

**NOI & VOI**

GUGLIELMO PEPE

**IL SOTTILE FILO DELLA SPERANZA**

**N**ei prossimi sette anni saranno al centro della Ricerca scientifica europea. Un "settore" importante e anche tra i più stimolanti per tutti i ricercatori, perché le Malattie Rare rappresentano un sfida. Sono patologie spesso poco conosciute, eppure emotivamente coinvolgenti. Soprattutto per i malati (e per i loro familiari), perché la loro esistenza è appesa a poche certezze e a sottili fili di speranza. Si è fatto molto, negli ultimi anni, per contrastare le «rare» ma i problemi sono ancora tanti: tempi lunghi per la diagnosi, spesso sbagliata, e nel 50 per cento dei casi inesistente; un numero ridotto di specialisti, e in particolare di genetisti, a fronte di circa ottomila malattie; scarsa presenza nel territorio di centri specializzati; difficoltà di accesso a quei pochissimi farmaci disponibili; fondi per la ricerca insufficienti; impegno minimo per la prevenzione primaria e secondaria. Una situazione che rende perfino più drammatica la condizione dei malati. Con la quale le istituzioni sanitarie, i medici, dovrebbero confrontarsi, puntando ad un maggior coinvolgimento delle associazioni. Un fatto è certo: rare sono le malattie, non certo le sofferenze che le accompagnano.

*g.pepe@repubblica.it*

© RIPRODUZIONE RISERVATA



Ricerca e Sviluppo

## Salute: nuova tecnica fa crescere staminali leucemiche in vitro

13:31 24 FEB 2014

(AGI) - Londra, 24 feb. - Un gruppo di scienziati della University of Montreal, Canada, ha sviluppato una tecnica di coltura sotto cui crescere cellule staminali di leucemia umana.

Lo studio e' stato pubblicato sulla rivista Nature Methods. La capacita' di crescere quelle cellule staminali cancerose al di fuori del corpo promuovera' gli studi di base sui meccanismi di auto-rinnovamento e la ricerca sui farmaci che possono bloccare questa abilita' delle cellule. Le cellule staminali leucemiche sono particolarmente difficili da colpire con farmaci, e sono principali responsabili del ritorno del cancro. Una delle maggiori difficolta', in questo campo, e' costituita dal fatto che queste cellule non si possono far crescere ed espandere in vitro, perche' perdono rapidamente la loro capacita' di causare malattie e funzionare come staminali cancerose quando sono messe in coltura. Ora, gli scienziati hanno identificato due molecole che, quando aggiunte al mezzo di coltura, possono migliorare l'espansione funzionale delle cellule staminali leucemiche umane in vitro nell'arco di sette giorni. (AGI) .

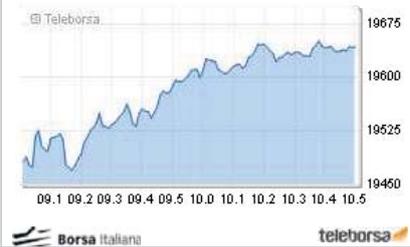


Tweet



BORSA

Descrizione	Valore	Var. %
FTSE MIB	20.364,19	-0,14 ▼
FTSE Italia All-Share	21.684,31	-0,10 ▼
FTSE Italia Mid Cap	28.366,72	+0,38 ▲
FTSE Italia STAR	19.124,82	+0,44 ▲
Spread BTP-Bund	195 punti	+0,51 ▲



**NEWS PEI NEWS**  
 il nuovo servizio di informazione sulla Politica Estera Italiana.

**Ambasciata d'Italia a Bucarest**

**ASSOCIAZIONE ITALIA EMIRATI ARABI**  
 ITALY-UNITED ARAB EMIRATES ASSOCIATION

**iNews AGI**  
 L'INNOVAZIONE CHE FA NOTIZIA

PORTALI AGI



- ▶ AGI Europa
- ▶ AGI Energia
- ▶ AGI Salute
- ▶ AGI China
- ▶ AGI Arab

Scelte Sostenibili

## Specializzazioni mediche, parte la riforma. Per pochi

Al via la riforma dell'accesso alle scuole di specializzazione mediche. Con una copertura economica ridotta all'osso, però. Mentre, infatti, tra gli ultimi atti firmati dall'ex-ministro dell'istruzione e università Maria Chiara Carrozza, compare anche il decreto che cambia le regole per la formazione specialistica dei camici bianchi, arriva la doccia fredda: lo stanziamento riuscirà a coprire non più di 3.500 contratti di formazione specialistica a fronte di circa 9 mila concorrenti. In ogni caso la riforma partirà e le prime novità saranno in vigore già dall'anno accademico in corso. Una delle principali è quella di aver introdotto una graduatoria nazionale per tipologia di specializzazione, che fa dire definitivamente addio ai vecchi concorsi locali banditi nei singoli atenei, basati su un quiz di domande scelte da un database. Già dal 2013/14 quindi, l'accesso sarà garantito con una prova di esame, attesa probabilmente per luglio, che sarà «identica a livello nazionale con riferimento a ciascuna tipologia di scuola». I 120 quiz, 90 generali uguali per tutte le scuole e 30 differenziati per tipologia, saranno prodotti da esperti e verranno corretti a livello centrale in modo automatico. La selezione sarà supervisionata da una Commissione nazionale, composta da docenti sorteggiati, fatta eccezione per il presidente che sarà di nomina del ministro e che si occuperà di validare i risultati. Gli aspiranti alla formazione specialistica potranno concorrere per due tipologie di scuola per ciascuna delle tre aree (medica, chirurgica, dei servizi). Ci saranno tante graduatorie nazionali quante le tipologie di scuole. All'atto dell'iscrizione il candidato dovrà indicare l'ordine di preferenza delle sedi per cui concorrere, come già avviene per l'accesso a medicina.

