

PUNTATA 1

DALLE TERAPIE AVANZATE
ALLE TERAPIE DIGITALI

LA MEDICINA DEL TERZO MILLENNIO



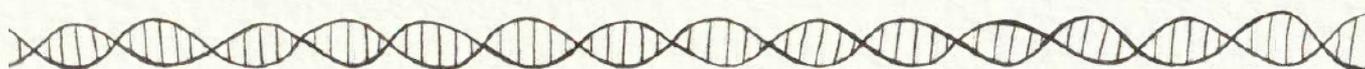
Nell'ultimo secolo la medicina è stata protagonista di una vera e propria rivoluzione: partendo dai farmaci più classici si è arrivati a ideare terapie innovative in cui il principio attivo sono geni, cellule o addirittura software



ERBE OFFICINALI
ANTICHITÀ

VACCINO CONTRO IL VAIOLO
1796

ASPIRINA®
1899



Nell'antichità, per trattare malattie e disturbi di varia natura, medici e curatori ricorrevano a preparati a base di piante e radici oppure a soluzioni galeniche, che però non riuscivano a sortire alcun effetto contro malattie come la peste o il vaiolo.

Quest'ultimo subì un colpo durissimo solo quando Edward Jenner, nel 1796, dimostrò l'efficacia di una prima versione del vaccino. A Jenner si deve la nascita di un filone di ricerca che ancora oggi permette di salvare milioni di vite.

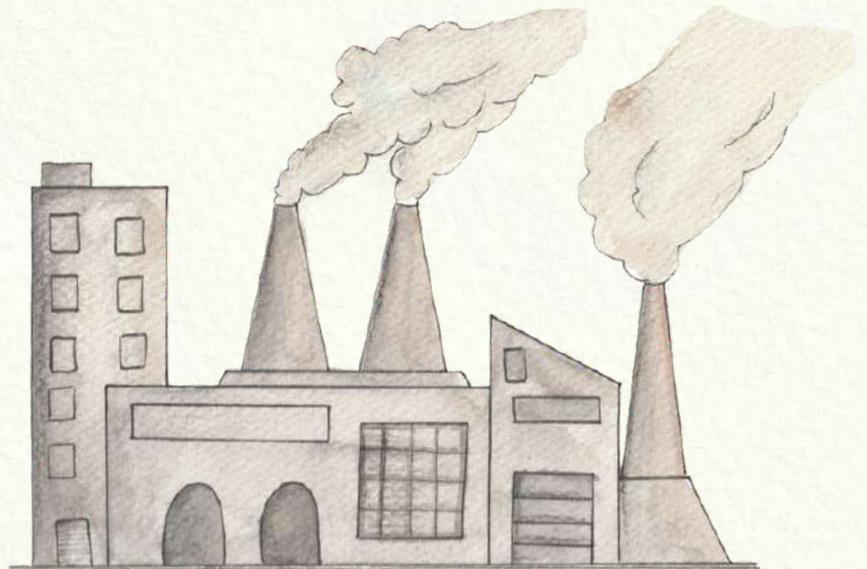
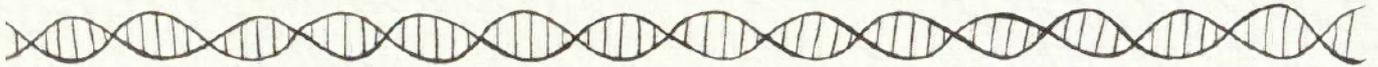
Nel 1899, con la nascita del marchio di fabbrica Aspirina®, si aprirono definitivamente le porte alla farmacologia moderna.

