

Le lettere sono sempre gradite, e vengono sempre pubblicate. Si prega solo una ragionevole concisione, cercando di non superare le 3000 battute. Qualche taglio editoriale e qualche intervento di editing che non alteri il senso della lettera saranno, a volte, inevitabili.

Pediatria del futuro e cambiamento

Siamo Pediatri di Famiglia (PdF) del gruppo ACP Milano e Provincia e vogliamo intervenire nel dibattito sul riordino delle cure primarie pediatriche avviato negli ultimi mesi su queste pagine¹⁻³ anche sulla base di un'esperienza professionale maturata da decenni sul campo.

Come ampiamente sottolineato, la progressiva carenza di pediatri si inserisce in una situazione nuova caratterizzata da bisogni complessi che richiedono alta professionalizzazione e una rete assistenziale strutturata; a ciò si aggiungono i temi dell'elevato accesso al PS e della continuità assistenziale pediatrica.

Crediamo che lo stretto rapporto personale di fiducia con la famiglia continui a restare un aspetto qualificante del ruolo del PdF nell'ambito delle cure primarie, e in grado di assicurare un appropriato intervento individualizzato (che vuol dire a quel bambino, in quella famiglia, in quel momento): la necessaria riorganizzazione dei PdF in unità territoriali deve garantire che ordinariamente l'atto sanitario sia assicurato dal pediatra e non impersonalmente dalla struttura nella sua organizzazione. Non "potere su", ma rapporto di conoscenza e fiducia con i nostri bambini e i loro genitori. Cruciale resta la ricerca di indicatori di esito e qualità rispetto alla capacità del PdF di fornire "adeguate risposte ai temi emergenti della salute mentale, dei disordini dello sviluppo, delle multiproblematicità mediche e sociali".

SIMPeF, la nuova realtà sindacale lombarda, nel suo documento per il riordino delle cure primarie⁴ propone "unità funzionali di cure pediatriche distrettuali che raggruppano a livello di distretto tutti i PdF": un modello organizzativo che permetterebbe da una parte di conciliare sia il rapporto di libera scelta degli assistiti sia l'autonomia professionale dei PdF e delle loro forme associative, dall'altra di promuovere il collegamento e l'integrazione non solo con l'ospedale ma anche e soprattutto con il resto dei servizi di salute e con quelli sociali ed educativi

Sia G. Biasini sia G. Tamburlini propongono la presenza dell'"infermiere pediatrico" accanto al PdF: con le sue specifiche competenze questi sgraverebbe di molto il lavoro del pediatra, permettendo in questo modo di "raddoppiare" la capacità assistenziale e anche di favorire un "rinnova-

mento culturale" della PdF, con il pediatra "medico a tutto tondo del bambino", "a far da coordinatore del lavoro sui bambini con bisogni speciali, a far da riferimento per tutte le questioni di ordine clinico, a concordare... percorsi e protocolli". Non abbiamo nessuna remora "ad accettare un infermiere che ha sue autonomie e sue responsabilità". Siamo anzi convinti che il lavoro in équipe con personale infermieristico "adeguatamente formato" possa contribuire molto al miglioramento dell'offerta assistenziale e della qualità del nostro servizio. Abbiamo seri dubbi che questa presenza possa di fatto da sola permettere un importante aumento del carico assistenziale dato il grande peso nel nostro lavoro della parte clinica (consulto, visita, diagnosi e terapia - purtroppo il più delle volte per un acuto banale), sicuramente non delegabile. Altra criticità è data dalla effettiva scarsità (assenza?) di infermieri con le competenze desiderate e di percorsi formativi dedicati e condivisi. Al riguardo con un pizzico di orgoglio possiamo affermare che in Lombardia alcuni nostri studi in questi anni sono diventati "scuole di formazione sul campo".

Da più parti viene ipotizzata e proposta una continuità assistenziale pediatrica 24 ore per 7 giorni, anche per ridurre gli accessi impropri al PS. Con G. Tamburlini concordiamo che l'attuale non continuità assistenziale non è oggi il vero problema dell'assistenza pediatrica. Siamo convinti che aumentando l'offerta si ha di certo un incremento dell'utilizzo improprio dei servizi disponibili e che l'abnorme accesso ai PS pediatrici può essere ragionevolmente e drasticamente contenuto con una solida educazione della popolazione al corretto utilizzo dei servizi. Questa azione educativa deve essere svolta sia a livello sanitario sia a livello politico-sociale: dal PdF con la promozione di un corretto e adeguato riconoscimento del bisogno e della sua inderogabilità; a livello ospedaliero nell'appropriata e non auto-mantenente risposta a esso, insieme con la reale condivisione di protocolli di gestione delle patologie acute; a livello politico-amministrativo con provvedimenti, anche impopolari, decisi e realistici (adeguati alla disponibilità di risorse) nell'offerta dei servizi, per disincentivarne l'uso improprio. Non si può ragionevolmente pensare di rispondere a una domanda tendenzialmente infinita da parte dell'utenza senza fare nulla per educarla e contenerla, ma anzi giustificandola. A no-

