e giusta, mai vinta.

Tu non hai perso, ma noi abbiamo perso te e non eravamo pronte, mai lo saremmo state.

C'è un vuoto in chi ti ha avuta vicina e in quel vuoto ognuno di noi raccoglierà i sorrisi e le lacrime che arriveranno al ricordo del tuo profumo, di una tua parola o un tuo sguardo, di una tua domanda difficile. Piangeremo molto e sorrideremo molto, mamma, perché sei stata generosa con noi, con tutti, e ci hai lasciato ciò che renderà sopportabile la tua assenza, ciò con cui sarai presente ogni giorno.

Ti diciamo addio pensando alle tue parole, pensandoti serena. Ti diciamo addio e non ci lasciamo. Mai ci lasceremo.

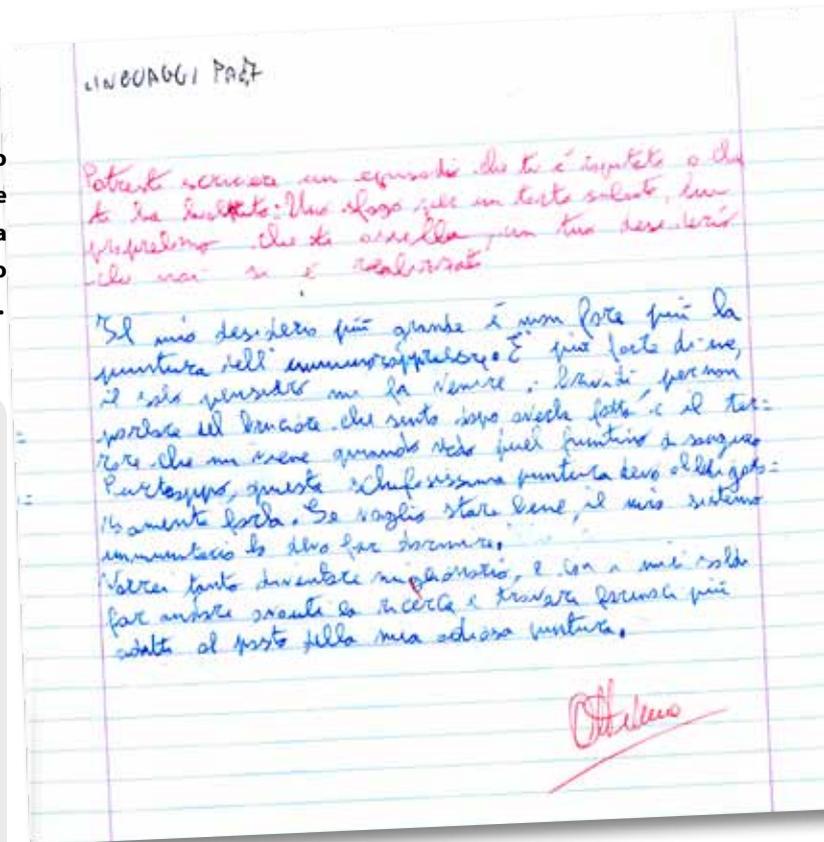
Tanja e Sonia



ciao Alessio

e Alessio hanno saputo creare in questi anni. Per questo abbiamo deciso di lasciare queste pagine a loro dedicate a messaggi scritti di loro stesso pugno - un articolo di Pina e un compito in classe di Alessio - e poi al ricordo profondo ed emozionante di chi li ha amati più di tutti: i loro familiari. Ciao Pina, Ciao Alessio.

Mio dolcissimo Amore, piccolo ma grande "attore protagonista", come ti piaceva essere chiamato...il vuoto che hai lasciato è immenso e niente riuscirà a colmarlo. I giorni passano e il mio pensiero, quello del tuo papà e di tutte le persone che ti hanno amato è fortemente fermo su di te, su quanto sei stato speciale, no... su quanto sei speciale. Non sei più in mezzo a noi, ma solo fisicamente, perché la tua anima è viva, sono vivi i tuoi ricordi... e quanti ricordi. I tuoi 10 anni sono stati così intensi che non basterebbe un'intera vita a raccontarli, il tuo breve ma intenso trascorso è stato pieno di emozioni. Hai portato il tuo chiacchiere ovunque hai messo piede, hai regalato sorrisi a qualunque persona incontrassi, non importava se erano neonati, coetanei, adulti, anziani... riuscivi a legare con tutti, per te era impossibile non dialogare con qualcuno. Sei stato un bambino speciale fin dai primi giorni di vita, e man mano che crescevi, le tue qualità diventavano sempre più grandi... fin quando nella tua vita è entrata la SCLEROSI SISTEMICA. Ma tu, come sempre, hai ingranato la marcia e hai iniziato a convivere



ad affrontarla nel miglior modo possibile, neanche questa bestia ti aveva tolto la voglia di vivere, la voglia di fare mille cose. Impeccabile studente, devoto ministrante e membro attivo nella tua comunità parrocchiale. Un figlio modello, un nipote presente nella vita dei tuoi nonni, semplicemente unico! E questa malattia, strano da dire ma vero nei fatti, ti aveva anche migliorato... già, lo diceva anche la tua pediatra: MIGLIORATO. Confido in Dio affinché abbia riservato per te un posto speciale, un posto che hai meritato in pochissimi anni di vita, solo 10. In questi pochi anni hai fatto tanto, hai dato tanto, e sono sicura che da lassù, tanto altro ancora farai. Dacci tu la forza di andare avanti, mandaci tu un segnale, un segno, un motivo per continuare ad amare la vita, ad amarla quanto tu la amavi. Resterai sempre il mio primo e il mio ultimo pensiero in ogni istante delle mie giornate e cercherò di portare avanti i tuoi sogni, i tuoi desideri... uno fra tutti quello di far andare avanti la ricerca, aiutare il prossimo... donare un sorriso a chi ne ha bisogno, servire il Signore con impegno.

Amore della mia vita, resterai per sempre vivo nel mio cuore, nella mia anima, nei miei pensieri.

TI AMO TANTO
LA TUA MAMMA

Gli studi clinici. Cosa sono e come saperne di più

www.ecranproject.eu



Per questa edizione di *Morfologie*, i contenuti del nostro Focus sugli “studi clinici” sono forniti dal progetto ECRAN – European Communication on Research Awareness Needs – finanziato dalla Comunità Europea per migliorare la conoscenza dei cittadini europei sulla ricerca medica e supportare la loro partecipazione a studi clinici indipendenti e multinazionali.

ECRAN, coordinato da **IRCCS Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri**, intende fornire spiegazioni chiare e attendibili su concetti di base e avanzati, informazioni pratiche, contenuti formativi come guide, tutorial, film e persino giochi (ma seri!), per garantire che il paziente sia ben informato prima di decidere se partecipare a uno studio clinico o no.

Attualmente, la maggior parte degli studi clinici è sponsorizzata dall'industria farmaceutica, in genere per introdurre un nuovo farmaco sul mercato. Il fine principale di questi studi, quindi, è dimostrare agli enti regolatori l'efficacia e la sicurezza del nuovo prodotto. Al contrario, gli studi indipendenti non hanno interessi commerciali e di solito sono lo strumento ideale per identificare il miglior trattamento disponibile, i possibili effetti negativi a lungo termine e l'impatto reale sui pazienti nella vita di tutti i giorni.

D'altra parte, gli studi clinici indipendenti sono finanziati da enti, istituzioni e centri di ricerca pubblici o da associazioni di pazienti e hanno come priorità quella di rispondere a questioni rilevanti per i pazienti, per esempio identificare il miglior trattamento disponibile, i possibili effetti negativi a lungo termine e l'impatto reale sui pazienti nella vita di tutti i giorni.

Gli studi indipendenti puntano a espandere la conoscenza in campo medico a beneficio dei pazienti, piuttosto che soddisfare gli enti regolatori in merito alla sicurezza di un prodotto da immettere sul mercato. Vengono spesso condotti contemporaneamente da diversi centri di ricerca e anche in paesi diversi - vale a dire a livello multinazionale - con l'obiettivo di studiare i trattamenti su diversi tipi di gruppi di pazienti e di popolazioni. I risultati più utili e attendibili, infatti, provengono da studi che coinvolgono un'ampia varietà di persone (comprese quelle considerate più fragili, come anziani, bambini e donne) per assicurare che i risultati possano essere applicati anche a queste categorie di pazienti.

Gli studi indipendenti intendono rispondere a domande su prevenzione e terapia, in modo da assicurare a tutti un'assistenza medica più efficiente. Per questo motivo la Commissione Europea

ha deciso di investire fondi per supportare sempre di più la ricerca indipendente. Il progetto ECRAN fa parte di questo sforzo.

Partecipare a uno studio clinico può offrire la possibilità di accedere a trattamenti più efficaci, ma può anche esporvi a rischi difficilmente prevedibili.

Il numero di studi clinici condotti a livello mondiale è enorme (basta dare un'occhiata a un registro di studi clinici). Tuttavia, il modo in cui i trattamenti vengono studiati e il coinvolgimento dei pazienti può variare in maniera sostanziale. È importante essere consapevoli di queste differenze e capire come funziona la ricerca medica prima di decidere se partecipare a uno studio clinico.

Uno studio clinico progettato in modo impreciso può portare a risultati inutili o, peggio ancora, a risultati che confondano ancora di più le idee. Prima di prendervi parte, quindi, occorre essere sicuri che si tratti di un buono studio, adatto alla vostra situazione e alle vostre esigenze. Ma come è possibile scoprirlo?

Che cos'è uno studio clinico

Gli studi clinici sono ricerche mediche che richiedono la partecipazione di volontari – sia persone sane, sia affette da patologie – per sviluppare e analizzare trattamenti adatti alla prevenzione, alla diagnosi e alla cura delle malattie.

Medici e ricercatori propongono e studiano senza sosta trattamenti nuovi e già in commercio, procedure chirurgiche o apparecchi diagnostici. Gli studi clinici rappresentano l'unica via affidabile per stabilire che cosa sia davvero efficace sui pazienti e a quale rischio.

Che cosa succede durante uno studio clinico?

