

“Dall'Italia un contributo rilevante sulle terapie avanzate”

*Per il direttore del dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica
«è ora di rendere i trattamenti disponibili il più velocemente possibile»*

News News News News News News News News News News News News



Le terapie avanzate stanno cambiando gli scenari terapeutici di numerose patologie, da quelle tumorali alle malattie ereditarie, in particolare gli approcci di editing del genoma hanno già trovato applicazione in studi clinici che pertengono alle due patologie dell'emoglobina più frequenti al mondo, che sono la talassemia e l'anemia a cellule falciformi. Più nello specifico, modificando il DNA delle cellule proprie del paziente, in maniera tale da ripristinare la sintesi dell'emoglobina fetale, è stato possibile ottenere una indipendenza da trasfusione in più del 90% dei soggetti talassemici trattati e una libertà da crisi vaso-occlusive per la malattia falcemica nella totalità dei pazienti inseriti nella sperimentazione».

Così il professor Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica – IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma, intervistato dalla Dire oggi a Roma in occasione dell'incontro dal titolo 'Unlocking Innovation: come preparare il sistema salute alla sfida delle Terapie Avanzate', organizzato dall'Ambasciata Americana (US Commercial Service) e da Vertex Pharmaceuticals. L'evento si è svolto presso la sede del Centro Studi Americani.

«È evidente - ha proseguito il professor Locatelli - che tutto questo apre scenari terapeutici neanche immaginabili solamente tre o quattro anni fa e ci offre delle opportunità per cambiare le prospettive di sopravvivenza e la qualità di vita di questi malati».

L'Italia è dunque in prima fila sulle terapie avanzate, ma cosa c'è da fare ancora? «L'Italia - ha risposto Locatelli alla Dire - sta dando un con-

tributo rilevante allo sviluppo delle terapie avanzate per quel che riguarda i due studi sul genoma editing del Bambin Gesù, che è stato il centro che al mondo ha contribuito maggiormente alla conduzione di questi studi clinici, ma non va sottovalutata tutta l'attività che pertiene all'ambito della ricerca e sviluppo, proprio perché nel nostro Paese vi è lunga tradizione di sviluppo di approcci di terapie innovative sia nell'ambito delle patologie geneticamente determinate sia per la cura di neoplasie attraverso l'uso delle cellule CAR-T. È chiaro che adesso lo sviluppo è mantenere questo livello di eccellenza e far sì che si crei anche una serie di centri e reti distribuiti sul territorio nazionale, in maniera tale da rendere questi trattamenti sempre più largamente disponibili per i malati».

Parlando infine della Legge **648/1996**, che prevede la possibilità di erogare farmaci a carico del Servizio Sanitario Nazionale anche se non approvati in Italia, Locatelli sostiene che sia utile per velocizzare il processo autorizzativo: «È una possibilità - ha commentato ancora alla Dire - nell'attesa che poi le agenzie regolatorie competenti, quindi rispettivamente l'Agenzia europea del Farmaco e l'Agenzia italiana del Farmaco, possano poi arrivare auspicabilmente a una approvazione, proprio perché i dati sono così convincenti, anche in termini di profilo di sicurezza, da rendere queste terapie una opzione terapeutica potenzialmente curativa attraente. Quindi l'obiettivo attraverso cui va di fatto raggiunta questa priorità - ha concluso - è proprio quello di lavorare tutti insieme per rendere questi trattamenti il più velocemente disponibili possibile».

Tratto da dire.it

dei pazienti di portare avanti la loro vita quotidiana, lavorativa e domestica, poiché soffrono di più dolore e rischiano di subire maggiori danni alle ossa.

«I pazienti [con diagnosi tardiva] potrebbero essere sempre più fragili, il che può influire sulle modalità di somministrazione del trattamento o sulle dosi di trattamento che possiamo utilizzare per curare il mieloma», ha aggiunto Pawlyn.

Le disuguaglianze nell'accesso al trattamento del mieloma sono un problema importante anche per la maggior parte dei Paesi europei, in particolare per l'Europa centrale e orientale e per alcuni Paesi balcanici non appartenenti all'UE.

«Ma anche i Paesi dell'Europa settentrionale e occidentale hanno problemi di accesso a trattamenti innovativi come le terapie CAR-T nel mieloma e altre terapie in un contesto fortemente pretrattato», ha dichiarato Morgan dell'MPE.

La rappresentante dell'associazione dei pazienti affetti da mieloma ha ricordato che un altro problema nel contesto fortemente pretrattato è l'assenza di studi clinici di Fase III con dati comparativi, con conseguente "incertezza" per gli enti preposti ai rimborsi sull'opportunità di stanziare fondi.

«Solo il 6% dei 3.229 studi sul mieloma condotti a livello mondiale ha incluso pazienti provenienti dai Paesi dell'Europa centrale e orientale negli ultimi 20 anni, e questo è un aspetto che dobbiamo comprendere e affrontare», ha concluso.

Il ruolo dell'innovazione

La ricerca e l'innovazione rappresentano il punto di partenza per un nuovo approccio alla cura del cancro nell'UE, ha sottolineato la commissaria per la Salute Stella Kyriakides, in occasione del lancio del Centro di conoscenza sul cancro, la prima azione realizzata nell'ambito del Piano sul cancro.

