

BIOTECNOLOGIE

FARMACI BIOLOGICI E BIOSIMILARI

Tra innovazione biofarmaceutica
e sostenibilità del sistema sanitario

IMMUNONCOLOGIA

Come il nostro sistema immunitario
può combattere i tumori

MALATTIE RARE

Le biotecnologie possono fare la differenza,
ecco perché

CRIOCONSERVAZIONE CELLULARE

Tutte le informazioni per una scelta
consapevole, tra considerazioni etiche
ed economiche

MALATTIE GENETICHE E TERAPIE AVANZATE

Un futuro sempre più vicino

RENDILA NORMALE
Lo diciamo con parole tue

Campagna di
comunicazione
sull'Emofilia



Seguici su
YouTube



Visita il nostro sito
www.rendilanormale.it

**Progetto editoriale:**

Una pubblicazione by Box Media srl

Content Marketing & Story Telling:

Box Media srl, Agenzia di comunicazione

Progetto grafico:

Giandomenico Pozzi. SGE Servizi Grafici

Redazione Generale:Luca Borghi
Andrea Porta**Responsabile Divisione:**

Laura Santoro

Direzione Generale:

Flor Cavoza

Project Management:

Federica Bologna Rossi

A questa edizione hanno collaborato:

Assobiotech

La vendita di questo fascicolo è proibita. Distribuito gratuitamente con i principali quotidiani e settimanali del paese a diffusione nazionale.

Questo supplemento è stato realizzato da Box Media Italia. Il Sole 24 Ore non ha partecipato alla sua realizzazione e non ha responsabilità per il suo contenuto.

www.boxmediaitalia.com

Sommaio

Sistema immunitario e cancro: le nuove frontiere dell'immunoterapia	pag. 4
Biotecnologie e malattie rare	pag. 6
Crioconservazione delle cellule	pag. 8
Biotecnologie tra ricerca, investimenti e comunicazione	pag. 10
Genetica molecolare e applicazioni farmacologiche	pag. 11
Ecco come le biotecnologie mettono alle corde le malattie infettive	pag. 12
Innovazione, sostenibilità e governance farmaceutica	pag. 14

Editoriale

FARMACI BIOLOGICI E BIOSIMILARI



*Riccardo Palmisano,
Presidente Assobiotech*

Il tema dei farmaci biosimilari è oggetto di viva attenzione all'interno della società scientifica, del mondo delle istituzioni, delle realtà industriali e al centro dell'interesse dei pazienti coinvolti. A differenza dei farmaci generici, perfettamente equivalenti ai farmaci originatori, nel caso dei farmaci biosimilari il rapporto di biosimilarità rispetto al farmaco biologico di riferimento a brevetto scaduto deve essere approvato direttamente dall'Ema o dall'Aifa, a seguito di specifici studi clinici di confronto con l'originatore, e non attraverso una semplice valutazione di bioequivalenza. Sulla base della non equivalenza tra originatore e biosimilare, il principio della non sostituibilità automatica, sancito anche a livello comunitario, è stato ribadito anche dalla recente normativa, aggiornata con la nuova Legge di Bilancio in vigore dal 1° gennaio 2017.

Un principio sul quale Assobiotech - Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie che fa parte di Federchimica, ha ripetutamente posto l'accento. Per la loro stessa natura biologica, infatti, i farmaci biosimilari non possono in alcun modo essere né considerati né trattati allo stesso modo dei prodotti equivalenti. Si tratta, come detto, di soluzioni terapeutiche simili a un prodotto biologico di riferimento, ma non di copie identiche.

Detto questo, siamo i primi a condividere che deve esserci uno spazio adeguato per l'introduzione e lo sviluppo dei farmaci biosimilari che sono soluzioni terapeutiche la cui efficacia e sicurezza è garantita da una serie di studi clinici e validata da complesse procedure di autorizzazione preventive alla commercializzazione. Il vantaggio economico rappresentato dal farmaco biosimilare, do-

ASSOBIOTEC

Assobiotech, Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie, è una realtà che rappresenta, con prontezza e competenza presso gli stakeholder di riferimento, circa 140 imprese e parchi tecnologici e scientifici operanti in Italia nei diversi settori di applicazione del biotech: salute, agricoltura, ambiente e processi industriali. L'Associazione riunisce realtà diverse - per dimensione e settore di attività - che trovano una forte coesione nella vocazione all'innovazione e nell'uso della tecnologia biotech: leva strategica di sviluppo in tutti i campi industriali e risposta concreta ad esigenze sempre più urgenti a livello di salute pubblica, cura dell'ambiente, agricoltura e alimentazione. Costituita nel 1986, all'interno di Federchimica, Assobiotech è membro fondatore di EuropaBio e dell'International Council of Biotechnology Associations.

<http://assobiotech.federchimica.it/>

vuto alla mancata necessità da parte dell'azienda biotecnologica produttrice di recuperare gli ingenti investimenti di ricerca e sviluppo che caratterizzano il percorso degli originatori, costituisce un elemento di risparmio indispensabile alla liberazione di risorse utili al finanziamento dell'innovazione che la biotecnologia promette di garantire nei prossimi anni.

Assobiotech, tra i cui associati figurano sia imprese che mettono in commercio nuovi farmaci biologici sia imprese che offrono farmaci biosimilari (attività che spesso coincidono in un'unica realtà aziendale), riconosce, quindi, il ruolo fondamentale che possono avere questi ultimi per la sostenibilità del sistema sanitario e nel liberare risorse per finanziare l'innovazione bio-farmaceutica. Nello stesso tempo ritiene fondamentale che i principi della libertà prescrittiva del medico e della continuità terapeutica per i pazienti già in trattamento debbano / segue a pag. 5

Protagonisti

REUMATOLOGIA: BIOSIMILARI, IL RISPARMIO GENERATO VA REINVESTITO

Prof. Roberto Gorla, Reumatologia ASST
SPEDALI CIVILI DI BRESCIA

Migliori e maggiori possibilità di cure e costi inferiori per il Sistema sanitario nazionale, con la possibilità di un reinvestimento in diagnosi precoce: è quanto sarà consentito dall'introduzione progressiva in terapia dei biosimilari, in affiancamento ai farmaci biotecnologici a disposizione del clinico ormai da 18 anni un po' in tutti i settori. Roberto Gorla, reumatologo presso gli Spedali civili di Brescia, parla della sua esperienza: proprio in reumatologia biologici e relativi biosimilari sono impiegati nelle poliartriti: artrite reumatoide, artrite psoriasica e spondilite anchilosante.

«La soddisfazione è grande, ormai da tempo», dice il medico riferendosi alle principali molecole biotecnologiche utilizzate. Di queste, due sono oggi disponibili in versione biosimilare con caratteristiche identiche in termini di sicurezza, effetti clinici e possibili reazioni avverse: parliamo del biosimilare di infliximab e di etanercept.

Il vantaggio di disporre di queste nuove molecole è molteplice: «Da un lato il notevole risparmio permesso da questi nuovi prodotti, che rappresentano una continuità terapeutica per il paziente ma a costi notevolmente ridotti per il sistema. D'altro canto sono un'arma in più che si aggiunge ai farmaci esistenti».

Proprio agli Spedali civili uno studio ha comparato l'efficacia di questi principi attivi, impiegati anche al di fuori della reumatologia: «Insieme ai colleghi gastroenterologi abbiamo condotto un'indagine sull'impiego di infliximab originator e biosimilare giungendo a confermare quanto già illustrato dalla letteratura, ovvero che efficacia ed effetti indesiderati sono equiparabili». Resta forte una speranza, da parte dei reumatologi: «Il

risparmio generato dall'uso dei biosimilari, in particolare infliximab ed etanercept e a breve anche adalimumab, dovrebbe essere reinvestito in diagnosi precoce e clinica».

I reumatologi auspicano quindi assunzioni di nuovo personale, perché solo questo garantirebbe un ulteriore abbattimento dei

costi sociali ed economici: «Calcoliamo che l'uso dei biosimilari permetterebbe l'accesso alle terapie a un 40 per cento di malati in più», conclude Gorla. Non resta che aspettare per comprendere come si muoverà il mercato, anche se già ora i segnali sono positivi.



