

## Comunicato stampa

### Le nuove frontiere delle Terapie avanzate: presentato oggi in Senato il nuovo “Termometro Parlamentare degli ATMP”

*Uno strumento tecnico-operativo a supporto dei lavori parlamentari per poter istituire misure efficaci volte a rendere l'Italia competitiva anche su questa nuova frontiera*

30 novembre 2023 – È stato presentato oggi in Senato il documento dal titolo **“Termometro Parlamentare degli ATMP” (Advanced Therapy Medicinal Products)**, il report finale di un training istituzionale con focus sulle Terapie avanzate, promosso da **UNIAMO**, Federazione Italiana Malattie Rare Onlus, ospitato dall'**Intergruppo Parlamentare Innovazione Sostenibile in Sanità**, organizzato in collaborazione con **LS CUBE**, grazie al supporto non condizionante di **#VITA** (coalizione di aziende di cui fanno parte: Bristol-Myers-Squibb, Gilead Sciences, Janssen, Novartis, Pfizer, PTC, Roche e Vertex). Tre i momenti formativi di confronto, aperto, costruttivo e operativo, con gli esperti della materia, le associazioni pazienti, le associazioni di categoria e i clinici per una giusta e approfondita informazione su un tema complesso al fine di produrre soluzioni per affrontare la nuova sfida delle terapie avanzate, che impone un nuovo paradigma.

*“Siamo orgogliosi del lavoro svolto - hanno dichiarato al termine della conferenza stampa i **Sen. Francesco Zaffini, Presidente della 10a Commissione Affari sociali, sanità, lavoro pubblico e privato, previdenza sociale e Daniele Manca, Co-Presidenti dell'Intergruppo Parlamentare Innovazione Sostenibile in Sanità** - in cui maggioranza e opposizione in modo unito hanno collaborato per produrre strumenti tecnico-operativi per un'efficace attività parlamentare a beneficio dei pazienti affetti da malattie rare e i loro caregiver, nonché di tutti gli attori del Sistema Sanitario Nazionale e regionale. Abbiamo fortemente voluto l'istituzione di un tavolo interministeriale sulle Terapie avanzate che si è costituito a giugno scorso che, tra i suoi compiti, avrà quello di trattare soluzioni innovative per la sostenibilità delle Terapie avanzate come, sulle quali costruire un innovativo modello finanziario. Abbiamo anche avanzato delle proposte concrete nel corso di questa legge di bilancio volte a superare le criticità legate alla sostenibilità di queste terapie, con la proposta di istituzione di un Fondo dedicato alle Terapie Avanzate con meccanismo di funzionamento molto innovativo, che segna un altro passo importante per garantire un equo e sostenibile accesso a tutti i pazienti eleggibili”.*

Il **“Termometro Parlamentare degli ATMP”** vuole rappresentare uno **strumento tecnico-operativo** a supporto dei parlamentari per poter definire misure efficaci volte a rendere **l'Italia competitiva anche sulle nuove frontiere delle Terapie avanzate**, con l'obiettivo di garantire la disponibilità di tali terapie, intervenendo sulla cornice regolatoria per incentivare **l'attività di ricerca, sviluppo, produzione e commercializzazione** da parte degli enti di ricerca e dell'industria, elaborare **nuovi modelli finanziari** di rimborsabilità, creare le condizioni che garantiscano un **equo e tempestivo accesso agli ATMP** e individuare **percorsi diagnostici rapidi ed efficaci**.

Le **Terapie avanzate** rappresentano una nuova e fondamentale opportunità per il trattamento e la prevenzione degli effetti di una varietà di patologie (le malattie geniche, quelle onco-ematologiche e le malattie a lunga prognosi) o per ristabilire, correggere o modificare funzioni fisiologiche compromesse negli esseri umani, anche con la correzione di mutazioni acquisite su base genetica.

In collaborazione con

Con il contributo non condizionante di

Segreteria organizzativa

Alcune di queste terapie consistono in una tecnologia medica molto complessa nella quale il genoma ricombinato è utilizzato come una sostanza farmaceutica. Intervengono in modo diretto sulle cause della malattia e non sui sintomi, sono in **grado di curare o trasformare radicalmente la storia clinica di un paziente**.

*“In Italia - ha spiegato **Annalisa Scopinaro, Presidente UNIAMO** - i malati rari sono tra i 2 e i 3,5 milioni e per la **diagnosi si può aspettare anche fino a 4 anni**. Oggi e nel prossimo futuro, le terapie avanzate sono una nuova frontiera per la cura di molte patologie rare: si stima che **oltre 350.000 pazienti saranno trattati con queste terapie innovative entro il 2030**. Parliamo di patologie rare e orfane, tra cui anche alcune oncologiche. Per solo circa il 5% di tali patologie, severe e spesso invalidanti, esiste una terapia. **Pertanto, in linea con la missione delle associazioni che rappresentiamo, ci siamo sentiti di giocare un ruolo attivo nel lavorare insieme a tutti gli attori coinvolti nel sistema salute, per elaborare soluzioni concrete e sostenibili che garantiscano ai pazienti l’accesso all’innovazione terapeutica, in alcuni casi l’unica soluzione di cura.**”*

Si tratta di cure ad **alto impatto innovativo** che soddisfano un bisogno clinico insoddisfatto (curano pazienti che non hanno alternative terapeutiche o per i quali le alternative terapeutiche sono continuative nel tempo), e **altamente personalizzate**. Impattano sulla storia clinica delle persone con malattia rara, cambiando radicalmente il suo evolversi, con evidenti **benefici in termini di salute ma anche con ripercussioni sui caregiver e sulla famiglia**, oltre che sul sistema salute in termini di risparmi diretti e indiretti.

