

CONDIVIDERE LE CURE AL MALATO DI FIBROSI CISTICA: UNA SFIDA PER IL MEDICO DI FAMIGLIA E PER I CENTRI

Chi, come il sottoscritto, si è ingaggiato nella lunga scommessa per contribuire a cambiare il destino dei malati di fibrosi cistica (FC), si accorge di aver molto teorizzato sul ruolo del medico di casa nell'assistenza a essi, realizzando peraltro che a tutt'oggi poca strada si è fatta su questo versante. Le ragioni sono molteplici e vale la pena esaminarne alcune. Nella storia di questa malattia un fatto sembra ormai certo; che le prospettive di vita per il paziente sono cambiate mano a mano che si sono organizzati Centri specializzati di diagnosi e cura. Il percorso fatto in Italia ne è forte testimonianza. Nell'ambito dei Centri ospedalieri tre cardini si sono imposti:

1. la diagnosi precoce, facilitata da alcuni anni dallo screening neonatale di massa;
2. il follow-up puntuale e sistematico del malato;
3. l'ottimizzazione degli interventi terapeutici via via proposti.

Ma bisogna anche dire che da parecchi anni ormai non vediamo sostanziali innovazioni terapeutiche, se si esclude il trapianto polmonare pur con tutti i suoi limiti, per cui è soprattutto sui due primi aspetti che si basano presumibilmente i benefici, sia in termini di qualità che di durata di vita, cui stiamo progressivamente assistendo.

FC: Centri famiglia e PdF

Allo stesso tempo assistiamo oggi al profilarsi di alcune limitazioni dei Centri, che pur sono stati gli autori principali del cambiamento. Nati e cresciuti in ambito pediatrico, gestiti da pediatri cresciuti con i loro malati, molti dei Centri si sono trovati impreparati ad affrontare le situazioni di malati che in numero sempre maggiore diventavano adolescenti e adulti (Dobbin CJ, Bye PT. Adult with cystic fibrosis: meeting the challenge. *Intern Med J* 2003;33:593-7). E la creazione di alcuni Centri per adulti non sempre ha risposto al bisogno di continuità e di modalità assistenziale quale era stata a lungo sperimentata e maturata in ambito pediatrico. Ma soprattutto si è visto che i Centri, spesso oberati di malati da assistere, talora impegnati a livello ospedaliero anche in altri ambienti di assistenza, nella maggior parte dei casi con scarsissimo ricambio di operatori, non riescono a coprire tutto l'arco assistenziale che la malattia comporta nella vita di tutti i giorni. Giustamente si è affidato ai genitori e al paziente stesso il compito di gestire le cure a casa e di monitorare i segni e i sintomi di possibili subdoli aggravamenti. I Centri in genere hanno molto investito nell'addestramento di genitori e malati al "self management". Tuttavia, il farsi carico di questo impegno può essere talora assai pesante, specie quando la malattia comincia a farsi seria o quando intervengono lo scoramento e la paura di non farcela. Basti pensare alla gestione a casa propria di cicli di terapia endovenosa o di particolari trattamenti nutrizionali. Si tende a ricorrere all'ospedalizzazione per tali trattamenti, quando questi potrebbero avere a domicilio la stessa efficacia se adeguatamente supportati. Basti pensare alla difficoltà di un'aderenza costante

alle cure, talora assai complesse e pesanti, da combinare comunque con i normali impegni della scuola, del lavoro, delle relazioni sociali. Proviamo anche a pensare al bisogno di consiglio e di supporto per il paziente in insufficienza respiratoria cui viene proposto il trapianto polmonare: un drammatico evento in cui il paziente e la famiglia spesso si trovano soli. Non dimentichiamo poi il grave cimento delle scelte riproduttive per le coppie che hanno già avuto un figlio malato. Ma c'è anche un ruolo assai specifico e assai precoce del pediatra di casa: che si faccia o non si faccia lo screening neonatale, è a lui soprattutto che spetta di sospettare la malattia di fronte alla molteplicità di sintomi con cui essa può presentarsi, di cui un panorama viene offerto in questo numero di *Medico e Bambino*, a pag. 156, nell'articolo di Magazzù e collaboratori. Da non dimenticare le difficoltà della famiglia, specie all'inizio, nell'accettare la malattia e nell'adeguare la propria vita alla nuova realtà.