**Di Sandoz
ti puoi fidare**

1,2 miliardi di persone ripongono la loro fiducia nei prodotti del gruppo Novartis, tra i quali i farmaci equivalenti e biosimilari Sandoz.

Una responsabilità che ci impegna. Ogni giorno.

CUSTOMER CARE
800 900 233

SANDOZ A Novartis
Division

www.sandoz.it

IT160649952



Focus

SISTEMA IMMUNITARIO E CANCRO

LE NUOVE FRONTIERE DELL'IMMUNOTERAPIA

di Andrea Porta

La storia della medicina ha visto alcuni importanti momenti di svolta: scoperte che hanno rivoluzionato il modo di affrontare e curare alcune patologie. In oncologia un grande cambiamento è rappresentato dall'immunoncologia, cioè la terapia immunologica applicata al trattamento dei tumori. In pratica, una nuova e potentissima arma nella lotta contro il cancro che si affianca a quelle tradizionali come la chirurgia, la radioterapia, la chemioterapia e le terapie biotecnologiche. L'idea è apparentemente semplice: i farmaci immunoncologici stimolano il sistema immunitario rendendolo in grado di riconoscere e attaccare in modo selettivo le cellule tumorali. In pratica attivano armi del tutto naturali e presenti nell'organismo: questa strategia

mira infatti a potenziare il sistema immunitario attraverso anticorpi o vaccini creati in laboratorio che insegnano all'organismo ad aggredire le cellule malate.

COSA FA L'IMMUNONCOLOGIA

Attualmente l'immunoncologia segue vari filoni di studio tra i quali l'impiego dei vaccini e delle salmonelle contro il cancro, l'analisi del contributo del sistema immunitario alle terapie standard, l'analisi del microbiota e la correlazione con la tumorigenesi e l'analisi del ruolo delle cellule Nkt. La linea di ricerca sui vaccini nasce da studi che hanno dimostrato che le cellule tumorali trattate con una forma attenuata e non virulenta dell'agente infettivo Salmonella aumentano l'espressione di proteine di giunzione gap. Molti studi sono invece destinati a capire meglio, grazie alle conoscenze dell'immunologia, come funzio-

nano i farmaci attuali: in particolare sono stati raggiunti risultati molto interessanti relativi alla risposta di alcuni anticorpi monoclonali e del coinvolgimento del sistema immunitario nella loro efficacia. Molti studi indagano invece la flora batterica intestinale (microbiota) di pazienti affetti da diverse patologie nel tentativo di identificare una microflora che favorisce la tumorigenesi. Più recentemente è stato studiato invece il ruolo delle cellule Natural killer T nella risposta ai tumori valutando la possibilità di potenziarle per combattere i tumori.

QUALI TUMORI SI CURANO OGGI

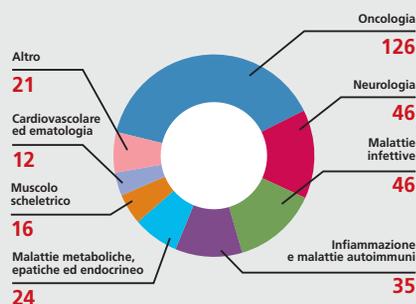
Nella classifica annuale dall'Associazione americana per il progresso delle scienze l'immunoterapia è ai vertici della lista delle scoperte fondamentali grazie ai notevoli successi raggiunti in alcune sperimentazioni.

ONCOLOGIA

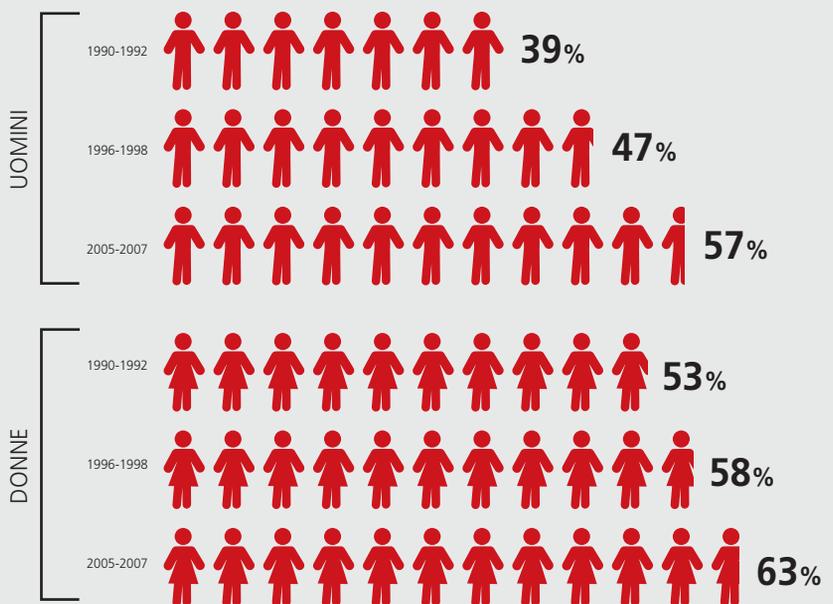
Nei primi anni novanta mediamente solo il 46% dei pazienti riusciva a sopravvivere 5 anni dalla diagnosi di un tumore. Oggi ci riescono il 57% degli uomini e il 63% delle donne (Fonte AIOM)

Numero di progetti biotech per area terapeutica

126 progetti in campo oncologico: quasi il 40% degli sforzi di ricercatori e imprese mirano ad ottenere la remissione di diversi tipi di tumore o ad allungare il più possibile la vita dei pazienti.



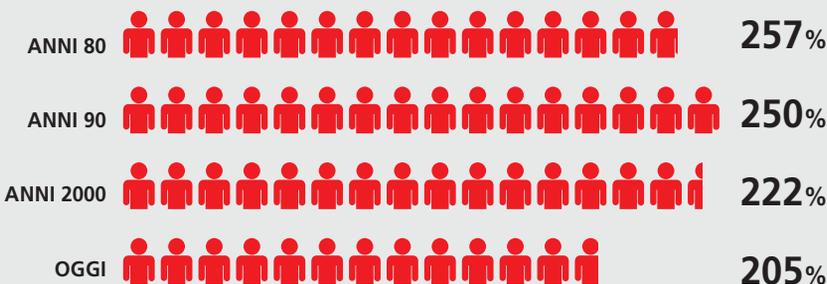
SOPRAVVIVENZA A 5 ANNI PER MALATI DI TUMORI (% SUL TOTALE)



Fonte: OECD

Dagli anni ottanta ad oggi l'impegno dei ricercatori biotech nell'individuazione di nuovi trattamenti innovativi ha permesso di ridurre del 20% il tasso di mortalità per patologie oncologiche.

TASSO DI MORTALITÀ PER PATOLOGIE TUMORALI (MORTI PER 100.000 ABITANTI, MEDIA DECENNALE)



Fonte: OECD

I primi, contro il melanoma ovvero il più letale tumore della pelle, risalgono al 2011 quando fu dimostrato che questa strategia riusciva a migliorare la sopravvivenza dei pazienti. Oggi sappiamo che le combinazioni di diversi farmaci con l'immunoterapia permette ai medicinali di funzionare meglio rispetto alla loro assunzione singola. Dopo i primi successi contro il melanoma, l'immunoncologia si è dimostrata valida anche nella cura del cancro del rene, della prostata, della testa e del collo e del mesotelio. Risale invece alla scorsa estate l'approvazione di una nuova terapia immunologica per pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule. Diversi studi hanno infatti già mostrato come

queste molecole siano particolarmente attive nei casi di cancro al polmone. L'efficacia dell'immunoterapia nel tumore polmonare si associa inoltre a una sua maggiore tollerabilità che consente un miglioramento della qualità di vita. E questo nonostante il tempo necessario per osservare i risultati del trattamento sia, nell'immunoterapia, due volte più lungo rispetto alla chemioterapia tradizionale. Discorso analogo per il tumore alla vescica, uno dei più frequenti: da trent'anni si cura più o meno allo stesso modo, ma adesso alcuni farmaci immunoterapici combinati alla chemioterapia migliorano la sopravvivenza con maggiore tollerabilità per i malati anziani più fragili.

