



Palermo, 4 luglio 2019 - Dopo le prime tappe che hanno coinvolto Veneto, Toscana, Lazio, Lombardia e Campania, la sesta tappa della Road Map, patrocinata dalla Conferenza delle Regioni e delle Province autonome, ha portato il discorso sulle CAR-T sull'isola siciliana, con l'evento "Road Map CAR-T prospettive attuali e future dell'uso delle CAR-T in Italia". L'evento si è svolto presso l'Aula dell'accademia delle scienze mediche del Policlinico di Palermo "Paolo Giaccone".

La terapia con Chimeric Antigen Receptor T-Cells (CAR-T) si sta imponendo come l'ultima frontiera dell'immunoterapia e in particolare delle terapie cellulari. Nuove terapie, ma anche nuove sfide: questo tipo di trattamento, in buona parte dei pazienti, risolutivo, richiede centri dotati di un apparato organizzativo adeguato, anche per la possibile comparsa di eventi avversi comunemente non riscontrabili con le terapie attualmente in uso, quali la sindrome da rilascio di citochine e problematiche di tipo neurologico. Non ultima per importanza la necessità di formulare nuovi sistemi di rimborso per remunerare il corretto valore di queste terapie.

Questo importante traguardo scientifico, quindi, ha bisogno di un passo in avanti dei SSR per quanto riguarda governance e organizzazione delle sue strutture, al fine di garantire ai pazienti più fragili una così nuova e importante arma per combattere il male che li affligge.

Road Map CAR-T si caratterizza per una serie di convegni regionali, con l'idea di creare un ponte comunicativo tra mondo sanitario, esponenti politici e stakeholder, per mettere i diversi servizi sanitari regionali dello stivale, in condizione di assumere le migliori decisioni operative che rendano il sistema di cura efficace e sostenibile.

Sul lavoro che dovranno svolgere in tandem istituzioni e ospedali per introdurre queste terapie in Sicilia è intervenuto Giuseppe Milone, responsabile Timo UO Ematologia, AOU Policlinico Vittorio Emanuele, Catania: "Le cellule CAR-T sono una rivoluzionaria terapia cellulare approvata in Europa per il linfoma diffuso refrattario e nella leucemia acuta linfoblastica del giovane paziente. Il loro utilizzo apre nuove speranze per queste malattie, ma si ritiene che in un futuro prossimo possano essere impiegate anche in altre malattie".

"Fra cinque anni - aggiunge - si può prevedere che nella regione Sicilia verranno trattati da 50 a 100 pazienti all'anno con un costo annuo di 25-50 milioni di euro. Il costo però non è un ostacolo, ma

comporta una maggiore attenzione ed efficienza nell'utilizzo di queste terapie. Per il loro costo elevato - continua Milone - il loro impiego deve essere guidato con fermezza assicurando un'elevata qualità e appropriatezza in tutte le fasi del trattamento. A tal fine, il loro impiego dovrebbe essere condotto, similmente a quanto avviene in Nord America, nel rispetto delle regole JACIE già in vigore e quindi nei tre centri di trapianto emopoietici accreditati JACIE della nostra regione”.

“Infine, per assicurare la sostenibilità finanziaria, è necessario, nella nostra regione, lo sviluppo di almeno un laboratorio di manipolazione cellulare gestito secondo regole di “good manufacturing practice” (GMP) e fornito di apparecchiatura closed system per l'espansione cellulare. Ciò infatti ridurrebbe i costi globali delle procedure di laboratorio e allargherebbe la possibilità di accesso alla terapia”, conclude l'esperto.

“In prospettiva le CAR-T - afferma Carlo Picco, Direttore Generale AOUP “Paolo Giaccone”, Palermo - potrebbero costituire una forma di mobilità passiva per i cittadini Siciliani. Per questo auspichiamo che il tema venga monitorato e adeguatamente programmato, al fine di rendere omogenea l'introduzione di questa terapia a livello nazionale. La prospettiva di un centro erogante in Sicilia, costituirebbe anche un punto di forza per la rete formativa della specializzazione in Ematologia”.

“Il Policlinico - prosegue il Direttore - è sede dell'Ematologia, capofila della Scuola di Specializzazione dell'Università di Palermo, una tra le più grandi reti di formazione specialistica in Italia, che comprende tutte le Ematologie del bacino occidentale della Sicilia”.

La terapia con cellule CAR-T, potrebbe, essere utilizzata per prima sui pazienti pediatrici, ma ad oggi i centri che potrebbero erogarla sono solo due sul territorio nazionale, troppo pochi per garantire un accesso equo alle cure.

