

LE “CURE COMPASSIONEVOLI”: COSA SONO, QUANDO E PERCHÉ SI PRATICANO

a cura di Massimo Gandolfini*

CHE COS'È LA CURA COMPASSIONEVOLE?

Innanzitutto è necessario chiarire la terminologia. Non è corretto parlare di “cura compassionevole”, bensì di “uso compassionevole” di una data terapia. La cura compassionevole deve costituire l’atteggiamento tipico della relazione di cura che definisce il rapporto medico-paziente. L’uso compassionevole di un farmaco o di una terapia si inserisce soprattutto nel contesto di pazienti oncologici, o affetti da malattie rare o degenerative avanzate per i quali non esista una valida terapia e che si ipotizza potrebbero trarre beneficio da un determinato presidio, ancora non approvato ed in fase di sperimentazione. Il concetto di uso compassionevole va tenuto distinto dal concetto di terapia sperimentale: quest’ultima richiede un protocollo clinico/sperimentale ben preciso e rigoroso che si applica a pazienti consenzienti, adeguatamente informati, caratterizzati da requisiti clinici predefiniti dallo studio sperimentale stesso. Non è per nulla facile entrare in studi clinici sperimentali soprattutto a causa della rigidità dei criteri di selezione cui devono rispondere i pazienti e della ridottissima probabilità pratica che, oggettivamente, un paziente ha di poter essere arruolato in uno di questi trials. Va anche detto che le grandi aziende farmaceutiche hanno scarso interesse ad investire ingenti risorse economiche – come richiede la sperimentazione clinica di terapie innovative – in ambito di “malattie rare” che, sul piano dei numeri e – quindi – dell’eventuale ritorno economico, riguardano una piccola nicchia di pazienti.

COME È REGOLATO L’USO IN ITALIA?

In Italia, l’uso compassionevole è regolamentato dal Decreto Ministeriale 8 maggio 2003, dal titolo “Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica” (Gazzetta Ufficiale n.173/03).

I criteri regolatori possono essere così sintetizzati:

- al di fuori della sperimentazione clinica (che, ripeto, ha caratteristiche diverse), il farmaco può essere richiesto all’impresa produttrice, quando non esiste una valida alternativa al trattamento di patologie gravi, o di malattie rare o di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita;
- è autorizzato l’uso del farmaco solo se ricorrono delle ben precise condizioni: * il farmaco, non ancora autorizzato in Italia, sia già in commercio in Paesi esteri, con la stessa indicazione terapeutica per la quale viene richiesto; * il farmaco sia già oggetto, nella specifica indicazione terapeutica, di studi sperimentali (in corso o conclusi) di fase III, o – in casi particolari di malattia che ponga il paziente in pericolo di vita – di studi clinici già conclusi in fase II; * esistano già dati disponibili sufficienti per formulare un giudizio favorevole su efficacia e tollerabilità del farmaco richiesto.
- la fornitura del medicinale è garantita dall’azienda farmaceutica produttrice;
- il protocollo di utilizzo del farmaco, definito dalla casa farmaceutica, deve avere approvazione – anche con procedura d’urgenza – del comitato etico competente per il “luogo sanitario” ove viene utilizzato, e deve essere accompagnato da una nota di assunzione di responsabilità del trattamento, secondo protocollo, da parte del medico richiedente;
- il farmaco è fornito gratuitamente dall’azienda autorizzata.

ESISTONO ECCEZIONI?

Sul piano pratico, è anche previsto un protocollo per “uso compassionevole” denominato “programma personalizzato” (*named-patient use*): il medico può contattare direttamente la ditta farmaceutica richiedendo la fornitura del farmaco. Qualora ottenesse una risposta positiva, dovrà richiedere all’organo di controllo nazionale (in Italia è l’AIFA) l’autorizzazione a procedere.

