

## LA RIVOLUZIONE DELLE TERAPIE INNOVATIVE

*Percorso di empowerment per leader di organizzazioni civiche e di pazienti*

*22 febbraio e 16 marzo 2022, h 16.30-19.00*

### Premessa

Negli ultimi decenni, gli sviluppi conseguiti dalla biologia molecolare e cellulare e i progressi raggiunti nello studio del DNA hanno radicalmente mutato in ambito biomedico gli approcci di cura per diversi tipi di patologie. Lo sviluppo delle terapie avanzate (ATMP) presenta nuove opportunità per il trattamento o la prevenzione di diverse malattie (tra cui malattie genetiche, oncologiche o malattie a lunga prognosi), o per ristabilire, correggere o modificare funzioni fisiologiche o patologiche compromesse negli esseri umani, anche con la correzione di mutazioni acquisite su base genetica.

Si prevede che il prossimo decennio vedrà un aumento significativo delle terapie avanzate. Entro il 2030 potrebbero essere lanciate fino a 60 nuove terapie geniche e cellulari a livello globale, curando complessivamente circa 350.000 pazienti.

Con le terapie avanzate, mutano i principali paradigmi su cui si basano da anni la sperimentazione, lo sviluppo, la produzione e l'approvazione dei farmaci tradizionali. Occorre dunque affrontare criticità che sorgono in tutto il percorso di sviluppo di questi farmaci: la discovery, l'ingegnerizzazione del prodotto, il disegno di sperimentazioni innovative in fase preclinica e clinica, gli impianti di manufacturing – nella loro gestione e scale up – e i controlli finali sul prodotto da immettere sul mercato, così come le autorizzazioni regolatorie, le procedure di accesso, la selezione dei centri che potranno somministrare queste terapie ed infine la determinazione del pricing ed il loro finanziamento. In altre parole, queste terapie impongono un ripensamento di tutto il sistema salute.

Tra i fattori potenzialmente d'ostacolo all'entrata nel mercato dei medicinali per terapie avanzate, un cenno particolare meritano i sistemi di valutazione da parte delle Agenzie Regolatorie che sono attualmente riconducibili a quelli dei farmaci tradizionali. Manca ancora, infatti, un quadro regolatorio di riferimento differenziato per questo tipo di terapie.

Un secondo problema è rappresentato dalla percezione diffusa che queste terapie siano costose, causando una minore disponibilità da parte dei sistemi sanitari dei singoli Paesi a sostenerne il costo, comportando inevitabilmente un ritardo nell'accesso alla terapia da parte dei pazienti o una restrizione della rimborsabilità a sottogruppi di pazienti all'interno dell'indicazione approvata.



La valutazione delle nuove tecnologie è un processo molto complesso e l'insufficienza degli schemi tradizionali di rimborso e budget per la copertura dei costi dei nuovi farmaci mette a rischio la disponibilità stessa delle nuove terapie per i pazienti in Italia.

Cittadinanzattiva promuove tra febbraio e marzo 2022 un percorso di formazione, rivolto ad un gruppo di leader di associazioni di pazienti e organizzazioni civiche impegnate nelle politiche con un duplice obiettivo:

- Favorire tra i cittadini una più ampia e diffusa conoscenza e una corretta informazione sulle innovazioni terapeutiche che stanno rivoluzionando la medicina e l'impatto sulla vita e la qualità della vita delle persone;
- Aumentare la capacità di advocacy degli attori civici, con particolare attenzione alle questioni della governance, della sostenibilità e dell'accesso delle terapie avanzate e con un focus sul tipo di investimenti che con il PNRR si potrebbero prospettare in materia.

### **A chi è rivolto**

Il percorso è rivolto a 40 leader civici individuati tra:

- Responsabili delle associazioni aderenti al CNAMC – Coordinamento nazionale delle associazioni di malati cronici
- Segretari regionali di CA
- Responsabili regionali delle politiche per la salute di CA.
- Project manager della sede nazionale di Cittadinanzattiva



## LA RIVOLUZIONE DELLE TERAPIE INNOVATIVE

*Percorso di empowerment per leader di organizzazioni civiche e di pazienti  
22 febbraio e 16 marzo 2022, h 16.30-19.00*

### Programma

#### Martedì 22 febbraio 2022

h 16.30-16:40

##### Introduzione ai lavori

A cura di Tiziana NICOLETTI, Responsabile Coordinamento Nazionale delle Associazioni dei Malati Cronici e rari (CNAMC)

h 16:40 - 17.20

##### La rivoluzione delle terapie innovative: cosa sono, come agiscono, quali i vantaggi per i pazienti

prof. Giuseppe CURIGLIANO, MD PhD, Medico Direttore Struttura Complessa - Divisione Sviluppo Nuovi Farmaci per Terapie Innovative; Condirettore Programma Nuovi Farmaci - Dipartimento di Oncologia ed Emato-Oncologia, Università di Milano - Istituto Europeo di Oncologia (IEO) dott. Francesco MACCHIA, Coordinatore Osservatorio Terapie Avanzate

h 17.20 - 17.35

##### Q&A

h 17.35 - 18.00

##### Le terapie avanzate: quali prospettive per i prossimi dieci anni

dott. Francesco MACCHIA, Coordinatore Osservatorio Terapie Avanzate

18.00 - 18.15

##### Q&A

h 18.15 - 18.50

##### La parola ai pazienti. Testimonianze di:

Massimo LIGUSTRO, Presidente Comitato Macula, Associazione italiana di pazienti affetti da maculopatie o retinopatie

Massimo OLDRINI, Presidente Fondazione LILA, Lega Italiana per la lotta contro l'AIDS

h 18.50 - 19.00

##### Conclusione dei lavori



**Mercoledì 16 marzo 2022**

h 16.30 - 16.40

**Introduzione ai lavori**

A cura di Valeria FAVA, Responsabile del Coordinamento delle Politiche della Salute

h 16.40 - 17.20

**Il ruolo dell'Ente regolatore nel processo di sviluppo, approvazione e accesso delle terapie avanzate.  
Risorse e sistemi di rimborso delle ATMP (Advanced Therapy Medicinal Product)**

Prof. Andrea GRIGNOLIO, ricercatore Associato presso l'ITB-CNR, Sezione di Bioetica, Biodiritto, Biopolitica e Integrità della Ricerca di Roma e Docente di Medical Humanities e Bioetica all'Università Vita-Salute, S. Raffaele di Milano

h 17.20 - 17.30

**Q&A**

h 17.30 - 18.20

**Terapie avanzate e diritti dei cittadini e dei pazienti: le principali sfide  
Le fonti di informazioni utile per le attività di tutela**

A cura di Cittadinanzattiva

h 18.20 - 18.45

**PNRR e terapie avanzate: quali prospettive di investimento**

Prof. Francesco Saverio MENNINI, Direttore del Centro di Valutazione Economica e HTA (EEHTA)-CEIS, Università di Roma "Tor Vergata"; Presidente SiHTA – Società Italiana di Health Technology Assessment

h 18.45 - 19.00

**Conclusione dei lavori e piste di lavoro**

Con il contributo non condizionato di