FARMACI BIOLOGICI E BIOSIMILARI

segue da pag. 2 /

essere sempre garantiti e mai sacrificati per seguire logiche burocratiche o esigenze puramente economicistiche.

I medici prescrittori devono, infatti, poter fare affidamento sull'effettiva disponibilità, all'interno della "cassetta degli attrezzi cui attingere", dei diversi prodotti atti a garantire la migliore soluzione per le necessità del singolo paziente. Quest'ultimo, tanto che sia già in trattamento, quanto che sia un paziente cosiddetto naïve (esposto per la prima volta a un determinato principio attivo), deve poter contare sull'effettiva disponibilità del farmaco che sta utilizzando o che il medico intende prescrivere. L'ultima legge di Bilancio vuole garantire effettività a questi principi, prevedendo una armonizzazione delle procedure pubbliche di acquisto a livello regionale. Esclusa la suddivisione a priori dei fabbisogni tra biologici e biosimilari, il nuovo accordo quadro previsto per la messa a gara dei prodotti porrà in confronto concorrenziale i farmaci biologi a brevetto scaduto e i relativi biosimilari di riferimento.

Una messa a valore del principio di concorrenzialità che riteniamo fondamentale per lo sviluppo equilibrato e sostenibile dell'innovazione bio-farmaceutica, nel pieno rispetto dei diritti di paziente e medico.

ANTICORPI MONOCLONALI ANTITUMORALI NELLA PIPELINE MENARINI

Menarini, insieme alla società inglese Oxford BioTherapeutics, già dal 2012 ha intrapreso un progetto altamente innovativo per lo sviluppo di anticorpi monoclonali per la terapia dei tumori.

Tali anticorpi sono stati selezionati per legarsi specificatamente ad antigeni espressi sulle cellule tumorali.

Essi possono agire come "missile intelligente" veicolante tossine che distruggono le cellule tumorali (meccanismo di tipo ADC, Anticorpo Coniugato a Tossina) oppure come "mediatore" della morte delle cellule tumorali attivando le cellule "killer" del sistema immunitario (meccanismo di tipo ADCC, Citotossicità Cellulare mediata da Anticorpi).

Due di questi anticorpi sono in fase di sviluppo.

MEN1112 è un anticorpo IgG1 umanizzato, non-fucosilato, diretto contro il CD157, un antigene sovra-espresso nei blasti della leucemia mieloide acuta, che agisce mediante il meccanismo ADCC. L'anticorpo ha dimostrato una attività promettente sia su linee cellulari tumorali che su blasti leucemici ottenuti da pazienti, ed è attualmente in sperimentazione clinica di Fase I (STUDIO ARMY).

MEN1309 è un anticorpo coniugato con un potente agente citotossico, derivato della maitansina, diretto contro un nuovo antigene, CD205, sovra-espresso nei linfomi tipo B-Non Hodgkin e in certi tumori solidi. A seguito del legame con il CD205, MEN1309 legato alla tossina è internalizzato in modo altamente specifico dalla cellula tumorale, dove rilascia la tossina esplicando una potente attività citotossica altamente selettiva sulle cellule tumorali. MEN1309 ha dimostrato una eccellente attività antitumorale in diversi, importanti e clinicamente rilevanti modelli sperimentali. Entrambi gli anticorpi sono prodotti nell'impianto di Menarini Biotech di Pomezia, dove il processo biotecnologico di produzione è stato messo a punto.



Da sapere

BIOTECNOLOGIE E MALATTIE RARE

di Andrea Porta

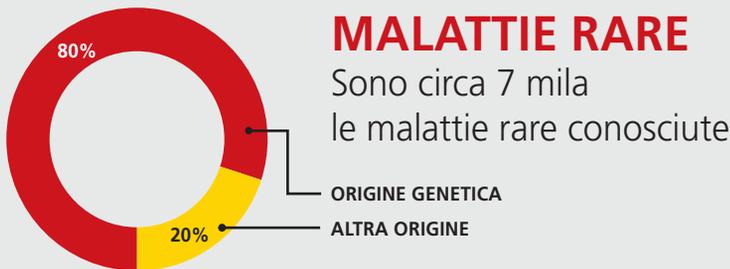
Negli ultimi dieci anni molte aziende biotech si sono progressivamente orientate verso lo sviluppo di terapie per patologie rare, soprattutto vista l'elevata domanda e l'apparente riduzione nella complessità di sviluppo. Così le nuove biotecnologie sono entrate rapidamente nella

pratica clinica per migliorare il processo diagnostico, ottimizzare la predizione della prognosi e per introdurre cure innovative. Ovviamente sono sorti quesiti etici, dubbi di sostenibilità economica e problemi di comunicazione tanto che oggi la sfida che il mondo scientifico deve affrontare è quella di un'informazione obiettiva, trasparente e responsabile. Per questo oggi in un ambito come

quello delle biotecnologie e un contesto come quello delle malattie rare la comunicazione riveste un ruolo di primo piano.

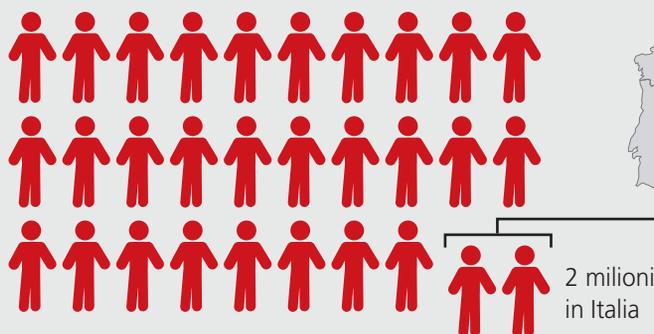
MALATTIE RARE: NUMERI E TERAPIE

Le malattie rare sono un problema globale: se ne contano più di 7mila, oltre 30 milioni di pazienti in Europa ne soffrono. La scarsità di numeri rende complicata la ricerca e fa



Colpiscono non più di 5 persone su 10 mila

PAZIENTI IN EUROPA
sono oltre 30 milioni



L'Italia è in prima linea nella ricerca farmaceutica con il 24 % degli studi clinici sulle malattie rare e il 30% con farmaci biotech

alzare molto il costo dei farmaci. Il campo oncologico è quello maggiormente rappresentato, seguito dalle patologie metaboliche, epatiche ed endocrine, dalle malattie cardiovascolari e infiammatorie. L'Italia è in prima linea nella ricerca farmaceutica con il 24 per cento degli studi clinici sulle malattie rare e il 30 per cento con farmaci biotech.

Del resto i farmaci biotech sono fondamentali per il trattamento delle malattie rare che colpiscono non più di 5 persone su 10mila: se ne conoscono oltre 7mila di cui almeno l'80 per cento di origine genetica.

I pazienti toccano circa i 2 milioni in Italia e in Europa rappresentano il 7 per cento circa della popolazione, ovvero tra 24 e 36 milioni di persone. Lo scorso anno il rapporto annuale di Cesbio, il Centro studi e ricerche sulle biotecnologie sanitarie e settore biotech che vede coinvolti Cergas Bocconi e Università del Piemonte Orientale, in collaborazione con Assobiotech, ha elaborato anche due monografie su temi caldi. La prima fornisce al decisore politico gli strumenti



oggettivi per la valutazione dei farmaci biotech, anche nei casi più complessi come quelli dei farmaci orfani per le malattie ultra-rare dove il rapporto costo-efficacia è inevitabilmente sfavorevole.

La seconda monografia riguarda invece i test genetico-molecolari che indicano i pazienti adatti a ricevere una terapia oncologica biotech mirata. Il rapporto evidenzia che la spesa per farmaci biotech è concentrata per il 94 per cento in ospedale e cresce a un ritmo simile alla spesa farmaceutica ospedaliera.

Si osserva poi un aumento della quota di mercato dei biosimilari (farmaci lanciati sul mercato dopo la scadenza del brevetto del-

l'originatore), passati dall'1,3 per cento del 2009 al 32,9 per cento del 2014.

