



SINPIA
Società Italiana di Neuropsichiatria
dell'Infanzia e dell'Adolescenza

MONITORAGGIO MEDIA

Martedì 28 giugno 2022



SIFA srl - Via G. Mameli, 11 – 20129 MILANO
+390243990431
help@sifasrl.com - www.sifasrl.com

Sommario

N.	Data	Pag	Testata	Articolo	Argomento	
1	28/06/2022	24	IL SOLE 24 ORE	RARE DISEASES AWARD MALATTIE RARE: APERTE LE CANDIDATURE PER LA II EDIZIONE DEL RARE DISEASES AWARD PER PREMIARE I PROGETTI CHE MIGLIORANO LA QUALITÀ DELLA VITA DELLE PERSONE CON MALATTIE RARE	NEUROLOGIA INFANTILE	4
2	28/06/2022	29	IL SOLE 24 ORE	TERAPIE AVANZATE CONTRO LE MALATTIE RARE	NEUROLOGIA INFANTILE	5
3	28/06/2022	4	IL GIORNALE DEL PIEMONTE E DELLA LIGURIA	VELE ISSATE PER LE MALATTIE RARE	NEUROLOGIA INFANTILE	6

Data: 28.06.2022 Pag.: 24
Size: 31 cm2 AVE: € 4061.00
Tiratura: 91744
Diffusione: 138603
Lettori: 713000



RARE DISEASES AWARD

Malattie rare: aperte le candidature per la II edizione del Rare Diseases Award per premiare i progetti che migliorano la qualità della vita delle persone con malattie rare



LE CANDIDATURE

Il premio si rivolge a startup, imprese, atenei, centri di ricerca, advocacy groups, reti ospedaliere, associazioni: <https://forumdellaepolda.it/rare-diseases-award-2022/>

Ritaglio Stampa ad uso esclusivo del destinatario. Non riproducibile

Data: 28.06.2022 Pag.: 29
 Size: 343 cm2 AVE: € 44933.00
 Tiratura: 91744
 Diffusione: 138603
 Lettori: 713000



790

IMPRESE BIOTECH IN ITALIA

Il numero di imprese attive nelle biotecnologie in Italia è tornato a crescere nel 2021 superando con 790 aziende il livello raggiunto a fine 2019

Terapie avanzate contro le malattie rare

Medicina. Pompilio (Monzino): stiamo assistendo a una crescita esponenziale delle richieste di valutazione per i quattro settori di interesse: le terapie cellulari e geniche, l'ingegneria dei tessuti e la combinazione di questi approcci con dispositivi medici

Federico Mereta

Atmp. Quattro lettere che rappresentano la punta dell'iceberg delle applicazioni biotecnologiche in medicina, in termini di terapia di patologie oggi non curabili. La sigla sta per Advanced Therapy Medicinal Product e definisce un piccolo spicchio di presente ma anche un largo spazio di orizzonte futuro. Con le immancabili sfide da governare, sotto l'aspetto dell'accesso di questi approcci e della sostenibilità economica dei sistemi sanitari.

«Se è vero che le Atmp fino ad oggi hanno avuto un'applicazione circoscritta alle malattie rare, basta pensare alla rivoluzione delle Car-T per capire come da "nicchie" di indicazioni il percorso sia destinato ad ampliarsi: più il futuro si avvicina, più le terapie avanzate, termine che raccoglie diverse strategie di cura, diventano realtà», spiega Giulio Pompilio, direttore scientifico del Centro Cardiologico Monzino Irccs e già membro del Cat (Committee for Advanced Therapies), l'ente che all'interno della Agenzia europea dei medicinali (Ema) ha il compito di valutare queste innovazioni. «Stiamo assistendo - prosegue - a una crescita esponenziale delle richieste di valutazione per i quattro settori di interesse, ovvero le terapie cellulari, geniche, l'ingegneria dei tessuti e la combinazione di questi approcci

negli ultimi anni ad un'accelerazione che nei prossimi dieci anni porterà a richieste di autorizzazione sempre maggiori e soprattutto ad un allargamento delle indicazioni, che andranno oltre le malattie rare di origine genetica».

Nel vocabolario delle cure dei farmaci biologici, insomma, oltre ad anticorpi monoclonali, trattamenti con Rna-messaggero e di interferenza sullo stesso Rna, solo per fare alcuni esempi, sarà sempre più frequente il ricorso a trattamenti di terapia genica e di "riparazione" con la terapia cellulare. Con la terapia genica si punta ad inserire all'interno del genoma il gene "giusto" per sostituire il gene alterato, con una copia trasportata con un vettore di solito virale e in futuro mediante le tecniche di "taglia e cuci" molecolare della catena genetica.

Con l'introduzione di piccole sequenze di Dna si modula l'espressione del "postino" che veicola l'informazione per produrre le proteine - in termine scientifico l'Rna messaggero - consentendo quindi di regolare l'attività del gene in questione o di "spegnerlo" riducendolo al silenzio. Infine, con le terapie cellulari si parte da cellule dello stesso soggetto o di donatori sani - rispettivamente terapia autologa o allogenica - che sono in grado di replicarsi differenziandosi in specifici tessuti per andare a vicariare gruppi di cellule che sono ormai alterati o irreparabilmente degenerati.

