



Giunte e Commissioni

RESOCONTO STENOGRAFICO

n. 80

**BOZZE NON CORRETTE**

COMMISSIONE PARLAMENTARE DI INCHIESTA  
SULL'EFFICACIA E L'EFFICIENZA DEL SERVIZIO SANITARIO  
NAZIONALE

SEGUITO DELL'INCHIESTA SULL'ASSISTENZA SANITARIA ALLE  
PERSONE AFFETTE DA GRAVI FORME DI DISABILITA'

83<sup>a</sup> seduta: martedì 28 settembre 2010

Presidenza del presidente MARINO

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

**I N D I C E**

**Audizione della dottoressa Letizia Mazzini**

|                  |         |
|------------------|---------|
| PRESIDENTE       | MAZZINI |
| BIONDELLI (PD)   |         |
| MASSIDDA (PdL)   |         |
| SACCOMANNO (PdL) |         |

*Sigle dei Gruppi parlamentari: Futuro e Libertà per l'Italia: FLI; Italia dei Valori: IdV; Il Popolo della Libertà: PdL; Lega Nord Padania: LNP; Partito Democratico: PD; Unione di Centro, SVP e Autonomie (Union Valdôtaine, MAIE, Io Sud, Movimento Repubblicani Europei): UDC-SVP-Aut:UV-MAIE-IS-MRE; Misto: Misto; Misto-Alleanza per l'Italia: Misto-ApI; Misto-MPA-Movimento per le Autonomie-Alleati per il Sud: Misto-MPA-AS.*

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

*Interviene la dottoressa Letizia Mazzini.*

*I lavori hanno inizio alle ore 14,05.*

PRESIDENTE. Se non vi sono osservazioni, il processo verbale della seduta del 22 settembre 2010 si intende approvato.

*SULLA PUBBLICITA' DEI LAVORI.*

PRESIDENTE. Onorevoli colleghi, vi comunico che è stata chiesta l'attivazione (la richiesta è venuta da Radio radicale) dell'impianto audiovisivo. Se non vi sono osservazioni, tale forma di pubblicità è dunque adottata per il prosieguo dei lavori.

Ricordo altresì che dei nostri lavori viene redatto e pubblicato il Resoconto stenografico.

**Seguito dell'inchiesta sull'assistenza alle persone affette da gravi forme di disabilità: audizione della dottoressa Letizia Mazzini**

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

PRESIDENTE. L'ordine del giorno reca l'audizione della dottoressa Letizia Mazzini, nell'ambito dell'inchiesta sull'assistenza sanitaria alle persone affette da gravi forme di disabilità.

La dottoressa Mazzini, che saluto e ringrazio per la disponibilità, è una specialista in neurologia, attualmente operante presso l'ospedale di Novara. È stata convocata in ragione delle interessanti sperimentazioni condotte nel campo della sclerosi laterale amiotrofica (SLA); sperimentazioni aventi per oggetto il trapianto, a scopo terapeutico, di cellule staminali autologhe, ossia prelevate dal midollo dello stesso paziente sottoposto alla cura.

Chiederei ora all'audenda di voler svolgere una relazione introduttiva, per illustrare alla Commissione i risultati cui è pervenuta nell'ambito della propria attività di ricerca e l'attuale stato di implementazione della metodica individuata. Dopo la relazione, i commissari, a partire dai relatori dell'inchiesta, senatori Biondelli e Massidda, potranno intervenire per porre quesiti e svolgere considerazioni.

Do quindi la parola alla dottoressa Mazzini.

*MAZZINI.* Signor Presidente, sono io a ringraziarvi per il vostro invito e per l'opportunità che mi è concessa di fare una presentazione di un lavoro

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

di ricerca iniziato ormai quasi 9 anni fa: è stata una ricerca molto sofferta su tutti i fronti, da quello scientifico a quello assistenziale, da quello del contrasto alla lotta, per arrivare a realizzarla. Devo dire che, purtroppo, non solo tale situazione non è migliorata nel tempo, ma ultimamente è anche peggiorata.

Vorrei soffermarmi in primo luogo sulla malattia, al fine di rendere più chiara la necessità di andare avanti su questo fronte di ricerca. In Italia la SLA è divenuta più nota negli ultimi tempi, quando alcuni calciatori, come Signorini, hanno dichiarato di soffrire di tale malattia. Attualmente è in atto una sperimentazione, partita da un'inchiesta del procuratore Guariniello a Torino, che ha evidenziato una maggiore incidenza della malattia tra i calciatori. Tale dato è stato confermato dal punto di vista epidemiologico e da uno studio dell'Istituto superiore della sanità. Addirittura, in questa popolazione il rischio di ammalarsi è 11 volte superiore, quindi si tratta di un gruppo di malati che andrebbe studiato con molta più attenzione, a mio modo di vedere. La malattia ha un'uguale incidenza in tutto il mondo; trovare una popolazione con un'incidenza maggiore offre la possibilità di studiarla e conoscerla meglio, anche a beneficio di tutti gli altri malati.

