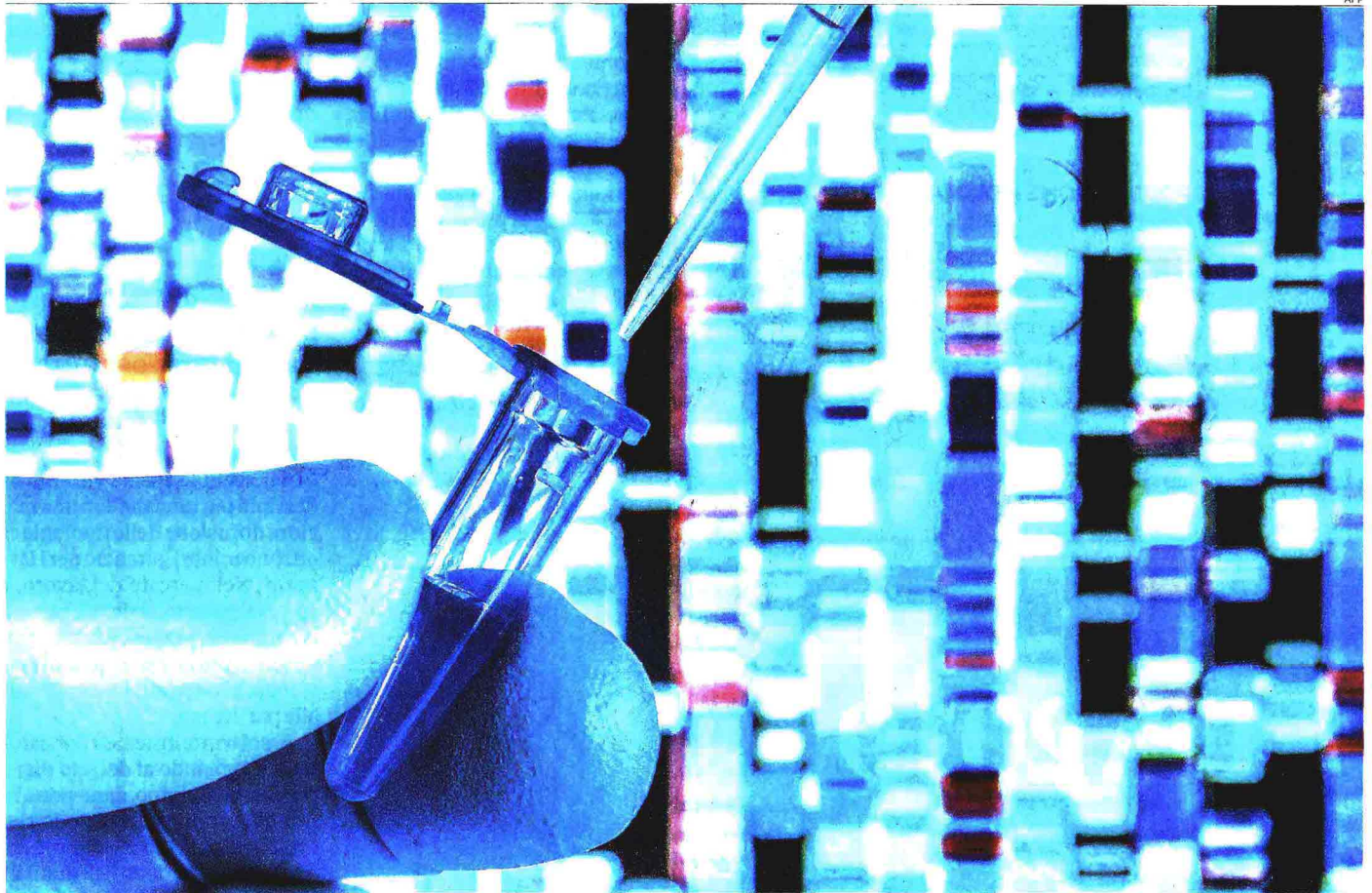


OGNI MARTEDÌ LE PAGINE DI .SALUTE



Ricerca genica. Ricercatori e Servizio sanitario nazionale in campo per la cura delle malattie «incurabili»

Terapie avanzate, sfida italiana nel biotech

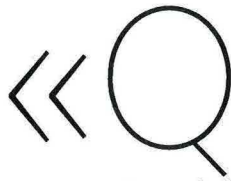
«Questo è l'inizio di una storia che continua ad aprire sfide oltre che promesse». Le parole di Luigi Naldini, pioniere della terapia genica, riassumono lo scenario delle cosiddette terapie avanzate (terapia genica, cellulare, editing genetico, immunoterapia Car-T, ingegneria dei tessuti). Se da un lato segnano l'inizio di una nuova era per la biomedicina, capace di dare risposte a malattie incurabili

spalancando nuove opportunità anche per il nostro Paese, dall'altro rappresentano una delle principali sfide con cui devono misurarsi sia il mondo della ricerca scientifica sia il Servizio sanitario nazionale. Si tratta infatti di terapie complesse e molto costose (possono raggiungere anche i 400mila euro), destinate solo a pazienti selezionati e molte delle quali ideate e sviluppate nel nostro Paese. **Francesca Cerati** — a pag. 35

Produzione, costi e regolamentazione. Oggi sono poche le terapie cellulari approvate, ma i prodotti in fase di R&S e gli investimenti crescono in modo esponenziale. Siamo pronti?

