

Ricercatori senza frontiere

La piattaforma cresce
al ritmo di 2 milioni
di pubblicazioni in 4 mesi

di **Giovanni de Paola**

«Immagino un mondo in cui tutti i dati scientifici siano raccolti in un social network in rete e siano accessibili a tutti gli scienziati che possano analizzarli e fare progressi a passi da gigante». Inizia così il suo racconto il medico tedesco di origine siriana, Ijad Madisch, Ceo e fondatore di ResearchGate, il social network in cui oltre 7 milioni di scienziati e ricercatori registrati si scambiano informazioni, progetti e ricerche con una velocità e completezza sconosciute in passato. Madisch si trova alla conferenza DId a New York, che ha luogo a pochi passi dal fiume Hudson e dalla riedificata High Line di Manhattan. «Mi sono chiesto se esisteva un social network scientifico», racconta il virologo. «Tutti i progressi che avvengono nella nostra società dipendono strettamente da quello che succede nella scienza, quindi ho deciso di crearlo io». È in corso su ResearchGate una crescita esponenziale del numero di file, pubblicazioni che vengono caricate ogni mese. «Nei primi 50 mesi di lavoro sono stati caricati 2 milioni di pubblicazioni, ora raccogliamo la stessa quantità in 4 mesi. Abbiamo iniziato a metà del 2008 e io ho cominciato a lavorarci full-time all'inizio del 2011». L'ultimo milione di utenti si è registrato negli scorsi tre mesi. «La prova che il nostro progetto funziona è che cresce continuamente - dice orgoglioso Madisch -. Uno scienziato nigeriano, il cui figlio è morto, non conosceva l'origine della malattia del piccolo perché non riusciva ad analizzare i campioni di sangue. Un italiano presente su ResearchGate si è offerto di aiutarlo ad analizzarli e collaborando anche con un altro membro del nostro social di base negli Stati Uniti sono riusciti a individuare un nuovo tipo di agenti patogeni che prima infettavano so-

lo le piante e poi sono diventati capaci di infettare anche gli esseri umani. Questo risultato è stato pubblicato e condiviso su ResearchGate».

L'obiettivo del progetto è quello comune a molte nuove realtà imprenditoriali che nascono in rete: individuare un problema e risolverlo. «Un problema che esiste nella ricerca scientifica - sottolinea il medico - è che vengono pubblicati solo i risultati positivi delle ricerche. Questi ammontano solo a circa il 5 per cento! Il restante 95% sono ricerche non andate a buon fine o esperimenti falliti, ma qualunque risultato se utilizzato ci servirebbe ad avere un esito migliore degli studi». Madisch è perentorio. «La trasparenza è molto importante nella scienza perché è fondamentale avere accesso ai dati in formati facilmente utilizzabili da tutti». ResearchGate ha sede a Berlino, ma nasce negli Stati Uniti quando Ijad lavora a Boston con una borsa di studio di due anni. «Poi ho deciso di tornare a casa», ma il suo professore in Germania gli nega la possibilità di lavorare part-time e investire l'altra metà del tempo in ResearchGate. «Dopo il suo rifiuto ho lasciato il lavoro e ho chiamato il mio professore ad Harvard. Gli ho spiegato la mia idea, e come avrebbe potuto rivoluzionare il mondo della ricerca scientifica. Mi ha dato il lavoro part-time che volevo al Massachusetts General Hospital di Boston e ha anche investito 100 mila dollari che mi sono serviti per iniziare». Ijad Madisch inizia a incontrare investitori tra cui Matt Cohler, ex vice-presidente di Facebook. «Cohler mi ha chiesto quale fosse il mio obiettivo e io gli ho detto: voglio vincere il Premio Nobel!» Una volta trovati gli investimenti decide di tornare ancora in Germania, a Berlino, e viene finanziato da Bill Gates. L'ultimo investimento ricevuto ammonta a 35 milioni di dollari. «ResearchGate non è il Facebook o il LinkedIn degli scienziati - spiega Madisch - ma possiamo usarlo per creare algoritmi che velocizzano il processo del lavoro scientifico. Vorrei che tutti i dati delle ricerche, come quelle sull'Alzheimer e sul Parkinson, si trovasse disponibili tutti insieme. Così potremmo arrivare a scoperte che sarebbero altrimenti impossibili senza questa visione globale».



Open science. Ijad Madisch ha fondato la piattaforma online che consente agli scienziati di collaborare senza frontiere e confini

© RIPRODUZIONE RISERVATA



Il pacemaker più piccolo del mondo arriva in Italia

I primi impianti hanno già coinvolto dodici aziende ospedaliere e cliniche

Poco più grande di una pillola, un decimo della grandezza di un pacemaker convenzionale, il sistema di stimolazione intracardiaco transcater 'Micra' Transcatheter Pacing System (TPS) di Medtronic è una vera e propria cardio-capsula, pesa 2 grammi, misura poco più di 2 cm e ha una durata che può variare dai 7 ai 14 anni. Viene impiantato direttamente nella cavità cardiaca attraverso la vena femorale e non prevede l'impianto di elettrodi di stimolazione. Una volta posizionato, il sistema 'Micra', ancorato al cuore attraverso piccoli ganci appositamente progettati, emette impulsi elettrici in grado di regolarizzare il battito cardiaco attraverso un elettrodo posto sul dispositivo. A differenza delle attuali procedure di impianto, quella del 'Micra' TPS non necessita di alcun filo o catetere e non richiede incisioni nel torace, né la creazione di una tasca sottocutanea, eliminando, così, il rischio di potenziali complicanze legate alla procedura tradizionale. Il dispositivo ha ricevuto il Marchio CE nell'aprile 2015, sulla base dei risultati dei primi 60 pazienti arruolati nello studio clinico mondiale 'Micra' Transcatheter Pacing Study, a distanza dei primi tre mesi dall'impianto. Lo studio, multicentrico, a singolo braccio, procede per completare il follow up con il coinvolgimento di 700 pazienti in 56 centri di 19 Paesi. Durante il 36° Annual Scientific Session della Heart Rhythm Society del maggio scorso, sono stati presentati i risultati relativi a 140 pazienti, che hanno dimostrato il successo della procedura nel 100% dei casi. (M. BOS.)



