

## IL BENE DI CHI SOFFRE

di Giovanni Pernigotto\*

Le parole pesano. Alcune sono leggere come piume, altre sono macigni e chi le pronuncia sembra mastichi veleno. Una di queste parole pesanti era talidomide. Una parola tabù, evocatrice di un dramma terribile. Il ritiro dal mercato del farmaco negli anni Sessanta non fu solo un atto dovuto, ma assunse un significato simbolico, nel tentativo di dimenticare uno dei casi più gravi di errore sanitario dal dopoguerra a oggi. Eppure la vicenda non era destinata a chiudersi. Alcuni eventi a un certo momento riemergono, con esiti a dir poco imprevedibili. Da un punto di vista medico e farmacologico, nuova non è tanto la talidomide, quanto la conoscenza dei suoi effetti e la possibilità di somministrarla nella lotta ad alcune forme tumorali.

La storia della talidomide appare emblematica nel mostrare come non si possa prescindere da una scelta di campo nei confronti dell'umanità. Oggi la lezione sembra definitivamente imparata. Eppure non è facile moralismo chiedere che non venga abbassata la guardia nel rapporto

segue a pag. 2

## NEL NOME DI APPROPRIATEZZA E SICUREZZA

**Parte il Programma di accesso allargato per l'uso off label di Thalidomide Celgene™**



Appropriatezza terapeutica e sicurezza. È con questi obiettivi che è stato dato il via al Programma di accesso allargato per l'uso di talidomide in alcune indicazioni di mieloma multiplo non coperte dall'Autorizzazione all'immissione in commercio. L'iniziativa, aperta a tutte le ematologie italiane, è stata accolta con favore dall'Agenzia italiana del farmaco.

Thalidomide Celgene è di-

sponibile in Italia da maggio 2009 ed è uno dei principali farmaci per il trattamento dei pazienti affetti da mieloma multiplo di nuova diagnosi, non candidabili al trapianto. Thalidomide Celgene è indicata, in associazione a melfalan e prednisone, nel trattamento di pazienti non precedentemente trattati, di età superiore o uguale ai 65 anni o non idonei a chemioterapia a dosi ele-

vate. L'uso di Thalidomide Celgene è vincolato all'applicazione di un Programma di Prevenzione della gravidanza definito dall'EMA e da AIFA. L'indicazione autorizzata non contempla però l'utilizzo del farmaco in alcuni casi, il cui uso si è diffuso nella pratica clinica (off label). In particolare, con il nuovo programma, della durata di un anno, sarà ora possibile prescrivere Tha-

## NEL NOME DI APPROPRIATEZZA E SICUREZZA

segue da pag. 1

lidomide Celgene in quattro ulteriori casi: induzione al trapianto di cellule staminali autologhe, consolidamento e mantenimento dopo il trapianto, trattamento di salvataggio di pazienti che non possono più essere trattati con farmaci approvati per la seconda linea e successive, continuità terapeutica per i pazienti già in trattamento con talidomide da un mese al primo settembre 2009. Per mettere in pratica il programma è indispensabile aderire a un protocollo specifico ed essere autorizzati dal comitato etico locale. Il programma è disciplinato dal decreto del Ministero della Salute dell'8 maggio 2003 e dalla legge 94 del 1998. Grazie a queste due norme, tramite protocolli specifici, è possibile rendere disponibile un nuovo farmaco di provata efficacia, non ancora approvato in Italia, in assenza di alternative terapeutiche. La fornitura del farmaco sarà, di conse-

guenza, gratuita. Ma quali sono le date da segnare in calendario? Già dallo scorso 7 settembre è possibile ricevere Thalidomide Celgene in base al nuovo programma. Dal primo dicembre il programma sostituisce, a tutti gli effetti, la vecchia procedura di utilizzo off label, che prevedeva la richiesta di approvazione ad AIFA per ciascun paziente. Il tutto con un nota bene: il programma si applica solo al trattamento del mieloma multiplo, quindi la richiesta ad AIFA per i singoli pazienti deve essere effettuata, anche dopo il primo ottobre, per le altre patologie. A parlare di uso sicuro del farmaco è **Stefano Portolano, amministratore delegato di Celgene Italia**: «Il programma consente allo specialista di adottare il comportamento prescrittivo più appropriato, all'interno di regole che garantiscono la totale sicurezza d'uso del farmaco. Con que-

sta iniziativa, che prevede l'applicazione del programma di gestione del rischio e di prevenzione della gravidanza per tutti i pazienti coinvolti, si dimostra attenzione alle esigenze cliniche e ai reali bisogni di salute». Thalidomide è infatti assolutamente controindicata durante la gravidanza e i pazienti maschi che assumono il farmaco devono astenersi dai rapporti sessuali o usare le opportune precauzioni con donne potenzialmente fertili. Pertanto, il piano di prevenzione della gravidanza ha tre principali obiettivi: evitare l'esposizione del feto alla Thalidomide Celgene, attraverso l'applicazione di misure di prevenzione delle gravidanze e l'effettuazione periodica di test; informare i pazienti e gli operatori sanitari sull'uso sicuro di Thalidomide Celgene e sui potenziali effetti collaterali; controllare e valutare la corretta applicazione del programma.

## IL BENE DI CHI SOFFRE

segue da pag. 1

to tra giusto profitto e diritti del paziente, tra guadagni ed eticità del loro ottenimento.

Nel caso in esame, le aziende e i ricercatori in gioco, ciascuno con la propria competenza, hanno mantenuto una rigorosa serietà di metodo nelle procedure protocollari, volte a ripristinare la piena legittimità dell'uso del farmaco, riducendo cioè a zero il rischio

teratogenico.