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

La SLA è una malattia drammatica perché ha un *target* selettivo, che sono i motoneuroni, e si manifesta attraverso un processo degenerativo progressivo che, in un arco variabile di tempo - come tutte le malattie neurodegenerative ha un andamento molto diverso da un malato all'altro - conduce alla paralisi di tutta la muscolatura scheletrica, sia quella degli arti che quella del territorio bulbare. Alla fine del decorso della malattia, il malato non può muovere più nulla, non deglutisce, non parla e quindi ha la necessità di essere alimentato artificialmente e, a un certo stadio della malattia, deve essere aiutato a respirare.

Parliamo di una malattia in cui alcuni tipi di scelte terapeutiche sconfinano molto tra la terapia palliativa e l'accanimento terapeutico, quindi è complessa da affrontare, sia a livello clinico che sperimentale. Dal punto di vista sperimentale conosciamo poco della malattia e nulla delle sue cause, purtroppo. Ciò che invece cominciamo ad intuire e a rilevare sono alcuni dei danni che il processo degenerativo determina, per cui conosciamo la via finale, ossia cosa succede nei motoneuroni. Soprattutto, dalle ultime ricerche di biologia molecolare sembra evidenziarsi che si ammalano forse addirittura per prime le cellule gliali, che stanno intorno al motoneurone e lo supportano.

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

Il nostro tentativo, che costituisce già la base di lavoro sulla quale abbiamo avviato la sperimentazione, è di intervenire con le cellule staminali per supplire la perdita motoneuronale, ma soprattutto delle cellule gliali che stanno intorno. Vorremmo inserire delle cellule nuove, in sostituzione delle cellule gliali, per introdurre i fattori di crescita che mancano e fare in modo che, quanto meno, il processo degenerativo rallenti. La scelta che abbiamo fatto sul tipo di cellula è stata condizionata da due aspetti: il primo è prettamente scientifico. I laboratori dell'ospedale infantile «Regina Margherita», con cui lavoriamo tuttora, avevano già alle spalle una grande esperienza sull'isolamento e l'espansione delle cellule mesenchimali sui bambini con l'osteogenesi imperfetta e con altri tipi di patologie.

Si tratta di cellule facilmente ottenibili dal midollo osseo con una procedura standard, che si utilizza comunemente per i trapianti di midollo nelle leucemie e nei mielomi: si isolano in laboratorio le cellule mesenchimali, che sono cellule staminali, rispetto alle cellule ematopoietiche che invece sono quelle che servono per le leucemie.

Le cellule mesenchimali sono cellule staminali che hanno una particolare capacità di esercitare un'azione antinfiammatoria e sono vere macchine per produrre i fattori di crescita. Abbiamo provato a trapiantarle

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

nell'unico modellino di malattia che allora avevamo a disposizione; adesso, fortunatamente, riusciremo forse ad avere un altro modello che riproduce meglio la malattia. Un grosso ostacolo alla ricerca sulla malattia di cui stiamo parlando è proprio il fatto di non disporre di un modello sperimentale animale che riproduca perfettamente la malattia, per cui induciamo una malattia simile, una paralisi progressiva degli arti, attraverso una modifica genetica a un topo che sviluppa una paralisi progressiva (in realtà, non è una vera e propria SLA).

Sul suddetto modellino abbiamo trapiantato le cellule mesenchimali e abbiamo visto che innanzitutto le cellule non crescevano in senso tumorale, quindi non producevano tumore rispetto alle cellule embrionali, in cui questo rischio è molto più elevato. Queste cellule determinavano nell'ambiente in cui erano state trapiantate una riduzione dell'azione infiammatoria intorno al motoneurone, da cui risultava un effetto clinico benefico, nel senso che il topo moriva più tardi, prolungandosi la sua sopravvivenza e rallentandosi la perdita delle *performance* motorie.

L'altro problema tecnico-scientifico era dove impiantare tali cellule, perché purtroppo la malattia è molto disseminata: il suo *target* è costituito da tutti i motoneuroni in maniera molto *random*, ossia non regolare e progressiva. Abbiamo scelto il midollo spinale perché quest'ultimo è la

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

sede dove ci sono tutti i motoneuroni e in particolare il secondo motoneurone, quello che innerva gli arti.

Un'ulteriore difficoltà tecnica è stata di tipo chirurgico, ossia come mettere le cellule nel midollo spinale. Per motivi di sicurezza abbiamo scelto il midollo dorso-lombare che, dal punto di vista chirurgico, poteva creare meno problemi.

Abbiamo trapiantato così le cellule nel midollo del topolino, perché mettendole in vena - e lo dimostra tutta la letteratura internazionale - tali cellule purtroppo si accumulano tutte nel polmone e nella milza, e nel sistema nervoso centrale ne passano pochissime, per non dire nessuna.

Abbiamo anche provato a metterle nel liquor con la puntura lombare, ma anche lì girano nel liquor senza confluire dove dovrebbero: affinché esercitino il loro effetto, deve essere effettuato un vero e proprio trapianto.