SCOPERTA DELLA PENICILLINA

1928

SINTESI INDUSTRIALE DEI FARMACI

ANNI '50

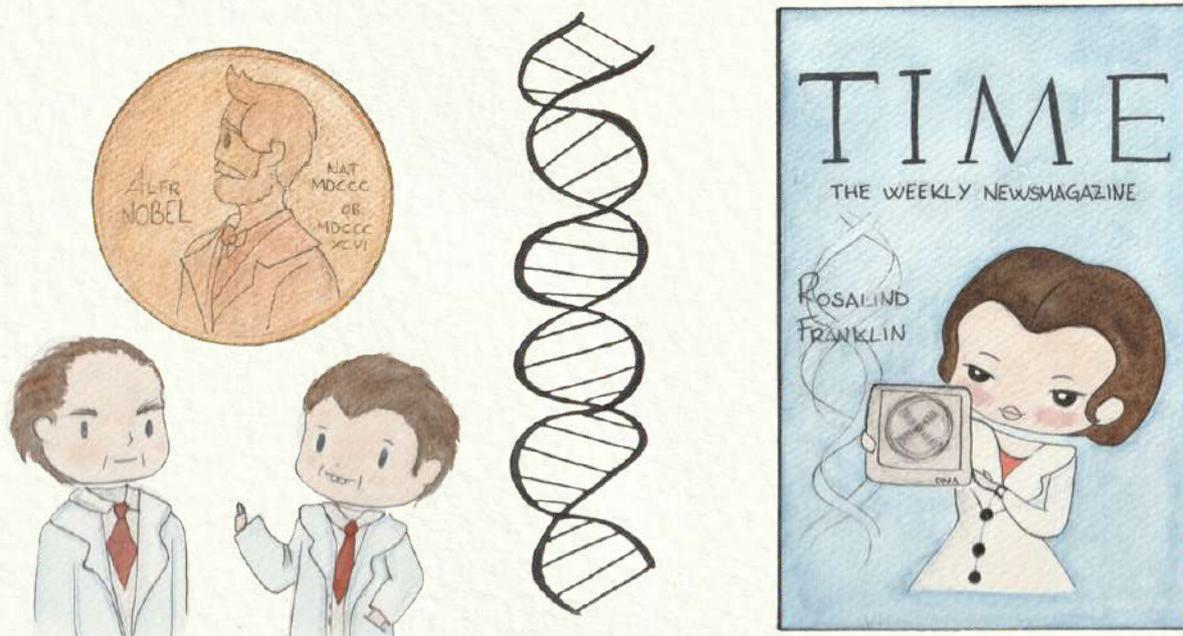
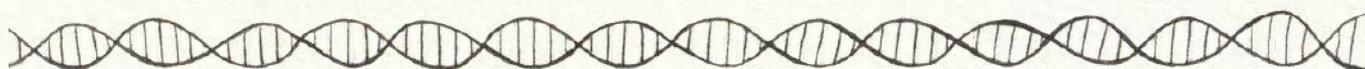


Nel 1928 furono le scoperte di Alexander Fleming ad incrementare il ritmo del progresso in campo medico: la scoperta della penicillina, infatti, ha dato il via all'era degli antibiotici, grazie a cui è stato possibile curare un'ampia gamma di patologie fino ad allora fatali.

Nel giro di trent'anni si è sviluppata l'industria farmaceutica che, dopo qualche decennio, ha immesso sul mercato un gran numero di molecole di sintesi.