A essere ammessi alle scuole, si legge nel provvedimento, sono coloro che, «in relazione al numero dei posti disponibili, si siano collocati in posizione utile nella relativa graduatoria nazionale sulla base del punteggio complessivo riportato». In aggiunta a questi, poi, le università sedi di scuole possono attivare ulteriori contratti di formazione specialistica finanziati con risorse proprie, anche frutto di donazioni o convenzioni con enti pubblici o privati. Tutto «nel rispetto del numero complessivo di posti per i quali sono accreditate le scuole e del fabbisogno di specialisti a livello nazionale». Dopo queste modifiche si attende l'emanazione di apposito decreto ministeriale che dovrà riorganizzare le classi, le tipologie e la durata dei corsi, rivisitandone in alcuni casi la durata. Inoltre, dovrà essere effettuata una revisione dell'attuale offerta formativa attraverso anche la fusione tra alcune vecchie tipologie di scuole. Ciò permetterà di semplificare e razionalizzare il quadro delle attuali tipologie di specializzazioni, visto che sono più di 50 le tipologie di corsi attualmente attive, ma anche di ottimizzare la qualità dell'offerta formativa.

*Benedetta Pacelli*



**Il 28 febbraio è la Giornata mondiale con lo slogan "Uniti per un'assistenza migliore". Ottomila patologie, in gran parte genetiche, e i drammi umani delle famiglie. Una video-favola come materiale didattico a scuola per l'integrazione dei bimbi**

# Malattie rare

## Sfida globale all'isolamento Diagnosi, le attese infinite

**MARIAPAOLA SALMI**

**U**na video-favola raccontata da bambini delle elementari, guidati da un gruppo di esperti, per spiegare con parole e disegni semplici l'importanza di includere chi è affetto da una malattia rara. "Con gli occhi tuoi" è il progetto realizzato dal Centro nazionale di malattie rare (Cnmr) dell'Istituto superiore di sanità, disponibile anche on-line sul sito del ministero della Salute ([www.salute.gov.it](http://www.salute.gov.it)); così le istituzioni e le associazioni dei pazienti sottoscrivono quanto affermato in un documento dell'European Organisation for Rare Disease (Eurordis) dove si spiega come una delle principali difficoltà nella gestio-

ne delle malattie rare sia proprio l'isolamento dalla quotidianità dei malati. La settimana Giornata mondiale delle malattie rare 2014, che si celebra venerdì

28 febbraio, punta quest'anno al tema dell'assistenza e all'importanza di creare network nazionali e internazionali attorno ai pa-

zienti. E per la prima volta nel nostro paese entrano in rete Istituto superiore di sanità, ministero della Salute, Uniamo (Federazione italiana malattie rare onlus), Fondazione Telethon, Vicariato di Roma, ospedale pediatrico Bambino Gesù, policlinico "Gemelli" e Umberto I di Roma affiancati da Farmindustria.

Neurofibromatosi, amiotrofia spinale infantile, sindrome di Rett, emofilia, distrofia di Duchenne, fibrosi cistica: sono solo alcuni dei complicati nomi delle 7-8 mila malattie rare che si manifestano alla nascita o nei primi anni di vita a causa di anomalie genetiche nell'80% dei casi. «Lo slogan della giornata, "Uniti per un'assistenza migliore", non poteva essere più indovinato perché se da un lato è stata forte l'apertura della nostra ricerca in anni recenti verso l'Europa e a livello mondiale, le criticità ci sono ancora - afferma Domenico Taruscio, direttore del Centro nazionale malattie rare dell'Istituto superiore di sanità - finanziamenti pubblici scarsi, frammentazione regionale che provoca disuguaglianza assistenziale, Piano nazionale malattie rare assente, registri regionali inadeguati». Il 25% dei pazienti rari

attende da 5 a 30 anni per ricevere conferma di una diagnosi, uno su tre deve spostarsi in un'altra regione per averne una esatta. D'altra parte parliamo di 8 mila malattie in gran parte sconosciute, delle quali 5 mila colpiscono una persona su un milione e solo un centinaio hanno una frequenza di un individuo su 2 mila o 10 mila. L'assistenza non può essere un miraggio per malati tanto fragili.

«Il bambino cui viene accertata una malattia rara è come un marziano, i genitori non hanno punti di riferimento, né risposte per le più normali situazioni - osserva Giuseppe Zampino responsabile del Centro malattie rare del Gemelli di Roma - d'altra parte le malattie rare sono numerose e tante le problematiche e le disabilità ad esse correlate, per migliorare l'assistenza dobbiamo conoscere i rischi della patologia specifica e come intervenire, questo oggi è reso possibile dalla scoperta di geni aberranti che rivelano i meccanismi patogenetici della malattia e fanno comprendere la sua storia naturale». È in atto una profonda evoluzione nel settore assistenziale delle malattie rare ma determinante è il ruolo del medico di famiglia e del pediatra che

devono saper "sospettare" da un dettaglio una possibile malattia rara. «La ricerca eccelle proprio sul fronte dell'assistenza - spiega il genetista Bruno Dallapiccola direttore scientifico dell'ospedale Irccs Bambino Gesù di Roma - trapianti, terapie geniche, chirurgia ricostruttiva e riparativa, cure palliative di varia natura,

terapie cellulari, robotica, protesi, dispositivi vascolari, respiratori, per le vie urinarie e la nutrizione, e ovviamente i farmaci orfani - 63 quelli fino ad oggi sviluppati e autorizzati con indicazione specifica - 60 attualmente i prodotti in sperimentazione».

È raro tutto quello che non viene

diagnosticato, ed è tanto a dispetto della rarità. In Italia le urgenze non rinviabili riguardano registri regionali efficienti, Piano nazionale e aggiornamento dell'elenco allegato alla legge 279/2001 perché ogni giorno si scoprono nuove malattie rare per le quali non è prevista l'esenzione dai costi di prestazione sanitaria.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

**Il ruolo fondamentale del pediatra e del medico di famiglia**

## LE INIZIATIVE

### TRA CONCERTI, CONVEGNI, MOSTRE E FUMETTI

**S** taserà al Planet Roma (via del Commercio, 36 ore 20,30) concerto "Una notte di raro divertimento"; domani a Roma all'Iss (viale Regina Elena, 299) premio "Il volo di Pegaso" (ore 14) e poi video-favola "Con gli occhi tuoi"; convegno sui farmaci nelle malattie metaboliche rare (Palazzo Informazione, piazza Mastai, 9); il 27 febbraio al Bambino Gesù di Roma giornata sull'assistenza e al Gemelli convegno sulla fragilità; a Modena, il 27, arriva la mostra Fotograf-Rare ([www.movimentorari.it](http://www.movimentorari.it)); 28 febbraio, all'Iss, convegno sulla ricerca. L'associazione malformazioni anorettali (Aimar) pensa ai bimbi rari con il libretto *Come è fatta la mia pancia?* e un fumetto (tel. 800064064 o [www.coloplast.it](http://www.coloplast.it)).