BIOTECH E BIOSIMILARI

Proprio nel contesto delle malattie rare si inserisce infine il tema dei biosimilari. Farmaci simili ma non identici al suo originatore, questi hanno aperto un serio dibattito nella comunità scientifica che li ammette solo nei nuovi pazienti, mentre per quelli già in trattamento con l'originatore, andrebbe garantita la continuità terapeutica. Si tratta di farmaci avanzati, utili nel trattamento di malattie anche molto gravi come il cancro, dove a volte un farmaco o un altro può voler dire la vita o la morte.

Protagonisti

SMA: IL RUOLO DELLE BIOTECH



*Eugenio Mercuri,
Neuropsichiatria Infantile,
Centro NEMO, Policlinico
Gemelli, Roma*

Le biotecnologie sono la chiave del futuro nella terapia delle malattie neuromuscolari pediatriche, come la Sma (atrofia muscolare spinale). Patologia genetica autosomica recessiva considerata malattia rara (anche se la sua inci-

denza è meno infrequente di altre), questa condizione si presenta in quattro quadri clinici di cui tre pediatrici. «La Sma 1 è la forma più grave, che non consente la sopravvivenza oltre il primo anno di vita a una grossa fetta di bambini colpiti; la Sma 2 insorge tra i 6 e i 18 mesi mentre la Sma 3 dopo i 18 mesi», spiega Eugenio Mercuri, neuropsichiatra infantile al Policlinico Gemelli di Roma.

«Le forme di disabilità riscontrabili nei soggetti malati sono diverse e possono consistere persino in una quasi completa paralisi o nell'impossibilità di stare seduti o di de-

ambulare». Oggi le biotecnologie consentono di conoscere con precisione la causa e i meccanismi eziopatogenetici, ma permettono inoltre di sottoporre i piccoli pazienti a terapie in grado di modificare l'evoluzione dei sintomi e di migliorare la funzione motoria con un impatto sulla durata e sulla qualità della vita.

«I primi trial clinici di queste nuove molecole sono recenti: pensiamo che gli studi sono iniziati solo pochi anni fa», aggiunge Mercuri. L'imperativo, oggi permesso dalle tecnologie, è dunque quello di giungere a una diagnosi quanto più precoce così da consentire, laddove possibile, di stabilizzare l'evoluzione o addirittura di ottenere piccoli e grandi miglioramenti. Grazie alle nuove terapie biotecnologiche, accanto a quelle geniche, si apre inoltre un nuovo capitolo: quello dello screening prenatale, che dovrebbe poter assicurare migliori e tempestivi interventi.

Primo Piano

CRIOCONSERVAZIONE DELLE CELLULE

LA FRONTIERA DELLA VITA

di Luca Borghi

Scienza ed etica tengono acceso il confronto. La politica e la cronaca fanno il resto. Tant'è che, a seconda degli eventi, il dibattito sulla possibilità di utilizzo o meno delle cellule staminali per la cura di gravi patologie infiamma le piazze mediatiche e giudiziarie. Figuriamoci poi quando si parla di congelare a scopo terapeutico futuro il materiale biologico – utilizzando delle sostanze specifiche per la conservazione nell'azoto liquido a temperatura di -196 gradi – per molti e molti anni senza alterarne vitalità, proliferazione e capacità differenziativa.

Nonostante i pro i contro non accennino ad abbassare la guardia, la ricerca va avanti. In Italia e all'estero. Tant'è che la crioconservazione delle staminali è ormai una realtà. Un vero e proprio "fenomeno" che si sta imponendo su scala mondiale. Solo in Europa, infatti, oltre 150 mila persone hanno deciso di consegnare il sangue contenuto nel cordone ombelicale e raccolto al momento del parto a istituti pubblici e centri specializzati privati.

"Conservare il materiale biologico placentare – ha sempre affermato il professor Umberto Veronesi – significa dare una chance in più al proprio figlio, oltre che compiere un atto di fiducia nella scienza". Si perché il sangue cordonale, secondo gli scienziati, rappresenta una preziosa sorgente di staminali emopoietiche. Unità biologiche, cioè, che sono contenute nel liquido organico periferico e nel midollo osseo, capaci di generare globuli rossi, bianchi e piastrine. Di più: il sangue cordonale può essere utilizzato, come il midollo osseo e le cellule staminali del sangue periferico, per effettuare il trapianto in pazienti affetti da molte malattie ematologiche (leucemie, linfomi) e da patologie genetiche come l'anemia mediterranea o Morbo di Cooley.

Sotto il profilo giuridico, il legislatore parla chiaro. "Il sangue cordonale raccolto al mo-



In Europa oltre 150 mila persone hanno deciso di consegnare il sangue contenuto nel cordone ombelicale che rappresenta una preziosa sorgente di staminali emopoietiche. Il sangue cordonale viene conservato presso una Banca pubblica specifica che ha lo scopo di conservare le unità per renderle disponibili a pazienti italiani e stranieri.

mento del parto viene conservato presso una Banca pubblica specifica.

La Banca ha come obiettivo prioritario conservare le unità donate che rispondono a precisi requisiti di qualità, per renderle disponibili per il trapianto di pazienti italiani e stranieri. Ma anche e soprattutto per un membro della famiglia (fratello/sorella) affetto da una patologia curabile con le cellule staminali emopoietiche, oppure nel caso in

cui nell'ambito della famiglia stessa vi sia un elevato rischio di malattie genetiche, che potrebbero riguardare futuri figli che con questa preziosa risorsa potrebbero essere sottoposti ad un trattamento terapeutico che dia loro una reale possibilità di guarigione".

Ma quand'è che il termine "cellula staminale" appare per la prima volta nella letteratura scientifica? Per la precisione nel 1868, nelle opere del biologo tedesco Ernst Haeckel. Lo scienziato usò il termine in due sensi: come l'antenato unicellulare di tutti gli organismi multicellulari e come cellula uovo fecondata che dà origine a tutte le cellule dell'organismo. Da quell'anno ad oggi, la ricerca globale identifica il termine "cellula staminale" per riferirsi a quelle singole cellule capostipiti di una vera e propria discendenza cellulare (come, ad esempio, quelle del sangue).

In buona sostanza, le staminali sono cellule capaci di riprodurre se stesse rimanendo identiche. Oppure sono in grado di trasformarsi in cellule diverse che costituiscono dei tessuti e degli organi (cellule del cuore, delle ossa, neuronali, epatiche, solo per citarne alcune). Nuclei di vita, insomma, per cui la crioconservazione diventa l'unico mezzo di salvaguardia a fini terapeutici.

Informazione pubblicitaria

 **Protagonisti**

IL GRUPPO SOL PER LE BIOTECNOLOGIE

SOL è un Gruppo multinazionale italiano con più di 3000 dipendenti, un fatturato (2016) di 703 milioni di Euro e una storia professionale di novant'anni, operante in Europa, Turchia, Marocco, Brasile e India in distinti settori prevalenti: produzione, ricerca applicata e commercializzazione di gas tecnici, puri e medicinali, home care, criobiologia e biotecnologie.

In questi ultimi ambiti, SOL ha recentemente consolidato la propria presenza nel contesto di un mercato in costante sviluppo: di seguito, viene riportata una breve presentazione delle società controllate dal Gruppo SOL che operano nei settori **criobiologia e biotecnologie**.

DIATHEVA: IL PARTNER STRATEGICO PER LO SVILUPPO CLINICO DI NUOVE BIOMOLECOLE E DISPOSITIVI DIAGNOSTICI IN VITRO, DALLA RICERCA ALLA PRODUZIONE

Diatheva è un'azienda biotech fondata nel 2002, focalizzata sullo sviluppo, produzione e commercializzazione di kit diagnostici innovativi e agenti terapeutici in Oncologia, Malattie infettive e Medicina personalizzata. Dal 2012 Diatheva è parte del Gruppo SOL SpA. La mission di Diatheva è il trasferimento dei risultati della ricerca di base in prodotti industriali e nuovi farmaci per rispondere agli "unmet medical needs" e per favorire il progresso attraverso il supporto alla ricerca clinica. **Nel suo impianto di nuova costruzione** (2.500 mq), Diatheva ha realizzato un **reparto GMP dedicato alla produzione di biologici** per studi pre-clinici e clinici, in particolare per la produzione di anticorpi ricombinanti, enzimi e nuovi immunogeni. Il nuovo reparto è interamente suddiviso in locali a contaminazione controllata classificati secondo le vigenti normative in materia di produzione di specialità medicinali, in accordo con le regolamentazioni EU-GMP. Grazie all'esperienza acquisita nel settore biofarmaceutico e alla collaborazione con importanti clienti pubblici e privati, Diatheva si è dimostrato un partner strategico per lo sviluppo clinico di nuove molecole d'interesse diagnostico o terapeutico, **offrendo servizi conto terzi di sviluppo e produzione** assicurando, attraverso un consolidato sistema di gestione della qualità, la



soddisfazione del cliente. Diatheva, inoltre, dispone un portfolio di biomolecole brevettate (anticorpi) in diverse aree terapeutiche, con elevato potenziale di crescita e a differenti stadi di sviluppo.

