



COMUNICATO

SITE (Società Italiana Talassemia ed Emoglobinopatie) ed UNITED (Federazione Italiana delle Associazioni per la talassemia la drepanocitosi e le anemie rare) rilasciano questo comunicato congiunto in riferimento ai trials clinici di terapia genica per la cura della talassemia e della drepanocitosi attualmente in corso in Italia, in Francia e negli Stati Uniti.

Avuto ampio sentore che l'attenzione dei pazienti viene continuamente veicolata su questo argomento dalla diffusione, attraverso vari canali, di informazioni riguardanti risultati dei citati studi che farebbero presagire la rapida disponibilità di questa terapia, SITE ed UNITED ritengono doveroso precisare quanto segue:

- a) La diffusione di informazioni riguardante risultati preliminari di trials clinici in corso rappresenta una grave violazione della normativa che ne regola l'esecuzione proprio a tutela dei pazienti. I risultati dei trials devono essere validati dalle autorità regolatorie e la loro diffusione deve avvenire tramite pubblicazioni sulla letteratura scientifica.
- b) il processo di selezione dei pazienti deve essere svolto dai Centri di cura delle patologie di riferimento in quanto detentori dell'expertise necessario per individuare i migliori candidati non solo sotto il profilo clinico ma anche sotto l'aspetto motivazionale e nel rispetto della metodologia indicata dall' autorità regolatoria.

SITE ed UNITED intendono attraverso questo comunicato rivolgersi, ciascuno per la propria competenza, al contesto italiano dei Centri di cura ed alle Associazioni dei pazienti per ribadire la grande attenzione agli sviluppi di questo importantissimo filone della ricerca impegnandosi a garantire una rapida, puntuale ed appropriata comunicazione sia ai pazienti che alla comunità scientifica, nel momento in cui saranno disponibili dati validati scientificamente derivati dai trials in corso.

SITE ed UNITED sottolineano ancora che il mantenimento di eccellenti condizioni di salute tramite una adeguata compliance alle terapie è per i pazienti un passaggio fondamentale per evitare, o limitare, l'insorgere di complicanze e mantenere condizioni idonee per affrontare il percorso di terapia genica qualora, completati gli studi clinici e rese disponibili le evidenze scientifiche degli stessi, si rendesse disponibile l'accesso a questa terapia innovativa per la guarigione delle varie forme di talassemia e drepanocitosi.