



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

COMUNICATO STAMPA

Terapie avanzate: un nuovo modello di gestione per arrivare velocemente al letto del paziente, continua l'alleanza tra ISS e ASSOBIOTEC-Federchimica

Più di 2.600 studi clinici in corso nel mondo, di cui 240 in fase 3 (158 portati avanti dall'industria bio-farmaceutica, 85 da accademia, governi o altre istituzioni)

Brusaferro (ISS): "Sostenere l'innovazione significa favorire un trasferimento clinico equo ed efficace"

Palmisano – ASSOBIOTEC - Federchimica: "E' indispensabile un tavolo di confronto permanente fra tutti gli attori del Sistema Salute". L'Associazione presenta anche il suo nuovo [position paper Cell&Gene](#)

24 novembre 2021 – Dialogo costante fra pazienti, clinici e istituzioni per rafforzare l'alleanza e fare rete comune. Questo il focus del webinar **"Terapie avanzate in Italia: l'oggi e il domani"** organizzato da Istituto Superiore di Sanità e Assobiotec-Federchimica che si è tenuto oggi in ISS. L'obiettivo è quello di migliorare gli interventi in tutte le fasi di una nuova terapia: dalla preclinica allo sviluppo clinico fino all'autorizzazione ed alla somministrazione ai pazienti.

*"Solo una forte alleanza tra enti di ricerca, istituzioni ed imprese innovative – dice **Silvio Brusaferro** presidente dell'ISS - può mantenere alto il livello di innovazione in Italia. Mentre la messa a punto di trattamenti innovativi e sostenibili (spesso anche a partire da una ricerca di tipo accademico) è una responsabilità delle aziende produttrici, il compito delle istituzioni è quello di garantire lo sviluppo di terapie efficaci e sicure e di favorirne il trasferimento al letto del paziente. La sfida del futuro è offrire la possibilità a tutti i pazienti di essere trattati in modo equo e sostenibile colmando le discrepanze regionali".*

Il webinar di oggi mira a promuovere il dialogo tra i diversi stakeholder per affrontare con successo l'importante sfida dell'accesso all'innovazione, con particolare riferimento alle terapie geniche. Sfida che richiede l'introduzione di nuovi modelli rispetto a tutte le fasi di sviluppo di questi prodotti e la necessità di rafforzare un confronto fra tutti gli attori coinvolti per favorire uno sviluppo metodologicamente rigoroso delle Terapie Avanzate e, soprattutto, un trasferimento tempestivo al letto del paziente dei frutti della ricerca all'insegna di sostenibilità ed equità.

*"Nell'incontro dello scorso anno fa ci eravamo detti che 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** Direttrice del Centro nazionale ricerca e valutazione preclinica e clinica dei farmaci dell'ISS -. A distanza di 14 mesi la sfida*



**FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC**

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

è ancora lì, sebbene siano stati fatti dei passi avanti. Pazienti affetti da malattie gravi e prive di terapie soddisfacenti hanno il diritto di accedere rapidamente a trattamenti potenzialmente efficaci, e rendere possibile questo diventa quindi un dovere per aziende ed istituzioni. A queste ultime, in particolare, spetta il difficile compito di fornire un supporto regolatorio alle imprese, di garantire lo sviluppo di farmaci sufficientemente efficaci e sicuri, di adottare delle strategie di valutazione che si adattino alla complessità delle terapie avanzate pur mantenendo il necessario rigore metodologico, di identificare e mettere in atto le misure organizzative per il trasferimento clinico delle scoperte”.

Solo un anno fa, in occasione del primo webinar ISS Assobiotech-Federchimica sulle Terapie Avanzate, si parlava di una decina di terapie disponibili in Italia. Negli ultimi 12 mesi sono state approvate da EMA 4 nuove ATMP. Oggi sono 14 quelle già in commercio in Europa, approvate per 17 indicazioni. 7 hanno ricevuto la rimborsabilità da AIFA, mentre 6 terapie avanzate sono in corso di valutazione. I dati dell'ultimo Report ATMP Forum, ci dicono anche che le nuove sperimentazioni in corso sono per una ventina di patologie e che le aree terapeutiche maggiormente coinvolte sono l'oncologia e l'ematologia. Una fotografia che mostra chiaramente come il numero di queste terapie è destinato rapidamente a crescere. Un trend confermato anche dai dati di Alliance Regenerative Medicines che parlano di più di 2.600 trials nel mondo, di cui più di 240 già in fase 3 (158 portati avanti dall'industria bio-farmaceutica, 85 da accademia, governi o altre istituzioni). Nei prossimi 10 anni arriveranno dunque nella pratica clinica molte nuove terapie, destinate a patologie sempre di nicchia, ma sicuramente meno rare.