Parallelamente al settore farmaceutico, Diatheva è un'azienda di riferimento per **lo sviluppo e produzione conto terzi di test immunoenzimatici e kit di biologia molecolare** per applicazioni diagnostiche e di ricerca, avvalendosi di un team motivato e altamente qualificato, con competenze nei settori della microbiologia della biochimica e della biologia molecolare e cellulare.

CRYOLAB: SERVIZI PER LA GESTIONE COMPLETA DI CAMPIONI BIOLOGICI

Cryolab, nato nel 2012 come spin-off della Facoltà di Medicina e Chirurgia dell'Università di Roma Tor Vergata, dal 2015 è in partnership con il Gruppo SOL e rappresenta un'infrastruttura dedicata alla manipolazione e alla conservazione di campioni biologici, **autorizzata dal Ministero della Salute** a svolgere servizi dedicati a Istituti dei Tessuti:

- **gestione di processi di Disaster Recovery Plan** secondo il Decreto Legislativo n.191/2007 (art. 24);
- **stoccaggio a breve, medio e lungo termine** di cellule, tessuti e organi, per scopi di ricerca o trapianto, conservati in azoto liquido, in vapori d'azoto o in congelatori

meccanici all'interno di una sala criobiologica realizzata sulla base dei più moderni standard realizzativi e tecnologici.

- **trasporti programmati** e in emergenza di cellule e tessuti, di gameti, zigoti ed embrioni con mezzi e operatori dedicati e specificatamente formati, all'interno di contenitori a temperatura controllata (da -190°C a + 10°C), per mezzo di data logger certificati.

BIOTECHSOL: LA RICERCA BIOTECNOLOGICA AL SERVIZIO DELLA PERSONA

BiotechSol risponde ai bisogni delle persone fornendo una tecnologia medico-scientifica all'avanguardia in modo affidabile, rapido e preciso, rappresentando così un punto d'incontro tra innovazione, ricerca e qualità.

Ogni servizio offerto è accuratamente costruito sui bisogni delle persone, al fine di garantire la massima completezza.

L'impegno nella ricerca e l'aggiornamento scientifico permettono di fornire soluzioni personalizzate per ogni periodo della vita e rappresentano una garanzia di affidabilità per i professionisti del settore.

Tra i servizi di analisi offerti da BiotechSol:

- **Exome/Genome test**: analisi completa del DNA;
- **Nutritest**: a partire da un campione di saliva, viene effettuata un'analisi genetica per un profilo nutrizionale personalizzato;
- **Recaller test**: analisi ematologica dell'infiammazione da cibo con dieta personalizzata, un sistema di diagnosi e interpretazione dei dati abbinato a una dieta alimentare.
- **Mi Risk**: test predittivo per malattie cardiovascolari;
- **Panorama test**: screening non invasivo per la donna in gravidanza per la ricerca di anomalie cromosomiche nel feto;
- **Personal Carrier test**: basata sull'analisi diretta di frammenti del genoma umano, permette di rilevare mutazioni che possono causare malattie genetiche recessive in soggetti sani.





BIOTECNOLOGIE TRA RICERCA, INVESTIMENTI E COMUNICAZIONE

*Intervista
a Riccardo Palmisano,
Presidente Assobiotech*

Spirito di innovazione, eccellenza della ricerca scientifica, visione sul futuro: il nostro Paese ha tutte le carte in regola per poter giocare un ruolo da protagonista nell'ambito delle biotecnologie. È quanto emerge dagli interventi dei relatori presenti a Milano, lo scorso 2 maggio, in occasione dell'assemblea annuale di Assobiotech, l'associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie, parte di Federchimica. Obiettivo della giornata: fare il punto su quanto è stato messo in atto finora ma soprattutto su cosa ancora è necessario per creare un ecosistema favorevole alla ricerca e all'innovazione biotech, con un occhio rivolto al finanziamento e allo sviluppo industriale. È il presidente Riccardo Palmisano a tirare le somme di quanto svolto in questo primo anno di mandato, presentando le proposte dell'associazione per il prossimo periodo.

Presidente, il sottotitolo dell'assemblea annuale recita *Dall'attrazione degli investimenti alla valorizzazione della ricerca innovativa: le sfide che il Paese non può perdere*. Investimenti e ricerca sono i due fattori chiave dello sviluppo delle biotech, quindi.

«La ricerca è la chiave di tutto, ma da sola non basta: per cogliere l'opportunità che offre il nuovo approccio delle multinazionali, quello della ricerca collaborativa, è necessario valorizzare le eccellenze presenti nelle università, negli enti di ricerca, e facilitare l'attivazione di spin off e start up, agevolando il rapporto con il capitale. Il numero di realtà che si occupano di ricerca, in Italia, è allineato al resto d'Europa, tuttavia le nostre aziende restano piccole o micro per mancanza di fondi: non riusciamo ad attirare capitali di rischio».



Che fare allora?

«Servono più attrattività fiscale, più competenze imprenditoriali, più trasferimento tecnologico, meno burocrazia e più velocità. E serve una regia centrale, che recuperi anche il ruolo delle Regioni chiave, ma in una prospettiva di piano integrato e non nella logica della classica frammentazione all'italiana. Il capitale non ha frontiere: va dove ci sono buona scienza, buoni progetti e buoni manager. Molto è stato fatto con il precedente Governo, ma c'è ancora tanta strada da percorrere. I centri di ricerca italiani sono riconosciuti per qualità a livello mondiale, da un punto di vista scientifico, ma sono ancora poco attrezzati nello sviluppare business plan che portino al mercato: occorre quindi formare la figura del ricercatore-imprenditore. Inoltre sono ancora troppo pochi e troppo piccoli i fondi specializzati negli investimenti nel biotech».

Quali sono i settori biotecnologici a oggi più promettenti, nel contesto medicale?

«Uno dei mondi chiave resta quello dell'oncologia e dell'onco-ematologia, dove l'obiettivo non è più quello di prolungare la vita

del paziente di qualche mese ma di arrivare alla guarigione. Poi c'è il campo della neurologia e delle malattie neuro-degenerative: Alzheimer, Parkinson, Huntington, SLA. Senza dimenticare il grande e variegato settore delle malattie rare, i nuovi farmaci per le epatiti e le biotecnologie per la prevenzione, ovvero i vaccini».

Trova che il tema biotecnologie sia ancora un po' misconosciuto da parte del grande pubblico?

«Sì: c'è stato un miglioramento nelle conoscenze da parte del pubblico. Lo spauracchio della clonazione non esiste più, ma certamente c'è ancora un lavoro di alfabetizzazione da compiere, anche tra i decisori politici che spesso hanno una conoscenza superficiale del tema. In questo senso anche il ruolo dei media è molto importante: occorre far comprendere che questa è una tecnologia che viene dalla vita e che non è nemica della vita. Ma in generale serve anche, da parte del grande pubblico, un approccio più fiducioso verso la scienza: la recentissima polemica sui vaccini ne è un esempio».

 **Protagonisti**

GENETICA MOLECOLARE E APPLICAZIONI FARMACOLOGICHE

di Andrea Porta

La genetica molecolare è il campo della biologia e della genetica che studia la struttura e la funzione dei geni al livello molecolare. Nell'ultimo decennio l'analisi del dna ha rappresentato un valido metodo d'indagine sia in campo clinico sia nella diagnostica di un numero sempre maggiore di malattie genetiche. Soprattutto nel campo dei disordini monofattoriali, cioè nelle sindromi causate dall'alterazione di un singolo gene come le talassemie, la fibrosi cistica, la distrofia muscolare e le emoglo-

binopatie, le tecniche della biologia molecolare si sono rivelate vincenti. Il numero delle malattie genetiche identificabili mediante l'analisi del dna cresce quindi alla determinazione di nuovi geni responsabili della malattia.

