

Prefazione

Il lavoro scientifico raramente produce successi rapidi e concreti, e molto spesso idee inizialmente considerate promettenti si traducono in frustrazione e delusione. A maggior ragione, quindi, lo sviluppo di un farmaco specifico per il trattamento di una malattia precedentemente fatale come la leucemia mieloide cronica rappresenta una pietra miliare nella storia dell'ematologia moderna e della terapia del cancro più in generale.

Il libro di Carlo Gambacorti-Passerini è un avvincente ed entusiasmante resoconto diretto dello sviluppo di imatinib, il primo farmaco mirato per il trattamento della leucemia mieloide cronica.

In questo libro, uno degli ematologi italiani più noti nel campo della ricerca traslazionale ripercorre le tappe successive, vissute in prima persona, che portarono tra il 1997 e il 2001 dagli studi preclinici all'approvazione di uno degli approcci terapeutici di maggior successo nel trattamento del cancro.

Il libro ricorda in modo brillante e diretto la lotta di Gambacorti-Passerini per condurre la ricerca in laboratorio nel suo istituto di origine a Milano, e contemporaneamente per posizionarsi tra i colleghi scienziati internazionali nel campo di battaglia della ricerca medica, per sostenere l'inserimento dei dati scientifici nei protocolli di ricerca clinica, troppo spesso limitati da ostacoli amministrativi e da interessi aziendali.

Il libro di Gambacorti-Passerini, soprattutto, ci mostra come il ragionamento scientifico razionale e diretto, di fronte alla realtà, debba spesso trovare strade non convenzionali per procedere. Con il suo stile ironico e unico, Gambacorti-Passerini ci fa seguire un ematologo lombardo altamente motivato e competente, guidato dalla curiosità scientifica e dall'attenzione per i suoi pazienti, i due pilastri della sua vita professionale.

Il thriller scientifico qui narrato è incredibilmente avvincente e ricco di spunti di riflessione sia per il lettore con una formazione ematologica sia per il non esperto. Quasi come effetto collaterale della lettura, si comprendono quali siano i meccanismi patologici alla base della leucemia e come vengano sviluppati i moderni trattamenti contro il cancro.

Solo con il senno di poi, a più di venticinque anni di distanza, diventano chiari il significato e la portata di questi risultati raggiunti in ematologia alla fine degli anni Novanta.

Una lettura obbligata per il giovane medico – specie se ematologo con una mentalità scientifica che si avvicina a questo campo – per il paziente affetto da questa malattia e per chiunque abbia interesse al ruolo della ricerca scientifica nella nostra società!

PROF. PHILIPP LE COUTRE

Dipartimento di Ematologia, Oncologia
e Immunologia oncologica
Ospedale universitario della Charité
(Università Humboldt, Berlino)

LA SPERANZA OLTRE LA SIEPE

Introduzione

La storia della leucemia mieloide cronica (LMC), nota nelle sue caratteristiche cliniche da oltre un secolo e mezzo, ha ricevuto un'accelerazione impressionante tra il 1998 e il 2010. La prognosi della LMC rimaneva, fino al 1999, confinata in un'aspettativa di vita di 2-3 anni dopo la diagnosi. Non oltre il 20-30% dei pazienti poteva tentare un trapianto di midollo, con tutti i rischi connessi a questa procedura.

Quindi, in buona sostanza e per la grande maggioranza dei malati, la diagnosi di LMC, che colpisce ogni anno 160.000 nuovi pazienti, significava una sentenza di morte, da eseguirsi in quel lasso di tempo appunto.

Lo sviluppo di un farmaco, ora conosciuto come imatinib ma precedentemente noto con altri nomi (CGP57148B e STI571), avvenne tumultuosamente in quegli anni e permise di riscrivere la storia, e soprattutto di concluderla, con un risultato che i più ritenevano impossibile: dare ai pazienti con LMC (oltre 2 milioni nel mondo) l'aspettativa di vita di una persona normale, cioè senza la leucemia.

Questo libro ripercorre proprio quegli anni, che ho vissuto in prima persona.

Ho iniziato a scriverlo il 10 aprile 2000, in volo tra Denver e Tampa.

In effetti, questo libro è basato su molteplici note, scritte in buona parte durante i trasferimenti aerei che tra il 1998 e il 2010 mi hanno portato in varie parti del mondo per presentare dati e risultati.

Fortunatamente alcuni voli sono stati anche molto lunghi e qui, isolato, anzi protetto da telefonate, mail e altre distrazioni, ho potuto lasciar fluire ricordi, emozioni, delusioni ed entusiasmi, cercando di distillarli in un racconto interessante, ma anche istruttivo e spero non distruttivo.