SCOPERTA DEL DNA

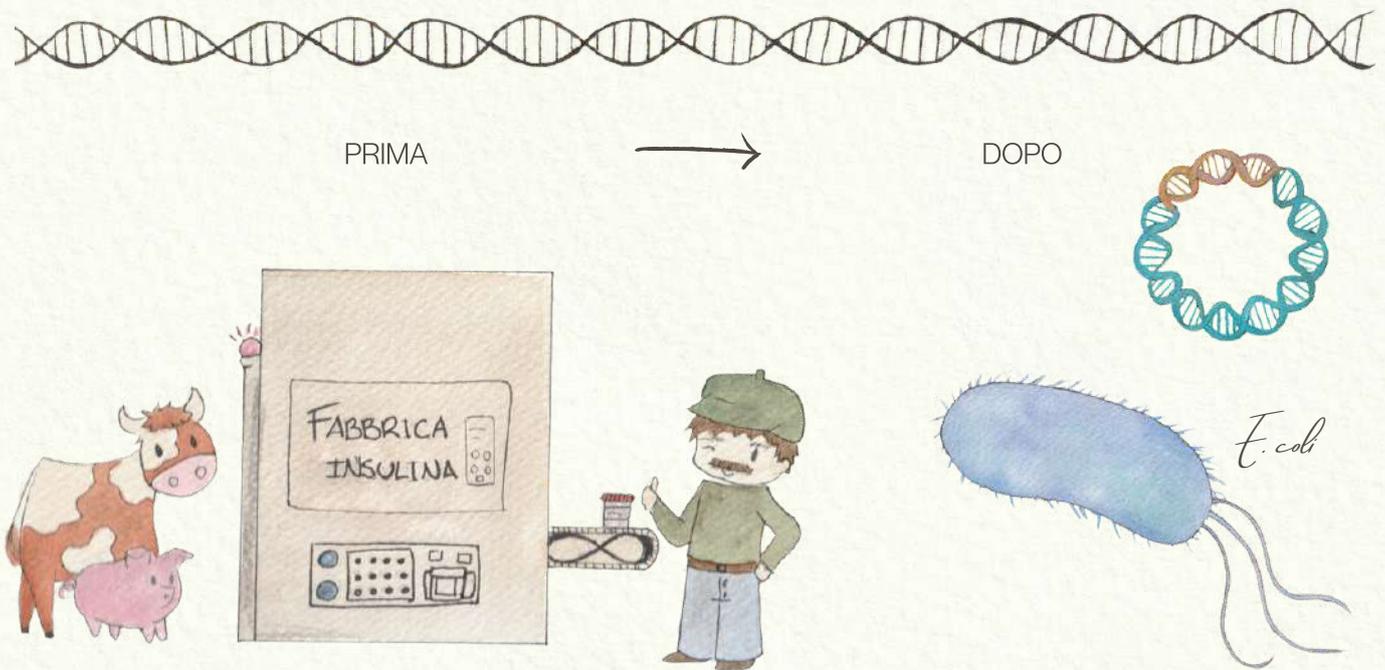
1953



Un'altra data storica è il 1953, anno in cui James Watson e Francis Crick descrissero la struttura del DNA. Grazie alla collaborazione di Maurice Wilkins e Rosalind Franklin, i due scienziati riuscirono a produrre il famoso modello della doppia elica, per il quale furono successivamente insigniti del Premio Nobel, condiviso anche con Wilkins. Purtroppo, dal riconoscimento fu esclusa Franklin, i cui meriti sono stati riconosciuti solo molti anni più tardi.

La scoperta della struttura del DNA è stata l'innescò per una serie di nuove conoscenze e la messa a punto di innovative tecnologie. Una tra tutte, la tecnologia del DNA ricombinante.