## LE TIPOLOGIE

TOTALE  
Circa  
**8mila**  
malattie  
rare

Malattie del sistema nervoso

Malattie endocrine e metaboliche

Malattie cutanee

Malattie dell'apparato digerente

Malattie dell'apparato genito-urinario

Malattie muscolo-scheletriche

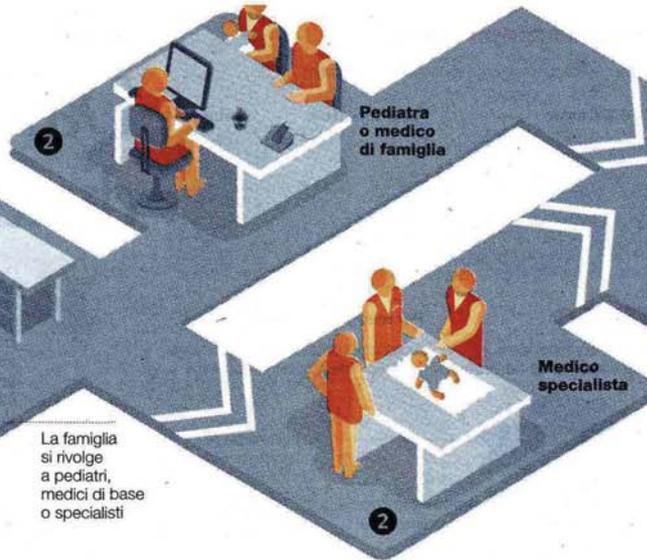
Malattie ematologiche

Tumori rari

Malattie senza diagnosi

## DALLA DIAGNOSI ALLA TERAPIA

**Primi sintomi**  
Di solito si presentano in età pediatrica

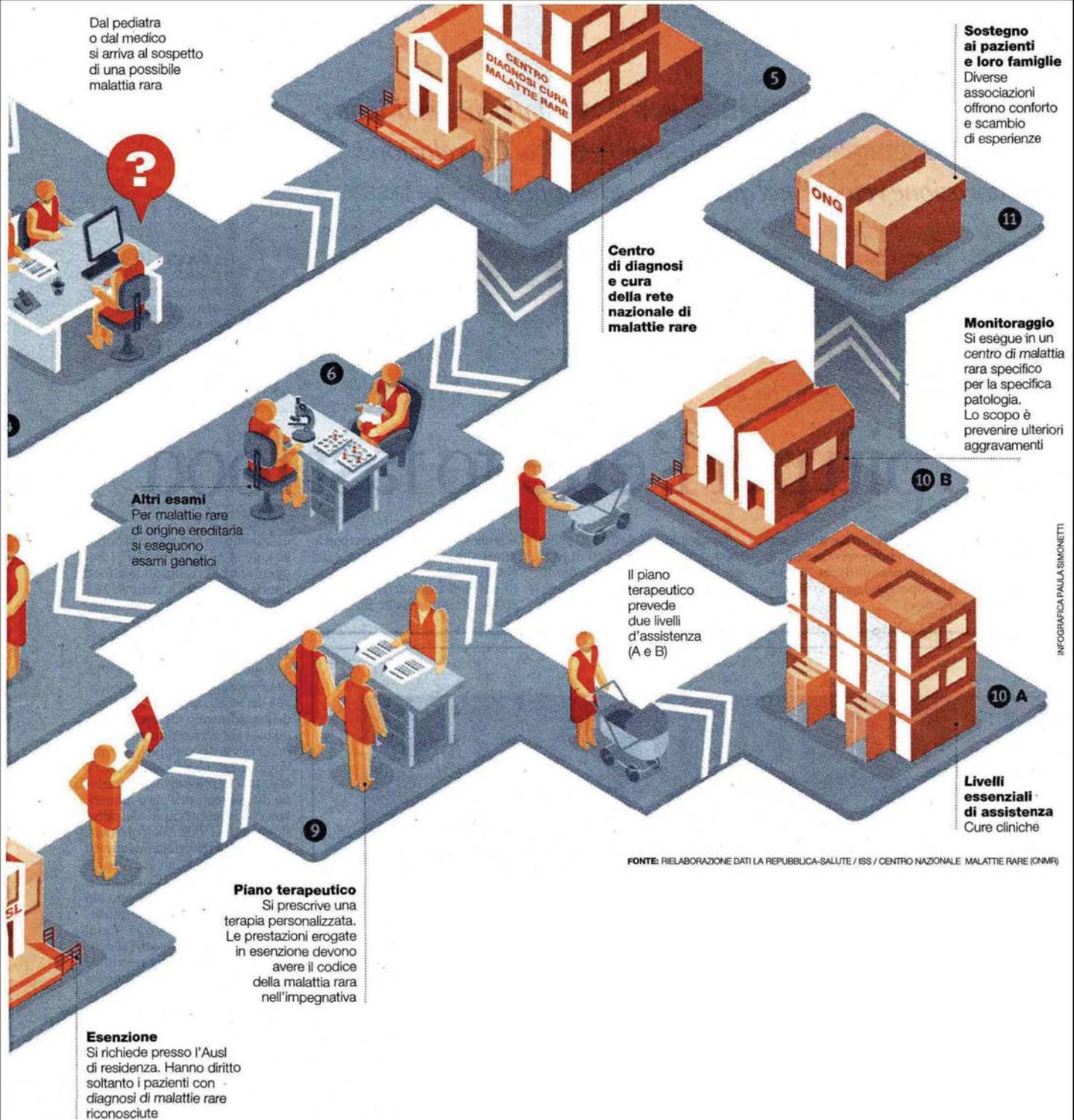


Si eseguono diverse visite e cure prima della diagnosi definitiva

### DIAGNOSI DI MALATTIA RARA

Rilascio di un certificato di malattia rara dal centro, secondo un elenco di 400 malattie riconosciute in Italia





