

*Il team di ricerca del prof. Franco Locatelli si aggiudica il primo ATMP Award. Le proposte per far diventare le Terapie Avanzate per tumori, leucemie, linfomi e malattie rare un driver d'innovazione per il Paese*



Milano,

30 ottobre 2020 - Le ATMP,

le terapie avanzate, rappresentano la prossima frontiera della medicina. Sono una concreta speranza di guarigione per pazienti costretti a convivere con patologie molto gravi e, nei casi peggiori, senza alternative terapeutiche disponibili. Tumori, leucemie, linfomi e patologie rare che non trovano risposta adeguata nelle terapie convenzionali e che nell'ingegneria genetica, in grado di modificare opportunamente e in maniera personalizzata determinate cellule, possono avere la soluzione che consente di intervenire in situazioni altrimenti irrecuperabili.

Il

Terzo Report dell'ATMP Forum, presentato oggi, fotografa un'Italia all'avanguardia in questo campo, proiettata, grazie all'attività degli Istituti di ricerca e all'impegno delle Istituzioni e delle Aziende, a un ruolo leader in Europa.

Il

cammino, però, non è sgombro da difficoltà: occorre una sempre più stretta sinergia fra le diverse componenti, per agevolare i percorsi di ricerca, ottimizzare e snellire le procedure di selezione e d'accesso alle terapie,

rappresentare adeguatamente anche dal punto di vista farma-economico i vantaggi e la sostenibilità di cure che presentano costi elevati, ma il più delle volte solo in apparenza se correttamente rapportati al sistema sanitario e all'impatto sociale.

E

proprio per lo studio e per la predisposizione di strumenti che agevolino il dialogo è nato tre anni fa l'ATMP Forum, il primo progetto italiano, diretto da Elena Paola Lanati, che promuove il confronto tra gli stakeholder coinvolti nei processi clinici, regolatori e decisionali riguardanti le terapie avanzate.

L'edizione

2020 del Report ATMP, presentata ieri, aggiorna lo stato dell'arte nei principali Paesi europei, è focalizzata a studiare l'impiego in Italia delle prime CAR-T e le implicazioni organizzative a livello regionale, nonché avanza una serie di proposte per far sì che le terapie avanzate diventino un driver di innovazione per il Paese:

- utilizzare meglio i fondi europei per finanziare l'innovazione nelle terapie avanzate;
- lavorare su sistemi e tempistiche di rimborso delle cure sostenibili dal SSN, per ottimizzare le risorse a disposizione;
- agevolare il dialogo sui percorsi di autorizzazione per ridurre i tempi;
- rendere chiare le evidenze costo/efficacia in modo da poter considerare nelle valutazioni complessive anche con i costi della non-cura;
- pianificare modelli organizzativi concordati con le Regioni coerenti con le esigenze e le evoluzioni determinate dalle ATMP.

Queste,

in estrema sintesi, le principali indicazioni emerse dal confronto, nel quale è stato evidenziato che restano ancora molteplici i nodi da sciogliere per far procedere più speditamente terapie e progetti di ricerca, per il momento arginati a piccoli numeri, ma potenzialmente in grado di incontrare e risolvere

le esigenze di fasce ampie di pazienti.

La

Web Conference di presentazione del Report, ha riunito il gotha della sanità nazionale, dal Vice Ministro della Salute Pierpaolo Sileri, all'On. Michela Rostan, Vicepresidente della XII Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati che ha firmato la prefazione del Rapporto, al Presidente del Consiglio Superiore della Sanità Prof. Franco Locatelli, l'On. Elena Carnevali, XII Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati, la Sen.ce Maria Domenica Castellone, 12 Commissione Igiene e Sanità, Senato della Repubblica, e numerosi altri rappresentanti di Istituzioni, clinici e ricercatori, esperti di farmacoconomia, moderati dal giornalista Andrea Pancani.

A

un sistema della ricerca che è particolarmente attivo in Italia e protagonista a livello europeo, fanno riscontro meccanismi di accesso alle cure, di rimborso, di qualificazione dei centri e di organizzazione della mobilità dei pazienti da Regione a Regione che tuttora necessitano di studio e interventi per dare vita a un sistema orientato alla giusta valorizzazione e integrazione delle terapie avanzate.

