



## Nota stampa

# Terapie avanzate, la nuova frontiera della medicina fra opportunità di cura e sfide lungo il viaggio del bio-farmaco

*Le Terapie Avanzate sono ormai una realtà di cura per gli unmet medical need, realtà di cui anche i pazienti italiani sempre più beneficeranno. Necessario immaginare e costruire, in sinergia con le istituzioni, nuovi modelli di gestione*

Milano, 29 maggio 2019 - Gli avanzamenti conseguiti dalla biologia molecolare e cellulare e i progressi raggiunti nello studio del DNA, hanno portato, negli ultimi decenni, ad aprire un nuovo entusiasmante capitolo per la medicina, che propone prospettive di guarigione per patologie che sino ad ora non avevano soluzione terapeutica (unmet medical need).

Grazie all'avvento delle terapie avanzate, denominate in Europa ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products) – che comprendono **terapie cellulari, terapie geniche e medicina rigenerativa** - stiamo oggi vivendo una vera e propria **rivoluzione in ambito biomedico**. Le terapie avanzate, quando approvate EMA, sono a tutti gli effetti farmaci, nel senso tecnico del termine con le relative unicità brevettuali, e non semplici 'procedure'. Siamo di fronte, quindi, a nuovi prodotti, che offrono **soluzioni paziente-specifico o per nicchie di pazienti** e, per la prima volta, abbiamo a disposizione terapie che **non lavorano più per mitigare i sintomi di una condizione ma per intervenire direttamente sulle cause della malattia**.

Si tratta certamente di una rivoluzione straordinaria per la ricerca e per i pazienti, che porta con sé **un inevitabile e rilevante cambiamento di tutto il sistema** che sperimenta e rende disponibile queste terapie per i pazienti, portando con sé tutta una serie di nuove sfide legate ai processi autorizzativi e gestionali nell'intero percorso di sviluppo del bio-farmaco.

I medicinali di terapia avanzata, per le loro specifiche caratteristiche, richiedono **un lungo e articolato processo di preparazione**, molto più complesso di quello dei farmaci tradizionali. Le cellule del paziente, prelevate in ospedale, raggiungono i siti produttivi (GMP facilities) dove vengono espanse/ingegnerizzate fino a diventare esse stesse il farmaco con procedimenti dedicati al singolo paziente o per nicchie di pazienti. Spesso ogni dose viene prodotta individualmente e potrà essere somministrata solo in centri in grado di gestire queste particolari terapie.

Il processo di produzione richiede **settimane dall'afesi (prelievo delle cellule del paziente) alla somministrazione di una singola dose, e controlli di qualità molto rigorosi, analoghi a quelli necessari per il rilascio di un intero lotto di farmaci tradizionali**. Un processo di produzione, molto più complesso e costoso di quello degli altri farmaci, considerando che i prodotti ad oggi approvati sono autologhi, cioè destinati a un singolo paziente. Tutto questo senza mai dimenticare il **rigoroso processo regolatorio che va dallo sviluppo preclinico fino all'autorizzazione all'immissione in commercio, a garanzia di efficacia, sicurezza e qualità del farmaco**.

Per rendere accessibile questa grande innovazione ai pazienti, diventa **urgente immaginare e costruire, in sinergia con le istituzioni nazionali e internazionali, nuovi modelli di gestione** che superino l'attuale sistema basato sulle patologie acute e ricorrenti, che tengano in considerazione che:

- stiamo parlando di terapie costruite su singoli pazienti o per nicchie di pazienti, che aprono la strada verso la **medicina personalizzata**;
- che non si tratta più della produzione su vasta scala del medesimo principio attivo, ma in molti casi dell'**ingegnerizzazione in breve tempo della singola terapia per il singolo paziente**;
- sono terapie spesso **una tantum** e per le quali non si prevede un'assunzione prolungata nel tempo;
- il beneficio clinico per il paziente va valorizzato unitamente ai costi sociali evitati;
- il valore economico elevato è allo stesso tempo **costo-efficace**, se valutato dal punto di vista farmacoeconomico (misurato in QALY Quality Adjusted Life Years, unità di misura che combina la durata della vita con la qualità della stessa), considerando i potenziali risparmi diretti e indiretti successivi;
- queste terapie, spesso trasformative, necessitano di un modello di definizione del valore e, quindi, del prezzo che sommi il valore terapeutico a quello dei costi evitati e che, di conseguenza, valuti il medio-lungo termine.