Il futuro è nella nuova 'ematologia di precisione'

Calibra le terapie sulle caratteristiche molecolari delle malattie del sangue

È l'arma in più degli specialisti che ha rivoluzionato l'approccio diagnostico e terapeutico alle malattie del sangue e ridato una speranza di guarigione a pazienti che sembravano non averne. Una rivoluzione partita dalla Leucemia Mieloide Cronica, con l'avvento di farmaci in grado di colpire precisi bersagli molecolari e lo sviluppo di tecnologie sofisticate in grado di identificare e 'pesare' le alterazioni molecolari delle malattie del sangue. All'Ematologia di precisione, ai suoi crescenti successi e alla possibilità di estendere questo approccio anche ad altre forme di malattie del sangue è dedicata la X edizione della "Giornata Nazionale per la lotta contro leucemie, linfomi e mieloma" promossa da AIL, che si celebra in tutta Italia il 21 giugno sotto l'Alto Patronato della Presidenza della Repubblica. «Precisione in Ematologia vuol dire terapie sempre più mirate, diagnosi sempre più accurate, risposte molecolari sempre più frequenti e sostenute nel tempo, prospettive sempre migliori per i pazienti, con guarigione per molti, una lunga sopravvivenza per molti altri e una buona qualità di vita quasi per tutti», dichiara Franco Mandelli, ematologo di fama internazionale e Presidente Nazionale AIL. «La sinergia tra terapie a bersaglio molecolare e diagnostica avanzata si è consolidata nella Leucemia Mieloide Cronica ed è oggi un modello per altre malattie del sangue. A supporto di questo approccio la rete LabNet, eccellenza dell'Ematologia italiana guardata con interesse all'estero, offre a tutti i pazienti la possibilità di accedere a indagini di diagnostica molecolare avanzata». **(E. SER.)**



Offre una protezione 24 ore su 24 per 365 giorni l'anno

Nuovo defibrillatore sottocutaneo che non "tocca" il cuore e le vene

Presentato al congresso internazionale di cardiologia EHRA EUROPACE di Milano

DI PIERLUIGI MONTEBELLI

Ogni anno 50.000 persone in Italia e 350.000 in Europa muoiono di morte cardiaca improvvisa (SCD, sudden cardiac death) in seguito a un arresto cardiaco, un'aritmia maligna che può essere letale. Il tasso di mortalità raggiunge il 95%, se non si interviene tempestivamente con un defibrillatore per ripristinare il normale ritmo cardiaco. Il cuore deve ricevere uno choc elettrico, definito "terapia di defibrillazione", per ripristinare il normale ritmo cardiaco e il flusso di sangue nel corpo. L'ultima novità, presentata a Milano in occasione del congresso internazionale di aritmologia EHRA EUROPACE, è "EMBLEM S-ICD", una

delle innovazioni tecnologiche più rilevanti per prevenire la morte cardiaca improvvisa. Ne hanno dato testimonianza la dottoressa Maria Grazia Bongiorno - Direttore malattie cardiovascolari 2 - Ospedale Cisanello AOU di Pisa; il dottor Pier Lambiase, Reader in Cardiology & Consultant Electrophysiologist - Institute of Cardiovascular Science, UCL - Dept of Cardiology, Barts Heart Centre, UK; Graham Harper, paziente inglese cui è stato impiantato il dispositivo, Pierre Chauvineau di Boston Scientific Europe che ha delineato le grandi prospettive che questi dispositivi aprono per migliaia di pazienti. Il sistema S-ICD è attualmente l'unico che previene l'arresto cardiaco improvviso senza toc-

care il cuore e il sistema venoso. Distribuito in Italia e in altri paesi da Boston Scientific, ha ottenuto il marchio CE nel 2009 e l'approvazione FDA (Food & Drug Administration) nel 2012, mentre la seconda generazione è stata approvata nel marzo di quest'anno. Importanti le novità di EMBLEM rispetto alla prima generazione di S-ICD. Il defibrillatore è più sottile del 20%, il che garantisce maggiore comfort al paziente e miglioramenti anche sul piano estetico, aspetto non trascurabile soprattutto in pazienti di giovane età. La batteria del dispositivo, prodotta direttamente da Boston Scientific, garantisce una durata superiore a 7 anni, il che significa circa il 40% in più rispetto alle batterie dei dispositivi di prima generazione.

I '3' VANTAGGI DEL DISPOSITIVO

Alla riduzione dello spessore del 20% si aggiungono la maggiore durata della batteria - uno degli elementi cruciali nel settore dei dispositivi - che diminuisce la necessità di sostituzioni del dispositivo e i possibili rischi ad esse correlate. Se poi aggiungiamo il fatto che il dispositivo è interamente sottocutaneo, e quindi gli elettro-cateteri sono all'esterno dei vasi sanguigni e del cuore (non toccano né il cuore, né i vasi sanguigni), si evitano le possibili complicanze legate alle infezioni, fornendo un indiscusso vantaggio non solo per la salute del paziente, ma anche per il medico che non deve affrontare i rischi delle sostituzioni e gli alti costi ad esse correlati. Infine, EMBLEM è programmato per consentire il monitoraggio remoto del paziente attraverso il sistema di controllo Latitude, una possibilità di grande rilievo se si considera che il follow-up del paziente dopo l'impianto costituisce parte integrante dell'intero processo terapeutico.



DIBATTITO SULLA BIOETICA

A chi giovano i comitati etici?

di **Alfreda Anzani e Guido Pozza***

L'articolo di Gilberto Corbellini e Michele De Luca, *Per un comitato al passo coi tempi. I limiti della bioetica* pubblicato il 24 maggio 2015 su *Il Sole 24 ore*, merita a nostro avviso alcune precisazioni.

Vi si descrive la situazione italiana relativa ai Comitati Etici (CE) drammatica e tragica. Drammatica per l'inefficienza e l'incompetenza. Tragica perché «la bioetica è diventata una specie di moderna inquisizione e i bioeticisti sono spesso l'equivalente di preti». Viene denunciato poi il ritardo burocratico e la lentezza nella conduzione delle sperimentazioni cliniche, specialmente di quelle multicentriche.

Non è vero che «manca completamente in Italia un'analisi documentata, in senso quantitativo e qualitativo, del modo di funzionare dei Comitati Etici», in quanto sino al 2011 l'Osservatorio nazionale sulla sperimentazione clinica dei medicinali del [Ministero della Salute](#) ha pubblicato *Clinical Trials of Drugs in Italy*, curato dall'Aifa (Agenzia Italiana del Farmaco). La pubblicazione di questi dati, che rendicontano anche l'attività dei CE, è stata sospesa in concomitanza dell'inizio della riforma dell'Aifa, tutt'ora in corso, e la lentezza della nostra burocrazia (il decreto Balduzzi sulla riforma dei CE non è ancora completamente attuato dopo anni dalla sua promulgazione) fa nascere più preoccupazione che fiducia nell'accettare la proposta risolutiva di adottare un comitato unico nazionale, previsto dal Regolamento del Parlamento Europeo, che supererebbe le difficoltà descritte nell'articolo.

