

Negli ultimi 20 anni la terapia dei tumori ha raggiunto risultati straordinari, garantendo a molti pazienti guarigioni definitive o durature dapprima insperate. Da un punto di vista farmacologico sono stati anni caratterizzati in primis da una marcata transizione dall'impiego di farmaci estrattivi, o comunque sintetizzati sul modello di farmaci estrattivi, all'impiego di anticorpi monoclonali o inibitori tirosinchinasici sviluppati grazie alla tecnica del DNA ricombinante o del computer modeling. In alcuni casi i nuovi farmaci sono sufficientemente specifici e attivi da consentire monoterapie di induzione e/o mantenimento; in altri casi, i nuovi standard terapeutici si affidano alla associazione dei "nuovi" farmaci con i "vecchi". Come sempre, tuttavia, nulla viene senza un prezzo da pagare. Non tutti i farmaci cosiddetti "al bersaglio" si sono rivelati tali. La specificità del farmaco è certamente garantita nel caso degli anticorpi monoclonali, ma l'espressione di livelli costitutivi del bersaglio anche in organi sani ha fatto sì che l'impiego di alcuni anticorpi monoclonali si complicasse con tossicità d'organo inaspettate. Non è quindi il farmaco a non essere specifico quanto piuttosto il bersaglio a non essere assolutamente specifico per le cellule tumorali. Nel caso degli inibitori tirosinchinasici, poi, è proprio la specificità del farmaco ad essere spesso subottimale. Il raggiungimento di altri bersagli è frequente; in alcuni casi ciò si traduce in nuove indicazioni terapeutiche recepite a livello registrativo, in altri casi la conseguenza è negli eventi avversi. Preoccupa in particolare un quadro incipiente di tossicità cardiovascolare, che si sperava confinata all'uso delle "vecchie" antracicline. Anche il processo regolatorio di approvazione dei nuovi farmaci può in alcuni casi soffrire di incertezze nella valutazione del rapporto rischio:beneficio e del budget impact. Speriamo che per risolvere questi ultimi problemi non siano necessari altri venti anni.