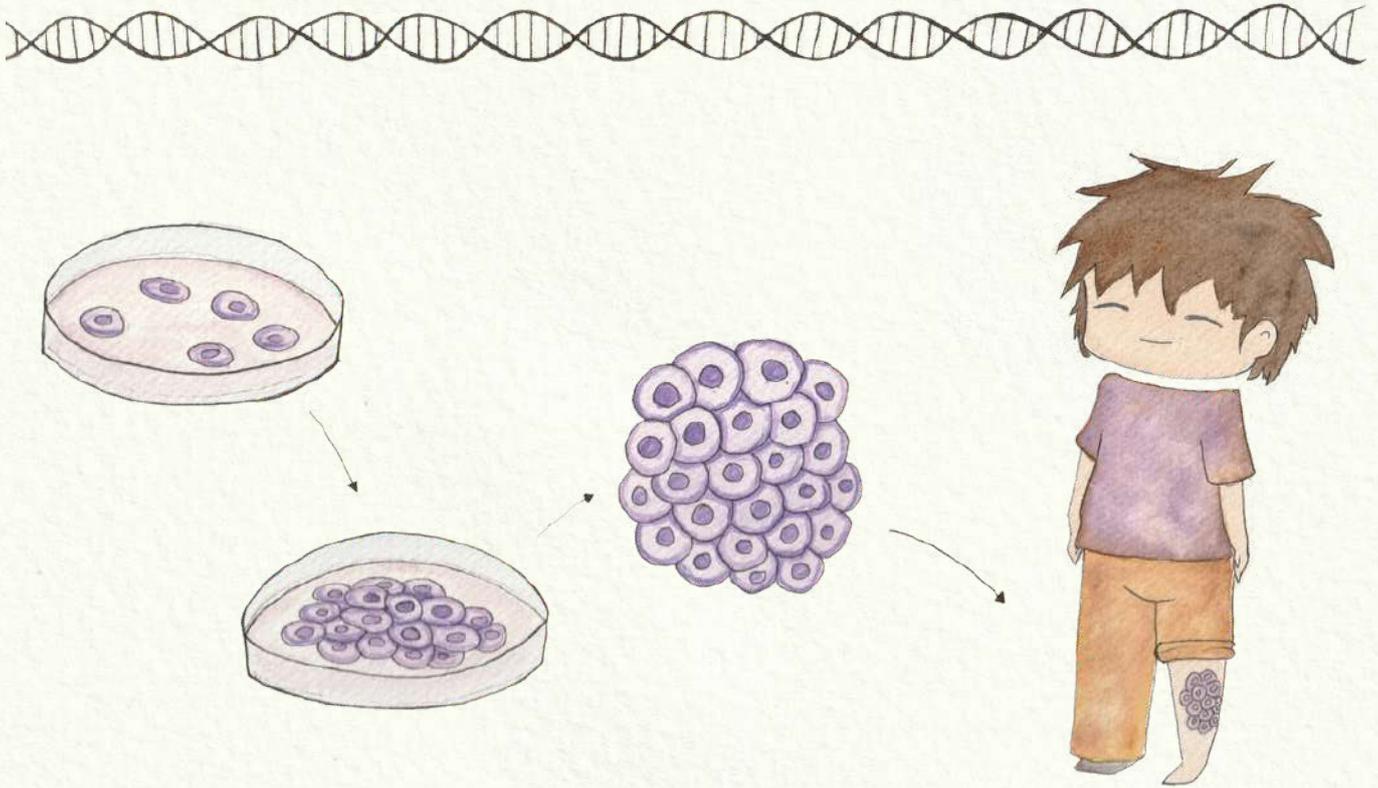
INSULINA RICOMBINANTE: IL PRIMO FARMACO BIOTECNOLOGICO ANNI '80



Negli anni '70 nacque l'ingegneria genetica e, in poco tempo, entrò in scena il primo farmaco biotecnologico: l'insulina umana artificiale. I ricercatori riuscirono a introdurre il gene dell'insulina umana in un comune batterio intestinale, permettendo così la produzione industriale di una terapia per tenere sotto controllo il diabete.

Prima di allora, l'insulina veniva estratta chimicamente dalle ghiandole pancreatiche di cavalli e maiali provenienti dai macelli, un processo che metteva a rischio la salute umana. Dopo l'insulina, la tecnologia del DNA ricombinante si è rivelata fondamentale per produrre molti altri ormoni.

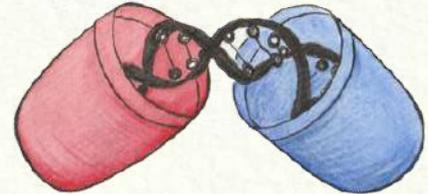
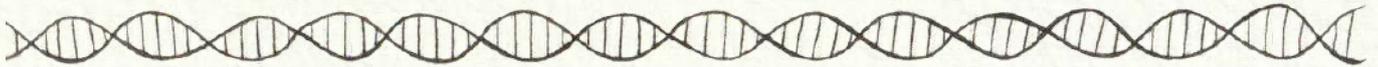
PRIMI STUDI CLINICI SULLA TERAPIA CELLULARE
ANNI '80



Nello stesso periodo venne messo in pratica per la prima volta il trapianto autologo di epidermide: a Boston, due ragazzi gravemente ustionati guarirono grazie a una pelle costruita in laboratorio partendo dalle loro stesse cellule.

