

E la ricerca diventa di precisione



(Credits: CC0 via Pixabay)

Della medicina di precisione si fa un gran parlare. Ma per avere farmaci praticamente "su misura" bisogna che anche il processo di validazione della loro sicurezza ed efficacia cambi faccia, diventi appunto più specifico e puntuale. Non più — o comunque non solo — grandi sperimentazioni su molti pazienti alla ricerca di un farmaco che funzioni per il più ampio numero di persone; piuttosto prove di efficacia su gruppi sempre più ristretti, accomunati per esempio dall'aver una stessa mutazione. La medicina dei grandi trial richiede tempi lunghissimi, ma quella di precisione può essere giocata ben più rapidamente.

Diventa sempre più importante, quindi, attrarre studi nelle prime fasi, quelle che servono a dimostrare che una molecola è sicura, che funziona e in quale dose. Ormai sempre più spesso è con i risultati raggiunti in queste fasi cliniche che si procede alla registrazione. Sono sempre stati i momenti clou, quelli in cui si rivela la portata innovativa di un farmaco, ma oggi la medicina di precisione riorienta l'intero processo di scoperta e registrazione. I ricercatori italiani da decenni mettono le mani sui nuovi farmaci per lo più quando il percorso innovativo è concluso, in quella fase della sperimentazione (la tre) che prepara all'ingresso sul mercato, e oggi devono cambiare passo. A dire il vero lo stanno già facendo: la buona notizia è che la percentuale di studi clinici italiani sul totale di quelli condotti in Europa cresce, passando tra il 2015 e il 2016 dal 17 al 20%, e che dopo un lungo letargo anche in Italia crescono centri adatti per condurre sperimentazioni di fase I, quelle iniziali appunto. La notizia cattiva è che siamo ancora troppo lenti nel concedere le autorizzazioni necessarie per avviare le sperimentazioni, rischiando così di non essere competitivi con altri Paesi che invece garantiscono tempi più veloci.

Ma andiamo con ordine. Perché avere centri in grado di condurre sperimentazioni di nuove molecole precoci è un vantaggio? « Lo è per i ricercatori e anche per i pazienti — spiega Alessandro Mugelli, presidente della Società italiana di Farmacologia — perché più precoce è la ricerca, maggiore è il coinvolgimento da parte degli scienziati che così sono in grado di capire meglio il profilo di tollerabilità e il meccanismo d'azione di un nuovo farmaco». In altre parole, essere coinvolti fin da subito nel loro sviluppo permette di avere accesso in tempi rapidi ai farmaci e di usarli in maniera ottimale di modo da assicurare ai pazienti i migliori risultati. «Negli ultimi anni sono aumentate le sperimentazioni di fase 2, quelle cioè che provano che il principio attivo del farmaco è efficace, ma sono anche nate diverse strutture in grado di condurre fasi 1», afferma Mugelli. È vero infatti che il 42% dei 660 studi condotti nel 2016 mira a dimostrare quanto è efficace una medicina, anche in rapporto a quelle già in commercio (la cosiddetta Fase 3 che deve anche garantire che il prodotto abbia un rapporto efficacia- tossicità virtuoso e fornisce tutti i dati necessari alla registrazione del farmaco); ma è altrettanto vero che il numero assoluto delle fasi precoci è in aumento costante da qualche anno: le fasi 1 sono passate da 41 nel 2012 a 74 nel 2016. Solo nel 2018 diversi istituti hanno annunciato l'apertura di una struttura in grado di poter seguire questo tipo di trial: ci sono l'Ospedale Meyer di Firenze e l'Unità di Immunoematologia pediatrica del San Raffaele di Milano, che si occupano dei

bambini, una popolazione per cui si fanno poche sperimentazioni cliniche. E ci sono l'Azienda Ospedaliera Universitaria Pisana, l'Istituto Besta di Milano e l'Unità Multidisciplinare di Patologia Mammaria e Ricerca Traslazionale dell'ASST di Cremona. In tutto i centri clinici autocertificati presso l'Aifa sono circa 70: un universo in espansione che permetterà ai pazienti di sfruttare al meglio le opportunità offerte dalle innovazioni più avanzate, come l'immuno-oncologia, tanto per fare un esempio, o la terapia genica. E proprio l'utilizzo delle informazioni sul genoma ha avuto un impulso importante nel nostro paese: le sperimentazioni che si occupano di farmacogenetica sono oltre il 15% del totale e il 25% di quelle sulle malattie rare, ma la percentuale aumenta fino al 30% se consideriamo tutti gli studi di fase 1. A farla da padrone, comunque, continuano a essere l'oncologia e l'immuno-oncologia, disciplina su cui si concentra la metà delle sperimentazioni. Aumentano quelle sulle malattie neurologiche, ematologiche e immunitarie, mentre diminuiscono gli studi in ambito infettivologico, nonostante l'allarme per la crescente resistenza ai batteri.

«Il nostro paese offre opportunità importanti per chi conduce ricerca clinica», commenta Anna Maria Porrini, direttore medico di Roche Italia che ha scelto il nostro paese per condurre oltre 200 trials con più di 1400 centri coinvolti per un totale di oltre 11 mila pazienti in studio. «Nella maggior parte dei casi — specifica Porrini — sono trial internazionali, il 15% ha, però, origine in Italia». Non solo: un quarto di queste ricerche sono proposte da centri italiani. A dimostrazione del fatto che Big Pharma ha gli occhi puntati sulla capacità dei nostri clinici di condurre sperimentazioni valide a livello internazionale.

