

VADEMECUM

TERAPIE A BASE DI CELLULE STAMINALI

Per aiutare pazienti e famiglie a orientarsi ed evitare con maggiore facilità promesse senza fondamento e truffe che puntano solo ad arricchire chi prospetta “cure miracolose”, **Osservatorio Terapie Avanzate (OTA) mette a disposizione un vademecum in dieci punti.** Il focus è sulle **terapie a base di cellule staminali**, ambito ormai d'elezione per azioni al limite e, a volte, anche oltre la scientificità, la correttezza e la legalità.

Ad oggi sono ancora poche le terapie avanzate approvate - e pochissime quelle basate sull'utilizzo delle cellule staminali - ma è un ambito della ricerca in continua e rapida evoluzione. Per restare sempre aggiornati, **dal portale di OTA è possibile scaricare gratuitamente le tabelle che riassumono lo stato di approvazione e di rimborsabilità delle terapie avanzate in Europa e in Italia.**

1

Controllare se il trattamento è stato autorizzato dagli enti regolatori e con quale precisa indicazione

Le terapie a base di cellule staminali considerate sicure, efficaci ed autorizzate dagli enti regolatori, in Europa ed in Italia, sono pochissime e l'elenco delle patologie per le quali sono applicate è breve.

Le **cellule staminali ematopoietiche (HSC)** - ovvero le cellule staminali del sangue - sono quelle più conosciute e utilizzate e il **trapianto di midollo osseo**, che contiene appunto le HSC, è un'opzione valida per il trattamento di patologie ematiche o malattie del sistema ematopoietico. Un'altra tipologia di cellule staminali già utilizzata in ambito clinico sono quelle epiteliali che danno origine ai diversi epiteli di rivestimento presenti nell'organismo (la pelle in primis, ma anche gli epiteli interni ad esempio, inclusa la **cornea**). Da decenni le **cellule staminali epiteliali** vengono studiate per il trattamento dei **grandi ustionati** e le conoscenze acquisite sono state poi applicate ad altre patologie, aprendo le porte a diverse ricerche. Questi sono gli ambiti nei quali è possibile trovare usi terapeutici approvati: tutte le altre applicazioni devono essere considerate sperimentali. In alcuni casi è davvero opportuno considerarli dei veri tentativi di truffa che possono, inoltre, mettere a rischio la vita del paziente.

Dal portale di Osservatorio Terapie Avanzate è scaricabile la tabella completa e aggiornata delle terapie avanzate autorizzate in Europa e in Italia.

2

Se non è stata autorizzata dagli enti regolatori, controllare se si tratta di una terapia sperimentale per la quale sono stati condotti - o sono in corso - studi clinici seri e regolamentati

Sulla piattaforma clinicaltrials.gov sono consultabili gli studi clinici condotti a livello internazionale. Gli studi clinici condotti in Italia possono essere consultabili sul portale sperimentazionecliniche.it. Su questi siti vengono indicati anche i centri clinici in cui vengono condotti gli studi: controllare sempre bene se esiste un centro nel proprio Paese e vicino alla propria abitazione.

3 Diffidare di terapie a pagamento

In Italia, **la maggior parte delle terapie a base di cellule staminali autorizzate sono a carico del Sistema Sanitario Nazionale (SSN)** e vengono erogate da strutture ospedaliere specializzate e accreditate: non vengono richiesti pagamenti. Inoltre, **la partecipazione alle sperimentazioni cliniche in Italia è gratuita**. Se viene richiesto il pagamento al paziente o alla famiglia, cercare informazioni approfondite sul trattamento e sulla struttura ospedaliera/clinica che lo eroga. Generalmente il paziente non deve pagare la terapia, né le visite cliniche e analisi correlate. **Solo alcune spese logistiche possono essere a carico del paziente o della famiglia**, come ad esempio viaggi e pernottamenti. Nel caso si voglia partecipare ad uno studio clinico all'estero bisogna prima informarsi se è uno studio approvato dagli enti regolatori, se ci sono i presupposti per la partecipazione, le differenze tra i sistemi sanitari del proprio Paese e di quello ospitante e, di conseguenza, l'impegno richiesto.

4 Accedere ad una terapia sperimentale non vuol dire accedere alla "cura"

Chi partecipa ad uno studio clinico decide di **far parte di una sperimentazione vera e propria**, che ha l'obiettivo di testare la sicurezza e l'efficacia di un nuovo farmaco e valutare i rischi e i benefici. Inoltre, **la partecipazione ad uno studio clinico richiede una selezione molto rigorosa dei pazienti coinvolti** - con la richiesta di certificati di diagnosi, visite cliniche e analisi - e può richiedere un importante impegno di diversi anni per il monitoraggio clinico.

