



**La Medicina
Oncologica
Personalizzata:
informazioni
per il paziente**



AIMaC
INFORMA PER AIUTARE
A VIVERE CON IL CANCRO



Allianza contro il cancro

Che cos'è la medicina personalizzata?

Una medicina che offra il trattamento più indicato per il singolo paziente tenendo conto della sua individualità, della sua storia medica e delle sue condizioni generali di salute, come pure delle caratteristiche biologiche specifiche del 'suo' tumore. È questo il futuro delle terapie oncologiche.

Quali sono gli obiettivi della medicina personalizzata?

Assicurare, attraverso le ricerche più avanzate di biologia molecolare, **il trattamento giusto, nella modalità giusta, al paziente giusto e al momento giusto.**

Qual è stato l'approccio alla terapia dei tumori fino a oggi?

Finora i ricercatori e i medici hanno ritenuto che tutti i tumori che originano nello stesso organo e sono costituiti dallo stesso tipo cellulare (vale a dire quello stabilito dallo studio del tessuto tumorale al microscopio) potessero essere considerati un'unica malattia. La terapia era decisa, sostanzialmente, sulla base di parametri diagnostici quali il tipo cellulare, le dimensioni e

la presenza/assenza di linfonodi regionali o di metastasi a distanza.

Oggi sappiamo, invece, con certezza che tumori costituiti da cellule morfologicamente simili sono in realtà diversi. Ovviamente i 'vecchi' parametri diagnostici (v. sopra) sono ancora fondamentali per orientare le scelte terapeutiche. Tuttavia, negli ultimi anni, la conoscenza delle caratteristiche biologiche dei tumori è notevolmente aumentata e oggi si è in grado di riconoscere i meccanismi molecolari alterati che ne modificano le normali funzioni e che sono alla base del comportamento anormale della cellula tumorale. La caratterizzazione delle alterazioni del **DNA** dei tumori costituisce la base fondamentale per la terapia moderna di queste malattie. La scoperta di questi meccanismi ha portato a individuare nuovi bersagli molecolari che hanno favorito lo sviluppo di terapie innovative cosiddette 'a bersaglio molecolare'.

Che cosa sono le terapie a bersaglio molecolare?

Le terapie a bersaglio molecolare hanno origine dalle ricerche più recenti. Il loro meccanismo di azione si basa sulla capacità di legarsi specificamente ai bersagli molecolari identificati nelle cellule tumorali. Per questo motivo sono definite anche terapie 'mirate'. Questo particolare meccanismo ne rende altamente selettiva l'azione, lasciando del tutto inalterate le cellule normali, contrariamente a quanto avviene con la chemioterapia 'classica'.

Le terapie a bersaglio molecolare possono essere utiliz-



zate soltanto se nelle cellule tumorali o, in alcuni casi, nel sangue o in altri campioni biologici prelevati dal paziente si rileva la presenza di alcuni specifici 'marcatori' diagnostici, che indicano, a loro volta, la presenza, nel tumore, di uno o più bersagli molecolari. Se questi sono assenti, il paziente non può essere sottoposto alla terapia mirata e verrà, pertanto, trattato con le terapie disponibili più adatte al suo caso.

Le terapie a bersaglio molecolare possono sostituire le altre terapie antitumorali?

Assolutamente no. La chirurgia è stata, e continua a essere, il fulcro della strategia terapeutica per la maggior parte dei tumori, insieme alla chemioterapia e alla radioterapia. Questi trattamenti possono avere degli svantaggi e degli effetti collaterali. In particolare, la chemioterapia, avendo l'obiettivo di eliminare le cellule che si dividono rapidamente, uccide le cellule tumorali, ma anche alcune cellule normali che proliferano rapidamente nell'adulto (ad esempio, le cellule del sangue o della mucosa intestinale). Ciò ne limita la potenzialità ed è causa di effetti indesiderati (tra questi la diminuzione dei globuli rossi e dei globuli bianchi nel sangue circolante, nausea e vomito). È questo il motivo per cui si stanno cercando delle terapie più mirate e meno tossiche. Tuttavia occorre ancora del tempo per comprendere quali siano i farmaci più efficaci per ogni singolo tumore.



Quando si possono utilizzare le terapie a bersaglio molecolare?

Le terapie a bersaglio molecolare trovano già impiego, ad esempio, nel trattamento di alcuni tumori della mammella, della leucemia mieloide cronica e dei tumori stromali gastrointestinali (GIST).

