

# Medicina

**A Venezia**  
La Conferenza mondiale sul futuro della scienza

All'inizio di quest'anno il Presidente americano Barak Obama ha lanciato la *Precision Medicine Initiative*, con un finanziamento di 215 milioni di dollari, un progetto che si propone di raccogliere dati genetici (ottenuti attraverso l'analisi del Dna) e non (per esempio abitudini di vita, tipo di dieta, attitudine all'esercizio fisico) di un milione di americani (volontari) per permettere agli scienziati di sviluppare protocolli di cura e prevenzione delle

malattie modulati sulle caratteristiche specifiche di ogni individuo. «Voglio che il nostro Paese - ha detto Obama - che ha sconfitto la poliomielite e ha mappato il genoma umano, diventi pioniere di una nuova era nel campo della salute». A questa nuova frontiera della medicina è dedicata l'11° Conferenza mondiale *The future of Science*, organizzata a Venezia dal 17 al 19 settembre dalla Fondazione Veronesi con la Fondazione Cini e la Fondazione Silvio Tronchetti Provera.

## Ogni malato avrà il suo farmaco

La nuova medicina «di precisione» vuole individuare con l'analisi del Dna la specifica forma di patologia del singolo paziente, così da mirare ancora meglio la cura



**L'esperto risponde**

alle domande dei lettori sui tumori e le cure [http://www.corriere.it/salute/sportello\\_cancro/](http://www.corriere.it/salute/sportello_cancro/)

**M**ary Ann Anselmo, 59 anni, cantante americana di jazz del New Jersey, costa Est degli Stati Uniti, e Marcia Stiefel, 68 anni, pensionata del North Dakota. Due donne colpite dallo stesso tumore, un glioblastoma del cervello (diciamo: uno dei più difficili da curare), ma con un destino diverso.

A Mary Ann i medici dello Sloan Kettering di New York, uno dei più famosi istituti per la cura del cancro al mondo, hanno analizzato il genoma del tumore, hanno scoperto una alterazione del Dna (capace di stimolare la crescita tumorale) sensibile a un farmaco non prescritto per il glioblastoma (si usa nel melanoma), glielo hanno somministrato, con successo. Per Marcia non è stato così, non aveva la mutazione (non solo: nel North Dakota, gli ospedali non sono attrezzati come a New York) e l'unica prospettiva è stata quella di continuare la chemioterapia.

Ecco, questo è un po' il succo

della nuova medicina di precisione: la possibilità di individuare la particolare forma di malattia di cui il paziente soffre (attraverso l'analisi del Dna) e curarla. Con i mezzi che si hanno già a disposizione o studiandone altri. Personalizzando, cioè, la cura in modo da somministrare il farmaco giusto al paziente giusto. E non solo nel caso dei tumori.

Ormai da alcuni anni, però, si parla di terapie personalizzate. Che cosa sta cambiando?

### Progressi

Questa «rivoluzione» è basata sulla odierna capacità di analizzare enormi quantità di dati

### Sperimentazione

Occorrerà attuare cambiamenti anche nella conduzione dei test clinici

«La medicina personalizzata, annunciata da tempo, — precisa Giuseppe Testa, professore di Biologia molecolare all'Università di Milano e direttore del Laboratorio di Epigenetica delle cellule staminali all'Istituto europeo di Oncologia — così non è stata. Si è limitata a stratificare meglio i pazienti, riclassificandoli a livello molecolare e individuando terapie valide per quei gruppi, non per il singolo (come, invece è accaduto per Mary Ann, ndr). Più che di «personalizzazione» si dovrebbe parlare di «gruppi-zazione».

L'ambizione, invece, è intervenire sul singolo.

«E questo comporta almeno due problemi — continua Testa —. Il primo riguarda le modalità con cui si dovrà dimostrare l'efficacia di un farmaco e, il secondo, i sistemi regolatori, cioè tutto l'iter di registrazione di un medicinale».

Questo nuovo approccio, dunque, porta a un cambiamento di mentalità nella ricerca scientifica, nella conduzione

### La prospettiva

**OGGI** La medicina dell'imprecisione  
I farmaci non funzionano su tutti i pazienti



### DOMANI La medicina di precisione

Le persone possono essere affette dalla **stessa malattia**, però con **alterazioni genetiche diverse**

Per ogni paziente sarà scelto il farmaco che va a colpire le sue specifiche alterazioni



### LE TAPPE DEL NUOVO APPROCCIO

- Scoperta** - Identificazione delle alterazioni genetiche legate alla malattia nel singolo paziente
- Sviluppo** - Sperimentazioni del farmaco più mirate su quei pazienti che possono trarne beneficio
- Registrazione** - Migliori garanzie di efficacia e sicurezza, poiché i destinatari saranno pre-selezionati in base ai test genetici
- Pratica clinica** - Ottimizzazione della cura

centimetri

delle sperimentazioni cliniche (oggi, per esempio, si comincia a parlare di *trial basket*: si sperimenta un farmaco non in pazienti che hanno la stessa malattia, ma in coloro che hanno la stessa mutazione genetica), nei sistemi che dovranno regolare l'immissione in commercio e anche nei rapporti fra accademia e industria.