“L'Italia

- afferma il Vice Ministro della Salute, Sen. Pierpaolo Sileri - ha le carte in regola per diventare un hub di riferimento internazionale per le terapie avanzate, grazie a centri di ricerca di eccellenza in questo campo. L'emergenza Covid-19 ci pone di fronte a esigenze e priorità che non devono in alcun modo rallentare il nostro percorso verso la più estesa applicazione e implementazione delle ATMP nel rispetto dei criteri di sicurezza e omogeneità di accesso per i pazienti. Il terzo Report redatto dall'ATMP Forum contiene indicazioni preziose per raggiungere lo scopo e mettere a fuoco le aree di intervento da affinare, a partire dal coordinamento nazionale per l'armonizzazione e la standardizzazione dei processi produttivi, insieme all'apertura a forme di partnership virtuose pubblico-privato”.

Passando

agli aspetti più tecnici del Rapporto, questa terza edizione registra 8 nuove ATMP rispetto all'edizione precedente, inserite nel modello di previsione di spesa che annovera complessivamente 20 patologie per 24 ATMP. La stima

aggiornata della spesa 2021-2025 in prospettiva SSN indica un aumento progressivo di 5 volte dal prossimo anno fino al 2025. Si passerà da 106 a 657 milioni nello scenario di totale rimborso, cifre che si dimezzano nell'ipotesi di payment at result.

“Sono stime ampiamente conservative rispetto al reale - fa rilevare Elena Paola Lanati, Direttore ATMP Forum - se si considera che, rispetto alle previsioni formulate con la precedente edizione del Rapporto, in funzione dello slittamento nel tempo dell'accesso alle terapie avanzate era prevista per il 2021 una spesa lorda complessiva praticamente doppia, 211 milioni di euro. A consuntivo si procede ancora più lentamente: la spesa effettiva per le CAR-T per l'anno 2019 è stata di 1,2 milioni di euro a fronte di una previsione di 11,8 milioni, anche in questo caso determinata da ritardi negli inizi di terapia. L'ATMP Forum è stata la prima iniziativa in Italia, tre anni fa, ad occuparsi di terapie avanzate e la realtà ci sta dando ragione: i dati presentati oggi delineano progetti di ricerca di grande prospettiva che legittimano l'ambizione di ampliare il campo nel futuro a nuove sfide dalle quali possano giungere risposte terapeutiche sempre più importanti”.

La giornata di presentazione del Rapporto è stata anche l'occasione per il conferimento del primo ATMP Forum Award, riconoscimento il cui scopo è spingere sulle partnership fra pubblico e privato mettendo in evidenza le eccellenze della ricerca italiana, che solo in pochi casi compie il salto dalle pubblicazioni scientifiche ai brevetti, limitando il trasferimento tecnologico dal mondo accademico alle aziende.

La soluzione vincitrice del primo ATMP Forum Award, è il progetto, premiato con 10.000 euro, “Sviluppo di una piattaforma cellulare allogenica basata su cellule del sistema innato per generare prodotti ATGMP “Off the shelf”, del team di ricerca dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù IRCCS di Roma guidato dal prof. Franco Locatelli, professore di Pediatria dell'Università Sapienza di Roma, direttore Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica, OPBG e Presidente del Consiglio Superiore di Sanità, con la prof.ssa Concetta Quintarelli e la dott. ssa Paola De Angelis.

Il

progetto punta a superare l'attuale limite delle terapie geniche, in particolare le CAR-T, cellule T del paziente ingegnerizzate geneticamente in modo da potenziarne l'azione antitumorale, al cui enorme impatto clinico nel trattamento di neoplasie solide ed ematologiche, fanno tuttora riscontro limitazioni soprattutto nell'applicazione su larga scala.

“Il

nostro progetto - commenta il prof. Locatelli - punta a identificare un processo che, partendo da un numero limitato di donatori sani, consenta di avere un numero elevato di produzioni 'pronte all'uso', in grado di soddisfare le richieste crescenti di prodotti di terapia genica, con una riduzione considerevole dei tempi di attesa e dei costi”.