FONTE: RIELABORAZIONE DATI LA REPUBBLICA-SALUTE / ISS / CENTRO NAZIONALE MALATTIE RARE (CNRIR)

Il caso

# Network di ricerca sulla Duchenne modello e strategia che porta speranza

FILIPPO BUCCELLA \*

**N**on esiste una cura per la Duchenne (Dmd), ma con un approccio multidisciplinare (fisioterapia, prevenzione cardiologica, assistenza respiratoria) si possono limitare i sintomi e migliorare le condizioni di vita. Riusciamo appena a rallentare la degenerazione muscolare con il cortisone, ma bisogna fare i conti con gli effetti collaterali (comportamento, riduzione della crescita, aumento di peso, osteoporosi, intolleranza al glucosio, cataratta, ecc.). Nei laboratori di tutto il mondo però si corre contro il tempo e diversi studi hanno dimostrato che basterebbe ripristinare un 30% di distrofina funzionale, la proteina in assenza della quale i muscoli sono progressivamente distrutti.

L'obiettivo è sostituire il gene difettoso (sequenziato solo nel 1987) con uno sano, ma le sue considerevoli dimensioni rendono l'impresa ardua. La strategia vincente sarà attaccare la Dmd su diversi fronti. Negli ultimi anni molti approcci innovativi biotecnologici sono passati dalla sperimentazione preclinica a quella sull'uomo: dall'utilizzo di cellule staminali, alla messa a punto di terapie geniche e allo sviluppo di farmaci biotech. Questo panorama include anche sperimentazioni nate dagli studi condotti da ricercatori italiani, che Parent Project onlus ha contribuito negli anni a sostenere. Primo esempio il trial con i mesoangioblasti, un particolare tipo di cellule staminali scoperte dall'équipe del professor Giulio Cossu (san Raffaele di Milano). Dopo anni di studi finalmente si è giunti al sottotipo di staminali con le caratteristiche idonee al trapianto da donatore sano a paziente.

Altri trial sono legati a farmaci che non agiscono sul difetto primario, l'assenza di distrofina, ma sui meccanismi molecolari che in sua assenza risultano deregolati. Questo è il caso del trial con givinostat, un inibitore dell'istone deacetilasi, nato dal lavoro svolto dal gruppo del professor Lorenzo Puri (California university, San Die-

camminare fino ai 9-12 anni; perdita dell'uso delle braccia intorno ai 20 anni. Parent Project onlus nasce in Italia nel 1996. Obiettivo: informare e finanziare la ricerca. Nel 2002 costituisce il Centro di Ascolto; 600 le famiglie associate. Tra pazienti, famiglie e volontari riunisce 20.000 persone. I trattamenti hanno raddoppiato le aspettative di vita (25-30 anni). Tel. 0666182811. [parentproject.it](http://parentproject.it)

go). In topi modello per la distrofia muscolare, givinostat è in grado di determinare un aumento della massa muscolare e una riduzione dell'infiammazione e della fibrosi.

Un altro farmaco è isofen, nato dagli studi condotti dal gruppo del professor Emilio Clementi (osp. Sacco e univ. di Milano). Isofen è una combinazione di due farmaci già presenti in commercio che stimola la capacità del muscolo distrofico di autorigenerarsi contrastando allo stesso tempo l'infiammazione.

Altre sperimentazioni si basano sulla applicazione di terapie specifiche e personalizzate che agiscono in base al tipo di danno genetico. In questi casi l'obiettivo finale è quello di ripristinare la sintesi di distrofina, recuperando la capacità di lettura del-

l'informazione, anche inducendo la produzione di una proteina più corta ma ancora, almeno in parte, funzionale.

La Duchenne è divenuta un modello di ricerca nelle malattie genetiche rare per il lavoro condotto in network e le associazioni di pazienti "collante" tra tutti gli attori coinvolti.

\* *Presidente e Fondatore di Parent Project onlus*

© RIPRODUZIONE RISERVATA



LA ONLUS

La distrofia muscolare di Duchenne e Baker è una malattia genetica rara. I pazienti in Italia sono circa 5.000: si ha capacità di



## Dermatologia

Cerca

Home Opinioni Economia Cultura Spettacoli Cinema Sport Salute Tecnologia Scienze Motori Viaggi 27ora

» Corriere della Sera &gt; Dermatologia &gt; Allarme creme sbiancanti illegali Possono contenere mercurio e cortisone

ATTENZIONE AI PRODOTTI PER LA «TINTARELLA DI LUNA»

## Allarme creme sbiancanti illegali Possono contenere mercurio e cortisone

*L'Agenzia del farmaco: mix pericolosi per la salute, specie se usati a lungo e su parti estese del corpo*



Creme per sbiancare la pelle a base di mercurio, cortisone e altri componenti pericolosi. [L'allarme dell'Agenzia del farmaco \(Aifa\)](#) riguarda prodotti venduti illegalmente anche in Italia come semplici cosmetici,

in quanto non vengono registrati come medicinali nei Paesi di provenienza. Un'importazione massiccia, a quanto pare, perché la «tintarella di luna», ovvero la pelle bianca, è una tentazione sempre più diffusa (e pericolosa) tra chi ha un colorito scuro. E sono numerosi i sequestri di questi prodotti negli uffici di sanità frontaliera e nelle dogane.

