



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

## COMUNICATO STAMPA

### **Terapie Avanzate: un'alleanza permanente tra aziende di ricerca biotech e Istituzioni per garantire a tutti i pazienti italiani un accesso rapido ed omogeneo a terapie geniche e cellulari innovative**

15 settembre 2020 – Sono 10 al momento le terapie avanzate a disposizione in Europa. La sfida è quella di lavorare in maniera condivisa per aumentarne il numero garantendo l'accesso e la sostenibilità, attraverso un'alleanza permanente tra tutti gli attori coinvolti. E' questo il focus del webinar di oggi organizzato dall'Istituto Superiore di Sanità e Assobiotech Federchimica "Terapie Avanzate, il futuro è già qui: il sistema italiano è pronto a riceverle?". Se si vuole garantire un rapido accesso alle Terapie Avanzate per tutti i Pazienti sul territorio italiano è necessario mantenere il rigore nella valutazione e coinvolgere in una solida alleanza Istituzioni nazionali, regioni, società scientifiche, reti di centri ospedalieri e di ricerca, associazioni dei pazienti ed imprese biofarmaceutiche. La sfida è quella di definire una roadmap condivisa per adattare i singoli meccanismi alle peculiarità che contraddistinguono queste terapie, dalla ricerca e dalla produzione fino alla somministrazione al letto del paziente, nell'assoluto rispetto di ruoli e responsabilità.

*"Le terapie avanzate rappresentano una frontiera importante e una significativa risorsa per il futuro ma si confrontano con una sfida altrettanto importante che è quella dell'accesso all'innovazione – spiega **Patrizia Popoli** Direttore del Centro nazionale ricerca e valutazione preclinica e clinica dei farmaci. Tale sfida richiede l'adozione di un modello innovativo rispetto ai normali processi di sperimentazione, autorizzazione e accesso. L'incontro di oggi serve innanzitutto a avviare un confronto tra mondi diversi per ricercare una modalità condivisa al fine di favorire uno sviluppo metodologicamente rigoroso di queste terapie e, soprattutto, un trasferimento tempestivo dei frutti della ricerca all'insegna della sostenibilità e dell'equità"*

Aggiunge **Riccardo Palmisano**, Presidente di Assobiotech Federchimica "Oggi abbiamo a disposizione una decina di terapie avanzate che rappresentano una vera e propria rivoluzione in ambito medico, capaci di portare un innegabile vantaggio per la salute dei pazienti, risultando in alcuni casi trasformativi. Questo numero è destinato a crescere considerevolmente nel prossimo futuro se consideriamo che ci sono più di 1.000 sperimentazioni cliniche in corso e che gli analisti prevedono che entro il 2030 saranno autorizzati circa 50 nuovi prodotti di Terapie Avanzate. Siamo dunque oggi in una fase che potremmo definire "pilota" perché nei prossimi 10 anni arriveranno in clinica molte nuove terapie, destinate a patologie sempre di nicchia, ma sicuramente meno rare. In questo scenario sono la cooperazione e la visione di lungo termine le direttrici da seguire per superare le tante sfide ancora aperte. Siamo dunque molto soddisfatti nell'aver confermato oggi un'unità di intenti e una prospettiva comune con ISS e con tutti i diversi stakeholder che hanno partecipato a questo dibattito, che ringraziamo molto per l'approccio aperto e collaborativo. Ci auguriamo che questa giornata possa rappresentare solo un primo passo di un più lungo percorso da fare insieme"



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

Conclude Luigi Boano, Vice Presidente Assobiotec Federchimica: *“L'alleanza che si è instaurata oggi nella Tavola Rotonda con ISS, Ministero della Salute, AIFA, Regioni e CNT su queste terapie innovative è proprio quello che immaginiamo e auspichiamo per il futuro. Per rendere disponibile tale innovazione ai pazienti italiani, attraverso un accesso rapido ed omogeneo sul territorio, è urgente immaginare e costruire insieme un nuovo modello di gestione, che superi quello attuale. Il progresso della scienza è inarrestabile e tutti gli attori del Sistema Salute devono collaborare per garantire ai pazienti il massimo beneficio”.*

## **INFORMAZIONI DI APPROFONDIMENTO**


### **Cosa sono le Terapie avanzate (ATMPs)**





Le Terapie avanzate, che comprendono le terapie cellulari, geniche e l'ingegneria dei tessuti, 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.