L'esperienza trentennale del Comitato Etico dell'IRCCS San Raffaele di Milano ci permette di confutare diverse affermazioni sostenute da Corbellini e De Luca. Se alcuni Comitati Etici non si comportano correttamente non significa che tutti agiscano allo stesso modo. Nel nostro Comitato la pluridisciplinarietà e l'autorevolezza dei membri sono sempre state garanzie della salvaguardia dei diritti del paziente. Nel nostro modo di procedere abbiamo sempre ritenuto che una sperimentazione fosse da ritenersi etica per-

ché scientifica, rispettosa della deontologia del ricercatore e della dignità della persona umana. Non abbiamo allergia nei confronti della riflessione bioetica, mai considerata come una specie di strozzatura per lo scienziato, ma piuttosto come interna consapevolezza del proprio agire. E, per quanto riguarda i tempi di attesa nell'esprimere il parere, abbiamo sempre rispettato quelli richiesti dalla normativa vigente. L'istituzione di un comitato unico nazionale esprime un'impostazione utilitaristico-pragmatica che declassa i CE, in vista dell'obiettivo di soddisfare la richiesta proveniente dalle aziende farmaceutiche che possono riconsiderare i propri criteri di selezione dei centri nei quali condurre lo sviluppo clinico dei propri farmaci. Forse, oltre all'interesse economico, occorre ricordare che nella ricerca non è la curiosità ad essere venuta meno; si deve registrare, invece, la difficoltà che incontra la ricerca clinica spontanea per finanziarsi, nel contesto di un sistema sanitario che - con l'introduzione del rimborso per prestazioni - ha praticamente reso impossibile la ricerca osservazionale sul paziente.

Non siamo contrari al raggiungimento dei legittimi interessi delle industrie farmaceutiche quando si alleano con gli interessi dei malati, della scienza che cerca cura e guarigione, ma desideriamo sottolineare come questo fine debba essere perseguito nel rispetto dei valori e dei principi etici universali.

La pluralità, o per meglio dire la capillarità dei CE nei luoghi di osservazione clinica dei problemi emergenti, è una ricchezza che non va dissipata. Certamente la proposta di un interlocutore unico sembra essere molto conveniente: meno costi, meno tempi, procedure facili e snelle, controlli semplici ridotti all'osso. Inevitabilmente, però, si arriverebbe alla creazione di un nuovo centro di potere che si aggiungerebbe agli altri già presenti in un sistema burocratico di controllo che si cerca unanimemente di smantellare. Si comprende, dunque, molto bene il desiderio dell'industria che, del resto, ha un grande potere di convincimento sulle Agenzie nazionali ed internazionali del farmaco. Non sappiamo dire se un modello accentratore della sperimentazione sia più utile al paziente e alla ricerca della scienza. Da un certo punto di vista, poter far capo a un CE



Tiratura: n.d.
Diffusione: n.d.
Lettori: n.d.

Settimanale - Ed. nazionale

Dir. Resp.: Roberto Napolitano

unico, eccellentissimo ed efficientissimo, potrebbe apparire un protocollo fisso e congruo, in luogo della diaspora fra i tanti CE piccoli e in qualche caso culturalmente meno preparati. E tuttavia c'è, in questa semplificazione, qualcosa che sterilizza il pensiero, l'osservazione, la ricerca spontanea. È ricchezza di umanesimo la diffusione della sensibilità bioetica secondo orizzonti partecipati e condivisi. Centralizzando questa attività, il tutto si tradurrebbe in una applicazione di una direttiva che viene dall'alto e che non si può disattendere, mentre in questo genere di problemi è essenziale "misurarsi". Non è detto, poi, che un CE centrale sia per la sua unicità più resistente, invulnerabile, alle pressioni industriali. Ci vuole un dibattito pubblico su questi temi, in libera e povera e incomprimibile verità.

L'etica dei Comitati, a proposito della ricerca scientifica libera, resta questa: che sia libera da logiche mercantili, tesa al bene della persona malata, rifiutando ogni scorciatoia che metta in eclisse la deontologia medica.

*- Presidente e vicepresidente del Comitato Etico IRCCS
Ospedale San Raffaele, Milano*

© RIPRODUZIONE RISERVATA

<http://www.adnkronos.com/salute/sanita/>

15 anni fa la prima mappa del Dna umano, cosa è cambiato e cosa cambierà

Sono trascorsi 15 anni da quando, il 26 giugno del 2000, l'allora presidente americano Bill Clinton e l'ex premier britannico Tony Blair annunciarono al mondo che il codice della vita era stato svelato: la prima mappa del Dna era stata scritta, anche se sarebbe stata completata solo nel 2003. "Una pietra miliare" a disposizione della comunità scientifica per dare inizio a "una nuova era della medicina molecolare - recitava la nota ufficiale della Casa Bianca - che potrà portare a nuovi modi di prevenire, diagnosticare, trattare e curare le malattie".

In queste ore l'anniversario è stato ricordato su Twitter anche da Craig Venter, ai tempi alla guida dell'azienda Celera Genomics che dapprima sfidò il Consorzio internazionale pubblico formato da scienziati di 6 Paesi, e poi collaborò al traguardo. Ma cosa è cambiato davvero in questi anni? Con quali benefici o rischi? E cosa ancora cambierà? Il genetista Edoardo Boncinelli lo spiega all'Adnkronos Salute e azzarda una previsione: "Una rivoluzione molto, molto più grande è ancora più vicina. La sfida, ora, è capire quali sono gli 'interruttori' che accendono e spengono i nostri geni. Succederà", è convinto lo scienziato. "E non passeranno altri 15 anni".

Il sequenziamento del genoma umano "è stato senza alcun dubbio un grandissimo avvenimento, frutto di uno sforzo internazionale che ha portato a un traguardo assolutamente impensabile solo 30 anni fa", osserva Boncinelli. "Il primo e più grande risultato concreto che abbiamo potuto raggiungere - afferma - è stata la possibilità di andare a guardare quanti, e soprattutto quali, geni possono essere coinvolti nella patogenesi di varie malattie e in particolare del cancro". Solo i 'mattoni di Dna' associati a diverse forme tumorali "sono ormai arrivati a 200-300", calcola lo scienziato.