Ecco profilarsi dunque un ruolo peculiare del medico di famiglia, pediatra o generalista: quello di assicurare una presenza attenta, competente e mirata a quel particolare caso e a quella famiglia, laddove il Centro specialistico non può che limitatamente arrivare. Ma qui si gioca da un lato l'attitudine del medico di famiglia a farsi carico di situazioni assistenziali mediamente impegnative (che implicano anche l'acquisizione di nuove conoscenze e di nuove competenze); dall'altro la capacità dei Centri ospedalieri di proporsi come supporto al medico di casa, in una strategia assistenziale insieme concordata. Quante volte abbiamo teorizzato (e sognato) un tale approccio integrato! Possiamo dire che la cosa ha funzionato solo in pochi casi e solo quando la famiglia ha incontrato uno speciale medico di fiducia che aveva una personale capacità di rapportarsi con i bisogni di quella famiglia e con le limitate disponibilità dei Centri...

È sempre stata mia personale convinzione che o i Centri investono e inventano nel cercare alleanze fuori dai Centri o queste non nasceranno mai.

Cercare alleanze significa non solo allargare il target dell'informazione, come già in parte si sta facendo, ma significa soprattutto cercare con la famiglia il medico disponibile a farsi carico; trasmettere a quel medico nuove conoscenze, motivandolo all'impegno e rassicurandolo; discutere e condividere con lui un piano di cura, definendo per il singolo caso i reciproci ruoli, concordando modalità comunicative e anche visite insieme presso il Centro.

La realtà mediamente rappresentata nel nostro Paese denuncia un disinvestimento in questo ambito. Da un lato i Centri tendono fortemente a "centralizzare" il malato, non raramente in uno spirito poco critico di autosufficienza, dall'altro il medico di famiglia avverte come troppo defaticante il farsi carico del malato cronico, quando vi sono i Centri fatti apposta per questo, e si sente comunque impreparato e inadeguato, e preferisce quindi delegare ai Centri stessi la totale responsabilità assistenziale. Oltretutto il paziente e la famiglia non si sentono di poter far conto su un medico che "non ne sa niente di fibrosi cistica". Qui sta l'impatto: come recuperare la fiducia del paziente nel suo medico attraverso l'alleanza con il Centro. C'è quindi ampio spazio non tanto per

Editoriali

“decentrare le cure” quanto per concepirle in una strategia nuova, in cui i medici di famiglia, ma al bisogno anche altri operatori del territorio (infermieri, fisioterapisti ecc.), concorrono con i Centri, con il paziente e la famiglia a un progetto di cura, concordato e circostanziato. Vorrà la nuova generazione di “fibrocistologi” proporre e promuovere questo cambio di visione?

La ricerca FC nell’aspettativa e nell’immaginario dei malati
Sta circolando nel mondo cosiddetto “laico” della fibrosi cistica in Italia una specie di garbato ma perentorio messaggio: sosteniamo quella ricerca che produce risultati utili per il malato. Il messaggio traduce forse un certo livello di sfiducia dei malati e delle famiglie nella ricerca finalizzata a cure innovative, ma potrebbe anche significare la scarsa attitudine del mondo scientifico a comunicare al di fuori del recinto degli addetti ai lavori il senso della loro fatica. La bella selezione di temi di ricerca terapia-orientata, prevalentemente di base, fatta in questo numero di *Medico e Bambino*, a pag. 168 e seguenti, da Conese e collaboratori, dà solo una piccola idea dell’enorme investimento che i ricercatori hanno fatto in questo campo negli ultimi 15 anni, dopo la scoperta del gene CFTR, per giungere a possibili cure del difetto di base della malattia.

