Newsletter quadrimestrale N.° 20

I quadrimestre 2017

MULTIMEDICA ALZHEIMER ONLUS notizie

PERIODICO DI INFORMAZIONE PER I SOCI DELL'ASSOCIAZIONE MULTIMEDICA ALZHEIMER ONLUS

La ricerca di nuovi farmaci

La ricerca di nuovi farmaci è mirata alle malattie più diffuse e cambia nel tempo a seconda della patologia dominante. Quando la malattia è rara e colpisce un numero limitato di individui di parla di malattie orfani o di malattie a bassa frequenza. I dati più recenti ci indicano che gli investimenti maggiori sulla ricerca vengono destinati alle malattie del sistema nervoso centrale (22%), poi ai tumori (21%), quindi al sistema cardiovascolare e alle infezioni (15% ciascuno), successivamente al sistema respiratorio (7%) e al sistema digerente ed escretorio (3%).

Un farmaco è un preparato farmaceutico che esercita una determinata azione sull'organismo. I farmaci vengono usati in medicina a scopo terapeutico per curare malattie o a scopo preventivo per difendere il paziente da minacce alla sua salute. Più propiamente per farmaco si intende il principio attivo di un preparato farmaceutico, anche se nel linguaggio comune i due termini sono spesso usati indifferentemente. Il principio attivo è il componente principale di un farmaco, cioè la sostanza che è la principale responsabile del suo effetto terapeutico. Al principio attivo vengono aggiunte una serie di eccipienti, ottenendo una determinata formulazione che ne permette la somministrazione ai pazienti nel modo più sicuro e idoneo (compresse, capsule, sciroppo, granuli, supposte, pomate, liquido per iniezioni intramuscolari o endovenose etc…).

Ogni nuovo farmaco nasce dall'individuazione da parte dei medici e dei ricercatori di un'ipotesi di bersaglio farmacologico, ossia un meccanismo o processo biologico su cui intervenire per modificare il decorso di una malattia. A partire da questa ipotesi si scelgono i cosiddetti composti guida, che sono i precursori del futuro principio attivo: cioè una serie di sostanza chimiche presumibilmente in grado di influenzare tale meccanismo e di ottenere cosi' un effetto terapeutico.

In questa prima fase della ricerca bisogna quindi isolare un principio attivo, caratterizzare le sue propietà chimiche e fisiche, imparare a riprodurlo in laboratorio.

A questo punto riconosciamo un periodo pre-clinico che puo' durare fino a 3 anni durante il quale si studia il principio attivo in laboratorio (in vitro) e sugli animali al fine di testarne in via preliminare gli effetti biologici e sull'organismo (indagini farmacodinamiche) e gli effetti che l'organismo produce sul farmaco (indagini farmacocinetiche), cioè la sua distribuzione, concentrazione nei vari tessuti, eliminazione. In questa fase si usano modelli sperimentali della malattia: un modello solo teorico come un modello matematico, una coltura di cellule in vitro oppure animali da laboratorio (modelli in vivo). Sempre in questa fase si effettuano ricerche di lunga durata per accertare se esistono fenomeni di tossicità cronica, alterazioni della fertilità o teratogenicità (alterazioni del prodotto del concepimento).

Finalmente, una volta accertato che il composto in esame ha l'efficacia desiderata sul bersaglio farmacologico e un accettabile grado di sicurezza per l'utilizzo, la sperimentazione clinica inizia a riguardare l'uomo.

Per questo scopo sono previste tre fasi distinte.
Fase I (farmacologia clinica) su volontari sani.
Lo scopo di questa fase della sperimentazione è quello di fornire preliminari elementi per una valutazione della sicurezza del principio attivo per accertarne la tolleranza dell'organismo: studi di farmacocinetica, farmacodinamica, metabolismo e biodisponibilità. Si valutano anche i possibili effetti del farmaco a carico di altri organi e altre funzioni dell'organismo, i cosiddetti effetti collaterali.
Prima di iniziare questa fase bisogna richiedere l'autorizzazione alla sperimentazione da parte del Ministero della Sanità.
Fase II (studio di efficacia) su un ristretto numero di pazienti.
Terminata l'analisi farmacologica si passa a determinare l'efficacia terapeutica del nuovo farmaco. In alcuni selezionati centri ospedalieri dotati di comitati etici di controllo, che devono autorizzare sia il protocollo generale di sperimentazione che ogni singolo passo della sperimentazione stessa, si realizza una serie di studi sul campo. Essi comprendono sia un ulteriore affinamento dell'analisi sulla tossicità e sugli effetti collaterali, sia degli studi in doppio cieco (né il paziente né lo sperimentatore sanno se si sta utilizzando il principio attivo o una molecola inerte, il placebo), randomizzati (assegnazione di farmaco e placebo con una sequenza casuale) per misurare di quanto l'effetto del nuovo farmaco sia superiore all'-effetto placebo.
Ogni paziente che partecipa alla sperimentazione deve essere informato puntualmente degli effetti del nuovo farmaco e di potenziali rischi previsti e firmare una dichiarazione di consenso informato.
Fase III (studio multicentrico) su un maggiore numero di pazienti.
A questo punto si continua la sperimentazione clinica allargando il numero di centri, cioè di ospedali e cliniche coinvolte con l'obiettivo di confermare l'efficacia, affinare i dosaggi e la formulazione scelta, definire il rapporto sicurezza/efficacia.
In merito alla fase clinica controllata deve essere ben chiaro ed esplicito preliminarmente lo scopo dello studio.
Terminata anche questa Fase si fa domanda di registrazione presso il Ministero della Sanità per ottenere l'autorizzazione alla commercializzazione del nuovo medicinale.
In genere queste tre fasi sull'uomo richiedono un periodo che va dai 2 ai 10 anni
Esiste anche una Fase IV nella quale viene svolta l'attività di farmacovigilanza attraverso Studi Osservazionali: il nuovo farmaco viene tenuto sotto controllo per rilevare effetti collaterali o problemi sfuggiti ai tests clinici precedenti perché si manifestano molto raramente oppure perchè si verificano a lunghissimo termine.
E' dovere di qualsiasi medico segnalare agli organi competenti tutte le reazioni avverse gravi o inattese di cui vengano a conoscenza nell'ambito della propia attività.