Questi studi hanno spalancato le porte alla medicina personalizzata e ai farmaci intelligenti, oggi una realtà contro numerose patologie. Un campo aperto con potenzialità ancora enormi: "E' infatti già possibile - ricorda il genetista - sequenziare il Dna di un singolo individuo a costi contenuti", crollati da centinaia di milioni di dollari a meno di mille. "Presto, dunque, potremo conoscere con ragionevole precisione se ci sono malattie serie alle quali ciascuno di noi può andare incontro". Screening che, nelle mani giuste e usati bene, possono permettere di pianificare strategie preventive su misura. "Ma è importante raccomandare di non sottoporsi mai a questo tipo di analisi senza la guida e l'interpretazione di uno specialista", ammonisce Boncinelli.

"Un'altra novità, più teorica, resa possibile dall'avere a disposizione la mappa del nostro Dna - prosegue Boncinelli - è che siamo riusciti a paragonare le varie parti del nostro genoma con quelle di altre specie (penso agli animali e in particolare i grandi primati), o con i nostri antenati come l'uomo di Neanderthal, scoprendo ad esempio che in un certo periodo della preistoria ci siamo incrociati": il 'vis a vis' fra Neanderthal e Homo Sapiens è stato fissato proprio di recente a 50-60 mila anni fa.

Altre opportunità figlie del sequenziamento genetico vengono elencate da esperti internazionali sentiti dal 'Telegraph': a partire da un campione di Dna, per esempio, la moderna criminologia potrà contare sulla possibilità di ricostruire in 3D il volto degli autori di un reato. E ancora: la medicina anti-invecchiamento sta già provando a invertire geneticamente gli effetti del tempo che passa, con la promessa di un ringiovanimento biologico e di una longevità sempre maggiore.

Conoscere il codice della vita, però, significa anche poterlo manipolare. Magari con finalità eticamente discutibili o pericolose per l'umanità: dall'industria dei 'bimbi su misura', selezionabili attraverso tecniche di fecondazione in modo che abbiano le caratteristiche desiderate, a quella di armi biologiche nuove e più mirate. Virus, batteri e altri microrganismi costruiti in laboratorio, o addirittura 'pallottole intelligenti' in grado di colpire gruppi di persone - se non un singolo individuo - proprio in base al Dna.

"Scenari forse un po' troppo fantascientifici" secondo Boncinelli, che fra le insidie della genetica pensa piuttosto a "pericoli più concreti: qualcuno, ad esempio, potrebbe andare a guardare le malattie alle quali è predisposta una persona

e violare la sua privacy informando il datore di lavoro. Il risultato potrebbe essere il licenziamento, oppure negare l'assicurazione a un dipendente che ha la probabilità di ammalarsi di una determinata patologia".

Il genetista, tuttavia, preferisce pensare positivo e guarda avanti: "Mi piacerebbe che si sfruttassero le nuove opportunità della genetica per lo studio del cervello, del quale ancora oggi sappiamo molto poco". E poi c'è "il compito numero uno per il futuro: l'indagine dei meccanismi di regolazione dei geni, un capitolo di studio totalmente nuovo che non possiamo sapere a dove porterà. Prevederlo adesso è davvero impossibile", ma la svolta che ne seguirà sarà "molto, molto più grande - ribadisce Boncinelli - di quella che abbiamo vissuto 15 anni fa. E anche più vicina".

28 GIUGNO 2015

Oncologia. Tumori malattie sempre più croniche. Dalle Associazioni 6 proposte per migliorare l'assistenza e preservare la sostenibilità del Ssn

Introdurre indicatori per misurare la qualità delle prestazioni a livello regionale, mettere in rete le strutture piccole e medie con i Centri di riferimento regionali, creare percorsi strutturati di diagnosi e cura, accelerare e uniformare l'accesso ai farmaci innovativi, far valutare tutto questo da una Authority di controllo delle prestazioni. Sono alcune delle proposte operative messe a punto da Salute Donna onlus ed altre associazioni.

In Italia ogni giorno 1.000 persone ricevono una diagnosi di tumore; 30.000 famiglie ogni mese devono iniziare a confrontarsi con l'impatto psicologico, sociale ed economico della malattia. Fortunatamente cresce anche la sopravvivenza, che in Italia raggiunge ormai i 5 anni nel 60% dei casi, uno dei valori più alti nei Paesi europei. Proprio i successi della ricerca stanno cambiando il volto dei tumori, considerati sempre più malattie croniche, di lunga durata, oltre che malattie sociali, a causa della loro crescente prevalenza: oramai sono oltre 3 milioni, un italiano su 20, le persone che hanno conosciuto la malattia e questo dato crescerà a un ritmo di circa il 3% ogni anno. Diagnosi, cura e riabilitazione di pazienti oncologici destinati a vivere sempre più a lungo richiederanno al sistema sanitario sempre maggiori risorse, al punto da configurare i tumori anche come una emergenza economica. Inoltre, nel nostro Paese permangono ancora troppe differenze nella qualità dell'assistenza che alimentano il drammatico fenomeno della migrazione sanitaria. Al Centro-nord si registra una diminuzione dei tassi di mortalità superiore a quella delle Regioni meridionali.

Per contrastare queste difficoltà, aggravate dalla difficile situazione economica, adesso si mobilitano i pazienti: Salute Donna onlus e altre undici Associazioni di pazienti oncologici hanno presentato un Documento programmatico con sei proposte operative da attuare al più presto per ridurre l'impatto della malattia, migliorare la qualità di vita dei pazienti e dei loro familiari, ridurre la migrazione sanitaria. Le proposte sono state messe a punto dalla Commissione Tecnico-scientifica "La salute: un bene da difendere, un diritto da promuovere" di cui fanno parte alcuni dei maggiori specialisti oncologi, epidemiologi, farmacologi, economisti sanitari italiani, insieme ai rappresentanti delle Associazioni promotrici e di alcune aziende farmaceutiche.

Ma sul fronte della lotta ai tumori si mobilita finalmente anche la politica: Salute Donna onlus ha tenuto contatti ripetuti con i rappresentanti della politica italiana dando un forte e decisivo impulso alla costituzione dell'Intergruppo parlamentare "Insieme per un impegno contro il cancro" cui hanno aderito oltre 50 parlamentari di tutti gli schieramenti che intendono impegnarsi per promuovere la lotta al cancro come una priorità della politica sanitaria nazionale e a orientare in tal senso la legislazione.

"Salute Donna onlus e le altre Associazioni in tutti questi anni hanno continuato a ricevere richieste d'aiuto da parte dei pazienti e delle loro famiglie, costretti a spostarsi dalle città di residenza in altre Regioni per ricevere assistenza e terapie, con disagi enormi anche dal punto di vista economico – afferma **Annamaria Mancuso**, Presidente Salute Donna onlus – a un certo punto, consapevoli del fatto che le Regioni hanno l'obbligo anche costituzionale di garantire ai propri assistiti un'assistenza

appropriata, abbiamo deciso che era arrivato il momento di intervenire sulle inaccettabili disuguaglianze che caratterizzano la qualità assistenziale tra una Regione e l'altra. Dopo aver lanciato un Manifesto e promosso un'indagine sull'organizzazione del sistema di assistenza e cure, oggi presentiamo il Documento programmatico che traduce in sei azioni le principali richieste delle Associazioni pazienti".