**I RISCHI CHE SI CORRONO** - Sembrano creme innocue, spiega [l'Aifa](#), ma sono in realtà mix pericolosi per la salute, specie se usati a lungo e su parti estese del corpo. I possibili danni non riguardano solo la pelle (iperpigmentazione, ipertricosi o comparsa di strie cutanee simili a smagliature), ma l'intero organismo, per gli effetti derivanti dall'assorbimento cronico dei componenti: diabete, ipertensione arteriosa o malfunzionamento dell'asse ipotalamo-ipofisi-surrene. Le creme per sbiancare di importazione illegale possono contenere diversi principi attivi: da quelli notoriamente velenosi, come il mercurio, a quelli autorizzati come ingredienti di medicinali dermatologici (corticosteroidi) e, soprattutto, a quelli che hanno effetti a lunga durata ed elevata potenza, come il clobetasolo o il betametasona. In tutta l'Unione europea questi medicinali sono prodotti e commercializzati nel rispetto di regole rigorose, ma questo non vale per i prodotti importati illegalmente perché le sostanze possono essere inserite in cosmetici venduti attraverso canali non regolati da norme sanitarie.

**DONNE IMMIGRATE** - In particolare [l'Aifa](#) parla di 36 marchi di creme sbiancanti, fabbricate per lo più in Cina ma spesso recanti un finto marchio italiano (con nomi che imitano i marchi commerciali di creme fabbricate in Italia e riportano la dicitura "prodotto italiano" o "made in Italy"), transitate in Africa e poi importate illegalmente nel nostro Paese. Se prive di Aic (autorizzazione all'immissione in commercio), si tratta di creme per cui è vietata l'importazione. Centinaia di migliaia di confezioni di prodotti per schiarire la pelle ogni anno vengono venduti nei negozi etnici e sono utilizzati, in particolare, da giovani immigrate subsahariane, soprattutto senegalesi, nigeriane e della Costa d'Avorio. «I numeri della diffusione di questi prodotti tra donne immigrate sono impressionanti.

COME TI FA SENTIRE  
QUESTA NOTIZIA

45

DA GUARDARE

Ascolta | Stampa | Email

NOTIZIE CORRELATE

■ [FORUM - Dermatologia](#)OGGI IN [dermatologia](#) >[Allarme creme sbiancanti per la pelle Possono contenere mercurio e cortisone](#)[Come si riconosce la dermatite seborroica](#)[Prodotta in laboratorio la pelle artificiale con sensori che replicano la \(vera\) sensibilità](#)[Per quali ragioni vengono le afte in bocca?](#)

PIÙ letti di SALUTE

OGGI    SETTIMANA    MESE

IN PRIMO piano

[POLITICA](#)  
[Renzi al Senato, la prova della fiducia](#)[POLITICA](#)  
[Renzi e la fiducia](#)

Secondo uno studio dell'Istituto Superiore di Sanità, il 40% di quelle sotto i 35 anni e il 36% delle donne sopra quell'età ne fa uso. Spesso cospargendo tutto il corpo e regolarmente per anni», spiega il direttore del reparto Contraffazione **dell'Aifa** Domenico Di Giorgio.

**SEQUESTRI IN AUMENTO** - Ottenere «maggiore accettazione sociale e più facilità nel trovare lavoro», spiega Di Giorgio, sono le ragioni che spingono queste donne immigrate, che non possono accedere a interventi chirurgici, a fare incetta di questi mix a base di cortisonici e mercurio. Negli ultimi dodici mesi sono stati intensificati i controlli alle dogane aeroportuali e navali e sono cresciuti esponenzialmente i sequestri: «Se ne registrano almeno tre a settimana solo nell'aeroporto di Fiumicino, uno dei più attivi», aggiunge Di Giorgio. Si va da piccoli stock di circa 100 pezzi nascosti tra i vestiti, dentro le valigie, a maxi sequestri come quello avvenuto un mese fa ad opera della Guardia di Finanza al porto di Ancona, dove sono state ritrovate 46.200 confezioni importate illegalmente.

21 febbraio 2014



© RIPRODUZIONE RISERVATA

Redazione Salute Online

## DOPO AVER LETTO QUESTO ARTICOLO MI SENTO



INDIGNATO



TRISTE



PREOCCUPATO



DIVERTITO



SODDISFATTO

## ANNUNCI PREMIUM PUBLISHER NETWORK

**Scopri Carta Verde Amex**

Nessuna quota il primo anno e tanti vantaggi per te!  
[americanexpress.it](http://americanexpress.it)

**Assicurazione Auto - 350€**

A Milano con Quixa risparmi fino a 350€ sulla tua RC Auto.  
[Promozioni.Quixa.it](http://Promozioni.Quixa.it)

**Adotta a distanza**

Combattere la sua sofferenza è possibile  
[www.sositelia.it](http://www.sositelia.it)

# Cure I costi dei farmaci oncologici e il «risparmio» in vite e benessere

**La sostenibilità economica delle terapie innovative al centro di un incontro nella Biblioteca del Senato: «È necessario guardare al totale del trattamento di una malattia e l'impatto clinico di una molecola può durare per generazioni»**

■ In Italia, secondo i dati **Osmed** 2013, tra i primi dieci principi attivi a maggior spesa farmaceutica ospedaliera, ben sei sono farmaci oncologici. Numerosi studi dimostrano che la crescente disponibilità di nuovi farmaci contro il tumore, sempre più potenti e selettivi, sta contribuendo all'incremento del tasso di sopravvivenza dei pazienti oncologici e all'aumento dell'aspettativa di vita della popolazione generale.

Grazie ai progressi fatti nel campo delle terapie, oltre che della prevenzione e della diagnosi precoce, sempre più persone possono guarire o essere curate per molti anni, rendendo il cancro, di fatto, una malattia cronica. In tutti i Paesi a economia e welfare avanzati, i farmaci oncologici si trovano dunque al crocevia della crescita della salute e dell'evoluzione dei sistemi sanitari e l'innovazione farmaceutica pone nuove sfide per l'attuale e futura sostenibilità della spesa pubblica.

