



Caso Stamina. Audizione Senato Mercoledì 9 luglio

Ringraziamo gli ill.mi senatori per averci concesso l'opportunità di far sentire la nostra voce come rappresentati di molti malati coinvolti, dei cittadini italiani ed aventi diritto.

Purtroppo, abbiamo tristemente constatato che durante alcune sedute intraprese da questa Commissione, sono state fornite notizie inesatte e fuorvianti. In seno al senso di responsabilità che ci compete e del gravoso compito datoci sia dai nostri rappresentanti che dalla vostra audizione, concedeteci di poter esprimere la giusta causa dei fatti occorsi, non in base a mere opinioni ma a fatti comprovati.

In merito alle documentazioni, alle interviste, alle visite occorse durante quest'anno e mezzo di maratona del diritto, abbiamo potuto essere testimoni diretti ed indiretti, che la terapia effettuata mediante l'iniezione di cellule staminali mesenchimali adulte prodotte presso gli Spedali Civili di Brescia, secondo la metodica Stamina, precedentemente conformatasi attraverso un regolare accordo dato dal Ministero della Salute con il nulla Osta dell'Aifa, non solo non ha prodotto alcun effetto collaterale su ogni paziente trattato, ma ha fornito, evidenti benefici clinici, seppur in modalità diverse, in ogni paziente in cura.

Tutto questo percorso clinico, che avrebbe dovuto essere documentato secondo la legge Balduzzi, dallo stesso Spedale Civile, che ha mancato tale dovere, è stato comunque privatamente documentato dagli stessi pazienti, che attraverso una serie di esami di diversa natura (eseguiti sia dal medico di base proprio, che da medici specialisti in base alla patologia in oggetto trattata) hanno comprovato in tempi e modalità diverse e senza che i medesimi pazienti e professionisti si conoscessero, i miglioramenti che nel tempo, sono stati forniti e raccolti dalla nostra associazione.

Quindi, ill.mi senatori, come associazioni abbiamo conservato le prove documentali dei benefici prodotti dalle cellule staminali adulte trattate secondo il metodo Stamina, e, visto che ogni paziente infuso, non ha lamentato nessun anomalia in senso alle modalità d'iniezione oltre che il non avere in nessun caso osservato alcuna controindicazione, riteniamo che l'attività di Brescia sia stata portata avanti in ossequio alle leggi vigenti e con la prudenza del buona padre di famiglia.

Come associazione, ci siamo posti nell'interesse unico sia dei malati, che dei cittadini italiani che, potrebbero avere diritto all'uso di tale e di altre terapie geniche. In virtù di ciò, siamo certi che le domande più importanti da porre alla vostra attenzione, oltre che all'attenzione dei cittadini tutti siano: le cellule staminali mesenchimali adulte prodotte con il metodo Stamina a Brescia sono nocive? Le medesime hanno fatto rilevare effetti clinici benefici?



In merito a tali domande proponiamo in sintesi una relazione.

Sicurezza

Nessun paziente trattato con il metodo Stamina, all'interno dell'ospedale civile di Brescia, dopo circa N° 200 duecento infusioni endovenose e intratecali eseguite, ha mai avuto effetti collaterali. Di nessuna forma né natura. Sono stati rilevati, casi di cefalea accompagnata da vomito in 3 Tre pazienti che, che nonostante fossero stati consigliati dal personale del nosocomio, di rimanere distesi per alcune ore dopo la puntura lombare, hanno autonomamente deciso di ignorare tale parere.

A causa del loro comportamento, i 3 pazienti, hanno sofferto transitoriamente della "sindrome da privazione liquorale" che è ben nota ad ogni medico. Ciò spesso accade poiché chi è sottoposto ad una puntura lombare, è necessario che rimanga per alcune ore disteso, per permettere la chiusura del piccolo foro dell'ago. In caso contrario il liquor che esce nel sottocute per pressione idrostatica provoca dei disturbi del tutto transitori. Deputati esclusivamente da tale procedura intratecale.

Ad avvallare ciò oltre alla documentazione che lasceremo alla vostra analisi, il compianto dott. Coppini, precedente direttore generale degli Spedali Civili di Brescia, certificava che "non ci sono stati effetti avversi e che ci sono stati miglioramenti obiettivi" in rilievo alla metodica Stamina. Ciò che è comunque indubbio, è che non esiste alcuna certificazione clinica, che attesti invece effetti avversi o collaterali sui pazienti trattati nell'ospedale civile di Brescia con tale metodica.