stro avviso, anzi lo chiediamo con forza, le Società Scientifiche, *in primis* ACP, dovrebbero farsi garanti a livello istituzionale-socio-politico di questa posizione. Da tempo la PdF (non solo quella lombarda) ha provato, con la Pediatria in Gruppo e in Associazione, a dare adeguate risposte al riguardo; completano queste le proposte complessive SIMPeF che prevedono l'assistenza del PdF nell'arco delle 12 ore dal lunedì al venerdì e il raccordo, anche di tipo formativo, con la Guardia Medica per le altre fasce orarie. Riteniamo che vada presa in seria considerazione la proposta di F. Marchetti di affidare alla Guardia Medica, opportunamente formata e collocata in Ospedale dove possibile e comunque sempre in stretto rapporto con i centri pediatrici di riferimento, i codici bianchi e verdi degli accessi di bambini al PS.

Per realizzare compiutamente l'obiettivo di un'assistenza così integrata è necessario un grande sforzo formativo delle diverse istituzioni su tutte le professionalità in gioco, con un impegno ragionato di risorse:

- a livello universitario nella preparazione solida e completa di un pediatra generalista adeguatamente preparato ai problemi del territorio, e di un adeguato numero di infermieri pediatrici;
- nella formazione continua del PdF con percorsi condivisi sui nuovi bisogni e sulla reale integrazione con l'ospedale e i servizi territoriali;
- in una incisiva azione nei confronti del personale di Guardia Medica nella formulazione di percorsi integrati sia con la PdF sia con il PS ospedaliero;
- nella perseverante educazione dei genitori al riconoscimento corretto del bisogno e della sua inderogabilità.

Ma se siamo convinti della necessaria qualità di questa proposta perché non chiediamo tutti insieme l'aumento del numero dei posti nelle Scuole di Specializzazione in Pediatria?

Bibliografia

1. Marchetti F. Il riordino delle cure pediatriche: alla ricerca del buon senso (Editoriale). *Medico e Bambino* 2012;31:143-4.
2. Biasini G. Il riordino delle cure pediatriche (Lettere). *Medico e Bambino* 2012;31:285-6.
3. Tamburlini G. La pediatria di famiglia tra consunzione e rinascita (Editoriale). *Medico e Bambino* 2012;31:347-8.
4. www.simpef.it/ftp/La_Pediatria_di_famiglia_nel_riordino_delle_cure_primarie_13032012.pdf

Mario Narducci con il Direttivo ACPM

Lavoro da diciassette anni come pediatra di famiglia (PdF). Assisto 770 bambini: ho limitato il numero degli assistiti volutamente perché la quantità degli assistiti influisce, a mio avviso, sulla qualità dell'assistenza.

Da diversi anni partecipo ai vari forum sul cambiamento della PdF: uno dei primi nel lontano 2007.

“Quale pediatria? Quale pediatra?”

La risposta, allora, la vedevo negli obiettivi, ancora attuali, proposti da G. Biasini nella sua bellissima lettera (*Medico e Bambino* 2006;25:83-4): “una pediatria che si trasformi in una comunità di professionisti che recuperino l'abitudine a lavorare insieme, ma non nel vuoto, bensì in un sistema organizzato come il SSN, con comuni obiettivi e comuni metodi di lavoro.”

Individuali gli obiettivi, mi sono sempre chiesta quale pediatra avrei voluto essere e dalla mia esperienza professionale allora avevo cercato di individuare alcuni punti essenziali: “Un buon pediatra di famiglia deve saper ascoltare ed essere consapevole delle sue responsabilità, esercitare una buona vigilanza sulle patologie, mettersi possibilmente in armonia con se stesso e con gli altri (utenti, medici ospedalieri e infermieri, colleghi), tenere sempre vivo il desiderio di imparare da chi ha più esperienza nello specifico campo, non abusare del suo potere, verificare la qualità del suo lavoro, collaborare con l'ospedale, condividere le emozioni e le paure di genitori sempre più disorientati” (*Medico e Bambino* 2007;26:83-5).

Ho sempre amato lavorare in team, ma nel territorio in cui vivo nessuno ha mai creduto in un progetto di pediatria di gruppo, neppure quando ci sarebbero state le risorse.

Cosa è cambiato da allora nella ASL in cui opero? Nulla. L'ASL ha accorpato in un unico ambito molti comuni, un progetto che avrebbe permesso l'istituzione di una pediatria di gruppo in un'unica sede, ma tutti i miei colleghi interpellati hanno preferito continuare a lavorare individualmente o riuniti nell'associazionismo vigente con pediatri di altri distretti, garantendo sicuramente una maggiore disponibilità diurna del pediatra sul territorio, ma insufficiente a dare risposte efficaci ai problemi emergenti.