«Da un lato avremo un progressivo e inarrestabile sviluppo della tecnologia Car-T, che si applicherà a tumori del sangue in primis ma successivamente anche a tumori solidi - riprende Pompilio -. L'ultima arrivata, è notizia di un mese fa,

è una terapia Car-T per il mieloma multiplo. Oggi sono davvero pochi i pazienti per cui esistono indicazioni per questo trattamento, ma in futuro c'è è facile prevedere un'espansione dell'impiego delle Car-T. Credo anche che arriveranno relativamente presto le terapie correlate all'impiego delle tecniche del "taglia e cuci" genetico».

Il problema, a quel punto sarà soprattutto legato alla possibilità di offrire la cura giusta a chi ne ha bisogno. «Credo che la crescita della ricerca biotecnologica e le conseguenti applicazioni dovrà far ripensare i criteri di rimborsabilità, con formule che già stanno emergendo come quella del pagamento in caso di successo terapeutico o del pagamento dilazionato - conclude Pompilio -. Ma sarà necessario anche creare sistemi di controllo della spesa e dell'appropriatezza di somministrazione per consentire un più largo impiego di queste

terapie rispettando la sostenibilità per i sistemi sanitari. Questa "rivoluzione biotech" imporrà anche un ripensamento organizzativo, che sarà forzatamente differente a seconda della patologia da trattare. Per le patologie rare ed ultra-rare, occorrerà un modello di presa in carico con pochi centri super-specializzati che riescono a sviluppare tecnologia ed expertise sufficiente per trattare i pochi pazienti come già avviene per la terapia genica di alcune patologie. Per le malattie più diffuse, come quelle oncologiche, che potranno essere trattate con le Car-T o con altre terapie a costo elevato, saranno necessarie scelte di fondo con modelli su misura per definire centri di eccellenza che erogino le cure tenendo conto di una opportuna distribuzione territoriale».

In arrivo una terapia Car-T per il mieloma multiplo. La rivoluzione biotech imporrà nuovi modelli organizzativi

con dispositivi medici. Attualmente sono 22 i prodotti autorizzati in Europa, di cui 16 in commercio, ma siamo solo all'inizio e assistiamo

Ritaglio stampa ad uso esclusivo del destinatario. Non riproducibile



DUE IMBARCAZIONI SONO PARTITE DA NAPOLI E ARRIVERANNO A MARSIGLIA

Vele issate per le malattie rare

Presentata ieri a Genova l'iniziativa per sensibilizzare l'opinione pubblica

■ Vele issate per le malattie rare. Ieri, a Genova, è stata presentata l'iniziativa «Issiamo le vele! Vento in poppa per la ricerca #Thinkrare», nata per promuovere la conoscenza, la diagnosi precoce e la ricerca scientifica sulle malattie rare in Italia e in Europa. L'idea è nata dai velisti campani Mario Santini, chirurgo toracico dell'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli, e Rosario Gracco, imprenditore tessile, soci della Delegazione della Lega Navale di Torre Annunziata (NA) presieduta da Antonella Giglio che da subito li ha sostenuti. L'organizzazione logistica delle tappe nautiche, affidata alla Delegazione Lega Navale di Torre Annunziata, è sostenuta dalla Lega Navale Italiana ed è supportata da Motore Sanità per l'organizzazione delle tappe istituzionali lungo il percorso. Partecipano all'iniziativa anche i Coordinamenti Malattie Rare delle Regioni Liguria, Toscana e Lazio, in colla-

borazione con l'Università Vanvitelli e l'Università di Marsiglia. Obiettivo della traversata è favorire occasioni di sensibilizzazione e conoscenza sulle problematiche delle malattie rare anche attraverso la condivisione di buone pratiche e informazioni. Il progetto prevede perciò momenti di confronto e la distribuzione di materiale informativo in ogni tappa. Le due imbarcazioni a vela, condotte in solitario, sono partite dal porto di Torre Annunziata il 6 giugno e arriveranno in Francia, a Marsiglia, dopo circa 20 tappe italiane e 5 tappe francesi. Filippo Ansaldo, direttore generale Alisa Regione Liguria e professore ordinario Dipartimento di Scienze della Salute Università di Genova ha ricordato che «la Liguria ha recepito l'accordo Stato-Regioni del 2007 con un il coordinamento regionale che supporta i professionisti attraverso i dipartimenti interaziendali. Dal settembre 2017 teniamo il registro

presso l'Istituto Superiore della Sanità che mette in evidenza dati importanti: a fronte di 13.000 persone che afferiscono presso il nostro registro, circa il 30% proviene da fuori regione, dimostrando una grande capacità di attrazione soprattutto in fascia pediatrica, grazie al ruolo importante che gioca l'Istituto Giannina Gaslini». «Il viaggio in mare ben si presta a far da metafora del percorso che queste persone e le associazioni che le rappresentano affrontano durante la vita - ha sottolineato Domenica Taruscio, direttrice del Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità - Un viaggio spesso tra le onde, col vento contrario, costellato cioè da difficoltà quotidiane e vere e proprie sfide, che, a volte, però, riescono a superare le tempeste e a sfociare in traguardi importanti, come la recente approvazione del Testo Unico sulle malattie rare e la Risoluzione Onu sui diritti delle persone con malattia rara».