Efficacia

La legge Balduzzi, legifera chiaramente che il dovere degli ospedali ove si eseguono trattamenti compassionevoli, debbono per dovere, "Osservare" che i medesimi, dal punto di vista clinico, vengano verificati. Tale dovere, è stato ignorato, probabilmente a causa delle pressioni avute direttamente od indirettamente dalla Procura di Torino.

Di fatto, i medici di Brescia, indagati nel suddetto procedimento penale, pare non abbiano confermato i risultati ottenuti, e citati dal dott. Coppini. Essenzialmente hanno smesso di valutare, osservare e verificare i risultati clinici dei pazienti, contrastando la legge.

In ogni cartella clinica dei pazienti trattati, ci sono che poche, frammentarie ed insufficienti informazioni sullo stato dei pazienti sia prima che dopo la cura. A causa di questa inadempienza, i pazienti, hanno voluto osservare e valutare il proprio stato di salute, sia precedentemente che postcedente le infusioni, presso strutture SNC ed i propri ospedali di riferimento sia da parte dei medici curanti che da specialisti.



Le stesse famiglie, viste le costanti informazioni fuorvianti sul proprio stato di salute, hanno presentato in pubblica conferenza, nel dicembre 2013, i risultati documentati sino allora. Ma ancor oggi ci duole constatare che tali risultati non sono stati ritenuti meritevoli di interesse.

Comunque sia, grazie all'osservazione rinvenuta dai medici e dagli specialisti si di Stamina che esterni ed indipendenti ad essa, è stato rilevato che le patologie che hanno avuto rilevanti miglioramenti grazie a questa terapia staminale sono state soprattutto quelle pediatriche coinvolgenti il sistema nervoso. Alcuni esempi:

- **Paziente (A- Pediatrico) con malattia di Niemann Pick A.** Il risultato in questo paziente, le cui cure iniziali sono state sollecitate dal Presidente della Repubblica e dal Ministero della Salute attraverso l'infusione della metodica con il metodo Stamina completa, sono stati oggetto di pubblicazione del dott. Marino Andolina sulla rivista scientifica **Int. Journal of Stem Cells**. Anche se si è trattato di un "case report" su singolo paziente, l'effetto eclatante sulla riduzione sostanziale delle dimensioni di milza e fegato, (post procedura); l'aumento del numero delle piastrine da 20.000 a 120.000/microlitro (una milza di grandi dimensioni blocca le piastrine circolanti) non possono essere considerati clinicamente un risultato dato da un effetto placebo. Il paziente, poco dopo la terapia, ha ripreso il contatto cognitivo con l'ambiente. Ha ripreso a mangiare col cucchiaino, mentre precedentemente alla stessa era stato programmato vista la sua incapacità di alimentazione idonea un programma un'alimentazione attraverso PEG (sondino nello stomaco attraverso l'addome). Oggi questo bambino è il paziente più lungo-sopravvivente al mondo.
- **Pazienti (A- Pediatrico) con SMA1 (Atrofia Muscolare Spinale).** Questa malattia è una delle principali cause di mortalità infantile nel primo anno di vita. La prognosi dipende dall'età di esordio dei primi sintomi; i bambini colpiti da ipotonicità già alla nascita muoiono se non ventilati a macchina a sei mesi; i bambini che si ammalano a due mesi di vita, vivono fino a 18 mesi. Altri, con esordio più tardivo, possono aver sintomi più lievi anche se comunque gravissimi. I bambini colpiti da SMA1, vanno incontro ad una paralisi flaccida causata dalla morte progressiva del "secondo motoneurone" spinale. Purtroppo, durante alcune audizioni fatte da questa Commissione sono emerse paradossali "battute", che asserivano che i genitori che hanno potuto accedere al metodo Stamina nell'ospedale Civile di Brescia, in realtà, non hanno assistito ad evidenti miglioramenti clinici. Ma si sarebbero illusi dei medesimi, per alcuni per miglioramenti, confutati da chi è stato audito da presunte fluttuazioni riconosciute come "alti e bassi" della malattia. In realtà, tutti gli esperti di questa tragica malattia concordano nell'asserire, che la progressione verso la paralisi sistemica della medesima è incontrovertibile, è lineare e non sono possibili miglioramenti o fluttuazioni dovute dalla malattia stessa, dopo una fissazione della patologia che subentra dopo una brevissima fase di "plateau" rilevata solo nei primi mesi. I motoneuroni morti, di fatto, non potrebbero rigenerarsi. Nel caso Stamina, 7 sette bambini con SMA1 su 7 sette, hanno avuto miglioramenti, da eclatanti a modesti, dell'esordio della malattia. Tutto ciò, può essere dovuto esclusivamente all'effetto della terapia cellulare staminale alla quale sono stati sottoposti.