Dal punto di vista del malato, che ti chiede “cosa c’è di nuovo (per me)”, questo lungo e faticoso percorso può essere visto come deludente. E qualche persona malata lo dice anche, o lo pensa, quando cerchi di spiegarle gli intricati sviluppi di qualche filone di ricerca o i risultati interessanti di uno studio che ha creato le premesse per studi ulteriori. Io credo che occorra recuperare nel malato e in chi gli sta intorno una nuova fiducia nella scienza biomedica, da cui dipende veramente il futuro dell’innovazione terapeutica per questa e altre malattie. Ma c’è bisogno per questo di individuare modalità nuove di “socializzazione” delle conoscenze scientifiche, che passino anche attraverso una ricerca del linguaggio adatto, per trasmettere i contenuti adatti, con la convinzione che questo è un servizio indispensabile alla comunità dei malati. Questo è anche il criterio imprescindibile per sviluppare ricerche translazionali per nuovi trattamenti che richiedono la collaborazione di molte persone malate (Brennan AL, Geddes DM. Bringing new treatments to the bedside in cystic fibrosis. *Pediatr Pulmonol* 2004;37:87-98). È frequente che il malato e i suoi genitori passino dal vivere la ricerca come mito salvifico, evocata in questa accezione spesso dal medico stesso per alimentare la speranza, allo scoramento, per cui la scienza viene vissuta come troppo lontana dai loro reali bisogni. Il comporre questo gap di posizionamento rientra nei compiti dell’assistenza, cui i ricercatori non dovrebbero sentirsi estranei. Se le tappe del percorso della ricerca non sono abbastanza condivise e non costituiscono il bagaglio comune per vincere la sfida del domani, il rischio è che la ricerca proceda disancorata dai problemi del malato.

Gianni Mastella
Direttore Scientifico della Fondazione
per la Ricerca sulla Fibrosi Cistica

LA FITOTERAPIA TRA LARGO CONSUMO E RICERCA DELLE EVIDENZE

È largamente diffusa l’idea che tutto quello che è naturale sia innocuo. A volte questo pensiero comune spinge molte persone a “scegliere” come terapia i rimedi di origine vegetale per la cura di svariati disturbi. Di questo ne è riprova il fatto che nel 2003 il mercato europeo ha registrato vendite di prodotti fitoterapici pari a 5 milioni di dollari. L’Italia si colloca, dopo la Germania e la Francia, al terzo posto dei consumi¹.

Su questo numero di *Medico e Bambino*, a pag. 174, Vitalia Murgia riporta una revisione delle problematiche che stanno dietro al possibile uso delle erbe medicinali. I punti rilevanti che vengono sottolineati sono i seguenti:

1. La fitoterapia è una disciplina che ha basi molto diverse da quelle della medicina omeopatica (per preparazione, proprietà farmacologiche e tossicologiche).
2. I prodotti fitoterapici sono sostanze biologicamente attive che presentano una specifica attività farmaco-tossicologica.
3. Possono pertanto interagire con i farmaci di sintesi, modificando gli effetti terapeutici previsti.
4. Possono non avere una adeguata preparazione e determinare effetti collaterali che derivano da una cattiva qualità del prodotto, da un uso scorretto e da possibili interazioni farmacologiche.

