

Questa rubrica propone Documenti sanitari, linee guida, linee di indirizzo o di intenti di interesse pediatrico commentati a cura dell'Associazione Culturale Pediatri.

Dentro la ricerca: la persona prima di tutto. Una proposta in 10 punti

Commenti a cura di Antonio Clavenna¹ e Maria Francesca Siracusano²

1. Laboratorio Salute Materno Infantile, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Milano

2. Pediatria di famiglia, Messina - Gruppo di lavoro ACP "Formazione e Ricerca"

IL RICERCATORE

Commento a cura di *Antonio Clavenna*

Il numero di studi clinici condotti in Italia, stando ai dati presentati dall'Agenzia Italiana del Farmaco nel **Rapporto sulla Sperimentazione Clinica dei Medicinali in Italia – anno 2018**, è in diminuzione: da 880 studi inseriti nell'osservatorio nazionale nel 2008 a 564 condotti nel 2017. La percentuale di sperimentazioni che avevano un promotore no profit (studi indipendenti) è rimasta costante nel tempo, con una percentuale intorno al 25%. La ricerca clinica indipendente è indispensabile per fornire una risposta a bisogni trascurati dalle sperimentazioni che hanno un scopo commerciale; quesiti e risposte che hanno una ricaduta rilevante per il servizio sanitario nazionale: per esempio, la comparazione diretta del profilo di sicurezza ed efficacia di interventi/trattamenti, la valutazione della qualità delle cure, la valutazione dell'impatto di modelli organizzativi o di interventi formativi/educativi. Il rapporto "Dentro la ricerca: la persona prima di tutto", esito di un convegno sulla ricerca clinica da promotori non profit, promosso dalla Società Scientifica di Medicina Interna FADOI (Federazione delle Associazioni dei Dirigenti Ospedalieri Internisti) e realizzato con il patrocinio di numerose istituzioni e società scientifiche, articola in 10 raccomandazioni alcune proposte che hanno lo scopo di favorire e migliorare la gestione e lo sviluppo della ricerca clinica, con particolare attenzione a quella indipendente. Le raccomandazioni toccano diversi ambiti della ricerca (finanziamento, procedure burocratiche/organizzative, formazione del personale, supporto tecnico/logistico); tra quelle riportate nel documento meritano una particolare menzione:

- la necessità che venga garantito alla ricerca clinica no profit un finanziamento costante, maggiore rispetto a quanto oggi erogato, con un minimo del 1% del fondo annuale SSN, ma con l'auspicio che possa essere del 3%, come sottolineato nella prima raccomandazione. Senza un finanziamento adeguato e costante non è possibile condurre ricerca clinica indipendente. Connessa al finanziamento della ricerca c'è la proposta di creare un'agenzia nazionale della ricerca, che coordini gli enti e le istituzioni e si occupi della valutazione e del finanziamento dei progetti;
- la semplificazione delle procedure, per esempio rendendo omogenea la modulistica per la sottoposizione degli studi per la valutazione da parte dei comitati etici e consentendo la valutazione da parte di un solo comitato etico. In caso di studi multicentrici, dover sottoporre la documentazione a più comitati, che possono richiedere documenti differenti, comporta un carico burocratico e di impegno. I tempi necessari per ottenere l'approvazione e le differenze nella valutazione hanno un impatto ancora maggiore

in caso di studi che hanno un promotore no profit;

- la possibilità di permettere, attraverso una donazione, l'impiego a scopo di ricerca del materiale biologico prelevato per indagini diagnostiche e non utilizzato (materiale residuo), che verrebbe altrimenti smaltito. Questo materiale potrebbe essere utile per studi sui meccanismi biologici e molecolari delle malattie o per l'individuazione di marcatori biologici utilizzabili a scopo diagnostico o prognostico.

Il mancato accenno al ruolo e alle potenzialità della ricerca nell'ambito della medicina generale rappresenta un limite del documento. A distanza di quasi 20 anni dal decreto del 10 maggio 2001 che per la prima volta concedeva la possibilità di effettuare sperimentazioni cliniche controllate in medicina generale e pediatria di libera scelta, sono ancora pochi gli studi condotti in questo ambito, soprattutto per quanto riguarda quelli sperimentali/interventistici. Le barriere evidenziate nel rapporto (economiche, burocratiche, organizzative) appaiono ancora più rilevanti nel contesto extraospedaliero, specie per quanto riguarda il finanziamento e le procedure per l'approvazione degli studi. L'auspicio è che queste raccomandazioni possano trovare accoglienza presso le istituzioni preposte. Purtroppo, l'esito dei **bandi del 2017 per la ricerca indipendente dell'Agenzia Italiana del Farmaco** non è incoraggiante circa una maggiore sensibilità istituzionale per un finanziamento adeguato: sono soltanto i 12 progetti finanziati, uno solo in ambito pediatrico. Infine, lo scorso anno il ministro Bussetti aveva annunciato l'**istituzione dell'agenzia nazionale della ricerca**. A oggi, però, non sembra ancora deciso se e in che termini questa proposta sia destinata a concretizzarsi.