QUALI STRUMENTI

Grazie alla genetica molecolare oggi è possibile mettere a punto farmaci che producono importanti risultati in termini di controllo della malattia o in grado di agire su una malattia divenuta refrattaria ad altri agenti terapeutici: innovazioni che aumen-

tano drasticamente le opportunità terapeutiche ma che potrebbero frammentare la società tra chi può permettersi le cure e chi no. Così ad esempio la cellula tumorale non viene più definita come semplicemente deregolata, ma piuttosto come una entità che ha acquisito nuove funzioni.

Il metodo di scelta per la diagnosi di molte malattie genetiche è attualmente la Polymerase chain reaction (Pcr) soprattutto per i suoi vantaggi di accuratezza e sensibilità.

LE APPLICAZIONI TERAPEUTICHE

I centri di ricerca attivi nella genetica molecolare si propongono di coniugare la ricerca sui meccanismi biologici fondamentali con quella traslazionale. Si occupano dell'analisi molecolare e biologia cellulare di malattie genetiche ereditarie, di caratterizzazioni molecolari di malattie genetiche acquisite come i tumori e la loro progressione in senso metastatico, dello sviluppo di metodiche e screening di nuovi farmaci.

Le indagini fanno uso delle principali metodiche della biologia moderna (approcci biochimici e farmacologici, biologia e genetica molecolare, biologia cellulare e calcolo computazionale) ma in modo del tutto innovativo.

CURA DELL'EMOFILIA: I FATTORI DELLA SPERANZA

di Luca Borghi

Per definizione, è una **malattia rara**. Eppure i numeri sono di un certo rilievo: quasi 5000 pazienti con un'incidenza di circa 50 nuove diagnosi ogni anno. Insomma, la **battaglia contro l'emofilia** – per la scienza è un disordine ereditario recessivo che causa gravi deficit nella coagulazione del sangue dovuta alla mancanza, totale o parziale, del Fattore VIII (emofilia di tipo A) o del Fattore IX (emofilia di tipo B) – non è stata ancora vinta. Nel 75% dei casi, la patologia è ereditaria e colpisce soprattutto i maschi (le femmine sono di solito portatrici sane). E il 30% dei nuovi eventi è causato da mutazioni genetiche. Una fotografia spietata, anche per quanto riguarda le cure: infusioni endovenose costanti – anche tre volte la settimana, cioè oltre 150 iniezioni all'anno – per evitare che anche il minimo trauma con danno vascolare non determini una emorragia. La profi-

lassi risulta il regime più utilizzato (>70%) per il trattamento dei pazienti gravi affetti da emofilia; mentre la terapia a domanda risulta il trattamento di scelta per le emofilie moderate e lievi.

Dalla ricerca, per fortuna, arrivano importanti scoperte. **L'impegno di CSL Behring**, da oltre un secolo in prima linea per migliorare la cura e la qualità di vita dei pazienti, **apre nuovi scenari**. Non solo sotto il profilo dei trattamenti, ma anche e soprattutto per quanto riguarda il benessere fisico, psichico e sociale degli emofilici. L'azienda fondata da Emil von Behring, innovatore nel campo delle siero-terapie e vincitore del primo Premio Nobel per la Medicina, ha messo a punto infatti un nuovo paradigma di cura.

Per l'emofilia di tipo B, CSL Behring ha sviluppato *albutrepenonacog alfa*, una nuova proteina di fusione ad emivita prolungata, nata dalla fusione tra Fattore IX della coagulazione ricombinante e albu-

mina ricombinante. Questa tecnologia è stata progettata e testata per prevenire o ridurre gli eventi emorragici e, in base al suo schema posologico, può essere utilizzata con intervalli di infusione fino a 14 giorni, riducendo significativamente la frequenza di somministrazione per via endovenosa.

Per l'emofilia di tipo A, invece, la casa farmaceutica ha puntato su *lonoctocog alfa*, primo FVIII ricombinante con tecnologia Single-Chain, progettato per una migliore stabilità molecolare e prolungata durata d'azione. Il farmaco è stato sperimentato nell'ambito del progetto AFFINITY, il più ampio programma di studi disegnato rispettando la reale pratica clinica.

Risultato: una nuova possibilità di trattamento ritagliata sui bisogni reali del paziente.

Un altro importante passo avanti verso il miglioramento della qualità della vita degli emofilici.



Monitor

ECCO COME LE BIOTECNOLOGIE METTONO ALLE CORDE LE MALATTIE INFETTIVE

di Luca Borghi

L'importanza delle biotecnologie è racchiusa nell'etimologia greca della parola stessa: il connubio pressoché perfetto tra vita (bios), perizia (techne) e studio (logos). Elementi fondamentali che l'uomo ha via via avvicinato e sviluppato per rispondere sempre di più e meglio ai bisogni della società. In campo genetico, ingegneristico, agricolo ma anche soprattutto farmacologico e medico. Basti pensare ai vaccini per combattere quelle malattie infettive che fino ai primi del Novecento non lasciavano scampo.

Il secolo scorso è stato infatti contraddistinto da una serie di straordinarie trasformazioni sotto il profilo dell'epidemiologia delle patologie trasmissibili. Nel dopoguerra, la svolta. Progresso sociale ed economico, unitamente alla disponibilità di vaccini ed antibiotici, hanno portato a successi fino ad al-

Il ruolo delle biotecnologie moderne appare oggi più che mai fondamentale per preservare il benessere comune. Anche perché, ad esempio, alcune tipologie di streptococchi particolarmente invasivi, dopo una fase di silente presenza, hanno trovato nuovi fattori di virulenza che ne hanno via via favorito la ricomparsa.

lora considerati impensabili. Il resto l'ha fatto la ricerca che, pur tenendo in considerazione le questioni etiche e morali, ha scommesso sulle biotecnologie. I campi di applicazione servono solo a dare un contorno alle sfide vinte fino ad oggi: la produzione di proteine terapeutiche come l'insulina per la cura dei diabetici; l'ormone della crescita per contrastare alcune forme di nanismo, l'eritropoietina per combattere l'anemia. E ancora: gli interferoni per dare battaglia ai virus e

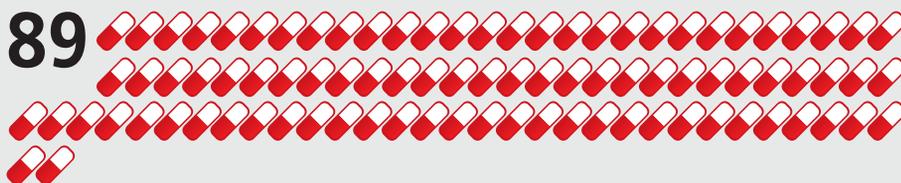
far regredire alcune tipologie di tumori; gli antibiotici su scala industriale per difenderci dai batteri; i vaccini contro l'epatite B o la Bordetella pertussis, responsabile della pertosse; la vittoria sul vaiolo; oppure individuare malattie infettive o genetiche in periodo prenatale.