Introdurre indicatori per misurare la qualità delle prestazioni a livello regionale, mettere in rete e collegare le strutture piccole e medie con i Centri di riferimento regionali, creare percorsi strutturati di diagnosi e cura che non costringano i pazienti a peregrinare tra i Centri senza punti di riferimento, accelerare e uniformare l'accesso ai farmaci innovativi; far valutare tutto questo da una Authority di controllo della qualità e della omogeneità delle prestazioni. Sono queste le azioni chiave da promuovere per le Associazioni pazienti, che chiedono inoltre di intervenire sui fattori di rischio ambientale che favoriscono l'insorgenza dei tumori e ne condizionano anche l'evoluzione nelle persone già ammalate.

Dopo la presentazione del Documento programmatico, Salute Donna onlus e le altre Associazioni avvieranno una serie di incontri con i rappresentanti delle Regioni per misurare l'impatto e la praticabilità delle loro proposte a livello di sistemi sanitari regionali.

Le 6 proposte delle Associazioni Pazienti

1. Introdurre nel "Documento tecnico di indirizzo per ridurre il carico di malattia del cancro 2011-2013" - Piano Oncologico Nazionale (PON) un sistema di indicatori delle performance a livello regionale fissando per le azioni di maggiore impatto obiettivi misurabili, affiancato da un piano di finanziamento di ricerca in sanità pubblica per il supporto alla diffusione delle migliori pratiche. **Sergio Lodato**, Direttore Controllo di gestione, A.O. Antonio Cardarelli, Napoli: "Il maggior limite del "Documento tecnico di indirizzo per ridurre il carico di malattia del cancro 2011-2013" è stato quello di non aver indicato insieme alle azioni programmate da intraprendere per la prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione delle malattie oncologiche, almeno per le azioni a maggiore impatto, gli obiettivi da raggiungere attraverso indicatori per misurare i risultati, eventualmente, raggiunti. La mancanza di indicatori nel PON ha comportato l'accentuazione delle disparità geografiche, in termini di accessibilità alle prestazioni e qualità dell'assistenza. Sarebbe necessario che l'Agenas definisca pochi indicatori capaci di indagare, nelle varie Regioni, aspetti inerenti l'accessibilità e la qualità dell'assistenza oncologica e far emergere le aree territoriali che presentano maggiori criticità, avviando interventi risolutivi".

2. Attuare le reti assistenziali per garantire la tempestività nella presa in carico dei pazienti, adeguati livelli di cura e di continuità dell'assistenza per una vera promozione della medicina della riabilitazione, equità nelle condizioni di accesso e di fruizione, assicurando all'interno di ciascuna regione le migliori cure, limitando i fenomeni di mobilità sanitaria se non per le condizioni più complesse e rare. **Stefania Gori**, Segretario Nazionale Aiom, Associazione Italiana di Oncologia Medica: "Le reti oncologiche sono una realtà in alcune Regioni italiane e sono in fase di organizzazione in molte altre, ma sono ciò a cui dobbiamo tendere per superare le attuali criticità. Ciò che abbiamo sicuramente raggiunto in questi anni in campo oncologico è la multidisciplinarietà: questo aspetto è fondamentale per migliorare l'assistenza ai pazienti ed è stato ben recepito nel Documento programmatico delle Associazioni".

3. Definire i Percorsi Diagnostico-Terapeutici Assistenziali (PDTA) per le malattie oncologiche al fine di assicurare il coordinamento di tutte le azioni che intervengono nella diagnosi, cura e assistenza al paziente, sia in ospedale che nel territorio, e raggiungere così livelli standard di qualità, di corretta allocazione delle risorse e, requisito fondamentale, di equo accesso alle cure. Nell'ambito della definizione dei PDTA prevedere l'inserimento nei LEA di prestazioni codificate per i portatori di condizioni a rischio di tipo familiare note alla comunità scientifica, come ad esempio l'esenzione per tutte le persone portatrici di mutazione genetica BRCA-1 e BRCA-2 germinale o somatica. **Paolo Marchetti**, Professore ordinario di Oncologia Medica, Direttore di U.O.C. Oncologia Medica, A.O. Sant'Andrea, Roma: "Ci sono tanti aspetti del percorso di cura che andrebbero sostenuti o migliorati: ad esempio la razionalizzazione del follow-up intensivo per il quale si spendono ogni anno più di 500 milioni di euro a causa di esami che si potrebbero davvero evitare perché inutili. Dobbiamo indirizzare le cure e l'assistenza verso i bisogni del paziente e non verso i bisogni del medico poiché quello che conta è il valore che il paziente attribuisce a una determinata scelta".

4. Istituire un'Authority di controllo della qualità e dell'omogeneità delle prestazioni che preveda la partecipazione delle Associazioni dei pazienti.

5. Favorire l'equità di accesso ai farmaci innovativi in sintonia con i tempi degli altri paesi Europei, attraverso misure che pur tenendo conto dei problemi di sostenibilità consentano di superare le differenze tra le Regioni e i ritardi nell'accesso alle nuove terapie, ponendo l'attenzione sul "nuovo" paradigma di cura per l'Oncologia o 4° pilastro come definito dall'AIOM, ovvero l'Immuno-Oncologia. **Maurizio de Cicco**, Vicepresidente Farindustria: "Le Istituzioni, soprattutto quelle regionali, devono rendere prontamente disponibili i nuovi medicinali a tutti e in particolar modo ai malati oncologici. Con i ritardi di oggi di circa due anni, il rischio per l'Italia è che la ricerca si sposti altrove ma soprattutto che siano compromesse le speranze di migliaia di pazienti e delle loro famiglie. L'iniziativa di Salute Donna onlus, con la richiesta di trasparenza e tempestività nell'accesso ai farmaci innovativi, in linea con gli standard europei, rappresenta quindi una importante sollecitazione nei confronti dei decisori politici da parte dei pazienti, veri destinatari della ricerca e dell'innovazione".

