

## «ECCO PERCHÈ ABBIAMO BOCCIATO STAMINA»

Nell'ultimo anno si è sentito tutto e il contrario di tutto. Il clima è diventato bollente. Le versioni di fatti si sono accavallate e annullate a vicenda.

Così, il direttore generale dell'Agenzia Italiana del Farmaco Luca Pani, intervenuto X Congresso dell'Associazione Luca Coscioni, ha voluto ricostruire la vicenda Stamina e spiegare come la sfilza di No imposti a Davide Vannoni e al suo team non siano figlie di una posizione preconcetta, né di loschi complotti tesi a difendere la posizione delle aziende farmaceutiche, ma più semplicemente l'applicazione delle regole. Quelle stesse regole messe a punto per proteggere i malati.

Tutto comincia nel maggio 2012, racconta Pani, quando «l'Aifa è stata coinvolta dal Nucleo Anti Sofisticazioni dell'Arma dei Carabinieri nell'ambito di un'inchiesta di polizia giudiziaria avviata dalla Procura di Torino per ispezionare i laboratori degli Spedali Civili di Brescia. L'esito dell'ispezione mette in evidenza una serie di gravi carenze nelle procedure e porta all'emanazione di un'ordinanza Aifa, tempestivamente pubblicata sul sito».

Si passa così «a un'ispezione secondaria da parte del ministero della Salute, a cui partecipano, oltre a rappresentanti del ministero, anche rappresentanti dell'Istituto superiore di sanità, del Centro nazionale trapianti, dei Nas, dell'Aifa, della Regione Lombardia e degli Spedali Civili di Brescia documentata in 388 pagine di atti ufficiali che confermano le conclusioni dell'ordinanza Aifa, che a tutt'oggi rimane valida perché non sospesa né giudicata illegittima dal punto di vista amministrativo».

Fin qui tutto normale. Qualcuno sbaglia, le autorità sanzionano. Ma siamo in Italia e le cose non sono così lineari. «In qualunque altro paese del mondo in cui esiste un'agenzia regolatoria che ha come mandato principale la verifica della sicurezza dei medicinali questa vicenda non avrebbe avuto ulteriore seguito», dice Pani.

Da noi, invece, il laboratorio di Brescia comincia a somministrare i trattamenti di Stamina in virtù di sentenze emesse da giudici del lavoro interpellati dai pazienti in nome del diritto di cura.

Sentenze, che tuttavia poggiano su interpretazioni delle leggi, quanto meno audaci.

**Cosa significa compassionevole?** - «Ci sono due riferimenti normativi a cui spesso ci

si rifà per argomentare che questi trattamenti possano continuare ad essere effettuati a Brescia nonostante l'ordinanza dell'Aifa e sono entrambi o sbagliati o interpretati in maniera erronea», spiega Pani. «Il primo è il Decreto Ministeriale del 2003 che regolamenta l'uso terapeutico dei medicinali sottoposti a sperimentazione clinica, in cui si impiega in modo scorretto il termine "uso compassionevole". Questo decreto prevede che i medicinali vengano prodotti all'interno di laboratori autorizzati e controllati e che il farmaco che si vuole impiegare esista già in produzione per una sperimentazione clinica per cui si sta chiedendo in quel momento l'inclusione del paziente in oggetto, quando non esisterebbe una valida alternativa. Al medico o a un gruppo di medici o associazioni mediche che lo richiedono per i propri pazienti il medicinale viene appunto fornito in maniera compassionevole dall'azienda produttrice».

Non è questo il caso di Stamina. Non esiste alcuna sperimentazione in corso sul metodo. O meglio, non esiste alcuna sperimentazione che rispetti le regole del gioco, giacché anche sperimentare un farmaco risponde a regole ferree che nessuno che voglia mettere a punto un nuovo prodotto terapeutico può ignorare.

«Il termine compassionevole viene poi richiamato impropriamente con riferimento ad un secondo Decreto Ministeriale, quello del 2006, che parla di utilizzazione di medicinale per terapia genica o per terapie cellulari somatiche questa volta al di fuori di sperimentazioni cliniche in corso», ha aggiunto il direttore generale dell'Aifa. «In entrambi i Decreti si parla in maniera chiara di uso di medicinali, non si è mai parlato di trapianti di cellule e di tessuti e inoltre, tra le motivazioni che giustificano l'uso compassionevole, si fa riferimento ad un immediato pericolo di vita per il paziente e alla mancanza di valide alternative terapeutiche».

