

Medicina di precisione: l'incognita di una sfida culturale e organizzativa

La 'medicina di precisione' sembra il progetto forte che il Presidente Barak Obama intende lasciare in eredità a chi raccoglierà il suo testimone alla guida degli Stati Uniti. L'attenzione di Obama per la sanità non è un fatto nuovo: è noto il tentativo di riformare il sistema statunitense nel senso di una maggiore equità e accesso alle cure; e nessuno degli attuali leader internazionali ha mostrato lo stesso interesse alla tematica e si è speso nel tentativo di affermare il valore della salute come diritto essenziale del cittadino.

Medicina di precisione, personalizzata e individualizzata: tre espressioni usate spesso in maniera intercambiabile e diventate oggetto di un intenso confronto, che è andato già oltre l'ambito dei professionisti sanitari, per coinvolgere politici e decisori. Fanno parte della medicina di precisione i trattamenti mirati alle esigenze dei singoli individui sulla base di caratteristiche genetiche, di biomarker, fenotipiche e psicosociali che contraddistinguono un dato paziente da altri con manifestazioni cliniche simili. Uno degli obiettivi principali è quello di mirare le terapie ai pazienti che più possono beneficiare da una determinata cura, riducendo drasticamente il numero dei non responder, non soltanto in riferimento alle terapie oncologiche ma anche ad altre importanti patologie quali ad esempio la malattia di Alzheimer, il Parkinson o il diabete.

È il tipico esempio di *disruptive innovation*, potenzialmente in grado di rivoluzionare gli standard esistenti e modificare radicalmente la realtà attuale¹: strettamente legata ad una capillare informatizzazione dei dati sanitari individuali e al diffuso ricorso alla tecnologia 'mobile' per il monitoraggio della salute, l'applicazione della medicina di precisione imporrebbe al sistema sanitario un complessivo ripensamento organizzativo.

Un passo fondamentale, sottolinea un articolo del *Lancet*², sarà la costituzione di una coorte di un milione di volontari che metterà a disposizione dei ricercatori statunitensi i propri dati biologici e ogni informazione riguardante gli stili di vita seguiti.

La progettualità dell'amministrazione statunitense sembra andare incontro anche agli auspici dell'industria. La principale associazione del settore farmaceutico e biotecnologico, che rappresenta negli Stati Uniti oltre 100 società, plaude infatti al progetto sulla medicina di precisione del presidente Obama, come ha dichiarato Randy Burkholder, vice presidente per la policy and research della Pharmaceutical Research and Manufacturers of America. Non a caso le grandi aziende farmaceutiche nel corso degli

ultimi cinque anni hanno quasi raddoppiato i propri investimenti nella medicina di precisione. Se il Congresso americano accoglierà la proposta di Obama, deliberando lo stanziamento previsto in circa 215 milioni di dollari, il progetto – che prevede la mappatura del DNA di un milione di americani – si dispiegherà potendo contare sul coinvolgimento di molti tra i principali centri pubblici e privati degli Stati Uniti. Ed è indicativo che la grande 'Clinic' di Rochester si sia già dotata di una divisione per la *Individualized medicine*; allo stesso modo la Cleveland Clinic, la Wisconsin's Marshfield Clinic o la Duke University di Durham. Come però notano Collins e Varmus sul *New England Journal of Medicine*³, la medicina di precisione non potrà sostituire ciò che di buono l'assistenza sanitaria è già riuscita a ottenere: le politiche di prevenzione, alcune metodologie di screening, molte terapie consolidate ed efficaci non potranno che continuare a svolgere il proprio ruolo. Serve uno sguardo comprensivo e consapevole, capace certamente di cogliere le opportunità delle prospettive che sembrano offrirsi, ma attento anche a individuare i rischi esistenti, in primo luogo in termini di aumento del gap tra i grandi centri di ricerca e di assistenza e gli ospedali di minori dimensioni. In altre parole, quella della medicina di precisione è una sfida che va governata, anche per dare una risposta corretta alle crescenti aspettative che inevitabilmente sorgeranno tra i pazienti e i cittadini.

Affermano Jameson e Longo, in un loro contributo pubblicato sempre sul *New England Journal of Medicine*, che occorre trovare una convergenza tra gli interessi dei vari attori del settore sanitario da ottenere attraverso una rigorosa valutazione di *efficacy*, *safety*, e *cost-effectiveness*. Una strada obbligata per evitare che le tre P dei termini indicati nel titolo dello stesso articolo (Personalized, Problematic, and Promising) si associno ad altre parole, quelle declinate da Richard Lehman in un commento sul blog di *The BMJ*: Pricey, Profitable, and Perplexing⁴.

Gianfranco Finzi¹ e Ottavio Nicastro²

¹Presidente e ²Segretario Scientifico Regione Emilia-Romagna, ANMDO

NOTE

¹ Larry JJ, Longo DL. Precision Medicine- Personalized, Problematic, and Promising. *N Engl J Med* 2015; 372: 2229-2234.

² Jaffe S. Planning for US precision medicine initiative underway. *Lancet* 2015; 385: 2448-2449.

³ Collins FS, Varmus H. A new initiative on precision medicine, *NEJM* 2015;372.9 (): 793-795.

⁴ Lehman R. Journal review. June 1st, 2015. <http://blogs.bmj.com/bmj/2015/06/01/richard-lehmans-journal-review-1-june-2015/> Ultimo accesso 21 giugno 2015.