



In arrivo in Europa la prima terapia rivoluzionaria Car-T contro leucemia e linfoma



-
-
-
-
-
-

È pronta a sbarcare in Europa **una nuova terapia cellulare che utilizza il sistema immunitario umano nella lotta contro il cancro**. Si tratta della “Car-T” - definita il “farmaco vivente” – prodotta dalla multinazionale svizzera Novartis e approvata oggi dal Comitato per i Medicinali per Uso Umano (Chmp) dell’Agenzia Europea per i Medicinali (EMA). Una terapia che potrebbe rivoluzionare l’oncologia, a cui ha dato un grande contributo la ricerca italiana, con due trial: 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».

GUARDA IL VIDEO: Da esperti Usa 10 raccomandazioni per prevenire il cancro

Il viaggio del linfocita ingegnerizzato

La Car-T è l’esempio di **medicina personalizzata per eccellenza**. A differenza delle terapie tradizionali, ogni dose viene prodotta “su misura” per ogni singolo paziente, usando le sue stesse

cellule ematiche. Il processo di produzione è sofisticato e complesso. **I globuli bianchi del paziente, inclusi i linfociti T, vengono estratti e inviati nello stabilimento di produzione Novartis di Morris Plains, nel New Jersey, dove vengono geneticamente riprogrammati con un recettore antigenico chimerico (Car) perché riconoscano le cellule tumorali e le distruggano.** A questo punto le cellule del paziente ingegnerizzate saranno rispedito al Centro di trattamento e infuse nel sangue del paziente.

Da esperti Usa le 10 raccomandazioni per prevenire cancro

L'impatto della cura in Italia

Le indicazioni per le quali **il Comitato Ema ha raccomandato l'approvazione** - l'Ema lo dovrebbe approvare nel giro di pochi mesi e dopo l'ok della Commissione europea potrà essere commercializzato nell'Ue e successivamente l'Agenzia italiana del farmaco Aifa lo potrà autorizzare in Italia - 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 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 si può affermare che, con un grading legato all'età – continua Biondi - **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 casi 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. Quando un paziente inizia questa terapia, nella prima settimana può avere bisogno di essere trasferito in una rianimazione. Per gli effetti che la reazione immunologica induce nell'organismo».

Boano (Novartis): «L'Italia ha dato un contributo importante»

La ricerca italiana sulla terapia cellulare Car-T è un **modello di partnership pubblico-privato**. «Siamo orgogliosi di aver ricevuto l'opinione positiva del Chmp di Ema all'autorizzazione all'immissione in commercio in Europa della 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 mld, 2.300 dipendenti e 224 studi clinici con il coinvolgimento di oltre 10.000 pazienti)**. «Si tratta di un passaggio fondamentale, in attesa della ratifica ufficiale da parte di Ema».

«La ricerca e lo sviluppo di tisagenlecleucel – continua Boano - è un **esempio virtuoso di collaborazione tra pubblico e privato, tra università e azienda**, e fin dall'inizio è stata una sfida appassionante. L'Italia ha dato un suo contributo importante nella fase dello sviluppo clinico, e continuerà ad avere un ruolo di primo piano nella ricerca di future applicazioni in campo ematologico».

«**Come Novartis ci stiamo impegnando con profondo senso di responsabilità** e motivazione – conclude il manager - affinché questa terapia innovativa sia presto disponibile per i pazienti che ne possono beneficiare. Stiamo pertanto collaborando con le Istituzioni, le Associazioni Pazienti e i Clinici, con l'obiettivo di individuare le migliori condizioni per l'accesso sostenibile a questa importante terapia».

Il nodo sostenibilità

L'arrivo di questi trattamenti innovativi – già 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 essere definite, 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

Argomenti:

- Chmp
- Fondazione Mbbm
- Comitato Ema
- Novartis

0 commenti

Partecipa alla discussione

- Annulla
- Disclaimer
- Pubblica
- 0 Commenti
- |
- Aggiorna
- Vedi tutti i commenti

Carica altri commenti