SINERGIA STRATEGICA NELLA TERAPIA GENICA

di **Francesca Pasinelli**

IL SOLE 24 ORE, 3 APRILE 2019
Silvio Garattini, presidente dell'Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri Irccs, ha scritto che finanziare oggi le *cell factory* renderà meno onerosa la lotta a leucemie e linfomi domani.

In merito al Progetto Italia Car-T, Silvio Garattini ha proposto sul Sole 24 Ore del 3 aprile di potenziare una rete nazionale di *cell factory* per produrre queste immunoterapie e renderle accessibili ai pazienti italiani. È un'ipotesi che potrebbe configurare una contrapposizione tra ricerca accademica e industria.

In Fondazione Telethon da molti anni siamo alle prese con questo dibattito essendoci trovati per primi in Italia e nel mondo a portare terapie geniche ai pazienti e ad affrontare queste tematiche. Proprio lo sviluppo delle terapie avanzate ci ha permesso di costruire un'*expertise* che si rivela oggi estremamente rilevante e, crediamo, utile all'elaborazione di strategie future in questo ambito.

Non concordo su una prospettiva di scollamento tra accademia e industria, ma trovo strategico un investimento italiano sulle terapie avanzate. Purché si tengano presenti alcuni temi cruciali.

Uno, il più importante, è quello regolatorio. Come Fondazione Telethon abbiamo dimostrato che è possibile realizzare uno sviluppo avanzato di terapie in un contesto di ricerca accademica, solo allineandosi agli standard industriali.

E cioè a quell'iter regolatorio creato per garantire al paziente un prodotto efficace e sicuro. Questo comporta, per qualunque soggetto privato, no profit o pubblico che sia, un impegno economico importante.

La terapia Car-T è un farmaco a tutti gli effetti e deve rispondere agli stessi requisiti qualitativi. Non si tratta della "semplice" manipolazione delle cellule per il trapianto.

Fatta questa premessa, il dibattito dovrebbe concentrarsi sull'insieme dei fattori abilitanti lo sviluppo di terapie che possano arrivare fino al paziente. In altre parole, non bastano le *cell factory*.

A garantire la qualità del farmaco infatti non è solo l'officina farmaceutica, ma l'impostazione di standard qualitativi elevati già a partire dalle fasi dello sviluppo pre-clinico. È necessario creare, a tutela dei pazienti, laboratori Glp (*Good laboratory practice*) che hanno lo scopo di validare la qualità dei dati dei test di laboratorio sull'efficacia e la tossicità delle terapie, e dotarsi delle competenze adeguate alla costruzione di dossier regolatori che rendano il più efficiente possibile il percorso di approvazione delle terapie.

E poi veniamo al tema spinoso che riguarda il ruolo dell'industria.

Noi per primi abbiamo lavorato in autonomia secondo le prassi richieste quando questa era l'unica opzione per portare la terapia dal laboratorio al paziente, ma siamo stati felici di creare alleanze industriali nel momento in cui le condizioni sono mutate.

Quindici anni fa ci trovavamo di fronte a una triplice scommessa: non sapevamo se la terapia genica avrebbe funzionato, non eravamo in grado di prevederne l'applicazione ad altre patologie più diffuse e quindi non sapevamo se l'interesse delle aziende farmaceutiche sarebbe mai decollato. In quel contesto abbiamo scelto di procedere da soli, affrontando impegni molto onerosi, forti della convinzione che non vi sia rarità tale da giustificare livelli meno che ottimali di qualità delle terapie.

L'ACCADEMIA DOVREBBE SVILUPPARE LA VOCAZIONE DI GENERATORE DI INNOVAZIONE

In questo percorso l'aiuto ricevuto dalle agenzie regolatorie, Istituto superiore di sanità prima e Aifa ed Ema poi, è stato fondamentale.

Ci siamo dotati del primo laboratorio in Europa con certificazione Glp in un contesto accademico e abbiamo commissionato a MolMed la produzione dei vettori e la manipolazione delle cellule in Gmp (*Good manufacturing practices*), passaggio che tuttora costituisce un collo di bottiglia importante nella produzione delle terapie geniche in tutto il mondo.

Non a caso MolMed è oggi l'unico partner privato previsto nel Progetto Italia Car-T, perché dotato di quella capacità produttiva industriale che è necessaria in un piano per la realizzazione su larga scala di terapie avanzate.

Nel dibattito sulle terapie Car-T, il ruolo dell'industria è in discussione per motivi legati ai prezzi dei farmaci e alla sostenibilità per il Servizio sanitario nazionale. È un tema centrale, d'altra parte la soluzione non sta nella creazione di percorsi alternativi al farma, ma nella costruzione di una collaborazione responsabile fra tutti gli attori coinvolti.

Allo sviluppo delle terapie avanzate, la ricerca accademica, di base e preclinica, porta da sempre un contributo importantissimo; continua a essere così in tutto il mondo. Invece che ambire a sostituirsi all'industria, l'accademia dovrebbe sviluppare al massimo la propria vocazione di generatore di innovazione. E potrà farlo a patto che il Paese vi investa con infrastrutture, tecnologia e competenze, magari anche incentivando l'industria italiana a entrare in questo ambito di attività che ha molti margini di crescita.

In questo scenario, pur con il passaggio del testimone all'industria, il ritorno, anche economico, si realizzerebbe sicuramente poiché il Paese non sarebbe più solo mero pagatore ma anche produttore di innovazione, attraverso la generazione di brevetti e la loro valorizzazione.

Si tratta, in definitiva, di partire dall'attuale fermento sul tema immunoterapie per lavorare tutti insieme e portare il Paese alla costruzione di una strategia a lungo termine.

Direttore generale della Fondazione Telethon

© RIPRODUZIONE RISERVATA