Sulle terapie avanzate sfida italiana nel biotech

Francesca Cerati



«Questo è l'inizio di una storia che continua ad aprire sfide oltre che promesse». Le parole di Luigi Naldini, pioniere della terapia genica, riassumono perfettamente quello che è oggi lo scenario delle cosiddette terapie avanzate (terapia genica, cellulare, editing genetico, immunoterapia Car-T, ingegneria dei tessuti). Se da un lato segnano l'inizio di una nuova era per la biomedicina, capace da dare risposte a malattie incurabili come le malattie rare e i tumori del sangue, spalancando nuove opportunità anche per il nostro Paese, dall'altro rappresentano una delle principali sfide con cui deve misurarsi sia il mondo della ricerca scientifica sia del Servizio sanitario nazionale. Si tratta infatti di terapie complesse e molto costose (intorno ai 400mila euro), destinate solo a pazienti selezionati. «È una materia totalmente nuova non solo per le agenzie regolatorie, ma anche per le imprese e i sistemi sanitari - dice Giulio Pompilio, delegato insieme a Paolo Gasparini del Cat (comitato per le terapie avanzate) di Ema - Sfruttata bene, rappresenta una straordinaria palestra per fare sistema e non perdere questo treno dell'innovazione. Ricordo che delle 13 terapie avanzate approvate oggi in Europa, tra le prime 4 approvate ben tre sono state ideate e sviluppate nel nostro Paese». Già, e la storia che ha portato alla prima terapia genica al mondo per l'Ada-Scid, portata avanti dall'Istituto San Raffaele Telethon per la terapia genica (Sr Tiget) potrebbe essere un buon esempio da replicare. «Il vero outcome è quello di creare un percorso virtuoso di trasferimento tecnologico, come già avvie-

ne negli Stati Uniti e in Gran Bretagna - commenta **Riccardo Palmisano**, pre-

sidente di Assobiotech - Il che significa mettere in contatto l'accademia con le imprese e creare come in Inghilterra dei "catapult", cioè degli incubatori a investimento pubblico-privato». E tra le ipotesi che **Palmisano** cita c'è anche lo Human technopole.

Che il tema sia una priorità lo si evince anche dal fatto che nelle ultime due settimane si sono concentrati gli appuntamenti che hanno coinvolto i principali stakeholder in in ambito terapie avanzate, a Roma organizzato dall'Osservatorio terapie avanzate, mentre a Milano si è tenuta sia la V tappa regionale della road map Car-t sia il 1° workshop italiano sulla terapia cellulare Car-T, a cui ha partecipato anche Carl June, il padre dell'immunoterapia anti-tumorale, che in pratica è in grado di restituire al sistema immunitario la sua naturale capacità di riconoscere ed eliminare le cellule tumorali. Una tecnica molto complessa che ha portato all'immissione in commercio di due prodotti riservati a malati con indicazioni precise, uno di Novartis e uno di Gilead, e che in Italia sono in fase di negoziazione con Aifa. Come già è avvenuto negli altri paesi europei si arriverà a un accordo, che però non risolverà la questione topica che riguarda tutte le terapie cellulari, ovvero la sostenibilità. Negli ultimi 10 anni la ricerca e gli investimenti in questo campo sono cresciuti in maniera esponenziale e l'oncologia con la Car-T rappresenta certamente la "game changer". Ma all'orizzonte se si guarda solo al numero degli studi clinici in fase tre si prospetta uno "tsunami" di terapie biologiche. E allora la sostenibilità non riguarderà solo l'aspetto economico, ma anche produttivo. E le aziende potrebbero non riuscire a far fronte alle richieste. Pri-

ma che ciò accada è auspicabile che vengano stabilite linee guida e standard in tema di produzione, rimborsabilità, sicurezza. «L'aspettativa di rapporto tra domanda e offerta - precisa **Palmisano** - è enormemente sbilanciata verso la domanda. Oggi nessuno sa dove verranno prodotte le tante terapie che ora sono in fase 3, se dovessero essere approvate. Il sistema Italia potrebbe candidarsi a ospitare facilities per le aziende che decidono di avere sedi nelle varie nazioni (oggi Novartis ha aperto siti propri di produzione per la Car-T in Francia, Germania e Svizzera, ndr)». Affinchè accada occorre però essere attrattivi da un punto di vista fiscale e normativo continua **Palmisano** ricordando che nel processo di produzione della terapia cellulare una grande opportunità è data dalla fornitura dei vettori, e cita gli ultimi deal: Brammer Bio acquisita per 1,7 miliardi di dollari da Thermo Fisher Scientific e Catalent acquisita da Paragon Bioservices per 1,2 miliardi di dollari. Per Andrea Biondi, direttore scientifico della Fondazione Mbbm, che all'ospedale di Monza, porta avanti una delle 3 sperimentazioni autorizzate in Italia coi Car-T (le altre due sono al Bambin Gesù e al San Raffaele) sono due le prospettive riguardo agli slot di produzione: la concorrenza legata alla rapidità nella fornitura della terapia e, come è avvenuto in Uk, la società di pediatria ha avviato due trial accademici, così in base alla disponibilità degli slot, esiste un'alternativa per i trattare i pazienti. E a chi spera che i costi in futuro si abbasseranno come avviene con gli smartphone, Massimo Scaccabarozzi, presidente di Farmindustria ricorda che quando si tratta di modificare un farmaco, la ricerca riparte da zero. Insomma per ottenere l'equivalente dell'iphone X, anziché 10 anni ce ne vorrebbero 100.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

I numeri crescenti della terapia cellulare

CELL&GENE
È boom degli investimenti nelle terapie avanzate
13,3 MILIARDI
La raccolta di capitali nel 2018 nelle terapie avanzate (+77% annuo)

20 MILIARDI
Il valore complessivo nel 2018 delle principali M&A (+48% annuo)

TERAPIE AVANZATE APPROVATE

Stati Uniti	16
Sud Corea	14
EUROPA	13
India	4
Giappone	4
Canada	2
Cina	1
Australia	1

Fonte: Cytotherapy - Farminindustria