5 Le terapie non ancora approvate - in fase di sviluppo clinico e di sperimentazione - possono essere offerte legalmente e gratuitamente ai pazienti nell'ambito dei programmi di accesso precoce

Spesso in questi casi si parla di **'uso compassionevole'**, anche se il termine non è sempre del tutto corretto, essendo questa solo una delle diverse specifiche procedure per ottenere, legalmente e previa approfondita valutazione medica, una terapia non ancora pienamente autorizzata. Uso compassionevole non vuol dire "per tutti e comunque", ma vi sono dei **precisi requisiti e procedure da rispettare**. Le normative in vigore in Italia che consentono l'utilizzo di un farmaco prima dell'immissione in commercio sono consultabili sul 2° Quaderno dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) dal titolo **"Early Access Programmes (EAPs) per i farmaci"**, [scaricabile gratuitamente](#).

6 Non esistono terapie senza rischi o effetti collaterali

Presentare ai pazienti una terapia come esente da qualsiasi rischio deve essere considerato un serio campanello d'allarme. **Tutti i farmaci - anche quelli più noti e comunemente utilizzati - possono causare eventi avversi**, che sono più o meno probabili e gravi a seconda della terapia e delle modalità di utilizzo. Le informazioni sugli eventi avversi vengono raccolte durante gli studi clinici e rigorosamente riportate nel foglietto illustrativo di ogni farmaco. Tutti i medici dovrebbero presentare i benefici e i rischi delle terapie che prescrivono.

7 Non esistono terapie miracolose: le terapie avanzate sono ideate e sviluppate per specifiche patologie, non possono essere valide 'per tutti i mali'

Diffidare da chi promette trattamenti a base di staminali in grado di curare tante patologie e molto diverse tra loro, soprattutto se a pagamento. **Attenzione alla pubblicità con linguaggio persuasivo e all'utilizzo di social media e web in modalità marketing**.

8 Controllare bene le fonti

Le informazioni sui trattamenti devono essere sempre molto chiare e affidabili e deve essere rilasciata una chiara documentazione scritta. Bisogna sapere con precisione il nome del trattamento, per quale patologia è indicato, chi lo ha sviluppato, come avviene la somministrazione, in quale struttura, quali sono i benefici ed i rischi, etc. È fondamentale ricorrere a fonti ufficiali e affidabili come enti regolatori, pubblicazioni su riviste scientifiche internazionali, società scientifiche, strutture ospedaliere accreditate.

Per avere informazioni sullo stato di approvazione di una terapia all'interno dell'Unione Europea, la fonte di riferimento è l'**Agenzia Europea dei Medicinali (EMA)**. In Italia, invece, l'ente di riferimento è l'**Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)**. È inoltre consultabile la Banca Dati Farmaci, l'unica banca dati ufficiale che permette la consultazione dei Riassunti delle Caratteristiche del Prodotto e dei Fogli Illustrativi aggiornati dei farmaci autorizzati in Italia.

9 Interpellare le associazioni di pazienti di riferimento per le diverse patologie

Spesso queste associazioni, soprattutto se dotate di un comitato scientifico, sono **una preziosa fonte di informazione sulle nuove terapie autorizzate e sulle terapie sperimentali** e possono così guidare pazienti e famiglie nelle scelte più adeguate.

10 Altre fonti affidabili a disposizione dei pazienti

Osservatorio Terapie Avanzate (OTA)

OTA è una testata giornalistica, edita da Rarelab Srl, e un Think Tank focalizzati sulle terapie avanzate. Il sito web è stato lanciato nel 2019 e si è accreditato rapidamente come il più autorevole portale di comunicazione dedicato al tema in Italia.

La redazione di OTA è sempre disponibile a rispondere alle domande e ai dubbi di pazienti, famiglie e persone interessate al tema delle terapie avanzate:

info@osservatorioterapieavanzate.com

(Le informazioni fornite dalla Redazione non sostituiscono in alcun modo il giudizio di un medico specialista, l'unico autorizzato ad effettuare una consulenza e ad esprimere un parere medico)

International Society for Stem Cell Research (ISSCR)

Manuale per il paziente relativo alle terapie con cellule staminali: [scarica il documento in italiano](#).

GLOSSARIO

Una **cellula staminale** ha la capacità unica di autorinnovarsi e di differenziarsi in una vasta gamma di cellule più specializzate che costituiscono l'organismo. Le staminali sono così responsabili di mantenere l'omeostasi e di sostenere la rigenerazione dei tessuti.

Una **terapia sperimentale** non è stata approvata dagli enti regolatori e non ha ancora superato tutti i passaggi necessari per dimostrare la sicurezza e l'efficacia di trattamento per una specifica patologia. È quindi in fase di studio in un trial clinico autorizzato e può essere somministrata solo all'interno di esso o in un programma di accesso anticipato (Early Access Programs - EAPs).

Una **terapia approvata** è una terapia validata scientificamente che ha superato tutti i passaggi necessari per arrivare all'approvazione da parte delle autorità competenti, con conseguente possibile autorizzazione all'immissione in commercio.