



Leucemie

Famiglia di tumori delle cellule del sangue di cui soffrono oltre 50 mila italiani. La sopravvivenza è salita dal 1990 a oggi di oltre il 7%



Linfomi

Gruppo di tumori dei linfociti. I più diffusi sono quello di Hodgkin e non Hodgkin. Ne soffrono circa 150 mila italiani



Mieloma

È un tumore delle cellule del sistema immunitario presenti nel midollo osseo. La sopravvivenza dal 1990 a oggi è salita di più del 12%



Pediatriche

Le leucemie sono i cancro più diffusi tra i bambini. In Italia ogni anno se ne ammala circa 5 su 100.000 abitanti. Più del 70% guarisce

Il summit. Malattie fatali 50 anni fa, oggi trattabili. L'ematologia è il banco

di prova dei farmaci anticancro, la prima linea dei loro successi. Oggi è a un crocevia.

E deve scegliere dove andare. 40 opinion leader delineano i nuovi traguardi della scienza

C'è un laboratorio che scorre nelle vene

PIER GIUSEPPE PELICCI*

L'EMATOLOGIA È da sempre il laboratorio d'innovazione per tutta l'oncologia. È nei tumori del sangue che sono stati sperimentati il primo trattamento di chemioterapia (1950), la prima polichemioterapia (1960), il primo trapianto di midollo (1970), i primi farmaci molecolari (fine anni 90). Con risultati clinici straordinari. Leucemie, linfomi e mielomi erano malattie invariabilmente fatali. A distanza di 50 anni, la maggior parte dei pazienti ha una sopravvivenza superiore a 5 anni e molti guariscono. L'utilizzo delle chemioterapia e dei farmaci molecolari si è poi esteso anche ad altri tipi di tumore, con risultati incoraggianti. Oggi l'ematologia si pone due nuovi obiettivi: il primo è la guarigione di tutti i pazienti, anche nelle forme ancora poco sensibili alle terapie, e il secondo è la guarigione senza chemioterapia. Se pur ambiziosi, questi progetti non sono fuori luogo. Un esempio, la leucemia acuta promielocitica, rara forma di leucemia mieloide: nel 1973, il 20% dei pazienti guariva con la chemioterapia; nel 1993, guariva il 90% grazie al primo farmaco molecolare (l'acido retinoico) utilizzato in combinazione con la chemioterapia; infine, nel 2013, è

il 95% dei pazienti a guarire grazie all'acido retinoico in combinazione con un altro farmaco molecolare, l'arsenato, senza chemioterapia. Tutte ricerche italiane.

Gli scienziati hanno prima compreso quali fossero le cause della leucemia promielocitica (quali geni e quali proteine sono alterate), e poi hanno disegnato farmaci contro quelle proteine anomale (molecolari). Il problema è che questo percorso non è avvenuto allo stesso tempo per tutti gli altri tumori del sangue, e molti restano senza cura. Perché ogni tipo di tumore è una storia a sé. Ha le sue alterazioni genomiche, e ha bisogno dei suoi farmaci. È quindi una questione di tempo, quello necessario a cercare le combinazioni giuste. Ma conosciamo la strada da percorrere. C'è bisogno, però, di una task force che ci permetta di farlo il più efficacemente e rapidamente possibile. La comunità scientifica s'interroga sulle priorità della ricerca: la genomica (come estendere l'analisi del genoma a tutti i pazienti, come meglio interpretare i dati per scegliere i farmaci giusti, come orientare la ricerca di nuovi farmaci); l'epigenomica, quel complesso di modificazioni del DNA indotte dall'ambiente (come integrarla con la genomica e identificare nuovi farmaci); le terapie immunologiche (quali anticorpi costruire; come armare i nostri linfociti contro i tumori); le cellule staminali (come coltivarle, e usarle nei trapianti); quali trattamenti per i pazienti anziani,

che sono in continuo aumento e necessitano di terapie specifiche. È indispensabile un'agenda per stabilire le priorità della ricerca, nella quale possano convergere scienziati, medici, agenzie, industria, politica e i pazienti stessi. Ma saremo in grado di garantire a tutti i pazienti i nuovi trattamenti, che hanno costi molto alti? Sinora, in Italia e in alcuni paesi europei, è stato possibile: una grande conquista. Ma con la scoperta di nuovi trattamenti i costi sono destinati ad aumentare, e occorre una strategia. C'è bisogno che tutte le fasi che conducono alla scoperta di un nuovo trattamento vengano riviste e razionalizzate: la ricerca fondamentale, lo sviluppo dei farmaci, la sperimentazione clinica. C'è bisogno che la ricerca accademica e quella industriale trovino nuove forme di collaborazione, e che le regole per l'approvazione dei nuovi farmaci si adattino ai nuovi approcci. E sempre più i pazienti e i cittadini dovranno essere coinvolti nelle scelte. Ma la strada imboccata è senza ritorno. In questo momento le nuove terapie sono un costo addizionale. Ma se arriveremo a terapie curative per la maggior parte dei tumori, i costi caleranno. I nostri sistemi sanitari hanno la responsabilità di gestire questa fase transitoria, con la consapevolezza che in gioco c'è il mantenimento di un modello straordinario di salute pubblica, e che la strada è quella giusta.

*direttore Ricerca scientifica
Istituto Europeo di Oncologia, Milano*



Task force

Medici e ricercatori, le industrie, i legislatori e i cittadini. Per trovare cure a tutti i cancri del sangue. E renderle disponibili

Dall'epigenomica alle cellule

staminali: da dove verranno

le cure che azzereranno il male?

