

**Therapies for the future:** esplorare soluzioni per trattamenti innovativi,  
11 ottobre 2017

Introduce Paul Rubig (PPE) la nanomedicina e le terapie tecnologicamente avanzate rappresentano due soggetti innovativi di grande impatto, entrambi hanno significative implicazioni per malattie che prima non erano adeguatamente diagnosticate e trattate con strumenti medici inadeguati. La nanomedicina rappresenta un motore per il futuro dello sviluppo dell'industria farmaceutica europea; il proposito di questo workshop è sia raccontare quale è lo stato dei nanomateriali e delle terapie avanzate utilizzate nei medicinali che comprendere i possibili sentieri europei per lo sviluppo futuro di queste nuove terapie.

**Interventi in aula:**

Vytenis Andriukaitis (DG salute e sicurezza alimentare) inizia il suo intervento sottolineando la necessità di mettere in campo più azioni a livello europeo per riportare la scienza in primo piano per sconfiggere i populistici che non utilizzano argomenti scientifici e anzi, spaventano l'opinione pubblica con argomentazioni assurde; dobbiamo essere orgogliosi dei progressi della scienza. Andriukaitis sottolinea come medicazioni, terapie e trial medici siano sottoposti ad un grande controllo dall'EU. La commissione si sta impegnando per accompagnare la crescita delle nano tecnologie e per lo sviluppo dei nano materiali perché questo tipo di applicazioni in campo medico permette una diagnosi precoce e una modifica delle tipologie di interventi (riduzione interventi invasivi, grande risparmio nelle cure, miglioramento condizioni di vita)

Beatrice Lorenzin (Ministro della Salute) mette in evidenza come moderne terapie e farmaci tecnologici permettano trattamenti innovativi, cure mirate sempre più a misura di paziente e che senza alcuna ombra di dubbio i progressi in campo medico e farmacologico sono un fattore determinante per il miglioramento della qualità della vita. La vera sfida è quella dell'accessibilità alle cure soprattutto per l'Italia ove il "diritto alla salute" è sancito dalla Costituzione e il Sistema Sanitario Nazionale è di tipo universalistico. Le nuove cure, che saranno sempre più presenti in ogni campo della medicina, sono sofisticate e molto costose per questo si propone la tematica della garanzia di accesso ; c'è un rischio per il sistema sanitario universale per questo stiamo lavorando di concerto con AIFA che ha identificato un protocollo (tempi, modalità) per accedere alle nuove medicine. Il costo delle nuove cure è altissimo ad inizio terapia ma, nel lungo periodo si rivela un investimento saggio poiché sono più convenienti delle cure "a vita", però questo non basta: insieme dobbiamo trovare soluzioni per rendere più fruibili i farmaci e le terapie di nuova tecnologia.

Ilona Reischl (**responsabile dell'unità dei trial medici all'istituto di controllo dell'agenzia medica austriaca**) Introduce

Guido Rasi (**direttore esecutivo dell'agenzia europea del farmaco EMA**) La tecnologia per la produzione di terapie e medicinali innovativi è in continua evoluzione, l'EMA sta analizzando e approvando per l'uso un numero sempre più ampio di questi farmaci speciali. L'EMA in collaborazione con la Commissione Europea e l'autorità europea di regolazione e accesso collaborano grazie ad un innovativo piano di azione coordinato per incentivare lo sviluppo delle nanotecnologie in campo farmacologico e garantire l'accesso delle cure ai pazienti. Dal 2009 l'EMA ha stabilito un comitato specializzato per le terapie avanzate (comitee for advanced therapy CAT) è importante anche perché armonizziamo la nostra esperienza con quella USA e siamo in comunicazione con il Giappone.

Andrea Chiesi (**capo di R&D management portfolio del gruppo Chiesi**) punta l'attenzione sulla necessità di far arrivare medicinali e cure specializzate ai pazienti, sottolinea come dal 2008 soltanto l'uso di 8 ATMPs (prodotti medicinali di terapie avanzate) sono stati autorizzati, quattro dei quali sono stati ritirati dal mercato per ragioni "commerciali". Nonostante il quadro unificato europeo che certifica l'utilizzo nel mercato, tramite apposita autorizzazione dei farmaci ATMPs, esistono variazioni di legislazione a livello nazionale che toccano punti cruciali per la diffusione delle ATMPs come i trial clinici e l'accesso al mercato: questa segmentazione legislativa è stata deleteria per i pazienti europei e rappresenta la sfida più grande da affrontare per il futuro della produzione di farmaci altamente tecnologici in Europa e per questo (per evitare che le aziende produttrici migrino) i produttori hanno bisogno di avere a che fare con una regolamentazione più dettagliata, univoca e trasparente.