Quindi, le cellule vanno trapiantate per via intraparenchimale. Il nostro obiettivo sarà quello di arrivare ad un tratto del midollo che sia importante per una muscolatura vitale: quella respiratoria e quella degli arti superiori.

Nel 2002, quando è avvenuta la prima sperimentazione, per motivi di sicurezza abbiamo chiesto l'autorizzazione al Comitato etico della Regione Piemonte e ai comitati etici degli ospedali interessati che avevano

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

dato la loro autorizzazione. Siamo partiti con nove pazienti. Successivamente è intervenuta una modifica della legge che nel 2003 ci ha bloccato, prevedendo un'ulteriore prassi per poter andare avanti. Abbiamo seguito la prassi che ci era stata indicata e abbiamo chiesto l'autorizzazione anche all'Istituto superiore della sanità che nel 2006 ci ha autorizzato la sperimentazione su altri dieci pazienti.

I dati sono tutti pubblicati: vi sono almeno tre pubblicazioni rilevanti dal punto di vista della letteratura scientifica. Sono dati che sostanzialmente dimostrano la sicurezza della tecnica, nel senso che nessuno di questi pazienti ha avuto problemi chirurgici, né ha sviluppato tumori, anche a distanza di otto anni dal trapianto. Dei nove pazienti sottoposti a trapianto nel 2002 ve ne sono ancora quattro vivi, anche se, da un punto di vista scientifico, non è dimostrato che sia stato il nostro trapianto a consentire il prolungamento della vita, perché la malattia - come dicevo all'inizio - è estremamente variabile. Tuttavia, dei 19 pazienti trapiantati, ci pare di intuire che a beneficiare del trapianto sia un certo gruppo con determinate caratteristiche della malattia: i casi con prevalenza del secondo motoneurone.

La nostra idea, peraltro, nel corso del tempo è stata raccolta dagli Stati Uniti. Due anni fa l'American Academy ci ha invitato a presentare

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

questa tecnica. La neurochirurgia sperimentale di Atlanta ha sviluppato una tecnica chirurgica più raffinata di inoculazione delle cellule, provando a trapiantare nel maiale le cellule staminali neuronali prelevate dai figli. Il dipartimento di neurochirurgia di Atlanta ha avviato tutta la procedura e, a fine 2009, ha ottenuto l'autorizzazione dalla FDA.

A gennaio di quest'anno sono già stati effettuati trapianti su sei pazienti, senza problemi dal punto di vista degli effetti collaterali. Informalmente, dai dati presentati ai congressi, sembra che l'effetto sia favorevole sulla malattia e gli stessi neurochirurghi di Atlanta sono molto ottimisti sui risultati finali. Hanno sottoposto i primi sei pazienti a trapianto delle cellule nel midollo dorso-lombare, come avevamo fatto noi. Il *target* ora è di arrivare a trapiantarle in sedi che siano vitali e che quindi possano influenzare in maniera significativa il decorso della malattia.

Abbiamo aperto la strada a questo tipo di ricerca. A questo punto ci piacerebbe sia riprodurre, sulla base della nostra esperienza, quanto stanno facendo ad Atlanta con altro tipo di cellule, ossia quelle neuronali fetali, sia proseguire con le cellule mesenchimali, cercando di trapiantarle in regioni più importanti rispetto a quella che ho citato prima, sempre basandoci sulla nostra precedente esperienza.

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

La SLA è una malattia drammatica per cui non esiste terapia e in cui la terapia cellulare può rappresentare uno sbocco terapeutico: credo che vada perseguita. Anche le linee guida internazionali, tra cui quelle della Società di terapia cellulare, hanno concluso che, soprattutto per malattie come queste, in cui non esiste alcuna possibilità terapeutica, la terapia cellulare può essere avviata e stimolata superando alcune barriere che forse per altre malattie, per le quali esiste già una terapia, sono necessarie delle fasi di studio.

Esiste purtroppo una diffidenza molto marcata nei confronti di questo tipo di sperimentazione, per cui è veramente difficile portarla avanti. Anche per questo molti pazienti affetti da questa malattia così drammatica tendono a cercare i luoghi dove gli viene venduto questo tipo di trattamento anche senza alcun fondamento scientifico. Si organizzano viaggi in Cina o a Taiwan; adesso c'è addirittura un'agenzia svizzera che organizza il viaggio andata e ritorno, trapianto compreso, per 20.000 euro.

Credo che l'unica soluzione sia di aiutare e spingere la ricerca seria, che può dare risposte ai malati. I pazienti affetti da una malattia come questa giustamente chiedono di essere resi partecipi della ricerca: per loro è motivo di vita. Se gli neghiamo questa possibilità, per loro diventa

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

veramente difficile andare avanti; inevitabilmente scappano e cercano altri sbocchi.