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

In particolare, **l'approccio sulle terapie avanzate va visto in termini complementari e di partnership virtuosa tra mondo della ricerca e mondo industriale.**

Il mondo accademico rappresenta un generatore di innovazione, sviluppando la ricerca di base e preclinica, ma tale innovazione richiede un ingente impegno economico per poter essere traslata su larga scala. Impegno che difficilmente oggi può avere un ente pubblico.

Le **terapie 'sperimentali' sviluppate in ambito accademico** con finanziamenti pubblici sono finalizzate ad utilizzi sperimentali, testano una ipotesi e seppur importanti per la proof of concept e l'applicabilità al letto del paziente hanno bisogno di un network industriale per poterle rendere accessibili, con la stessa qualità, sicurezza ed efficacia a un numero elevato di pazienti.

Gestire, infatti, il processo di immissione in commercio delle terapie e l'ottenimento di un'autorizzazione da parte di una autorità regolatoria è un percorso lungo e complesso, che implica l'impiego di ingenti risorse tecniche, procedurali ed economiche, tipiche di un'organizzazione industriale e che è tale per garantire al paziente standard elevati di qualità, efficacia e sicurezza. **Le terapie avanzate registrate restano i soli farmaci a disposizione per la specifica urgenza di cura.** Solo una volta raggiunto un adeguato livello di studi registrativi, le terapie avanzate sperimentali possono diventare **terapie avanzate approvate** e, quindi, essere utilizzate per la specifica indicazione terapeutica rispetto alla quale abbiano comprovate evidenze scientifiche (proof of concept).

#### **Maria Luisa Noli**

Componente del Consiglio Direttivo di Assobiotec-Federchimica e suo rappresentante in Europabio, European Association for Bioindustries.

Ex alunna del Collegio Ghislieri, laurea in Scienze Biologiche all'Università di Pavia, esperienza PhD all'Université Libre de Bruxelles.

Co-fondatore e Amministratore Delegato di NCNbio, una start up che si occupa di Technology Transfer industriale nel settore delle biotecnologie. Ha fondato ed è stata Amministratore Delegato di Areta International. Co-fondatrice di due spin off universitari. Ha portato in tutte queste società la propria esperienza nel settore della biologia cellulare e immunologia, maturata come Scientist e Team Leader nel Centro Ricerche Lepetit, parte di società multinazionali della Dow Chemical.

Dal giugno 2014 è membro del Consiglio Direttivo di AIRI. Dal giugno 2014 è membro del Direttivo di AFI.

Nel giugno 2007 riceve il Premio Piazza Mercanti e nel 2012 il premio Rosa Camuna per l'imprenditoria innovativa femminile. Nel 2009 è uno dei 100 profili del volume dedicato a Milano "Le protagoniste: le donne che fanno l'Italia". Dal 2010 diventa membro di "Women & Technologies" e dal 2015 al 2018 è presidente della stessa Associazione. Dal 2016 è professore a contratto all'Università di Pavia dove insegna Biochimica Industriale nel corso di Laurea Magistrale in Biotecnologie avanzate. Autore e co-autore di più di 60 pubblicazioni scientifiche e titolare di 11 brevetti internazionali.

#### **Assobiotec**

Assobiotec, Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie, è una realtà che rappresenta 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 sempre più urgenti a livello di salute pubblica, cura dell'ambiente, agricoltura e alimentazione.

Costituita nel 1986 all'interno di Federchimica, Assobiotec è membro fondatore di EuropaBio e dell'International Council of Biotechnology Associations.

**Per maggiori informazioni:**

#### **Assobiotec-Federchimica**

Elisabetta Molteni

Email: e.molteni@federchimica.it

Tel. 02.34565268