

COMUNICATO STAMPA

Farmaceutica, innovare vuol dire diffondere

Al convegno "Il Valore dell'innovazione Farmaceutica" promosso dall'Osservatorio Sanità e Salute l'imperativo di investire in nuovi dispositivi medici.

Nuovi farmaci implicano nuovi costi. E a spese sempre più esuberanti dai limiti di bilancio fanno seguito impegni economici più ingenti che comportano alti costi. Ciò rischia di rendere inaccessibili alcune cure per una fascia sociale con minori disponibilità, una volta messo sul mercato il nuovo dispositivo medico. L'intervento della mano pubblica garantisce l'accesso delle cure a tutti. La necessità avvertita, oggi, guarda quindi ai costi per le nuove terapie: debbono remunerare gli investimenti finalizzati all'innovazione.

Si pone quindi una fase di valutazione delle tecnologie sanitarie impiegate. È l'Health Technology Assessment lo strumento per individuare politiche sanitarie sicure.

Se n'è discusso al convegno promosso dall'Osservatorio Sanità e Salute il pomeriggio del 16 febbraio a Roma, al Tempio di Vibia Sabina e Adriano in Piazza di Pietra.

Tra presenti **Patrizia Popoli**, Direttore del Centro Nazionale per la Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità, evidenzia la centralità dei concetti di "innovazione" e di "accesso" perché "senza disponibilità del farmaco non c'è innovazione".

Giovanni Leonardi, Segretario Generale del Ministero della Salute, espone il lavoro già inoltrato per creare un albo di imprese che hanno un'attenzione più spiccata alla ricerca e all'innovazione. Ma ci sono anche altri esempi per avvicinare la ricerca al mondo imprenditoriale sui quali lavora il Ministero della Salute.

La Senatrice della commissione Sanità, **Elisa Pirro**, ha osservato quanto il gap tra velocità dell'innovazione e lentezza delle scelte si sia attenuato per la pandemia ma quanto il divario sia ancora grande.

La conduttrice, **Laura Berti** di Rai 2, sottolinea l'importanza della prevenzione negli indirizzi della ricerca. Argomento sul quale il relatore che introduce, Stefano Vella, evidenzia come la questione sarà centrale nel nostro Welfare.

E tra gli interventi centrali, **Massimo Di Maio**, oncologo e docente dell'Università degli Studi di Torino, riporta una miriade di innovazioni prossime a diventare operative nella cura al cancro. "Cambia la ricerca chimica" - sottolinea l'oncologo - "c'è stata una riduzione nella mortalità per tumore al polmone", con attenzione alla sconfitta della malattia alla fase iniziale.

Sull'argomento obbligato dell'immunoterapia interviene **Alessio Cortellini**, docente di Imperial College London e Università Campus Bio-Medico di Roma. Illustrando le terapie per combattere le cellule cancerose che si nascondono non facendosi riconoscere dal

sistema immunitario, mostra il circuito virtuoso dei nuovi sistemi di cura. Illustra diversi livelli di grande innovazione inimmaginabili appena cinque-sei anni fa.

L'aspettativa di vita è aumentata negli ultimi cento anni ma sempre più fortemente negli ultimi trenta. Un grande ruolo è rappresentato dalle malattie infettive e dai vaccini. Sono le premesse con le quali **Paolo Bonanni** presenta la centralità del problema dei patogeni. Il docente dell'Università degli Studi di Firenze insiste sul fatto che "abbiamo fatto vaccini sempre più ispirati alle necessità infettive". La tecnologia dell'Rna messaggero ci ha consentito di arrivare a un tipo di vaccino molto innovativo perché fornisce l'informazione ancor meglio di sollecitare l'anticorpo. La next generation dell'affermazione dei vaccini vede gli Rna che si moltiplicano. La vaccinazione avrà un ruolo fondamentale nelle cure di questo secolo.

Sui vaccini per il Covid si è dimostrato, dati alla mano, che sono stati di una sicurezza mostruosa. Ma un ruolo ancora importante lo svolgono gli anticorpi monoclonali.

Stefano Vella, docente dell'Università degli Studi di Roma Tor Vergata, interviene sull'argomento contro le malattie infettive. Se ci si chiede il senso della loro attualità, vista la grande affermazione dei vaccini, si deve guardare al loro essere "mono", quindi direttamente finalizzati e funzionali. Abbiamo però visto col Covid come la trasformazione del virus renda inutile quell'anticorpo finalizzato contro il virus antecedente. I monoclonali per l'HIV, invece, hanno dimostrato di essere preventivi.