Come si evince dalla sintesi riportata, l’ “uso compassionevole” non è una sorta di “licenza” ad applicare liberamente qualsiasi terapia, ove avrebbero valore assoluto ed indiscutibile solo le volontà del paziente di “tentare il tutto per tutto” e del medico di “fare tutto il possibile”.

DOVE SI COLLOCA LA TERAPIA CON LE CELLULE STAMINALI?

Il 13 novembre 2007 il Parlamento ed il Consiglio Europeo hanno prodotto un “Regolamento CE sui medicinali per Terapie Avanzate” (n.1394/2007), in cui vengono fissate norme di farmacovigilanza per i “medicinali per terapie avanzate preparati industrialmente o nella cui fabbricazione intervenga un processo industriale e destinati ad essere commercializzati negli Stati membri”. Nel documento viene esplicitamente dichiarato che “la terapia genetica, la terapia cellulare e l’ingegneria tissutale” rientrano nella categoria “terapie avanzate” e – quindi – comprese nel Regolamento, al pari dei prodotti farmacologici veri e propri. Si deve obiettare che è decisamente incongruo porre sullo stesso piano prodotti chimici (quali sono i farmaci) e terapie cellulari che, coinvolgendo “strutture viventi”, quali sono le cellule, esigono sistemi e tempi di controllo (efficacia, sicurezza) e di stoccaggio/conservazione ben diversi, pena il rischio di vanificarne, di fatto, l’impiego.

CONSIDERAZIONI ETICHE

Il tema che stiamo trattando è di enorme delicatezza umana e di grande coinvolgimento affettivo-emotivo considerato il contesto di dolore, sofferenza e – non di rado – disperazione che fa da sfondo alle condizioni proprie delle malattie “incurabili”. Proprio per questo è particolarmente necessario evidenziare i valori etici in gioco:

1. La “ratio” etica dell’uso compassionevole sta nel consentire a pazienti privi di altre risorse terapeutiche, l’uso di farmaci, a titolo gratuito, non ancora completamente validati sul piano scientifico, ma per i quali si delinea una “ragionevole speranza” di effettiva sicurezza e beneficiabilità clinica.
2. Il rispetto della dignità della persona del malato impone che non venga “utilizzato” come una sorta di “cavia” umana, praticando un esperimento *in corpore vivo*, illecitamente strumentalizzando lo stato di necessità in cui egli si trova.
3. Il rispetto dei sentimenti di grave sofferenza e dolore delle persone affettivamente legate al paziente (in molti casi si tratta di bimbi segnati da patologie ad esito fatale) impone di evitare ogni speculazione del sentimento di “disperazione” che induce quella vulnerabilità psicologica che porterebbe chiunque a richiedere ed accettare l’impossibile, contro ogni razionalità.
4. Anche la ricerca e la sperimentazione biomedica devono rispondere a precisi criteri etici che si possono sintetizzare nell’imperativo morale di considerare sempre la persona umana come un fine e mai come un mezzo. L’assunto “non c’è più nulla da fare” non legittima scelte e comportamenti in deroga al rispetto della persona, anche e soprattutto quando questa è resa “debolissima” dalla condizione di grave malattia.
5. E’ grande e grave la responsabilità etica che lo sperimentatore si assume quando propone terapie non ancora adeguatamente studiate e validate dalla comunità scientifica nazionale e internazionale: certamente è lecito “alzare la voce” per farsi ascoltare, esigendo rapidità e trasparenza nei percorsi di studio ed approvazione, ma non è lecito mettere in atto “scorciatoie” che scavalcano passaggi essenziali, accreditando – fra l’altro – l’immagine di una scienza biomedica arroccata sui suoi “cavilli”, sorda o indifferente ai bisogni, impellenti e dolorosi, dei pazienti.

* *Primario neurochirurgo*

*Direttore dipartimento neuroscienze, Poliambulanza Brescia
Vicepresidente nazionale Associazione Scienza & Vita*