

Audizione mercoledì 9 luglio, indagine conoscitiva su origine e sviluppi del cosiddetto caso Stamina.

Premessa

Il **DM 8 maggio 2003** definisce l'uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica, dopo aver preso atto dell'esistenza di "protocolli di accesso allargato" e valutata opportuna l'adozione di procedure che garantiscano al paziente l'accesso a terapie farmacologiche sperimentali e le indicazioni relative all'uso dei medicinali sottoposti a sperimentazione clinica. Si regola di conseguenza la possibilità di un utilizzo terapeutico anticipato o allargato di farmaco sottoposto a sperimentazione, con dati favorevoli di studi in Fase III o in Fase II, quando non esiste una valida alternativa terapeutica al trattamento di patologia grave, o di Malattia Rara o di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita, e sussistono specifiche condizioni:

- i dati disponibili sulle sperimentazioni siano sufficienti per formulare un favorevole giudizio sull'efficacia e sulla tollerabilità del medicinale richiesto;
- almeno un medico motivi clinicamente la richiesta e si assuma la responsabilità;
- il comitato etico pertinente esprima parere favorevole;
- si notifichi in parallelo al Ministero della salute - Direzione generale valutazione medicinali e farmacovigilanza – Ufficio sperimentazione clinica;
- si acquisisca il consenso informato del paziente;
- si raccolgano dati secondo la logica di uno studio osservazionale.

Il **DM 6 dicembre 2006** entra invece nel merito dell'utilizzo terapie avanzate non ancora autorizzate, quali la terapia genica e la terapia cellulare somatica, su singoli pazienti in mancanza di valida alternativa terapeutica, nei casi di urgenza ed emergenza che pongono il paziente in pericolo di vita o di grave danno alla salute nonché nei casi di grave patologia a rapida progressione, sotto la responsabilità del medico prescrittore e, per quanto concerne la qualità del medicinale, sotto la responsabilità del direttore del laboratorio di produzione di tali medicinali purché sussistano specifiche condizioni a garanzia del paziente:

- i dati scientifici, che ne giustificano l'uso, siano disponibili e pubblicati su accreditati riviste internazionali;

Soggetto legittimato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni, in riferimento al Decreto 21 giugno 2007, art. 4, comma 2

Associazione riconosciuta – iscritta al Registro della Prefettura di Roma con il n. 726/2010
Associazione con il riconoscimento di "alta funzione sociale", in riferimento al decreto n. 278/II/2012 del 23/10/2012



- il comitato etico pertinente esprima parere positivo con specifica pronuncia sul rapporto favorevole tra benefici e rischi previsti, nelle condizioni particolari del paziente;
- si acquisisca il consenso informato del paziente;
- i prodotti siano utilizzati senza fini di lucro e preparati in laboratori con i requisiti di qualità approvati dalle Autorità competenti;
- il trattamento sia eseguito in IRCCS o in struttura pubblica o ad esso equiparata.

Il 13 novembre 2007 il Parlamento Europeo e il Consiglio dell'Unione Europea hanno adottato il **Regolamento (CE) N. 1394/2007** sui medicinali per terapie avanzate, recanti modifiche della direttiva 2001/83/CE e del regolamento (CE) n. 726/2004, grazie al quale si fissano le norme specifiche riguardanti l'autorizzazione, la supervisione e la farmacovigilanza dei medicinali per terapie avanzate. Si enunciano

- diverse definizioni, quali: “medicinale di terapia avanzata”, “prodotto di ingegneria tessutale”, “medicinali per terapie avanzate combinate;
- prescrizioni per l'autorizzazione all'immissione al commercio riguardanti la donazione, l'approvvigionamento e i controlli (prove cliniche, buone prassi di fabbricazione...);
- procedure di autorizzazioni all'immissione al commercio, incluse le specificità delle procedure di valutazione, e successive all'autorizzazione.

Si riassumono le caratteristiche del prodotto, l'etichettatura e il foglio illustrativo. Infine vengono si illustrano gli incentivi per la Consulenza scientifica, per una eventuale richiesta di raccomandazione scientifica all'Agenzia Europea e di certificazione, dei dati della qualità e dei dati clinici, oltre che alla richiesta di deroga al regolamento (ce) n. 279/95 della riduzione dei diritti relativi all'autorizzazione all'immissione in commercio a dimostrazione che il medicinale per terapia avanzata riveste nella Comunità un particolare interesse per la salute pubblica.

Si evidenziano le modifiche che l'art. 28 del presente regolamento CE 1394/2007 apporta alla DIRETTIVA 2001/83/CE DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 06 novembre 2001 recante un codice comunitario relativo ai medicinali per uso umano. La modifica che tale articolo reca all'art. 3 rende possibile soluzioni diverse rispetto a quanto scritto e definito dallo stesso regolamento CE 1394/2007.