Per poter rispondere a un quesito clinico, il gruppo di ricerca definisce un protocollo che contiene tutti i dettagli rilevanti sullo studio e che necessita dell'approvazione delle autorità competenti e di un Comitato etico indipendente.

Il processo dipende dal tipo di studio clinico al quale potreste essere interessati. Per esempio, studi clinici volti allo sviluppo di un nuovo trattamento devono verificare se esso funziona meglio di uno eventualmente già disponibile - il trattamento standard - senza che l'impiego comporti un danno per il paziente.

Ciononostante, ogni studio clinico vede coinvolto un gruppo di ricerca composto da medici, infermieri e altri operatori sanitari che lavorano tutti a stretto contatto con i pazienti, oltre a informatici ed esperti di statistica che hanno il compito di analizzare i risultati degli studi. Le sedi degli studi clinici possono essere molteplici:



università, centri medici, cliniche, ospedali o addirittura studi medici. Se siete interessati a partecipare a uno studio clinico o se vi è stato offerto di prenderne parte dal vostro medico, un membro qualificato del gruppo di ricerca vi inviterà a un incontro a tu per tu, nel quale vi spiegherà i dettagli della ricerca dandovi la possibilità di domandare qualsiasi cosa sullo studio. Vi verranno fornite tutte le informazioni per iscritto e, se decidete di partecipare, dovrete restituire un modulo firmato (il cosiddetto “consenso informato” o “informativa per il consenso”).

Se accettate di partecipare, i medici del gruppo di ricerca controlleranno il vostro stato di salute, vi forniranno istruzioni specifiche per partecipare allo studio, staranno attenti a qualsiasi beneficio o effetto avverso che potrebbe verificarsi nel corso dello studio e rimarranno in contatto con voi anche una volta che lo studio è terminato.

Esistono tipi diversi di studi clinici?

La differenza principale è tra studi **osservazionali** e **interventistici**.

Gli studi clinici interventistici, come suggerisce il termine stesso, richiedono che i partecipanti provino un certo tipo di trattamento aderendo a regole severe definite dal protocollo dello studio. Gli studi clinici randomizzati sono studi interventistici e sono considerati gli strumenti più affidabili per raccogliere informazioni su efficacia e rischi di un trattamento.

Tuttavia, non è sempre possibile condurre uno studio clinico randomizzato, a volte per ragioni etiche, ma in altri casi per i costi alti o i tempi lunghi richiesti. O, ancora, nel caso degli effetti avversi rari, sarebbero necessari tempi molto lunghi e un numero elevato di partecipanti per investigare potenziali eventi avversi rari per mezzo di studi clinici randomizzati.

Gli studi osservazionali costituiscono quindi un'alternativa.

I partecipanti vengono “seguiti” negli anni per comprendere meglio i fattori di rischio, i possibili effetti dell'esposizione a determinate sostanze, a certi stili di vita, ecc... Gli studi osservazionali, sebbene siano potenzialmente più esposti a possibili confondimenti dei risultati (bias), poiché i partecipanti non sono assegnati casualmente ai gruppi, forniscono lo stesso informazioni valide per la pratica clinica, sui potenziali fattori di rischio o sui problemi legati alla sicurezza che possono essere ulteriormente indagati con altri studi. Per esempio, l'efficacia e la sicurezza della terapia ormonale sostitutiva (TOS) per le donne in menopausa sono state valutate

per decenni sulla base dei risultati di **studi osservazionali**. Per anni, sono stati seguiti gruppi di donne in menopausa in terapia sostitutiva o che non assumevano alcun trattamento per stabilire i benefici (controllo dei sintomi della menopausa, protezione cardiovascolare, prevenzione dell'osteoporosi, prevenzione del cancro del corpo dell'utero, etc..) e i rischi (insorgenza del cancro della mammella, aumento del rischio cardiovascolare, etc..).

I risultati hanno sempre suggerito un **rapporto tra benefici e rischi a favore** del trattamento. Tuttavia, solo recentemente, studi clinici randomizzati condotti nell'ambito del programma statunitense Women's Health Initiative – e finanziati dai National Institutes of Health – **hanno dimostrato un quadro un po' più complicato quanto a equilibrio tra benefici e rischi**.

Infatti, dal confronto tra gli effetti della terapia ormonale sostitutiva (estrogeni più progestinici, solo estrogeni nelle donne con storia di isterectomia) e quelli del placebo in un ampio campione di donne (oltre 27mila) in postmenopausa, è emerso – soprattutto per il trattamento con l'associazione di estrogeni più progestinici – che i rischi erano superiori ai benefici, soprattutto a causa di un aumento del rischio di malattia delle coronarie, di cancro della mammella e di ictus non controbilanciato da una riduzione del rischio di diabete, dal miglioramento nel controllo dei sintomi della menopausa e dalla percezione di una salute complessivamente migliore. Inoltre, a seconda del tipo di quesito clinico al quale il gruppo di ricerca vuole rispondere, si possono classificare gli studi clinici in questo modo:

studi sulla prevenzione: qual è il modo migliore per prevenire una certa malattia nelle persone sane o per impedire che la malattia ritorni? Possibili risposte possono essere farmaci, vaccini o cambiamenti nello stile di vita (dieta, esercizio fisico, ecc...)

Studi sugli screening: qual è il modo migliore per individuare determinate malattie?

Studi diagnostici: quali test o procedure sono migliori per diagnosticare una particolare malattia o condizione?

studi sui trattamenti: un nuovo trattamento - o procedura chirurgica/radioterapica – è sicuro ed efficace per una determinata malattia o condizione? È migliore del trattamento/procedura standard? Come si può migliorare la qualità della vita per pazienti affetti da malattie croniche?

Continua sul prossimo numero di Morfologie

Per altre notizie <http://www.ecranproject.eu/>

Intervista a
Bruno Dallapiccola
Direttore Scientifico
dell'IRCCS



Malattie rare e cure con cellule staminali

di Serena Mingolla

Bruno Dallapiccola è genetista, Direttore scientifico dell'IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma e si occupa soprattutto della comprensione delle basi molecolari delle malattie rare. È responsabile dell'interfaccia italiana del progetto Orphanet, il più importante database mondiale per le malattie rare. Ha fatto parte del primo Comitato scientifico chiamato a giudicare il metodo Stamina.

Come ricercatore si occupa soprattutto della comprensione delle basi molecolari delle malattie rare. Ci può raccontare quali sono a suo avviso i temi odierni della ricerca per le malattie rare?

Possiamo dire che i temi fondamentali della ricerca per le malattie rare vanno in tutte le direzioni. Sicuramente uno dei problemi fondamentali è quello della diagnosi: non conosciamo ancora il meccanismo biologico alla base di molte di queste malattie, ma sappiamo che l'80% sono geneticamente determinate. Si ricercano poi delle strategie che possano tradursi a livello terapeutico insieme a delle soluzioni per una presa in carico globale del paziente: non solo terapie quindi, ma riabilitazione, sviluppo di protesi, nuovi strumenti tecnologici. Tra i numerosi ambiti di ricerca, la biologia cellulare è un settore che nei prossimi anni darà sicuramente molte risposte.

Come cambieranno il volto della medicina moderna le nuove tecnologie del Dna e le analisi del genoma?

Oggi l'analisi del Dna non costa neanche 1000 euro mentre nel 2000 costava 100 milioni di dollari. Stiamo vivendo una rivoluzione tecnologica che ha portato all'abbattimento dei costi.

L'obiettivo dell'Europa, degli Stati Uniti, e delle 32 organizzazioni in tutto il mondo che aderiscono al Consorzio Internazionale per la ricerca sulle Malattie Rare (IRDiRC) è di rafforzare la ricerca per queste malattie e raggiungere un risultato importante per il 2020: mettere a punto 200 nuove terapie per le malattie rare. Per raggiungere questo ambizioso obiettivo, la collaborazione internazionale è fondamentale. Così come è fondamentale la collaborazione dei gruppi di pazienti, che devono essere coordinati a livello internazionale.

Ci può spiegare come vengono usate le cellule staminali?

Le staminali vengono usate da almeno 40 anni in diversi settori. Si tratta principalmente di cellule emopoietiche, cioè del sangue, cellule che sono già state standardizzate attraverso protocolli scientifici. Vengono utilizzate per i trapianti di midollo, per

curare malattie del sangue, alcune malattie genetiche come la talassemia, per la ricostruzione della cornea. Oggi si stanno sperimentando anche per malattie epatiche e muscolari. Ci sono procedure per riparare il muscolo cardiaco, nuove sperimentazioni cliniche dell'ingegnerizzazione, cioè della modificazione delle cellule staminali per protocolli di terapia genica per alcune rare malattie genetiche. Ciò che è rimasto fuori riguarda prima di tutto le malattie neurodegenerative. Non c'è ancora nessuna evidenza che le cellule staminali adulte siano in grado di curare dei processi neurodegenerativi. I primi successi sono stati raggiunti dal gruppo di Theleton ma c'è ancora molta strada da fare. Purtroppo ultimamente è stata data una grande enfasi, superficiale, a presunte terapie che hanno diffuso delle false speranze a discapito dei pazienti affetti da queste patologie.

A cosa si deve questo ritardo rispetto alle patologie del sistema nervoso?

Non abbiamo ancora fatto la strada necessaria per individuare trattamenti che siano efficaci. Quello che è accaduto è la controprova che c'è qualcuno che entra nell'area delle famiglie che non hanno risposte e promette delle illusioni. I malati rari hanno bisogno di avere informazioni corrette, appropriate, per sapere cosa possono chiedere e cosa ancora non possono chiedere alla medicina. Nei prossimi anni arriverà una risposta.

Il tema delle staminali è stato oggetto di una grande attenzione per una vicenda che, ormai da molti mesi, sta coinvolgendo il nostro Paese. Ci dà il suo punto di vista sulla vicenda Stamina?

