

COLLABORAZIONE PUBBLICO-PRIVATO PER SVILUPPARE LE TERAPIE AVANZATE

di **Riccardo Palmisano**

Il dibattito che si è sviluppato recentemente nel nostro Paese sulle terapie avanzate (terapie cellulari, geniche e di ingegneria dei tessuti) non è che una conferma dell'interesse che il tema sta suscitando in tutto il mondo. In particolare, in ambito oncologico e delle malattie rare, i risultati clinici raggiunti, grazie alla collaborazione tra ricerca accademica e *non profit* e ricerca industriale, hanno consacrato una rivoluzione in ambito biomedico. Grazie all'avvento di tali farmaci abbiamo a disposizione nuovi modelli, che offrono soluzioni paziente-specifico e nuove prospettive di guarigione per patologie fino a oggi non curabili.

I medicinali di terapia avanzata richiedono un lungo e articolato processo di produzione, molto più complesso e costoso di quello degli altri farmaci, considerando che i prodotti a oggi approvati sono autologhi, cioè destinati a un singolo paziente. Nello specifico caso delle terapie cellulari sono le stesse cellule del paziente, prelevate in ospedale e in seguito ingegnerizzate ed espanse nei siti produttivi aziendali (*Good manufacturing practices facilities*), a diventare farmaco. Un processo che richiede settimane dall'aferesi (prelievo delle cellule del paziente) alla somministrazione di una singola dose, e controlli di qualità analoghi a quelli necessari per il rilascio di un intero lotto di far-

maci tradizionali. Tutto questo senza mai dimenticare il rigoroso processo regolatorio che va dallo sviluppo preclinico fino all'autorizzazione all'immissione in commercio, a garanzia di un ottimale rapporto rischio-beneficio per il paziente. Come sottolineato su questo giornale il 19 aprile da Francesca Pasinelli, direttore generale Fondazione Telethon, il mondo accademico rappresenta un generatore di innovazione, sviluppa la ricerca di base e preclinica, ma per far sì che tale innovazione possa essere tralata su larga scala sono necessari un impegno economico, competenze e strutture che solo l'impresa biotecnologica può garantire. Questo è il primo motivo per cui parliamo di grande opportunità di collaborazione tra pubblico e privato: le terapie sviluppate in ambito accademico, anche grazie a finanziamenti pubblici, sono finalizzate a utilizzi "sperimentali", testano e validano una ipotesi e possono essere trasferite alle imprese per raggiungere la *proof of concept*, l'ingegnerizzazione della terapia in Gmp (*Good Manufacturing Practice*) a tutela della qualità, portando alla somministrazione di un farmaco sicuro ed efficace al paziente. Un'altra grande opportunità di collaborazione tra pubblico e privato riguarda la preparazione di una rete di Centri clinici per la complessa gestione di questi farmaci. Non è pensabile che ogni ospedale possa

somministrare le terapie avanzate, ma nemmeno che da tutto il territorio nazionale i pazienti debbano spostarsi nei pochi Centri di eccellenza qualificati.

Un'ultima riflessione sul tema sostenibilità: va ricercata senza pregiudicare salute del paziente e capacità di generare nuove risposte alle esigenze di salute irrisolte. Deve essere garantita attraverso valutazioni di costo-efficacia; in forme di allocazione delle risorse che valutino i costi evitati; nella innovazione prospettata da farmaci di derivazione allogenica (prodotti da donatori sani per un più ampio numero di pazienti), da affiancare alle attuali terapie autologhe.

L'industria può offrire al sistema Paese competenze, professionalità, capacità economiche, che, all'interno di una collaborazione virtuosa tra pubblico e privato, costituiscono una grande risorsa. Sostenere ricerca e ruolo delle università, tutelare i brevetti come pietra miliare di innovazione, accelerare le procedure per la sperimentazione clinica e il processo di accesso e rimborso, che oggi ritardano l'ingresso in Italia dei farmaci di oltre un anno dall'approvazione Ema, come sta avvenendo anche per le prime terapie avanzate salvavita autorizzate. Questo è il ruolo che ci piacerebbe veder giocare alle istituzioni.

Federchimica Assobiotec

Associazione nazionale

per lo sviluppo delle biotecnologie

RIPRODUZIONE RISERVATA



L'ACCADEMIA CREA INNOVAZIONE MA SOLO L'AZIENDA BIOTECNOLOGICA GARANTISCE FONDI E STRUTTURE

**IL SOLE 24 ORE,
3 APRILE 2019**
Silvio Garattini,
presidente
dell'Istituto di
ricerche
farmacologiche
Mario Negri Irccs,
ha scritto che
finanziare le *cell
factory* renderà
meno onerosa la
lotta a leucemie
e linfomi. Sul Sole
del 19 aprile
l'intervento di
Francesca
Pasinelli (dg
Fondazione
Telethon)

