

8 gennaio 2014 11:52

ITALIA: Stamina. Precisazione di Camillo Ricordi

"Mi e' stata sollecitata da piu' parti una risposta pubblica per chiarire la mia posizione rispetto alla nota saga Stamina". Camillo Ricordi ricostruisce in una lunga nota la vicenda che sta tenendo banco da mesi, ribadendo di essere "a favore della verifica scientifica rigorosa". "Molti sostengono - evidenzia - che un trapianto di cellule autologhe (che provengono dal paziente stesso) non rappresenti un rischio per la popolazione, non e' un nuovo vaccino da somministrare a tutti i bambini, non e' un farmaco per distribuzione alla popolazione generale. L'utilizzo di tali prodotti cellulari dovrebbe derivare da una decisione tra medico e paziente e l'uso regolato dalle appropriate organizzazioni professionali, ospedaliere, da comitati etici, con l'obbligo pero' di riportare risultati positivi e negativi, gli effetti collaterali come i successi, in combinazione nei casi promettenti con studi scientifici rigorosi di verifica per arrivare alla cosiddetta Evidence Based Medicine. The Cure Alliance non e' la sola a sollevare questo dibattito sull'eccessiva burocrazia. "Diversi paesi dal Giappone alle Bahamas - dice Ricordi - hanno cambiato le regolamentazioni per le terapie cellulari con cellule staminali e altri come l'Inghilterra stanno discutendo possibili cambiamenti per migliorare un sistema che non funziona, che non bilancia la ricerca della perfezione regolamentare e l'eliminazione di qualsiasi rischi con l'impatto della patologia in oggetto, in termini di costi, sofferenza e morti, ogni secondo che si ritarda lo sviluppo di una nuova cura. Le cellule non sono farmaci e richiedono regolamentazioni specifiche che proteggano la sicurezza dei pazienti trattati, senza impedire la verifica clinica iniziale di nuovi trattamenti di possibile impatto significativo. Nessuno e' per la deregolamentazione delle terapie e la sicurezza dei pazienti rimane centrale, ma ci sono differenze importanti quando si tratta un paziente alla volta affetto da una malattia incurabile senza altre opzioni terapeutiche e quando si sviluppa per esempio un vaccino per tutti i bambini o per la popolazione generale, o un farmaco per la grande distribuzione internazionale". "Non solo sono a favore della revisione critica dei regolamenti vigenti nel campo delle terapie cellulari, ma sono anche un sostenitore della verifica scientifica, rigorosa, immediata, non in dieci anni, ogni qualvolta ci siano indicazioni cliniche incoraggianti certificate da uno o piu' specialisti con tests appropriati, sul possibile effetto positive di un nuovo trattamento, soprattutto per malattie incurabili e letali. "La verifica pratica in tempi brevi - che Ricordi propone nel suo centro - e' per me fondamentale per evitare e/o porre fine alle speculazioni teoriche che spesso circondano l'introduzione di nuove strategie come per esempio quelle di centri che offrono trattamenti con cellule staminali per una lista di indicazioni tipo menu di un ristorante, ma sottraendosi sistematicamente a qualsiasi momento di verifica scientifica rigorosa. D'altra parte e' anche necessario riconoscere che le terapie con cellule staminali e in particolare con cellule staminali mesenchimali (Msc) stanno diventando piu' che una ipotesi remota per molte patologie e ci sono oltre 300 trials clinici in corso in tutto il mondo utilizzando varianti di questi prodotti cellulari. I centri accademici di eccellenza, come in Italia potrebbero essere gli Irccs dotati di strutture cGmp, potrebbero svolgere un ruolo importantissimo per filtrare, verificare e distinguere il fumo e i ciarlatani dalle vere speranze terapeutiche innovative".

"Esiste inoltre un problema fondamentale di chi ha deliberatamente riportato il falso su di me, su The Cure Alliance e su esperti di cellule mesenchimali staminali come per esempio il Prof. Arnold Caplan. Negare che stiano uscendo dati interessantissimi da protocolli clinici che utilizzano infusioni di Mscin diverse patologie e' come essere accecati da una predeterminazione e da un'attitudine che porta ad allineare immediatamente come nemici tutti quelli che la pensano diversamente, invece che collaborare per far chiarezza in tempi brevi con una verifica scientifica che risolverebbe un dibattito tanto polarizzante quanto non produttivo". "Ci sono iniziative in tutto il mondo per facilitare lo sviluppo di nuove terapie cellulari, non per deregolamentare le stesse. Incidentalmente, la proposta del Prof. Arnold Caplan e collaboratori non era per evitare o escludere la fase III e la verifica dell'efficacia, ma era esattamente l'opposto, era per permettere la prosecuzione della ricerca e trials clinici di verifica di efficacia, con registrazione in tempo reale e disponibile a tutti dei risultati ed eventuali effetti collaterali. Era un modo per permettere a gruppi accademici o anche a piccole biotech di portare avanti nuove tecnologie e possibili trattamenti innovativi senza soccombere dopo la fase I, lasciando che soltanto i grossi blocchi multinazionali possano decidere chi possa essere trattato e che strategie possano essere sviluppate ulteriormente. In parallelo, la proposta di The Cure Alliance era per facilitare le primissime fasi di sperimentazione clinica, attraverso centri accademici non-profit, tipo IRCS (vedi Centers of Excellence, e obiettivo numero 2 della Cure Alliance su www.thecurealliance.org)".

