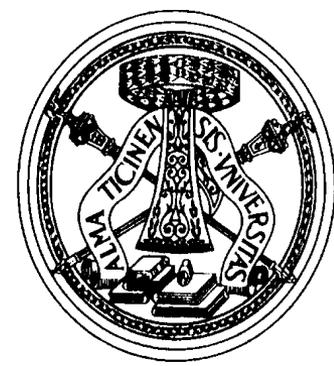




U.O. Ematologica
IRCCS Fondazione Policlinico San Matteo
Università di Pavia

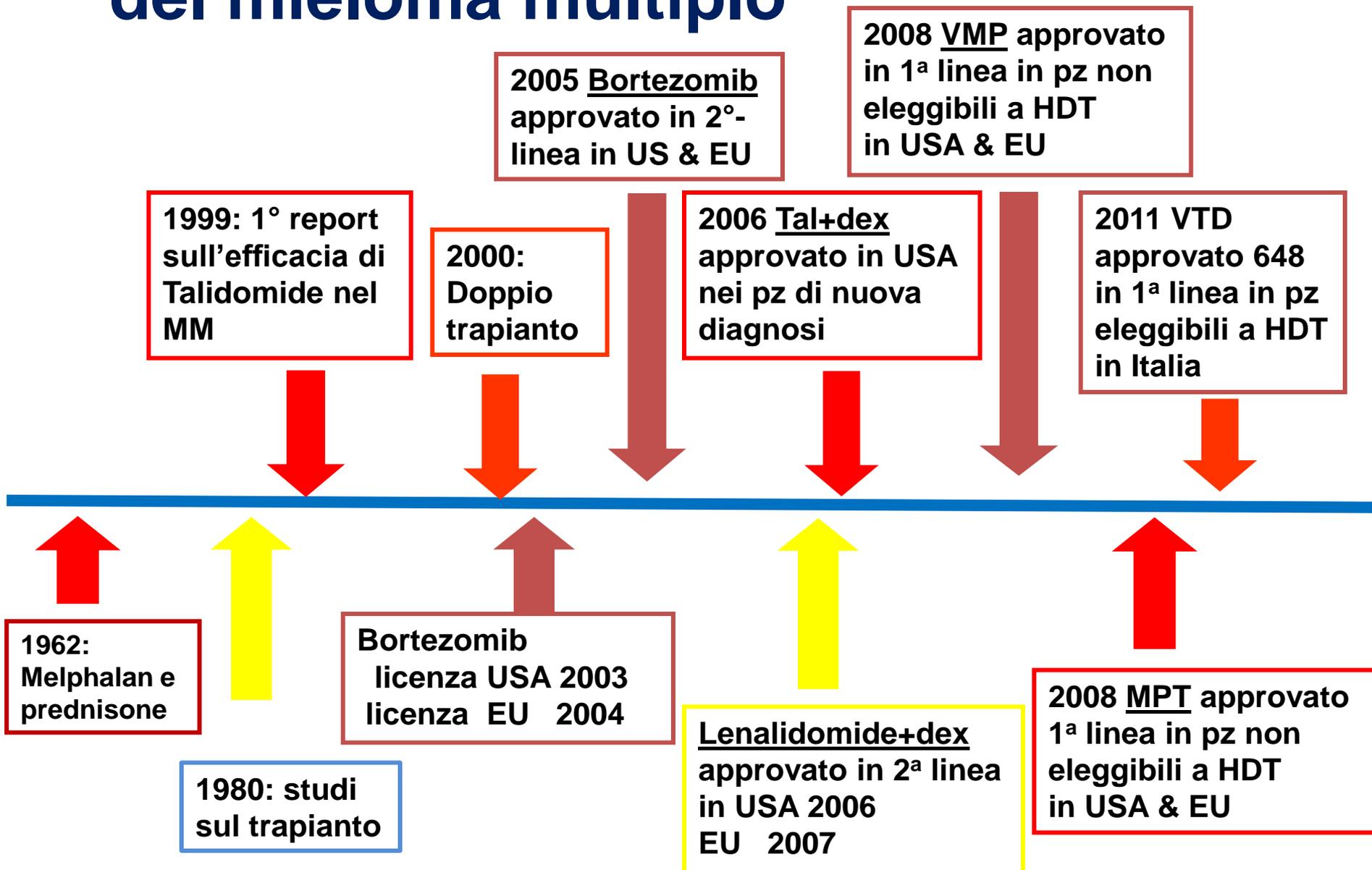


La sperimentazione clinica: cosa bolle in pentola

Alessandro Corso

Il mieloma: imparare a conoscerlo per
combatterlo meglio
Milano 19 Settembre 2015

Progressi nel trattamento del mieloma multiplo



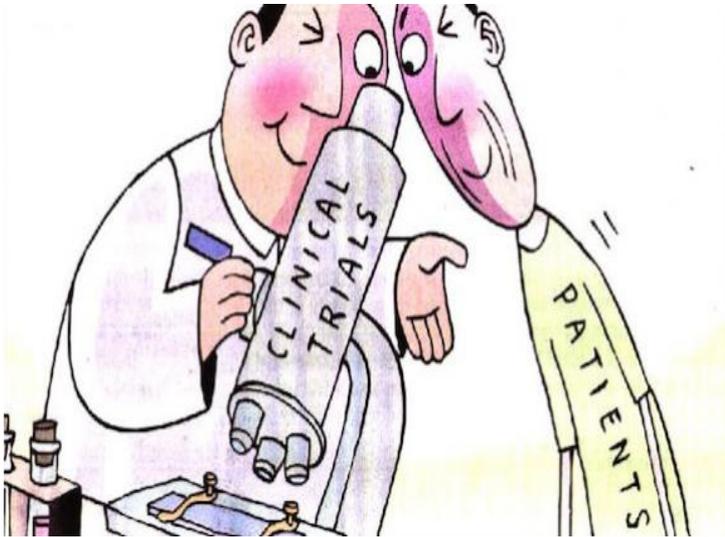
Approccio alle cure e agli studi

- I protocolli di cura risultato di molto lavoro svolto dalla **comunità scientifica** e dalle istituzioni a tutela del paziente
- Il **lavoro** di molte persone per sviluppare le cure e molte altre persone per attuarle
- Il nostro dovere di pazienti è di **interagire** con i nostri centri di eccellenza per concorrere ad individuare possibili **nuove strade** nell'interesse di quanti come noi attendono nuove speranze di vita