Il mio punto di vista è sintetizzato nel documento che abbiamo stilato con i membri della Commissione ministeriale della quale ho fatto parte. Purtroppo un tribunale amministrativo ha ritenuto di poter obiettare al parere degli scienziati che facevano parte della commissione. Va detto però che non tutti i membri avevano fatto dichiarazioni antecedenti al riguardo, mi domando come mai allora si è ritenuto non valido tutto il lavoro svolto. Il metodo Stamina è un metodo che non esiste, è tendenzialmente pericoloso e si basa sul nulla. L'efficacia che qualcuno riporta si basa su illusioni. Anche se ci sono dei casi che presentano dei presunti miglioramenti, questi pazienti devono entrare in un protocollo scientificamente determinato. Per dimostrare la veridicità del metodo bisogna usare i protocolli scientifici nell'interesse dei pazienti e delle famiglie. E questo non è stato fatto. Ci sono enormi

responsabilità di coloro che hanno autorizzato una cura che non è compassionevole: molti di coloro che si sono sottoposti al trattamento non erano in pericolo di vita. Mi chiedo anche perché l'Ordine dei Medici non sia intervenuto rispetto ad una situazione che violava in maniera lampante l'articolo 13 del codice di deontologia medica sulla prescrizione e il trattamento terapeutico.

La sua opinione è condivisa praticamente da tutta la comunità scientifica...

Esatto. Occorre riflettere sul perché tutto il mondo scientifico è contro questo tipo di sperimentazione, perché il mondo scientifico nazionale, internazionale, il più autorevole Premio Nobel per le cellule staminali, Yamanaka, ha scritto contro questo tipo di sperimentazione.

Quello che deve essere molto chiaro è che la sperimentazione di qualunque sostanza obbedisce, in tutto il mondo, in Europa e anche in Italia, a delle regole che sono estremamente precise, non si può neanche per ragioni compassionevoli, iniettare una sostanza che non abbia provato preliminarmente almeno una traccia di efficacia e di innocuità per il paziente. La terapia compassionevole deve essere poi fatta soltanto in condizioni di urgenza, di emergenza e nelle condizioni in cui non c'è, assolutamente, nessun altro tipo di presidio. Tutti questi fattori, purtroppo, non sono stati rispettati dal tipo di sperimentazione che è stata avviata all'Ospedale di Brescia.

Noi abbiamo chiesto, all'interno del Consiglio Superiore di Sanità, fin dal Luglio del 2011, al Professor Vannoni, di fare questo tipo di sperimentazione. Oggi, che ho fatto parte di un Comitato di esperti che hanno preso in carico questo problema, posso dire che effettivamente, questa sperimentazione non si può fare in base al protocollo che ci è stato consegnato perché non esistono in quel protocollo quelle premesse di scientificità, di innocuità per poter far partire una sperimentazione.

Naturalmente da medico da anni coinvolto con i malati rari, sarei stato tra i primi a sperare nel successo di una terapia che potesse risolvere, in parte, i problemi di queste persone.

Prima dell'estate sarà operativo il nuovo Laboratorio di Ricerca scientifica pediatrica europeo dell'Ospedale Bambino Gesù di Roma. Di cosa vi occuperete?

Il laboratorio rappresenta un progetto all'avanguardia e comprenderà una serie di attrezzature e laboratori specializzati, di ultima generazione, per lo studio di alcune patologie che colpiscono i bambini, come per esempio la distrofia muscolare, l'obesità, l'autismo. Si tratta di 5000 mq di laboratori che



completeranno il nuovo polo aperto da un anno e mezzo a Roma nel quartiere San Paolo. La ricerca sarà orientata anche alla terapia e alla sperimentazione di farmaci adatti ai bambini; comprenderà laboratori riservati soprattutto alle nuove tecnologie del Dna per fare analisi sul genoma, un polo formativo e una biobanca per le malattie più rare.

Questa nuova struttura ha già dei numeri veramente importanti: ogni anno forniamo più di un milione di prestazioni ad una grande varietà di patologie pediatriche. Avendo alle spalle questo grande laboratorio di ricerca potremo rafforzare l'ottica della traslazione ricerca/paziente: la ricerca non è solo comprensione di base biologica delle malattie - che certamente è un mestiere che l'ospedale pediatrico Bambino Gesù ha dimostrato di fare bene con i suoi mille e settecento punti di passaggio all'anno - ma è anche trasferimento e operatività, cioè terapia. Per questo un settore di questo polo di ricerca sarà dedicato alla self factory, una fabbrica di tessuti, nello specifico una fabbrica di cellule destinate soprattutto al trattamento di pazienti affetti da patologie ematologiche e oncematologiche.

Vi occuperete di Reumatologia pediatrica?

La Reumatologia pediatrica è uno dei nostri obiettivi. Svolgiamo già al riguardo un importante progetto di ricerca, MD-Paedigree, sulla medicina virtuale, di cui una delle linee di ricerca è proprio l'artrite reumatoide giovanile. Su questa ed altri gruppi di patologie raccogliamo informazioni di tipo clinico e strumentale, anche con nuovi strumenti diagnostici. Abbiamo creato un enorme database dedicato che è stato costruito per creare un profilo della patologia, le sue interazioni con l'ambiente, ogni informazione utile che ci consenta di capire le malattie e finalizzare la terapia ai diversi profili.

Siamo orgogliosi che per la prima volta l'Europa abbia assegnato ad un ospedale come il nostro un progetto di alta tecnologia.

Stamina: storia di una truffa ai danni dei pazienti

Sul metodo Stamina è stato già detto tutto e anche molto di più. Perché allora cercare di sistematizzare quello che è accaduto e sta accadendo in una sintesi per i nostri lettori? Perché vogliamo che passino con forza alcuni messaggi: non deve mai accadere che ci si trovi in balia dell'incertezza quando si tratta di scegliere la propria cura; non deve accadere che qualcuno si improvvisi medico e, non deve neanche accadere che ci possano essere titubanze da parte di chi è deputato a decidere di fronte a millantate cure che non seguono protocolli scientifici. Cerchiamo quindi di fare ordine per punti: la nascita della Stamina Foundation, la sperimentazione all'ospedale di Brescia, la guerra dei protocolli, i ricorsi al Tar, le manifestazioni dei genitori a favore della cura, il ruolo del Parlamento in questa storia a discapito di tanti pazienti in cerca di una cura per le loro patologie.

1. Davide Vannoni e la Stamina Foundation



Il protagonista di questa storia è Davide Vannoni, laureato in Lettere e Filosofia, e fino a poco tempo fa docente di "Psicologia della comunicazione" presso l'Università di Udine. Quando tutto ebbe inizio, gestiva una società, la "Cognition", che si occupava di call center e di ricerche di mercato. In una informativa dei carabinieri, una sua collaboratrice spiega che nel 2007, "per un problema personale di salute, il professor Vannoni si era recato in Ucraina. Lì ha conosciuto i due staminologi Vyacheslav Klimenko e Olena Shchegelska. Al suo rientro ha deciso di creare una struttura simile in Italia". A causa di una semiparesi facciale Vannoni parte quindi per l'Ucraina e scopre il mondo delle staminali. Forse, a quel punto, gli balena l'idea di intraprendere un nuovo business trasformando il suo call center in un laboratorio clandestino per la manipolazione delle cellule staminali.

Vannoni fonda la Stamina Foundation, una ONLUS che si propone di curare un vastissimo spettro di malattie - ictus, lesioni spinali, paralisi cerebrale, sclerosi multipla, sclerosi laterale amiotrofica, morbo di Parkinson, patologie neurodegenerative varie. Il professore mostra ai suoi potenziali pazienti un ormai celebre video in cui un ballerino paralizzato guarisce dopo la terapia. Al tempo collabora con lui il neurologo Leonardo Scarzella, il prelievo avviene alla clinica Lisa di Carmagnola, mentre nello scantinato del suo call center i biologi ucraini conservano provette con dentro un tritato di osso e liquor spinale da cui ricavano le infusioni.

Nell'inchiesta curata da La Stampa, l'ex collaboratrice Rebecca P. rivela le condizioni in cui operavano in "un laboratorio buio, senza areazione, dieci metri quadrati scarsi" dove - racconta - "mi ricordo un paio di frigoriferi, un ripiano con alcuni microscopi. Lì dentro i due biologi lavoravano tutto il giorno, riproducevano cellule che avevano prima espianato da pazienti vivi".

2. 2009 La prima fase dell'inchiesta

Le prime denunce contro il metodo Stamina non tardano ad arrivare e risalgono al 2009. Il padre di Paola P. racconta: "per tutta la procedura Vannoni mi chiese una somma totale di 50

mila euro. Gli dissi che per mia figlia avrei dato l'anima. Lui si preoccupò di informarmi che questa procedura chirurgica in Italia era vietata, quindi di non fargli pubblicità sulla guarigione di mia figlia, posto che a Natale avrebbe pranzato con noi. Mi garantiva una guarigione all'87 per cento. Con la prima puntura sarebbe stata a posto”.

Tante le storie come questa: sono 68 le vittime accertate dal procuratore Raffaele Guariniello, nel periodo del laboratorio clandestino. Se i pazienti hanno pagato una media di 27 mila euro è facile immaginare che Vannoni abbia incassato più di 1 milione 800 mila euro.

Nella fase del laboratorio clandestino nello scantinato del call center, Vannoni è alla ricerca dei contatti giusti, contatti che non potevano essere che di natura politica: “dal vicepresidente della Regione Piemonte, Paolo Peveraro all'assessore Andrea Bairati, fino al presidente della Regione Mercedes Bresso” confessa Rebecca C. Con circa 500mila euro la Regione Piemonte stava per finanziare gli esperimenti, titolo del progetto “Attività promozionali per la conoscenza delle cellule staminali” quando l'accordo saltò.

Qualcuno aveva messo in guardia l'assessore Bairati sul fatto che i dipendenti di Cognition stavano per denunciare Vannoni per la sua “attività parallela”.

Per questo pezzo di storia, a dicembre del 2013 Davide Vannoni viene rinviato a giudizio per tentata truffa. I carabinieri del Nas volevano l'arresto del profeta delle staminali: “Non può essere sottovalutato il rischio al quale pazienti gravemente ammalati sono stati sottoposti”. Secondo la Procura di Torino tutte le credenziali che Vannoni aveva presentato per chiedere il finanziamento regionale erano false. Scrive il pm Giancarlo Avenati Bassi: “Un progetto privo di contenuto scientifico. Millantando le partecipazioni di professori al comitato scientifico della sua associazione e illustrando nel progetto 6 casi di pazienti in realtà inventati”.

