



► 30 giugno 2018

RICERCA MEDICA

Lotta al cancro, ok dell'Ema a una terapia rivoluzionaria

Italia protagonista della ricerca sulle terapie oncologiche innovative, con un importante contributo allo sviluppo di una terapia cellulare che utilizza il sistema immunitario umano nella lotta contro il cancro, approvata ieri dall'Agenzia europea per i medicinali (Ema). — a pagina 8

Salute

Da Novartis nuova terapia cellulare testata in Italia

Approvata la terapia Car-T testata a Monza e Milano: modifica le cellule del sistema immunitario del paziente rendendole capaci di attaccare il cancro
Rosanna Magnano

— a pagina 8

Terapia innovativa Novartis anti-cancro In Italia le sperimentazioni cliniche

RICERCA MEDICA

Primo ok dell'Agenzia europea per i medicinali alla cura cellulare «Car-T»

Test a Monza e Milano
I costi oscillano tra 373mila e 475mila dollari negli Usa

Rosanna Magnano

Italia protagonista della ricerca sulle terapie oncologiche innovative. Accademia e strutture d'eccellenza nazionali hanno infatti dato un importante contributo allo sviluppo di una terapia cellulare che utilizza il sistema immunitario umano nella lotta contro il cancro, approvata ieri dal Comitato per i medicinali per uso umano (Chmp) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (Ema).

Si tratta della «Car-T» - definita il



“farmaco vivente” – prodotta dalla multinazionale svizzera Novartis (nome commerciale Kymriah). Dopo il via libera del Comitato, l’Ema lo dovrebbe approvare nel giro di pochi mesi e con l’ok della Commissione europea potrà essere commercializzato nell’Ue. Successivamente, l’Agenzia italiana del farmaco Aifa lo potrà autorizzare in Italia, con tempi prevedibilmente brevi, a carico del Servizio sanitario nazionale.

La terapia «Car-T» che ieri ha tagliato il traguardo Ue è stata testata con il contributo di due studi clinici made in Italy: su una tipologia di linfoma all’Istituto nazionale tumori di Milano e con la sperimentazione su pazienti pediatrici condotta presso l’Ospedale San Gerardo dalla Fondazione Monza e Brianza per il Bambino e la sua Mamma (Mbbm): «Si tratta di una nuova strategia terapeutica - spiega Andrea Biondi, direttore Clinica pediatrica dell’Università di Milano Bicocca, Fondazione Mbbm - più che di un medicinale. Perché qui si parla di preparare un farmaco contro la malattia a partire dalle cellule del paziente stesso. Strategia che è assolutamente innovativa e straordinaria perché per la prima volta abbiamo evidenza che il sistema immunitario, geneticamente manipolato, può rappresentare un’arma contro il tumore. Monza è l’unico centro in Italia che ha arruolato bambini nel trial registrativo di Novartis e ha tuttora in cura quattro bambini, adolescenti e giovani adulti che accederanno al trattamento nell’ambito del protocollo di studio».

La «Car-T» è l’esempio di medicina personalizzata per eccellenza. Con un processo produttivo altamente complesso e circolare, che inizia dalle cellule del paziente e termina con la loro infusione nel paziente stesso: i globuli bianchi del malato, inclusi i linfociti T, vengono estratti attraverso uno speciale processo di filtrazione del sangue, congelati e inviati nello stabilimento di produzione di

Morris Plains, nel New Jersey. Dove vengono riprogrammati con un recettore antigenico chimerico (Car) perché riconoscano le cellule tumorali e le distruggano. Le cellule «Car-T» così create vengono fatte crescere, moltiplicate e confezionate. A questo punto saranno rispedite al centro di trattamento e infuse nel sangue del paziente.

Le indicazioni per le quali il Comitato Ema ha raccomandato l’approvazione sono due: il linfoma diffuso a grandi cellule B, la forma più comune di linfoma non-Hodgkin, un tumore molto aggressivo che colpisce adulti e anziani (e lascia un’aspettativa di vita di pochi mesi) e la leucemia linfoblastica acuta, il tumore pediatrico più frequente nel bambino e nell’adolescente fino a 18 anni, che in Italia colpisce circa 450 individui ogni anno. «Oggi - continua Biondi - si può affermare che, con un grading legato all’età, circa l’80% di questa popolazione guarisce con le chemioterapie e quando si ripresenta la malattia, con il trapianto di midollo». Resta però un 20% di bambini e ragazzi che non rispondono a nessuna delle terapie standard. E proprio a questi pazienti potrebbe essere destinata la nuova terapia «Car-T». «È come se avessimo un’arma in più - conclude Biondi - che rappresenta una speranza per una piccola quota di bambini e adolescenti. Bisogna però dire che questi sono trattamenti gravati anche di un’importante tossicità, quindi saranno erogati solo in poche strutture e sottoposti a un’attenta vigilanza post marketing. Per la complessità del trattamento e per le complicazioni».

La ricerca italiana sulla terapia cellulare «Car-T» è un modello di alleanza pubblico-privato. «Siamo orgogliosi di aver ricevuto l’opinione positiva del Chmp di Ema sulla terapia Car-T tisagenlecleucel (Kymriah), sviluppata da Novartis in partnership con la Penn University», dichiara Luigi Boano, Oncology General Manager Novartis Italia (fatturato 1,6 miliardi,

2.300 dipendenti e 224 studi clinici con il coinvolgimento di oltre 10.000 pazienti). «L'Italia ha dato un suo contributo importante nella fase dello sviluppo clinico – conclude Boano - e continuerà ad avere un ruolo di primo piano nella ricerca di future applicazioni in campo ematologico».

L'arrivo di questi trattamenti innovativi – sul mercato Usa dall'agosto 2017 – porrà una questione di sostenibilità della spesa per il Servizio sanitario nazionale. Sebbene il sistema americano sia completamente diverso e le trattative sulla rimborsabilità del farmaco in Italia debbano ancora definirsi, per l'indicazione pediatrica il prezzo corrente negli Stati Uniti è di 475mila dollari a trattamento. Ma va tenuto conto che è stato adottato un sistema di *payment by results*, che prevede il pagamento solo nel caso in cui le terapie funzionano. Per il linfoma dell'adulto il prezzo Usa è di 373mila dollari.

© RIPRODUZIONE RISERVATA





► 30 giugno 2018