I miglioramenti in questi pazienti sono stati certificati dai massimi esperti internazionali della materia (John Bach, Marcello Villanova), che non essendo biologi, non possono essere chiamati a certificare la qualità cellulare, ma come medici, hanno potuto verificare e sottoscrivere miglioramenti clinici di bambini come Celeste e Sebastian che durante l'infusione con cellule staminali adulte del metodo Stamina, hanno acquisito movimenti ed atteggiamenti cognitivi non solo precedentemente al trattamenti inesistenti, ma impossibili, secondo l'attuale logica scientifica. Tanto da farvi comprendere quale sia stata la qualità dell'informazione televisiva, ricordiamo che a Presa Diretta si è parlato solo di Manuel, il bambino che ha avuto i risultati più modesti in seno a tale patologia. Un contenzioso più generalista e attinente alla realtà (invitando tutti e 7 i pazienti) avrebbe potuto fornire a voi ed ai cittadini una più completa visione d'insieme.

- **Pazienti (A Pediatrico) con leucodistrofia.** E' diventata oggetto di interesse giornalistico la piccola Sofia di Firenze (leucodistrofia metacromatica) nella quale oltre ai miglioramenti dal punto di vista psicomotorio certificati dai medici, è stata rilevata la ripresa del riflesso fotomotore (chiusura della pupilla alla luce). Federico (leucodistrofia di Krabbe) è diventato recentemente famoso in quanto ha ottenuto la ripresa della terapia dopo una lunga sospensione grazie all'ordinanza di un giudice coraggioso. La leucodistrofia di Krabbe è forse la forma di leucodistrofia più rapidamente devastante. I miglioramenti ottenuti da Federico sono stati così palesi che perfino il Procuratore Capo della Procura di Pesaro ha testimoniato di averlo visto rifiorire dopo la cura. Ma, per quanto tali terapie siano state migliorative dal punto di vista clinico per ogni paziente, seppur in modo diverso, gli effetti della della terapia con il metodo Stamina, purtroppo non sono definitivi. Ed è per ciò che si rende necessario, per la salvaguardia della vita dei pazienti e del mantenimento dei benefici raggiunti, che le iniezioni vadano periodicamente ripetute; Ciò che invece oggi accade, è che a causa dell'interruzione delle cure con cellule mesenchimali staminali adulte con il metodo Stamina a Brescia, soprattutto i pazienti pediatrici stanno lentamente perdendo i benefici e quindi le funzioni riacquistate con le la somministrazione di tale terapia.

Con questa breve relazione ci siamo limitati a citare questi risultati, ma vorremmo ricordare ai Senatori presenti e non, che i pazienti in cura a Brescia con la metodica Stamina sono circa una trentina e che per poter favorire una corretta reale e lucida visone realistica si necessita l'osservazione di ogni singolo caso.

Legalità

Stiamo ancora piangendo la dipartita dolorosa e prematura della piccola Rita Loreface, bambina affetta da Niemann Pick A migliorata sostanzialmente grazie alla cura con il metodo Stamina a Brescia (Miglioramenti certificati grazie alle ecografie eseguite nella propria terra di residenza la Sicilia), deceduta poche settimane fa a seguito dei peggioramenti avuti a causa dell' interruzione della cura con il metodo Stamina, che non ha potuto impedire l'esordio



nefasto di tale malattia. La bambina è morta in seguito alla violazione di una serie di leggi e all'inadempienza istituzionale.