3. Gli Spedali Civili di Brescia

Con l'intervento dei NAS e della Procura di Torino dovevamo essere già all'epilogo di questa storia, invece a partire dal 2011, la terapia viene offerta sotto forma gratuita presso gli Spedali Civili di Brescia grazie ad una convenzione con la Regione Lombardia. Stranissima coincidenza, il primo paziente è il direttore dell'assessorato alla Sanità della Regione Lombardia. A Brescia il metodo Stamina viene applicato come “cura compassionevole”, una formula che consente “a pazienti senza altre opportunità terapeutiche valide l'uso di farmaci o terapie che, se pur non hanno ancora completato la sperimentazione clinica, potrebbero apportare dei benefici ai pazienti”.

Nel 2012, scatta un'indagine della magistratura le cui conclusioni

sono a dir poco agghiaccianti: esiste “un concreto pericolo per i pazienti a causa delle modalità di conservazione dei campioni di cellule da trapiantare, preservati in modo approssimativo, identificati da etichette scritte a matita e di non chiara interpretazione e quindi facilmente confondibili”. Vengono riscontrati inquinanti, prodotti di origine animale vietati per uso clinico, effetti biologicamente irrilevanti. Emerge come i pazienti siano oggetto di false illusioni o addirittura di truffe vere e proprie che fanno leva sulla disperazione e su promesse non validate scientificamente. Le testimonianze dei pazienti fanno sapere che i trattamenti venivano pagati sotto forma di donazioni da depositare prima del trattamento, con somme che andavano dai 20 ai 30 mila euro.

La conclusione del magistrato è che Vannoni sarebbe “animato dall'intento di trarre guadagni da pazienti affetti da patologie senza speranza”. I dodici trattamenti allora in corso, tra cui quattro su bambini, devono essere interrotti.

4. Stamina diventa un caso mediatico



Il blocco dei trattamenti porta il “caso Stamina” in televisione. Il programma televisivo Le Iene e il giornalista Giulio Golia prendono a cuore la vicenda e propongono ogni settimana una serie di servizi strappalacrime sui casi più disperati come quello di Sofia. Il messaggio che passa è quello di genitori disperati che vedono sfumare le speranze di guarigione dei propri figli, di bambini e adulti che non possono accedere al miracoloso metodo Stamina, che lo Stato italiano non vorrebbe garantire le cure ai pazienti. La motivazione sottesa sarebbe un complotto da parte delle industrie farmaceutiche, che Vannoni, di settimana in settimana, racconta dalla sua pagina Facebook. Infiamma lo sconcerto sui social network dove la massa inconsapevole si schiera a favore di Stamina, nasce addirittura un Movimento Pro-Stamina e le liste di attesa per ricevere i trattamenti diventano infinite. La vicenda arriva in Parlamento e in Senato. La pressione mediatica è tale che il 25 Marzo 2013, il Senato emana un decreto che autorizza la continuazione dei trattamenti per i pazienti

che li avevano cominciati. A scapito di altre ricerche, vengono stanziati 3 milioni di euro per avviare la sperimentazione clinica del metodo Stamina con la supervisione dell'AIFA. Per far questo, Stamina dovrà necessariamente condividere i protocolli del suo metodo con una Commissione ministeriale appositamente istituita. A questo punto, Vannoni, non contento, non vuole fornire i protocolli. Le motivazioni sarebbero che, a causa della lunga procedura della sperimentazione, molti dei suoi pazienti potrebbero morire e che inoltre, il tutto potrebbe ricadere negli interessi delle case farmaceutiche.

6. La comunità scientifica prende posizione

Paolo Bianco, Elena Cattaneo, Michele De Luca e altri 10 scienziati italiani raccontano alla comunità scientifica internazionale cosa sta succedendo in Italia dalle pagine di EMBO Journal del gruppo Nature, una delle riviste scientifiche più autorevoli al mondo. Il loro invito è ad una veloce regolamentazione sull'impiego delle staminali. Sempre su Nature, Yamanaka, premio Nobel per la Medicina, padre delle cellule pluripotenti indotte, critica "la decisione di somministrare un trattamento non dovrebbe essere presa al di fuori di una sperimentazione clinica controllata, senza dati sulla sicurezza e l'efficacia".

Parte un'inchiesta da cui emerge chiaramente che Vannoni avrebbe messo in piedi una vera e propria frode scientifica già dalla sua domanda di brevetto rifiutata dagli Stati Uniti nella quale le immagini usate da Vannoni non rappresenterebbero le cellule neuronali soggette del suo metodo. Intanto Vannoni fa sapere tramite Facebook che per accedere ai trattamenti è d'ora in poi necessario contattare Medestea, multinazionale farmaceutica.

Il 1 luglio 2013 sarebbe dovuta cominciare la sperimentazione commissionata dal Parlamento ma Vannoni consegna i protocolli solo il primo agosto. Il 10 ottobre arriva il "no" secco al metodo Stamina: non c'è alcuna base scientifica, e non ci sarà nessuna sperimentazione. Dai verbali del Comitato scientifico emergono, scrive Nature, "serie imperfezioni e omissioni nel protocollo Stamina". Tra queste, "un'apparente ignoranza della biologia delle cellule staminali". Gli esperti rilevavano che "il protocollo non contiene un metodo per lo screening di patogeni come prioni o virus", che il metodo può generare "un mix di cellule diverse, come precursori di cellule del sangue e frammenti di osso" e che non include "un metodo per fare differenziare le cellule staminali mesenchimali in cellule nervose". Dai verbali emerge che "sezioni del protocollo sono copiate da Wikipedia".

La quantità di cellule staminali mesenchimali indicata nel protocollo Stamina equivarrebbe a quella utilizzata nei trapianti nel topo e non nell'uomo. La dose utilizzata per i trapianti cellulari nell'uomo, si osserva nei documenti prodotti dal

Comitato scientifico, è di circa due milioni per chilogrammo di peso corporeo, mentre il protocollo Stamina prevede il trapianto di due milioni di cellule in totale, come nel caso della Sclerosi laterale amiotrofica (Sla), e l'adeguamento al peso corporeo non viene indicato con una dose esatta.

7. Il metodo, bocciato, viene autorizzato dal TAR Lazio

Con la totale bocciatura da parte della comunità scientifica la vicenda sembra conclusa. Nella conferenza stampa del 10 ottobre 2013 che comunica la presa d'atto che blocca la sperimentazione delle cellule staminali mesenchimali a seguito dei pareri del Comitato scientifico e dell'avvocatura di Stato, la Ministra Lorenzin esclama: "mi sarebbe piaciuto molto che questa vicenda avesse avuto un epilogo diverso, ma il metodo Stamina non ha i requisiti per la sperimentazione".

Nonostante questo, il 4 Dicembre il TAR del Lazio accoglie la richiesta di Vannoni di sospendere il giudizio della commissione ministeriale sul suo metodo: i suoi membri, avendo già preso una posizione precedentemente al giudizio, non sarebbero imparziali; si chiede l'opinione di esponenti internazionali. Intanto anche l'Aifa, l'Agenzia per il farmaco, interviene diffidando gli Spedali Civili di Brescia "dal procedere al prelevamento e al conseguente trasferimento di campioni cellulari riferibili al cosiddetto "metodo Stamina".

8. Ultimo atto (per ora)



Il Ministero della Salute, in un comunicato del 4 Dicembre 2013 fa sapere di aver preso atto della sospensiva del Tar del Lazio nella quale viene riportata anche la "giusta preoccupazione del Ministero della salute e della comunità scientifica - che non siano autorizzate procedure che creino solo illusioni di guarigione o comunque, e quanto meno, di un miglioramento del tipo di vita, e che si dimostrino invece nella pratica inutili o addirittura dannose - può essere, anche nella specie, superata con un'istruttoria a tal punto approfondita in tutti i suoi aspetti da non lasciare più margini di dubbio, anche ai fautori del Metodo in esame, ove il procedimento si concludesse negativamente, che il Metodo stesso non è, o almeno non è per il momento, praticabile". Il Ministero comunica che "fatte salve le ulteriori valutazioni dell'Avvocatura dello Stato anche in ordine all'impugnazione della predetta ordinanza, si attiverà per l'attuazione del provvedimento del Tar e provvederà, alla nomina dei nuovi componenti del Comitato scientifico, scelti anche tra esperti stranieri. La tempestiva ripresa dei lavori del Comitato scientifico permetterà di compiere gli approfondimenti istruttori indicati dal TAR."

Intanto gli ospedali Civili di Brescia fanno sapere che per tutto il periodo di marzo, i pazienti in trattamento non riceveranno le infusioni. "Stamina foundation", ha dichiarato il commissario dell'ospedale cittadino Ezio Belleri, in un'audizione alla commissione Sanità del consiglio regionale lombardo, "ci ha comunicato che la loro biologa non sarà presente nel nostro laboratorio per tutto il mese per ragioni personali. E poiché non dispone di altri operatori in grado di agire in autonomia, il trattamento sarà sospeso.

In realtà le infusioni al Civile sono ferme da metà gennaio, dopo la lettera inviata dai nove medici appartenenti al gruppo Internal Audit Stamina, in cui comunicavano di tirarsi indietro a tutela della loro dignità personale. A febbraio, poi, c'era stata la querelle della mancata iscrizione della biologa di Stamina all'ordine dei biologi".

In attesa di vedere la fine ultima di questa dolorosa vicenda, concludiamo questa sintesi con quanto ha detto al Senato il direttore dell'Aifa, Luca Pani: il caso Stamina "è la porzione italiana di questa battaglia globale, che origina oltreoceano e persegue, in modo organizzato, l'obiettivo di modificare o cancellare regole che tutelano i malati per sostituirle con specifici interessi personali, commerciali, pseudoscientifici".

Contro questo sistema occorre l'impegno e la consapevolezza di tutti noi.

