

Nel mio intervento che sarà molto breve come d'abitudine, vorrei riprendere un aspetto particolare del discorso già intrapreso sulla ricerca scientifica da Marco e poi proseguito da Michele. Ma, invece di ripetere quello che avete già sentito, illustrerò un aspetto diverso anche se correlato.

Sono passati tredici anni da quando è stata fondata l'associazione Coscioni e credo di essere stato tra i primi ricercatori a farne parte. In questi tredici anni sono successe tante cose nel campo della ricerca e della sua applicazione alla medicina di cui bisogna prendere atto. Le cellule staminali adulte ed embrionali sono state portate alla sperimentazione clinica e sono state strumento di molti tentativi terapeutici per una grande varietà di malattie.

Molto meno noti al grande pubblico che non episodi più mediatici come quello di Vannoni, ci sono stati dei successi importanti. Le immunodeficienze congenite sono malattie che colpiscono alla nascita bambini che non sono in grado di difendersi dalle comuni infezioni. Questi bambini devono vivere in una bolla d'aria filtrata e comunque prima o poi vanno incontro a una serie di infezioni e nelle forme più gravi muoiono in età pediatrica.

Queste malattie sono state curate con il trapianto di cellule staminali corrette geneticamente. È successo al San Raffaele di Milano, a Parigi, e a Londra. Questo è un primo punto importante da tenere a mente. La prima terapia genica per le immunodeficienze ha avuto di recente la registrazione all'EMA come farmaco, e lo stesso è accaduto nel campo delle terapie cellulari per le ustioni della cornea, ricostruita in coltura da cellule staminali dell'occhio risparmiato dal danno. Altre strategie terapeutiche hanno funzionato. Questo è importante. Non è importante che abbiano funzionato le staminali embrionali o adulte ma che abbiano funzionato.

Purtroppo, la maggior parte delle nuove terapie con le cellule staminali invece non ha funzionato. Questo è un punto importante da considerare: perché alcune terapie hanno funzionato fino alla "guarigione del paziente ma la maggior parte poco o niente? Da un'esame della situazione attuale si può concludere che hanno funzionato le terapie dirette a tessuti come il midollo osseo o gli epiteli (la cornea e la cute). Questi tessuti sono rinnovati di continuo ma soprattutto possono essere eliminati (chimicamente o chirurgicamente) e fare spazio per le cellule staminali. In tutti gli altri casi, cuore, cervello, etc.. Non si può eliminare il tessuto malato. In un caso l'attecchimento delle cellule è molto elevato (80% o più), nelle altre estremamente scarso (1% o meno). Quindi le cellule trapiantate devono lavorare anche per la grande maggioranza delle cellule residenti, malate ma ancora presenti. Questo è un problema complesso che va affrontato ancora a livello di ricerca pre-clinica per poter sviluppare in futuro terapie efficaci anche per gli altri tessuti.

In ogni caso, l'ingresso delle cellule staminali tra le terapie consolidate (pochi casi per'ora ma sempre di più, si spera, in futuro) comporta nuovi problemi economici ed etici. Queste nuove terapie costano tantissimo, anche per i rigorosi ma necessari controlli che gli enti regolatori impongono per tutelare i malati che prenderanno parte alla sperimentazione clinica. Inoltre le nuove terapie pongono un problema etico oltre che economico. Finché una nuova terapia non funziona, i ricercatori continuano a lavorare per arrivare, passo dopo passo, a un'efficacia clinica chiara e inequivoca. Ma quando poi le nuove terapie funzionano, esiste il dovere, che ogni medico ha, di fornire al paziente il migliore strumento terapeutico disponibile. Se costa 400 mila sterline all'anno non importa dal punto di vista etico, ma importa dal punto di vista economico.

Bisogna fare due conti, cosa che abbiamo fatto con un gruppo di colleghi economisti e bioeticisti, competenti in queste aree.

La questione è relativamente semplice. Facciamo l'esempio della distrofia muscolare, anche perché è la malattia di cui mi occupo da tantissimi anni. In questo caso, una nuova terapia, con le staminali o con un nuovo farmaco o una nuova terapia genica costeranno tutte tantissimo. Ma esistono due

scenari: nel primo la terapia è davvero efficace come nel caso delle immuno-deficienze congenite ed il paziente è realmente curato. A parte la soddisfazione morale di essere riusciti ad arrivare una terapia efficace per una malattia prima incurabile, va considerato il fatto che non ci saranno più 10-20-30 anni di terapie palliative, ricoveri in ospedale, interventi chirurgici e quindi alla fine il sistema sanitario risparmia, anche a fronte di un intervento terapeutico costosissimo ma risolutivo.

Diversa cosa è se invece la terapia mostra una efficacia molto modesta ma rilevabile perché costa comunque tantissimo ma non elimina gli altri costi.

Anche nei paesi che investono in ricerca molto più dell'Italia, come la Germania, la Svezia o gli stati uniti, il costo della sperimentazione clinica può rimanere sulle spalle degli universitari solo per la prima fase, la cosiddetta fase uno, che non serve a vedere se la terapia funziona ma solo se non fa danni.

Dalla fase due in poi il costo diventa proibitivo. Quindi è inevitabile che siano le grandi, medie e piccole industrie a farsene carico. In questi ultimi venti o più anni si è vista una proliferazione di queste piccole companies o biotech che raccolgono fondi da investitori e dalle associazioni dei pazienti affetti da quella determinata malattia, per sviluppare una terapia. A differenza dell'accademia, una piccola company ha la necessità assoluta di arrivare a un prodotto sul mercato o non sopravvive. Questo determina una situazione pericolosa perché è nella natura stessa del suo tentativo di sopravvivenza quello di enfatizzare gli effetti positivi di una terapia. Soprattutto i pazienti percepiscono spesso "la terapia" invece di percepire "un passo verso la terapia". D'altro canto le stesse companies, senza "market authorization" non possono andare avanti e sviluppare una seconda generazione di farmaco che potrà essere più efficace e magari meno tossico.

È una situazione molto difficile da affrontare perché, lasciando fuori dal discorso situazioni di abuso o chiaramente fraudolente in cui alcune companies cercano di vendere un prodotto che non funziona solo per fare salire le loro azioni e ottenere nuovi finanziamenti, ce ne sono tante che lavorano seriamente ma devono comunque sopravvivere e fare un profitto.

Nessuno ha la bacchetta magica e una soluzione semplice da proporre, ma volevo portare questa situazione alla vostra attenzione. La ricerca è andata avanti, sono iniziate nuove terapie, queste terapie costano tanto, ma noi abbiamo il dovere di perseguirle e col tempo ridurre i costi. Più difficile è distinguere le terapie che funzionano poco e che necessitano di altro lavoro e altri investimenti da quelle che hanno speranze troppo piccole di successo e rappresentano quindi una strada costosa ma senza uscita.