Peraltro, nella commissione Dulbecco del 2000 era già stato sottolineato quanto fosse necessario e quasi doveroso stimolare questo tipo di ricerca. Noi stiamo continuando a lavorare sugli animali per individuare il modello di malattia; i neurochirurghi conducono le loro sperimentazioni sul maiale per trovare tecniche sempre più raffinate per trapiantare le cellule staminali. A questo punto vorremmo poter proseguire la sperimentazione sull'uomo.

PRESIDENTE. Ringrazio la dottoressa Mazzini per la sua importante relazione, ma anche per le sue considerazioni che condivido pienamente, avendo avuto l'occasione di conoscere, in un caso specifico, una paziente affetta da SLA. Posso riferirlo in questa sede, avendo avuto l'autorizzazione a parlarne anche in un mio libro: si chiama Donatella Chiossi ed ha fatto proprio il percorso che lei ha indicato. È andata in Cina, tra l'altro con un volo di Stato finanziato dal Governo di quel momento. Con ciò non voglio puntare il dito verso chi autorizza questo tipo di trasporti, rispetto a viaggi della speranza che non hanno una reale documentazione scientifica. Mi rendo conto che, rispetto ad una richiesta pressante e all'ipotesi di una

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

possibile guarigione da una malattia così devastante, chi ha la responsabilità di Governo possa autorizzare anche questo tipo di spesa che, tuttavia, sarebbe molto più utile utilizzare per proseguire il tipo di ricerche che lei ci ha descritto. Credo che questo sia un pensiero condiviso da tutta la Commissione.

Darei ora la parola alla senatrice Biondelli, relatrice di minoranza dell'inchiesta.

BIONDELLI (*PD*). Ringrazio la dottoressa Mazzini per la sua relazione, nella quale ha citato soprattutto la parte sperimentale. Vorrei capire però se la vostra difficoltà riguarda soltanto il modo di lavorare e come impostare la ricerca o se coinvolge anche il reperimento delle risorse. Quindi, qualora riusciate a reperire risorse, vorrei sapere da dove provengono e quanti malati riuscite a curare nella vostra Regione.

MAZZINI. Riusciamo ad avere lo specchio della situazione perché il nostro è un centro di riferimento regionale. La regione Piemonte è forse l'unica che ha riconosciuto i presidi come centri di primo livello e sta compiendo un percorso, per ora di tipo sperimentale ma che ci auguriamo di poter trasferire presto nella *routine* quotidiana, finalizzato all'assistenza

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

domiciliare di questi pazienti. Se si riesce a raggiungere questo obiettivo, il Piemonte diventerebbe tra le Regioni più illuminate per quanto riguarda la cura della sclerosi laterale amiotrofica. In realtà esaminiamo circa duecento pazienti nuovi l'anno - tantissimi per una malattia di questo tipo - provenienti da tutte le Regioni italiane, per cui abbiamo uno specchio ampio di quanto accade nel Paese.

Questi malati, per poter essere gestiti nel migliore dei modi, devono avere punti di riferimento multidisciplinari e quindi tutte le figure professionali capaci di rispondere ai loro problemi e questo fin dall'inizio della loro malattia. Da noi tutto ciò viene fatto per la maggior parte con persone e strutture messe a disposizione dall'ospedale, ma sicuramente sono necessari fondi ulteriori. Molti di questi operatori sono pagati con fondi di ricerca, per cui anche questo tipo di modello andrebbe maggiormente strutturato e dovrebbe essere reso disponibile in tutta Italia. È piuttosto illogico che dalla Calabria si debba venire fino a Novara per avere delle indicazioni sulla propria malattia.

Il punto critico dell'assistenza è la domiciliazione, perché man mano che la malattia progredisce diventa più difficile per il paziente recarsi al centro di riferimento per ottenere le informazioni necessarie. Bisognerebbe trasportare il centro di eccellenza a casa sua, altrimenti i pazienti vengono

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

abbandonati nel momento di maggior bisogno. Questo passaggio purtroppo è quasi inesistente. Al riguardo incontriamo grandissime difficoltà anche a Novara, non solo nelle altre Regioni, perché è difficile ricreare l'*équipe* a domicilio. Questo è al di fuori della mentalità corrente.

È difficilissimo far capire allo pneumologo che si trova sul territorio che quel malato ha bisogno del ventilatore e deve comunque far riferimento a chi il ventilatore glielo ha prescritto e che lo ha seguito fino a quel momento. C'è sempre un muro tra ciò che viene fatto all'ospedale o al centro di riferimento e l'organizzazione assistenziale a domicilio. Il malato diventa poi dipendente in tutto e per tutto e ha bisogno di qualcuno che lo assista; nel 90 per cento dei casi, è la famiglia stessa che si assume un carico enorme. Alla fine della malattia questo malato deve avere una persona a fianco che lo assiste in tutto e per tutto.

Ci sono pertanto situazioni drammatiche in cui il familiare deve lasciare il lavoro. Mancano anche strutture di sollievo in cui si potrebbe mandare il malato per un certo periodo per dare alla famiglia un momento di riposo oppure l'*hospice* almeno per le fasi terminali.