Per i tumori della mammella, l'uso della terapia a bersaglio molecolare è legato alla presenza sulle cellule tumorali mammarie della proteina HER2. Tuttavia, anche in questi casi la risposta alla terapia mirata è positiva solo nel 50% dei casi. Ciò sta a indicare che occorre ancora conoscere più approfonditamente le caratteristiche biologiche e molecolari dei tumori così da sfruttare al meglio le terapie mirate.

La leucemia mieloide cronica e i GIST, pur essendo malattie del tutto diverse, presentano, nelle rispettive cellule tumorali, due tipi di bersagli molecolari con caratteristiche biochimiche simili e per questo sensibili allo

stesso tipo di farmaco, denominato imatinib. I risultati ottenuti utilizzando questo farmaco da solo sono stati straordinari, sia pure con importanti differenze, in gran parte dovute alla diversità delle due malattie. Nel caso della leucemia mieloide cronica, infatti, possono insorgere resistenze che però sono superabili con nuovi farmaci appartenenti alla stessa classe dell'imatinib.

Le terapie a bersaglio molecolare rappresentano un'arma in più rispetto alle terapie tradizionali, basate sulla tipizzazione cellulare dei tumori, che pure vengono praticate nei casi di leucemia mieloide cronica e di GIST. Tuttavia diventa sempre più importante la tipizzazione molecolare di alcuni tipi di tumori e l'utilizzazione di terapie differenziate a seconda delle caratteristiche molecolari diverse presenti in pazienti diversi (terapie 'personalizzate').

Molti dei pazienti affetti da leucemia mieloide cronica e da GIST sono guariti; tuttavia, l'utilizzazione delle terapie a bersaglio molecolare è indicata, così come avviene con le terapie antitumorali tradizionali, anche per rallentare la crescita tumorale e quindi prolungare la sopravvivenza dei pazienti.

Quanto costano le terapie a bersaglio molecolare?

Le terapie a bersaglio molecolare hanno costi molto elevati sia per la complessità delle ricerche di laboratorio, sia per le difficoltà di arruolamento dei pazienti e di completamento delle sperimentazioni cliniche. Ciò comporta molto spesso difficoltà di accesso a que-

ste terapie da parte dei malati, e la grande sfida è di assicurare a tutti il diritto di ricevere tali trattamenti, fermo restando che se le indagini diagnostiche non dimostrano la presenza del bersaglio molecolare che caratterizza il singolo tumore, il paziente dovrà essere trattato con altre terapie al momento più adatte per il suo caso.

Indicazioni per il paziente

- La medicina personalizzata si basa su indagini condotte sui campioni di tessuto o altri campioni biologici del paziente presso laboratori di diagnostica molecolare. Queste strutture non sono presenti presso tutti i centri di cura.
- Tali indagini possono ritardare l'inizio della terapia, ma sono estremamente importanti per stabilire tutte le caratteristiche del tumore e, quindi, individuare il trattamento più mirato per il singolo paziente.
- I campioni biologici sono essenziali sia per la diagnosi sia per le terapie, ma possono avere un ruolo determinante anche nel caso in cui la malattia si ripresenti. Pertanto, quando al paziente viene chiesto di conservare i campioni biologici per motivi di ricerca depositandoli presso una 'biobanca', è opportuno che il paziente, al momento della donazione, chieda esplicitamente che una parte sia conservata per poterne disporre in caso di ripresa di malattia. Inoltre, acconsentendo a che i suoi campioni biologici siano utilizzati anche per la ricerca, il paziente si rende utile per lo sviluppo di più efficaci terapie in futuro.

- Conoscere il profilo molecolare del tumore è fondamentale per ottenere benefici dalla medicina personalizzata. È quindi estremamente importante che il paziente sia consapevole che le possibilità di cura possono migliorare notevolmente con la personalizzazione della terapia antitumorale. Ciò è possibile con l'effettuazione di specifici test che mettono in evidenza le differenze genetiche tra gli individui e le differenze molecolari tra le malattie. A ciò si aggiunga poi la necessità di avere accesso a tutte le informazioni disponibili sulla malattia e sui trattamenti, come anche la possibilità di partecipare attivamente alle scelte terapeutiche che riguardano il paziente.