Bernard Mulligan (**DG strumenti innovativi, tecnologie nella ricerca medica, direttore generale per la ricerca e l'innovazione della Commissione Europea**) la crescita rapida delle terapie genomiche, l'ingegneria dei tessuti e la medicina rigenerativa offre grande speranza per le nuove terapie per le malattie incurabili e potenzialmente una riduzione dei costi dei trattamenti. Mulligan sottolinea l'impegno europeo per sostenere la ricerca in campo biomedico e ricorda come con il programma di ricerca Horizon si è provveduto a quattro call consecutive per progetti innovativi in campo medico e il risultato è di 23 progetti finanziati per un totale contributo EU di 133 milioni di euro. Uno degli studi innovativi più importanti è quello nel campo delle cellule staminali, l'Europa è leader in questo settore e bisogna sostenere la ricerca in questo campo o per mantenerla in vantaggio ed evitare che venga superata dalla Cina o dagli USA.

Yan Le Cam (**Capo Esecutivo di EURORDIS – malattie rare in Europa**)

Terapie avanzate come le terapie genomiche, cellulari e somatiche rappresentano un'opportunità incredibile per le persone che convivono con le malattie rare, queste nuove cure possono davvero migliorare la vita dei malati (80% delle malattie rare sono di origine genetica). La scienza sta progredendo in maniera impressionante ma ci sono alcune sfide da superare per arrivare ad un accesso equo alle terapie innovative; non si tratta solo del prezzo dei farmaci ma anche di "impedimenti logistici" per un accesso

pieno delle terapie che arrivano anche da fuori EU. Le Cam sottolinea come dobbiamo affrontare immediatamente gli ostacoli che impediscono l'utilizzo di terapie extra EU per persone con malattie genetiche rare. E' un obbligo morale per tutti gli attori coinvolti garantire un futuro a prova di accesso ai trattamenti curativi per tutti i malati; gli strumenti non mancano, è necessario che la politica li faccia funzionare nella maniera corretta. C'è la evidente necessità di trial flessibili e statistiche avanzate per abbattere il costo dei test; le case farmaceutiche, almeno durante l'introduzione della terapia, devono abbassare i costi. La proposta che portiamo qui è quella di un fondo europeo per i trial, non in tutti 28 paesi possono permettersi le nuove cure, sono necessari metodi solidali per aiutare i malati ovunque in EU.

## **PANEL 2**

Introduce Susanne Bremer-Hoffmann (**Dipartimento per la salute, i consumatori e i materiali di JRC**) É necessario un linguaggio comune per armonizzare questo campo di indagine nuovo

### **Interventi in aula:**

Patrick Hunziker (**Presidente della società internazionale di Nanomedicina**) sottolinea come la più grande limitazione nella medicina di oggi sia la mancanza di precisione nel targettizzare i pazienti, gli organi e le cellule malate. Hunziker discute dei maggiori ostacoli che impediscono alle nuove idee di muoversi dalla ricerca accademica alla produzione industriale e infine all'applicazione clinica. Capire i bisogni clinici è necessario per lo sviluppo delle cure e ad uno sviluppo della società. Personalizzare e individualizzare le terapie ovviamente questo più costoso, la nanomedicina é lo sforzo di capire cosa non funziona nel corpo e curarlo in maniera puntuale, i cinesi hanno capito l'importanza della nanomedicina e la sua importanza nel futuro hanno gli studenti e le risorse per fare molto processi.

Beat Loeffler (**responsabile esecutivo di CLINAM – Fondazione europea per la nanomedicina clinica**) parla diffusamente della crescita dell'uso della nanomedicina nella vita di tutti i giorni, di come la crescita dello sviluppo della nanomedicina appaia lenta rispetto alle aspettative e dei passi da gigante che la ricerca sta facendo in questo campo anche grazie agli aiuti EU allo sviluppo.