Editoriali e dibattiti si susseguono, ma nulla potrà cambiare se gli individualismi e gli interessi corporativi sindacali prevalgono sempre, impedendo di rifondare una pediatria di famiglia adeguata ai cambiamenti dei tempi: più moderna, più preparata professionalmente, ma anche più generosa, più solidale, più accogliente, più disponibile a condividere e imparare i saperi unendosi in team con altre figure impor-

tanti dell'area pediatrica (infermieri, neuropsichiatri, psicologi, educatori, assistenti sociali). Solo così potremo raggiungere “in modo proattivo tutte le famiglie”.

Dare informazioni e supporti a tutte le famiglie sulle buone pratiche della salute richiede tempo, conoscere profondamente due genitori richiede ascolto. Se devi assicurare questo servizio a 1200 bambini lo si farà velocemente e non adeguatamente. Ma supportati da altre figure professionali la situazione cambia.

“L'home visiting”, la vecchia visita domiciliare, ormai scomparsa dalla nostra pratica quotidiana, quante volte ci ha permesso di ampliare lo sguardo sul mondo di un bambino e di conoscere qualcosa di più sulla sua storia?

L'ingresso del mondo nei nostri confini ci pone localmente davanti a sfide complesse che vanno affrontate.

Chiamiamole “Case della Pediatria”, “Centri territoriali”, ma proviamo a cambiare, realizzando una rete comunicante e sinergica: ospedale-pediatria di famiglia, figure socio-educative.

Senza questa rete le risposte saranno sempre parcellari e frammentarie, ma uniti in un progetto etico e qualitativo potremo veramente essere un punto di forza della pubblica sanità.

Mariarita Cajani
Pediatra di famiglia, Erba, ACP

Due belle lettere che confermano, se mai ce ne fosse bisogno, quante belle risorse professionali, umane, di intelligenza e di generosità esistano nella pediatria di famiglia italiana, a dispetto dei tanti critici che credo traggano spunto soprattutto dagli esempi negativi e dagli atteggiamenti corporativi e sindacalizzanti che questi due contributi peraltro criticano senza mezzi termini. Nel contenuto, mi pare siamo ampiamente d'accordo, compresa l'opinione sul fatto che estendere la disponibilità a 24 ore su 24 sia una falsa risposta. 6-8 ore ben distribuite, e un adeguato collegamento e integrazione con le guardie mediche e ospedaliere, bastano.

Solo due punti, sollevati dal documento di ACP Milano, richiedono una puntualizzazione. Si mette in dubbio che l'affiancamento degli infermieri pediatrici sia sufficiente ad aumentare significativamente i massimali. Credo che la materia del contendere riguardi la professionalità di queste figure e quindi la loro capacità di farsi carico anche di una parte del carico “assistenziale” come peraltro avviene già in molti paesi. In ogni caso, visto che tali figure, come giustamente richiamato, ancora sono insufficienti, intanto sperimentiamo, proviamo a vedere e poi facciamo i conti. Circa l'aumento dei posti nelle Scuole di Spe-

cialità, sarò molto chiaro. Ben vengano per alcune Scuole, mal vengano per altre! Valutiamo la qualità dell'insegnamento e apprendimento per definire il numero dei posti! E poi, purtroppo, i tempi (economici) non ci consentono di aumentare il numero dei pediatri, che in Italia è già uno dei più alti al mondo. Occorre migliorare la capacità di risposta complessiva della pediatria, non il numero dei pediatri. Caso mai, la loro qualità.

Giorgio Tamburlini

Bambini con disabilità e percorsi assistenziali: riflessioni ed emozioni

Cari Amici,

sento la necessità di confronto e a dire il vero anche di conforto, nell'assistere al disagio delle tante famiglie di Sicilia e Calabria con figli con cerebropatia, costrette a cercare da sole risposte alla catastrofe che si è abbattuta su di loro con la nascita di un bambino con seri problemi. È a volte obbligatorio il passaggio in una struttura del Nord per cercare una qualche risposta alla quantità di bisogni inevasi che li investe. Può succedere che non abbiano i mezzi e/o che non facciano in tempo ad andare prima che il bambino sia morto. Il catalogo delle assurdità a cui assisto è lungo e a volte incredibile. Riporto “a caldo” alcune riflessioni-emozioni suscitate da quanto ho visto nelle scorse settimane nella mia pratica clinica. Il vostro costante impegno nella sensibilizzazione sui temi di cui scrivo stimola il confronto delle idee e delle iniziative.

Maggio 2012: sono ricoverati nel reparto di rianimazione degli adulti di un ospedale della Calabria 3 bambini con cerebropatia, Giorgia, Domenica e Anna. Giovanna 18 anni, cerebropatia, è ricoverata in rianimazione a Modica da 6 mesi. Domenica è ricoverata da 1 anno, ha anche una frattura di femore. Tutte hanno avuto una grave insufficienza respiratoria e sono intubate e ventilate. Tre erano alimentate con stomia anche prima del ricovero.

