

Quando un bisogno terapeutico diventa un'opportunità

Dalle alleanze dell'industria con gli enti di ricerca all'innovazione tecnologica per le malattie rare

Cosa induce una azienda del farmaco a lavorare nell'ambito delle malattie rare?

Dalla sua fondazione, oltre trent'anni fa, Gilead si è posta come obiettivo quello di trasformare e semplificare, in tutto il mondo, la cura delle persone che soffrono di patologie molto gravi. Tra queste prendono posto le malattie rare, la cui gravità dipende anche dal fatto di non essere considerate alla pari delle altre malattie come emergenza sanitaria, quando in realtà interessano complessivamente un numero rilevante di persone: in Italia le persone affette da una malattia rara sono circa 2 milioni secondo la rete Orphanet¹. Il bisogno terapeutico per queste patologie è sempre attuale dal momento che i farmaci orfani in commercio sono ancora pochi rispetto alla reale domanda. Questo favorisce le opportunità e l'impegno di aziende farmaceutiche come la nostra. Negli Stati Uniti, i farmaci orfani hanno rappresentato, tra il 2011 e il 2015, il 42 per cento dei nuovi farmaci resi disponibili per i pazienti, quota raddoppiata rispetto al 21 per cento del periodo 1996-2000².

Quali le principali sfide e quali i principali ostacoli per rispondere al bisogno terapeutico delle malattie rare?

Spesso la ricerca e lo sviluppo di un farmaco per il trattamento di una patologia rara incontrano alcuni ostacoli. La ricerca sulle patologie rare si contraddistingue, infatti, per lo scarso numero di pazienti affetti dalla malattia bersaglio. Questo richiede la promozione di studi collaborativi, spesso internazionali, e disegni alternativi di sperimentazione clinica. I tempi e le probabilità di fallimento della ricerca di base e clinica aumentano a causa del carattere clinico delle malattie rare, spesso eterogenee, multi-sistemiche e con una storia diagnostico-clinica in molti casi poco nota. Nonostante ciò, chi investe nello studio delle malattie rare, sia esso un ente pubblico o un'azienda farmaceutica, sa che si possono ottenere conoscenze aggiuntive per la comprensione dei meccanismi biologici alla base di patologie comuni.

Che cosa rende possibile investire nei farmaci orfani che hanno tempi per lo sviluppo molto lunghi e un rischio di fallimento alto?

Quando consideriamo la ricerca sulle malattie rare e applichiamo un'analisi costi-benefici, diventa chiaro che i benefici di questo

tipo di ricerca superano di gran lunga i costi. Negli ultimi anni è, infatti, cambiato il modo in cui si genera innovazione: si è passati da un modello chiuso, in cui ogni azienda o ente sviluppava in autonomia il proprio percorso di ricerca, a un vero e proprio network che vede la collaborazione in partnership delle aziende farmaceutiche con enti di ricerca pubblici o privati, in primis università, Irccs e spin off universitari. Quest'esigenza è dovuta al fatto che oggi è l'innovazione biotecnologica a generare le migliori speranze per il trattamento delle malattie rare che per la maggior parte hanno un'origine genetica. Proprio in quest'ottica, Gilead ha individuato nell'area oncematologica un bisogno medico insoddisfatto e si è posta in prima linea nello sviluppo di terapie antitumorali innovative, che stanno portando nuove speranze ai pazienti con forme aggressive di tumori ematologici. Riteniamo infatti che la terapia cellulare personalizzata abbia il potenziale per rappresentare un'autentica svolta nel trattamento di molti tipi di cancro.

Lavorare nell'ambito delle malattie rare espone le aziende a dover proporre costi molto alti per le terapie. Come governare il rischio di danno di immagine?