Stiamo lavorando con i palliativisti e con altre figure sul territorio ma è un lavoro davvero complesso. Si tratta di un punto cruciale che andrebbe sollevato e certamente sapete meglio di me come poter realizzare queste

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

cose. La SLA è una malattia rara e il fatto che i malati siano pochi ma presentano tutti i problemi di un disabile fa sì che essi costituiscano un modello unico su cui lavorare per poi traslare ad altre malattie tale modello, tenendo conto che in questo caso è un po' più facile perché i pazienti sono pochi. Si potrebbe quindi lavorare su di loro per poi traslare il modello agli altri disabili. Scusate la digressione ma ho voluto soffermarmi più su questo problema.

Quanto alla seconda domanda, relativa alla ricerca, tutto il lavoro svolto si sostanzia in sperimentazioni costosissime: solo coltivare le cellule per un paziente ha un costo di circa 10.000 euro. Lasciamo perdere l'intervento chirurgico: siamo aiutati dal fatto di trovarci in una sanità pubblica e quindi non lo abbiamo dovuto pagare, anche se in linea formale avremmo dovuto pagare la sala operatoria e tutta la procedura. Ogni paziente viene a costare circa 40-50.000 euro e noi per tutto questo lavoro su 20 pazienti abbiamo ricevuto dal Ministero 100.000 euro; in pratica sono stati pagati tre pazienti su 20.

Il resto del lavoro viene fatto grazie a donazioni private delle Onlus o dei malati stessi che donano all'ospedale per questo tipo di ricerca. Abbiamo ottenuto qualcosa anche da un progetto europeo, ma si tratta di

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

briciole rispetto alle risorse necessarie a portare avanti una ricerca di questo tipo, purtroppo costosissima.

Il Presidente ha accennato ad una malata alla quale lo Stato ha messo a disposizione un aereo. Abbiamo avuto un'esperienza, che reputo negativa, in relazione al fattore di crescita IGF 1, in cui per un'anomalia solo italiana, per cui il pretore può decidere se una terapia è indicata o meno, un malato (che poi non era affetto nemmeno da SLA e questo lo posso garantire avendolo visitato all'inizio della malattia) ha dichiarato che stava meglio con questo fattore di crescita, di cui era in corso una sperimentazione negli Stati Uniti che ancora non aveva dato risultati. Circa 70 pazienti sono riusciti con questa procedura, ordinata dal pretore e concessa dallo Stato, a sottoporsi a questo fattore di crescita; sono stati spesi per ogni paziente 150.000 euro. Fate voi i conti di quanto lo Stato ha speso per una cosa inutile, che già sapevamo essere inutile e soprattutto per la quale era necessario aspettare la fine della sperimentazione, che poi purtroppo ha dato esito negativo. Pensate quanta ricerca si sarebbe potuta fare con quei soldi che invece sono stati buttati al vento.

SACCOMANNO (*PdL*). Ringrazio la dottoressa Mazzini per la sua relazione. Oltre all'informativa iniziale, che tecnicamente ci ha immessi

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

nello sforzo, nel sacrificio e nella difficoltà del progetto, quella che lei ha chiamato digressione in realtà rappresenta l'anima delle indagini che i colleghi stanno svolgendo in questa Commissione.

Sono moltissime le domande che possono sorgere. Pur comprendendo che i dati umani, non sempre conciliabili con quelli scientifici, possano portare a quei rapporti che la legge ha seguito - perché quella è un'applicazione della legge Di Bella -, è anche vero che se così non fosse scenderemmo in piazza a gridare che almeno il pretore possa intervenire, nel momento in cui sorge il dubbio che il ragionamento non sia vero o non sia opportuno politicamente. Certamente un equilibrio scientifico a supporto di certe sperimentazioni potrebbe evitare lo sperpero di risorse ma, come raccontavo poco fa alla senatrice Poli Bortone, io stesso sono sceso in un campo sportivo, benché le mie condizioni non siano certamente atletiche, per raccogliere quattro soldi e inviare in Cina una tetraparesica spastica e seguire così il percorso delle emozioni.

Non dobbiamo scontrarci nemmeno tra medici perché quando ci si imbatte, anche nei vostri reparti, nei problemi legati alla sofferenza, alla disabilità grave, non rispondiamo più in termini scientifici ma con la vicinanza, con un aspetto solidaristico fondamentale che ha una sua valenza

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

insieme a quello scientifico e che mi rendo conto dovrebbe essere utilizzato meglio.

Io stesso ho seguito per un certo periodo il lavoro di ricerca di una persona che certamente lei ha conosciuto, l'avvocato Pinto, un assessore alla sanità con cui ho potuto confrontarmi lungamente cercando di ascoltarlo quando non molto si poteva fare. Ciò che a noi interessa sapere è che cosa farebbe lei, dottoressa Mazzini, se fosse al nostro posto. Considerato il percorso che ha tracciato nella sua relazione (il momento della scienza, della ricerca, dell'applicazione, dell'assistenza all'ammalato di SLA), qual è il suggerimento che vorrebbe darci sulla base della sua esperienza? Come potremmo tracciare un simile percorso?