Ora, però, le biotecnologie sono chiamate a dare risposte a bisogni nuovi e sempre più complessi. Oggi, infatti, è chiaro ed evidente il passaggio da un'epidemiologia in-

NUMERO DI FARMACI BIOTECH IN COMMERCIO PER AREA TERAPEUTICA

MALATTIE INFETTIVE

89



MALATTIE METABOLICHE, EPATICHE ED ENDOCRINE

27



ONCOLOGIA

24



CARDIOVASCOLARE ED EMATOLOGIA

21



INFIAMMAZIONE E MALATTIE AUTOIMMUNI

18



NEUROLOGIA

8



FERTILITÀ

7



RESPIRATORIO

3



NEFROLOGIA

2



DERMATOLOGIA

2



MUSCOLO-SCHELETRICO

1



fettiva sorretta dalle infezioni della miseria – cioè dal ciclo orofecale, che scatenava tifo ed enteriti, e dalle cosiddette malattie dei tuguri alla base di Tbc e polmoniti – allo sviluppo delle patologie moderne che scaturiscono anche e soprattutto da comportamenti a rischio. È il caso di Aids, virus da trasfusione di sangue, malattie a trasmissione sessuale, tossifenzioni alimentari solo per citare alcuni nemici della salute pubblica. La sfida è iniziata e ha già prodotto risultati tangibili, in particolare nella lotta all'Aids e di tutti quei virus che rischiano di proliferare attraverso il fenomeno delle migrazioni di massa. Il ruolo delle biotecnologie moderne appare, dunque, oggi più che mai fondamentale per preservare il benessere comune. Anche perché, ad esempio, alcune tipologie di streptococchi particolarmente invasivi, dopo una fase di silente presenza, hanno trovato nuovi fattori di virulenza che ne hanno via via favorito la ricomparsa. Ergo: non solo è importante il costante monitoraggio delle mutazioni genetiche dei germi, ma è decisivo il controllo dettagliato del ceppo in circolazione e dei trend di mutamento. Perché il deciso miglioramento delle nostre condizioni di vita, ci rende meno “selezionati” rispetto all'infettante e quindi più suscettibili. Insomma, il rapporto malattie infettive e biotecnologie applicate ai vaccini è chiamato a un profondo sforzo di rinnovamento. Un percorso di continua trasformazione che la scienza ha però iniziato ancor prima di conoscere gli ultimi dati statistici. È proprio questa la forza delle biotecnologie: studiare, con perizia, le mutazioni della vita.

La ricerca biotecnologica ha dato impulso allo sviluppo di questi fondamentali strumenti di prevenzione delle malattie infettive: 71 dei prodotti biotech ad oggi in commercio sono vaccini che, insieme alle proteine ricombinanti, rappresentano circa il 57% di tutti i prodotti biotech disponibili.

NUMERO DI FARMACI BIOTECH IN COMMERCIO PER TIPO DI PRODOTTO

CARDIOVASCOLARE ED EMATOLOGIA



PROTEINA RICOMBINANTE



ANTICORPO MONOCLONALE



PEPTIDE



PRODOTTO A BASSO PESO MOLECOLARE



ALTRO



Protagonisti

VACCINI ANTI-CANCRO PERSONALIZZATI BASATI SU DNA RICOMBINANTE

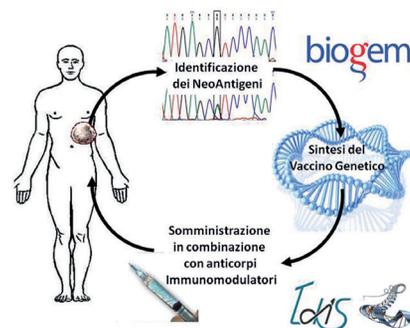
UN FUTURO SEMPRE PIÙ VICINO

Un **vaccino personalizzato contro il Cancro**: questo l'ambizioso obiettivo dei ricercatori dell'Istituto di Ricerche Biogem e della Biotech Takis.

L'Immunoterapia Oncologica ha dimostrato che sbloccando il sistema immunitario, si ottengono risultati clinici straordinari che portano al riconoscimento ed eliminazione delle cellule tumorali. La possibilità di sequenziare il genoma di un tumore a costi relativamente bassi, nota come *next generation sequencing* (NGS) ha permesso poi di scoprire che i tumori presentano numerose mutazioni che originano antigeni riconoscibili dal sistema immunitario, i **neoantigeni**.

“Il Cancro è una patologia straordinariamente complessa e Biogem ne studia i meccanismi per renderla più curabile. Grazie al supporto di AIRC, ci aspettiamo che le nostre scoperte possano tradursi in concrete opportunità terapeutiche nei prossimi anni” afferma il Presidente di Biogem **Ortensio Zecchino**.

“La combinazione di NGS ed immunoterapia caratterizza oggi la ricerca più avanzata in Oncologia. Con risultati molto incoraggianti, stiamo sviluppando vaccini genetici innovativi e tecnologie capaci di indurre potenti risposte immunitarie personalizzate contro il tumore in combinazione con le terapie correnti, con l'obiettivo di trattare il



paziente nel giro di 4 settimane dalla diagnosi” dichiara **Luigi Aurisicchio**, group leader presso Biogem e CEO di Takis.

La collaborazione tra Biogem e Takis rappresenta un importante passo in avanti della Ricerca Italiana verso la **medicina di precisione** come approccio rivoluzionario per la gestione e cura del paziente oncologico.

Per maggiori informazioni:
www.biogem.it e www.takisbiotech.it


Primo Piano

INNOVAZIONE, SOSTENIBILITÀ E GOVERNANCE FARMACEUTICA

È TEMPO DI CAMBIARE

a cura di Assobiotech

La Legge di Bilancio 2017 ha introdotto alcune importanti novità che hanno riguardato il riconoscimento del valore dell'innovazione farmaceutica, attraverso risorse aggiuntive dedicate ai farmaci innovativi e oncologici, mettendo mano al contempo alla revisione della struttura dei tetti. Tale revisione rappresenta sicuramente un passo verso una maggiore trasparenza e semplificazione nei flussi dei dati, anche se la attuale quantificazione, nonostante il contributo dei fondi per i farmaci innovativi, non risolve lo "storico" problema del sotto finanziamento della spesa per i farmaci ospedalieri. Le novità introdotte dalla Legge di Bilancio 2017 rappresentano quindi solo un primo passo verso una più articolata e complessa revisione della Governance.

La nuova Governance Farmaceutica dovrebbe avere come principio fondante un finanziamento pubblico in linea con la reale domanda farmaceutica: solo partendo da una copertura adeguata si può cominciare a parlare di sostenibilità del sistema. L'attuale sistema di governo della spesa farmaceutica parte infatti con un problema di fondo: i fondi pubblici destinati alla spesa farmaceutica (14,85% del SSN) non sono sufficiente a coprire la domanda pubblica corrente. Questo crea uno sfondamento di spesa strutturale che, al di là di qualsiasi ridefinizione dei tetti, comporta per definizione la necessità di una contribuzione da parte dell'Industria per la spesa per gli acquisti diretti, tramite il meccanismo del *payback*, pari al 50% dell'importo del sottofinanziamento complessivo. A questo, si aggiungono altre criticità: le imprese continuano ad avere a che fare con venti sistemi sanitari regolati in maniera diversa, i farmaci ancora coperti da brevetto non sono pienamente tutelati, l'accesso ai nuovi farmaci, che siano o meno classificati come innovativi, resta tra i più lenti d'Europa, sommando



i tempi centrali con quelli regionali. «Bisogna smettere di concentrarsi sulle scialuppe di salvataggio e focalizzarsi su come non fare andare la nave contro gli scogli – commenta Riccardo Palmisano, Presidente di Assobiotech, Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie che fa parte di Federchimica – I meccanismi di gestione delle emergenze sono fondamentali, ma non è pensabile partire ogni anno per un nuovo viaggio con la certezza che la nave del farmaco ospedaliero andrà a sbattere contro gli scogli e che le imprese da un certo punto dell'anno in avanti regaleranno il prodotto al Sistema Sanitario Nazionale. Per questo tra i principi alla base di una nuova governance deve esserci un finanziamento del Sistema Sanitario Nazionale che sia adeguato alla spesa farmaceutica pubblica e che parta dalla domanda farmaceutica pubblica reale. Mantenere un sotto finanziamento strutturale provoca una distorsione delle regole e dei comportamenti». A causa della difficoltà nel reperire le risorse mancanti nel bilancio dello Stato, tutte le parti coinvolte devono contribuire a chiudere il gap di finanziamento, includendo l'identificazione di aree di efficientamento della spesa farmaceutica e nuove forme di finanziamento per i farmaci di «interesse pub-

blico». Il ticket a carico dei contribuenti potrebbe ad esempio essere escluso dal calcolo della spesa pubblica.