- Decreto Turco 5/12/2006 che prevede la possibilità di cura con staminali, al di fuori di una sperimentazione qualora esista pericolo di vita o di aggravamento. Lo spirito del decreto era chiaro: salvare delle vite che sarebbe andate perdute se si fossero seguite le regole farmaceutiche imposte dalla Direttiva Europea. Nel decreto non è citato alcun tipo di laboratorio (quindi non il GMP). Solo nel 2008 l'ISS emise un documento "Requisiti di qualità farmaceutica" in cui suggeriva di utilizzare un laboratorio GMP visto che allora si pensava che il Decreto stesse per scadere (fu reiterato pochi mesi dopo da Fazio). In prima pagina in grassetto sta scritto però che tale suggerimento è facoltativo; lo stesso risultato di "qualità farmaceutica" può essere raggiunto con altre idonee misure. La qualità farmaceutica delle cellule di Brescia (fenotipo CD, sterilità) è stata certificata dallo stesso Ministero (comunicato stampa 173/13). Il laboratorio di Brescia dopo tre settimane di coltura cellule spende altre due settimane per esami sofisticati di qualità e sicurezza; non pare che questi documenti siano mai stati presi in considerazione dagli Enti di controllo. Forse in questa Commissione è stato sentito dire che dentro alle provette congelate a Brescia non ci sono cellule staminali. Nessuno risponderà di queste menzogne?
- Legge 57/13 (Decreto Balduzzi) nella quale è stabilito che i pazienti già in cura possono continuare il trattamento a Brescia. Rita era tra questi.
- Rita aveva avuto una serie di ordinanze dei giudici del lavoro che imponevano la cura (come è stato per altri 180 pazienti).

Sperimentazione

A Brescia si attuano ciò che sono stati chiamati trattamenti "compassionevoli" sia ai sensi del Decreto 2006 che della legge L 57 Balduzzi che su imposizione dei giudici del lavoro che a causa del blocco istituzionale chiedono la ripresa delle infusioni a causa della violazione di tali leggi. Ma il termine adeguato, dove collocare tali terapie è: "terapia avanzata non ripetitiva"; termine che la distingue da quella compassionevole farmaceutica oggetto di un altro decreto (DM 2003). Differenziazione che è stata ribadita all'interno della proposta di legge che verrà presentata in parlamento a fine Settembre. La salvezza dei pazienti in pericolo che secondo criteri clinico-scientifici, non hanno la possibilità con le attuali terapie riconosciute, di salvarsi, "oggi" dipende da questa forma di trattamento. Siamo certi, come associazione, che la metodica Stamina debba essere sperimentata, ricordano che già alcuni anni fa la Fondazione Stamina aveva proposto al Ministero della Salute, un progetto di sperimentazione sulla malattia di Niemann Pick. Progetto che dopo alcune riunioni fu bloccato, formalmente per motivi economici. Ma oggi, siamo dinnanzi ad una necessità sperimentativa. Dimostrare non solo che la metodica fornisca dei risultati clinici, ma che sia innocua. Poiché senza tale atto di ricerca nessuno, nessuno, nemmeno il più illustre ricercatore, può permettersi di asserire il contrario. L'atto clinico di fatto va oggettivizzato e sperimentato. Ora come ora, tale oggettività, la forniscono concretamente i pazienti infusi. La stessa legge 57/13 prevede una sperimentazione del metodo.



Proprio in seno ad un oggettività clinica dimostrata su 33 pazienti, e più di 200 atti medici la commissione scientifica dovrebbe avallare l'avvio di tale sperimentazione.

Ma come sappiamo, anche la commissione scientifica ha avuto feroci controversie. Le prime ruscate dal procedimento del Tar del Lazio. In seconda battuta partite con la sospensione del nuovo presidente designato, prof. Ferrari di Houston, licenziato dal Ministro in poiché aveva espresso la possibilità di analizzare i documenti clinici delle famiglie infuse. Dopo tali dibattiti, che non fanno bene al popolo italiano ed ai malati, attendiamo l'ennesima analisi della commissione. Che però ribadiamo, oltre che ad audire le nostre associazioni, proprio per fornire alla propria analisi un valore clinico- scientifico è necessario che la commissione prenda in esame tutte le cartelle cliniche prodotte dai medi i chiamati a fornire un giudizio clinico sui pazienti in cura con il metodo Stamina, sapendo che vi è stata da parte dell'Ospedale Civile la violazione del periodo di osservazione a cui era tenuto deve prendere in considerazione. Ricordando in codesta sede, che il TAR del Lazio ha espressamente ribadito che la Commissione Scientifica chiamata in pronuncia, non può bloccare la sperimentazione ma solo gestirla.

Siamo consci, che la valutazione sulla promozione del metodo della prima commissione si è espressa negativamente sul protocollo presentato dal prof. Vannoni. Ma la Commissione è stata messa la corrente, che il medesimo ha consegnato un protocollo che non è quello in uso nell'ospedale Civile di Brescia. E ciò a causa della richiesta della medesima di formattarla secondo le vigenti regole.

I deputati e senatori che hanno convinto il prof. Vannoni ad accettare la sperimentazione avevano garantito che grazie ad un Ordine del Giorno allegato alla legge, Stamina avrebbe potuto "portare dentro al laboratorio GMP" prescelto tutto il suo materiale.