Grazie agli studi sulle cellule epiteliali, portati avanti dal ricercatore americano Howard Green e dal suo collaboratore James Rheinwald, oggi abbiamo a disposizione una terapia salvavita per i grandi ustionati.

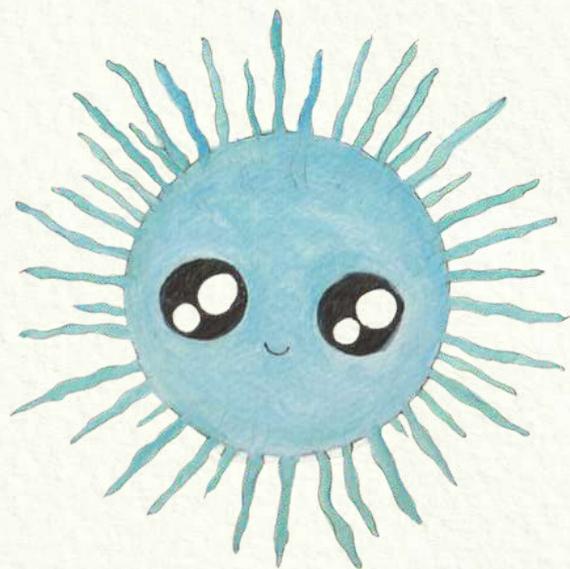
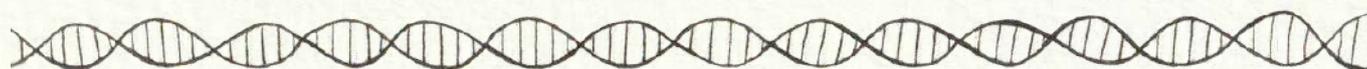
PRIMI STUDI CLINICI SULLA TERAPIA GENICA
ANNI '90



La tecnologia del DNA ricombinante è stata la pietra fondante su cui è nata la terapia genica. Questo approccio innovativo consiste nell'utilizzo di un virus per veicolare all'interno delle cellule malate un gene terapeutico in grado di trattare gravi patologie direttamente alle loro basi genetiche.

I primi studi clinici sulla terapia genica furono avviati negli anni '90: da allora gli sviluppi sono stati notevoli e costellati di grandi successi, ma anche degli inevitabili fallimenti che fanno parte del processo di ricerca scientifica.