Approccio alle cure e agli studi

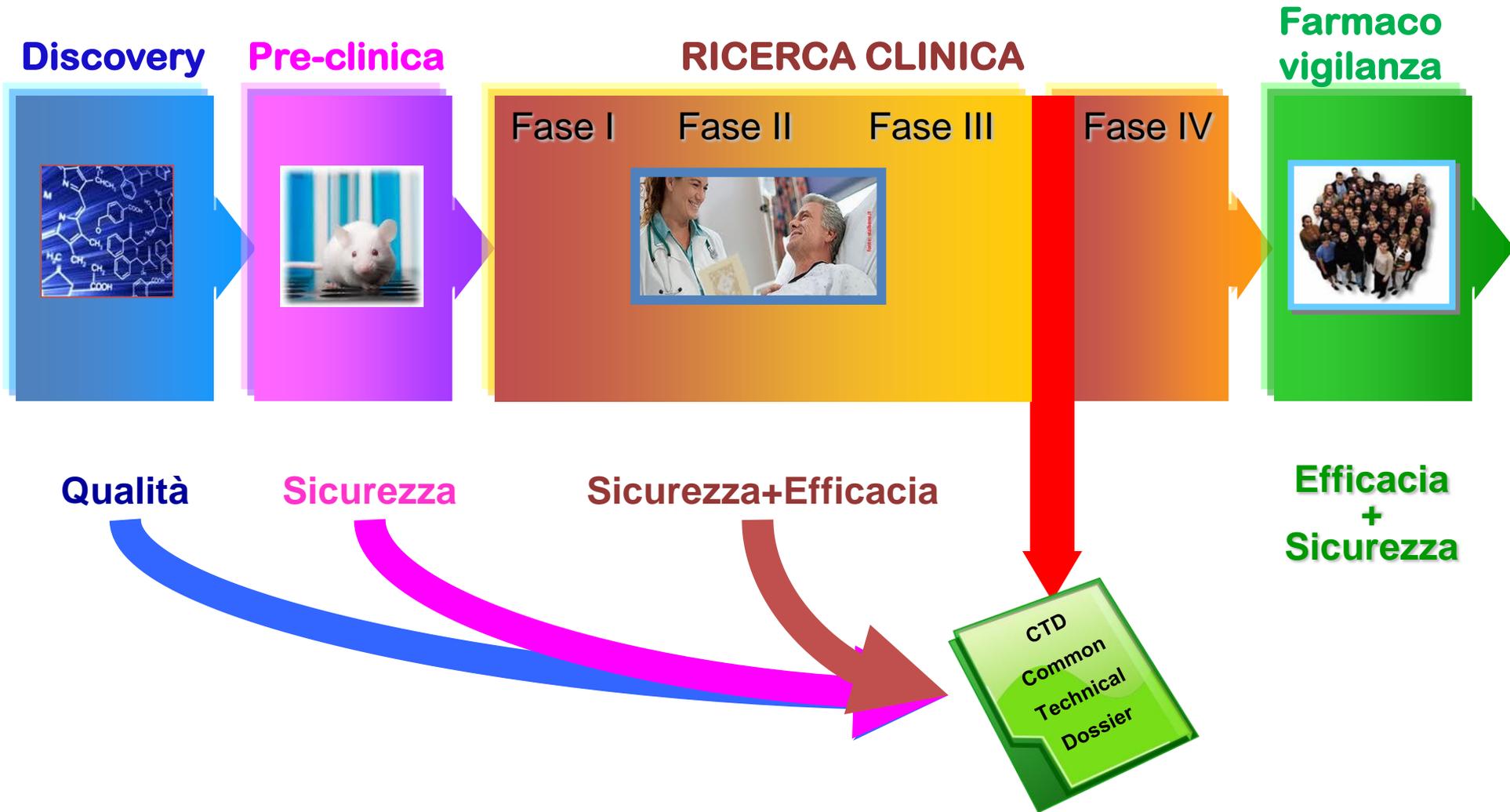
- **L'industria del farmaco** non ha nessun interesse a guarire i malati. Il suo interesse è di continuare a curarli per tanti anni per massimizzare i profitti
- La **medicina definita codificata** e certificata è quella delle multinazionali del farmaco. Così si continua a utilizzare la **devastante** ma remunerativa chemioterapia...
- Mi chiedo come facciano molti medici a coricarsi la sera e dormire sonni tranquilli sapendo che le cure che sono costretti a praticare **non guariranno l'ammalato** ma lo accompagnano nel “braccio della morte”

Cos'è la sperimentazione clinica?