Le chiedo questo perché la prima cosa che dovremo fare, una volta terminato il lavoro dei colleghi relatori, sarà indicare una carta dei servizi chiara che, da Pantelleria a Campione d'Italia, possa offrire la possibilità di indirizzare tutti su strade certe e sicure nei confronti di una malattia così grave. Da questo punto di vista, vorremmo il suo aiuto. Oltre a ciò che ci ha rappresentato questo pomeriggio, se i relatori e il Presidente lo riterranno opportuno, potrebbe essere utile per noi conoscere un suo dettagliato percorso fondato sulla sua esperienza, in modo da renderlo traducibile in termini politici; non so se ci vorranno molte risorse per realizzarlo, ma

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

certamente potrebbe farci risparmiare molto nel momento in cui questa Commissione elaborerà uno schema organizzativo di risposta che la società può dare a un ammalato di questo tipo. Questa è la prima cosa che indubbiamente vorrei chiederle, con tutte le sfaccettature possibili che possono esserci nel momento in cui bisogna decidere per l'*hospice* o per una struttura diversa, e capire come la familiarizzazione dell'ammalato possa essere ottenuta valutando ciò che si può fare concretamente.

Ripeto, in questo momento ci interessa capire come lei si porrebbe nella nostra posizione: glielo chiedo per le esperienze che lei ha accumulato nella sua professione e per la conoscenza che lei ha di questo tipo di sofferenza multipla. Se può spiegarci come dovremmo affrontarla, visto che lei svolge un compito che ci ha rappresentato come simile a quello di un direttore d'orchestra di una vicenda organizzativa che deve corrispondere scientificamente all'ammalato.

Dal direttore di orchestra mi aspetto un'indicazione degli strumenti e un suggerimento sui presidi, che probabilmente sono arrivati in ritardo, che non sono arrivati o che potrebbero alleviare le difficoltà che si creano nella vita relazionale di questi soggetti. Ciò per quanto riguarda l'aspetto sociale del rapporto con l'ammalato.

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

L'altra parte che ci interessa capire è quella propria del suo lavoro di scienziato e medico. Ho voluto intenzionalmente invertire l'ordine delle mie domande perché è fondamentale la premessa di quanto ci siamo detti prima. D'altra parte, quando lei ci parla di lotte, sono convinto che non si riferisce solo a un dato economico nel momento in cui noi facciamo riferimento a un dato pubblico.

Ad ogni modo, si tenga conto che nessuno di noi considera imm modificabili le normative attuali, e lo dico io che pure, rispetto alle normative di questo settore, ho avuto posizioni politiche di un certo tipo. Ma di fronte alla realtà e, come ho detto prima, al dato emozionale, non ci si può volgere dall'altra parte perché il proprio mestiere è quello dello scienziato. Se la scienza sta ponendo concretamente un tipo di trattamento, con un impegno umile ma tenace ed importante, bisogna anche capire come far proseguire il suo lavoro con maggiore efficacia.

Cosa ritiene sia opportuno fare dal punto di vista normativo? Dove ritiene che vi siano ostacoli e difficoltà? Probabilmente non risolveremo subito determinati problemi, ma forse porremo le premesse affinché si risolvano in futuro.

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

MASSIDDA (*PdL*). Signor Presidente, la domanda più importante che intendevo porre è stata già anticipata dal collega Saccomanno. Oggi ci interessa infatti capire cosa fareste voi nella nostra posizione; so bene che con un simile quesito le sto dando una grana non da poco. Se la sua posizione di professionista è difficile, credo comunque che non invidi il nostro ruolo, perché a noi tocca fare i conti e capire come andare avanti.

Dottorressa Mazzini, lei ha detto poc'anzi che si sta facendo ricerca in tutto il mondo, che essa ha alti costi ovunque e che molto spesso le risposte sono diverse. Ho seguito recentemente una ricerca presentata a un simposio in Sardegna, dove - non si sa perché - tale malattia ha una percentuale più elevata di altre zone. Stiamo pertanto cercando di capire come mai, nella sclerosi multipla e nel diabete, in certe zone vi siano più casi che in altre. Quali fattori influiscono?

Ad Alghero ho avuto modo di assistere alla vicenda di Nuvoli, a casa del quale ci recammo come Commissione d'inchiesta, dopo aver ascoltato anche i medici che lo curavano e i rappresentanti delle associazioni. Ricordo che una grande discussione riguardava il fatto se fosse giusto o meno dare il sintetizzatore vocale in casa e supportare il paziente che voleva stare quanto più possibile nella propria casa, in un'abitazione in

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

periferia, con gli animali praticamente dietro la finestra, e la cui moglie trattava malissimo qualsiasi infermiere.