Durante i lavori presso l'ISS è stato stabilito che la metodica Stamina avrebbe dovuto seguire pedissequamente le regole farmaceutiche "GMP". Il protocollo Stamina prevede di incubare nell'ultima ora le cellule con una soluzione alcolica di acido retinoico (derivato della vitamina A, responsabile della maturazione del cervello nel feto). L'acido retinoico è approvato dall'AIFA solo come pillole e creme, non come soluzione. Per tale motivo una molecola che molti laboratori al mondo utilizzano per gli stessi fini è vietata in ambiente GMP. Quindi la metodica presentata è stata a causa di tali richieste, mutilata dell'ultima fase di procedura: le cellule preparate sono di fatto molto simili a quelle preparate nei laboratori approvati dall'AIFA. Nonostante ciò le cellule sono state considerate non sperimentabili.

Quindi oltre a chiedere alla commissione di poter presentare la corretta procedura, vorremo che la medesima tenga a prescindere in considerazione tutti i trattamenti sin ora svolti in Brescia, che dimostrano l'indiscussa innocuità del metodo legata alla presenza di benefici clinici.



Assistenza Sanitaria

Come associazioni, ci siamo posti sin dall'inizio nell'interesse non solo del malato ma anche della famiglie e del contesto comunitario dove esse vivono. Mantenere un malato in una condizione di agio, dal punto di vista clinico ed emotivo, mantenere la famiglia dal punto di vista assistenziale economico, in equilibrio è primario per lo sviluppo del nostro tessuto sociale. Il Sistema Sanitario Nazionale, che come ben sapete già sta pagando lo scotto di non avere aggiornato i LEA dal punto di vista delle richieste della UE, è tenuto. Noi associazioni insieme al nostro apporto per quanto la tutela del diritto all'utilizzo delle terapie avanzate su base non ripetitiva, stiamo tutelando e difendendo il diritto all'assistenza sanitaria. E chiederemo al governo se sarà necessario con il mezzo referendario, l'equiparazione ed l'aggiornamento dei LEA e delle ADI. Le malattie croniche sono un "peso economico" per i singoli individui, le loro famiglie. Ciò premesso e tenuto conto della norma costituzionale **Art.3 comma 2** che dichiara: «**È compito della Repubblica rimuovere gli ostacoli di ordine economico e sociale che, limitando di fatto la libertà e l'uguaglianza dei cittadini, impediscono il pieno sviluppo della persona umana e l'effettiva partecipazione di tutti i lavoratori all'organizzazione politica, economica e sociale del Paese**», e chiederemo il potenziamento della legge 328/2000 e coinvolgimento e partecipazione della famiglia e del paziente nel processo di cura e nella scelta della cura. In particolare, facciamo riferimento al mancato coinvolgimento del paziente e della famiglia nel processo di scelta di cura anche non protocollari.

L'Associazione Vite Sospese, a nome dei pazienti, degli aventi diritto e di tutte le associazioni con le quali in questo anno e mezzo sta collaborando, Alleanza Italiana, Viva la Vita Italia Onlus, Progetto Noemi, credo sia equo a questo punto citare le associazioni del patto se tutte acconsentono chiedono pertanto a questa Commissione d' Indagine sia di rivalutare le notizie che sono state fin ora audite dai membri di commissione da persone che devono rispondere del loro operato, se dimostratamente difforme da quanto ci si aspetterebbe da chi ricopre ruoli così importanti per la salute pubblica; che di confutare in modo neutrale e incontrovertibile ogni aspetto legato non all'emotività creata dal caso Stamina e dai suoi protagonisti, ma dagli avvenimenti clinici derivanti dalle infusioni dei 33 pazienti in oggetto. Oltre che a prendersi in carico il miglioramento delle ADI e l'equiparazione delle LEA. E come associazioni garantiamo la nostra più totale collaborazione.

Infine. Prima dell'interesse economico, si deve rispettare l'interesse umano. E la politica che le istituzioni sono chiamate al proprio rispetto e promozione. Nell'esigenza umana ed associativa, che la verità diventi l'unico punto da trattare in seno al Senato, chiediamo di fornirci la possibilità di dimostrare che la terapia genica del metodo Stamina, non solo è innocua, ma fornisce indubbi e sostanziali benefici che potrebbero essere utilizzati per molte altre patologie. Ci Auspichiamo in



questa sede repubblicana, che il buon senso, e il rispetto delle leggi vigenti possano permettere ai malati di poter ottenere in regime di compassione, una chance di sopravvivenza.