

Comunicato stampa

“Le Terapie CAR-T, dal laboratorio al paziente”: presentato il primo report sullo scenario delle CAR-T in Italia

Milano, 3 novembre 2020 - È stato presentato oggi, nell’ambito del progetto **“Cell Therapy Open Source”**, il **primo report sullo scenario delle CAR-T in Italia: l’ebook “Le Terapie CAR-T, dal laboratorio al paziente”**, scaricabile dal sito di Osservatorio Terapie Avanzate <https://www.osservatorioterapieavanzate.it/progetti/cell-therapy-open-source>. Il progetto, che nasce dalla collaborazione di Gilead Sciences e Osservatorio Terapie Avanzate, ha l’obiettivo di creare un documento di discussione e riflessione ‘aperto’ – ossia in costante aggiornamento - sulle terapie cellulari; un punto di partenza di un percorso che consentirà di valutare i cambiamenti rivoluzionari generati dall’introduzione e dall’utilizzo di queste terapie in Italia. Il volume 1 - dedicato all’impatto delle terapie CAR-T su alcune tra le più gravi patologie oncoematologiche - ha ricevuto il patrocinio di AIL, Gruppo di Lavoro F.A.V.O. Neoplasie Ematologiche e de La Lampada di Aladino Onlus.

Il report, redatto grazie al contributo di alcune tra le voci più autorevoli e coinvolte del panorama italiano sul tema delle terapie cellulari, parte dal tracciare un quadro chiaro e approfondito su questo tipo di terapie e dal grado di innovazione attuale e potenziale che tali terapie rappresentano, per poi definire le principali sfide gestionali e di valutazione che il nostro Paese sta affrontando e dovrà affrontare: dalla complessità della produzione, all’aspetto regolatorio; dalla loro sostenibilità economica per il Servizio Sanitario Nazionale all’accesso per i pazienti.

“CAR-T, Chimeric Antigen Receptor T-cell, è una tecnologia in grado di riprogrammare i linfociti T di modo che possano combattere il tumore dall’interno. Tali terapie rappresentano una speranza concreta per quei malati che non rispondono alle cure convenzionali. L’arrivo sul mercato delle terapie avanzate rappresenta indubbiamente un’importante evoluzione della medicina verso approcci sempre più personalizzati, e apre, così, nuovi scenari e percorsi di cura”, ha affermato **Paolo Corradini, Direttore della Divisione di Ematologia della Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, Università degli Studi di Milano**.

Se da un lato il valore clinico di queste terapie è indiscutibile, dall’altro il loro utilizzo pratico porta con sé una modulazione del processo di erogazione non sperimentata prima. Quello che emerge con chiarezza è che la ricerca e il progresso scientifico procedono a un altro passo rispetto a quello regolatorio, amministrativo e burocratico e che la strada da percorrere al fine di adattare l’innovazione trasformativa alla realtà sanitaria del nostro Paese sembra ancora lunga.

Uno dei temi maggiormente discussi e complessi che riguarda le CAR-T - e, in generale, tutte le terapie innovative – è il prezzo sul mercato, difficile da confrontare con altre terapie esistenti, sia per la natura del processo produttivo sia per le modalità di somministrazione.

La corrispondenza tra valore e costo per i servizi sanitari nazionali rappresenta certamente il primo essenziale elemento da cogliere per valutare le condizioni di accesso di un farmaco. Tuttavia, nell’ambito di considerazioni relative alla sostenibilità, non si può non considerare le risorse allocate e, più nel dettaglio, la coerenza tra spesa - che dipende non solo dal costo per paziente, ma anche dalla numerosità dei pazienti - e le risorse stanziare.

Si stanno, inoltre, studiando nuovi schemi di rimborso e di pagamento: ad esempio, al posto del tradizionale sistema di pagamento contestuale alla somministrazione della terapia, è stato concordato un modello di rimborso cosiddetto *payment at results*. Questo meccanismo prevede il

pagamento vincolato ai risultati oggettivi ottenuti nel tempo, valutati in funzione della risposta positiva del paziente dopo un lasso di tempo prestabilito rispetto alla somministrazione.

Nel report 'Open Source' lo sguardo si allunga anche sulle prospettive di avanzamento delle terapie cellulari nel prossimo decennio; si passano, infatti, in rassegna alcune strategie in fase di studio nei laboratori e negli studi clinici che permetteranno di potenziare l'efficacia di questo filone terapeutico, diminuire i limiti collegati al profilo di sicurezza ed estenderne l'indicazione. La prospettiva nel prossimo futuro, per le terapie cellulari, è che esse possano essere impiegate per nuove indicazioni, come i tumori solidi, e per un numero sempre crescente di pazienti.

Ma anche l'aspetto organizzativo è di grande rilievo. A differenza dei farmaci "classici", il paziente è al centro della terapia: la produzione delle CAR-T parte dal paziente per tornare al paziente. In quest'ottica, va costruito un nuovo modello in cui il costante dialogo tra centro produttivo e centro clinico è di cruciale importanza per permettere l'accesso ai pazienti della terapia giusta nel momento giusto. Sul piano della sostenibilità è evidente che siamo solo all'inizio di un'importante sfida: sono oltre mille le sperimentazioni cliniche in corso sulle terapie avanzate e le previsioni sono che, entro il 2030, saranno autorizzati circa 50 nuovi prodotti di terapie avanzate, e tra di esse le CAR-T giocano un ruolo di rilievo.

*"In questo scenario complesso, l'industria farmaceutica sta giocando una parte importante. La partnership tra pubblico e privato è fondamentale e costituisce la chiave per assicurare al contempo un ulteriore sviluppo delle terapie avanzate ed un ampio accesso alle stesse. Siamo di fronte all'avvio di un percorso rivoluzionario per l'oncoematologia poiché crediamo che la terapia cellulare diventerà una importante opzione di trattamento anche per altri tipi di tumore, compresi quelli solidi", così **Valentino Confalone, Vice President e General Manager di Gilead Sciences Italia.** "In questo periodo di emergenza sanitaria mondiale l'obiettivo che ci eravamo prefissati, ossia assicurare il trattamento ai pazienti, è stato raggiunto attraverso un grande impegno organizzativo e impiego straordinario di risorse messe in campo da Gilead, a ulteriore riprova del ruolo chiave che l'industria svolge in campo oncoematologico e non solo".*

Lo scenario che si sta delineando richiede, dunque, la costruzione prioritaria di un nuovo sistema Italia che possa essere in grado di rendere disponibile tale innovazione sanitaria ai pazienti attraverso un accesso rapido ed omogeneo sul territorio. In quest'ottica, una collaborazione permanente pubblico-privato e un dialogo tra tutti gli stakeholder di questa rivoluzione - l'accademia, l'industria del farmaco, le Istituzioni, gli operatori sanitari e i pazienti – diventa il vero punto di partenza.

Informazioni su Gilead Sciences

Gilead Sciences è una società biofarmaceutica basata sulla ricerca e impegnata nella scoperta, sviluppo e commercializzazione di farmaci innovativi per patologie molto gravi. Le aree terapeutiche sulle quali ci concentriamo comprendono HIV/AIDS, malattie epatiche, ematologia e oncologia, malattie infiammatorie e respiratorie. Gilead è presente da 20 anni in Italia e collabora attivamente con i partner istituzionali, scientifici, accademici, industriali e delle comunità locali per sviluppare e rendere disponibili le terapie ai pazienti italiani.

Rosanna Flammia
Public Affairs, Italy
Gilead Sciences
Mobile: +39 335 8724425