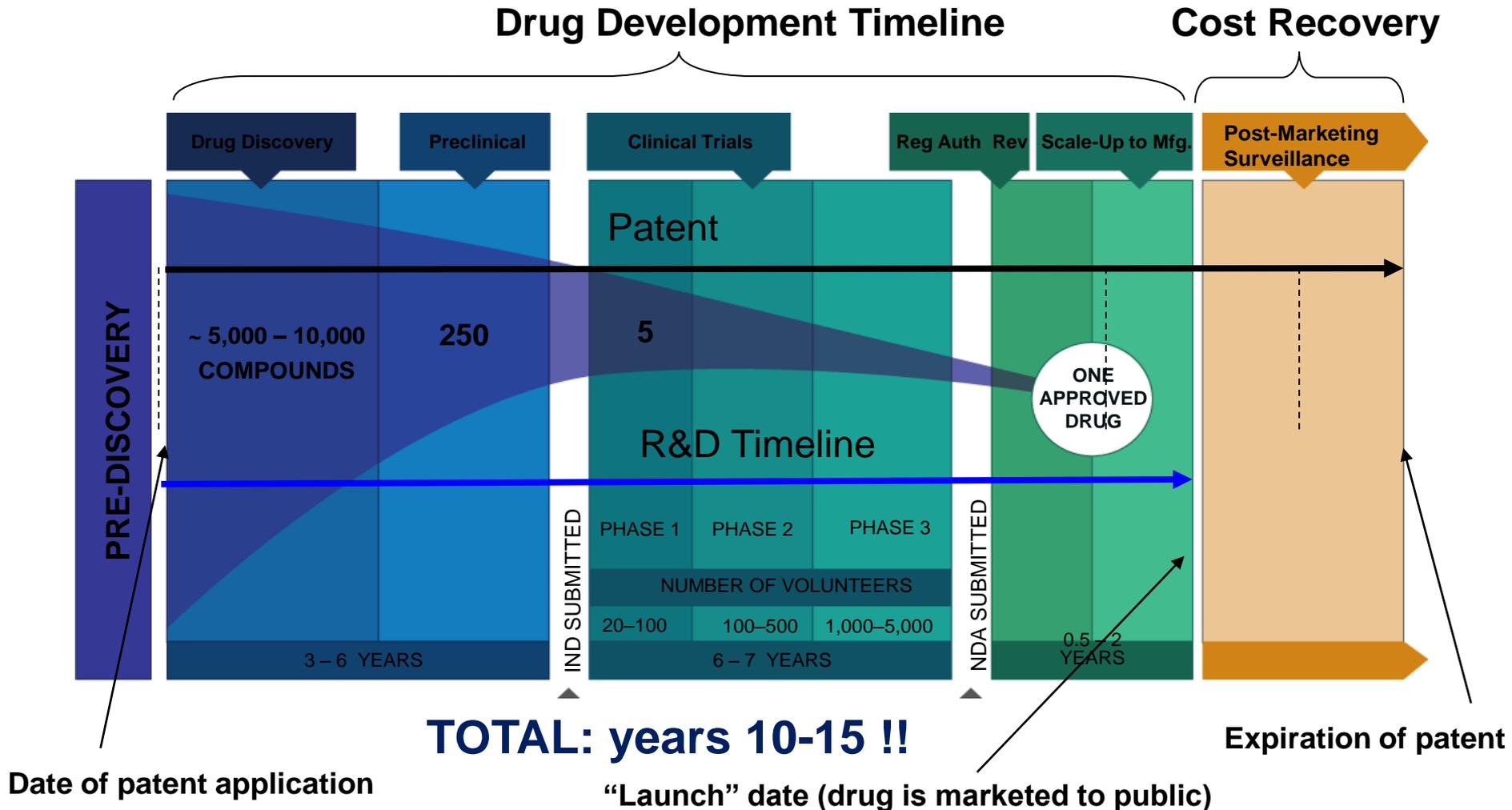


La sperimentazione è un percorso certificato attraverso il quale si studiano nuovi farmaci per verificarne l'efficacia e valutarne gli effetti collaterali