"Mentre The Cure Alliance non ha una posizione ufficiale sul caso Stamina e coprende individui con opinioni molto differenti sul caso specifico - aggiunge ancora Ricordi - personalmente sono a favore della verifica scientifica del presunto metodo, che alcuni esperti hanno giudicato possibilmente significativo considerati i risultati clinici osservati in alcuni pazienti, mentre altri lo hanno discredito per varie ragioni. La questione per me non e' se Stamina abbia eseguito abbastanza studi animali o abbia pubblicato abbastanza lavori scientifici, non e' come e perche un

brevetto non sia stato riconosciuto se un protocollo debba rimanere confidenziale o meno (incidentalmente la maggioranza dei protocolli "esterni" che stiamo verificando a Miami sono confidenziali e non ne conosciamo i dettagli) o se una domanda di brevetto ritirata contenga foto o informazioni sbagliate (incidentalmente la mancata approvazione di un brevetto non e' indicazione di inefficacia di un trattamento), non e' se sia giusto o meno spendere 3 milioni di Euro per un protocollo clinic di verifica quando altri scienziati competono e sono in difficolta' a reperire fondi".

"A mio avviso questa saga ha da lungo superato questa fase di dibattito, perche decine di pazienti sono gia' stati trattati e apparentemente in assenza di effetti collaterali significativi, la magistratura italiana ha ribaltato decisioni delle agenzie regolamentari competenti, e l'opinione di alcuni scienziati sono state contrastate dai pareri clinici di altri, dalla reazione popolare e dal voto quasi unanime del Parlamento italiano a favore di una verifica pratica del controverso protocollo clinic di Stamina in un numero limitato di pazienti. Era per me importante che in questa situazione chiaramente anomala si procedesse per far chiarezza sull'intera saga. Alla fine di questo processo di verifica ci saranno almeno tre possibilita': 1. I trattamenti proposti funzionano in una o piu' delle indicazioni selezionate con il potenziale di autare pazienti affetti in tutto il mondo; 2. Una risposta parziale o transitoria viene osservata a indicazione di un parziale effetto biologico che tuttavia non e' sufficiente a giustificare continuazione del protocollo clinic e dei costi associate; 3. Il presunto metodo non funziona, nessun beneficio clinic viene osservato nei pazienti trattati e la possibilita' di truffa e speculazione alle spalle di pazienti e le loro famiglie verra verificata ai livelli appropriate. In sintesi, non sono a favore di Stamina ma sono a favore di un processo di verifica che dovrebbe essere nell'interesse di tutti e che porrebbe fine a strumentalizzazioni e coalizioni diffamatori". "Nello specifico dei test che abbiamo offerto di eseguire a Miami, spero che questo sforzo multidisciplinare potra' servire a far luce almeno sul punto di partenza del presunto trattamento, ovvero la composizione cellulare e le caratteristiche di sicurezza biologica dei preparati infusi. Queste prove di verifica verranno effettuate da esperti di caratterizzazione di prodotti cellulari, inclusi esperti di neurobiologia e neurofisiologia. Spero che questa caratterizzazione iniziale che confermera' o meno, forse aggiungendo ulteriori informazioni rispetto ai test gia' effettuati in Italia su tali prodotti cellulari, potra' essere di assistenza. Come primo passo verso una verifica rigorosa del presunto trattamento. Questo momento di verifica iniziale potrebbe anche porre fine in tempi brevi a qualsiasi ulteriore discussione qualora i risultati fossero negative". "Come ho ripetuto in diverse occasioni sono a favore della verifica scientifica rigorosa ogni qualvolta uno o piu' esperti clinici di una patologia trattata riportano risultati clinici incoraggianti anche se il preciso meccanismo d'azione del presunto trattamento non sia ancora stato definite a livello di ricerca di base. Lo dobbiamo ai pazienti, alle loro famiglie e a tutti, compresa la comunita' scientific ache e' sempre piu' confuse da questa saga polarizzante, mentre sarebbe stato molto piu' semplice verificare scientificamente e porre fine a questo dibattito. Rispetto alle accuse alla proposta del Prof. Arnold Caplan e Collaboratori e a quella della Cure Alliance (pubblica e pubblicata sul sito www.TheCureAlliance.org) non abbiamo mai sostenuto la deregolamentazione. Non e' deregulation e si tratta di due proposte diverse: Caplan et al. hanno appena sottoposto il lavoro per pubblicazione, ma propongono di permettere ai trials di continuare dopo aver stabilito la sicurezza e efficacia iniziale con l'obbligo di riportare in tempo reale i risultati ed eventuali effetti collaterali in modo che si possa proseguire i trials fino alle fasi finali di approvazione ma continuando a raccogliere dati anche dopo l'approvazione (post market approval). Tale proposta permetterebbe di bloccare in tempo reale le procedure che non funzionano o che provocano effetti indesiderati. Come ho gia' detto in diverse occasioni, c'e' un percorso collaborativo e di verifica rapida ed efficiente che puo' essere portato avanti, e che dovrebbe essere considerato seriamente da chiunque abbia a cuore l'interesse dei pazienti e dei famigliari sempre piu' confusi da questa saga", conclude.