



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

COMUNICATO STAMPA

Terapie avanzate: entro il 2030 fino a 60 nuovi farmaci, ma per assicurare equità e sostenibilità servono nuovi modelli di accesso

Se ne è discusso oggi ad un convegno organizzato da Iss e Assobiotec-Federchimica. Più di 1.900 studi clinici nel mondo, di cui 112 in fase 3 (99 portati avanti dall'industria bio-farmaceutica, 13 da accademia, governi o altre istituzioni). Ruolo chiave per l'Italia.

Roma, 20 maggio 2024 - Le Terapie Avanzate sono il futuro della medicina. Da farmaci per una ristretta nicchia di pazienti, saranno presto standard di cura per un numero sempre maggiore di persone. Come preparare i sistemi sanitari ad accogliere il frutto dell'innovazione rappresentato dalle Terapie Avanzate per assicurare ai pazienti italiani ed europei equità e parità di trattamento nel diritto di cura è stato il tema al centro dell'evento: **“Terapie avanzate: dalla sostenibilità ai modelli organizzativi sul territorio”** organizzato da Istituto Superiore di Sanità e Assobiotec, l'Associazione di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie, che si è tenuto oggi a Roma presso la sede dell'Iss.

L'ultimo report di Alliance Regenerative Medicines parla di più di 1.900 trials nel mondo, di cui 112 già in fase 3 (99 portati avanti dall'industria bio-farmaceutica, 13 da accademia, governi o altre istituzioni). E di 360 studi clinici in Europa con una cinquantina nella fase pre-autorizzativa. **L'Italia ha sempre avuto nella ricerca e sviluppo delle Terapie Avanzate un ruolo chiave: solo per fare un esempio, tra le prime Terapie Avanzate approvate da EMA ben 4 sono frutto della ricerca italiana.** E oggi l'impegno prosegue con importanti investimenti economici e 23 studi clinici in corso nel 2022¹ in aree con bisogni clinici insoddisfatti come ad esempio le malattie rare, le malattie neurodegenerative o i tumori. Durante le diverse sessioni dell'evento si è discusso dello stato dell'arte, delle possibilità e delle sfide rappresentate da queste terapie ma anche delle possibili soluzioni per la loro sostenibilità finanziaria e degli aspetti organizzativi per la loro distribuzione sul territorio attraverso i centri erogatori.

“L'Iss ha raccolto volentieri l'invito di Assobiotec ad organizzare congiuntamente questo incontro perché riteniamo che il tema del trasferimento delle cure, e in questo caso delle terapie avanzate, dal laboratorio al letto del paziente sia estremamente importante – afferma il presidente Rocco Bellantone -. Sebbene infatti le terapie avanzate rappresentino un'importante speranza di cura per alcune malattie prima incurabili, esistono ancora degli ostacoli significativi alla reale possibilità di utilizzo da parte dei pazienti. Auspicio che la discussione congiunta delle principali criticità possa contribuire a favorire un trasferimento efficace, tempestivo, equo e sostenibile delle promesse di tali terapie al letto dei pazienti che ne hanno bisogno”.

“Le Terapie avanzate costituiscono un cambiamento epocale nel concetto di cura che diventa paziente-specifica e che porta grandi benefici dal punto di vista clinico e terapeutico. Per la prima volta nella storia della medicina sono stati messi a punto farmaci a base di materiale biologico, personalizzati che

¹ La sperimentazione clinica dei medicinali in Italia. 20° Rapporto Nazionale AIFA