(Le opinioni espresse dall'autore sono personali e non riflettono necessariamente quelle dell'istituzione di appartenenza)

LA PEDIATRIA

Commento a cura di *Maria Francesca Siracusano*

Si tratta di un Documento/proposta sulla ricerca clinica no profit elaborato a seguito del 5° Convegno Nazionale sulla Ricerca Indipendente in Italia (ROMA, Ministero della Salute 21-22 Marzo 2018). La ricerca clinica, in particolare quella promossa da Istituzioni no profit può interpretare un ruolo rilevante sia in senso strettamente scientifico e clinico-assistenziale, ma essere di ausilio per una efficiente politica di programmazione sanitaria, contribuendo a sostenere e valorizzare un Servizio Sanitario Nazionale universalistico. Gli estensori del documento, sembrano

insistere sulla “Persona”. Questo concetto viene chiaramente già richiamato nel titolo e nel documento si precisa che Persona è intesa non solo come cittadino-paziente a cui è rivolta la ricerca clinica, ma anche come professionista-ricercatore che la promuove e la conduce. La ricerca clinica in generale e in maniera più specifica quella finalizzata ad affrontare quesiti clinici rilevanti per l’assistenza e per la comunità, rappresenta un settore strategico per ogni Paese. L’Italia continua ad investire in Ricerca & Sviluppo (in tutti i settori) una quota del Prodotto Interno Lordo ben inferiore a quella degli altri principali Paesi (l’Italia nel 2013 si collocava al 16° posto fra i 28 Paesi UE), e ben al di sotto della soglia-obiettivo del 3% indicata fin dal 2002 dal Consiglio Europeo (Italia: 1.29% nel 2014). Più in generale, la ricerca non sembra riscuotere particolare interesse nell’agenda politica del Paese, come osservato dalla prestigiosa rivista scientifica Nature in occasione delle recenti elezioni politiche di Marzo 2018. La stessa rivista non manca di ricordare il “paradosso italiano”, che a fronte di una progressiva riduzione dei finanziamenti pubblici in Ricerca & Sviluppo vede un costante aumento della percentuale di articoli prodotti da Autori italiani fra quelli più citati a livello internazionale. Questa situazione è in parte dovuta alle difficoltà economiche e strutturali con le quali si confronta il nostro Paese, che hanno determinato una contrazione della spesa sanitaria, soprattutto a carico del personale sanitario. Inoltre, la redistribuzione dei fondi per la ricerca mostra che pochi vengono destinati alla ricerca clinica e biomedica, e che non si riesce ad accedere e utilizzare con efficienza i fondi europei. La ricerca clinica, che è in grado di generare valore scientifico e assistenziale e di conseguenza economico, soffre dell’approccio culturale prevalente nella politica italiana, che considera la ricerca e l’innovazione come una spesa e non come un investimento. La materia è regolata dalla Legge Lorenzin (11 Gennaio 2018, n. 3), il cui obiettivo è il riassetto e la riforma della normativa in materia di sperimentazione clinica e, più in generale, di adeguamento del sistema di ricerca clinica nel nostro Paese. Fra gli obiettivi di questo Documento c’è quello di proporre alcune raccomandazioni che possano risultare utili alla attuazione della legge. Le 10 raccomandazioni contenute riguardano il contesto generale della ricerca, i requisiti per l’accesso dei centri clinici alla ricerca, le procedure per la valutazione degli studi, di utilizzo dei materiali (biologico e di immagini), l’applicazione dei sistemi informativi, la formazione sulla metodologia della ricerca, la protezione dei dati personali. I concetti che ricorrono in queste raccomandazioni sono semplificazione e formazione. La semplificazione riguarda sia la acquisizione da parte dei centri dei requisiti per partecipare alla ricerca, che gli iter di approvazione dei comitati etici, che vengono riformati e ridotti di numero. La formazione riguarda la professionalizzazione dei ricercatori, la creazione di figure di management della ricerca ed il riconoscimento del ricercatore e delle figure di supporto alla ricerca. Benché il Documento dichiari, come si legge, la centralità della persona e la partecipazione alla stesura delle Associazioni di Cittadini e Pazienti, - *l’opportunità del coinvolgimento delle Associazioni dei Pazienti nelle procedure di valutazione e autorizzazione delle sperimentazioni cliniche è stata ribadita anche dalla Legge n. 3, 2018. In generale però il ruolo dei cittadini e degli ammalati nella ricerca clinica è destinato a diventare sempre più attivo e rilevante. In tale prospettiva ben si inquadra la sempre più stretta collaborazione fra le Associazioni di Cittadini e Pazienti e i ricercatori, e lo sviluppo*

di figure quali quella del “paziente esperto”, che potranno proficuamente contribuire ad indirizzare la ricerca clinica verso modalità e obiettivi sempre più vicini alle aspettative e alle esigenze degli ammalati -, le raccomandazioni che si riferiscono alla “Persona” paziente sono quelle che riguardano la tutela dei dati e il consenso. A mio avviso, non molto.