"Immagini di pag. 7 e pag. 11 per gentile concessione di Cosimo Marino Curianò, ISS-SAE, tratte dal Notiziario dell'Istituto Superiore di Sanità, Vol 16, 2, 2003, Suppl. 1"

AIMaC ringrazia **R. De Maria** (Presidente di Alleanza Contro il Cancro) e **G. Vecchio** (Professore emerito di oncologia, Università di Napoli Federico II) per aver collaborato alla redazione del testo.

I punti informativi

Sono a disposizione, presso i principali istituti per lo studio e la cura dei tumori e grandi ospedali, per consultare e ritirare il materiale informativo o per parlare con personale qualificato e ricevere chiarimenti. Rivolgersi ad AIMaC (840 503579) per conoscere gli indirizzi esatti.

La Collana del Girasole

- 1 Non so cosa dire
- 2 La chemioterapia
- 3 La radioterapia
- 4 Il cancro del colon retto
- 5 Il cancro della mammella
- 6 Il cancro della cervice
- 7 Il cancro del polmone
- 8 Il cancro della prostata
- 9 Il melanoma
- 10 Sessualità e cancro
- 11 I diritti del malato di cancro
- 12 Linfedema
- 13 La nutrizione nel malato oncologico
- 14 I trattamenti non convenzionali nel malato oncologico
- 15 La caduta dei capelli
- 16 Il cancro avanzato
- 17 Il linfoma di Hodgkin
- 18 I linfomi non Hodgkin
- 19 Il cancro dell'ovaio
- 20 Il cancro dello stomaco
- 21 Che cosa dico ai miei figli?
- 22 I tumori cerebrali
- 23 Il cancro del fegato
- 24 Il cancro della laringe
- 25 La terapia del dolore
- 26 Il cancro del rene
- 27 La fatigue
- 28 Il cancro della tiroide
- 29 Gli studi clinici sul cancro: informazioni per il malato
- 30 Le assicurazioni private per il malato di cancro
- 31 Madre dopo il cancro
- 32 Il mesotelioma
- 33 Il tumore negli anziani e il ruolo dei caregiver

2 DVD: La chemioterapia - La radioterapia

AIMaC pubblica anche:

Profili Farmacologici

96 schede che forniscono informazioni di carattere generale sui singoli farmaci e prodotti antitumorali, illustrandone le modalità di somministrazione e gli effetti collaterali.

Profili DST

50 schede che forniscono informazioni di carattere generale sulla diagnosi, stadiazione e terapia di singole patologie tumorali.

La Biblioteca del Girasole

- Il test del PSA
- Il tumore del collo dell'utero
- La prevenzione dei tumori occupazionali: il Registro di Esposizione ad Agenti Cancerogeni e Mutageni
- La ricostruzione del seno: informarsi, capire, parlare
- Neoplasia e perdita di peso - Che cosa fare?*
- Oltre le nuvole (disponibile solo online)
- Padre dopo il cancro
- Tumori rari - Come orientarsi
- La Medicina Oncologica Personalizzata: informazioni per il paziente

** è pubblicato da F.A.V.O. Federazione nazionale delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (www.favo.it), di cui AIMaC è socio

AIMaC è anche presente su



<http://forumtumore.aimac.it>

Abbiamo bisogno anche del tuo aiuto e della tua partecipazione.

Se questo libretto ti ha fornito informazioni utili, puoi aiutarci a produrne altri

- iscrivendoti ad AIMaC (quota associativa € 20 per i soci ordinari, € 125 per i soci sostenitori)
- donando un contributo libero mediante
 - assegno non trasferibile intestato a AIMaC
 - c/c postale n° 20301016 intestato a "AIMaC – via Barberini, 11 – 00187 Roma". IBAN: IT 33 B 07601 03200 000020301016
 - bonifico bancario intestato a AIMaC, c/o Cassa di Risparmio di Ravenna IBAN: IT 78 Y 06270 03200 CC0730081718
 - carta di credito attraverso il sito www.aimac.it

Questa pubblicazione è stata realizzata grazie al sostegno
di Alleanza Contro il Cancro
(ACC; www.alleanzacontroilcancro.it)



AIMaC
INFORMA PER AIUTARE
A VIVERE CON IL CANCRO

Associazione Italiana Malati di Cancro, parenti e amici
via Barberini, 11 | 00187 Roma
tel +39 064825107 | fax +39 0642011216
numero verde 840 503 579 | www.aimac.it | info@aimac.it