

SMA e staminali: una corretta informazione

I clinici e i ricercatori afferenti all'Associazione Italiana di Miologia - AIM, molto colpiti da quanto comunicato in una recente e nota trasmissione televisiva, andata in onda il 24 febbraio scorso, in relazione al caso di una piccola paziente affetta da **atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo I** (una malattia genetica estremamente grave) e trattata con il trapianto di un tipo particolare di cellule staminali - le cosiddette "mesenchimali adulte" - riferite a una pratica condotta dalla ONLUS **Stamina Foundation**, sentono il bisogno di spiegare alle famiglie quale sia il reale stato dell'arte sul possibile impiego delle Staminali nelle SMA e quanto il messaggio trasmesso dalla trasmissione fosse **fortemente errato e fuorviante**.

Premesso che l'identificazione di una cura per la SMA è l'obiettivo primario di noi tutti, comunità scientifica, pazienti, associazioni di pazienti e famiglie, sia italiane che internazionali, da quanto diffuso nella trasmissione sopra indicata - ma anche in passato in articoli di quotidiani e periodici, oltretutto in servizi di telegiornali - emerge che il trapianto di questo tipo di cellule staminali avrebbe prodotto risultati positivi e che questi sarebbero stati validati da Istituzioni Pubbliche, quali i TAR (Tribunali Amministrativi Regionali), affinché tale tipo di trattamento venga esteso ad altri pazienti affetti dalla stessa malattia.

In realtà, si sta studiando molto perché le cellule staminali diventino una terapia applicabile, ma al momento siamo in possesso di **solidi dati sperimentali**, derivanti da studi in laboratorio e sui modelli animali e non trasferibili all'uomo senza ulteriori ricerche.

Decine di centri di ricerca stanno infatti lavorando per l'identificazione di una terapia per la SMA, un impegno cui il nostro Paese partecipa attivamente, stante l'esistenza di strutture in prima linea e all'avanguardia nel panorama mondiale.

Ad oggi, sono state sviluppate una decina di **potenziali terapie** per questa devastante malattia (comprese alcune basate sull'uso delle cellule staminali) che, a differenza dell'approccio proposto da Stamina Foundation, sono supportate da **robusti dati scientifici preliminari**, e hanno dimostrato la loro efficacia potenziale su modelli animali della malattia. Questi dati sperimentali sono stati **messi a disposizione** e ampiamente discussi dalla comunità scientifica internazionale e, cosa estremamente rilevante, sono regolarmente pubblicati su riviste scientifiche specializzate.

Molte di queste potenziali terapie sono oggi in attesa di passare alla sperimentazione umana, ciò che avverrà nel momento in cui verrà dimostrato alle Istituzioni preposte alla salvaguardia della salute dei Cittadini, che i possibili benefici per i pazienti sono **superiori ai rischi potenziali**, legati alla somministrazione di una terapia i cui effetti sono **oggi sconosciuti**.

Qualsiasi approccio terapeutico, infatti, va condotto nell'ambito del più assoluto rigore scientifico e con la supervisione di clinici esperti della malattia.

Anche di fronte a malattie gravissime e per le quali non vi è una cura risolutiva, **non è legittimo "tentare"**, esponendo i pazienti al rischio di sofferenze ulteriori. Questo vale ancor di più nel caso in cui il paziente, in ragione della sua età, non possa esprimere un proprio parere. E ciò è ancora più spiacevole quando sono proprio alcuni organi dello Stato, quali quelli rappresentati dai **Giudici del Lavoro**, a decidere in merito a questioni così delicate e complesse, senza tenere conto del parere degli organi dello Stato preposti e competenti (Ministero della Salute, Agenzia Italiana del Farmaco-AIFA, Centri Esperti), che sono quelli a cui sta più a cuore trovare una terapia.