Su questi temi si sono confrontati nella Biblioteca del Senato, esperti europei provenienti da Francia, Spa-

gna, Germania e Regno Unito, insieme a farmacologi, farmaco-economisti e clinici. L'incontro è promosso da HPS Health Publishing and Services e Fondazione Charta, con il patrocinio del Senato della Repubblica e il contributo incondizionato di Astellas, azienda farmaceutica giapponese tra le 20 più importanti al mondo, con studi dedicati a nuovi meccanismi d'azione nel trattamento delle neoplasie. «Obiettivo di questo incontro è promuovere il confronto con decisori, esperti e specialisti in Oncologia nel contesto dei singoli Paesi europei, per favorire l'accesso sicuro ai trattamenti oncologici innovativi», afferma Christopher Thompson, direttore della Business Unit Oncology di Astellas Europe. «Ogni Paese ha la sua metodologia di valutazione, ma occorre costruire una visione il più possibile globale del contesto europeo, per mettere a frutto le esperienze e i modelli in grado di accelerare l'introduzione delle terapie innovative e d'eccellenza».

Il dato di partenza è che l'accesso ai farmaci innovativi è uno degli strumenti chiave per aumentare tempo

e qualità del vivere dei pazienti oncologici: come rileva, infatti, l'ultimo Rapporto CeRM sui farmaci anticancro in Italia, la semplice riduzione di un anno dell'età media di presenza sul mercato dei farmaci, attraverso un tempestivo accesso alle nuove terapie, comporta un aumento statisticamente significativo dell'1,50% della probabilità di sopravvivenza a 5 anni per i tumori maschili.

Secondo l'Istat, tra il 1992 e il 2011 la riduzione della mortalità per tumori ha contribuito all'allungamento dell'aspettativa di vita nella misura di 1,2 anni per la popolazione maschile e 0,6 per quella femminile.

Ma come riuscire a conciliare accesso alle terapie innovative e sostenibilità economica? Il primo passo è guardare ai vantaggi dimostrati dell'innovazione terapeutica. «Quando un farmaco funziona, va finanziato: ovviamente non basta che sia nuovo, deve essere dimostrato su basi scientifiche che contribuisce alla salute delle persone», afferma Lorenzo Mantovani, docente di Farmaco-Economia all'Università degli Studi di Napoli Federico II.

Inoltre, la ricerca farmaceutica deve essere considerata il vero volano della sostenibilità: «Ogni euro investito in ricerca rende ben più di un euro in termini di Pil - osserva Mantovani -. Tra l'altro, il settore della produzione di tecnologie della salute costituisce un fattore di stabilizzazione, in quanto è anti-ciclico: gli investimenti in salute sono gli ultimi che si abbandonano, subito prima di quelli in cibo, perciò risentono meno delle fasi sfavorevoli dei cicli economici». Occorre dunque rivalutare la spesa produttiva e premiare l'innovazione reale, quella che fa la differenza nella salute delle persone: uno strumento efficace per premiare l'innovazione è il modello di determinazione dei prezzi che si fonda sul valore percepito e stimato nell'uso dei farmaci, più che sul mero costo del prodotto.

Un valore da proiettare nel tempo perché il ciclo di vita dei farmaci oncologici innovativi ha un'estensione di molto superiore rispetto al ciclo medio di mercato e il loro vero valore emerge dal suo uso nel lungo periodo, e non solo dai risultati degli studi clinici valutati al momento dell'immissione in commercio».

Pagina a cura di  
**ANNA DELLA MORETTA**  
medicina@giornaledibrescia.it



Protocollo pubblicato sulla Gazzetta ufficiale della Regione Siciliana a firma dell'assessore regionale per la Salute, Borsellino

## Gestione dei farmaci da parte del 118

Modalità per l'utilizzo dei prodotti stupefacenti e responsabilità dei medici referenti di postazione

**DECRETO**  
31 dicembre 2013

**Protocollo  
per l'approvvigionamento  
e distribuzione  
dei farmaci  
e dei presidi sanitari  
sui mezzi del SUES 118  
della Regione siciliana.**

(dal QdS del 21/02/2014)

### 5. Modalità di gestione di farmaci stupefacenti

Fermo restando che anche in questo caso vanno rispettate le "regole" dei punti precedenti, sulla modalità di gestione di farmaci e soluzioni, l'obiettivo generale della corretta tenuta dei farmaci stupefacenti, è quello di avere a disposizione, in caso di necessità, i farmaci necessari, nonché quello di evitare giacenze eccessive e/o la presenza di prodotti scaduti.

Il medico in turno, all'inizio della missione di soccorso, preleverà dalla cassaforte e/o dalla cassetta di sicurezza, una quantità idonea di stupefacenti per gestire le missioni di soccorso. I farmaci stupefacenti verranno allocati in uno spazio apposito all'interno della borsa farmaci-ampollario di emergenza. La custodia e la gestione dei predetti farmaci, durante tutte le fasi della missione di soccorso, ricade sotto la diretta responsabilità del medico in turno sul mezzo il quale, una volta completata la missione e fatto rientro in postazione, provvederà tempestivamente all'eventuale scarico o al riposizionamento nella cassaforte.

Il medico referente di ciascuna postazione, è responsabile dell'effettiva corrispondenza tra la giacenza contabile e quella reale delle sostanze stupefacenti. La corretta tenuta del registro degli stupefacenti è verificata attraverso ispezioni periodiche, effettuate dal direttore o suo delegato della farmacia responsabile della fornitura dei farmaci, in accordo con il direttore della C.O. 118 competente per territorio.

I verbali relativi all'ispezione saranno trasmessi al dirigente

responsabile del servizio 6 "Programmazione dell'emergenza" presso l'Assessorato regionale della salute"

#### 5.1. Richieste e controlli

Le attività che caratterizzano la corretta gestione dei farmaci stupefacenti, possono essere così sintetizzate:

- modalità di approvvigionamento;
- modalità di conservazione di farmaci e relativa documentazione;
- modalità di somministrazione;
- controllo delle scadenze.

#### 5.1.1. Modalità di approvvigionamento

In conformità all'art. 60 del D.P.R. n. 309/90 e al D.M. 3 agosto 2001 tutte le strutture sanitarie devono essere dotate del registro di carico e scarico dei medicinali stupefacenti. Il registro è costituito da cento pagine numerate progressivamente e vidimate una ad una dal direttore sanitario competente per farmacia di riferimento. Le pagine devono essere conformi al modello autorizzato dal D.M. 3 agosto 2001.