Fasi dello sviluppo di un farmaco



20-year patent life from the date of the first filing of the patent application





Processo di Norimberga



Processo di Norimberga

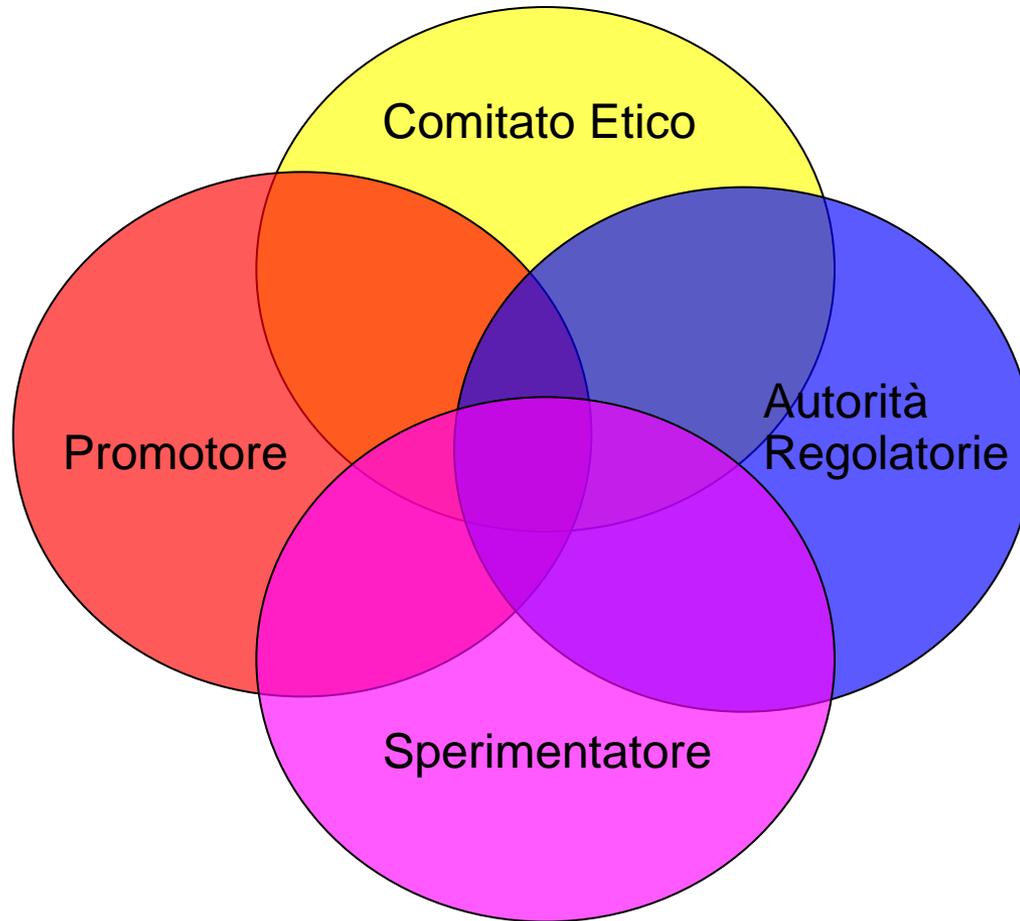
"olocausto medico"

23 imputati (20 dei quali medici) condannati per crimini di guerra e contro l'umanità, in particolare per le sperimentazioni disumane sui prigionieri dei campi di sterminio

Le GCP

“Good Clinical Practice” (GCP) è un insieme di linee guida internazionali che stabiliscono uno standard di qualità etico e scientifico per il disegno, la conduzione, la raccolta dati e la divulgazione di sperimentazioni che coinvolgono gli esseri umani. Nate nel 1981, si sono consolidate nel 1991 nell’ambito della ICH (International Conference on Harmonization)

Le GCP sono un sistema con responsabilità reciproche e in comune



Attori della sperimentazione: la centralità del paziente



Perché è importante per il medico partecipare alle sperimentazioni

- **Valenza sociale**

- Assicurare ai pazienti la possibilità di disporre di nuovi farmaci il più presto possibile

- **Sviluppo professionale**

- Avere l'opportunità di conoscere e di utilizzare delle terapie ancor prima che vengano commercializzate avendo il vantaggio di conoscerne gli aspetti di sicurezza, aumentando il livello di fiducia nel trattare i pazienti