Giugno 2012: muoiono Giorgia e Giovanna. Conosco Andrea, 10 mesi, prematuro. È stato ricoverato a lungo in terapia intensiva neonatale e in Clinica Pediatrica per un'infezione polmonare. Piange notte e giorno e si fa cianotico quando prende il latte dal biberon, ha sempre catarro. È in carico presso i servizi riabilitativi del territorio. I genitori non sanno niente di problemi deglutitivi e reflusso. L'aspiratore, gli è stato detto, è pericoloso, può procurare lesioni alla bocca. Aveva un gemello che nei primi giorni del mese di giugno è morto “improvvisamente”.

Giorgia, operata per reflusso nel primo anno di vita, ha sofferto moltissimo, per anni, di dolori addominali, con improvvise distensioni gastriche e alternarsi di stipsi e diarrea. In una Clinica Pediatrica del Nord era stata posta diagnosi di "Dumping disease". Si era giovata delle cure per quanto riguarda il controllo della glicemia. I disturbi della motilità intestinale non erano mai passati del tutto. Il dolore, senza una causa apparente, l'ha accompagnata per anni. Non si è giovata nemmeno del tentativo d'uso del gabapentin che invece ha cambiato la vita di Caterina.

Caterina, 6 anni, ha una malattia neurologica degenerativa non identificata e, in aggiunta ai sintomi più comuni, ha irrequietezza incontenibile e lamenti notte e giorno. L'uso del gabapentin ha spento questo "fuoco".

Claudio, 16 anni, ha avuto 2 fratture di femore e una pancreatite acuta. È alimentato con stomia. Nei mesi scorsi ha avuto infezioni polmonari con *Pseudomonas* nell'escreato. La risposta alla terapia con chinolonico è stata sempre buona, ma la remissione durava pochi giorni. Riducendo la velocità di flusso dell'enterale da 150 ml a 125ml/ora, non ha più vomitato, né ha avuto infezioni respiratorie.

Riflessioni

- Le patologie croniche complesse, 18% dei bambini negli USA (37% con patologia neuromuscolare), assorbono l'80% della spesa sanitaria pediatrica (*Pediatrics* 2010; 126:647). Per migliorare le cure e ridurre i ricoveri in rianimazione le scuole di pediatria debbono preparare i futuri pediatri a prendersene cura con percorsi di formazione dedicati (*J Pediatr* 2010;156:1006). Se la pediatria non svolge bene questo compito saranno le Rianimazioni ad assisterli.
- L'enterale va ben gestita, altrimenti può dare seri problemi (*Pediatrics* 1997;99: 358). Bisogna controllare il ristagno e usare gli schemi corretti per la velocità di somministrazione per prevenire le aspirazioni "dal basso".
- In tutti i bambini operati per reflusso andrebbero ricercate tra le cause di dolore la "Dumping" e il disturbo glicemico presente in 1 su 4 anche dopo anni dall'intervento (*J Pediatr* 2011;159:597 - *JPGN* 1996;23:235).
- Sarebbe utile controllare su una vasta popolazione l'efficacia del gabapentin per il dolore del bambino cerebropatico (*Pediatrics* 2007;119:e519-e522. Solo 9 casi).
- Ci sono esperienze sui cerotti con buprenorfina o analoghi per il trattamento del dolore nei bambini con cerebropatia?

La migrazione Sud-Nord dei bambini con cerebropatia è in aumento. In Puglia stiamo tentando di far qualcosa per arginarla, con incontri dedicati alla formazione del

personale e degli specializzandi in pediatria e con un progetto regionale elaborato dal dott. Francavilla della Clinica Pediatrica di Bari e dal dott. Antonio Trabacca dell'IRCCS "E. Medea - La nostra famiglia" di Brindisi, in collaborazione con il sottoscritto. Il focus di questo progetto è la formazione di operatori esperti e uno degli obiettivi il trattamento del dolore e la prevenzione delle fratture nei bambini cerebropatici.

Antonino Tedeschi, Consulente Pediatrico dell'Istituto di Riabilitazione "Tripepi - Mariotti" di Reggio Calabria

PS. Anna e Giovanna non sono i nomi veri delle bambine. Giorgia, Domenica, Caterina e Claudio, con i cui genitori ho un rapporto di lunga durata, sì.

Il dott. Antonino Tedeschi è un grande esperto dei problemi che riguardano la disabilità. È stato tra i primi in Italia ad affrontare il problema dell'alimentazione del bambino e adolescente cerebropatico (Medico e Bambino 1996;15:15-27; 2000;19: 289-90; 2001;20:153-66) e ha fatto cultura su questa problematica spesso dimenticata o per meglio dire non affrontata con la professionalità necessaria.