Sulla terapia genica fondamentale per le malattie rare interviene **Maurizio Scarpa**, medico dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria "Santa Maria della Misericordia" di Udine. Sulle malattie rare è fondamentale arrivare a una diagnosi per tempo. La terapia deve essere fortemente personalizzata. Cercare di raccogliere i dati per essere inseriti in server affinché facciano scuola per altri casi. Con la tecnologia dell'intelligenza artificiale i dati sono sempre più analizzabili e riscontrabili in altri dati effettivi. Simulare la malattia, quindi anche la terapia - è il nuovo fronte della ricerca. Creare dei farmaci con una customizzazione derivata dall'ingresso di questa tecnologia. Non studiamo solo il sintomo ma tutto quello che c'è attorno. Soltanto attraverso dei network molto importanti è possibile tutto questo.

Sulla Sla e sulla terapia genica interviene **Marika Pane** dell'Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma. Si sono estesi i tempi di progressione delle malattie affinché le complicazioni arrivino sempre più tardi. Dalla normalità del decesso del bambino, fino a trenta anni fa, riusciamo ad accompagnare il ragazzo oltre l'università fino al primo lavoro.

Oltre i vaccini e la terapia genica ci sono cambiamenti e innovazioni nella ricerca. Ne parla **Gennaro Daniele** della Fondazione Policlinico Gemelli di Roma. I risultati brillanti a cui si è arrivato sono stati possibili grazie alla ricerca della popolazione giusta a cui somministrare la farmacologia innovativa. C'è bisogno di trial grandi per capire le differenze caso a caso per le identiche tipologie di pazienti. Fa l'esempio di un marcatore trovato per una tipologia di tumore che ha consentito la remissione della malattia al cento per cento dei casi. Chiaramente non è tutto oro ciò che luccica e il cancro resta una malattia con molte insidie. Ai nuovi trial si sostituiscono con altre categorie complessive di patologie che implicano fenomeni concomitanti. Il tumore dove nasce dipende dal meccanismo da cui è generato ed è per questo che viene individuato coi bio-marker. La

difficoltà che stiamo affrontando consiste nel riconoscimento di "sottopopolazioni trial" quindi sempre più necessità di lavorare insieme.

Guido Rasi dell'Università degli Studi di Roma Tor Vergata, fissa il concetto fondamentale di come oggi si debba adattarci alle regole attuali. Introduce quindi al concetto di Evoluzione regolatoria.

Pensare al fatto che il gap conoscitivo presente al momento dell'approvazione debba essere sanato nel momento in cui ha trovato approvazione. Avere ben chiaro quindi come sarà colmato quel gap. Lo stesso concetto di farmaci sta per essere superato. Convergenze di tecnologie e misure hanno bisogno di convergenze delle regolazioni.

Ma a questo punto si pone anche il problema di misurare il valore dei farmaci. Bisogno terapeutico, impatto sulla dignità, sono tra le categorie con le quali si deve riuscire a dare un prezzo al farmaco. Nel suo intervento **Entela Xoxi**, dell'Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma, si collega anche alla scoperta di nuovi bio-marker. E il concetto di valore, determinante nel concetto di prezzo, deve coniugare la risposta sociale al tipo di malattia e la sua capacità risolutiva con i costi materiali che sono stati necessari per arrivare alla sua produzione.

Ma sussiste anche la valutazione dell'innovazione rappresentata dal nuovo farmaco su cui si sofferma **Francesco Saverio Mennini** dell'Università degli Studi di Roma Tor Vergata. L'analisi sociale di rispondenza alla domanda specifica di sanità è costitutivo del prezzo che non è legato ai costi industriali per la produzione. Lo strumento per comprendere è l'HTA (Health Technology Assessment). L'HTA serve a velocizzare sull'accesso dei pazienti ai dispositivi medici. Misurare tutto il percorso di cura e valutare il livello dell'innovazione. Ma seguendo l'insegnamento di Marshall guardare al ritorno dell'investimento non solo alla solvibilità del sistema di erogazione pubblica delle risorse. Risorse sono state messe a disposizione. Ma con l'opportunità del PNRR dovremo aggiornare anche il fondo sanitario.

Da Cittadinanza Attiva **Valeria Fava** guarda alla centralità dell'accessibilità del farmaco e alla facilità all'informazione. Molti medici dichiarano di non aver potuto avere accesso a farmaci innovativi. In tal senso si rileva un'Italia divisa non solo da nord e sud ma a macchie di leopardo.

Sul ruolo delle associazioni dei pazienti, **Antonella Celano** - Associazione nazionale pazienti con malattie reumatologiche rare - insiste sulla mancanza, sul pericolo del venire meno, piuttosto che sulla produzione e ideazione. C'è poi il problema degli effetti, desiderati e indesiderati. L'innovazione farmaceutica, quindi, deve essere apprezzata con la capacità di arrivare al paziente senza del quale la più grande innovazione è assolutamente inutile per l'utente finale.