“Sono circa 450 i bambini che ogni anno in Italia si ammalano di leucemia linfoblastica acuta - dichiara Ottavio Ziino, Responsabile Programma Trapianti della UOC di Oncoematologia Pediatrica, ARNAS-Civico di Palermo - Di questi più dell'80% raggiunge la guarigione con le cure convenzionali, invece, circa il 10 % purtroppo si dimostra refrattario ai trattamenti di prima o seconda linea: per questi pazienti oggi risultati straordinariamente incoraggianti sono stati raggiunti con approcci terapeutici sperimentali con le CAR-T”.

“Tuttavia ad oggi - prosegue Ziino - questi trattamenti sono disponibili solo in 2 Centri di Oncoematologia Pediatrica in Italia. I limiti all'erogazione di questi trattamenti sono rappresentati dai requisiti richiesti ai centri erogatori e agli alti costi dei prodotti cellulari. È auspicabile che con la conclusione della fase sperimentale e l'ormai imminente commercializzazione dei prodotti cellulari, questi problemi possano essere superati al fine di garantire l'accessibilità e la sostenibilità di questi trattamenti - conclude l'esperto - e consentendo di ampliare la rete dei centri erogatori e di ridurre la necessità di emigrazione sanitaria”.

Queste terapie però non possono essere applicate a tutti i pazienti, è quindi necessaria una rigida selezione, un ruolo che potrebbe essere svolto cooperando con la Società Italiana di Ematologia (SIE) come sottolineato da Sergio Siragusa, Direttore UOC Ematologia AOUP “Paolo Giaccone”, Palermo e Ordinario di Ematologia, dell'Università degli Studi di Palermo, anche Vice Presidente della SIE.

“La terapia con CAR-T - afferma Siragusa - rappresenta la più avanzata forma di immunoterapia nelle neoplasie ematologiche e l'unico trattamento in pazienti giovani ed adulti affetti da leucemie o linfomi refrattari e recidivati. La terapia non è esente da rischi ed è necessaria la rigida selezione dei pazienti candidati e dei centri destinati al trattamento; la SIE ha già prodotto in tal senso un documento inviato ad AIFA. Ritengo necessario che la Sicilia possa offrire tale opportunità ai suoi pazienti. Dal punto di vista formativo, spero che la terapia con CAR-T entri presto nel percorso della Scuola di Ematologia di UniPa, la cui rete è tra le più estese d'Italia”.

Un altro aspetto molto importante che il sistema sanitario Siciliano deve affrontare è quello di identificare i centri erogatori per queste terapie. “Le CAR-T rappresentano una terapia cellulare che necessita di una complessa organizzazione - spiega Francesco Di Raimondo, Direttore UO Oncoematologia e TMO Policlinico Vittorio Emanuele di Catania, Professore Ordinario di Ematologia, Università degli Studi di Catania - con il coinvolgimento di diverse figure professionali in grado di gestire le varie fasi dell'intero ciclo terapeutico. Queste figure comprendono non solo medici ematologi e personale infermieristico con esperienza nella gestione di pazienti sottoposti a trapianto allogenico di cellule staminali ma anche personale di terapia intensiva e rianimazione che sia edotto sulle modalità di gestione ed anche di prevenzione degli effetti collaterali più frequenti che sono la sindrome da rilascio di citochine e la neurotossicità”.

“È ovvio - aggiunge l'esperto - che i centri identificati per la somministrazione delle CAR-T devono avere tutta una serie di requisiti strutturali non solo relativi alla degenza ma anche riguardanti un centro di raccolta aferetica e un attrezzato laboratorio di manipolazione cellulare che consenta la gestione in sicurezza di una terapia articolata come quella delle CAR-T”.

L'introduzione delle CAR-T in Sicilia non è un semplice atto burocratico, ma è un percorso che la Sanità Siciliana deve intraprendere, un percorso in cui sarà necessaria una stretta collaborazione tra pubblico e privato.

“La complessità del trattamento - dichiara Giovanni Cardinale, Direttore Programma Trapianti di Midollo, UO di Oncoematologia, ARNAS-Civico di Palermo - e l'obbligo ad ottemperare ai rigidi requisiti delle Good Manufacturing Practices (GMP) limiteranno il numero dei Centri abilitati. L'impatto economico di terapie sempre più efficaci ma dai costi elevati renderà sempre più attuale il concetto di 'valore' delle cure e l'analisi di cost-effectiveness - conclude l'esperto - che non possono prescindere da una partnership pubblico-privato”.