

# Medicina traslazionale

## Introduzione

Non esiste una chiara definizione di medicina traslazionale poiché questo termine può assumere un significato diverso per persone differenti. Nel presente articolo, viene definita medicina traslazionale (anche chiamata scienza traslazionale) una disciplina in rapido sviluppo nel campo della ricerca biomedica che ha lo scopo di velocizzare la scoperta di nuovi trattamenti e strumenti diagnostici utilizzando un approccio multidisciplinare che comporta un elevato livello di collaborazione.

Spesso descritta come la pratica di trasferire la conoscenza scientifica “dal laboratorio al letto del paziente” (B2B, from bench to bedside), la medicina traslazionale si fonda sui progressi della ricerca di base, studi sui processi biologici tramite ad esempio l'utilizzo di colture cellulari o modelli animali, che vengono utilizzati per sviluppare nuove terapie o procedure mediche.

Esistono diversi punti di vista riguardo al concetto di medicina traslazionale:

Barry S. Collier della Rockefeller University di New York definisce la medicina traslazionale “l'applicazione del metodo scientifico nell'affrontare un bisogno medico”.

Quest'ultimo ritiene che, a differenza della ricerca di base, che ha come scopo primario la generazione di nuova conoscenza, il fine principale della scienza traslazionale sia il miglioramento della salute umana.

John Hutton del Cincinnati Children's Hospital Medical Centre, spiega che una definizione “ufficiale” perfettamente ragionevole di medicina traslazionale dovrebbe essere “la

medicina traslazionale trasforma le scoperte scientifiche provenienti dagli studi di laboratorio, clinici o di popolazione in nuovi strumenti clinici e applicazioni che migliorano la salute umana riducendo l'incidenza, la morbilità e mortalità delle malattie".

Tale definizione è stata presa e adattata da "Transforming Translation – Harnessing Discovery for Patient and Public Benefit" (Report of the Translational Research Working Group of the National Cancer Advisory Board, US NIH, 2007).

## Base concettuale

La medicina traslazionale converte scoperte scientifiche promettenti in applicazioni e tenta di rispondere alle domande della ricerca tramite il lavoro sperimentale al fine di facilitare la previsione, prevenzione, diagnosi e trattamento delle malattie. In altre parole, la medicina traslazionale trasforma i risultati sperimentali di base della biologia medica in teoria, tecnologia e metodi pratici che faranno da ponte tra il laboratorio e la pratica clinica.

La medicina traslazionale si concentra sul garantire che strategie comprovate per il trattamento e la prevenzione delle malattie siano infine applicate in una popolazione di pazienti.

## Medicina traslazionale: un concetto bidirezionale

La medicina traslazionale intende stimolare il flusso d'informazioni dal laboratorio alla clinica e, viceversa, **dalla clinica al laboratorio**. Questo significa che la medicina traslazionale è un **concetto bidirezionale**, che comprende:

- fattori che favoriscono lo scambio **dal laboratorio al letto del paziente** permettendo di potenziare l'efficacia

- con cui vengono studiate dal punto di vista clinico nuove strategie terapeutiche sviluppate tramite la ricerca;
- fattori che favoriscono lo scambio **dal letto del paziente al laboratorio**, permettendo di ricevere informazioni di ritorno sulle applicazioni di nuovi trattamenti e su come possono essere migliorati.



Attualmente, lo sviluppo della comprensione dei sistemi biologici e di **nuovi potenti strumenti, utilizzabili sia in laboratorio che nell'applicazione clinica**, offre prospettive senza precedenti per i progressi della conoscenza delle patologie negli esseri umani in questo contesto traslazionale bidirezionale.

La medicina traslazionale cerca di coordinare l'utilizzo di nuove conoscenze nella pratica clinica e d'integrare le osservazioni e gli interrogativi di ambito clinico in ipotesi

scientifiche nel laboratorio. Inoltre, facilita la caratterizzazione dei processi della malattia e la generazione di nuove ipotesi basate sull'osservazione diretta da parte dell'essere umano.

I pazienti e le organizzazioni di pazienti hanno un ruolo molto importante nell'assicurare tra le diverse parti interessate un flusso continuo d'informazioni di ritorno, elemento essenziale per ottenere successo.

## Storia della medicina traslazionale

Il termine medicina traslazionale è stato introdotto negli anni novanta ma ha acquisito ampio utilizzo solo nei primi anni duemila. In origine, la ricerca in medicina traslazionale è nata dal concetto "dal laboratorio al letto del paziente" (B2B), come una classe della ricerca medica avente come obiettivo l'eliminazione delle barriere tra il laboratorio e la ricerca clinica.