Occorre d'altro canto evidenziare il coraggio di chi ha accettato la sfida di utilizzare il farmaco in modalità innovativa. In tal senso la vicenda della talidomide può rappresentare un esempio positivo, proponendo non solo una procedura di tipo sanitario-farmaceutico, ma un metodo e uno stile: quello della sen-

sibilità etica. Se un progetto sa inserirsi in un orizzonte di miglioramento delle condizioni di salute delle persone, allora riscopre il suo volto umano. In ciò vi è uno spazio di creatività etica ancora inesplorato. Dietro ad aride cifre e a estenuanti metodologie di ricerca, si rivela il criterio universale per cui vale la pena continuare il proprio lavoro con passione:

il bene concreto di chi soffre. La cura del malato non è solo una questione di dovere professionale. E se un giorno si tornerà a superare lo strettissimo concetto di paziente-consumatore o paziente-cliente sarà in nome di una seria professionalità, che si nutre di altri obiettivi rispetto a quelli del profitto e della notorietà.

*\* eticista, Università di Trento*

## «PERCHÉ NON SUCCEDA PIÙ»

A colloquio con Nadia Malavasi, presidente TAI Associazione Thalidomidici Italiani Onlus

Grinta, forza, determinazione. In una parola, voglia di farcela. È questo che traspare dallo sguardo di Nadia. È questo che ti rimbalza addosso, come un'energia contagiosa, quando la incontri. Perché

lei, Nadia Malavasi, è una delle vittime della talidomide. È focomelica. Ma non si arrende davanti a niente, Nadia. Così, nel 2004, ha fondato TAI Onlus, l'associazione thalidomidici italiani onlus. Per «aiutare al-

tre persone – spiega -. Per rendere giustizia a un piccolo popolo in via d'estinzione in Italia. Perché purtroppo di talidomidici in Brasile ne nascono ancora e la vendita del farmaco galenico in Giappone è pri-

va di un programma di risk management». L'associazione che Nadia presiede si batte per due obiettivi: ottenere gli indennizzi che spettano alle vittime per ciò che hanno subito e vigilare sull'uso sicuro di talido-



mide. Il primo obiettivo è stato raggiunto: un recente decreto a firma del ministro del Welfare, Maurizio Sacconi, ha stabilito che a ciascuna vittima italiana della talidomide spetta un indennizzo di circa quattro mila euro al mese. Si conclude così una battaglia portata avanti per circa mezzo secolo. «Siamo soddisfatti dei risultati – commenta Nadia -, ma ora bisogna non abbassare la guardia».

Avendo messo a segno il primo risultato, ora Nadia si sta concentrando sul secondo e chiede a gran voce che «nell'uso della talidomide si rispetti il monitoraggio previsto dal programma di prevenzione della gravidanza, che di per sé è già una garanzia». TAI Onlus ha seguito, insieme alle altre Associazioni delle vittime, il processo regolatorio europeo che ha portato all'approvazione

di talidomide nel mieloma multiplo, uno dei più importanti tumori del sangue. Ne è scaturito un Programma di Prevenzione della Gravidanza e di Gestione del Rischio unico al mondo e per il quale le vittime hanno chiesto all'azienda produttrice e alle autorità regolatorie di assumersi la responsabilità di farlo sempre rispettare.

«Sono felice che questo farmaco si sia rivelato una valida terapia nella cura dei malati di mieloma multiplo – dichiara Nadia -. L'importante è essere sicuri che il medicinale non finisca nelle mani sbagliate. Per questo ogni associazione europea ha nominato un advisor per il comitato scientifico e il board ha collaborato con la ditta produttrice Celgene e con l'EMA (European Medicines Agency) per stabilire come applicare questo Programma di Prevenzione

della Gravidanza e di Gestione del Rischio. Ed è ancora per questo che TAI Onlus ha recentemente richiesto ad AIFA di costituire una Commissione di Vigilanza per l'Uso Sicuro di Talidomide che coinvolga un gruppo multidisciplinare di professionisti e che rappresenti tutti i livelli di governo dell'assistenza farmaceutica».

Con la mente, Nadia ripercorre la sua vicenda. E racconta che cosa è successo molti anni fa: «Mia madre aveva assunto talidomide nelle prime settimane di gravidanza. Il farmaco le era stato prescritto per sedare la tosse». Un rimedio che ha causato una tragedia. Ma quali sono le difficoltà principali che deve affrontare chi si trova in questa condizione? «Vestirsi, mangiare, camminare... anche le azioni quotidiane sono un pro-



**Nadia Malavasi**

blema – risponde Nadia -. Si deve chiedere continuamente aiuto». Anche se lei è una donna indipendente. Che, nonostante la disabilità, guida l'auto, è sposata, è mamma di Marco. Che dimostra a tutti che farcela è possibile. E che, nel contempo, ricorda a tutti che i programmi di accesso e di controllo sono fondamentali. Perché quello che è accaduto a lei non deve più ripetersi.



**Responsabile dei contenuti:** Francesca Caprari - Celgene Italia  
**Coordinamento editoriale:** Rita Pagani - Celgene Italia  
**Redazione:** Paola Arosio - Maya Idee  
**Celgene s.r.l.** Corso Garibaldi 86 - 20121 Milano Italia  
 Tel. +39 02 91434100 - Fax +39 02 91434180  
[www.celgene.it](http://www.celgene.it)



Se non desideri ricevere questa newsletter scrivi a [info@celgene.com](mailto:info@celgene.com) o telefona al numero +39 02 91434360