Il registro è l'unico documento su cui annotare le operazioni di approvvigionamento, somministrazione e restituzione degli stupefacenti, di cui alle tabelle di cui all'art. 14 del D.P.R. n. 309/90.

Analogamente, le ambulanze/postazioni MSA 118, dovranno essere dotate del medesimo registro. Le richieste di farmaci stupefacenti, devono essere effettuate dal medico in postazione, su apposita modulistica, definita "richiestario", con fogli in triplice copia, conforme al modello stabilito dal Ministero della salute.

La predetta richiesta, va compilata in tutte le sue parti e firmata dal medico di postazione richiedente, validata dal direttore della C.O. 118 e dal direttore sanitario competente per la farmacia territoriale di riferimento. Le quantità di farmaco stupefacente richiesto, devono essere sempre scritte in lettere e mai in cifre. La suddetta richiesta va presentata presso la farmacia, di cui all'allegato A "Farmacie di riferimento", il farmacista, verificata la disponibilità, firma il mod.richiesta-

rio in tutte le sue parti, appone la data e consegna il farmaco, facendone contestualmente verificare, al medico a cui viene consegnato, l'integrità del contenuto. Il farmaco va esclusivamente affidato al personale medico, il quale apporrà la firma, per ricevuta, su ogni pagina, delle tre copie del registro.

#### 5.1.2. Modalità di conservazione

La responsabilità delle scorte dei farmaci stupefacenti, e conservazione, compete al medico di turno. In particolare, i farmaci stupefacenti, ed il registro di carico/scarico e di approvvigionamento, vengono conservati in una cassaforte o cassetta di sicurezza nella stanza del medico di turno. È sotto la responsabilità del medico, la custodia della chiave della cassaforte.

Il registro di carico/scarico, dopo essere stato "interamente completato nell'utilizzo", deve essere conservato presso ciascuna C.O. 118 di riferimento, per due anni dalla data dell'ultima registrazione.

Il medico, di ciascun turno, presso la postazione richiedente, è responsabile dell'effettiva corrispondenza tra la giacenza contabile e quella reale dei medicinali stupefacenti.

Ogni pagina del registro deve essere intestata ad una sola preparazione medicinale, indicando la forma farmaceutica, il dosaggio e l'unità di misura adottata. Le registrazioni, sia in entrata che in uscita, devono essere effettuate senza lacune di trascrizione, abrasione o altro. Per la registrazione, deve essere impiegato "inchiostro indelebile".

Le eventuali correzioni effettuate, devono essere sempre controfirmate, in modo leggibile, e non si devono mai utilizzare sostanze coprenti per le modifiche o correzioni.

#### 5.1.3. Modalità di somministrazione

La somministrazione del farmaco stupefacente, va fatta sempre dal personale medico. Sarà cura del medico in turno, la compilazione del registro di carico/scarico, avendo cura di annotare la data, il nome/cognome del paziente, il numero

di fiale somministrate e la giacenza apponendo la propria firma leggibile.

Nel caso di somministrazioni parziali di una forma farmaceutica, il cui farmaco residuo non può essere utilizzato (come ad esempio fiale iniettabili), si procederà allo scarico dell'intera unità, specificando nelle note l'esatta quantità somministrata, che sarà corrispondente a quella riportata sulla scheda sanitaria del paziente. La quantità residua sarà posta tra i rifiuti speciali.

Nel caso in cui l'integrità dei farmaci sia compromessa (fiale rotte), deve essere tutto verbalizzato sul registro di carico/scarico e il verbale conservato all'interno dello stesso registro, di cui costituisce parte integrante.

#### 5.1.4. Controllo scadenze

Il controllo delle scadenze dei farmaci stupefacenti, deve essere effettuato dal personale sanitario di turno con cadenza mensile, secondo un apposito calendario e la compilazione di una check list.

#### 5.1.5. Restituzione di farmaci stupefacenti scaduti

I farmaci stupefacenti scaduti, vanno annotati su un registro di "reso stupefacenti", anche esso in triplice copia, come previsto dal Ministero della salute, firmato dal medico in turno in postazione, che esegue il reso. Gli stessi, verranno successivamente consegnati alla farmacia di riferimento, dove il farmacista ne attesta la riconsegna, firmando, per ricevuta, sullo stesso registro, secondo quanto previsto dal D.P.R. n. 309/90.

#### 6. Matrice di responsabilità

Il medico all'inizio del proprio turno di servizio (MSA - AM - ELI):

- verifica la presenza dei componenti la Equipe di soccorso;
- verifica lo stato di efficienza delle attrezzature elettromedicali e dello strumentario;
- verifica la conoscenza/addestramento dell'infermiere, sull'utilizzo delle apparecchiature

### Obbligatorio registro di carico e scarico dei medicinali

## Somministrazioni a cura esclusiva dei responsabili sanitari

ture e dello strumentario;

- verifica la check-list relativa al controllo degli zaini di bordo e della cellula sanitaria allegato I.1) "Check list mezzi di soccorso";

durante il turno di servizio:

- compila in tutte le sue parti la scheda sanitaria di intervento;

- provvede alla corretta conservazione della scheda sanitaria di intervento e delle check list di controllo zaini, nell'archivio della postazione 118;

- rispetta e fa rispettare, a tutta l'equipe, le norme di autoprotezione in merito ad uso di guanti, occhiali antischizzo, completezza della divisa e calzature antiscivolo;

- gestisce le comunicazioni con la C.O. 118 e ove impegnato nell'esercizio delle sue funzioni, decide in piena autonomia, il soggetto preposto, cui affidarle;

- è responsabile della gestione degli stupefacenti e della relativa movimentazione;

- viaggia, durante il soccorso, nel vano sanitario insieme al paziente;

- segnala, verbalmente e quindi con rapporto scritto, al direttore responsabile di C.O. 118 eventuali disservizi, inconvenienti e disfunzioni che dovessero verificarsi durante il proprio turno di servizio;

- segnala alla C.O. 118 eventuali inconvenienti, di qualsivoglia natura, durante l'uso di farmaci e/o presidi;

- è responsabile dello smaltimento dei farmaci scaduti.