La sua lettera riporta due aspetti di rilievo. Il primo riguarda la rete dei servizi che si occupa in Italia dei pazienti con grave disabilità. Una rete spesso assente o non sempre in grado di affrontare (in ospedale e sul territorio) le tante problematiche che sono spesso presenti nella gestione: quella nutrizionale appunto, quella del dolore (Medico e Bambino 2012;31:307-13), quella ortopedica (in particolare della scoliosi), quella respiratoria che a volte richiede un tempestivo programma di fisioterapia che prevede l'utilizzo della Pep Mask e la stessa ventilazione non invasiva. È esperienza comune e documentata a livello scientifico che la qualità degli interventi che vengono attuati migliora la qualità di vita dei pazienti e delle famiglie, riduce le ospedalizzazioni, aumenta la sopravvivenza. Senza un lavoro di équipe multidisciplinare (medico, infermieristico, fisioterapico oltre che di qualificata assistenza territoriale) non si è in grado di rispondere in modo adeguato ai tanti bisogni dei pazienti con queste specifiche problematiche, spesso non conosciute o sottovalutate. Il modello potrebbe essere uguale a quello di qualsiasi malattia cronica, ma non è esattamente così, proprio per la complessità e la diversità dei problemi che bisogna affrontare e per i necessari percorsi di formazione e organizzativi che vanno previsti e messi in campo. Si tratta di un problema di cultura e appunto di formazione che spesso non si studia sui trattati di pediatria. Senza dimenticare che i progressi che ci sono stati in questi anni su alcuni dei

problemi dei bambini con disabilità, a cui fa riferimento nella sua lettera il dott. Tedeschi, sono stati di rilievo.

Il secondo aspetto (che si ricollega al primo) riguarda il fatto che questo modello ideale di assistenza trova tuttora importanti differenze nelle risposte che vengono date nelle Regioni italiane, in particolare tra il Sud e il Nord. Sul numero di settembre di Medico e Bambino è stata pubblicata una importante ricerca sulla migrazione sanitaria pediatrica in Calabria (pag. 463). I dati numerici del fenomeno migratorio sembrano essere più contenuti rispetto a quelli di 15 anni fa (ricerca fatta dall'Associazione Culturale Pediatri), ma il problema è tuttora rilevante (anche e soprattutto per la patologia neurologica). Come dicono gli stessi Autori, la problematica andrebbe affrontata (di nuovo affrontata, mi permetto di dire) progettando modelli assistenziali specifici per specifiche patologie/condizioni cliniche, attraverso percorsi di formazione, collaborazione, con una visione necessariamente multidisciplinare. I tagli previsti alla Sanità non favoriscono in questo momento questa "nuova scommessa" (troppo antica per essere ancora credibile se non viene affrontata con piani di lavoro che vedono i professionisti in primis seriamente coinvolti). Tuttavia è forse proprio e prioritariamente su questo che una nuova programmazione di spesa dovrebbe investire: tagliando anche in pediatria l'inutile e investendo su quello che il dott. Tedeschi, nella sua narrazione di storie, ci dice che è assolutamente prioritario da affrontare e non più rimandabile.

Federico Marchetti

Errori in corsia: ovvero "chi cerca trova"

Nel commento della lettera pubblicata sul numero di aprile di *Medico e Bambino* (pag. 216) dal titolo "Errori in corsia nella somministrazione dei farmaci" il prof. Panizon si dimostra dubbioso sul fatto che gli errori avvengano frequentemente e chiude dicendo che "qualche lettore ci potrà dare esperienze diverse e magari numeri osservati".

Noi ci stiamo occupando da qualche tempo di errori in Neonatologia e vorremmo condividere la nostra breve esperienza con i lettori. La letteratura scientifica racconta che più è complessa la malattia e più a lungo i pazienti stanno in ospedale, maggiore è la possibilità che si verifichi un errore (*N Engl J Med* 1991;324:370) e questo è dimostrato anche in Neonatologia (*Clin Perinatol* 1989;16:255; *Sem Fet Neonat Med* 2005;10:31) con una frequenza di errore che varia dall'1,5% al 3% (*Ped Crit Ca-*

re Med 2004;5:119; Arch Dis Child Fet Neonat 2007;92:F391). Abbiamo quindi organizzato uno studio prospettico preliminare di 2 mesi (per mantenere alta l'attenzione dei segnalatori), anonimo (per aumentare al massimo la sensibilità di segnalazione) che ha coinvolto una TIN e 2 terapie sub-intensive che hanno tra loro un rapporto tipo *hub-spoke* con un bacino di circa 5000 nati/anno. La rilevazione non si è limitata agli errori relativi alla terapia farmacologica ma ha interessato anche errori legati a fattori umani (come disattenzione, fatica, inadeguato training ecc.) e organizzativi (come mancanza di protocolli, problemi di comunicazione ecc.).

Sono stati monitorati 166 pazienti per un totale di 2398 giorni di degenza; gli errori segnalati sono stati 72 con una incidenza di 66/1000 giorni di degenza in TIN e di 24/1000 giorni di degenza in sub-intensiva, con una correlazione lineare tra la durata della degenza e il numero di errori. Gli errori che non hanno provocato eventi avversi sul paziente sono stati 33 (46%); gli errori che hanno provocato un danno potenziale sono stati 29 (40%); gli errori che hanno determinato un danno sono stati 10 (14%) di cui gravi 4 (3 in TIN e 1 in sub-intensiva); 11 errori su 72 hanno interessato farmaci (indicazione, prescrizione, trascrizione, somministrazione, diluizione). L'analisi della causa ha permesso di stabilire che principalmente è stato il fattore umano ad essere la causa scatenante e soprattutto la distrazione, molto meno la fatica e lo stress. Meno in causa sono risultati i fattori di tipo pratico; tra questi il più segnalato è stata l'insufficiente comunicazione/comprendimento tra operatori.