*“È fondamentale sostenere l’innovazione e l’eccellenza nel campo delle Terapie avanzate anche nel nostro Paese, considerando che circa un terzo delle terapie geniche autorizzate dall’EMA sono frutto della ricerca italiana. Ma, affinché l’Italia possa mantenere un ruolo di rilievo come generatore di innovazione in questa rivoluzione terapeutica – ha sottolineato **Annamaria De Luca, Professoressa ordinaria di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia Scienze del Farmaco dell’Università degli Studi di Bari “Aldo Moro”** - è necessario continuare ad investire nella ricerca pubblica accademica anche con l’obiettivo di sostenere il trasferimento tecnologico in campo biomedico e farmaceutico con strumenti e competenze appropriate quali la protezione della proprietà intellettuale e gli affari regolatori.”*

*“AGENAS è tra i soggetti istituzionali che partecipa attivamente nella gestione del percorso della terapia e della sostenibilità dello stesso. In proposito - evidenzia **Manuela Tamburo De Bella, Responsabile AGENAS per le Reti Cliniche Ospedaliere e Monitoraggio DM70/15 nonché Coordinatrice dell’Osservatorio per il Monitoraggio delle Reti Oncologiche Regionali** - l’Agenzia ha formulato delle linee guida per delineare i passi necessari nel rivedere il quadro normativo che regola le terapie avanzate in Italia. Tale aggiornamento - conclude la referente AGENAS - è finalizzato sia a promuovere una pianificazione sanitaria sostenibile, sia a migliorare l’accesso dei pazienti a queste cure di fronte alle sfide attuali.”*

*“Da un punto di vista economico – ha concluso **Americo Cicchetti, Direttore Generale della Programmazione Sanitaria del Ministero della Salute** - gli ATMP si caratterizzano per essere terapie con costi d’investimento elevati, ma anche notevoli benefici in termini clinici, terapeutici, sociali ed economici per i sistemi sanitari e la salute dei pazienti, in grado di produrre un evidente disallineamento temporale tra costi effettivi, concentrati nel breve periodo (in quanto intervengono in modo diretto sulla malattia*

In collaborazione con

Con il contributo non condizionante di

Segreteria organizzativa

*e non ne curano i sintomi), e benefici futuri, diffusi su un più lungo orizzonte temporale. Tali caratteristiche le differenziano in modo significativo dai farmaci tradizionali e per questo è importante comprendere se sia possibile immaginare modelli di contabilizzazione della spesa ad essi associata, differente. E' evidente che innovazioni disruptive come le ATMP, impongono una seria riflessione sulle necessità di adattamento dei quadri regolatori, economici e normativi".*

Hanno partecipato all'evento di oggi: **Annalisa Scopinaro**, Presidente UNIAMO; **Annamaria De Luca**, Professoressa di farmacologia presso il Dipartimento di Scienze del Farmaco dell'Università degli Studi di Bari "Aldo Moro"; **Americo Cicchetti**, Direttore Generale della Programmazione Sanitaria del Ministero della Salute; **Manuela Tamburo de Bella**, Responsabile UOS Reti Cliniche Ospedaliere e Monitoraggio DM70/15, Coordinatore dell'Osservatorio per il Monitoraggio Della Reti Oncologiche Regionali, Agenas

Tra i saluti istituzionali: i Senatori **Francesco Zaffini e Daniele Manca e il Sottosegretario Marcello Gemmato**. Hanno partecipato, inoltre, con video interviste i rappresentanti delle **Associazioni di pazienti** (Associazione "La lampada di Aladino ETS", Associazione ligure talassemici, Associazione italiana Adrenoleucodistrofia, paziente SMA).

#### **CONTATTI:**

Sara Amori, Communication&Strategic Projects LS CUBE

Email: [sara.amori@lscube.it](mailto:sara.amori@lscube.it); +39. 335.595163

Ufficio Stampa:

Elena Giacchino 340 2682776 - [elenagiacchino1@gmail.com](mailto:elenagiacchino1@gmail.com)

Silvia Bellucci 346 156163 - [silviabellucci@live.it](mailto:silviabellucci@live.it)

Florentina Ricciarelli 329 2348154 - [florentina.ricciarelli@gmail.com](mailto:florentina.ricciarelli@gmail.com)

In collaborazione con

Con il contributo non condizionante di

Segreteria organizzativa