

Parigi, Venezia, 12 febbraio 2014

Beatrice Lorenzin  
Ministro della Salute  
Via Lungotevere Ripa, 1  
00153 ROMA

*Lettera aperta al Ministro italiano della Salute Beatrice Lorenzin sulla necessità di un dibattito pubblico informato sulle terapie con cellule staminali e la corretta, sicura ed etica attuazione di trattamenti medici efficaci*

### **La situazione attuale**

Oggi, tra 6.000 e 8.000 malattie rare colpiscono circa 2,5 milioni di persone in Italia, la maggioranza delle quali non ha alcuna possibilità di cura. Per moltissimi cittadini affetti da malattie rare e per le loro famiglie la vita quotidiana è una battaglia, la prospettiva di una cura o di una terapia appropriata è ciò che sognano e per cui lottano. Per una cura possibile i pazienti, le famiglie e le loro organizzazioni interagiscono e lavorano attivamente per essere "soggetti di ricerca", non solo attraverso il loro coinvolgimento diretto e consapevole nelle sperimentazioni cliniche, la raccolta dei dati e la messa a disposizione di campioni biologici, ma anche aiutando ad indirizzare, valutare, monitorare la ricerca attraverso un dialogo costante con tutti gli attori coinvolti, partecipando a comitati etici e commissioni regolatorie, attraverso la raccolta di fondi, mettendo a disposizione le proprie competenze, conoscenze, esperienze ed energie ovunque siano necessarie.

I cittadini italiani si sono posti molte domande di fronte alle promesse offerte dal metodo Stamina, in particolare, i pazienti italiani e le famiglie colpite dalle malattie rare alle quali la Fondazione Stamina sembrava offrire speranze. Tuttavia a questi pazienti e cittadini non sono stati forniti gli strumenti per fare una scelta informata.

Non solo le necessarie informazioni sul metodo Stamina non sono state divulgate, ma regna tuttora l'incertezza sulle conclusioni del Comitato Scientifico chiamato nel 2013 a valutare tale metodo. Ulteriore confusione è stata generata a seguito della sentenza del TAR del Lazio n. 08730/2013 REG.RIC. che ha messo in discussione la legittimità del suddetto Comitato Scientifico. Infine, il dibattito pubblico è stato dominato da dichiarazioni scandalistiche da parte dei media, fatto che ha portato a una situazione caotica.

Come rappresentanti dei pazienti guardiamo con sgomento a questi risultati: è stata persa una grande opportunità di informazione e di comunicazione pubblica e si è creato un grave divario tra i cittadini e le istituzioni. I pazienti e le famiglie, che spesso sono soli nella loro lotta quotidiana contro la malattia e in assoluta necessità di cure, si sono trovati ancora più isolati di fronte a una scelta cruciale, per sé o per i propri cari. Si deve porre rimedio a questa situazione, assicurandosi altresì che essa non si ripeta mai più.

## Cosa chiediamo

La situazione attuale è chiaramente deleteria per i pazienti, per la ricerca medica e per il pubblico in generale; **sollecitiamo quindi il Ministro italiano della Salute a rimediare all'estesa confusione generatasi e di mettere ordine in questa situazione caotica attraverso:**

- **la divulgazione delle informazioni rilevanti, ad oggi non accessibili al pubblico;**
- **l'esposizione dei concetti fondamentali in gioco, indispensabile per fornire un'informazione accurata sulla vicenda Stamina.**

**1) Ci appelliamo al Ministro della Salute affinché divulghi le informazioni essenziali, e in particolare renda pubblici i risultati dei lavori del Comitato Scientifico del 2013 (2° Comitato);** chiediamo inoltre che il Ministro diffonda il protocollo presentato al Comitato e stabilisca se il nuovo Comitato Scientifico valuterà lo stesso metodo. Ciò eviterebbe la circolazione attraverso i media di dichiarazioni infondate, a favore o contro il metodo Stamina, e renderebbe le informazioni disponibili a chiunque, al fine di giudicare autonomamente sulla base di dati oggettivi