«Ne dobbiamo essere consapevoli — commenta Testa —. L'idea che la scienza va avanti e poi le leggi si adeguano non funziona più. È indispensabile che la scienza si confronti subito con la politica». Questo è uno dei messaggi che usciranno dalla 11° Conferenza mondiale *The future of Science* di Venezia, dedicata appunto alla medicina di precisione.

Una rivoluzione, dunque, basata anche sulla capacità che abbiamo oggi di analizzare enormi quantità di dati.

«Non solo i dati del genoma — conclude Testa — ma anche quelli che riguardano la nostra vita quotidiana, quello che mangiamo, quanti drink beviamo alla sera. Ormai le nostre vite sono digitalizzate. Basti pensare quante informazioni passano attraverso i social media, come Facebook e Twitter».

Sarà dall'incrocio di questi dati che potranno emergere indicazioni per la cura, ma anche per la prevenzione delle malattie.

**Adriana Bazzi**

© RIPRODUZIONE RISERVATA



Il benessere comincia con un sorriso!

La salute è il presupposto fondamentale per **essere felici** e affrontare la vita in modo più **ottimista**. In Hospitadella il benessere comincia dal sorriso: i **nostri professionisti** in odontoiatria offrono servizi **altamente specializzati** per formulare una **diagnosi accurata** in funzione della **cura ottimale** per il tuo benessere psico-fisico.

**dot. Carlo Gobbo**  
Odontoiatra e Protesista Dentale  
Fondatore e direttore sanitario di Hospitadella

**HOSPITADELLA**  
ESPERTI IN ECCELLENZA

CLINICA ODONTOIATRICA

[www.hospitadella.it](http://www.hospitadella.it)

**MILANO**  
Via S. Pietro all'Orto 9 - 20121 Milano

**CITTADELLA**  
Vicolo dei Carraresi 18/2 - 35013 Cittadella (PD)

**BASSANO DEL GRAPPA**  
Via Sterni 2 - 36061 Bassano del Grappa (VI)

Numero Verde  
**800589004**



## È lunga e complessa la ricerca per identificare i bersagli molecolari

**D**ruggability. Un nuovo termine del vocabolario della ricerca farmacologica che sta a indicare la capacità di una proteina dell'organismo umano di essere *druggable*, cioè "agganciata" da un farmaco (drug).

Normalmente si tratta di una proteina anomala (prodotta da un gene difettoso) che causa malattia e il farmaco (un anticorpo monoclonale) ha l'obiettivo di neutralizzarla. È il caso dei tumori, per esempio, dove l'alterazione di certi geni determina la produzione di proteine anomale in grado di far proliferare le cellule.

Ma anche di alcune patologie autoimmuni, come il morbo di Crohn dell'intestino, di certe malattie reumatiche come l'artrite reumatoide, o il lupus eritematoso sistemico (che interessa vari organi compresa la cute) che vengono già curate con anticorpi monoclonali.

Trovare bersagli specifici e farmaci specifici è la base delle *targeted therapies*, le terapie a bersaglio molecolare della medicina personalizzata.

La medicina di precisione vuole andare addirittura oltre: individuare proteine specifiche causa di malattia nel singolo paziente così da costruire farmaci su misura, nel campo dell'oncologia soprattutto, ma anche in quello dell'immunologia.

«L'importante è identificare il bersaglio — commenta Guido Guidi, capo di Pharma Europa della multinazionale farmaceutica Novartis, che terrà una

relazione sul tema in occasione della 11° Conferenza sul Futuro della Scienza a Venezia —, ma questo non è tutto —. Il passo successivo è mettere a punto il farmaco, ma anche questo non basta. Quando si stava studiando l'Imatinib (il capostipite dei farmaci a bersaglio molecolare, nato come terapia della leucemia mieloide cronica, ma poi utilizzato anche in altre forme di neoplasia), ci si accorse che la somministrazione per endovena provocava la formazione di trombi. In altre parole, ci possono essere problemi legati alla molecola, alla sua stabilità, alla sua solubilità, alla via di somministrazione che devono essere affrontati. E questo lo fa la ricerca dell'industria farmaceutica».

Ecco perché i tempi di sviluppo di un farmaco possono essere molto lunghi e perché certe scoperte che riguardano target molecolari non possono avere una immediata applicazione pratica e rischiano di creare, al momento, troppe aspettative fra i malati.

«Stiamo andando verso una individualizzazione sempre più spinta — continua Guidi —. E medicina di precisione significa anche trovare, in un tumore, le nuove mutazioni che lo rendono resistente ai farmaci utilizzati. E quindi individuare nuovi target molecolari. L'obiettivo è quello di associare più molecole, dirette contro questi bersagli, per tenere sotto controllo il tumore e limitarne la progressione».

**A. Bz.**

© RIPRODUZIONE RISERVATA