PRIMI STUDI CLINICI SULLE CAR-T
2012



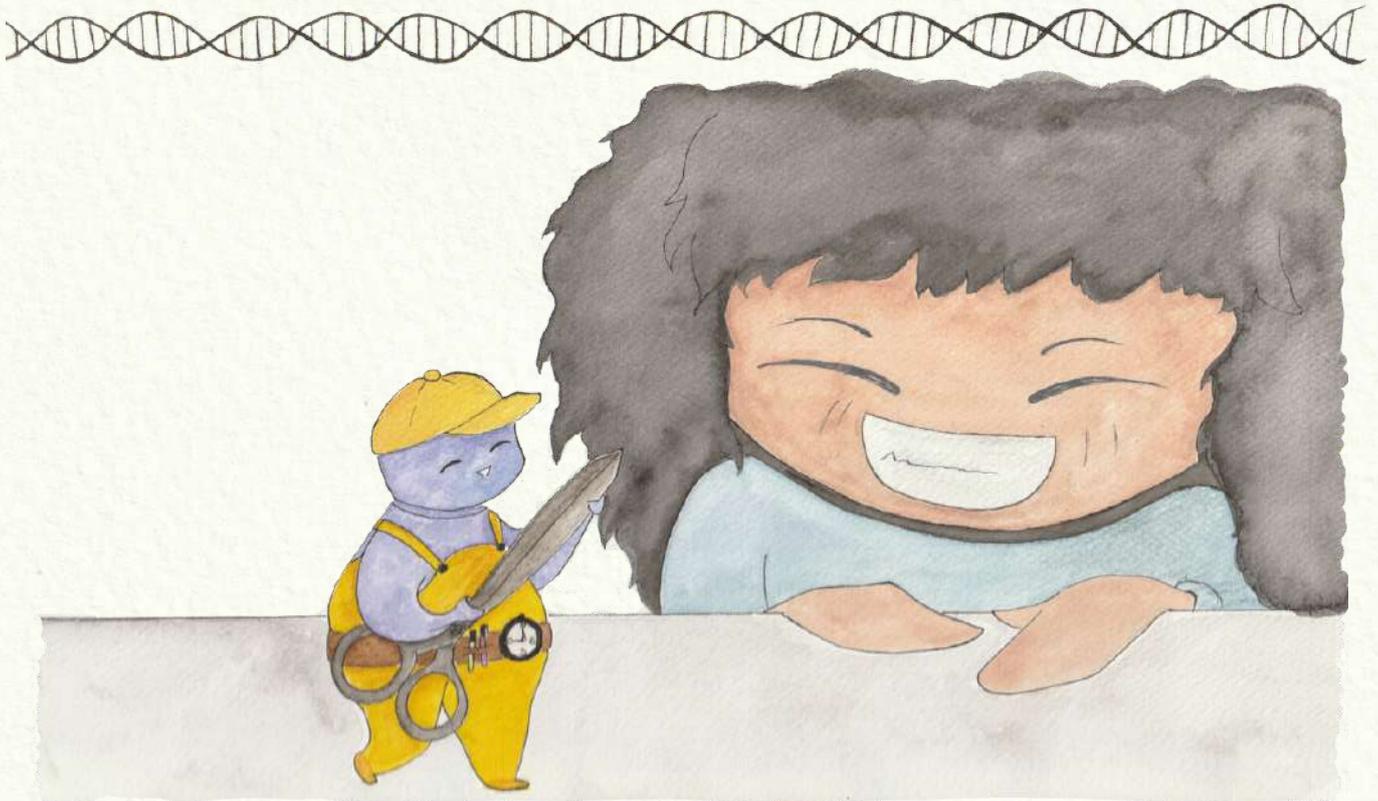
LINFOCITA T



CAR-T

Con il nuovo millennio anche i tumori sono entrati nel mirino della terapia genica e oggi la ricerca clinica punta sempre di più alle terapie a base di cellule CAR-T. Gli scienziati, infatti, hanno imparato a manipolare geneticamente i linfociti T in maniera tale da potenziarli - come se fossero dei "supersoldati" - e addestrarli a riconoscere le cellule tumorali. La risposta immunitaria così avviata permette di distruggere le cellule maligne. Le CAR-T, come tutte le terapie geniche, puntano a essere un trattamento definitivo per la malattia.