In base a questa analisi molte azioni sono state intraprese e in un prossimo futuro ripeteremo la sorveglianza per valutare la efficacia degli interventi.

Andrea Guala, Raffaella Visentin
SOC Pediatria, Ospedale Castelli, Verbania
Giorgio Stival, Sara Zanetta
SOC Pediatria, Ospedale SS Trinità
Borgomanero
Simona De Franco, Federica Ferrero
TIN, Ospedale Maggiore, Novara

L'esperienza che viene riportata affronta un argomento delicato, in parte noto (in realtà più nella letteratura dell'adulto che in quella del bambino), che riguarda in modo particolare i reparti di terapia intensiva. Ha un particolare significato in quanto, oltre a dare una stima puntuale degli errori e dei possibili eventi avversi che ne possono derivare, ne riporta le possibili cause e le motivazioni. Crediamo anche noi, seguendo il vostro esempio, che la documentazione di quanto accade nelle singole realtà assistenziali (a volte faticosa) sia uno dei metodi

più utili per essere consapevoli dell'entità dei possibili errori nella somministrazione dei farmaci e di conseguenza per mettere in opera una serie di utili provvedimenti per cercare di evitarli. Teneteci informati.

Medico e Bambino

La ricerca in fibrosi cistica e i fabbisogni dei pazienti: alcune riflessioni critiche

Ho letto con molto interesse l'Editoriale scritto da Giuseppe Vieni: "La ricerca scientifica è veramente orientata ai fabbisogni dei pazienti? Il caso della fibrosi cistica (*Medico e Bambino* 2012;31:347-9). Mi è sembrato che, volendo proporre una similitudine fra quanto accade per la ricerca in campo oncologico e la ricerca per la fibrosi cistica, si sia fornita una visione dell'argomento che, per lo meno per quanto riguarda il panorama italiano, merita di essere integrata con alcune informazioni, a mio avviso importanti. Credo di avere la possibilità di una visione diretta della ricerca nell'ambito della Fibrosi Cistica (FC) italiana, per lo meno quella che gravita intorno a un ente come la Fondazione per la Ricerca FC (FFC: www.fibrosicistica-ricerca.it) e che è peraltro fortemente inserita nella più generale ricerca FC internazionale, che immagino sia quella cui fa riferimento l'editoriale di Vieni.

Possiamo dire che vent'anni fa la ricerca FC in Italia non esisteva quasi; e la maggior parte di tutto quello che aveva il sapore della ricerca veniva fatto all'estero. Un po' alla volta invece la malattia FC è diventata per i ricercatori italiani un tema interessante, e ha attratto uomini e mezzi. Non è nata come ricerca con imprinting "accademico" (anche per questo il paragone con l'articolo di Liberati è un po' forzato), sia perché i centri di cura e di ricerca non erano allocati solo nelle università; sia perché la Fondazione Ricerca FC, organizzazione che si basa esclusivamente sui fondi raccolti attraverso donazioni e non ha nessun contributo statale, si proponeva e si propone come ente finanziatore indipendente, dotato di un budget di limitate dimensioni, da amministrare oculatamente: la FC (la più diffusa delle malattie genetiche gravi) è una realtà comunque "rara" rispetto ai tumori e suscita nella società minor interesse e di gran lunga minor supporto (anche finanziario).

In questo contesto l'operato di FFC è consistito (e consiste tuttora) nel proporre un metodo di valutazione e selezione dei progetti secondo *peer reviewers*, che è il metodo adottato internazionalmente a ragionevole garanzia della qualità dei progetti; certo non esente da difetti, ma finora l'u-

nico verificabile e riproducibile. Potendo contare su un maggior sostegno economico, in quindici anni i ricercatori italiani hanno prodotto molto nel campo del "difetto di base" (il gene e i suoi meccanismi di funzionamento), e in campo microbiologico e infiammatorio (www.fibrosicistica-ricerca.it, sezione Ricerca e Formazione, Risultati e Pubblicazioni). Più modesta la produzione nel campo della ricerca clinica ed epidemiologica, per ragioni che a mio parere hanno molto a che fare con la difficoltà dei clinici di fare assistenza e ricerca insieme (quando le risorse non coprono nemmeno i bisogni della sola assistenza), con la mancanza di uno strumento indispensabile (il registro malattia) e con il prevalere di una certa logica individualistica e campanilistica, tipicamente italiana; gli interessi personali e di carriera (evocati dall'Editoriale) non mi sembrano aver giocato in questo problema una parte importante.