Per quanto riguarda la sperimentazione con cellule staminali, il panorama scientifico si sta evolvendo molto rapidamente, le questioni scientifiche sul tappeto sono complesse e l'impatto sociale è enorme. Se in generale i pazienti devono avere accesso a tutte le informazioni utili prima di partecipare a studi clinici e sperimentazioni, questo è ancora più importante quando si tratta di terapie avanzate. Una comunicazione trasparente e delle informazioni complete renderebbero possibile quel dibattito pubblico informato che è dirimente e necessario. La *Convenzione di Oviedo*, di cui l'Italia è firmataria, afferma che "le questioni fondamentali poste dallo sviluppo della biologia e della medicina devono essere oggetto di un dibattito pubblico appropriato alla luce, soprattutto, delle rilevanti implicazioni mediche, sociali, economiche, etiche e giuridiche e [...] la loro possibile applicazione deve essere oggetto di consultazioni appropriate".

È importantissimo quindi che il Governo italiano svolga la sua missione istituzionale e, nel perseguimento dell'interesse pubblico, contribuisca ad attivare processi di comunicazione trasparente. Per questo tutti i dati e documenti sui quali il Comitato Scientifico del 2013 ha basato il proprio parere e le proprie deliberazioni dovrebbero essere resi accessibili al pubblico, al fine di permettere ai pazienti di valutare e decidere con cognizione di causa. Il nuovo Comitato, per contro, dovrebbe operare senza la restrizione di accordi di riservatezza in modo tale da poter offrire tutti i dati, i verbali e le decisioni finali alla valutazione e alla comprensione del pubblico, dei pazienti interessati e delle loro famiglie.

**2) Ci appelliamo Inoltre al Governo italiano affinché agisca coerentemente con la propria responsabilità istituzionale** e ponga rimedio alla situazione attuale, che è in conflitto con gli impegni giuridici dell'Italia ai sensi della normativa europea. In particolare, chiediamo che il Governo italiano:

**a) esprima chiaramente che i metodi di validazione scientifica rappresentano la migliore protezione esistente per i pazienti.**

L'attuale procedura di validazione scientifica dei prodotti medicinali che si applica in Europa e negli Stati Uniti è la migliore tutela per i pazienti che sono i beneficiario ultimi di tali prodotti. La procedura alla quale chi sviluppa un prodotto deve sottostare è stata messa a punto per garantire che i prodotti siano sicuri ed efficaci. I numerosi requisiti a cui ci si deve attenere durante le diverse fasi di una sperimentazione clinica, assicurano che i prodotti arrivino sul mercato sulla base di risultati tangibili e non rappresentino in linea di principio rischi inaccettabili per la salute dei pazienti.

Qualsiasi terapia genica o cellulare sviluppata in qualunque Stato membro dell'Unione Europea deve essere valutata dall'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) e

dalle commissioni competenti e poi approvata dalla Commissione Europea per l'autorizzazione all'immissione in commercio. Quindi, qualsiasi ricerca terapeutica sperimentale, mossa anche dalle migliori intenzioni ma che non rispetti le buone pratiche e i livelli di evidenza attesi, secondo quanto richiesto dall'EMA e dalla Commissione Europea [Regolamento (CE) n 726/2004], rappresenta non solo una perdita di tempo, denaro, risorse umane e opportunità per i pazienti, ma potrebbe anche essere considerata non etica.

Il Comitato per le terapie avanzate (CAT) presso l'EMA ha rilasciato già quattro anni fa una dichiarazione<sup>1</sup>, sottolineando che l'uso di medicinali con cellule staminali fuori da condizioni controllate può risultare non soltanto di poco o nessun beneficio per i pazienti, ma potrebbe anche essere dannoso. Questo perché, fuori da queste condizioni, non vi è garanzia che la verifica della qualità di questi prodotti sia stata eseguita, e la loro sicurezza ed efficacia potrebbero quindi non essere state correttamente valutate.

Sicuramente, nel corso del tempo i processi di validazione scientifica possono evolvere per stare al passo con il rapido sviluppo scientifico e quindi, ad esempio, possono essere progettati processi di validazione specifici per terapie con cellule staminali. Tuttavia al momento attuale la validazione scientifica approvata per i farmaci e in particolare per le terapie avanzate, con il suo robusto approccio precauzionale, fornisce la migliore tutela esistente per i pazienti. È indispensabile che i cittadini e i pazienti percepiscano che il rispetto del processo di validazione scientifica non ostacola il loro "diritto alla cura", bensì protegge il loro interesse ad avere una terapia che sia la più mirata e sicura possibile. "Diritto alla cura" non vuol dire "diritto a qualsiasi cura".