- **Innovatività/competitività**

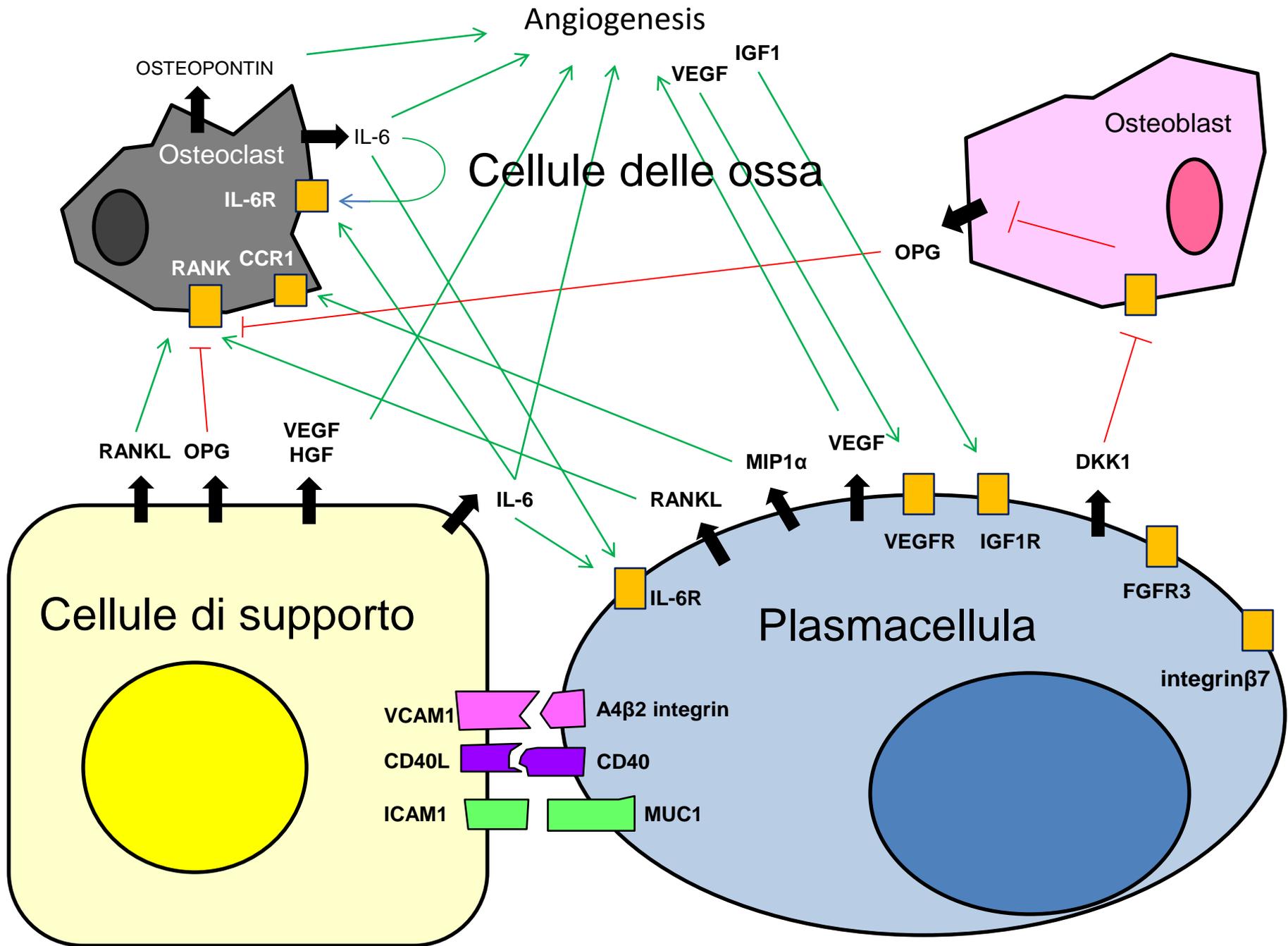
- Partecipare alle attività di ricerca globale

Perché è importante che il paziente partecipi ad una sperimentazione

- Può avere accesso a nuovi farmaci che altrimenti non potrebbero essere adottati anche se la partecipazione comporta un maggiore impegno
- Il paziente diventa parte attiva del processo di miglioramento della terapia per il mieloma multiplo

Perché servono nuovi farmaci?

