



**SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACIA
OSPEDALIERA E DEI SERVIZI FARMACEUTICI
DELLE AZIENDE SANITARIE**

SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACIA OSPEDALIERA

SIFO

Comunicato stampa. 10

**MEDICINA RIGENERATIVA, TERAPIE
AVANZATE E MALATTIE RARE**

**SIFO: “DA MEDICINALI BIOLOGICI ‘AD PERSONAM’
GRANDI OPPORTUNITÀ DI CURA, MA È
NECESSARIO REPERIRE RISORSE”**

**NEI PROSSIMI ANNI IN ARRIVO 20 NUOVI FARMACI CON
ELEVATO POTENZIALE TERAPEUTICO**

XLII CONGRESSO SIFO

14-17 OTTOBRE 2021

www.sifoweb.it

ROMA 16 ottobre - Le ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products) rappresentano la prossima frontiera della medicina. Nei prossimi anni, infatti, il mercato delle terapie innovative vedrà l'arrivo di circa 20 nuovi farmaci che presentano un elevato potenziale terapeutico. Classificate come farmaci per uso umano, a base di geni o cellule, le ATMP sono medicinali biologici che vengono classificati in quattro gruppi: medicinali di terapia genica, medicinali di terapia cellulare somatica, medicinali di ingegneria tissutale, medicinali per terapie avanzate combinate. Tali terapie offrono nuove e innovative opportunità per il trattamento di tumori, leucemie, linfomi e patologie rare che per le quali gli approcci convenzionali si sono dimostrati inadeguati, grazie alla loro capacità di modificare opportunamente e in maniera personalizzata determinate cellule.

Le terapie avanzate sono però ad alto costo e nei prossimi anni, per garantire un

equo accesso alle cure, il Servizio Sanitario Nazionale si troverà di fronte ad uno scenario complesso da gestire. Per affrontare questo passaggio critico, intanto, nei mesi scorsi i farmacisti ospedalieri della **Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie-SIFO** hanno presentato un progetto per l'istituzione del servizio di valutazione dell'appropriatezza prescrittiva. Si tratta di una proposta che prevede l'avvio di board regionali (ma connessi in una rete nazionale a stretto contatto con le agenzie e le istituzioni centrali) capaci di valutare appropriatezza ed impatto delle nuove terapie ad alto costo. Se n'è parlato nel corso della sessione dal titolo 'Medicina rigenerativa, terapie avanzate e malattie rare', che si è svolta in occasione del XLII Congresso Nazionale SIFO, in programma a Roma.

“Le terapie avanzate innovative, intese per esempio come Car-T, terapie geniche e terapie cellulari, sono già disponibili da un paio di anni per il trattamento di alcune patologie e malattie rare che coprono vari ambiti - ha detto **Marcello Pani, segretario nazionale SIFO** - dall'ematologia, alla SMA fino all'oculistica. Queste terapie costituiscono una innovazione sotto tanti punti di vista, innanzitutto perché non sono farmaci né di sintesi chimica né di sintesi biologica, come siamo abituati a conoscere, ma di medicinali prodotti con ingegneria genetica, come nel caso delle Car-T, costruiti sul paziente, quindi 'ad personam'. Si tratta di terapie molto promettenti che vanno in alcuni casi a risolvere la causa genetica per la quale la malattia si è manifestata, ma questi farmaci sono molto costosi, quindi si pone anche una questione etica sugli investimenti da fare”.

Finora, grazie alle importanti risorse economiche messe a disposizione per il cosiddetto 'fondo degli innovativi', si è riusciti a trattare alcuni pazienti con le terapie avanzate, sempre più numerose all'orizzonte. “Ci sono decine di farmaci già in sperimentazione clinica e decine di aziende che stanno già sviluppando la ricerca in questo ambito- ha fatto sapere infine Pani- E se da un lato questo fa ben sperare che presto avremo a disposizione terapie per trattare malattie rare per le quali non esiste finora nessun trattamento di efficacia, ma solo terapie di sostegno, dall'altro c'è la forte necessità di reperire risorse”.

Diversi sono stati i referenti di sessione intervenuti sul tema, tra cui il professor Franco Locatelli, direttore del dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica dell'ospedale Bambino Gesù di Roma, tra i pionieri a livello mondiale sulla terapia Car-T; la dottoressa Marika Pane, responsabile del Centro Nemo Pediatrico del Policlinico Gemelli, la prima ad utilizzare una terapia su un neonato con una diagnosi di atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 1; il dottor Stanislao Rizzo, professore ordinario di Oftalmologia all'Università Cattolica del Sacro Cuore e direttore UOC di Oculistica Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, con esperienza in terapia genica per le malattie ereditarie della retina.

UFFICIO STAMPA E COMUNICAZIONE SIFO

Walter Gatti
349.5480909

Carlotta Di Santo
392.5335829