L'Infermiere all'inizio del proprio turno di servizio (MSI):

- verifica la check-list relativa al controllo degli zaini di bordo e del mezzo di soccorso Allegato I.2) "Check list mezzi di soccorso";

- verifica il funzionamento di tutte le strumentazioni;

- verifica il livello di ossigeno;

durante il turno di servizio:

- viaggia, durante il soccorso, nel vano sanitario insieme al paziente;

- provvede alla corretta conservazione della scheda sanitaria di intervento e delle check list di controllo zaini nell'archivio della postazione 118;

- provvede al corretto ap-

provvigionamento di farmaci e di materiale di consumo all'interno degli zaini e del vano sanitario del mezzo di soccorso;

- provvede alla rimozione e smaltimento dei farmaci e del materiale di consumo scaduto e/o deteriorato;

- provvede al corretto smaltimento/allontanamento dei rifiuti pericolosi;

- verifica l'adeguata pulizia, disinfezione e risanamento del mezzo;

- rispetta le norme di autoprotezione in merito ad uso di

### Controllo scadenze a cura del personale sanitario

### La cura delle scorte competete al medico di turno

guanti, occhiali antischizzo, divisa completa, calzature antiscivolo;

- segnala verbalmente e quindi con rapporto scritto, al direttore responsabile della C.O. 118 di riferimento, eventuali disservizi, inconvenienti, disfunzioni o carenze che dovessero verificarsi durante il proprio turno di servizio;

- controlla le scadenze dei farmaci e presidi in dotazione;

- provvede ad effettuare la richiesta dei farmaci e del materiale sanitario ed inoltrarla alla C.O. 118 competente;

- è responsabile della movimentazione dei farmaci, avendo cura di annotare il relativo utilizzo, nel registro di carico e scarico;

- segnala alla C.O. 118 eventuali inconvenienti di qualsivoglia natura, durante l'uso di farmaci e/o presidi;

- è coinvolto nello smaltimento dei farmaci scaduti;

- prende in carico i farmaci e/o i presidi sanitari richiesti e ne provvede alla loro adeguata conservazione.

L'Autista soccorritore all'inizio del proprio turno di servizio (MSB):

- controlla la funzionalità operativa del veicolo, i mate-

riali e le apparecchiature in dotazione all'èquipe di soccorso, allegato I3 "Check list mezzi di soccorso" per le MSB, che sottoscrive con firma leggibile;

durante il turno di servizio:

- adatta la guida alle condizioni fisiche/stato del paziente trasportato, su indicazione del personale sanitario o della C.O. 118;

- comunica con la C.O. 118, in assenza del personale sanitario (medico ed infermiere), attraverso la strumentazione di bordo;

- mantiene in condizioni di buon funzionamento i veicoli e le apparecchiature che gli sono affidati;

- partecipa alla valutazione della scena dell'intervento, alla messa in sicurezza degli altri colleghi soccorritori, degli infortunati e del mezzo di trasporto;

- partecipa e/o collabora all'individuazione della necessità di attivare ulteriori mezzi o servizi complementari al soccorso;

- partecipa e/o collabora al posizionamento corretto ed adeguato del paziente;

- partecipa e/o collabora alla liberazione delle vie aeree, al mantenimento della temperatura corporea, al mantenimento delle funzioni vitali ed alla defibrillazione effettuata a mezzo DAE;

- aiuta nelle manovre praticate al paziente, nel suo sollevamento e caricamento;

- collabora al trasporto dei pazienti nei locali di accettazione ospedaliera;

- partecipa e/o collabora nelle operazioni di immobilizzazione

con tutti i presidi a disposizione;

- collabora col personale sanitario e gli altri operatori dell'equipaggio, al termine dell'intervento, al ripristino della:

- funzionalità completa del mezzo;

- pulizia interna ed eventuale disinfezione;

- della conservazione di materiali e presidi di immobilizzazione utilizzati;

- collabora al mantenimento della qualità del servizio;

- deve avere la conoscenza, in relazione al suo ruolo nell'ambito del soccorso, delle caratteristiche tecniche e d'uso dei presidi sanitari, dei materiali e delle apparecchiature utilizzate in emergenza;

- deve avere la conoscenza, in relazione al suo ruolo nell'ambito del soccorso, dell'organizzazione dei servizi sanitari di urgenza/emergenza;

- in assenza del personale sanitario più alto in grado a bordo dell'ambulanza, assume il ruolo di team leader il più anziano per età anagrafica;

- provvede alla richiesta di materiale sanitario e alla gestione delle scorte, inoltrando la richiesta alla C.O. 118 competente e compilando gli appositi moduli di carico e scarico;

- prende in carico i presidi sanitari richiesti e ne provvede alla loro adeguata conservazione.

Compete alla SEUS (Sicilia emergenza-urgenza sanitaria S.C.p.A.):

- il ritiro e presa in carico dei

farmaci (ad esclusione di quelli stupefacenti) e dei presidi sanitari presso "le farmacie di riferimento" allegato A);

- l'inserimento dei farmaci e del materiale sanitario di consumo, in adeguati contenitori per il trasporto così come previsto dal D.M. 6 luglio 1999;

- la consegna dei farmaci (ad esclusione di quelli stupefacenti) e dei presidi presso ciascuna ambulanza/postazione del SUES 118 richiedente;

- la trasmissione dell'apposito modulo, attestante l'avvenuta consegna, alla C.O. 118 competente per territorio.

## 7. Report finale dei consumi

Ciascuna C.O. del SUES 118, avrà cura di trasmettere, all'Assessorato regionale della salute - Dipartimento pianificazione strategica

- servizio 6 "Programmazione dell'emergenza", un apposito report semestrale, anche in via informatica, in cui vengono riepilogati, i consumi per ciascun farmaco e/o presidio utilizzato.

Al fine di verificare la corretta tenuta dei farmaci e dei presidi, le Aziende sanitarie competenti per territorio e/o il servizio 6 "Programmazione dell'emergenza" dell'Assessorato regionale salute, possono effettuare controlli e verifiche, presso le sedi/postazioni del SUES 118.

2. Fine

*Publicato sulla Gurs n. 06 del 7/02/2014*

