

# MANIFESTO SOCIALE



TERAPIE CON  
*Ormone della Crescita*  
Continuità terapeutica e libertà prescrittiva,  
due principi irrinunciabili

La somatotropina, o ormone della crescita (GH), viene impiegata come trattamento di patologie croniche e rare caratterizzate da problemi di accrescimento, così come di altre sindromi genetiche: i pazienti sono prevalentemente bambini e ragazzi, le fasce di età più vulnerabili, che necessitano di cure adeguate e di attenzioni particolari sia per quanto riguarda la crescita fisica che quella psicologica.

Tale trattamento viene utilizzato come sostitutivo nei casi di deficit congenito o acquisito dell'ormone ipofisario, e non solo: alla prima somatotropina ricombinante umana, approvata nel 1985, si sono aggiunti altri sei preparati ricombinanti a cui, a partire dal 2003, ha fatto seguito l'introduzione del primo biosimilare.

La realtà attuale è caratterizzata da notevoli differenze interregionali relativamente all'orientamento prescrittivo, spesso limitato da sole logiche di contenimento dei costi, oltre che dal regime di rimborso.

Tra le molteplici implicazioni si annoverano fenomeni migratori di famiglie sul territorio, in grave difficoltà e con un vissuto di sfiducia e di apprensione che porta potenziali ripercussioni negative sul rapporto con i medici.

Alla luce di questo scenario variegato e non privo di contraddizioni, si impongono alcune importanti considerazioni pratiche:

1. **Diritto all'informazione:** il rapporto medico-paziente è fondamentale e deve essere tutelato e sostenuto sempre, soprattutto nel caso di modifiche della terapia o di situazioni da definirsi in base alle reali necessità del paziente stesso.
2. **Attenzione alla cura più adeguata:** nella logica di una medicina personalizzata e partecipativa, che oggi rappresenta una realtà consolidata, è fondamentale poter scegliere la terapia più idonea e coerente con la storia, la cultura, la famiglia e il luogo di vita del singolo paziente. Spetta quindi al medico, in accordo con i genitori, la scelta della terapia ritenuta più appropriata, sulla base sia degli obiettivi da raggiungere sia delle possibilità che il paziente stesso ha di praticarla correttamente.
3. **Promuovere l'aderenza terapeutica:** pur nel rispetto del budget di spesa, è fondamentale riconoscere la libertà del medico di soddisfare esigenze e aspettative dei pazienti, ma anche di coinvolgere infermieri e psicologi nelle relazioni con le famiglie, al fine di ottenere una partecipazione attiva e consapevole delle famiglie nei percorsi di cura.

# MANIFESTO SOCIALE

- 4. Modalità di somministrazione:** trattandosi di una terapia che dura a lungo nel tempo (e, per alcuni pazienti, tutta la vita), anche il device così come le modalità di conservazione del farmaco hanno un ruolo fondamentale. I dispositivi tecnologici, infatti, possono essere un incentivo alla terapia per i bambini e, soprattutto, per gli adolescenti più "evoluti", così come potrebbero mettere in difficoltà le famiglie che hanno maggiore confidenza con le metodiche iniettive tradizionali.
- 5. Partecipazione dei cittadini:** come è stato già positivamente riscontrato in altri ambiti terapeutici, la partecipazione di Associazioni Pazienti e Organizzazioni Civiche alla formulazione delle scelte di indirizzo così come delle gare regionali consentirebbe di rispondere al meglio ai bisogni di un territorio e di ottimizzare, in chiave di personalizzazione, la cura.
- 6. Disomogeneità gestionale tra Regioni:** si impone un coordinamento tra i diversi Servizi Sanitari Regionali in ambito medico-sanitario, per eliminare le ancora troppe disomogeneità e per garantire equità di accesso alle cure.
- 7. Limiti nella disponibilità dei farmaci:** l'orientamento a privilegiare il solo prezzo di acquisto dei farmaci rischia di ridurre la loro disponibilità che non solo limita la libertà prescrittiva del medico ma impedisce la continuità terapeutica, elemento fondamentale per l'efficacia delle cure, laddove è necessaria.

Medici e cittadini condividono una prospettiva di policy sanitaria in cui si riconosca al medico di applicare fino in fondo l'appropriatezza nelle scelte terapeutiche, una appropriatezza che è data dalla conoscenza legata ai farmaci e ai device così come dalla conoscenza dei pazienti e delle famiglie nelle loro quotidiane condizioni di salute e di vita.

Partendo dalle competenze acquisite, clinici e pazienti vogliono dare visibilità alle criticità esistenti e suggerire possibili margini di intervento al fine di garantire due principi irrinunciabili nella terapia con ormone della crescita: la continuità terapeutica e la libertà prescrittiva del medico.

# I FIRMATARI DEL MANIFESTO SOCIALE

**Annamaria Colao,**

*Presidente Società Italiana di Endocrinologia (SIE) e Professore ordinario di endocrinologia al Dipartimento di Medicina Clinica e Chirurgia presso l'Università Federico II di Napoli*

**Ezio Ghigo,**

*Direttore della Struttura Complessa a Direzione Universitaria di Endocrinologia, Diabetologia e Metabolismo presso Azienda Ospedaliero-Universitaria San Giovanni Battista - Molinette di Torino*

**Franco Grimaldi,**

*Presidente Associazione Medici Endocrinologi AME*

**Andrea Lenzi,**

*Presidente del Collegio dei Professori di Endocrinologia, Presidente del Comitato Biosicurezza, Biotecnologie e Scienze della Vita della Presidenza del Consiglio, Professore Ordinario di Endocrinologia, Policlinico Umberto I, Roma*

**Tiziana Nicoletti,**

*Responsabile Coordinamento nazionale delle Associazioni dei Malati Cronici (CnAMC) di Cittadinanzattiva*

**Teresa Petrangolini,**

*Direttore Patient Advocacy Lab di ALTEMS, Alta scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari, Università Cattolica del Sacro Cuore*

**Cinzia Sacchetti,**

*Presidente AFADOC Associazione di famiglie di soggetti con deficit Ormone della Crescita e altre patologie*

**Mariacarla Salerno,**

*Presidente della Società Italiana di Endocrinologia Pediatrica (SIEDP) e Professore associato di Pediatria generale e specialistica presso l'Università degli Studi di Napoli Federico II*

**Gian Vincenzo Zuccotti,**

*Professore Ordinario di Pediatria Generale e Specialistica presso Università degli Studi di Milano e Direttore di Dipartimento di Pediatria e Clinica Pediatrica presso Ospedale V. Buzzi – ASST Fatebenefratelli Sacco*