Dichiara **Riccardo Palmisano**, Presidente di Assobiotech-Federchimica *“Per vincere la sfida di un accesso rapido all'innovazione serve un'alleanza permanente tra enti di ricerca, imprese innovative ed enti regolatori. Per questo proponiamo di rafforzare la già proficua collaborazione nata lo scorso anno nella Tavola Rotonda con ISS, Ministero della Salute, AIFA, Regioni, attraverso l'istituzione di un tavolo di confronto permanente che possa, in maniera periodica, riunirsi. L'obiettivo è chiaro: evidenziare e sciogliere, insieme, i tanti nodi che ancora oggi si incontrano lungo tutte le diverse fasi di sviluppo di queste terapie. Il progresso della scienza è inarrestabile e tutti gli attori del Sistema Salute devono collaborare per garantire ai pazienti il massimo beneficio”.*

*“Quando una dozzina di anni fa è nato, in Assobiotech-Federchimica, il gruppo di lavoro Cell & Gene, specificamente dedicato alle Terapie Avanzate – aggiunge **Luigi Boano**, Vice Presidente dell'Associazione industriale - poteva sembrare a molti un prematuro salto in avanti. Era invece forte in noi la consapevolezza di quanto queste terapie avrebbero rappresentato, in futuro, il radar delle cure per diverse malattie dall'esito infausto: malattie rare, tumori... Qui, oggi, mettiamo a disposizione degli stakeholder di riferimento, un nuovo, aggiornato documento di posizione, nel quale sono analizzate e proposte raccomandazioni per una corretta, efficace, sostenibile e sicura gestione delle diverse fasi del processo di gestione degli ATMPs, nell'ottica di garantire la disponibilità di questi farmaci per tutti quei pazienti che possono trarne beneficio. Un documento che, ci auguriamo, possa essere un valido strumento per una maggiore efficienza di sistema nella gestione di questi farmaci”.*

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



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

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 14 Terapie Avanzate approvate da EMA

Fonte IV Report ATMP Forum (aggiornamento 31/08/2021)

ATMP	MA EU	AZIENDA	INDICAZIONE
ChondroCelect	05/10/2009	TiGenix NV	Riparazione di singole lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio (grado III o IV, International Cartilage Repair Society [ICRS]) negli adulti.
Glybera	25/10/2012	uniQure biopharma B.V.	Deficit familiare di lipasi lipoproteica (Lipoprotein lipase deficiency, LPLD) e con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite nonostante la dieta a ridotto contenuto di grassi.
Maci	27/06/2013	Vericel Denmark ApS	Riparazione di difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio (grado III e IV della scala Outerbridge modificata) di 3-20 cm ² in pazienti adulti con scheletro maturo.
Provenge	06/09/2013	Dendreon UK Ltd	Trattamento del carcinoma asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale) della prostata resistente alla castrazione in uomini adulti nei quali la chemioterapia non è ancora clinicamente indicata.
Holoclar	17/02/2015	Holostem Terapie Avanzate s.r.l.	Deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave (definito dalla presenza di neovascolarizzazione superficiale della cornea in almeno due quadranti, con coinvolgimento della parte centrale della cornea e grave compromissione dell'acuità visiva), unilaterale o bilaterale, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici. Per la biopsia sono necessari almeno 1 - 2 mm ² di tessuto limbare non danneggiato.
Imlygic	16/12/2015	Amgen Europe B.V.	Trattamento di pazienti 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.
Strimvelis	26/05/2016	Orchard Therapeutics (Netherlands) BV	Trattamento di pazienti con Immunodeficienza Grave Combinata da Deficit di Adenosina Deaminasi (ADA-SCID), per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA (antigene leucocitario umano)-compatibili.
Zalmoxis	18/08/2016	MolMed SpA	Trattamento aggiuntivo nel trapianto aploidentico di cellule staminali emopoietiche (HSCT) in pazienti adulti con neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio.
Spherox	10/07/2017	CO.DON AG	Riparazione di difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio (grado III o IV, Società Internazionale per la Rigenerazione della Cartilagine e la Conservazione delle Articolazioni [ICRS]) con dimensioni dei difetti fino a 10 cm ² negli adulti.



**FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC**

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

ATMP	MA EU	AZIENDA	INDICAZIONE
Alofisel	23/03/2018	Takeda Pharma A/S	Trattamento delle fistole perianali complesse in pazienti adulti con Malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva, nei casi in cui le fistole hanno mostrato una risposta inadeguata ad almeno una terapia convenzionale o biologica. Alofisel deve essere utilizzato solo al termine dell'intervento di condizionamento delle fistole.
Kymriah	22/08/2018	Novartis Europharm Limited	Kymriah è indicato per il trattamento di: - pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età inclusi, con Leucemia Linfoblastica Acuta (ALL) a cellule B, refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva; - pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.
Yescarta	23/08/2018	Kite Pharma EU B.V./Gilead	Trattamento di pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) e Linfoma Primitivo del Mediastino a Grandi Cellule B (PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica.
Luxturna	22/11/2018	Novartis Europharm Limited	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.
Zynteglo	29/05/2019	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da β -Talassemia Trasfusione-Dipendente (TDT) che non hanno un genotipo β^0/β^0 , per i quali il trapianto di Cellule Staminali Ematopoietiche (HSC) sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC Antigene Leucocitario Umano (HLA)-compatibile.
Zolgensma	18/05/2020	Novartis Gene Therapies EU Limited	Trattamento di: - pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2.
Tecartus	14/12/2020	Kite Pharma EU B.V./Gilead	Trattamento di pazienti adulti con Linfoma a Cellule Mantellari (MCL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica che includano un inibitore della Tirozin Chinasi di Bruton (BTK).
Libmeldy	17/12/2020	Orchard Therapeutics (Netherlands) BV	Trattamento della Leucodistrofia Metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene Aritilfosfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: - nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia; - nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo.
Skysona	16/07/2021	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Trattamento dell'Adrenoleucodistrofia Cerebrale (CALD) precoce in pazienti <18 anni di età, con una mutazione genetica ABCD1 e per i quali non è disponibile un donatore consanguineo di Cellule Staminali Ematopoietiche (HSC) compatibile per l'Antigene Leucocitario Umano (HLA).
Abecma	18/08/2021	Celgene Europe BV	Pazienti adulti con Mieloma Multiplo recidivante refrattario precedentemente trattati con almeno altre 3 terapie, tra cui un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, che hanno dimostrato progressione della malattia con l'ultima terapia.



FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo
delle biotecnologie

Le ATMP in corso di approvazione all'EMA

Fonte IV Report ATMP Forum (aggiornamento 31/08/2021)

ATMP	AZIENDA	INDICAZIONE	DATA INIZIO VALUTAZIONE CAT
Upstaza <i>eladocogene exuparvovec</i>	PTC Therapeutics	Deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC)	19/02/2020
Breyanzi <i>lisocabtagene maraleucel (liso-cel)</i>	Bristol Myers Squibb	Adulti con la forma recidivante refrattaria di linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL), linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare di grado IIIb (FL3B)	09/09/2020
Gliovac <i>cellule autologhe e allogeniche del glioma inattivate e lisati di cellule autologhe e di cellule allogeniche del glioma inattivate</i>	Epitopoietic Research Corporation	Glioma	07/10/2020
Lumevoq <i>lenadogene nalparvovec</i>	GenSight Biologics	Trattamento della perdita della vista in pazienti con Neuropatia Ottica Ereditaria di Leber (LHON) con mutazione del gene mitocondriale ND4	02/12/2020
Ciltacabtagene <i>autoleucel (cilta-cel)</i>	Janssen	Mieloma Multiplo recidivante refrattario	16/06/2021
Roctavian <i>valoctocogene roxaparvovec</i>	Biomarin	Emofilia A	14/07/2021

Assobiotech

Assobiotech, 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, Assobiotech è membro fondatore di EuropaBio e dell'International Council of Biotechnology Associations.

Per maggiori informazioni

Assobiotech

Francesca Pedrali - Comunicazione e relazione con i media

Email: f.pedrali@federchimica.it

Tel. 0234565215

www.assobiotech.it

Twitter @AssobiotechNews

Facebook @AssobiotechNews