«Il ripiano, il *payback*, deve restare solo un meccanismo di salvaguardia da attivare nel caso di evoluzioni impreviste e imprevedibili della domanda, con relativo onere da ripartire equamente tra tutti gli attori del sistema. Assobiotech è, inoltre, fortemente convinta che debbano essere tutelati al meglio il brevetto e la proprietà intellettuale, in quanto fondamento dell'industria di ricerca e meccanismo universalmente riconosciuto come incentivo all'innovazione in medicina, a maggior ragione nelle aree di frontiera della biotecnologia e delle terapie avanzate; accanto alla tutela del brevetto dovrebbero essere garantite anche la valorizzazione dell'innovazione, laddove l'attuale sistema del *payback* sembra al contrario essere una tassa sui prodotti più innovativi e appropriati, così come il rapido accesso ai farmaci, laddove oggi siamo tra i più lenti d'Europa. L'industria chiede da sempre regole semplici e con effetti prevedibili, in un contesto di trasparenza e accessibilità dei dati, che creerebbero al contempo sostenibilità della spesa e programmazione degli investimenti aziendali, con evidenti benefici tanto sul PIL che sull'occupazione».

 **Da sapere**

TERAPIE AVANZATE E SALUTE RENALE

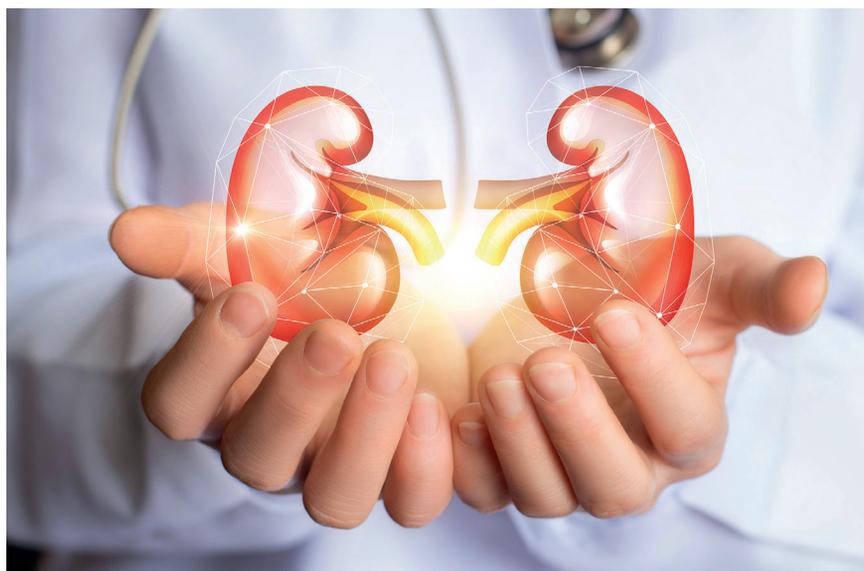
RISULTATI PROMETTENTI DALLA RICERCA

di *Andrea Porta*

Un po' in tutto il mondo occidentale l'incidenza dell'ipertensione e del diabete di tipo 2 stanno contribuendo all'alto tasso di malattie renali e a una domanda crescente di trapianti. A oggi soffrono di patologie nefrologiche circa 40 milioni di persone in Europa e tra le anomali diagnosticate nel periodo prenatale il 30 per cento è di tipo congenito e riguarda i reni e il tratto urinario. Purtroppo il numero di donatori non è sufficiente a soddisfare questo fabbisogno: per questo servono terapie biotecnologiche per rispondere alla domanda di salute renale. Le terapie basate sull'uso di cellule staminali potrebbero offrire in questo senso una soluzione alternativa.

STAMINALI RENALI: UN GRANDE FILONE DI RICERCA

Gli studiosi stanno ancora discutendo sulla presenza di cellule staminali renali nel corpo umano adulto. Diverse cellule trovate in vari punti all'interno del nefrone, l'unità funzionale del rene, sono state proposte come possibili cellule staminali renali. La più convincente evidenza è stata la scoperta di un gruppo di cellule nel polo urinario della capsula di Bowman del nefrone. Dal loro studio potrebbe venire la cura di alcune patologie nefrologiche. Inoltre diversi tipi di cellule estratte dal midollo osseo sono state testate in animali e in studi clinici per il trattamento delle malattie renali. A oggi sono le cellule staminali mesenchimali quelle che hanno prodotto i risultati più promettenti: le ricerche suggeriscono che queste cellule possano essere capaci di potenziare l'abilità intrinseca del rene di ripararsi. Un altro tipo di cellule staminali che gli scienziati stanno usando nella ricerca sul rene sono le pluripotenti indotte, create tramite la riprogrammazione di cellule adulte e specializzate a cellule staminali embrionali. Recentemente, alcuni ricercatori sono stati capaci di usarle per pro-



durre cellule renali in uno stadio molto precoce di sviluppo.

UNO STUDIO TUTTO ITALIANO

Ma le biotecnologie in nefrologia viaggiano anche su altri binari. Ad esempio all'ospedale pediatrico Meyer di Firenze è stato sviluppato e brevettato un metodo per migliorare la diagnosi di malattie renali su base genetica. Iniziata pochi anni fa con lo scopo di individuare un modello di patologia sufficientemente preciso per perfezionare la diagnosi di malattie renali su base genetica a partire dalle urine, la ricerca pare molto promettente. Per mettere a punto un metodo utile a costruire un modello personalizzato di malattia, i ricercatori hanno purificato e amplificato i progenitori renali, un tipo di cellule staminali, dalle urine di ogni singolo bambino malato per poi trattarle con sostanze che sono in grado di trasformarle nella cellula renale che vogliamo studiare, ad esempio la cellula bersaglio della malattia. In questo modo è possibile ottenere un modello unico che porta scritte su di sé tutte le alterazioni genetiche e le influenze ambientali che hanno determinato

quella malattia in quel paziente. Questo sarà utile per studiare molte malattie renali le cui cause rimangono ancora sconosciute.

NUOVE POSSIBILITÀ DI TRAPIANTI

Altro versante in cui le biotecnologie si muovono in ambito renale è la creazione di organi artificiali. Secondo gli scienziati, il primo dispositivo impiantabile che sostituirà la donazione di reni e la dialisi potrebbe essere un rene artificiale alimentato dal sistema circolatorio. Guidato da uno scienziato dell'Università della California a San Francisco, un consorzio di dieci diversi team di ricerca ha presentato tempo fa un nuovo prototipo di rene artificiale. Si tratta di un sistema a due fasi che coinvolge migliaia di microscopici filtri che rimuoveranno le tossine dal sangue. Attualmente gli unici metodi per trattare il collasso renale sono i trapianti e la dialisi. Il nuovo sistema, frutto delle più recenti biotecnologie, si basa sugli ultimi progressi della nanotecnologia e della generazione di tessuti e spera di utilizzare le tecniche di fabbricazione del silicone per rendere il rene artificiale abbastanza piccolo per il trapianto.

il tuo 5x1000 contro la distrofia di Duchenne e Becker

Sostieni Parent Project onlus con la tua dichiarazione dei redditi.

Siamo l'associazione italiana di genitori con figli affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker, malattia rara e degenerativa che colpisce i muscoli dei bimbi maschi. Aiutaci a sostenere le famiglie e a finanziare la ricerca di una cura.



COME FARE:

Nei modelli CUD, 730, UNICO e UNICO mini, firma nel primo riquadro a sinistra "Sostegno del volontariato e delle altre organizzazioni non lucrative di utilità sociale ecc." ed inserisci il **Codice Fiscale** dell'Associazione

05203531008

<small>Sostegno del volontariato e delle altre organizzazioni non lucrative di utilità sociale, delle associazioni di promozione sociale e delle associazioni e fondazioni riconosciute che operano nei settori di cui all'art. 10, c. 1, lett. d), del D.Lgs. n. 460 del 1997</small>	
FIRMA: <i>Mario Rossi</i>	FIRMA: _____
Codice fiscale del beneficiario (eventuale): 05203531008	Codice fiscale del beneficiario (eventuale): _____

Il 5 per mille è gratuito per chi lo dona e non è in alcun modo alternativo all'8 per mille. Puoi destinarlo anche se non compili la dichiarazione dei redditi. Scopri come su www.parentproject.it

Lascia il segno.

La tua firma. Il nostro codice fiscale.



www.parentproject.it