

Relazione Presidente Commissione Medico-Scientifica UILDM

È ormai trascorso un anno dall'insediamento della nuova Commissione Medico Scientifica, un anno denso di avvenimenti e di incontri.

Già da subito è stato chiaro che il compito principale di questo organismo della UILDM fosse quello di rafforzare e integrare la rete di collegamento con le **Sezioni**, rete che negli ultimi tempi soprattutto si era allentata.

L'idea è sempre stata quella di far **fronte comune**, condividendo le scelte e le strategie per raggiungere gli obiettivi. Si è quindi proposto di coinvolgere direttamente le Sezioni, tramite mini questionari, per capire quali fossero le loro priorità, le risorse offerte dal territorio e come poter procedere insieme per realizzare progetti comuni.

A una prima raccolta di dati hanno risposto **59 su 78 Sezioni**, mentre, alcune delle 19 restanti lo hanno fatto solo dopo l'Assemblea Nazionale del maggio 2011.

La maggioranza delle Sezioni ha chiesto un aggiornamento costante sulle novità della ricerca in ambito di malattie neuromuscolari e garanzia nei percorsi assistenziali dei pazienti e delle loro famiglie, tramite indicazioni, riferimenti utili e sostegno (anche giuridico) in situazioni particolari, oltre a proporre una serie di rilievi che conducevano direttamente al proposito della Commissione, di rilanciare cioè, in modo forte, lo **standard di cure** su tutto il territorio nazionale.

Ci siamo incontrati dunque con i rappresentanti delle varie Sezioni nel mese di novembre a **Milano, Roma e Napoli** e ritengo personalmente questo un grande successo: finalmente, infatti, le Sezioni stavano dialogando fra di loro, allo scopo di costruire un percorso comune, sulla base del Documento espresso dalla Consulta Ministeriale per le Malattie Neuromuscolari, per promuovere progetti comuni a livello istituzionale.

Come questo potrà avvenire, è difficile dirlo perché siamo ancora all'inizio di un lungo cammino, ma abbiamo la strada tracciata da quella che è stata una grande conquista della nostra Associazione: il "**modello Consulta**".

Fino ad oggi le Sezioni UILDM - pur riconoscendo un'origine comune - hanno da sempre lavorato in autonomia, riguardo alle risorse locali e alle diverse situazioni: ebbene, dobbiamo uscire da questo stereotipo e **lavorare insieme**, perché solo in questo modo otterremo il risultato sperato.

Ritengo dunque che la richiesta da noi sostenuta di un **Rappresentante regionale**, che sia diretta espressione delle Sezioni e che possa interfacciarsi con la Commissione Medico-Scientifica, vada in questo verso.

Un altro grosso capitolo proposto e portato avanti dalla Commissione è la **formazione di nuovi esperti** nelle patologie neuromuscolari: è importante che la nostra generazione di ricercatori continui con altre che abbiano a cuore il problema della disabilità e la *joint venture* con Telethon è per noi di grande aiuto e interesse.

All'interno della CMS si sta studiando un modo per realizzare questo progetto e un gruppo di noi si è già messo al lavoro per delinearlo.

L'anno trascorso è stato anche interessato da quello che considero un grave caso di **mal practice clinica**: la sperimentazione di trapianto di cellule staminali mesenchimali attuata dal dottor Moreno Andolina, medico dell'Ospedale Burlo Garofalo di Trieste, in collaborazione con Stamina Foundation ONLUS, su una bimba con amiotrofia spinale (SMA), tema per altro ripreso da organi di informazione locale e nazionale, in modo non sempre chiaro e corretto.

Il caso era scoppiato per un'ingiunzione del Tribunale affinché si procedesse, nel caso della bimba in questione, a un trapianto di staminali, sull'ormai scontato motivo «facciamo qualcosa, non importa quello che si fa, basta fare qualcosa».

A livello internazionale esistono delle regole di *good clinical research* che prevedono come - prima di “provare” delle terapie nei pazienti - debbano esserci degli studi di *efficacy* (“efficacia”) in modelli preclinici e animali e degli studi di *safety* (“sicurezza”) chiari e disponibili.

Ci ha rattristato molto, in tal senso, il constatare - durante un incontro avvenuto successivamente con lo stesso dottor Andolina - che tutto era stato programmato senza un rigore scientifico, ma come un banale e scontato intervento invasivo e per altro imposto dall'autorità giudiziaria.

Non entreremo ora in merito a questioni di tale portata: i genitori delle nostre Associazioni, infatti, sono persone stupende con livelli di emotività, a volte, esasperati, ma sono sempre concreti e vivono spesso il dolore della perdita di un figlio con **grande compostezza e voglia di rivincita**.

Per terminare, è importante porgere un ringraziamento a tutti i colleghi della Commissione Medico-Scientifica - che stanno lavorando attivamente per realizzare i grandi progetti di cui abbiamo parlato - a tutta la Direzione Nazionale che ci ha sempre sostenuto, a Cira Solimene, direttore operativo UILDM, con cui abbiamo stretti rapporti operativi, a tutti i Presidenti di Sezione che hanno partecipato e parteciperanno alle riunioni con la Commissione.

Permettetemi ora di ringraziare soprattutto Stefano Borgato, per l'insostituibile ruolo di supporto, di organizzazione e di sintesi di tutto il nostro lavoro.

Paolo Banfi
Presidente Commissione
Medico-Scientifica UILDM