Spesso anche quest'ultimo punto è disatteso. «Alcuni dei pazienti trattati da Stamina presso il nosocomio di Brescia erano afflitti da morbo di Parkinson, malattia neurodegenerativa molto grave che può colpire anche in giovane età e che può più o meno progredire ma per cui esistono numerose altre terapie anche molto avanzate», precisa Pani.

Ancora, «il decreto del 2006 indica poi che il trattamento si possa effettuare sotto la diretta responsabilità del medico prescrittore e del direttore del laboratorio produttore dei farmaci, a patto che si verifichino alcune condizioni obbligatorie: devono essere disponibili studi scientifici che certifichino gli effetti del metodo e/o dei farmaci oggetto del trattamento pubblicati su accreditate riviste internazionali (e il metodo Sta-

mina non possiede tali requisiti, poiché gli studi prodotti si riferiscono più in generale alle cellule mesenchimali ma non al metodo Stamina); sia stato acquisito il consenso informato del paziente e/o del suo tutore, e a Brescia tali documenti non risultano agli atti per tutti i pazienti trattati al momento dell'ispezione; sia stato acquisito il parere del Comitato Etico sul protocollo che, tuttavia a Brescia, è stato spesso rilasciato in maniera del tutto generica senza avere – ad esempio – alcuna cognizione del metodo; vengano utilizzati laboratori controllati e aderenti a standard di Buona Pratica di Fabbricazione per le cellule staminali mesenchimali; che la preparazione delle cellule venga eseguita in un laboratorio il cui direttore abbia almeno due anni di esperienza consolidata in quel particolare metodo e a Brescia si producevano e si producono cellule staminali emopoietiche e non staminali mesenchimali».

Requisiti che Stamina non ha. Ed è per questo che dal maggio 2012 incassa una rifiuto dopo l'altro.

**La via maestra** - Se volessero mettersi sulla strada giusta e aspirare a fornire ai pazienti il proprio metodo, Vannoni e i suoi dovrebbero attenersi a quei cinque parametri che le agenzie di tutto il mondo seguono nella valutazione di un medicinale e che Pani ha ricordato.

«La definizione della **popolazione** dei pazienti da trattare: a mero titolo di esempio i criteri di inclusione della popolazione dei pazienti devono essere omogenei e consistenti per una riproducibilità: un caso unico ma anche dieci casi unici non costituiscono una popolazione, che deve essere omogenea e con una diagnosi esatta.

Gli obiettivi, ovvero i risultati attesi e il modo di come possano essere misurati devono essere chiari: questo è un aspetto che nel caso del metodo Stamina è invece nebuloso e non omogeneizzabile e che pertanto non consentono all'Aifa di restituire ai pazienti, ai cittadini e alla politica degli elementi utili per prendere una decisione razionale sul reale potenziale terapeutico di questo metodo sconosciuto.

Il **comparatore**, ovvero l'alternativa terapeutica: se non facessi questa terapia ma un'altra, cosa succederebbe? Il fatto di non avere terapie alternative può essere considerato come un possibile termine di paragone, valutando, per esempio, come andrebbe la storia naturale della malattia.

La **durata della risposta** grazie alla terapia: quanto dura un eventuale miglioramento? Esistono, come in molte malattie degenerative, dei momenti di miglioramento

spontanei? Quanto durano? Cosa succede della progressione generale della malattia.

I **costi** per il SSN. Non c'è naturalmente prezzo per la vita umana e se i quattro parametri precedenti sono positivi quello del costo non ha rilevanza. Attualmente in Italia forniamo terapie farmacologiche-biotecnologiche basate su DNA-ricombinante a pazienti che soffrono di patologie molto gravi e letali che possono arrivare sino ad un costo pari a 4 milioni di euro a paziente e tutto questo grazie al nostro Servizio Sanitario Nazionale, solidaristico e universale, che l'Agenzia che mi onoro di dirigere difende strenuamente».

**Questione di diritti** - Questi i requisiti. Che servono a proteggere i pazienti da frodi e far sì che le poche risorse di cui disponiamo siano impiegate per garantire a tutti i cittadini cure efficaci.

«Per continuare a difendere il sistema, determinate supposte terapie che queste garanzie non le hanno devono consentire di essere almeno valutate secondo dei parametri riconosciuti da tutto il mondo ed è questo che un'agenzia regolatoria fa e farà sempre. Perché alla fine del giorno, quando i riflettori si spengono, noi abbiamo solo la nostra coscienza a cui rispondere. Dobbiamo rispondere a tutti i pazienti e a tutte le loro famiglie indipendentemente dalla malattia da cui sono affetti e dalle terapie che fanno: questo è il mestiere che noi facciamo», ha concluso Luca Pani.