Queste note sono poi state organizzate nella forma presente tra il 2023 e il 2025.

Ciò che è qui contenuto rappresenta dunque lo specchio di quanto accaduto e da me vissuto in quegli anni, tra il 1998 e il 2010. A volte il testo contiene delle note aggiunte posteriormente (molte cose sono cambiate in questi anni) e quindi scritte in corsivo per distinguerle.

In ogni modo, quanto qui contenuto rappresenta il risultato di avvenimenti cui ho partecipato direttamente ed in prima persona o di cui ho parlato con i diretti interessati. Nulla di quanto qui raccontato rappresenta pertanto delle notizie sentite indirettamente o, peggio, raccolte da qualche sito internet.

Per motivi di privacy alcuni nomi e luoghi sono stati modificati.

La montagna

Agosto 1998.

Azzurro; l'azzurro puro del cielo delle Alpi. Più sotto, la massa nera, imponente delle Grandes Murailles, sorta di muraglia naturale; e poi ancora il verde della foresta di larici e pini che, tra cielo e montagna, avvolge la baita di legno e di pietra. Il sole, lento, scende dietro quei picchi, per andare ad inondare di luce altre parti del nostro inquieto mondo.

Tornavo da due giorni di cammino, durissimo ma stupendo, tra i passi e i ghiacciai della Valpelline con Benedetta, la più grande delle mie tre figlie. Due giorni spersi tra le montagne, unici esseri umani in un ambiente tanto maestoso quanto minaccioso e imponente di ghiacciai, precipizi, vette. Come è piccolo l'uomo al confronto!

Spesso le montagne ci insegnano cose importanti, come ad esempio ad esaminare un problema da tutti i punti di vista. Prendete per esempio le Grandes Murailles delle quali ho appena parlato; dalla parte che ho descritto, quella orientale verso la Valtournenche, essa somiglia, come dice il nome, ad una enorme muraglia di pietra nera, liscia e verticale, punteggiata di neve bianca nella sua parte più alta. Precipizio e verticalità dominano.

Guardandola dalla parte opposta, appunto dalla Valpelline, ci si accorge che la «muraglia» in realtà è una diga che trat-

tiene col suo abbraccio enormi ghiacciai, gigantesche strisce bianche di neve e di ghiaccio, anche d'estate. Qui domina invece un aspetto di completa orizzontalità, in contrasto con la verticalità del versante orientale. Un po' come guardare una diga dalla parte del muro o da quella del lago.

A casa ci aspettano tutti: Elisa, il mio amore, Zita, la seconda figlia, decisa; Maddalena, bella, americana (è nata in Wisconsin quando lavoravo a Madison), intelligente e inquieta; Martino, il più piccolo, riflessivo, ma ancora non lo conosco, ha 5 anni; e poi anche amici e parenti. È proprio una bella casa. Grande e accogliente, in legno rosso e pietra, calda d'inverno e fresca d'estate, fatta apposta per passare momenti lieti e sereni.

Qui arriva la sorpresa più bella: una telefonata di Philipp, da Milano. Philipp è uno studente tedesco che da due anni (1996) lavora con me e con me ha condiviso fatiche, gioie e delusioni del nostro lavoro. Un breve messaggio: «*JNCI accepted the paper*».

Queste quattro parole (sei in italiano: «JNCI ha accettato il nostro lavoro») rappresentano l'inizio di un'avventura che ha drasticamente cambiato la vita a chi l'ha vissuta, come me e Philipp, e a milioni di pazienti altrimenti condannati a morte entro due-tre anni; e che sono certo susciterà in chi leggerà queste pagine le stesse emozioni e sentimenti di chi l'ha vissuta in prima persona.

La vicenda che mi accingo a raccontarvi è realmente accaduta e unisce insieme molti aspetti diversi: il mondo della ricerca scientifica, quello della medicina, delle grandi industrie farmaceutiche, ma anche di pazienti veri, con le

loro storie e tragedie personali ed umane, ognuna diversa e ognuna degna di essere narrata.

Questa storia mescola anche sentimenti molto diversi: passione per la ricerca, amore per la scienza, attenzione al paziente, ma anche avidità, ambiguità, mancanza di scrupoli e senso etico, e poi suspense e burocrazia infernale, mescolati tra di loro in tutte le possibili sfumature.

Ogni tanto arriva anche un po' di comicità... ma non troppa.