Nel 2003, l'Institute of Medicine Clinical Research Roundtable ha descritto la terminologia e il modello attuale di ricerca traslazionale come un processo di ricerca in due fasi, che va:

- dalla scienza di base alla scienza clinica
- dalla scienza clinica all'impatto sulla salute pubblica.

Il modello traslazionale più attuale in letteratura è il modello delle **4 T**:

- **T1**: dalla scoperta scientifica di base (conoscenza di base) a potenziale applicazione clinica (conoscenza teorica) **a**
- **T2**: da linee guida basate su evidenze (conoscenza dell'efficacia) **a**
- **T3**: da assistenza o applicazione clinica (conoscenza applicata) **a**
- **T4**: la salute di una comunità o di una popolazione

(conoscenza della salute pubblica).

## **La necessità di una medicina traslazionale**

Indipendentemente dalla definizione, ciò che risulta evidente è il grande bisogno di una medicina traslazionale, per i seguenti motivi:

- La crescente aspettativa di vita nella maggior parte della popolazione mondiale, la quale ha provocato un aumento della prevalenza di malattie croniche. I trattamenti possono essere costosi e prolungati.
- Il continuo aumento della prevalenza ha avuto come esito una crescita in proiezione futura delle spese per l'assistenza sanitaria
- Il miglioramento delle diagnosi ha accresciuto i requisiti per i trattamenti per malattie, spesso rare, identificate di recente.

Un obiettivo finale della medicina traslazionale è aiutare i pazienti, grazie a un rapido sviluppo di una nuova scienza diagnostica, nuovi prodotti medicinali e conoscenze mediche innovative per il trattamento delle malattie, al fine di offrire accesso all'assistenza a costi ragionevoli.

## **Opportunità e sfide per la medicina traslazionale**

Questo tipo di medicina ha contribuito a convertire le straordinarie innovazioni scientifiche avvenute negli ultimi anni in vantaggi per la salute della popolazione generale. Ciò è stato realizzato:

- utilizzando i progressi nell'ambito della fisica e della scienza dei materiali, i quali offrono nuovi approcci

- allo studio e alla diagnosi delle condizioni mediche;
- contribuendo a velocizzare l'integrazione di nuovi endpoint negli studi clinici, con la conseguente riduzione della durata degli studi stessi;
  - facilitando il trasferimento di sostanze analizzabili in clinica, con la conseguente velocizzazione dei tempi per la convalida di nuovi prodotti e una riduzione dei costi associati agli studi preclinici.

In ogni caso, per questo tipo di medicina si presentano ancora molte difficoltà, poiché la sua conversione deve avvenire in modo da permettere che i modelli della sanità pubblica per la prevenzione e il trattamento delle malattie siano applicati realisticamente e con successo anche in ambienti con poche risorse. Ciò è possibile individuando in che modo creare un ambiente di supporto alla medicina traslazionale e sviluppare metodi innovativi di diagnosi, prognosi e terapia per bisogni globali urgenti e non soddisfatti.

La conoscenza di molti aspetti fondamentali della biologia nell'ambito della salute e della malattia è ancora insufficiente per convertire automaticamente le attuali scoperte in metodi di prevenzione e trattamenti nuovi e più efficaci; gli obiettivi della medicina traslazionale possono essere conseguiti solo attraverso costanti investimenti e progressi nelle scoperte di base in ambito biomedico e comportamentale, abbinati a una scienza traslazionale efficace. Andare incontro a necessità non soddisfatte nella divulgazione di nuove conoscenze di medicina clinica e traslazionale può portare a una migliore pratica clinica.

## **Conquiste della medicina traslazionale**

Migliorando l'efficacia delle scoperte e delle applicazioni biomediche, invece di cercare di modificare i processi esistenti nell'ambito delle discipline, la medicina

traslazionale è giunta a funzionare da concetto unificante nel campo sempre più complesso, specializzato e frammentato della ricerca biomedica. La sua nascita è avvenuta dalla sintesi d'informazioni acquisite da molteplici fonti sperimentali. Grazie a tale approccio, è stata acquisita una migliore comprensione della biologia e della patologia umana e le terapie sono state individuate e studiate più velocemente: tutto questo ha avuto come esito **migliori trattamenti e risultati per i pazienti.**

Tuttavia, è necessario stimolare lo sviluppo di una visione più chiara per la ricerca traslazionale e clinica, al fine di garantire che tali discipline rimangano forti generatori di creatività.

## **Allegati**

- Scheda informativa: Esempi di ricerca in medicina traslazionale  
Size: 100,519 bytes, Format: .docx  
Esempi di medicina traslazionale

- Presentazione: Medicina traslazionale: Introduzione  
Size: 606,017 bytes, Format: .pptx  
Introduzione alla medicina traslazionale.