- Per migliorare la risposta (miglioramento dei sintomi, controllo della malattia)
- Perché la malattia tende a ripresentarsi
- Perché i pazienti non sono tutti uguali
- Perché i mielomi non sono tutti uguali



Caratteristiche ideali dei nuovi farmaci

- Distruggere il maggior numero possibile di cellule tumorali
- Danneggiare il meno possibile le cellule sane
- Causare pochi effetti collaterali
- Colpire il mieloma sfruttando diversi meccanismi d'azione
- Essere semplici da somministrare

Come migliorare l'approccio terapeutico?

- ⇒ Migliorando la struttura di un farmaco già esistente
- ⇒ Cambiando la via di somministrazione
- ⇒ Combinando farmaci vecchi e nuovi per sperimentare possibili sinergie
- ⇒ Creando farmaci con meccanismi d'azione diversi

L'ARMAMENTARIO TERAPEUTICO SI ARRICCHISCE!

NUOVI ANTIPROTEOSOMI

- Carfilzomib SA o in combinazione
- MLN9708
- CEP18770
- Oproxomib

NUOVI IMiDs

- Pomalidomide SA o in combinazione

ANTICORPI MONOCLONALI

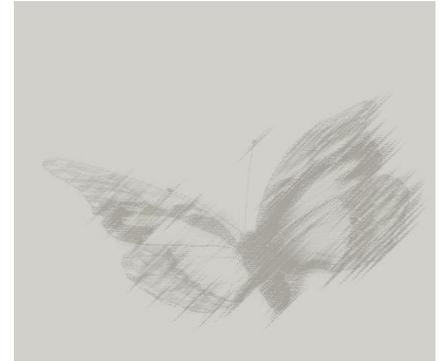
- Anti CD138, AntiCD40, Anti IL6
- Tabalumab (AntiBAFF)
- AcAntiKIR
- AcAntiFGFR3
- Elotuzomab (anti CS1)
- Daratumomab (anti CD38)

NUOVE MOLECOLE

- Inibitori ciclina Kinasi dipendenti:
Dianciclib, Veliparib, Doxitinib, Tivatinib
- Inibitori JAK2,
- Inibitore TORC
- Inibitore delle telomerasi (Imetelstat),
- Nuovi inibitori HDAC (istone de acetilasi).
- Inibitori BTK

