

## OK dell'Europa alla nuova terapia anticancro: Websim intervista Riccardo Palmisano, AD di MolMed

Redazione Websim in action

*Dopo gli USA anche l'Europa dà il via libera alla commercializzazione di rimedi basati sulla terapia CAR-T ovvero la rigenerazione cellulare. Molmed è la società di Piazza Affari più esposta al settore più promettente nel campo biotech*

28 agosto 2018 - La sterminata libreria della vita, il genoma, è oggi un catalogo ordinato e classificato dal quale attingere utili informazioni, questa conoscenza, messa in pratica in campo medico negli ultimi decenni, ha generato lo sviluppo delle terapie geniche e cellulari.

Riccardo Palmisano, amministratore delegato di MolMed S.p.A. [MLMD.MI], azienda biotecnologica quotata alla Borsa di Milano, e presidente di Assobiotec, ripercorre con Websim.it gli ultimissimi passaggi della ricerca sulle terapie avanzate, geniche e cellulari. "Possiamo dire che la svolta per il settore sia arrivata nel 2017, con le prime autorizzazioni all'immissione in commercio da parte della Food&Drug Administration degli Stati Uniti".

Si inizia in agosto con il via libera a Kymriah, una terapia CAR-T contro le leucemie, di Novartis [NOVN.S], a ottobre arriva l'assenso a Yescarta di Kite Pharma/Gilead Sciences [GILD.O] per il trattamento del linfoma a grandi cellule B negli adulti, in dicembre ottiene l'approvazione Luxturna, terapia genica contro la cecità, della Spark Therapeutics [ONCE.O].

Per le terapie geniche e cellulari, spiega Palmisano, si possono per semplicità distinguere in due grandi ambiti di applicazione, quelle rivolte alla cura delle malattie rare di natura genetica e quelle attive contro i tumori. "Le prime vanno a correggere il difetto genetico all'origine della malattia, ripristinando una funzionalità mancante, per esempio quella riguardante la produzione di un enzima".

In questo settore, l'Europa è arrivata prima degli Stati Uniti, nel maggio del 2016 l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha concesso l'autorizzazione alla commercializzazione di una terapia genica.

Lo Strimvelis, registrato da GSK, è stato sviluppato dal team di genetisti dell'Istituto Tiget/Telethon ed è prodotto nei laboratori di MolMed.

C'è poi l'ambito oncologico: "Qui le terapie geniche e cellulari utilizzano il più potente antitumorale esistente, il sistema immunitario", prosegue l'AD di MolMed. "Le più innovative sono le terapie basate sul sistema CAR-T (Chimeric antigen receptor T cell) che sfrutta lo stesso approccio della terapia genica per modificare il sistema immunitario del paziente indirizzandolo specificatamente contro le cellule tumorali. I CAR-T sono proteine che permettono ai linfociti T di riconoscere in maniera specifica un antigene sulle cellule tumorali bersaglio.

Kymriah e Yescarta, le due terapie approvate dalla FDA nel 2017 combattono i tumori del sangue, come le leucemie e i linfomi, "per quanto riguarda i tumori solidi invece, gli studi sono in uno stadio più arretrato, e direi che questa è una delle sfide per tutta l'industria biotech che si dedica alle terapie avanzate", aggiunge Palmisano.

Queste terapie, che per necessità sono personalizzate, hanno prezzi molto alti, Luxturna costa circa 850.000 dollari, Kymriah 475.000, Yescarta 373.000.

Finché i pazienti sono poche centinaia nel mondo, come nel caso delle malattie rare, la cifra può essere sopportata dai sistemi nazionali o dalle assicurazioni, ma nel settore oncologico, quando si passerà da tumori rari o indicazioni di nicchia a numeri più grandi di pazienti, si dovrà affrontare il tema della sostenibilità di queste terapie, che peraltro hanno un'efficacia realmente trasformativa per la vita dei pazienti trattati.

“Quello dei costi è un problema rilevante, non facile da superare: l'automazione del processo, sui cui già oggi si lavora, potrebbe essere una prima risposta, anche se solo parziale; una seconda, più radicale, potrebbe essere quella che permette l'uso di cellule non del paziente, ma di un donatore sano. Si passerebbe così da una terapia personalizzata a una utilizzabile da più pazienti. Diverse aziende stanno lavorando a queste terapie allogeniche, tra cui noi di MolMed, che abbiamo scelto l'approccio basato sulle cosiddette cellule NK”, conclude Palmisano.

La terapia rigenerativa, in termini di giro d'affari, non arrivava a 20 miliardi di dollari nel 2016, secondo ReportLinker, nel 2022 si dovrebbe arrivare intorno a 65 miliardi di dollari. Non sorprende che negli ultimi due anni ci sia stata una girandola di acquisizioni e di investimenti.

Solo per restare alle operazioni più rilevanti, Novartis ha comprato AveXis per 8,7 miliardi di dollari, Gilead ha comprato Kite per 11,9 miliardi di dollari, Celgene ha comprato Juno Therapeutics per 9 miliardi. Alliance for Regenerative Medicine, nel report diffuso a inizio del mese, segnala che solo nel secondo trimestre il settore ha raccolto, in termini di finanziamenti e di offerte pubbliche, 4,1 miliardi di dollari, +160% rispetto a un anno prima. Da inizio anno la raccolta è arrivata a fine giugno a quasi otto miliardi di dollari (+79% anno su anno).

Nel secondo trimestre sono arrivate anche quattro autorizzazioni da parte della FDA e una nutrita serie di comunicazioni sullo stato di avanzamento di terapia in fase di sviluppo.

Oggi nel mondo ci sono 875 aziende attive nella medicina rigenerativa, 466 solo in Nord America, 235 in Europa.