Federico Spandonaro, Università Tor Vergata di Roma e Presidente CREA – Consorzio per la Ricerca Economica Applicata in Sanità: "Al momento il Ssn è ancora in grado di sostenere la spesa per i farmaci innovativi, per il futuro ci potrà essere un assestamento complessivo dei prezzi anche se questi farmaci saranno sempre più complessi e targettizzati su piccoli numeri di popolazione e quindi con una tendenza ad essere costosi. Il Documento tecnico offre indicazioni molto sagge suggerendo di non prevedere un accesso indiscriminato ma rivendicando il diritto dei pazienti a decisioni trasparenti e veloci".

6. Promuovere la prevenzione, sostenere le azioni di contrasto ai fattori di rischio per la salute con l'obiettivo di ridurre in prospettiva il carico di malattia, migliorare la prognosi per i malati e liberare le necessarie risorse per la cura e la riabilitazione; verificare lo stato di attuazione e aggiornare il programma di prevenzione "Guadagnare Salute". **Andrea Micheli**, Ex Direttore Struttura Complessa di Epidemiologia, Fondazione IRCCS "Istituto nazionale dei Tumori", Milano: "Il programma di prevenzione "Guadagnare salute" delinea un intervento di prevenzione di largo respiro che fa leva su quattro fattori sui quali esiste un consenso pieno della comunità scientifica in merito al loro ruolo per la salute e anche sulle malattie oncologiche: fumo, alcool, attività fisica, dieta. Se riuscissimo a mettere in atto le strategie di prevenzione di cui è comprovata l'efficacia, negli anni potremmo dimezzare le nuove diagnosi di tumore passando dagli attuali 1.000 nuovi casi al giorno a 500".

Melanoma e rischio associato agli inibitori della PDE5



28 giugno 2015

Gli uomini che assumono inibitori della fosfodiesterasi di tipo 5 (PDE5) per il trattamento della disfunzione erettile potrebbero essere esposti a un aumento piccolo, ma significativo, dell'incidenza del melanoma maligno. A suggerirlo è uno studio caso-controllo pubblicato da poco su JAMA.

Tuttavia, sottolineano gli autori, potrebbe non esserci un nesso causale fra il trattamento con questi farmaci e aumento del rischio di melanoma.

"Quello che mostrano i nostri risultati è che gli uomini con più probabilità di sviluppare un melanoma maligno sono quelli con un reddito più elevato e con un maggior grado di istruzione, uomini che probabilmente possono anche permettersi più vacanze al sole e che hanno anche i mezzi per acquistare i farmaci contro la disfunzione erettile " afferma l'autrice principale dello studio Stacy Loeb, del dipartimento di urologia del NYU Langone Medical Center di New York, in un comunicato stampa.

Per arrivare a tali conclusioni, la Loeb e gli altri autori hanno analizzato le cartelle cliniche di uomini inclusi nello Swedish Prescribed Drug Register che avevano utilizzato sildenafil, tadalafil o vardenafil. In questo gruppo sono stati diagnosticati in totale 4065 casi di melanoma. Tra questi pazienti, a 435 (l'11%) era stato prescritto un inibitore della PDE5. Tra i 20.325 uomini nel gruppo di controllo, a cui non era stato diagnosticato alcun melanoma, era stata fatta almeno una prescrizione di questi farmaci nell'8% dei casi.

Tra gli uomini che avevano assunto un inibitore della PDE5, i ricercatori hanno calcolato un aumento del 21% del rischio di melanoma rispetto a coloro che non avevano preso questi farmaci. Il rischio è risultato più alto, con un incremento del 32%, tra coloro ai quali era stata fatta una sola prescrizione di un inibitore della PDE5; tra i pazienti ai quali erano state fatte più prescrizioni, il rischio è risultato più basso e compreso tra il 14% e il 17%, a seconda del numero di prescrizioni. Il rischio è risultato simile per tutti e tre i inibitori della PDE5 attualmente disponibili.

Dato che i risultati non mostrano un rischio più alto negli uomini esposti maggiormente a questi farmaci, secondo gli autori l'associazione osservata potrebbe non dipendere da una relazione causa-effetto, ma essere

legata ad altri fattori, tra cui lo stile di vita. Deporrebbe a favore di quest'interpretazione anche il fatto che un livello di istruzione superiore e un reddito annuo più elevato sono risultati associati a un aumento del rischio di melanoma.

In questo stesso studio, i ricercatori hanno anche evidenziato un aumento del 19% del rischio di carcinoma basocellulare associato all'uso degli inibitori della PDE5. In origine, la preoccupazione che gli inibitori della PDE5 possono contribuire al rischio di melanoma è scaturita dalla constatazione che la PDE5 è coinvolta nel pathway della MAP chinasi, che è sovraregolato nel melanoma. Tuttavia, non è stato dimostrato che questo pathway sia importante nel carcinoma basocellulare.

"Se utilizzati in modo appropriato, i farmaci per la disfunzione erettile sono molto efficaci e migliorano la qualità della vita di molti uomini, perciò i pazienti devono essere consapevoli che il pattern dell'associazione emerso solleva qualche dubbio sul fatto vi sia un nesso causale tra assunzione di questi farmaci e aumento del rischio di melanoma" conclude l'autrice.

S. Loeb, et al. Use of Phosphodiesterase Type 5 Inhibitors for Erectile Dysfunction and Risk of Malignant Melanoma. JAMA. 2015; 313(24):2449-2455. doi: 10.1001/jama.2015.6604.

[leggi](#)

[[chiudi questa finestra](#)]

Tumori del sangue: sfida di cure su misura e sostenibilità per il sistema



28 giugno 2015

Meno ricoveri ma più costosi, con la spesa sanitaria che tende ad andare fuori controllo. È questa la realtà italiana nella gestione sanitaria e terapeutica dei tumori del sangue, come linfomi, leucemie ed altro: a fronte di un calo delle giornate di ricovero, diminuite del 15 per cento tra il 2004 e il 2011 (da oltre 192mila a poco più di 162mila), il costo per il ricovero è cresciuto del 65,9 per cento passando da circa 4.200 euro nel 2004 a circa 7.000 euro nel 2011.

Questi dati, derivati da un'analisi del CEIS-Tor Vergata di Roma, vanno ovviamente letti con attenzione, "selezionando" le voci relative alle specifiche patologie. Analizzando più in profondità, gli esperti del centro romano hanno osservato che alcune patologie onco-ematologiche, come il linfoma di Hodgkin e i mielomi, hanno portato ad un incremento dei costi sanitari diretti, con una crescita rispettivamente del 115 e del 110 per cento.

La disponibilità di terapie innovative, con farmaci e anticorpi monoclonali in grado di attaccare specificamente le cellule patologiche risparmiando quelle sane, da un lato ha modificato radicalmente lo scenario di queste malattie portando a risultati di sopravvivenza prima irraggiungibili, ma dall'altro ha determinato la crescita dei costi sanitari ad esse correlati.