Fonti: chefuturo.it, rainews.it, lastampa.it, quibrescia.it, salute.gov.it, lastampa.it



**Intervista a
Mauro Ferrari**
Presidente Houston
Methodist Research
Institute

Lo scienziato da 50 milioni di dollari

di Serena Mingolla



La vicenda Stamina ci ha dato l'occasione di conoscere il prof. Mauro Ferrari, presidente e CEO dello Houston Methodist Research Institute, vice presidente esecutivo dello Houston Methodist Hospital, professore presso il Weill Cornell Medical College di New York e Presidente della Alliance for NanoHealth. Nonostante il gran da fare che indubbiamente deve avere svolgendo egregiamente tutti questi ruoli, ci concede immediatamente una intervista durante la quale apprezziamo da subito la sua grande umanità e la passione per il lavoro che svolge. Ferrari ci parla di persone e di malattie rare, di cronicità, di battaglie per sconfiggere il male del secolo, di misteriose (per noi) particelle di dimensioni infinitesimali che stanno rivoluzionando la medicina. Ci racconta del suo mestiere di scienziato ma anche di manager: in America non si dedica solo al microscopio, fa anche da Presidente e Amministratore Generale del Methodist, un sistema a dir poco gigantesco che comprende un Istituto di ricerca con numerosi laboratori in tanti settori della medicina e sette ospedali, per un totale di circa 16000 dipendenti. Il professore è indiscutibilmente il numero uno nella ricerca sulle Nanotecnologie e per il governo americano ha scritto e progettato il programma federale per la nanomedicina, in particolare applicata al cancro, sul quale sono stati già investiti ben 700 milioni di dollari. Ad incuriosirci del suo lungo curriculum è prima di tutto la cifra strabiliante del portfolio del suo laboratorio di ricerca: 50 milioni di dollari. Iniziamo chiedergli come si fa a trovarli...

Prof. Ferrari, come si fa a reperire tutti questi fondi per fare ricerca?

Se vogliamo essere precisi, i fondi reperiti per i Laboratori del Methodist sono molti di più. 50 milioni di dollari sono solo i fondi federali assegnati al mio laboratorio sulle Nanotecnologie. Come si fa? Intanto va detto che gli Stati Uniti investono significativamente in ricerca. La cosa veramente importante però è lavorare in maniera interdisciplinare, nel mio laboratorio creo le tecnologie di base che nascono intorno a Nanotecnologie utilizzate poi in diverse aree della medicina. Si tratta di nanoparticelle in grado di portare farmaci in giro per il corpo, utilizzate per diversi e molteplici campi. È una tecnologia di base applicata a tanti aspetti della medicina e ciò rende questo settore di ricerca particolarmente attrattivo in termini di investimenti.

Nel mondo è famoso prima di tutto per la sua battaglia

scientifica contro il cancro...

C'era un tempo in cui si pensava che il cancro fosse una malattia per la quale occorresse trovare una cura. Ora si è scoperto che molecolarmente non esistono due cancri uguali e che anche un singolo cancro ha un alto livello di instabilità genetica che si modifica nel tempo all'interno della persona. Ogni famiglia di metastasi porta mutazioni aggiuntive. Definisco i cancri "focchi di neve maligni" e questa è la vera ragione per cui è così difficile trovare delle cure: ogni cancro è malattia rara e c'è bisogno di affrontarla in maniera individualizzata, di personalizzare la cura.

Cosa sta cambiando nell'approccio al male del secolo?

Questo è il primo cambiamento: la consapevolezza che ogni Cancro in realtà è una malattia rara.

Quando troveremo la cura?

I passi avanti sono già eccezionali e oggi possiamo salvare persone che ieri non sarebbero state salvabili. I cancri che si riescono a curare sono tipicamente cancri per i quali si può intervenire chirurgicamente. La rimozione, quando è applicabile, è purtroppo ancora l'unico sistema che funziona. Se pensiamo al caso di un cancro metastatico, però, poco è cambiato rispetto alla fine della seconda guerra mondiale. Quello che possiamo fare oggi è indubbiamente lavorare per allungare la vita delle persone e migliorare la sua qualità.

Quindi anche quando parliamo di Cancro dobbiamo affrontare l'importante tema della cronicità?

L'obiettivo è proprio questo, trasformare il tumore in malattia cronica, così come si è riusciti a fare per l'Aids. Questo traguardo



costruire con l'impiego di diversi strumenti fra i quali appunto le nanotecnologie. Personalizzare una terapia significa veicolare il farmaco giusto laddove la malattia ha colpito. Il sogno è annullare la tossicità, gli effetti collaterali, le resistenze. La medicina quindi deve aiutarci a riflettere su ogni specifico caso per capire quale sia l'approccio giusto, un approccio invasivo o un approccio di mantenimento. In tanti casi, tipo il tumore alla prostata, le evidenze scientifiche ci dicono che esiste la possibilità di coabitare con il proprio cancro tenendo sotto controllo la malattia. Vivere con ciò che ci fa paura è una scelta forte ed è una scelta che può essere fatta unicamente dal paziente nella sua piena autonomia.

I suoi studi sulle Nanotecnologie potranno essere utili per le Malattie Reumatiche?

Stiamo creando nano particelle multifunzionali in grado di trasportare contemporaneamente più farmaci, o un prodotto curativo o un agente di contrasto, ma anche di essere attive di per sé o attivate dall'esterno dopo aver raggiunto il loro preciso bersaglio. Queste particelle possono rilasciare farmaci a tasso controllato per lunghissimi periodi di tempo con un controllo accurato sui tassi di rilascio. Sono utili per esempio per trasportare i farmaci iniettati sistemicamente essendo in grado di veicolarli in un punto preciso dell'organismo. Questo potrebbe essere molto importante anche per le malattie reumatiche.

Cosa ci dice dell'Italia?

In Italia c'è tantissimo talento, profondità, qualità personale. Nonostante le difficoltà oggettive che ci sono in questo momento

soprattutto per i giovani, continuo ad essere molto ottimista sul futuro del nostro paese. I ricercatori italiani che sono qui con me allo Houston Methodist Research Institute sono brillanti e hanno una grande energia. Quello che cerco di fare da qui è portare nel nostro Istituto giovani che possano fare una importante esperienza, crescere, decollare e poi tornare in Italia per fare di questa esperienza un patrimonio italiano.

Il prof. Mauro Ferrari ci fa vedere i suoi stivali da cowboy. Li porta perchè gli piacciono ma anche perchè rappresentano un modo per manifestare il suo rispetto verso la comunità locale. Finita l'intervista, ci dispiace che non viva e lavori in Italia, ma siamo fieri che dall'altra parte dell'oceano ci sia uno come lui a tenere alto il nome del nostro Paese.

Non ci sono ancora novità ufficiali rispetto al nuovo Comitato Scientifico deputato ad esprimersi in via definitiva sul Metodo Stamina. Seppur tra mille polemiche mediatiche l'ultimo comunicato ufficiale al riguardo del ministro della salute, Beatrice Lorenzin del **30 dicembre 2013**, recitava così:

“È stata individuata la figura di un presidente garante di alto livello, non della materia, ma riconosciuto internazionalmente per qualità scientifica, accompagnato da due esperti di staminali stranieri, due esperti italiani più due clinici, uno di interesse metabolico e uno neurologico, entrambi noti in campo di terapia cellulare”.

Questo Presidente sarebbe dovuto essere Mauro Ferrari. Ma siamo in Italia e le cose cambiano di giorno in giorno...

Intervista a
Luca Pani
Direttore
Generale AIFA



L'AIFA verso una nuova cultura del farmaco strumenti e strategie per il coinvolgimento pro-attivo dei cittadini

di Raffaella Arnesano



L'Agenzia Italiana del Farmaco - AIFA, istituita con la Legge 326 del 2003, è l'istituzione pubblica che autorizza e controlla i farmaci immessi sul mercato in Italia e che garantisce la loro qualità e sicurezza. È compito dell'Agenzia del Farmaco, infatti, autorizzare l'immissione in commercio dei nuovi farmaci, monitorare costantemente la rete di farmaco-vigilanza e vigilare sulla produzione delle aziende farmaceutiche. Obiettivo primario di questo organismo è quello di tutelare la salute promuovendo una nuova politica del farmaco ed una informazione corretta e indipendente sui farmaci rivolta a cittadini e operatori del settore."

Prof. Pani, dall'ultimo rapporto nazionale sull'uso dei farmaci in Italia è emerso che gli Italiani abusano del farmaco, in particolare antinfiammatori ed antibiotici, trattandolo come "bene di consumo", non considerando i danni che ciò comporta in termini di salute personale, ma anche economica

ed ambientale del nostro territorio. Come possiamo fare per cambiare questo pericolosissimo trend?

Il primo passo da fare è di certo quello di costruire una nuova cultura del farmaco. L'AIFA è da tempo impegnata a sostenere strumenti e strategie per creare, tra i cittadini, un clima di consapevolezza sull'uso del farmaco. A confermare la valenza del percorso intrapreso vi sono i dati consolidati al 2012: una spesa pro capite di circa 430 euro, 1,8 miliardi di confezioni e una media di 21 dosi giornaliere di antibiotico ogni mille abitanti, ci indicano una flessione nell'uso dell'antibiotico di circa il 6% nell'ultimo anno, rispetto all'anno precedente. Questo risultato è stato raggiunto anche grazie alle grandi campagne di comunicazione rivolte a tutti i cittadini per sensibilizzarli ad usare gli antibiotici solo se strettamente necessario. La resistenza agli antibiotici, infatti, diventa un problema non trascurabile per l'individuo, per la specie a cui esso appartiene e per l'ambiente. Ed anche

sull'ambiente AIFA è impegnata su un progetto molto innovativo attraverso il quale si cerca di simulare, sul computer, quale sarà l'impatto ambientale, ovvero la tossicità acquatica dei composti. L'attenzione alla riduzione dell'impatto ambientale del farmaco è una priorità dettata dall'EEA (Agenzia Europea dell'Ambiente) che scientificamente, e con accurati progetti di ricerca, migliora la conoscenza su questo importante e non più trascurabile argomento.