PRIMI STUDI CLINICI SU CRISPR
2016-2017

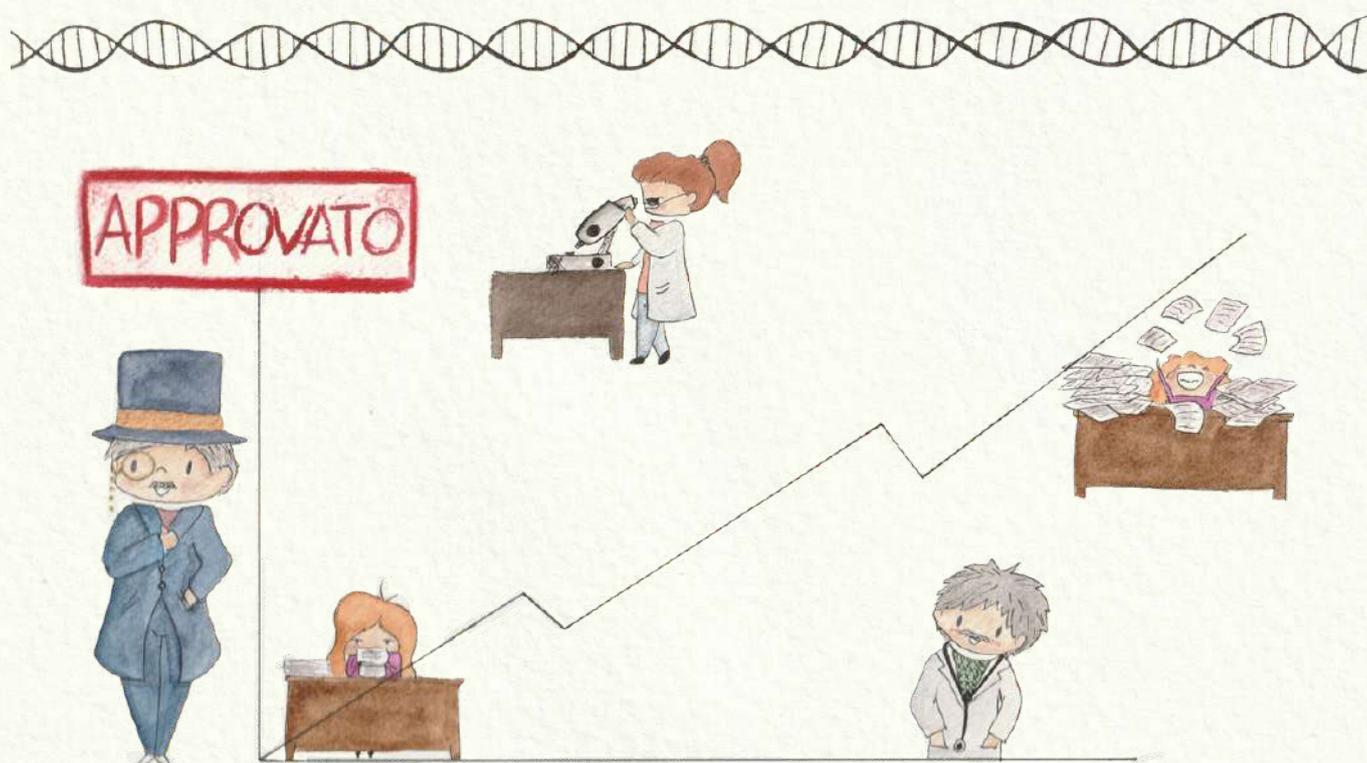


Protagonista indiscussa della scena di questi ultimi anni è CRISPR, innovativa tecnica di manipolazione del DNA utilizzata ormai in tutti i laboratori del mondo. Il sistema CRISPR viene spesso paragonato a un coltellino svizzero multiuso perché è un unico strumento che comprende diversi "kit" in grado di tagliare e correggere il DNA, riscriverne alcune parti e silenziarne altre. È la punta di diamante della tecnologia nota come editing genomico.

L'impatto di CRISPR ha toccato ambiti diversissimi, dall'industria agroalimentare a quella farmaceutica, e sta scrivendo un nuovo e avvincente capitolo della storia del DNA.

