

*Al Ministero della Salute la presentazione del Secondo Report Nazionale sulle ATMP, una straordinaria opportunità per trattare patologie sino a oggi spesso incurabili. Pierpaolo Sileri, Viceministro della Salute: “Il progetto dell’ATMP Forum potrebbe costituire un buon punto di partenza e di riferimento, sia per i risultati finora ottenuti, sia per le future potenzialità”*



Roma, 25 ottobre 2019 - **La presentazione del secondo report italiano sulle ATMP.** Ieri giovedì 24 ottobre a Roma presso l’auditorium del Ministero della Salute si è svolta la “Presentazione del Secondo Report Italiano sulle ATMP - Come rendere attrattiva l’Italia nella ricerca e produzione delle ATMP”. L’iniziativa ha l’obiettivo di presentare i risultati di questo secondo rapporto e costituisce un momento di confronto per incentivare la formazione di partnership pubblico-private per lo sviluppo delle Terapie Avanzate in Italia. Tra i temi affrontati, emergono la gestione delle ATMP nella programmazione sanitaria e l’eccellenza italiana nella ricerca, l’accesso e la sostenibilità economica, l’individuazione dei centri di trattamento e delle tecnologie sanitarie, la presentazione di nuovi progetti italiani di terapie avanzate da parte di gruppi di ricerca.

**Le terapie avanzate ATMP.** Le Advanced Therapy Medicinal Product (ATMP) rappresentano una pietra miliare nella medicina: si basano su terapie innovative, quali l’ingegneria tissutale, le terapie geniche e quelle cellulari. Queste terapie sono potenzialmente applicabili in molteplici aree, dall’oncologia alle malattie gastrointestinali; rappresentano un’importante opzione per patologie ad oggi incurabili o su cui risulta difficile intervenire.



On. Pierpaolo Sileri

L’interesse per le ATMP è dovuto principalmente al loro alto valore clinico: sono terapie spesso curative, e comunque in grado di trattare patologie senza alternative. L’alto potenziale pone la necessità di garantire, da un lato, l’accesso omogeneo dei pazienti sul territorio e, dall’altro, la sostenibilità economica. Ricerca, sviluppo e produzione delle ATMP in Italia possono rappresentare un elemento di

valore competitivo per il nostro Paese.

“Le Atmp possono rappresentare una concreta opportunità per il sistema Paese e perciò il Governo ha iniziato ad investire e valutare forme innovative di finanziamento e modelli organizzativi che possano realmente garantirne la loro implementazione - dichiara il Viceministro della Salute Pierpaolo Sileri. - In tal senso è sempre più auspicabile un maggiore dialogo tra tutti i potenziali attori per rendere l'Italia competitiva dalla fase di ricerca, allo sviluppo, con il fine ultimo di rispondere agli attuali ‘unmet need’ del paziente”.

“Un nuova era si sta progressivamente affermando in medicina: quella delle terapie avanzate, basate sull'impiego di cellule geneticamente modificate per correggere un difetto genetico alla base di patologie ereditarie o di cellule del sistema immunitario reindirizzate attraverso una manipolazione genetica per aggredire efficacemente e selettivamente un bersaglio espresso su elementi tumorali. In questo affascinante scenario, l'Italia e i ricercatori del nostro Paese hanno tutte le caratteristiche per giocare un ruolo essenziale, sia nella validazione di questi approcci, sia per renderli applicabili a tutti i pazienti che ne possono beneficiare, garantendo al contempo la sostenibilità nel contesto di un sistema sanitario solidaristico di cui i cittadini italiani godono” evidenzia il prof. Franco Locatelli, Direttore Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica, OPBG e Presidente del Consiglio Superiore di Sanità.

**L'impiego in nuovi settori.** “Negli ultimi 20 anni, si sono registrati molti passi avanti nella terapia delle malattie infiammatorie croniche intestinali grazie allo sviluppo di farmaci ad alto contenuto tecnologico, i farmaci biotecnologici, molecole complesse frequentemente di natura anticorpale, capaci di bloccare specificamente processi infiammatori e immunitari alterati che sono alla base delle malattie - spiega il prof. Alessandro Armuzzi, Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS Università Cattolica del Sacro Cuore - Un ulteriore importante sviluppo in questo campo è rappresentato dalla recente introduzione delle cellule staminali nella terapia delle fistole perianali complesse nella malattia di Crohn, una delle condizioni più impattanti sulla qualità di vita del paziente, in quanto molto invalidante e molto difficile da trattare: l'utilizzo di questo nuovo approccio terapeutico, unitamente alla gestione multidisciplinare del paziente, sembra rappresentare una grande opportunità per una complicità molto impegnativa per la sua gestione e per le pesanti ripercussioni sulle attività quotidiane di chi ne è affetto. Questa nuova terapia ha il potenziale di garantire una buona risposta nella fase acuta di questa condizione e di mantenere nel tempo uno stato di remissione”.