A fronte di un notevole investimento economico nel processo ricerca & sviluppo, si stima che i farmaci orfani contribuiranno per il 32 per cento della crescita attesa a valore, su scala globale, dei farmaci etici nel 2022³. Questo è dovuto al fatto che il processo di sviluppo e produzione di farmaci così innovativi, da un punto di vista tecnologico, ricade sul prezzo finale delle terapie. Non dimentichiamo, però, che si tratta di pazienti con nessuna o poche opzioni di trattamento disponibili come nel caso i pazienti recidivati o refrattari che soffrono di forme aggressive di linfomi non Hodgkin a grandi cellule B. La prognosi per questi pazienti è molto scarsa, con una sopravvivenza mediana di soli sei mesi⁴. È in quest'ottica che dovranno essere effettuate le opportune valutazioni da parte dell'Agenzia europea per i medicinali e delle singole agenzie di ciascun paese membro. Abbiamo trasformato la vita di milioni di persone che vivono con l'hiv e abbiamo guarito oltre un milione e mezzo di persone affette da epatite C; allo stesso modo, riteniamo di avere le risorse e l'esperienza per accelerare rapidamente la ricerca sulla terapia cellulare e per promuovere un'innovazione scientifica e medica continua.

Che tipo di collaborazioni si mettono in atto tra industria ed enti di ricerca pubblica? E con le associazioni pazienti?

Come accennato in precedenza, sempre più l'innovazione dipende dalla capacità di



Intervista a
Valentino Confalone

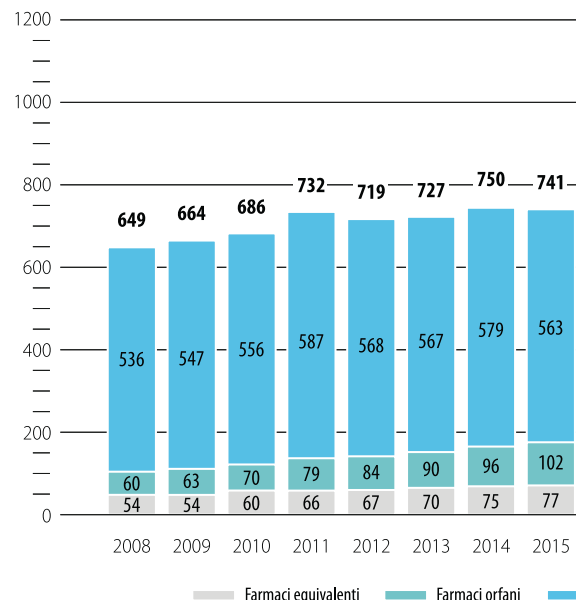
General manager
Gilead Italia

fare network. Gilead si contraddistingue per un programma unico nel suo genere, dedicato a incoraggiare e promuovere lo sviluppo e la diffusione di nuove idee volte a migliorare l'outcome e la qualità di vita dei pazienti negli ambiti dell'infettivologia e dell'oncoematologia. Questi progetti innovativi sono rivolti a ricercatori di istituzioni, associazioni e fondazioni di ricerca pubbliche e private. Anche per il 2018 abbiamo pubblicato dei bandi (www.itfellowshipprogram.it, www.communityaward.it e www.digitalhealthprogram.it) che mettono a disposizione oltre un milione di euro per finanziare i progetti ritenuti come più meritevoli dalle commissioni giudicatrici formate da esperti indipendenti. Uno stanziamento che si aggiunge agli oltre sette milioni e mezzo di euro assegnati negli anni precedenti che hanno consentito la realizzazione di più di 300 progetti proposti da 260 tra ricercatori e associazioni. ■

1. www.osservatoriomalattieare.it/malattie-rare
2. QuintilesIMS. Lifetime trends in biopharmaceutical innovation recent evidence and implications, January 2017.
3. EvaluatePharma®. World Preview 2017, Outlook to 2022. 10th Edition, June 2017.
4. Crump M, Neelapu SS, Farooq U, et al. Outcomes in refractory diffuse large B-cell lymphoma: results from the international Scholar-1 study. Blood 2017;130:1800-8.

Il mercato mondiale dei farmaci

Vendite nel mondo
(miliardi di dollari)



L'innovazione dipende dalla capacità di fare network.