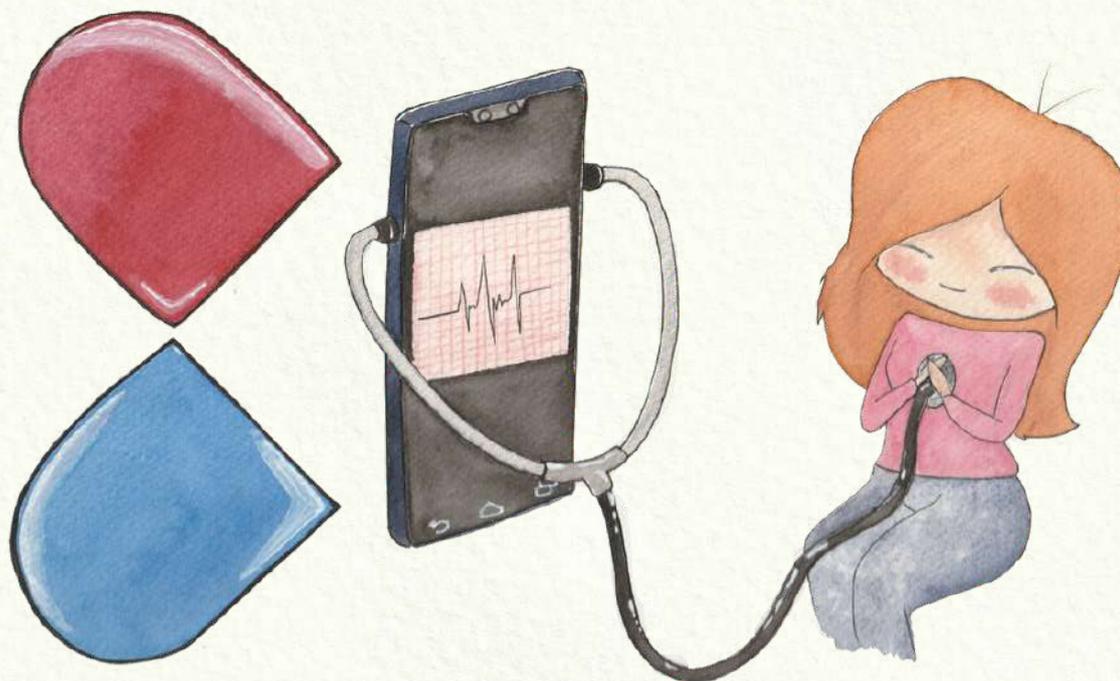
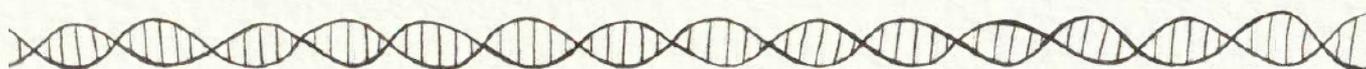
ARRIVANO LE TERAPIE AVANZATE...

2009-2021



Tutte le innovazioni terapeutiche fino a qui descritte segnano la terza era della farmacologia e stanno letteralmente ridisegnando il futuro della medicina.

Dal 2009, anno in cui la prima terapia avanzata è stata autorizzata in Europa, a settembre 2021 siamo arrivati a ben 14 terapie avanzate in commercio, di cui 7 disponibili anche in Italia. Un trend in costante crescita: gli esperti prevedono che nel prossimo decennio si potrebbe arrivare all'approvazione di oltre 50 nuove terapie avanzate nel mondo.



Nel panorama della medicina del futuro hanno fatto la loro comparsa anche le terapie digitali: in questo caso il principio attivo non è più una molecola, una cellula o un gene ma un software. Non si tratta di semplici app ma di interventi terapeutici veri e propri, basati su evidenze scientifiche raccolte e validate, che puntano alle malattie croniche, dipendenze, disturbi del comportamento e disordini neurologici. La prima terapia digitale è stata approvata negli Stati Uniti nel 2017 e nei prossimi anni vedremo sempre più questa tecnologia al servizio di medici e pazienti.

testi a cura di
Francesca Ceradini
Rachele Mazzaracca
Enrico Orzes

illustrazioni a cura di
Matilda Mazzaracca

tratto da RESHAPE, il podcast di  OSSERVATORIO
TERAPIE
AVANZATE



realizzato con il contributo non condizionante di

Celgene |  Bristol Myers Squibb™
Company

 NOVARTIS

 Orchard
therapeutics

 Pfizer

 PTC
THERAPEUTICS

 Roche

 SANOFI GENZYME