**L'accesso alle ATMP: tema complesso ma sempre più gestibile.** “Approvare una ATMP non significa necessariamente accesso del paziente alla terapia, accesso che comporta un complesso processo di valutazione ai fini del rimborso, la determinazione del prezzo e delle eventuali risorse organizzative necessarie, la definizione dei centri destinati alla gestione di tali terapie e la disponibilità effettiva delle risorse - spiega il prof. Claudio Jommi, Professore della SDA Bocconi - Il quadro dell'accesso è ancora abbastanza frammentato nei principali Paesi Europei, ma si stanno delineando alcune soluzioni pratiche, che la letteratura ha già suggerito: si va dalla disponibilità a stipulare accordi di rimborso parzialmente condizionato agli effetti del farmaco nella pratica clinica, al frazionamento nel tempo del costo delle terapie, pur in un orizzonte temporale ragionevole, fino ad una pianificazione più strutturata dei centri abilitati alla gestione delle ATMP. Questi approcci, unitamente ad una visione più razionale e meno allarmistica rispetto all'impatto sulla spesa, su cui il rapporto fornisce dati analitici, e sistemi strutturati di dialogo anticipato tra imprese, valutatori per l'accesso e pagatori ed altri stakeholder, stanno portando e porteranno una migliore gestione dell'accesso delle ATMP sulla base della coerenza tra costo e valore

aggiunto per il sistema sanitario, in un contesto di risorse limitate”.

**Il progetto ATMP Forum.** Il progetto ATMP Forum nasce il 6 luglio 2017 da MA Provider in collaborazione con il Dipartimento di Scienze del Farmaco dell’Università del Piemonte Orientale (Novara), con l’obiettivo comune di rafforzare e implementare il ruolo primario che l’Italia ha giocato nello scenario ATMP.

“La presentazione di questo Secondo Report ci rende particolarmente orgogliosi - sottolinea Elena Paola Lanati, Direttore ATMP Forum - L’ATMP Forum è stata la prima iniziativa in Italia ad occuparsi di terapie avanzate, anche tramite il portale ufficiale [Atmpforum.com](http://Atmpforum.com), che vuole essere una fonte di informazione e continuo aggiornamento sul tema”.

A dicembre 2018 abbiamo presentato il “Primo Report” prodotto in Italia che ha affrontato l’andamento della ricerca e lo sviluppo delle ATMP a livello globale, le modalità di accesso e la rimborsabilità delle terapie avanzate. Il 2019 ha visto l’approvazione da parte di EMA di nuove terapie dedicate a pazienti con elevati ‘unmet need’. Spesso le opzioni per questi pazienti sono trapianti o interventi dal costo molto elevato per il SSN: il beneficio delle ATMP è dato dall’effetto immediato del trattamento ‘one shot’, il quale rispetto ad anni di trattamenti cronici porta a un risparmio nel lungo periodo.

Abbiamo quindi voluto stimare l’impatto incrementale sulla spesa farmaceutica per permettere ai decisori di pianificare l’allocazione corretta delle risorse, tenendo conto di un numero realistico di pazienti che verranno trattati e di prezzi sicuramente più elevati della media delle terapie standard, ma comunque contenuti come impatto sul budget. Infatti se nel 2019 andremo incontro a una spesa massima di circa 20 milioni, a 5 anni, la spesa proiettata per i prossimi 16 farmaci a 5 anni sarà inferiore ai 500 milioni.

Quando si parla di queste terapie, va ricordato che il loro valore deve tenere conto, non solo di una fase di ricerca e sviluppo costosa e caratterizzata da alto rischio di fallimento, ma anche di costi di produzione del singolo farmaco, sottoposto a procedura GMP e controllo di qualità singolo, decisamente rilevanti.