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

*aspirano a guarire il paziente in un'unica somministrazione. - spiega Fabrizio Greco, Presidente di Assobiotec - Nei prossimi 10 anni arriveranno nella pratica clinica molte nuove terapie, destinate a patologie sempre di nicchia, ma sicuramente meno rare. Si stima che **entro il 2030 potrebbero essere lanciate fino a 60 nuove terapie geniche e cellulari a livello globale**, che potrebbero riguardare complessivamente **350.000 pazienti**². Con riferimento agli impatti economici in Italia - prosegue Greco - recenti analisi riportano, per l'anno **2023, una spesa compresa tra i 132 e 264 milioni di euro**, fino ad arrivare ad una spesa a carico dei Sistemi Sanitari Nazionali tra **905 e 1,810 milioni di euro per l'anno 2027**³. È dunque chiara ed evidente la necessità di preparare i sistemi sanitari ad accogliere il frutto di questa innovazione che procede a un passo senza precedenti nella storia. Serve un tavolo di confronto permanente fra tutti gli attori del Sistema Salute per costruire un nuovo modello organizzativo capace di garantire equità di accesso e cura. Per questo ringraziamo l'Istituto Superiore di Sanità che, come più volte è avvenuto in passato, ha accolto il nostro nuovo invito a sederci a un tavolo e a discutere insieme su come affrontare la sfida dell'innovazione e come accompagnare l'inarrestabile progresso della scienza a vantaggio dei pazienti e del sistema"*

Cosa sono le Terapie avanzate (ATMPs)

Le Terapie avanzate, che comprendono le terapie cellulari, geniche, l'ingegneria dei tessuti e i prodotti combinati, e che in Europa sono denominate ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products) sono le protagoniste di una rivoluzione in ambito medico. Per la prima volta nella storia della medicina è stato possibile mettere a punto farmaci a base di materiale biologico, personalizzati e che aspirano a guarire il paziente in un'unica somministrazione.

A differenza delle piccole molecole di sintesi chimica e delle macromolecole biotecnologiche come gli anticorpi monoclonali e le proteine ricombinanti, le ATMP sono costituite da cellule o tessuti, eventualmente ingegnerizzati, o da acidi nucleici. Questi farmaci, innovativi per definizione, stanno dimostrando la loro efficacia non tanto nel curare i sintomi, quanto la malattia stessa, intervenendo direttamente sulle cause e offrendo nuove prospettive di guarigione per patologie che sino a ora non avevano soluzione terapeutica.

Le caratteristiche delle ATMP possono essere sinteticamente riassunte come segue:

- **trasformano in maniera significativa la storia clinica** dei pazienti affetti da malattie che non hanno un'alternativa terapeutica, andando a soddisfare un bisogno clinico insoddisfatto e **sono in grado di ristabilire, correggere o modificare funzioni fisiologiche compromesse negli esseri umani, anche con la correzione di mutazioni acquisite su base genetica e l'aggiunta di copie di geni funzionanti.**
- sono sviluppate per avere un beneficio clinico rilevante in aree di patologia ad **elevato medical need**, su malattie, gravi e disabilitanti spesso con esiti infausti, malattie rare e con scarse o nulle opzioni terapeutiche disponibili;
- sono **one-shot**, ovvero, vengono somministrate in un unico trattamento, a differenza dei farmaci e dei protocolli tradizionali, che prevedono cure ripetute e regolari, con un evidente **disallineamento** temporale tra **costi attuali**, concentrati nel **breve periodo**, e **benefici futuri**, diffusi su un più **lungo orizzonte temporale**;
- hanno **costi d'investimento elevati**, si tratta di terapie personalizzate ad alta complessità anche produttiva, ma che presentano **notevoli benefici** futuri in termini clinici, terapeutici, sociali ed economici per i

² Estimating the Clinical Pipeline of Cell and Gene Therapies and Their Potential Economic Impact on the US Healthcare System - Casey Quinn, PhD, Colin Young, PhD, Jonathan Thomas, BSc, Mark Trusheim, MSc the MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group, Center for Biomedical Innovation, Massachusetts Institute of Technology, Cambridge, Massachusetts, USA. 2019 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/31198178/>