Alla luce di questi aspetti viene sottolineata l’opportunità di una regolamentazione sulle preparazioni e sulla sorveglianza e utilizzo dei prodotti fitoterapici. La recente Direttiva 2004/24 della Comunità Europea, che è stata fatta propria dal Ministero della Salute, Agenzia Italiana sul Farmaco (AIFA)², risponde a questo bisogno, in quanto è finalizzata a uniformare la legislazione relativa ai prodotti medicinali vegetali di uso consolidato e ad assicurare un adeguato livello di tutela della salute pubblica per mezzo dell’introduzione di norme adatte a garantire sicurezza e qualità di queste particolari medicine. Crediamo che questa sia la strada giusta per rendere i medici e i consumatori più informati e consapevoli in merito all’eventuale utilizzo dei prodotti fitoterapici. Al momento tuttavia le conoscenze in merito al rapporto tra i rischi e i benefici e l’appropriatezza di uso dei prodotti fitoterapici sono limitate. Se da una lato è vero che le sperimentazioni cliniche che riguardano le erbe medicinali sono sempre più numerose, dall’altro ci rendiamo conto che le evidenze cliniche prodotte sono ancora scarse. Se si guardano ad esempio le revisioni sistematiche della *Cochrane* o gli studi clinici randomizzati e controllati pubblicati, alla ricerca di malattie curabili con le erbe, i risultati sono spesso negativi o non conclusivi. Entrando più specificamente nell’articolo di Vitalia Murgia, i risultati sull’azione terapeutica e le prove di efficacia dei prodotti fitoterapici riportati nella *Tabella 1* appaiono (quantomeno in ambito pediatrico) spesso controversi o insufficientemente provati e, nell’insieme, poco trasferibili nella pratica per la cura di alcuni dei problemi pediatrici indicati (ad esempio obesità, prevenzione IRR, insonnia).

Si potrebbe dire che la sperimentazione clinica costituisce un’area ancora poco sviluppata nell’ambito delle erbe medicinali^{3,4}, a fronte di un numero sempre maggiore di segnala-

zioni di eventi avversi e di una pratica di automedicazione ancora molto diffusa, che richiede una dovuta sorveglianza⁵. Crediamo che per uscire da un contesto ambiguo sia necessario, (anche) in ambito pediatrico, rispettare quelle che sono le regole che dovrebbero spingere i medici a occuparsi del problema, non solo per un dovere deontologico o di curiosità: avere delle chiare evidenze che le erbe medicinali (e più ancora le loro diverse preparazioni commerciali) rispondano, in un bilancio favorevole tra rischi e benefici, a specifici problemi dei bambini, meglio o al pari di quelli che sono i rimedi conosciuti e attesi dei farmaci di sintesi.

Federico Marchetti

Bibliografia

1. Menniti-Ippolito F, Gargiulo L, Bologna E, Forcella E, Raschetti R. Use of conventional medicine in Italy: a nation-wide survey. *Eur J Clin Pharmacol* 2002;58-61-4.
2. Ministero della Salute, Agenzia Italiana del farmaco (a cura di). *Farmacovigilanza news* 2005; 12/13 (www.agenziafarmaco.it/documenti/farmacovigilanza12_13_2005.pdf).
3. AIFA. Il corretto uso delle erbe medicinali. *Bollettino d'informazione sui farmaci* 2005;Anno XII (n4):183.
4. Dobrilla G, Corazzi G. *Fitoterapia. Erbe medicinali tra evidenze scientifiche ed effetti indesiderati*. Roma: Il Pensiero Scientifico Editore, 2005.
5. Woolf AD. Herbal remedies and children: do they work? Are they harmful? *Pediatrics* 2003;112(1Pt2):240-6.

Il Congresso Nazionale

PREVENIRE E CURARE IL DOLORE NEL BAMBINO

Dalla teoria alla pratica

Trieste 8-9 settembre 2006

Segreteria Scientifica

dott. Egidio Barbi - ebarbi@libero.it
dott. Federico Marchetti - marchetti@burlo.trieste.it

Segreteria Organizzativa

EKIPEVENTI sc - P.O. Box 830 - Trieste
tel/fax 040 4260183 - m. ph. 347 1252693 - 333 9434440
e-mail: dolore2006@ekipeventi.it - carla@ekipeventi.it
<http://www.ekipeventi.it>

P