

## UN NUOVO RUOLO PER LE ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI PROMUOVERE E INDIRIZZARE LA RICERCA

La presidente dell'Associazione Paola: "Una vera e propria rivoluzione, che prevede il coinvolgimento dei malati e delle loro famiglie sin dalle fasi iniziali degli studi clinici e dei test terapeutici"



**L**e Associazioni di pazienti e la ricerca: è un rapporto che si va intensificando sempre più. Questo perché negli ultimi anni lo sviluppo di nuove tecnologie ha portato a un enorme incremento della conoscenza sulla biologia dei tumori fino a "rivoluzionare" la visione della malattia, identificabile non tanto più come malattia d'organo ma come malattia su base genetica e molecolare. In altri termini, se fino a poco tempo fa, ricercatori e clinici ritenevano che i tumori che colpiscono uno stesso organo fossero biologicamente simili, oggi si sta cominciando a comprendere che tumori in organi diversi possono avere basi molecolari assai simili e quindi essere trattati in modo simile.

È una rivoluzione concettuale che ha portato nel 2017 la Food and Drug Administration (Fda) ad approvare per la prima volta negli Usa un farmaco per un'indicazione terapeutica basata su un'impronta digitale molecolare e non sull'organo colpito. La crescente conoscenza della biologia del tumore e del microambiente in cui si sviluppa sta consentendo di muovere sempre più verso quella che si chiama "medicina di precisione o medicina personalizzata" che tiene conto dell'identità "profonda" del tumore, a livello genetico e molecolare.

La "rivoluzione" in corso riguarda sia la ricerca di base - necessaria per trasferire le conoscenze dal laboratorio in terapie efficaci per i pazienti - che quella clinica, sollevando nuove sfide a vari livelli.

Tutto ciò è ancor più complesso nel caso dei tumori rari, come quelli pediatrici. Per affrontare questo scenario, servono nuovi modelli di relazione tra ricercatori, clinici, industria farmaceutica e pazienti. Cioè: diventa sempre più rilevante un maggior coinvolgimento nel contribuire a "guidare" la ricerca sia attraverso fondi da destinare alla ricerca traslazionale (la maggior parte delle scoperte in laboratorio non riesce a diventare "terapia", in quanto il processo di sviluppo di un farmaco è lungo e costoso; nei tumori rari poi l'interesse di mercato è limitato dalla scarsità dei numeri), sia attraverso una diretta partecipazione nella definizione delle priorità della ricerca dal punto di vista dei pazienti. Ciò per valutare e decidere più rapidamente quali trattamenti potrebbero avere maggior successo e quindi essere validati da successivi studi clinici, in cui i pazienti dovrebbero esser coinvolti fin dalle fasi iniziali.



Ornella Gonzato

Le Associazioni di pazienti pertanto sono chiamate, soprattutto nel caso di pazienti con tumori rari, non solo a promuovere e sostenere ma a partecipare pienamente alla ricerca, ad ogni livello. Un esempio di questo nuovo ruolo inclusivo delle Associazioni nella ricerca, traslazionale e clinica, è costituito dall'esperienza in corso, a livello europeo, sul Sarcoma di Ewing, un raro tipo di tumore osseo che colpisce bambini, adolescenti e giovani adulti, che vede coinvolte, per l'Italia, l'Associazione Peter Pan e l'Associazione Paola per i tumori muscolo-scheletrici.