Oggi si parla moltissimo di farmacovigilanza come strumento per la tutela della salute dei cittadini, ce ne può spiegare il significato?

La farmacovigilanza, come dice la parola stessa, è la vigilanza sugli



effetti dei farmaci che hanno ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio. Per molti anni si è intesa come farmacovigilanza la sola attività di reportistica sugli effetti collaterali. Oggi è ancora questo ma si è aggiunta, oltre la valutazione della sicurezza del farmaco, una parte nuova ed importante: l'analisi della mancata efficacia del farmaco. La mancata efficacia del farmaco vale per noi come un effetto collaterale da ricercare e segnalare. Spesso di un farmaco sentiamo dire "non fa niente, non ha effetti collaterali, quindi lo prendo lo stesso". Questa posizione non solo è sbagliata da

un punto di vista medico-scientifico, ma è anche pericolosa poiché impedisce di prendere altre terapie e sottopone tutti gli altri organi bersaglio ad un lavoro inutile. Noi dell'AIFA lavoriamo costantemente sull'argomento della farmacovigilanza chiedendo anche ai cittadini di aiutarci, con le loro segnalazioni, a studiare gli effetti dei farmaci. Ciò che ci impegniamo a fare è rendere proattivo il cittadino coinvolgendolo attraverso azioni costanti di partecipazione. A tal proposito sul sito www.agenziafarmaco.gov.it si potrà trovare una sezione dedicata, ed una APP da scaricare, per tutte le segnalazioni riguardanti il farmaco. Devo dire che i cittadini rispondono bene con un numero di adesioni nel 2013 (2309 segnalazioni nel 2013 pari al 5,3% del totale) di molto superiore rispetto al 2012 (633 segnalazioni nel 2012 pari al 2% delle segnalazioni totali).

Come associazione di persone affette da patologie reumatiche siamo molto interessati alla tematica aperta sui "biosimilari", cosa dobbiamo attendere nel futuro?

L'AIFA è stata tra le prime agenzie europee a rilasciare un Position paper, un manoscritto di posizione, sui farmaci biosimilari. Un documento prodotto allo scopo di promuovere la conoscenza e l'utilizzo di questi farmaci. Parto dal presupposto che i farmaci biosimilari saranno fondamentali per il mantenimento della sostenibilità economica futura. Teniamo conto che i farmaci equivalenti sono praticamente quasi terminati, ci sarà una ondata nel 2015 e qualcosa nel 2017, e poi buona parte della sostenibilità si giocherà con i biosimilari. Da un punto di vista scientifico e tecnico queste molecole hanno l'equivalenza rispetto ai farmaci di riferimento e sono assolutamente adeguati ad iniziare qualsiasi terapia che richieda l'uso del Biologico. Per quanto riguarda lo switch, ovvero il passaggio da un farmaco biologico ad un farmaco biosimilare, questo deve essere fatto sotto controllo medico, poiché le condizioni di assoluta identità farmaceutica non ci sono, viste alcune caratteristiche dei biosimilari. Ci tengo però a sottolineare che questo aspetto non deve assolutamente impedire l'esplorazione dei biosimilari ma che bisogna sempre agire in modo scientifico, senza pregiudizi, e con il prezioso aiuto dei pazienti.

Dal territorio della Provincia di Lecce presto partirà il progetto "GreenHealth - Fai la differenza - campagna di sensibilizzazione per un uso consapevole e senza sprechi del farmaco, a firma APMAR, finanziato da Fondazione con il Sud e con il partenariato dell'AIFA. Quanto è importante fare rete per sviluppare "empowerment" tra i cittadini e per cambiare la visione che hanno del farmaco?

Personalmente ci credo moltissimo, l'ascolto e la condivisione non possono che produrre un clima propositivo ed innovativo. Ecco perché ho voluto lanciare l'iniziativa "Open AIFA" dedicata all'istituzionalizzazione degli incontri al fine di garantire un dialogo diretto con tutti gli interlocutori. Ogni mese chiunque può venire e presentare problematiche che riguardano il farmaco direttamente alla Direzione Generale. Sono state centinaia le persone incontrate nel corso degli anni: cittadini, colleghi, industriali, associazioni di volontariato. Dall'ascolto sono nate non solo idee e prospettive nuove ma anche vere e proprie determine pubblicate sulla Gazzetta ufficiale. La mia personale visione della Direzione Generale è di scendere dalla torre eburnea ed entrare tra i problemi della gente che utilizzano il farmaco. Abbiamo dato il nostro partenariato al progetto Green Health perché è in linea con la nostra filosofia che punta a trovare occasioni di dialogo tra i portatori di interesse, che in questo settore non sono molto numerosi: sono i pazienti, i prescrittori a vari livelli, i produttori dei farmaci, gli altri Enti Regolatori Europei. Se si scoprisse, attraverso le azioni progettuali, qualcosa di interessante, su un determinato farmaco o su determinati sprechi, i risultati non potranno restare alla Provincia di Lecce, e non basterà che rimangano alla Regione Puglia, ma sarà nostro dovere portarli oltre i confini dell'Italia, a nome della salute di tutti i cittadini, non solo del nostro Paese. Questa è la visione di universalità e di solidarietà propria dell'AIFA e contenuta nei progetti come Green-Health.

Intervista a
**Marco Matucci
Cerinic**
Presidente SIR



Il Congresso Internazionale sulla Sclerodermia. Obiettivo diagnosi precoce

di Raffaella Arnesano

Dopo il primo Congresso a Firenze nel 2010 e il secondo a Madrid nel 2012, si è svolto a Roma dal 6 all'8 febbraio scorso il terzo Congresso Mondiale sulla Sclerosi Sistemica (Sclerodermia), malattia reumatologica altamente invalidante, la cui causa è ancora sconosciuta. Colpisce in Italia circa 30.000 persone, 1.000 nuovi casi ogni anno, soprattutto donne.

L'evento, che ha unito le migliori specificità dei precedenti congressi, ha visto la partecipazione attiva di medici specialisti di varie discipline e pazienti provenienti da diversi Paesi del mondo. Ne parliamo con il prof. Marco Matucci Cerinic di Firenze, Professore di Reumatologia, Direttore della Divisione di Reumatologia e del Centro di Riferimento Regionale sulla Sclerosi Sistemica dell'Università di Firenze, Presidente della Società Italiana di Reumatologia, nonché uno dei maggiori conoscitori della malattia.

Prof. Matucci, come nel precedente Congresso svoltosi a Madrid, ha presieduto il Congresso di Roma sulla Sclerodermia. Quali sono stati i principali risultati di questa edizione?

Dal congresso di Roma, atteso da circa 1400 persone, è emerso chiaramente che per la Sclerosi Sistemica, malattia solitamente ritenuta incurabile, oggi abbiamo nuove terapie che sono caratterizzate soprattutto dai farmaci biologici. Con i farmaci biologici si ha una comprovata capacità di migliorare i parametri relativi alla qualità della vita dei pazienti trattati.

Un aspetto che ci sta a cuore è quello relativo all'insorgere della Sclerodermia in età pediatrica. Cosa ci può dire al riguardo?

La sclerodermia pediatrica è uguale a quella degli adulti e, così come per gli adulti, si divide fondamentalmente in due varianti: una forma detta "limitata", con una progressione più lenta della patologia, ed una forma detta "diffusa", molto più aggressiva e con una più ridotta possibilità di sopravvivenza. Anche la tipologia dei farmaci utilizzati è la medesima sia per gli adulti, sia per i bambini. Attualmente non abbiamo dei dati certi sull'incidenza



della patologia in età pediatrica ma sappiamo che la forma di Sclerodermia che più colpisce i bambini non è quella sistemica, bensì quella localizzata. La Sclerodermia localizzata è una patologia che coinvolge la cute e interi settori di arti.

Cosa possiamo aspettarci dalla ricerca sulla Sclerodermia nei prossimi anni?

La ricerca ha fatto dei notevoli passi avanti, portandoci a scoprire alcuni nuovi settori molto importanti. Sicuramente nel prossimo quinquennio dovremo migliorare e puntare alla scoperta di nuovi farmaci. In questo momento si nutre molto

interesse verso la terapia, essenzialmente legato alla capacità che abbiamo di identificare gli snodi fondamentali sui quali poter fare inizialmente la diagnosi e successivamente la terapia. Inoltre abbiamo delle importanti novità terapeutiche come ad esempio quelle effettuate con il trapianto delle cellule staminali. Terapia fondamentale poiché, ad oggi, rappresenta una delle poche terapie particolarmente efficaci, soprattutto per i pazienti più gravi.

é importante l'approccio personalizzato sul singolo paziente sclerodermico e in cosa si traduce?

Partiamo dal presupposto che la Scleroderma è una malattia molto eterogenea. Attualmente abbiamo la possibilità di fare una diagnosi precoce della patologia ed anche di personalizzare la terapia a secondo della caratteristica della malattia. Va evidenziato che la Scleroderma colpisce diversi organi quindi la terapia va calibrata sulle necessità del singolo paziente. Ovviamente ci sono alcune terapie generali, quale quella immunosoppressiva, il resto deve essere definito analizzando le reali problematiche del soggetto.

Questo numero della nostra rivista è dedicato al tema delle cellule staminali, se ne è parlato anche riguardo alla Scleroderma... ci può spiegare in che termini?

Il trapianto di cellule staminali nelle malattie reumatiche sistemiche, come la Scleroderma è una opzione terapeutica oggi possibile. Noi abbiamo due metodologie: la prima è quella di trattare pesantemente il paziente, attraverso dosaggi molto elevati, la seconda invece viene utilizzata al fine di recuperare il paziente quanto più rapidamente possibile. In sintesi possiamo dire che la tecnica che chiamiamo "trapianto di cellule staminali" non è altro che una tecnica particolareggiata che ci permette di recuperare in modo più rapido il paziente.

Abbiamo recentemente perso un membro del nostro Direttivo affetta da Scleroderma. Può dare un messaggio di speranza ai nostri lettori?