Come disegnare quindi un futuro che consenta di assicurare ai pazienti che ne hanno necessità i farmaci più avanzati ma al contempo di favorire la sostenibilità del sistema sanitario nazionale? Una risposta autorevole viene dal convegno Horizon Scanning in Ematologia, in corso a Roma presso l'Hotel Columbus, che vede la partecipazione di alcuni tra i massimi esperti della Società Italiana di Farmacologia e della Società Italiana di Ematologia, impegnati a cercare di definire il futuro a breve e lungo termine della lotta ai tumori del sangue.

"Horizon Scanning rappresenta un'occasione unica di discussione per trasformare le attuali complessità in opportunità di crescita: – spiega il Professor **Pier Luigi Canonico**, Ordinario di Farmacologia presso l'Università del Piemonte Orientale A. Avogadro – per ottimizzare l'approccio alle neoplasie ematologiche occorre, infatti, avere un'idea di quelli che potranno essere gli sviluppi della ricerca e le possibilità di utilizzo di

nuovi farmaci a breve a lungo termine. Attraverso l'analisi delle soluzioni innovative dal punto di vista farmacologico e il confronto con gli ematologi che oltre a portare il loro know-how possono offrire la loro competenza sugli effettivi bisogni clinici e terapeutici non soddisfatti dei pazienti, puntiamo a mettere a disposizione dei decisori sanitari una serie di criteri per programmare il futuro”.

L'obiettivo del convegno è quindi chiaro: pur se l'aumento dei costi unitari per il sistema sanitario è senz'altro da attribuirsi all'introduzione nel settore di nuove e più costose terapie (in particolare, l'introduzione degli anticorpi monoclonali ha modificato lo scenario aumentando in modo determinante il numero dei successi terapeutici), occorre fermarsi sui dati farmacoeconomici disponibili per prospettare a chi deve programmare le scelte un futuro sostenibile. Senza dimenticare che nel computo “ragionieristico” occorre anche considerare il peso dei trattamenti sui costi indiretti.

“Spesso ci si sofferma solo sull'analisi dei costi sostenuti dal Servizio Sanitario Nazionale – dichiara **Francesco Saverio Mennini**, Research Director del CEIS Economic Evaluation and HTA – senza considerare un'altra categoria di costi, quelli indiretti. Spesso sono anche maggiori e rappresentano una voce molto importante della spesa pubblica: indicative sono in questo senso alcune elaborazioni realizzate sulla base del rapporto FAVO 2010-2015 secondo cui, nel periodo 2009- 2012, le prestazioni previdenziali sono passate da 935 a un miliardo e 100 milioni di euro”. Sempre in relazione ai costi indiretti, nel corso dei lavori si è tuttavia rilevato che le nuove terapie possono anche contribuire alla loro riduzione, proprio per la loro capacità di allungare sempre più i periodi liberi dalla malattia, comprimendo i costi assistenziali e sociali per i pazienti.

È dunque uno scenario complesso quello che si profila per i prossimi anni davanti alla classe politica, alla comunità medico-scientifica e a quella dei gestori della sanità sul territorio. Uno scenario nel quale le attese dei pazienti si confrontano con le scelte di politica sanitaria "... che vedono il Governo Renzi impegnato in prima linea – come ha dichiarato l'On. **Pier Paolo Baretta**, Sottosegretario all'Economia e alle Finanze – impegnato in una revisione della spesa finalizzata ad eliminare gli sprechi, senza ridurre i servizi assistenziali per i cittadini. Dobbiamo essere consapevoli del fatto che la domanda di sanità, visto il costante invecchiamento della popolazione, è destinata ad aumentare. Per questo – ha proseguito Baretta – è anche assolutamente necessaria una maggiore sussidiarietà tra pubblico e privato (sia profit che no-profit), così da garantire tutta l'assistenza sanitaria necessaria. Costi standard sia per la sanità pubblica che convenzionata, educazione sanitaria più diffusa e sostegno alla ricerca medica sono tutte componenti necessarie per realizzare un sistema sanitario efficace e sostenibile”.

[[chiudi questa finestra](#)]

Carcinoma basocellulare, parere UE positivo per sonidegib



28 giugno 2015

Il Chmp ha dato parere favorevole all'approvazione del farmaco orale sonidegib (LDE225) per il suo impiego nel trattamento del carcinoma basocellulare (BCC), la forma più comune di cancro della pelle. L'indicazione proposta si riferisce alle forme localmente avanzate della malattia non trattabili con la radioterapia o la chirurgia effettuata a scopo curativo. Sviluppato da Novartis, una volta approvato in via definitiva sarà messo in commercio con il marchio Odomzo.

Il BCC è la forma più comune di cancro della pelle, che rappresenta oltre l'80 % dei tumori cutanei non - melanoma, e può essere altamente deturpante e se cresce determina un pericolo di vita. Raramente il BCC metastatizza o diventa letale ma una volta che lo fa, può essere associato a significativa morbidità.

Il farmaco ha dimostrato la sua capacità di ridurre le lesioni localmente avanzate del BCC, con un tasso di risposta di circa il 54% e una sopravvivenza libera da progressione di circa 22 mesi. I più comuni effetti collaterali del trattamento con sonidegib sono crampi muscolari, dolori muscolari, perdita di capelli, alterazione o perdita del gusto, nausea, diarrea, aumento della creatina fosfochinasi ematica diminuzione di peso e affaticamento.

Come parte dell'autorizzazione all'immissione in commercio dovranno essere attuati un piano di prevenzione della gravidanza e un piano di farmacovigilanza.

Come funziona il farmaco Sonidegib è un inibitore della via di segnalazione Hedgehog (Hh). Il pathway di Hedgehog è una via di trasduzione del segnale che modula la crescita e il corretto posizionamento degli organi durante lo sviluppo embrionale, ma è di norma inattiva nell'organismo adulto. Il circuito è formato da diverse proteine, di cui due - Patched e Smoothed – sono particolarmente importanti e fungono da interruttori. Normalmente Patched 'spegne' Smoothed, inibendo la proliferazione cellulare.

Nel carcinoma basocellulare, invece, si possono verificare mutazioni di una delle due proteine, che hanno come conseguenza una 'riaccensione' del pathway e il riavvio della divisione cellulare. Sonidegib (come vismodegib) è in grado di inibire la proteina Smoothed, bloccando così la segnalazione anomala e inibendo la crescita della cellule tumorali.