Il DM 8 maggio 2003, o del cosiddetto “uso compassionevole”, come la normativa consecutivamente sintetizzata sono stati nel corso della vicenda Stamina forzati, in alcuni fondamentali passaggi disattesi, e per l'interpretazione impropria che poi ne è stata fatta, per

Soggetto legittimato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni, in riferimento al Decreto 21 giugno 2007, art. 4, comma 2

Associazione riconosciuta – iscritta al Registro della Prefettura di Roma con il n. 726/2010
Associazione con il riconoscimento di “alta funzione sociale”, in riferimento al decreto n. 278/II/2012 del 23/10/2012



esempio della parola “compassionevole”, hanno contribuito a generare forti equivoci nei mezzi di comunicazione e nella cittadinanza. E’ indubbio che regole a tutela dei pazienti sulle frontiere della ricerca, e della cura, in circostanze eccezionali, siano state previste ma che da un lato non siano sufficienti e allo stesso tempo siano migliorabili, dato l’impatto e la rivoluzione che comporta il “bio” nella scienza e nella medicina e conseguentemente sulla normativa corrispondente.

Non è poi trascurabile che durante tutta la vicenda Stamina la clausola di confidenzialità imposta alla Commissione non abbia agevolato quell’informazione pubblica e quella trasparenza così determinanti nelle scelte di salute ad lato impatto individuale e sociale, come una sperimentazione con cellule staminali mesenchimali è.

Possiamo sostenere che oltre le regole, siano mancate le condizioni per quel dibattito pubblico e quel coinvolgimento attivo dei cittadini che il Consiglio d’Europa e l’Organizzazione Mondiale della Sanità da anni indicano come necessari nelle questioni scientifiche e biomediche complesse e che sono fattori dirimenti nella formazione dei soggetti esperti implicati, dai clinici ai comitati etici. Condizioni di cui dovrebbero essere garanti e promotrici le istituzioni e che probabilmente avrebbero contribuito a ridurre la solitudine e l’esposizione amplificata alla propria vulnerabilità dei pazienti e delle famiglie coinvolti.

Proposte

Si propongono i seguenti strumenti di governo per cui si è certi che una pressione parlamentare forte ed incisiva permetta l’avvio sia di un cambiamento culturale che di un approccio metodologico adeguato.

Per quanto riguarda la normativa nazionale, proprio per garantire la tutela dei pazienti attraverso la qualità e la verificabilità sul campo dei processi di validazione scientifica e di informazione, la genericità di alcuni articoli dei Decreti Ministeriali citati può e deve essere corretta con opportuni decreti attuativi.

Per quanto riguarda la normativa europea, il semestre europeo a Presidenza Italiana può e deve essere proprio alla luce della vicenda Stamina opportunità per modificare l’articolo 28 del regolamento CE 1394/2007, nel rispetto dei principi fondanti al fine che tale articolo non dia più adito ad alcuna possibile interpretazione a discapito della sicurezza di cura del paziente.

E’ necessaria altresì una maggiore informazione pubblica non tanto per alfabetizzare i cittadini bensì per coinvolgerli e riconoscerli come interlocutori necessari: dalla Convenzione di Oviedo alla Raccomandazione 5(2000) come Europei abbiamo indicato come vincolante per la Soggetto legittimato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni, in riferimento al Decreto 21 giugno 2007, art. 4, comma 2



ricerca biomedica il dibattito pubblico (art. 38 Convenzione di Oviedo), la sfida cui il Parlamento deve rispondere è nel garantirne le condizioni di possibilità e la sostenibilità, per esempio laddove che i termini di confidenzialità siano rivisti in contesti di ricerca pubblici e ad alto impatto sociale. Infine lo scenario di complessità in cui si colloca pienamente oggi lo sviluppo della scienza richiede non solo una rivoluzione delle infrastrutture ma anche un cambiamento tangibile finalizzato ad un *empowerment* organizzativo, inclusivo di tutti i soggetti coinvolti, consapevoli di essere co-partecipi e in rete. Non possiamo farci trovare impreparati di fronte a questa sfida cruciale del 21° secolo che attraversa non solo la *governance* della ricerca ma anche della cura e dei sistemi sanitari che la sostengono: concreti e efficaci devono essere gli strumenti di *empowerment* che ci permetteranno di fare squadra, fare sistema, innovativi i modelli di costruzione del sapere e di co-decisione.

Si allegano alla presente nota i seguenti documenti:

- copia Recommendation No. 5 (2000) of the Committee of Ministers to member states on the development of structures for citizen and patient participation in the decision-making process affecting health care;
- copia *What is the evidence on effectiveness of empowerment to improve health?* WHO Regional Office for Europe's Health Evidence Network (HEN): February 2006;
- copia del Regolamento CE 1394/2007;
- copia della lettera del 9 dicembre 2013 inviata all'attenzione del Ministro On.le Lorenzin, accompagnata da un breve inciso del presidente europeo Terkel Andersen, di cui non ha avuto seguito alcuna risposta;
- copia della lettera del 12 febbraio 2014 a doppia intestazione e firma UNIAMO F.I.M.R. onlus e EURORDIS.