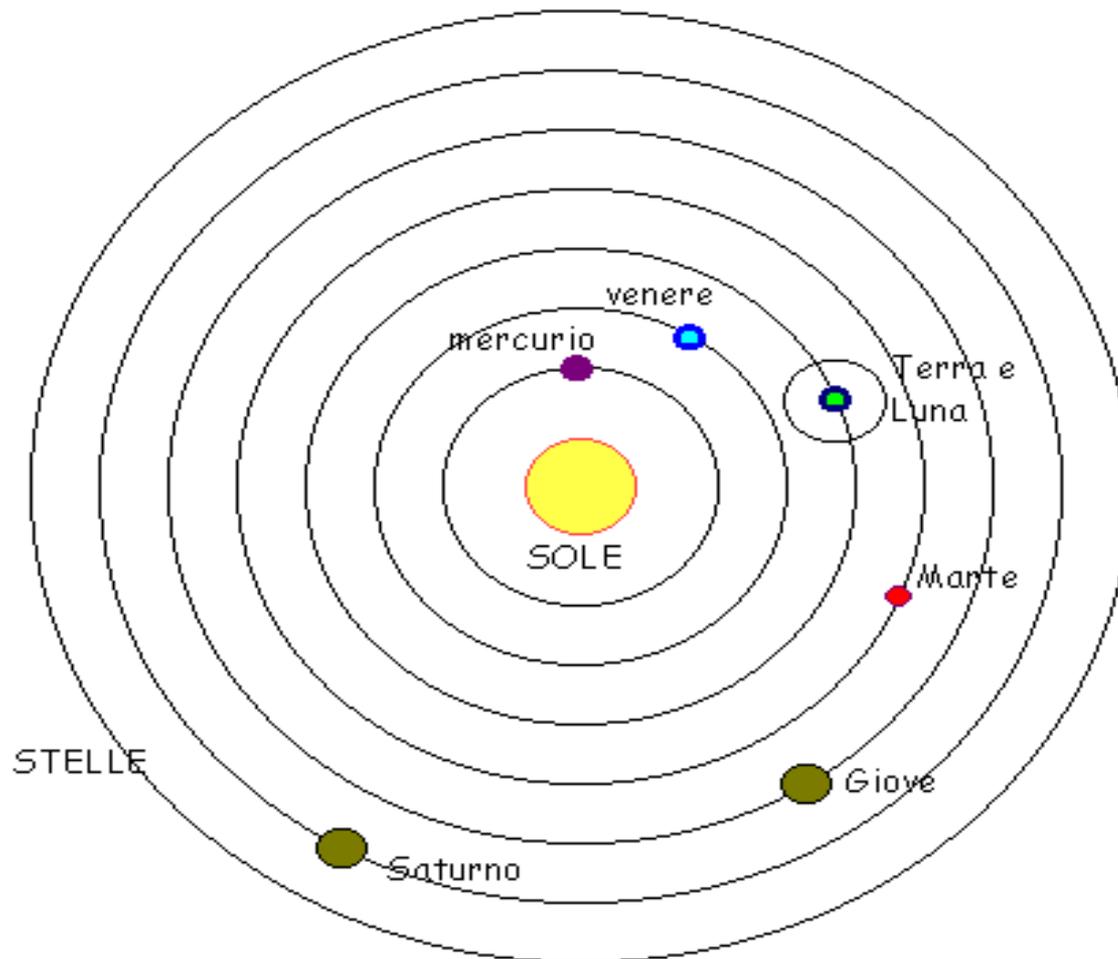
New Drugs Coming

- IMiDs
 - Pomalidomide
- Proteasome Inhibitors
 - Carfilzomib
 - Ixazomib
- HDAC Inhibitors
 - Vorinostat
 - Panobinostat
- Monoclonal antibodies
 - Elotuzumab
 - Daratumumab



PROGETTO TOLOMEO

Teoria Copernicana



FASI DEL PROGETTO

1. Formazione dei medici di base
2. Formazione del personale infermieristico
3. Preparazione materiale didattico e informativo
4. Accoglienza del paziente e del familiare
5. Valutazione del paziente, del caregiver
6. Inquadramento clinico e diagnostico e definizione del programma terapeutico
7. Supporto psicologico caregiver
8. Servizi



Valutazione del paziente, del caregiver (personale infermieristico)

Per la valutazione del paziente e dei familiari sono stati forniti:

1. Questionari anagrafici e di soddisfazione (pazienti e caregiver)
2. Questionari per la valutazione geriatrica multidimensionale (pazienti)
3. Questionario per la valutazione del caregiver



Conclusioni

- Analisi solo preliminare
- Discordanza fra quello che si risponde ai questionari e quello che si riferisce verbalmente
- Punteggi di valutazioni molto alti, difficoltà della valutazione finale
- Scarso utilizzo del telefono dedicato

Conclusioni

- Negli ultimi 10 anni la terapia e la storia naturale del mieloma sono radicalmente cambiate
- La sperimentazione clinica è importante perché permette di avere a disposizione nuovi farmaci e di studiare nuove combinazioni
- I tempi dalla scoperta all'immissione in commercio sono generalmente molto lunghi
- Il paziente, che nel corso degli anni ha assunto un ruolo centrale nella gestione della sua malattia, deve essere consapevole della sua condizione, avere più informazioni possibili per conoscere meglio la propria patologia e contribuire attivamente alla creazione di una collaborazione proficua con lo staff medico-infermieristico che lo cura

QUAL È LO
STATO
DELLA RICERCA?

STIAMO TENTANDO DI
CAPIRE CHE MALATTIE
VUOLE AVERE
LA GENTE.

