

[FATTI&PERSONE](#)[REGOLATORIO](#)[MERCATO](#)[RICERCA](#)[PRODUZIONE](#)[PRODOTTI&SERVIZI](#)[NCF INTERNATIONAL](#)[Home](#) > [Ricerca](#) > [Biotecnologie](#) > [Cell & gene therapy: gli ingredienti del successo](#)[Ricerca](#) [Biotecnologie](#)

Cell & gene therapy: gli ingredienti del successo

Il biotech vive un momento storico di grande fermento, che anche il nostro Paese deve agganciare, per ottenere nuovi impulsi alla ricerca e occupazione.

Monica Torriani 5 aprile 2019 12 0

[Leggi la rivista](#)[3/2019](#) [2/2019](#) [1/2019](#)[Edicola Web](#)[Registrati alla newsletter di NCF](#)[Registrati a Farmacia Ospedaliera](#)[01Health](#)

Sistemi di ripresa 4K per innovare la rinoplastica

Panasonic Industrial Medical Vision (IMV) presenterà l'ultima tecnologia 4K Povcam in ambito medical [...]

Bologna capitale mondiale delle tecnologie assistive dal 27 al 30 agosto

Riccardo Palmisano, Presidente di Assobiotech, durante la keynote lecture in AFI

Il panorama del **biotech** per quanto riguarda la **cell & gene therapy** si è radicalmente modificato. Ne parla **Riccardo Palmisano**, invitato da AFI Scientifica a tenere una *keynote lecture* sul tema il 4 aprile a Milano. Lo storytelling del Presidente di Assobiotech parte dai primi approcci clinici messi in atto dalle aziende biotecnologiche con la terapia genica. E passa per la narrazione emotivamente densa di **Strimvelis**, il farmaco per ADA-Scid sviluppato dalla partnership di successo fra TIGET San Raffaele e Glaxo Smith Kline.

Da allora, il biotech non si è più fermato. Da appannaggio per pochi, piccoli spin-off per lo più universitari, si è trasformato in un **business molto promettente, capace di attrarre finanziamenti cospicui e di guidare uno degli aspetti più interessanti dell'innovazione tecnologica**.

Attualmente ci sono circa 900 aziende globalmente operanti nel settore della **cell & gene therapy**. Un potenziale produttivo enorme che ci autorizza a pensare positivamente.

Palmisano identifica i tre eventi che hanno segnato il percorso vincente del biotech: regolatorio puntuale, grandi acquisizioni e cospicui investimenti.

Gli ingredienti del successo della cell & gene therapy

Le **storiche approvazioni da parte di FDA** delle prime tre terapie CAR-T (Kymriah, Yescarta, Luxturna) hanno dato l'impulso decisivo per lo sviluppo della **cell & gene therapy**. In particolare, **il CAR-T diretto contro il CD19 ha permesso di salvare la vita al 60% dei pazienti cui è stato somministrato**. Bambini e giovani adulti che, a seguito dell'insuccesso della chemioterapia e del fallimento del trapianto di midollo osseo, sarebbero andati incontro a morte certa. Se, per quanto riguarda **Luxturna**, non possiamo parlare di patologia *life threatening*, si tratta comunque di un farmaco che permette di **salvare la vista dei pazienti affetti da malattie rare ereditarie della retina che porterebbero alla cecità**.

Ma i nostri anni sono anche il tempo dell'M&A, delle **grandi acquisizioni**, dei *big* che si fanno *bigger*. **Palmisano** ricorda il caso di **Gilead**, che ha comprato la sola pipeline di **Kite** per 12 miliardi: un *player* di dimensioni contenute su cui la biotech company californiana ha puntato gli occhi, attratta dalle enormi potenzialità.

E poi gli investimenti, raddoppiati fra il 2016 ed il 2017 e ancora raddoppiati dal 2017 al 2018. Risorse che hanno finanziato i costosissimi studi che hanno, a loro volta, portato allo sviluppo dei farmaci oggi approvati e gettato le basi per nuove terapie del prossimo futuro.

