FARMACI INNOVATIVI

Qualità Efficacia Appropriatezza
Garanzia dell'universalità delle cure
sul territorio nazionale

Roma, giovedì 26 giugno 2008

CAMERA DEI DEPUTATI
Palazzo Marini, Sala delle Conferenze
Via del Pozzetto, 158 Roma

"INNOVAZIONE TERAPEUTICA IN EMATOLOGIA: TRA COSTO E BENEFICIO"

Prof. Roberto Foà
Direttore Divisione di Ematologia, Dipartimento di Biotecnologie Cellulari ed Ematologia, Policlinico Umberto I - Università "La Sapienza", Roma

L'ematologia – soprattutto l'onco-ematologia - sta vivendo in questi ultimi anni una vera e propria rivoluzione nell'approccio diagnostico, nella stratificazione prognostica, nelle possibilità terapeutiche e nel monitoraggio della malattia durate il decorso clinico. Ciò sta conducendo ad una sempre più personalizzata gestione clinica di pazienti di tutte le età con neoplasie ematologiche. Gli sviluppi più rilevanti sono rappresentati da: 1) diagnosi sempre più rapide e precise; 2) identificazione alla diagnosi di sottogruppi di pazienti a prognosi differenziata sulla base delle caratteristiche biologiche delle cellule tumorali; 3) all'uso di terapie individualizzate in base ai punti 1 e 2; 4) all'uso di strategie terapeutiche combinate di chemio-immunoterapia; 5) alla sviluppo di farmaci "intelligenti" diretti a correggere un difetto specifico della cellula tumorale; 6) ad un uso più allargato – anche in individui meno giovani – del trapianto allogenico di cellule staminali; 7) all'incorporazione del monitoraggio della malattia residua minima (con tecniche immunologiche e molecolari) nei protocolli terapeutici; 8) al trattamento anche di pazienti in età sempre più avanzata (va sottolineato come l'età anagrafica si stia allungando sempre di più e che l'età biologica in molti paesi stia progressivamente migliorando).

Tutto ciò consegue agli avanzamenti della ricerca e quindi delle conoscenze che, in tempi sempre più rapidi, si traducono in ricadute cliniche, la cosiddetta ricerca traslazionale (*from the bench to the bedside*). Alcuni esempi pratici – in cui l'Italia è stata ed è in prima linea -sono rappresentati dalla leucemie acuta promielocitica, il primo esempio di patologia oncologica trattata con una terapia mirata a correggere un difetto specifico di questo sottogruppo di leucemie acute che colpisce tutte le fasce di età. Più recentemente, gli inibitori delle tirosino chinasi hanno rivoluzionato il trattamento prima della leucemia mieloide cronica e poi della leucemia linfoblastica acuta Filadelfia positiva. La chemio-immunoterapia è ora il trattamento di scelta per la maggior parte dei linfomi non-Hodgkin e ha un grosso impatto anche nella leucemia linfatica cronica, la leucemia più frequente nel mondo occidentale. Infine, oggi vengono allotrapiantati anche pazienti con mieloma multiplo, leucemia linfatica cronica e linfoma.

Questi avanzamenti che hanno permesso indubbi benefici nella prognosi come anche nella qualità di vita dei pazienti onco-ematologici di tutte le età ha comportato un importante e progressivo aumento nei costi necessari per offrire una gestione di primo livello ai pazienti. La lievitazione dei costi è legata alle tecniche di laboratorio oggi necessarie per un ottimale inquadramento diagnostico e prognostico (tecnologie,

personale ad hoc, apparecchiature costose, reagenti, ecc), ad un sempre più frequente uso di sofisticate tecniche per il monitoraggio della malattia minima, ad un armamentario terapeutico sempre più allargato ed all'utilizzo di farmaci e combinazioni terapeutiche più costose (anticorpi monoclonali, inibitori di tirosin chinasi, ecc), all'uso allargato di procedure trapiantologiche sia per patologie che per fascia di età. Tutto ciò, associato all'uso di terapie più aggressive in pazienti con patologie croniche (per cui fino a pochi anni orsono la terapia era per lo più conservativa) ed al trattamento di pazienti più anziani (anche nella nona e decima decade di vita), ha fatto sì che si paghi un prezzo maggiore anche in termini di tossicità e che quindi siano aumentate tutte le terapie di supporto, tra cui terapie trasfusionali, terapie anti-infettive, profilassi anti-infettive, assistenza domiciliare, ecc.

Va peraltro ricordato come per alcuni pazienti un inquadramento preciso diagnostico e prognostico possa significare anche solo una strategia osservazionale senza necessità di terapia, come alcune delle terapie più innovative siano per os e quindi fattibili a domicilio, come per molti pazienti sia notevolmente aumentata la qualità di vita, e quindi possano essere più attivi sia lavorativamente che socialmente. In un complesso discorso di costi e benefici, tutte queste considerazioni dovrebbero essere valutate.