E' necessario precisare che le ATMP non sono generici procedimenti, ma farmaci a tutti gli effetti e in quanto tali, soggetti al medesimo iter brevettuale, sperimentale e approvativo dei farmaci tradizionali.

### **Quali Terapie avanzate sono attualmente approvate in EU**

MA	ATMP	Azienda	Tipologia farmaco	Patologia e indicazione	Autorizzato al commercio in Italia
2020	Zolgensma	Novartis 	Terapia genica	<b>SMA</b> Trattamento di pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA). Gli adenovirus AAV9 forniscono al paziente di una nuova copia totalmente funzionante del gene SMN1	
2019	Zynteglo	Bluebird bio B.V. 	Terapia genica	<b>β-talassemia</b> Trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da beta talassemia trasfusione-dipendente che non hanno un genotipo B0/B0, per i quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC antigene leucocitario umano compatibile	<b>V</b>

2018	Luxturna	Novartis	Terapia genica		<b>Distrofie retiniche</b> Trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali	✓
2018	Alofisel	TiGenix	Terapia cellulare		<b>Fistole perianali complesse da CD</b> Trattamento delle fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale lievemente attiva, quando le fistole mostrano una risposta inadeguata ad almeno un trattamento convenzionale o con farmaci biologici	✓
2018	Yescarta	Gilead	Terapia cellulare (CAR-T)		<b>Linfoma diffuso a grandi cellule B</b> Trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B refrattario o recidivante e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B dopo due o più linee di terapia sistemica	✓
2018	Kymriah	Novartis	Terapia cellulare (CAR-T)		<b>Leucemia linfoblastica acuta</b> <ul style="list-style-type: none"> <li>•Pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età con leucemia linfoblastica acuta a cellule B che è refrattaria , in recidiva post trapianto o in seconda o ulteriore recidiva</li> <li>•Linfoma diffuso a grandi cellule B Pazienti</li> </ul>	✓

				adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica	
2017	Spherox	Co.Don 	Ingegneria dei tessuti	<b>Danni alla cartilagine del ginocchio</b> Riparazione di difetti della cartilagine articolare sintomatici del condilo femorale o della patella del ginocchio con dimensione del danno fino a 10 cm2 negli adulti	
2016	Strimvelis	Orchard Th.- Telethon 	Terapia genica	<b>Immunodeficienza combinata severa</b> Trattamento di pazienti con immunodeficienza grave combinata da deficit di adenosina deaminasi per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA compatibili	V
2015	Holoclar	Chiesi 	Terapia cellulare	<b>Patologia corneale</b> Trattamento di pazienti adulti affetti da deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave unilaterale o bilaterale causato da ustioni da agenti fisici o chimici. Per la biopsia sono necessari almeno 1-2 mm2 di tessuto limbare non danneggiato	V
2015	Imlygic	Amgen 	Terapia genica	<b>Melanoma metastatico inoperabile</b> Trattamento di adulti affetti da melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a) senza coinvolgimento dell'osso, del cervello, del polmone o altro coinvolgimento viscerale	V



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

Assobiotec, Associazione nazionale di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie, 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

Francesca Pedrali - Comunicazione e relazione con i media

Email: [f.pedrali@federchimica.it](mailto:f.pedrali@federchimica.it)

Tel. 0234565215

[www.assobiotec.it](http://www.assobiotec.it)

Twitter @AssobiotecNews

Facebook @AssobiotecNews