A mia conoscenza, in Italia, è stato realizzato un solo trial di fase IV, non sono stati avviati trial di fase III, ma nemmeno trial di fase I e II; e per questi ultimi la spiegazione è che per arrivare alla sperimentazione clinica, anche di fase I e II, bisogna avere in mano molecole candidate a diventare farmaci, che abbiano superato la fase preclinica (studi su modelli cellulari e animali). I progetti di ricerca finanziati da FFC hanno identificato molecole candidate che hanno superato o stanno superando la fase preclinica e debbono essere traghettate (il famoso ponte di difficile costruzione!) alla fase clinica, passaggio che richiede risorse elevatissime. Per cercare queste risorse siamo andati a interpellare le industrie farmaceutiche, le quali hanno fatto, almeno a parole, dichiarazione d'interesse, proprio perché cominciano a capire che è meglio avere l'esclusiva della produzione di un farmaco innovativo e potenzialmente "indispensabile", piuttosto che cimentarsi nella competizione di mercato con un prodotto analogo ad altri. Atteggiamento quindi, speriamo, diverso da quello descritto dall'Editoriale, almeno in prospettiva. Abbiamo fiducia che questo porti a un'importante svolta "traslazionale" della ricerca, con un percorso del tutto analogo a quello compiuto da Telethon nell'evoluzione delle caratteristiche di alcuni suoi progetti, passati dalla ricerca di base alla ricerca traslazionale. E confidiamo di avere maggiori elementi in mano, adesso, per identificare criteri di priorità per orientare gli investimenti, cosa che prima era più difficile fare.

Certamente i malati dicono: ma che cosa hanno cambiato queste ricerche nella nostra vita quotidiana? Che cosa hanno prodotto ai fini della possibilità di guarire dalla FC? E questo è il commento nei confronti della ricerca italiana come di quella internazionale. E anche quando la ricerca

dà risultati importanti, come di recente con il Kalydeco (il primo farmaco capace di intervenire su particolari mutazioni genetiche), non arriva mai abbastanza in fretta e non dà risultati sufficientemente "personali" (ogni malato ha il "suo problema", per il quale la ricerca non fa abbastanza, perché la malattia è dovuta a un gene con numerosissime mutazioni e comporta quadri clinici di diversa gravità ed evoluzione). Certamente i malati hanno diritto a far valere la loro voce: ma non dovremmo incoraggiare una sorta di atteggiamento "rivendicativo", non mi sembrerebbe utile. Chiediamoci piuttosto se molta della loro insoddisfazione non sia anche determinata da un bisogno di conoscenza che non abbiamo il tempo di colmare (luci ed ombre della ricerca: vedi l'esempio della terapia genica, vedi l'esempio del denofusol o del glutatione); da una nostra incapacità a trasmettere informazioni scientifiche con linguaggio comprensibile; da uno scarso sostegno all'aculturamento (che cosa sanno i malati delle modalità con cui i ricercatori rendono noti i loro risultati? delle fasi della ricerca? dei suoi tempi irrinunciabili: almeno dieci anni per un nuovo antibiotico! e dopo innumerevoli ricerche apparentemente senza un chiaro senso in campo microbiologico!); operazioni tutte o quasi tutte indispensabili perché possano dare reali contributi critici.

Le associazioni dei malati, dice l'Editoriale, dovrebbero dotarsi di "personale abile a svolgere compiti essenziali in quest'ottica, consulenze in grado di comprendere le priorità della ricerca e definire le direzioni su cui muoversi". Mi chiedo se applicare il principio della "delega ai consulenti" sia la soluzione ottimale. È un percorso articolato che andrebbe intrapreso, i pazienti non possono farlo da soli, ma se lo delegano, finisce anche presto. Il ruolo dei sanitari è concorrere a costruirlo, individuando tappe e modi che diano loro consapevolezza e indipendenza, a partire da piccoli passi concreti (ad esempio, i rappresentanti dei pazienti che caratteristiche debbono avere? Come interagiscono con gli altri enti? Che obiettivi si danno?).

Non possiamo negare che la ricerca in campo FC in Italia soffra di ostacoli culturali (dovremmo superare la logica del campanile e dell'autoreferenzialità), organizzativi (andrebbe cercata una maggior integrazione delle competenze), economici (sarebbe fondamentale utilizzare al massimo le poche risorse evitando iniziative frammentate e sovrapposte). Proprio per queste difficoltà, sarei molto cauta nell'introdurre in questa realtà, che sta cercando faticosamente le vie che portano all'aggregazione, un nuovo elemento rappresentato dal fatto che la ricerca non risponderebbe ai "fabbisogni reali" (?) dei pazienti e che questo dipenderebbe dagli interessi devianti

dei ricercatori o promotori di ricerca. Le riflessioni contenute nell'Editoriale sono rivolte ai "tecnici", ma arriveranno certamente ai malati FC: e in questa prospettiva trovo un po' rischioso alimentare quello che, a mio parere, è più un mito che una valutazione basata su elementi di realtà. Cercando "i colpevoli" (che sarebbero i ricercatori cattivi), si rischia di cadere nel demagogico. In realtà il problema è complesso, conviene semplificarlo in questo modo? Anche nell'interesse dei malati, mi sembrerebbe più opportuno aprire un dibattito, diffondere i messaggi che possono unire, piuttosto che quelli che possono dividere.

