

# Una gestione senza conflitti d'interesse

Il sistema «peer review» è l'unico attendibile a livello internazionale

Paul D. Robbins

» Racconto sempre con grande piacere la mia esperienza di collaborazione con **Telethon**, una collaborazione proficua e di lunga data che mi ha dato il privilegio di conoscere e apprezzare da diversi punti di vista una realtà molto lontana dalla mia.

Ricordo bene il mio primo incontro con Telethon: era il gennaio del 2001, e arrivai a Milano per la mia prima riunione sotto una grande nevicata. Ero stato reclutato in sostituzione di un mio collega impossibilitato a partecipare e non ero certo di quello che mi aspettava: già allora si diceva in giro che questa piccola Fondazione italiana lavorava ad alti livelli, e che le sessioni di revisione si svolgevano con grande professionalità e rigore, ma confesso che nutrivo i miei dubbi. E invece, mi sono dovuto ricredere. Nei sei anni in cui ho lavorato per la Commissione scientifica di Telethon, prima come revisore e poi in veste di presidente, ho visto crescere e perfezionarsi un meccanismo di selezione e gestione della ricerca estremamente sofisticato e professionale, che non ha nulla da invidiare ai migliori sistemi statunitensi, e mi riferisco in particolare all'Nih (National Institutes of Health, il Cnr americano).

Il sistema adottato da Telethon per la scelta e la valutazione dei progetti da finanziare è l'unico ritenuto attendibile a livello internazionale, quello che utilizza il "peer review". Con questa dicitura inglese si intende la revisione dei progetti effettuata da scienziati esperti della materia da valutare i quali non abbiano conflitti d'interesse rispetto a chi ha presentato il progetto. Questo è un punto cruciale, sul quale mi sento di insistere: la Commis-

sione scientifica è composta in massima parte da scienziati stranieri come me, e la nostra conoscenza dei ricercatori che dobbiamo valutare è quasi nulla (spesso non siamo in grado di pronunciare neanche i loro nomi). Ci basiamo quindi solo ed esclusivamente sul merito scientifico e sul curriculum dello scienziato, senza essere in grado di fare considerazioni di altro genere.

La selezione è molto dura e competitiva, con una percentuale di successo paragonabile a quelle dei più importanti enti finanziatori internazionali e che si aggira intorno al 20 per cento. In questo modo, solo la ricerca veramente eccellente riceverà fondi da **Telethon**. Infatti, solo se si finanzia ricerca eccellente si possono attendere i grandi risultati. Mi dicono i colleghi italiani che il sistema non ha uguali in Italia e io aggiungo che è stato sviluppato con un tale grado di professionalità da far guadagnare a Telethon la stima e il rispetto della comunità scientifica internazionale. Oggi, essere invitati a far parte della Commissione scientifica di Telethon sta diventando motivo di vanto.

Nel corso degli anni, ho anche avuto il privilegio di osservare da vicino, in qualità di revisore specialista, i successi ottenuti da Telethon con la terapia genica sull'**Adas-Scid**, immunodeficienza congenita in cui la mancanza di un enzima (Ada) determina l'assenza di buona parte del sistema immunitario: è la prima volta al mondo che si riesce veramente a curare qualcuno con la tecnologia del trasferimento genico. I 7 bambini curati a Milano sono motivo di orgoglio e di ispirazione per tutti i ricercatori che come me lavorano da anni per applicare la terapia genica ai malati. Ero presente a Washington a maggio di quest'anno quando, al congresso dell'American Society of Gene Therapy (Asgt), è arrivato Raphael Enrique, un bambino venezuelano di 5 anni nato con l'immunodeficienza da deficit di **Ada**. Era accompagnato da mamma, papà e dai due medici

che l'hanno curato: Maria Grazia Roncarolo, direttrice dell'Hsr-Tiget e Alessandro Aiuti, responsabile del protocollo sulla terapia genica. L'emozione è stata forte. I due medici sono stati invitati dal presidente dell'Asgt a parlare del protocollo di terapia genica messo a punto a Milano. Lo scopo era quello di rilanciare i finanziamenti Usa in questo settore, e la scelta dei testimonial per quest'operazione deve essere un motivo di grande orgoglio per l'Italia e per tutti i sostenitori di **Telethon**. Inoltre, il protocollo dell'**Hsr-Tiget** è stato approvato dalla Fda come standard per tutte le sperimentazioni negli Usa.

Sempre come parte della mia esperienza con Telethon, mi sono ritrovato negli ultimi anni a far parte dell'Advisory board della Fondazione. Questo comitato ha lo scopo di fornire indicazioni sulla governance della Fondazione stessa, la gestione del portafoglio di finanziamenti e le linee di sviluppo future. Il fatto che Telethon si stia avvalendo di un Organo consulenziale esterno, composto da scienziati di alto profilo a livello internazionale, depone ancora una volta a favore della serietà e della professionalità di questa organizzazione. In questo modo infatti si riesce a superare il rischio di auto-referenzialità e ci si confronta con l'esterno, attraverso procedure trasparenti e rigorose, anche nella valutazione del proprio operato. Uno dei risultati del lavoro dell'Advisory board è stata la formulazione del primo Piano strategico di Telethon per i prossimi 5 anni. La visione da qui al 2010 è che Telethon vuole essere una charity riconosciuta internazionalmente che trasferisce ricerca eccellente dal laboratorio alla clinica a beneficio dei pazienti.

È la spinta verso i pazienti quindi quella che guida e guiderà tutte le strategie future, una spinta che può contare su una base di partenza estremamente forte, fatta da un sistema di assegnazione di fondi e di selezione della ricerca professionale e rigoroso. Di cui sono orgoglioso di aver fatto parte.

L'AUTORE



Paul D. Robbins

■ Nato in Florida nel 1958, è attualmente il direttore della Ricerca di base dell'Istituto di Medicina molecolare dell'Università di Pittsburgh, oltre a essere il co-direttore del Centro di eccellenza per la Distrofia muscolare della stessa Università. Ha pubblicato più di 230 lavori e 130 capitoli di libri. Ha lavorato per 4 anni nella Commissione scientifica di Telethon prima di diventare il presidente per ulteriori due anni. Il suo mandato è terminato nel giugno 2006. Ora continua a collaborare con Telethon all'interno dell'Advisory board.