Oltre alle rilevantissime questioni inerenti la sicurezza di questo trattamento, infatti, sono ancora incerti **altri punti fondamentali**: la via di somministrazione più idonea, da una parte, i tempi per la terapia e in quale popolazione di pazienti (SMA I, II e III) sia più corretto scientificamente mettere a punto un trial per ottenere indicazioni di efficacia, dall'altra.

Le problematiche qui sintetizzate sono riportate per esteso nell'articolo allegato e riteniamo sia facile intuirne la portata (1).

Nella citata trasmissione televisiva del 24 febbraio, non è stata fatta menzione che ad oggi **non è stato pubblicato alcun dato scientifico** che supporti la validità e l'efficacia di questa potenziale terapia, né che dimostri che siano state **effettivamente iniettate staminali**; inoltre, e soprattutto, non si è tenuto conto di un articolo pubblicato su un'autorevole rivista scientifica, che ne dimostra invece **l'inefficacia**, proprio in un gruppo di bambini trattati all'Ospedale Burlo Garofalo di Trieste, con questa procedura (2).

Non vogliamo discutere sulla buona fede di chi ha realizzato la trasmissione, e tuttavia va detto che sicuramente sia gli autori della trasmissione, sia gli stessi genitori della bambina, non hanno né le conoscenze né l'esperienza, né gli strumenti per decidere se le modificazioni osservate siano davvero da correlarsi alla cosiddetta "terapia". I pazienti affetti da SMA sono infatti **molto eterogenei tra loro** e anche quando l'esordio avviene alla stessa età, anche quando le valutazioni iniziali sembrano rilevare la stessa gravità clinica, l'evoluzione nel tempo può essere diversa da persona a persona. Anche nella letteratura scientifica più "antica", del resto, venivano segnalati casi di bambini affetti da SMA di tipo I con sopravvivenza maggiore della media e con andamento clinico relativamente meno severo, in assenza di alcuna terapia.

Per questo motivo è opportuno ricordare anche che i "leggeri miglioramenti", come quelli mostrati nella trasmissione, possono **far parte dell'andamento stesso** di una malattia come l'atrofia muscolare spinale, senza per questo mettere in dubbio la diagnosi o modificare la prognosi a lungo termine; inoltre, tali miglioramenti - ben noti a chi segue da anni la malattia - possono anche essere considerati il frutto di un'adeguata presa in carico, volta all'ottimizzazione degli aspetti respiratori e nutrizionali dei pazienti.

Dal canto nostro, stiamo cercando di **informare adeguatamente famiglie e pazienti** sin dal mese di **marzo del 2011**, a seguito di comunicazioni dal tono sensazionalistico e miracolistico riportate da vari organi d'informazione circa una presunta «terapia della SMA tipo 1 con cellule staminali».

In tal senso, fin da allora la **UILDM** (Unione Italiana Lotta alla Distrofia Muscolare), congiuntamente all'Associazione **Famiglie SMA** (Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale) e tramite i propri organi medico-scientifici di riferimento, aveva chiaramente spiegato ai propri Associati il significato delle pratiche cosiddette "curative" proposte da Stamina Foundation, nell'ambito delle malattie neuromuscolari e nello specifico dell'atrofia muscolare spinale.

A questa linea d'azione l'Associazione Italiana Miologia si associa per le motivazioni sopra esposte, con la speranza che questa presa di posizione sia utile e di conforto per tutti i familiari toccati da una malattia così seria come la SMA.

Infine, ci spiace verificare che, ad oggi, **mai sia stata resa pubblica** dagli organi di informazione, e tanto meno nella citata trasmissione televisiva del 24 febbraio, la posizione dei ricercatori e dei clinici. Ci auguriamo, quindi, che questo documento possa dare utili motivi di riflessione a tutti, anche a chi ancora si chiede perché questa cosiddetta "terapia" con cellule staminali non sia stata resa disponibile a tutta la comunità.

Milano 7 marzo '13

Associazione Italiana Miologia
Il Presidente ed il CD