Graziella Borgo
Vicedirettore scientifico Fondazione Ricerca
Fibrosi Cistica, Responsabile Comunicazione
Scientifica Fondazione Fibrosi Cistica

Le riflessioni di Giuseppe Vieni sui fattori che influenzano la ricerca in campo biomedico sono state bene integrate dalla lettera di Graziella Borgo per quel che concerne la Fibrosi Cistica (FC). Come Borgo fa notare, il contesto in cui si sviluppa la ricerca nella FC in Italia esula da quello accademico e la Fondazione per la Ricerca in FC (FFC) - che si basa esclusivamente su fondi raccolti attraverso donazioni, non ha nessun contributo statale e si propone come ente finanziario indipendente - ha sviluppato essenzialmente progetti nel campo della ricerca di base. La FFC mediante i progetti di ricerca finanziati ha identificato molecole candidate per nuovi trattamenti e - aspetto nuovo e promettente per accorciare i tempi della ricerca - è andata a interpellare le industrie farmaceutiche facendo capire che è meglio avere l'esclusiva della produzione di un farmaco innovativo e potenzialmente "indispensabile", piuttosto che cimentarsi nella competizione di mercato con un prodotto analogo ad altri. La recente intesa tra la FFC e la Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC) mirata a non disperdere energie alla ricerca e nell'utilizzo delle risorse indica una sinergia che vede fianco a fianco chi la ricerca la fa e la promuove e le associazioni delle persone con FC che devono usufruirne. Quanto sta accadendo in Italia per la FC, reso possibile da queste sinergie e dall'obbligo di amministrare oculatamente un budget di limitate dimensioni, è realmente diverso dallo scenario paventato da Vieni per la ricerca in generale e nel campo della FC. Tutto questo, però, si applica solo alla ricerca di base e non può negare quanto Vieni denuncia circa l'immissione in commercio di farmaci costosi, a prescindere dal fatto che questi aggiungano qualcosa a quelli esistenti in termini di potenzialità terapeutiche e non rappresenta quanto auspicato da Liberati circa la necessità di eseguire ricerche che mirino a verificare la pari efficacia di far-

maci meno costosi di altri presenti in commercio o di valutare meglio l'efficacia e la sicurezza di questi ultimi con studi post-marketing. Il disorientamento nella scelta dei farmaci che servono veramente nella pratica e possono cambiare gli esiti (percepiti) delle persone con FC deriva dalla montagna di letteratura scientifica sulla quale basare le scelte terapeutiche. La ricerca degli outcome centrati sul paziente (Patient-Centered Outcomes Research, PCOR) e la ricerca comparativa di quel che veramente è efficace (Comparative Effectiveness Research) promettono di aumentare l'abilità di chi deve prendere delle decisioni facendo comprendere in pieno e soppesare le alternative terapeutiche, come sottolineato nell'Editoriale del NEJM del 30 agosto 2012 (Getting the Methods Right - The Foundation of Patient-Centered Outcomes Research). A questo scopo, la commissione di metodologia del neocostituito Patient-Centered Outcomes Research Institute (PCORI) ha reso pubblico il suo primo rapporto (<http://www.pcori.org/survey/methodology-report>) con un manuale applicativo da sperimentare e ulteriormente migliorare.

Vieni dice che potrebbe essere necessario e utile per le associazioni dotarsi di personale abile a svolgere consulenze in grado di comprendere le priorità della ricerca e di definire le direzioni su cui muoversi. Borgo afferma che certamente i malati hanno diritto a far valere la loro voce, ma si preoccupa di non incoraggiare una sorta di atteggiamento "rivendicativo". In realtà l'iniziativa del PCOR mette fianco a fianco gli operatori e i pazienti a condizione che adottino metodi che non possono essere improvvisati. Senza una guida sistematica per l'uso appropriato ed efficiente di questi metodi, la loro rapida crescita e complessità aggiungeranno solo ulteriore confusione.

Come ben sintetizza l'ultima frase dell'Editoriale del NEJM "se la ricerca medica deve mantenere la promessa di migliorare la salute quel che conta è il metodo".

La Società Italiana per lo studio della Fibrosi Cistica (SIFC) ha completato un corso modulare di un anno rivolto a varie figure professionali che la compongono per insegnare come concepire e sviluppare trial di ricerca clinica e consentire loro di dedicarsi prevalentemente alla ricerca clinica. Le persone formate potranno da una parte applicare la PCOR, realizzando quanto auspicato da Vieni, e dall'altra colmare il gap di iniziative di ricerca clinica denunciato dalla Borgo. Esse rappresentano un patrimonio per la comunità scientifica FC italiana che dovrebbe essere salvaguardato e potenziato dalle sinergie sviluppate da FFC e LIFC, completate dal ruolo della SIFC.

Giuseppe Magazzù
Società Italiana per lo studio della FC