

# «Ora le istituzioni sostengano l'industria che investe in Italia»

## INTERVISTA

**FRANCO LOCATELLI**

**Prima ancora dei costi, va posto un problema di capacità manifatturiera**

«Una settimana fa abbiamo visto, per il controllo a un anno dall'infusione, il primo bambino trattato nell'ambito del nostro studio indipendente sulla leucemia linfoblastica acuta. Era un caso particolarmente grave, già ricaduto due volte, la seconda delle quali dopo un trapianto di midollo osseo. A un anno di distanza dal trattamento con Car-T, il bimbo è completamente in remissione e siamo, quindi, assai vicini a considerarlo guarito. Un bel percorso fatto insieme ai genitori, di cui siamo molto contenti».

Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Ematologia e Oncologia pediatrica dell'Ospedale-Irccs Bambino Gesù di Roma, coordina due trials accademici - quindi indipendenti dalle industrie - focalizzati su leucemia linfoblastica acuta e neuroblastoma.

**Professore, quanti pazienti avete trattato a oggi?**

Nel 2018 ne abbiamo arruolati 20: undici nel trial delle Car-T per la leucemia linfoblastica acuta e nove nello studio

clinico sul neuroblastoma. Nelle leucemie abbiamo ottenuto percentuali di remissione della malattia sovrapponibili a quelle riportate nei trial industriali: siamo nell'ordine dell'80% di pazienti che ritornano a essere in remissione. Sulla guarigione sono più prudente, perché un follow-up adeguato per questa valutazione deve ancora maturare.

**Qual è la peculiarità della vostra sperimentazione indipendente?**

L'Ospedale Bambino Gesù è dotato di una delle due officine farmaceutiche accreditate nel Paese, insieme a Molmed a Milano, per la modificazione genetica di cellule con vettori virali. Abbiamo sviluppato una sequenza genica originale, in cui abbiamo anche inserito un gene suicida, che, in caso di effetti collaterali non controllabili con la terapia convenzionale, consente di bloccare l'azione delle cellule Car-T. Non solo: abbiamo investito su un tumore solido come il neuroblastoma, mentre i trial industriali si stanno concentrando sui tumori del sangue.

**Da dove arrivano le Car-T?**

Sono cellule prodotte nei nostri labora-



**FRANCO LOCATELLI**

Dipartimento ematologia e oncologia pediatrica Ospedale Bambino Gesù di Roma

tori dedicati, che occupano ben 1.300 metri quadrati. La cell factory di San Paolo, a Roma, ha ottenuto l'accREDITAMENTO da parte dell'Aifa. Costruirla ha richiesto un investimento di qualche milione di euro, per garantire altissimi livelli di sicurezza e specializzazione.

**A suo avviso è immaginabile una "Car-T di Stato" per superare il nodo dei costi di queste terapie?**

Prima ancora dei costi, si pone un problema di capacità manifatturiera. Il nodo è riuscire a preparare i prodotti per tutte le persone che in prospettiva, con l'estensione delle indicazioni, potrebbero beneficiare di questa terapia. Serve una riflessione da parte degli organi competenti di questo Paese; al tempo stesso penso che le strutture accademiche, inclusa la nostra, abbiano essenzialmente la missione di sviluppare le fasi iniziali delle terapie innovative e di validarle in studi pilota, mentre la traslazione su larga scala la sanno fare sicuramente meglio le farmaceutiche. Fermo restando anche in questo ambito il potenziale rischio di un collo di bottiglia nella capacità manifatturiera.

**Come ovviare a questo problema?**

Sarebbe opportuno che a livello istituzionale si facesse una riflessione per incentivare la produzione di cellule Car-T nel nostro Paese, sostenendo le industrie che vogliono investire sulle strutture italiane esistenti.

Foto: Riproduzione riservata