La via Hedgehog è fondamentale nella fase di sviluppo embrionale degli organi (organogenesi) e nel corretto posizionamento degli organi nell'organismo. Inoltre, la via di segnalazione Hedgehog è fondamentale per garantire che i tessuti in via di sviluppo crescano nella loro esatta dimensione.

Il gene Hh è stato identificato nel corso degli studi sul moscerino della frutta (*Drosophila melanogaster*). Quando le proteine di segnalazione Hh non sono attive, il moscerino embrione non si sviluppa correttamente e prende una forma simile a un riccio (hedgehog), da cui deriva il nome.

In molti tumori, la via di segnalazione Sonic Hedgehog sembra essere attivata.

Dati clinici a conferma dell'azione del farmaco. In uno studio denominato BOLT (Basal cell carcinoma Outcomes in LDE225 Trial), sonidegib ha raggiunto il suo obiettivo primario di una risposta clinicamente significativa del tumore. In alcuni pazienti, i tumori sono completamente scomparsi.

Lo studio BOLT, un trial randomizzato, in doppio cieco di fase II è stato progettato per valutare la sicurezza e l'efficacia di due dosi orali di LDE225 (200 mg e 800 mg.) in pazienti con localmente avanzato o metastatico BCC , che sono sottotipi di carcinoma avanzato a cellule basali.

L'endpoint primario dello studio era la percentuale di pazienti che raggiungevano un tasso di risposta obiettiva, definita come una risposta completa confermata e risposta parziale come la loro miglior risposta globale a criteri RECIST modificati, entro sei mesi dall'inizio del trattamento con LDE225.

I principali endpoint secondari comprendevano la valutazione della durata del tumore di risposta e il tasso di risposta completa , mentre altri endpoint secondari comprendevano la sopravvivenza libera da progressione, il tempo di risposta del tumore e la sopravvivenza globale.

Il tasso di risposta obiettiva è stato raggiunto dal 36% (dose di 200 mg) e dal 34% (dose da 800 mg) dei pazienti.

Carcinoma basocellulare Con un'incidenza annuale mondiale pari a circa 2 milioni di casi, il carcinoma basocellulare (o basalioma) è il più comune in assoluto tra i tumori cutanei, circa 10 volte più frequente del ben più conosciuto melanoma, con un'incidenza in aumento galoppante, anche tra i giovani.

In genere, nella stragrande maggioranza dei pazienti in cui viene diagnosticata, la malattia può essere curata e guarire con la chirurgia e/o la radioterapia; tuttavia, in casi per fortuna molto rari (si parla di circa l'1%), può progredire crescendo sempre più in profondità nella pelle e nei tessuti sottostanti (forma localmente avanzata) o diffondendosi ad altre parti del corpo (forma metastatica), diventando difficile da trattare e potenzialmente letale.

In più del 90% dei casi di BCC è stata riscontrata una mutazione che attiva il pathway di Hedgehog. L'inibizione del pathway di Hedgehog rappresenta il bersaglio terapeutico degli inibitori di SMO che rappresentano una valida opzione per i pazienti per cui la chirurgia e la radioterapia risultano inappropriate.

Dr Michael R Migden, Alexander Guminski, Prof Ralf Gutzmer et al. Treatment with two different doses of sonidegib in patients with locally advanced or metastatic basal cell carcinoma (BOLT): a multicentre, randomised, double-blind phase 2 trial The Lancet Oncology Volume 16, No. 6, p716–728, June 2015

[Leggi](#)

Comunicato Ema

[Leggi](#)

[[chiudi questa finestra](#)]

Mieloma multiplo, parere positivo del Chmp per panobinostat, capostipite di una nuova classe di farmaci



28 giugno 2015

Gli esperti europei del Chmp hanno dato parere positivo all'approvazione di panobinostat in combinazione con bortezomib e desametasone in pazienti adulti con mieloma multiplo, già precedentemente trattati. Sviluppato da Novartis, una volta approvato in via definitiva sarà messo in commercio con il marchio Farydak.

Inibendo gli enzimi noti come istoni deacetilasi (HDAC), panobinostat può rallentare l'eccessivo sviluppo delle plasmacellule nei pazienti con mieloma multiplo o procurare la morte delle cellule tumorali.

Panobinostat è il primo inibitore di HDAC ed è già stato approvato dall'FDA per il trattamento del mieloma multiplo. È destinato ai pazienti che hanno ricevuto almeno due precedenti terapie standard, tra cui bortezomib e un agente immunomodulante. Dovrà essere impiegato in combinazione con bortezomib e desametasone.

La domanda di registrazione si è basata sui dati dello studio di fase III PANORAMA-1 (PANobinostat ORAI in Multiple Myeloma), nei quali l'aggiunta di panobinostat ha prodotto un aumento di 7,8 mesi della PFS (12,5 vs 4,7).

PANORAMA-1 è uno studio registrativo di fase III, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, condotto per valutare panobinostat in combinazione con bortezomib e desametasone contro bortezomib e desametasone in pazienti con mieloma multiplo in recidiva o recidivato e refrattario che hanno fallito su almeno un precedente trattamento. Lo studio condotto su 768 pazienti ha avuto luogo in 215 centri di sperimentazione clinica diventando così il più grande studio di registrazione globale per il mieloma multiplo mai condotto fino ad oggi.

L'endpoint primario dello studio era la PFS. I dati per la sopravvivenza globale, la chiave endpoint secondario dello studio, non sono ancora maturi. Altri endpoint secondari comprendono il tasso di risposta complessiva, la durata della risposta e della sicurezza.

Panobinostat è un potente inibitore pan-DAC che rappresenterà un trattamento appartenente a una nuova

classe di farmaci per i pazienti con mieloma multiplo recidivato o recidivato e refrattario. Come regolatore epigenetico, il farmaco può contribuire a ripristinare la programmazione cellulare nel mieloma multiplo.

Il mieloma multiplo è un tumore maligno delle plasmacellule, un tipo di globuli bianchi presenti nel midollo osseo, il tessuto molle responsabile della produzione del sangue e che è contenuto nella cavità della maggior parte delle ossa.

Il cancro è causato dalla produzione e dalla crescita di cellule anomale all'interno del plasma, che si moltiplicano e si accumulano nel midollo osseo, spingendo fuori le cellule sane e impedendo loro di funzionare normalmente.

Il mieloma multiplo è una malattia incurabile, con un elevato tasso di recidiva (ricomparsa del cancro) e resistenza (cessazione dell'efficacia della terapia), nonostante i trattamenti attualmente disponibili. Si verifica in genere in soggetti di età pari o superiore a 60 anni, con alcuni casi di individui al di sotto dei 40 anni.

[[chiudi questa finestra](#)]