³ V Report italiano sugli ATMPs, ATMP Forum



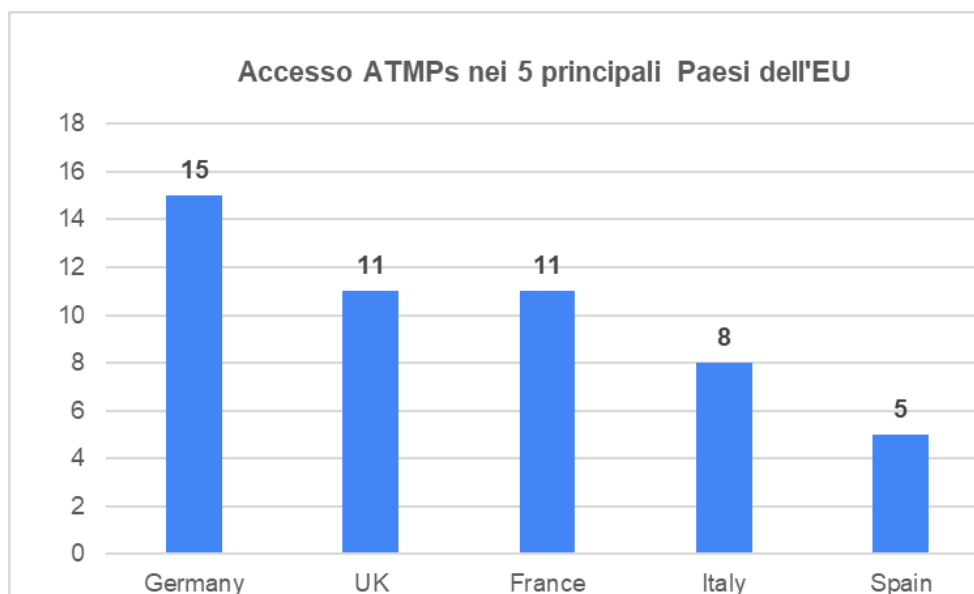
FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

sistemi sanitari e la salute dei pazienti (costi diretti, indiretti e sociali evitati, recupero in produttività, maggior gettito fiscale, etc.);

▪ sono **somministrati solo in centri qualificati e specializzati** e nascono da piattaforme estremamente innovative e complesse

In Europa sono state approvate **25 terapie avanzate, 18 delle quali attualmente in commercio. Di queste 18 terapie, l'Italia ha concesso la rimborsabilità a 8⁴ con significative differenze in termini numerici a livello europeo.**



Maggiori informazioni qui:

<https://alliancerm.org/data/>

<https://www.atmpforum.com/stato-dellarte/>

Istituto Superiore di Sanità

L'Istituto Superiore di Sanità (ISS) è il principale centro di ricerca, controllo e consulenza tecnico-scientifica in materia di sanità pubblica in Italia. Le principali attività dell'ISS sono distribuite in 6 Dipartimenti, 16 Centri nazionali, 2 Centri di riferimento, 5 Servizi tecnico-scientifici e un Organismo notificato per la valutazione dell'idoneità dei dispositivi medici.

Federchimica Assobiotech

Assobiotech, Associazione nazionale di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie, rappresenta presso gli stakeholder di riferimento, circa 130 imprese e parchi tecnologici e scientifici operanti in Italia nei diversi settori di applicazione del biotech: salute, agricoltura, ambiente e processi industriali. L'Associazione riunisce realtà diverse - per dimensione e settore di attività - che trovano una forte coesione nella vocazione all'innovazione e nell'uso della tecnologia biotech: leva strategica di sviluppo in tutti i campi industriali e risposta concreta ad esigenze

⁴ VI Report italiano sugli ATMPs, ATMP Forum, cut off dati 31.08.2023



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

sempre più urgenti a livello di salute pubblica, cura dell'ambiente, agricoltura e alimentazione. Costituita nel 1986, Assobiotec è membro fondatore di EuropaBio e dell'International Council of Biotechnology Associations.

Per maggiori informazioni

Federchimica Assobiotec

comunicazione.assobiotec@federchimica.it

www.assobiotec.it

Twitter @AssobiotecNews

Facebook @AssobiotecNews