Ovviamente sì. Per questo tipo di patologia è fondamentale intervenire con una diagnosi precoce, sia negli adulti sia nei bambini. Se noi abbiamo la capacità di arrivare precocemente ad una diagnosi avremo anche la possibilità di arrivare ad una terapia in grado di fare recuperare rapidamente il paziente. Tutto ciò a patto che questo sia fatto in tempo reale. Una diagnosi in fase precoce è l'elemento che sicuramente cambia l'aspettativa e la qualità della vita dei pazienti.

Cellule staminali contro la tubercolosi multiresistente

Secondo uno studio su *The Lancet Respiratory Medicine* le cellule staminali provenienti dallo stesso midollo osseo del malato potrebbero essere usate nel trattamento della tubercolosi (TB) resistente ai farmaci.

"Il trattamento convenzionale usa una combinazione di antibiotici antitubercolari piuttosto tossici per i pazienti, specie se usati per i lunghi periodi previsti dai protocolli terapeutici" - dice Markus Maeurer, ricercatore all'Istituto Karolinska di Stoccolma e coordinatore dello studio. Viceversa, l'approccio con cellule stromali autologhe è sicuro e potrebbe riparare il danno infiammatorio subito dal tessuto polmonare, migliorando i tassi di guarigione.

Secondo l'OMS in Europa orientale, Asia e Sud Africa sono quasi mezzo milione le persone ammalate di TB con resistenze multiple ai farmaci, e circa metà di esse non rispondono alla terapia.

"I germi della tubercolosi innescano una risposta infiammatoria che stimola una reazione immunitaria da cui deriva il danno tessutale" - continua il ricercatore, spiegando che le cellule stromali mesenchimali del midollo osseo (MSC) migrano verso le aree di danno polmonare e infiammazione cercando di riparare i tessuti danneggiati. E in questo studio preliminare di fase 1, a 30 pazienti con TB multiresistente di età compresa fra 21 e 65 anni sottoposti a trattamento antibiotico convenzionale sono state infuse circa 10 milioni di cellule stromali autologhe. "Le cellule erano state prelevate in precedenza dal midollo osseo di ogni paziente, quindi coltivate e moltiplicate in laboratorio prima di essere di nuovo trasfuse" prosegue Maeurer, precisando che l'infusione è stata generalmente ben tollerata. E dopo 18 mesi di follow up, 16 pazienti su 30 trattati con MSC sono stati dichiarati guariti rispetto a 5 su 30 con TB non trattata con MSC. E in un editoriale di commento Robert Wilkinson, dell'Imperial College di Londra, Regno Unito, osserva: "Nel trattamento della TB la possibilità di indagare su una crescente gamma di terapie biologiche specifiche o la riproposizione di agenti antiinfiammatori già esistenti continua ad attrarre l'interesse. Ma se la relativamente complessa e costosa terapia con MSC farà parte della lista resta ancora da stabilire".

The Lancet Respiratory Medicine, Early Online Publication, 9 January 2014



...E piantiamola!

A Racale in Puglia il primo "cannabis social club d'italia" per l'utilizzo della canapa a fini terapeutici

di Serena Mingolla

Parte da Racale, una piccola cittadina del Salento, una rivoluzione pacifica ma determinata che si è imposta a livello nazionale attraverso una grande risonanza mediatica. In questo piccolo centro dell'estremo sud d'Italia è nata **LapianTiamo**, un'Associazione No Profit che promuove l'uso terapeutico della canapa medicinale attraverso la coltivazione e l'approvvigionamento ai pazienti affetti da patologie come sclerosi multipla, cancro e tantissime altre. LapianTiamo fornisce supporto informativo e morale alle persone che devono convivere quotidianamente con i sintomi di malattie gravi e soprattutto incentiva attività di ricerca sui vantaggi della canapa medicinale. Il **CSC** è una novità assoluta nel panorama italiano che vede ancora criminalizzata la pianta dalla quale molti malati in tutto il mondo ottengono enormi benefici. La promotrice dell'iniziativa è Lucia Spiri e noi l'abbiamo intervistata per voi.

Lucia, ci racconti la tua storia?

La mia storia è quella di tante altre persone che da un giorno all'altro si ritrovano a fare i conti con la realtà della vita. Ero diciottenne (ma già in adolescenza accusavo alcuni sintomi) quando durante gli esami di maturità arrivai a scuola che non ero in grado né di camminare né di parlare. Il passaggio dai banchi al letto d'ospedale è stato brevissimo, per poi avere una diagnosi di "malattia demielinizzante" quando ancora stavo per decidere cosa diventare e che ruolo assumere nella società. Dal 2000 quindi ho iniziato ad assumere tutti i farmaci convenzionali che diversi medici sparsi in diversi centri mi hanno prescritto, fino ad arrivare a conoscere la canapa quasi per caso, riconoscendola come l'unica sostanza in grado di migliorare nettamente la mia qualità di vita. Già nel 2002/2003 chiedevo negli ospedali un modo per accedere alle terapie con farmaci cannabinoidi, ma l'unico consiglio dei medici era quello di trovare un buon "pusher" in grado di "garantirmi" la continuità terapeutica che ora ho grazie al Bedrocan che mi viene fornito gratuitamente dal SSR pugliese ormai dal giugno 2011 (e sottolineo che nessun pusher può garantire la qualità di ciò che spaccia).

Quando e come nasce l'idea del Cannabis Social Club... qual è il vostro progetto?

L'idea del Cannabis Social Club è nata insieme ad **Andrea**

Trisciuglio e il mio compagno di una vita, oggi marito, **William Verardi**. Ci chiedevamo come mai fossimo solo due pazienti a "beneficiare" della gratuità del farmaco mentre intorno a noi tutti gli altri erano costretti a vivere nell'illegalità coltivando in casa delle piante di canapa o rivolgendosi al mercato nero per lenire le proprie sofferenze o quelle dei propri familiari. Prima di LapianTiamo siamo stati due cittadini malati che, insieme all'ex onorevole **Rita Bernardini** Segretario dei Radicali Italiani, hanno manifestato con una disobbedienza civile il 18 giugno 2012 all'interno della Camera dei Deputati. Durante la conferenza stampa sono stati piantati alcuni semi di cannabis per creare un dibattito URGENTE sulle attuali condizioni di migliaia di malati che in Italia non riescono ad accedere a tali terapie, ormai riconosciute da anni e inserite dalla legge italiana nella tabella II degli stupefacenti al pari delle benzodiazepine (le xanax, per intenderci). Da quell'iniziativa sono stati in centinaia, migliaia, a contattarci e, vedendo quello che accade tutt'ora all'estero (vedi Spagna, Belgio, Repubblica Ceca, Uruguay, Colorado...), abbiamo pensato di crearci un luogo dove coltivare e approvvigionarci, come malati, della canapa terapeutica che noi stessi vogliamo produrre. Il grosso numero di persone che si sono unite alla nostra battaglia ci ha condizionato talmente tanto da dover pensare in grande, e quindi abbiamo richiesto l'aiuto della Regione Puglia in primis, perché è l'unica regione in Italia al momento che garantisce, anche se per pochi pazienti, l'accesso e la gratuità del Bedrocan e similari. Dopodiché, anche le ASL e le Università sono state contattate (e molte ci hanno contattato personalmente) per avviare un discorso di collaborazione che permetterà di creare un polo di ricerca, riabilitazione e cura unico in Italia (se non in Europa o nel mondo). Stiamo lavorando insieme a biologi, agronomi, medici e professionisti di diversi settori per realizzare un progetto pilota in grado di partire quanto prima, vista l'urgenza...

Nel 2010 una Direttiva regionale ha permesso l'accesso gratuito a cure alternative per la Sclerosi Multipla. I medici ne sono informati? è diventato più facile accedere alla terapia con la canapa?

La direttiva regionale del 2010 l'abbiamo portata in Regione

proprio insieme all'amico Andrea Trisciuglio, il Segretario di LapianTiamo. Crediamo e siamo certi di quello che affermiamo quando diciamo che i medici informati sulla cannabis terapeutica si contano sulla punta delle dita. Non si spiegano altrimenti le centinaia di richieste d'aiuto che ci arrivano ogni settimana, anche dalla stessa Puglia, per sistemare le falle che impediscono l'accesso a tali farmaci a tantissime persone affette da diverse patologie. Ricordo infatti che la delibera

Anche noi siamo una Associazione di Pazienti. Come possiamo aiutarvi?

Tra Associazioni di pazienti bisogna creare reti di informazione e sfruttare le conoscenze acquisite tramite le esperienze personali, condividendole con quante più persone possibili. Il motto di LapianTiamo è "Un aiuto reciproco tra malati"...la rivoluzione parte da noi.



pugliese non è perfetta.

Siete pionieri di una realtà nuova. C'è un motivo per cui è nata nel Salento e non altrove?

LapianTiamo è nata a Racale perchè io sono di Racale e perchè abbiamo un Sindaco e una comunità che abbraccia la nostra causa. Qui le persone mi hanno vista crescere, ammalarmi e ora ricominciare a sorridere. Credo sia importante che una realtà del genere sia nata in una piccola cittadina come la nostra, perchè alla fine ci si conosce tutti.

Avete dalla vostra la solidarietà del Sindaco di Racale Donato Metallo e del Presidente della Regione Puglia Nichi Vendola. Qualcuno si è mosso a livello nazionale?

Oltre al Sindaco Donato Metallo e il Presidente Nichi Vendola abbiamo l'appoggio della Regione Puglia, dell'intera nazione e messaggi di stima, di affetto e di aiuto ci giungono dal resto del mondo. Attendiamo risposte dal Ministero, anche lì "ci conoscono e sanno tutto di noi".

Ultimamente si parla di nuovo molto della liberalizzazione per fini terapeutici, credi sia arrivato il momento della svolta?

Con un minimo di presunzione, possiamo certamente dire che si parla di cannabis terapeutica e di legalizzazione perchè siamo nati noi. Erano anni che si attendeva una svolta, e come diceva mio marito nell'ormai famoso video delle lene: "persone malate stanno facendo la storia, stanno facendo quello che le persone sane avrebbero dovuto fare da anni".