Ma non basta: perché a rallentare la nostra corsa alle sperimentazioni che fanno crescere la nostra comunità medico scientifica e garantiscono un più rapido e migliore accesso dei pazienti ai farmaci innovativi sono soprattutto i tempi lunghi di attivazione degli studi. Negli ultimi tempi diverse nazioni extra europee hanno stabilito degli obiettivi ambiziosi in questo settore: il Messico si impegna a dare il via libera in 45 giorni, la Russia in 90 ma mira ad arrivare ai 45, la Cina punta ai 60 giorni. L'Italia è invece tra le ultime nazioni europee, e viaggia su un tempo medio di diversi mesi.

Se finora la qualità della ricerca ci ha salvati, e ha portato le aziende a fare le loro sperimentazioni comunque nel nostro paese, in futuro l'eccellenza rischia di non bastare più. Soprattutto con l'entrata in vigore del Regolamento europeo che prevede basti un'unica valutazione per tutta la Ue portata avanti da un solo paese. Allora è più che probabile che le industrie porteranno la maggior parte delle sperimentazioni nel paese più veloce. Per prepararsi, l'Aifa ha lanciato il progetto Voluntary Harmonization Procedure e ha allestito una simulazione per andare a vedere le nostre chance di poter fare da coordinatore a studi condotti in più nazioni europee. Ebbene, gli ultimi dati ci dicono che l'Italia è al secondo posto, dietro il Regno Unito. Speriamo che nel passaggio dalla simulazione alla realtà non si perdano posizioni.



LabRevolution
COME CAMBIA LA RICERCA IN MEDICINA

In collaborazione con



E la ricerca diventa di precisione

Si accorciano i tempi degli studi. E tutto si concentra nelle prime fasi. Oggi l'Italia è in ritardo. Ma per avere accesso ai nuovi farmaci e saperli usare bisogna cambiare marcia

di LETIZIA GABAGLIO

06 aprile 2018



(Credits: CCo via Pixabay)

Della medicina di precisione si fa un gran parlare. Ma per avere farmaci praticamente "su misura" bisogna che anche il processo di validazione della loro sicurezza ed efficacia cambi faccia, diventi appunto più specifico e puntuale. Non più — o comunque non solo — grandi sperimentazioni su molti pazienti alla ricerca di un farmaco che funzioni per il più ampio numero di persone; piuttosto prove di efficacia su gruppi sempre più ristretti, accomunati per esempio dall'aver una stessa

mutazione. La medicina dei grandi trial richiede tempi lunghissimi, ma quella di precisione può essere giocata ben più rapidamente.

Diventa sempre più importante, quindi, attrarre studi nelle prime fasi, quelle che servono a dimostrare che una molecola è sicura, che funziona e in quale dose. Ormai sempre più spesso è con i risultati raggiunti in queste fasi cliniche che si procede alla registrazione. Sono sempre stati i momenti clou, quelli in cui si rivela la portata innovativa di un farmaco, ma oggi la medicina di precisione riorienta l'intero processo di scoperta e registrazione. I ricercatori italiani da decenni mettono le mani sui nuovi farmaci per lo più quando il percorso innovativo è concluso, in quella fase della sperimentazione (la tre) che prepara all'ingresso sul mercato, e oggi devono cambiare passo. A dire il vero lo stanno già facendo: la buona notizia è che la percentuale di studi clinici italiani sul totale di quelli condotti in Europa cresce, passando tra il 2015 e il 2016 dal 17 al 20%, e che dopo un lungo letargo anche in Italia crescono centri adatti per condurre sperimentazioni di fase I, quelle iniziali appunto. La notizia cattiva è che siamo ancora troppo lenti nel concedere le autorizzazioni necessarie per avviare le sperimentazioni, rischiando così di non essere competitivi con altri Paesi che invece garantiscono tempi più veloci.

Ma andiamo con ordine. Perché avere centri in grado di condurre sperimentazioni di nuove molecole precoci è un vantaggio? «Lo è per i ricercatori e anche per i pazienti — spiega Alessandro Mugelli, presidente della Società italiana di Farmacologia — perché più precoce è la ricerca, maggiore è il coinvolgimento da parte degli scienziati che così sono in grado di capire meglio il profilo di tollerabilità e il meccanismo d'azione di un nuovo farmaco». In altre parole, essere coinvolti fin da subito nel loro sviluppo permette di avere

[Vai alla homepage di Salute](#)

VIDEO



RICERCA E MEDICINA
Tumore del polmone: per batterlo serve la diagnosi del suo Dna



RICERCA E MEDICINA
Alla scienza servono coraggio e visione



RICERCA E MEDICINA
RSalute 1000. Un inserto per raccontare il grande salto della ...



RICERCA E MEDICINA
Le 4 P della medicina del futuro



RSALUTE 1000
Questa cura è proprio per te. La promessa della medicina di pr...

FOTOGALLERIE



Premio Roche per la Ricerca 2018, ecco gli 8 vincitori