Ciò è particolarmente vero per il mieloma, dove l'innovazione è una componente cruciale, con un'espansione del numero e della gamma di nuovi trattamenti per il mieloma disponibili negli ultimi anni.

L'Agenzia europea del farmaco (EMA) ha riconosciuto la necessità di nuovi farmaci per il trattamento del mieloma, poiché i pazienti già trattati con le tre principali classi di farmaci per il trattamento di questo tumore del sangue – agenti immunomodulatori, inibitori del proteasoma e anticorpi monoclonali – non rispondono più a questi prodotti.

Nella gestione della malattia si ricorre comunemente alla combinazione di due o tre effetti terapeutici di diversi tipi di farmaci.

Rispetto all'approccio monoterapico, la combinazione di due o più agenti terapeutici riduce potenzialmente la resistenza ai farmaci e fornisce al contempo benefici terapeutici antitumorali, come la riduzione della crescita del tumore e delle popolazioni di cellule staminali del cancro.

«Nonostante il valore significativo che le terapie combinate apportano alla cura del cancro, esistono diverse sfide per il loro accesso in Europa», ha dichiarato a EURACTIV un rappresentante dell'associazione dei produttori farmaceutici dell'UE (EFPIA).

L'attuale approccio normativo caso per caso alle nuove combinazioni oncologiche è "insostenibile", ha dichiarato il rappresentante, aggiungendo che nega ai pazienti l'accesso a nuovi importanti trattamenti.

Per l'industria farmaceutica, la strada da seguire dovrebbe essere quella di un approccio collaborativo che tenga conto dei punti di vista di politici, consumatori, autorità, medici, pazienti e produttori per affrontare i problemi di accesso alle terapie combinate.

Tratto da euractiv.it



Ematologa del Royal Marsden di Londra



800 59 11 47

dal lunedì al venerdì
orario d'ufficio

DIREZIONE

Via G. Murat 85 - 20159 Milano
Tel: 02 69008117 - Fax 02 69016332
Sito Internet: www.emo-casa.com
info@emo-casa.com



Come aiutarci:

- a mezzo versamento c/c postale 40444200 intestato a: **Progetto Emo-Casa ETS**
- con bonifico bancario Monte dei Paschi di Siena Ag. 51 - Milano
cod. IBAN IT22 N 01030 01658 000061127249
- con bonifico bancario Banca Popolare di Sondrio Ag. 15 - Milano
cod. IBAN IT23 R056 9601 6140 0000 3788 X80
- devolvendo il 5 per mille alla nostra Associazione c.f. 97205190156 usando:
mod. integrativo CUD; mod. 730/1-bis redditi; mod. unico persone fisiche

16124 Genova P.tta Jacopo da Varagine 1/28

Tel. 010 2541440

Fax 010 2473561

E-mail: progettoemocasaonlus.ge@gmail.com

35138 Padova Via Bezzecca, 4/c

Tel. 049 8713791

Fax 049 8714346

Banca Intesa Sanpaolo

Filiale Via Montà 109 - Padova

IBAN IT66 W030 6912 1331 0000 0101 464

E-mail: emocasa.pd@gmail.com

Delegazione Padova - Rovigo - Treviso - Venezia
Vicenza

38122 Trento Via Zara, 4

Tel. e Fax 0461 235948

Cassa Rurale di Trento

Filiale di Trento - Via Grazioli

IBAN IT03 H083 0401 8330 0000 9791 479

E-mail: progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com

Delegazione Trento - Belluno - Bolzano

28100 Novara Via Gnifetti, 16

Tel. e Fax 0321 640171

E-mail: emocasa.novara@gmail.com

Delegazione Novara - Asti - Biella - Verbania
Vercelli

37134 Verona Via Rovigo, 23

Tel. 045 8205524

Fax 045 582608

Banca Intesa Sanpaolo

Filiale Viale del Lavoro 8 - Verona

IBAN IT32 K030 6918 4681 0000 0004 555

E-mail: progetto.emocasa.vr@gmail.com

Delegazione Verona - Brescia - Mantova

48121 Ravenna Via Pellegrino Matteucci, 20

Tel. e Fax 0544 217106

E-mail: emo.ra@libero.it

Delegazione di Ravenna - Forlì/Cesena - Rimini

Unità mobile

Sede Ponente Ligure:

P.zza della Libertà 10/1 - 17055 Toirano (SV)

Tel. 347 5745626

Emoflash

MENSILE ORGANO UFFICIALE DELL'ASSOCIAZIONE "Progetto Emo-Casa ETS"

Direzione, Redazione, Amministrazione, Via G. Murat 85 - 20159 Milano • tel: 02 69008117 - fax 02 69016332

Direttore Responsabile: Tesolin Flavio

Comitato di Redazione: Nosari Anna Maria Rita, Crugnola Monica, Zaffaroni Livio, Maggis Francesco, De Miccoli Rita, Andreescu Luminita Mihaela

Iscrizione Tribunale di Milano N. 174 del 16/03/1998 - Fotocomposizione: LimprontaGrafica Milano - Stampa: Grafica Briantea srl - Usmate (MI)