Dopo la nostra intervista a Lucia, la vicenda annosa legata all'utilizzo della cannabis per uso terapeutico sembra essere arrivata ad una vera e propria svolta.

Il Governo infatti ha deciso di non impugnare la legge 4 del 2014 promulgata nello scorso gennaio dalla Regione Abruzzo nella quale era prevista l'erogazione su ricetta medica dei farmaci galenici a base di cannabinoidi. Mentre altre leggi regionali al riguardo erano state impuginate dal Governo Monti, sulla mancata impugnativa della legge regionale dell'Abruzzo il ministro della Salute Beatrice Lorenzin ricorda "che in Italia l'uso terapeutico di cannabinoidi è pienamente legittimo", e che "Le Regioni possono decidere di porre il relativo costo a carico del Servizio Sanitario Regionale. Ciò è già stato deciso in molte Regioni".

Sembrerebbe che sia arrivato il tempo per la caduta dei numerosi tabù che sino ad oggi hanno gravato sull'uso terapeutico dei cannabinoidi.

In particolare, la legge promulgata in Abruzzo, apre alla prescrizione dei medici di famiglia, che dovranno attenersi al piano terapeutico redatto da un medico specialista, e prevede la possibilità di trattamento anche domiciliare». La `legge Acerbo` prevede inoltre che la Giunta regionale possa stabilire convenzioni con centri attrezzati per la produzione e la preparazione dei farmaci."

Una ricerca misura le performance dei Sistemi Sanitari Regionali, con l'aiuto di APMAR



di Raffaella Arnesano



Il 21 gennaio 2014 si è tenuto a Roma il convegno che ha presentato i risultati del progetto del CREA Sanità – Consorzio per la Ricerca Economica in Sanità dal titolo “Una misura di performance dei SSR”. Il progetto, guidato dal **Prof. Federico Spandonaro**, promosso dall’Università di Tor Vergata e dalla Fimmg - Federazione Italiana Medici di Famiglia, è stato realizzato grazie al supporto di un qualificato panel di esperti, provenienti da diversi settori economici e sociali che, a vario titolo, si occupano di Salute e Sanità, tra cui APMAR.

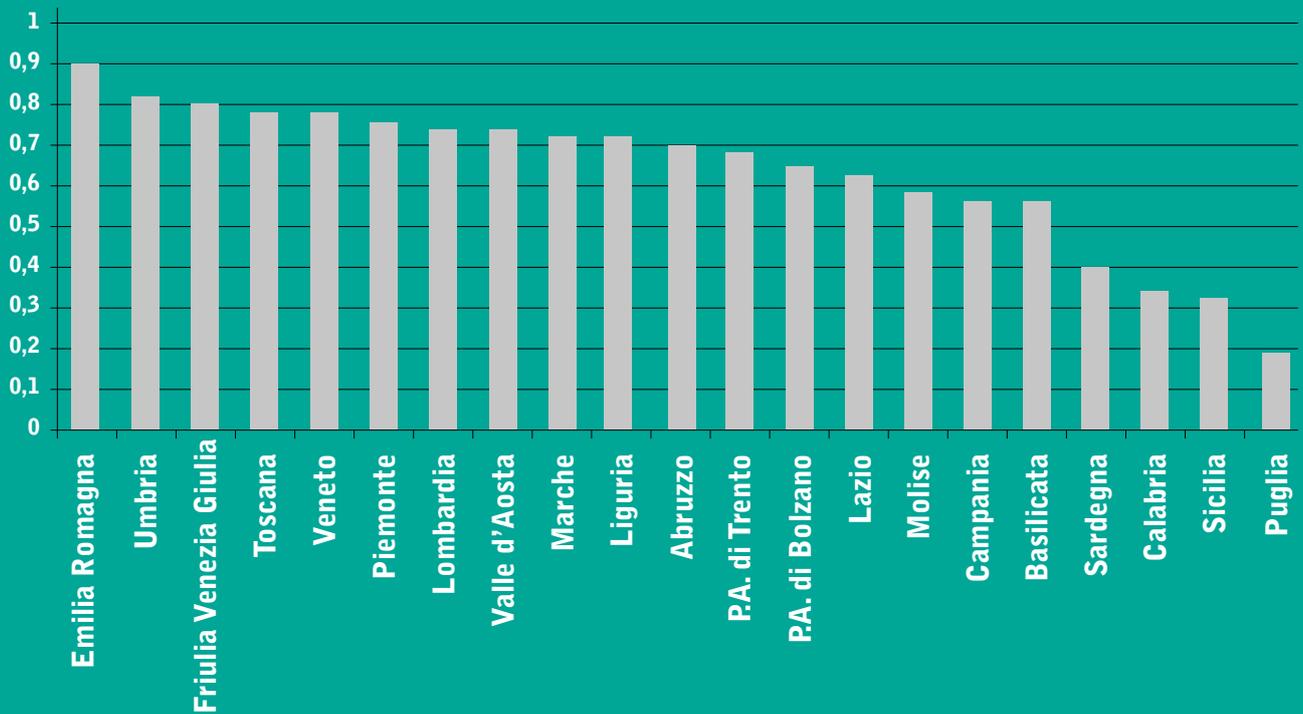
Estremamente innovativa la metodologia individuata basata su un percorso partecipativo che ha misurato il grado di soddisfazione dei diversi Sistemi Sanitari Regionali (SSR), considerando il valore che i differenti stakeholder, sulla base delle loro differenti esperienze e visioni, hanno attribuito ad una serie di indicatori selezionati.

Sono stati individuati 34 portatori di visioni provenienti da tutta l’Italia appartenenti a cinque categorie: Utenti (associazioni

dei cittadini, sindacati, stampa), Professioni sanitarie (medici di famiglia, ospedalieri, del servizio di emergenza urgenza 118, infermieri, farmacisti), Management aziendale (Direttori Generali, Sanitari e Amministrativi), Istituzioni (Assessorati regionali, Agenzia Nazionale della Sanità, Agenzia Italiana del Farmaco) e Industria Farmaceutica. Tutti chiamati ad esprimere il loro autorevole “punto di vista” in relazione al complesso mondo della Sanità. Il tema cardine è stato l’attenzione verso l’accountability delle politiche pubbliche e quindi anche di quelle sanitarie, un’attenzione che è cresciuta notevolmente e che necessita di sistemi e metodi di valutazione che possono definire un’analisi dei bisogni puntuale ed in grado di determinare cambiamenti, oramai urgenti.

I risultati della ricerca.

Dall’analisi della misura della performance ottenuta, sintesi delle preferenze espresse da tutte e cinque le categorie di stakeholder rappresentata nel Panel di Esperti, l’indice oscilla



Fonte: Elaborazione CREA Sanità su preferenze espresse dal panel



Maddalena Pelagalli, Referente per i Rapporti Istituzionali di APMAR e delegata a partecipare al progetto

da un massimo di 0,95 ad un minimo di 0,52, il primo valore associato al SSR dell'Emilia Romagna e il secondo a quello della Regione Puglia. Una mera "interpretazione grafica" fa emergere 4 Regioni "complessivamente eccellenti" (Emilia Romagna, Friuli Venezia Giulia, Veneto, Umbria), un folto gruppo di Regioni "con performance complessive in media accettabili" e un gruppo di Regioni con performance complessive progressivamente peggiori che comprende tutto il meridione più Bolzano e Lazio. Va però evidenziato che differenti stakeholder sono portatori di diverse valutazioni delle Performance dei SSR e se l'Emilia Romagna conserva anche nelle diverse prospettive la prima posizione, le altre posizioni cambiano a volte anche significativamente. Ad esempio la Puglia "cede" l'ultima posizione secondo le prospettive relative alle categorie del Management aziendale, delle Istituzioni e dell'Industria farmaceutica rispettivamente a Lazio, Calabria e Sicilia, mentre la categoria degli Utenti premia maggiormente Umbria e Toscana. I risultati ottenuti dimostrano che è fondamentale individuare una misura di Performance, complessiva sintesi delle diverse prospettive dei diversi stakeholder.

"Essere nel panel degli esperti, a sostegno del progetto "una misura di Performance del SSR", è stato per APMAR oltre che interessante anche molto costruttivo – spiega **Maddalena Pelagalli**, Referente per i Rapporti Istituzionali di APMAR e delegata a partecipare al progetto – abbiamo appreso una nuova metodologia di lavoro che ha saputo coinvolgere, in tutti i momenti della ricerca, ogni categoria individuata. La speranza è che la nostra competenza e posizione possa essere utile a mettere in evidenza i "bisogni" dei cittadini affetti da patologie reumatiche che si traduca in un miglioramento della performance dei diversi Sistemi Sanitari Regionali"

A.P.M.A.R. aderisce a:



Associazione Persone con Malattie Reumatiche Onlus - Ente di Volontariato
C.F.93059010756 - P.IVA 04433470756

SEDE NAZIONALE

Sede Legale

c/o U.O. di Reumatologia P.O. "A. Galateo"
73016 San Cesario di Lecce - LE

Sede Operativa

Via Miglietta, n.5

731100 Lecce

Tel./Fax +39 0832 520165

info@apmar.it

www.apmar.it

Se hai voglia di condividere gli scopi e le finalità dell'Associazione, o di contribuire in maniera attiva, contattaci!

Se vuoi far parte dell'Associazione, la quota associativa minima è di 20 euro.

Puoi effettuare un versamento sul conto corrente:
c/c postale 70134218

oppure un bonifico su:

Banca Prossima

IBAN: IT46G0335901600100000011119

Intestato a A.P.M.A.R. Associazione Persone con Malattie Reumatiche - Onlus

Numero Verde

800 984 712

È ATTIVO IL NUMERO VERDE APMAR

Dal LUNEDÌ al VENERDÌ
MATTINA dalle ore 9.00 alle ore 12.00
POMERIGGIO dalle ore 16.00 alle ore 19.00

- Lunedì pomeriggio Psicologo
- Martedì pomeriggio Pediatra
- Mercoledì pomeriggio Reumatologo (dalle 16.30 alle 17.30)
- Venerdì pomeriggio Psicologo

con contributo incondizionato di