**b) rettificati l'equivoco sul cosiddetto "uso compassionevole", che non può essere invocato per il metodo Stamina.**

Normative che prevedono il cosiddetto "uso compassionevole" consentono a un medico di ottenere un trattamento per un determinato paziente mentre il farmaco è ancora in fase di sviluppo e di validazione scientifica. Poiché il metodo Stamina non è mai stato sottoposto a una sperimentazione clinica, il cosiddetto "uso compassionevole" non è applicabile. In altre parole, il metodo Stamina non può essere legalmente usato, neppure come semplice trattamento palliativo.

C'è un equivoco ampio e profondo per quanto riguarda il cosiddetto "uso compassionevole". Secondo la normativa UE, in combinato disposto con la legislazione italiana<sup>2</sup>, il medicinale di cui è richiesto l'uso compassionevole deve essere oggetto di una domanda di autorizzazione all'immissione in commercio o in fase di sperimentazione clinica. La seconda eventualità implica che il prodotto, pur non essendo ancora autorizzato per la commercializzazione, stia attraversando studi di fase III o (in casi eccezionali) presenti almeno risultati finali positivi al termine di studi di fase II. Questo significa che è stato dimostrato ragionevolmente (anche se non definitivamente) che il prodotto è sicuro ed efficace. Come detto, niente di tutto questo si applica al metodo Stamina.

### **In conclusione**

Confidiamo che il chiarimento di questi importanti concetti contribuirà notevolmente alla regolare informazione scientifica di cui i cittadini e i pazienti hanno

---

<sup>1</sup> 16 Aprile 2010, "Concern over unregulated medicinal products containing stem cells"  
[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Public\\_statement/2010/04/WC500089472.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Public_statement/2010/04/WC500089472.pdf)

<sup>2</sup> EC Regulation No 726/2004, CHMP Guidelines EMEA/27170/2006, Italian MoH DM 5/8/2001

bisogno, soprattutto per quanto riguarda lo scenario di grande speranza offerto dalle terapie cellulari/geniche.

Le autorità sanitarie italiane hanno una responsabilità unica nel sorvegliare che gli "inviti" ad accedere a quella che potrebbe apparire come una sperimentazione clinica, o che viene addirittura definita come una terapia, siano in linea con le procedure ed i requisiti di legge che garantiscono trasparenza e tutela per i pazienti.

Questa linea di condotta sarà largamente positiva per il dibattito, non solo in Italia ma anche in Europa e potenzialmente in tutto il mondo. Il problema in questo momento sulla scena pubblica in Italia va oltre i confini nazionali, l'uso delle cellule staminali e la corretta, sicura ed etica attuazione di trattamenti medici efficaci, dalla speculazione scientifica all'immissione sul mercato del prodotto medicinale finale, seguendo le migliori procedure possibili, è una sfida che le istituzioni italiane non dovrebbero affrontare da sole. Le istituzioni italiane attuano e difendono le procedure che sono state adottate a livello europeo. Esse dovrebbero essere quindi sostenute dalle loro controparti europee nell'affrontare questa sfida globale e nell'intraprendere azioni che consentano ai pazienti e ai cittadini di partecipare a un dibattito pubblico informato sul potenziale di terapie con cellule staminali e sulle loro ampie implicazioni sociali.

In definitiva, il dibattito pubblico sostenuto da un'informazione trasparente e di qualità è fondamentale per sostenere la scelta individuale di ciascun paziente e di ciascuna famiglia, in un contesto di complessità nel quale le scelte non sono univoche. Questo aiuterà i pazienti e le famiglie a superare il loro isolamento culturale e psicologico e contribuirà ampiamente alla costruzione di una vera cittadinanza scientifica.

Cordiali saluti,



Terkel Andersen  
Presidente  
EURORDIS



Renza Barbon Galluppi  
Presidente  
UNIAMO F.I.M.R. onlus