I costi della cell & gene therapy: approccio *outcome-based* e *savings*

Numeri alla mano, la **cell & gene therapy** pone un serio problema di **sostenibilità**. Un fattore che impatta in maniera molteplice sulle possibilità di finanziamento delle terapie da parte dei Governi. E che **potrebbe scaturire in una decisa restrizione nell'accesso alle cure**.

Su questo tema il **Presidente di Assobiotech e CEO di MolMed** invita a riflettere senza pregiudizi, sottolineando i costi ingenti che impegnano le aziende biotecnologiche e i rischi associati a questo tipo di investimenti.

Occorre, replica **Palmisano**, considerare le importanti possibilità di guarigione offerte da queste terapie, ad oggi *game changing* nelle patologie per le quali sono state

"Global challenges in assistive technology: la tecnologia e il suo ruolo nel migliorare la qualità d [...]"

Risonanza magnetica mobile: ospedale a domicilio in Finlandia

Un progetto dell'Oulu University Hospital per garantire l'accesso all'assistenza sanitaria specialis [...]

Pharma World Magazine News

IRIS guide to the platform for parallel distribution industry users

Food supplements chain discussion at Pharmintech on April 11th

Challenges and opportunities of pharmaceutical production staged on April 10 at Pharmintech

sviluppate. E non sottovalutare i **costi evitati** grazie al loro utilizzo. Confrontando i costi del **trapianto di cellule staminali del midollo osseo** (pari a circa 200-300.000 euro) con quelli della terapia CAR-T (400.000 euro circa) potremmo scoprire che le differenze non sono poi così evidenti. Tenuto anche conto del fatto che il trapianto di midollo richiede assistenza sanitaria che va al di là della sola procedura. E che comporta seri rischi di reazioni quali la **GVHD**, sia acuta che cronica e di infezioni severe, con un costo di gestione stimato pari a circa 200-500.000 euro.

Il tema della proprietà intellettuale

Attualmente la **terapia CAR-T** è indicata come trattamento di terza linea per alcuni tumori liquidi e sono circa 1.000 i pazienti in Italia candidati a riceverla. Ma in futuro le cose potrebbero cambiare e la **cell & gene therapy** potrebbe diventare terapia di prima linea per altre patologie tumorali, anche solide. A questo punto la questione della sostenibilità potrebbe trasformarsi in un fattore limitante l'accesso alla terapia. La probabilità che ciò accada è elevata. Fortunatamente, se questo significa la guarigione per più pazienti, ma con un costo impattante sulla spesa pubblica.

Per risolvere, almeno in parte, questo problema, una delle proposte è quella di sviluppare delle **cell factories** autonome negli ospedali autorizzati a gestire la terapia CAR-T. Questo permetterebbe ai centri di ricerca di svincolarsi dall'industria farmaceutica. Per questa ragione, nell'ottica di prevedere un piano di sostenibilità sulla spesa futura, lo Stato guarda con interesse al finanziamento dell'attività delle **cell factories** nella produzione dei linfociti modificati. Ma il cosiddetto **CAR-T di Stato** viene da più parti considerato difficilmente realizzabile ai costi stimati da AIFA (circa 30.000 euro a paziente).

Attualmente sono 12 le **cell factories** autorizzate sul territorio italiano, fra cui quella dell'**Ospedale Bambino Gesù di Roma**.

L'idea del CAR-T di Stato si fonderebbe sul presupposto della debolezza del brevetto e dunque della sua superabilità. CAR-T è infatti una procedura basata sull'impiego di cellule umane (ovviamente non brevettabili) prelevate, ingegnerizzate e reinfuse nel paziente.

Mentre imperversa il dibattito su come sia più giusto affrontare il tema della sostenibilità economica nel lungo periodo e sulla gestione degli effetti collaterali del CAR-T (il più pericoloso dei quali è la **sindrome da rilascio delle citochine**), attendiamo a breve l'approvazione nel nostro Paese delle prime terapie CAR-T, prevista fra l'estate e l'inizio dell'autunno.

TAGS AFI Scientifica Assobiotech biotech CAR-T cell & gene therapy cell factories

Riccardo Palmisano

👍 Mi piace 0

ARTICOLI CORRELATI ALTRI ARTICOLI DI QUESTO AUTORE