Nonostante le difficoltà spaventose e i costi ingenti, sembrava quasi che tutto il problema della SLA risiedesse nel sintetizzatore vocale: noi parlavamo dei problemi della patologia e le associazioni facevano una battaglia esclusivamente sul sintetizzatore. Lei capisce pertanto che i problemi sono tanti.

Quanto alla ricerca, in Italia - e non solo in questo campo - si sta scegliendo la strada più semplice: lasciamo che la ricerca la facciano i Paesi che hanno le risorse, mentre noi facciamo tesoro della ricerca altrui, cercando di averne i risultati. Noi invece dobbiamo dare risposte. I soldi sono pochi e la patologia, come lei ha avuto modo di spiegare, si sta sviluppando e non si capisce perché stia crescendo a dismisura. È anche possibile che in passato tale malattia non venisse riconosciuta e le si dava un altro nome a causa della scarsa conoscenza che ne avevamo.

Oggi lei cosa farebbe se fosse al nostro posto, di fronte a tante sanità differenti alle quali dobbiamo però fornire una linea fondata su principi che dovranno essere rispettati da tutte le Regioni, pur con l'elasticità necessaria ad adattarla alle varie realtà? Quando si fanno delle scelte che mirano all'estrema rigidità, è possibile che queste siano indicate in certi momenti,

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

ma si rischia anche di generare situazioni imbarazzanti per il futuro: se non avessimo avuto l'esperienza della battaglia intorno alla cura Di Bella, oggi forse avremmo una situazione molto più favorevole per poter affrontare altre realtà e probabilmente saremmo meno prevenuti verso la ricerca.

Ho avuto modo di confrontarmi, nella scorsa audizione, con i colleghi che l'hanno preceduta, i quali ci hanno riferito aspetti che mi hanno fatto rimanere a bocca aperta in qualità di medico, ma ancora di più come parlamentare: mi sono accorto che dietro la ricerca c'è anche una forma di boicottaggio, che nasce soprattutto dalla classe medica e questo mi ha spaventato. Anche lei ha vissuto qualche episodio del genere?

Per me è una realtà scioccante, considerato che queste patologie stanno stimolando una grande ricerca legata alla produzione del farmaco. Ne deriva, molto spesso, che l'investimento nella ricerca del farmaco migliore precluda ulteriori investimenti in direzioni alternative al farmaco, che oltretutto è estremamente caro.

*MAZZINI.* Ringrazio per le domande che mi sono state rivolte, perché mi danno l'opportunità di commentare altri aspetti che volutamente non avevo toccato.

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

Sicuramente, sia perché la ricerca che abbiamo condotto non è finalizzata al farmaco e, quindi, non ha alle spalle l'interesse economico delle compagnie farmaceutiche, sia perché è molto complessa da portare avanti, le difficoltà che abbiamo incontrato, anche all'interno della comunità scientifica, sono state tantissime. Soprattutto all'inizio, gli ostacoli frapposti dalla classe medica sono stati forse maggiori di quelli di natura scientifica, proprio perché - come temo - non vi è a supporto l'interesse delle aziende farmaceutiche per questo tipo di ricerca. Sarà sempre difficile da portare avanti.

Tale aspetto negli ultimi anni è stato però in parte superato, perché ho sempre fatto in modo che la ricerca fosse talmente trasparente nella comunità scientifica internazionale che tutti hanno avuto modo, dagli Stati Uniti all'Inghilterra e dall'Europa al Giappone, di prendere visione dei dati e di discuterli. Alla fine i risultati sono stati recepiti a livello internazionale, al punto tale da facilitare la strada scientifica. Tuttavia, sono sicuramente stati tantissimi gli ostacoli e penso che ve ne saranno ancora, soprattutto perché, in questo caso, non c'è da mandare avanti un farmaco.

Per rispondere al senatore Saccomanno, purtroppo gli strumenti tecnici per realizzare uno schema organizzativo non li conosco e sicuramente li conoscete meglio voi. Ciò nonostante, sono 25 anni che

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

faccio questo mestiere e ormai credo di vivere in simbiosi con questi malati. Cercando di difendere le mie esigenze, ma anche di mettermi quotidianamente dalla parte dei malati, arrivo ad instaurare un rapporto di aiuto reciproco con il malato, sin dal momento in cui comunico la diagnosi: questo è già un momento importante, perché segna il futuro percorso del malato. Credo che in tutte le Regioni dovrebbe esistere almeno un centro di riferimento multidisciplinare che si occupi di questo e che, dal momento della comunicazione della diagnosi, segua il malato nel suo percorso, dandogli le indicazioni che gli occorrono ed instaurando con lui un'alleanza reciproca.

La ricerca per questa malattia è parte integrante della terapia. Noi non siamo in grado, ma neanche i malati, in termini di impatto emozionale, oltre che tecnico, di scindere i due aspetti della ricerca e della terapia. Quando descrivo le caratteristiche di questa malattia, dico sempre: stiamo lavorando insieme e continueremo a farlo, sia per quanto concerne le acquisizioni di cui già si dispone, sia per quello che cercheremo di fare sul piano della ricerca.

