

LA RICERCA ACCADEMICA E COMMERCIALE ORIENTATA AI BISOGNI DEL PAZIENTE: IN RICORDO DI ALESSANDRO LIBERATI

*Alessandro Liberati non è più con noi dal primo gennaio di 10 anni fa. È morto a soli 57 anni ed è stato quello che per primo ha introdotto in Italia la "Medicina basata sulle evidenze". A lui è intitolato il Centro italiano della "Cochrane Collaboration". Vogliamo ricordarlo riportando il testo integrale della sua Lettera-testamento che pubblicò poco prima della sua scomparsa, malato di mieloma multiplo, su *The Lancet* (2011;378 (9805):1777-8. Un contributo di grande attualità, soprattutto in questo momento storico, per l'intera comunità medica e scientifica.*

La ricerca clinica è motivata da diversi fattori. Alcuni maggiormente difendibili di altri. Tuttavia la maggior parte dei ricercatori clinici affermerebbe che la loro ricerca intende migliorare l'efficacia e la sicurezza delle cure. Ci sono esempi nei quali i pazienti riescono a influenzare ciò che viene studiato, ma in realtà queste sono solo delle eccezioni.

Ho avuto l'opportunità di prendere in considerazione, da più punti di vista, il divario esistente tra quello che i ricercatori studiano e quello di cui i pazienti hanno davvero bisogno. Io sono un ricercatore, ho la responsabilità di assegnare fondi per la ricerca, e ho avuto un mieloma multiplo negli ultimi dieci anni. Pochi anni fa ho dichiarato pubblicamente che le incertezze incontrate all'inizio della mia patologia si potevano evitare. Quasi dieci anni dopo - dopo una ricaduta - ho guardato l'Epidemiologia degli studi sui mielomi sul sito *ClinicalTrials.gov*. Al 31 luglio 2011 una ricerca con il termine chiave "mieloma multiplo" ha identificato 1384 studi. Di questi, 107 erano studi comparativi di fase seconda o terza. Tuttavia, solo 58 di questi aveva come obiettivo la sopravvivenza globale, e in soli 10 quest'ultima rappresentava l'obiettivo primario. Nessuno studio clinico riguardava confronti tipo "testa a testa" tra diversi farmaci o tra diverse strategie. Nel frattempo, gli esperti ritengono che gli studi citogenetici e i profili di espressione genica metteranno in luce trattamenti personalizzati per il mieloma, mentre le aziende farmaceutiche evitano la ricerca che potrebbe mostrare che i farmaci

nuovi e più costosi non sono migliori rispetto a quelli di confronto già presenti sul mercato.

Se vogliamo che informazioni più pertinenti diventino disponibili, è necessaria una nuova governance della strategia di ricerca. Non si può pretendere che i ricercatori, abbandonati a se stessi, affrontino l'attuale squilibrio. I ricercatori sono intrappolati all'interno dei loro interessi - professionali e accademici - che li portano a competere per finanziamenti dell'industria farmaceutica per fasi precoci di *trial* invece di diventare "campioni" di studi strategici, testa a testa e di fase terza.

Non sono i gruppi di pazienti a modificare il modello prevalente di ricerca: data la mancanza di meccanismi espliciti per la prioritizzazione della ricerca, essi sono spesso dominati dagli esperti con interessi personali. Né il solo finanziamento pubblico riuscirebbe a risolvere il problema. È necessario sviluppare politiche nella fase di pre-approvazione dello sviluppo di un farmaco, e questo processo necessita di una stretta collaborazione con le aziende farmaceutiche e continui *input* degli Organismi regolatori.

Una componente essenziale di ogni nuovo modello di strategia sarebbe quella di riunire tutte le parti interessate, partendo da un'analisi delle ricerche esistenti e in corso prodotte indipendentemente da ogni interesse personale. Le Associazioni di pazienti affetti da mieloma spendono milioni per sostenere la ricerca con la speranza di promuovere una migliore assistenza. Con il supporto della collettività dovrebbero essere in una posizione di forza per chiedere una ridefinizione dell'agenda di ricerca nell'interesse dei pazienti. Spero che questo approccio possa essere ulteriormente discusso su *The Lancet* per molte altre aree della ricerca clinica, e non solo in Oncologia.



Alessandro Liberati

RINGRAZIAMENTO AI REFEREE

Medico e Bambino ringrazia caldamente i colleghi che nell'anno 2021 hanno svolto, a titolo gratuito, con accuratezza e con grande dedizione il lavoro di revisione degli articoli giunti in Redazione:

Alessandro Albizzati, Alessandro Amaddeo, Laura Badina, Alberto Berardi, Giacomo Biasucci, Matteo Bramuzzo, Gabriele Bronzetti, Antonella Brunelli, Jenny Bua, Sara Carucci, Rosario Cavallo, Antonio Clavenna, Daniela Codrich, Sergio Conti Nibali, Giovanni Corsello, Renato Cutrera, Mario Cutrone, Procolo Di Bonito, Serena Gasperini, Giulia Gortani, Dario Iafusco, Antonella Insalaco, Lorenzo Iughetti, Giuseppe Maggiore, Federico Marolla, Riccardo Masetti, Franco Mazzini, Giovanni Montini, Vitalia Murgia, Elio Novembre, Costantino Panza, Serena Pastore, Marco Pennesi, Ugo Ramenghi, Francesco Maria Riso, Angelo Selicorni, Giovanni Simeone, Aldo Skabar, Agnese Suppiej, Andrea Taddio, Alberto Tommasini, Gianluca Tornese, Enrico Valletta.