Non possiamo negare al 90 per cento dei malati l'accesso ad un *trial* terapeutico, perché sarebbe una cattiveria nei loro confronti, così come è una cattiveria anche spingerli ad andare in Cina. Ho esaminato dei casi

## **BOZZE NON CORRETTE** **(versione solo per internet)**

veramente drammatici. Capisco che gli si prospetta una soluzione che altrimenti non vi sarebbe, ma la soluzione sarebbe di invitarli a sottoporsi ad un *trial* terapeutico: ciò è utile sia alla ricerca che al malato.

Il primo passo dovrebbe essere quello di fare dei *trial* terapeutici seri e permettere a tanti malati, a diversi stadi della malattia, di parteciparvi. Questa è la prima risposta per la ricerca, da una parte e dall'altra. Poi possiamo discutere su quali siano i *trial* migliori, ma penso che si possano avviare delle sperimentazioni per tutti i malati.

Sul piano assistenziale questi malati sono costretti tutti i giorni ad affrontare situazioni anche banali. Talvolta si tratta solo di fornire le opportune indicazioni all'impiegato che occupa l'ufficio competente. Questi poveretti a volte devono affrontare lungaggini infinite per ottenere l'invalidità. Si pensi alla carrozzina, per la quale in alcune regioni italiane avviene un fatto ridicolo: si deve optare tra la carrozzina o il letto elettrico. Ne conseguirebbe per un malato che dovesse rinunciare alla carrozzina lo stare sempre a letto. Sono banalità che credo si possano risolvere molto semplicemente.

Quando questi malati vanno a chiedere l'invalidità, per una malattia che li porta alla morte in 3-5 anni, non possono permettersi di attendere un anno per vedersela riconosciuta. Bisogna che, non appena si

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

recano presso gli uffici preposti con il loro codice, l'invalidità scatti immediatamente, anche se sono ancora allo stadio iniziale della malattia. La risposta varia non solo da regione a regione, ma da ASL ad ASL.

La nostra ASL, ad esempio, riconosce il piano terapeutico integralmente, compresi gli integratori. Capisco che gli integratori non sono un farmaco vitale, ma possono servire quando i malati cominciano a non mangiare più. La nostra ASL riconosce tutto al malato, ma se ci si sposta di 20 chilometri, verso il Verbano, la situazione cambia e gli integratori non vengono dati. Perché?

Credo che il sistema sanitario italiano possa già avviare il piano terapeutico, ma si tratta di uniformarne l'applicazione in tutta Italia in modo da consentire a tutti i malati di SLA di avere accesso a questi trattamenti. Sono veramente delle banalità, ma credo che bisognerebbe porvi mano in ogni singola Regione e ASL. Anche per quanto riguarda il comunicatore, ad esempio, vi è una Regione che ne mette a disposizione solamente dieci; ma se i malati sono 15 in quel momento, cosa si pensa di fare?

L'altro aspetto che invece, a mio avviso, in Italia richiede uno sforzo importante dal punto di vista organizzativo è l'assistenza domiciliare, che per questi malati è vitale. Bisogna cercare di portare l'ospedale e gli specialisti a casa di questi malati e garantire un'assistenza

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

domiciliare adeguata; non può essere l'infermiere che va dieci minuti dal malato, perché non serve assolutamente a nulla.

L'assistenza deve essere calibrata sul singolo malato nel suo percorso di malattia. All'inizio della malattia non gli servirà, ma man mano che la malattia avanza, tutti i malati vogliono stare a casa. Non c'è nessuno di loro che non vuole stare a casa, proprio perché il malato sa che il decorso della malattia è tutto sommato rapido e vuole viverlo a casa. Lo sforzo credo che debba essere questo.

PRESIDENTE. Ringrazio la dottoressa Mazzini per il suo contributo. Vorrei chiederle anche se può inviare alla Commissione una nota scritta nella quale sia riportata una lista di quelle che, a suo avviso, sono le principali discrepanze nell'acquisto dei comunicatori, dei letti elettrici piuttosto che altri mezzi di trasporto. Dal momento che abbiamo in programma, avendola deliberata in Ufficio di Presidenza, l'audizione del coordinatore degli assessori alla sanità, potremmo, con il suo aiuto, raccogliere questo materiale e inviarlo al coordinatore prima che venga in audizione, in modo da permettergli di compiere per noi un'istruttoria in tutte le Regioni, finalizzata a comprendere quali sono le differenze fondamentali sulle quali intervenire.

**BOZZE NON CORRETTE**  
**(versione solo per internet)**

Ringrazio a nome di tutta la Commissione la dottoressa Letizia Mazzini per la sua disponibilità e per le preziose informazioni fornite.

Dichiaro conclusa l'audizione odierna e rinvio il seguito dell'inchiesta ad altra seduta.

*I lavori terminano alle ore 14,55.*