

IL FARMACO BIOTECH RAPPRESENTA IL MOTORE DELL'INDUSTRIA CON BEN 176 IMPRESE CHE INVESTONO NELLO SVILUPPO DELLE TERAPIE INNOVATIVE

[IL MERCATO]

L'oncologia trascina la sfida delle molecole

Oltre che in quella oncologica, la pipeline delle imprese italiane include progetti nell'area dell'infiammazione e delle malattie autoimmuni (13%)

Milano
Anche in Italia, quello del farmaco biotech rappresenta il motore dell'industria biotecnologica, con ben 176 imprese che investono nello sviluppo di molecole e terapie innovative.

Complessivamente, la pipeline italiana conta più di 403 prodotti, 108 dei quali in fase preclinica, 46 in Fase I, 126 in Fase II e 123 in Fase III di sviluppo clinico. Se il numero di prodotti in via di sviluppo cresce del 12%, cresce anche il numero delle molecole che hanno raggiunto la Fase II (+18%) e la Fase III (+17%) di sviluppo clinico. Con riferimento alla loro origine, circa il 54% dei progetti deriva da imprese a capitale estero — in particolare filiali di multinazionali in Italia — e il 46% da imprese a capitale italiano, comprese le farmaceutiche italiane.

Limitando la nostra analisi alla pipeline delle sole imprese pure biotech, sono 187 i prodotti in via di sviluppo, 102 dei quali si trovano in fase preclinica (55%), 24 in Fase I (13%), 50 in



Fase II (27%) e 11 in Fase III (6%) di sviluppo clinico. A questi vanno aggiunti 67 progetti di ricerca in fase di *discovery*.

Complessivamente, circa il 45% dei progetti della pipeline italiana è composto da medicinali biotech o biofarmaci che includono, per definizione, anticorpi monoclonali (26%), proteine ricombinanti (10%) e Tera-

pie Avanzate (9%). La percentuale dei biofarmaci è progressivamente cresciuta dal 36%, nel 2009, al 45% nel 2013, mentre la quota dei prodotti a basso peso molecolare (small molecule) si è ridotta dal 45% al 33%. Questi risultati sono ancora più rilevanti se si considera che l'analisi si è limitata a considerare unicamente quei progetti che sono frutto della ricerca

italiana.

Ancora una volta, l'oncologia resta l'area terapeutica con il più alto numero di progetti (40%, considerando anche quelli in fase di *discovery*). Tale percentuale riflette il chiaro orientamento delle imprese del farmaco biotech a investire in quei settori della patologia che non trovano ancora oggi risposte terapeutiche adeguate. Oltre che in quella oncologica, la pipeline delle imprese italiane include progetti nell'area dell'infiammazione e delle malattie autoimmuni (13%), in ambito neurologico (9%) e in quello delle patologie epatiche ed endocrine (9%).

I livelli di eccellenza scientifica raggiunti dalle imprese del farmaco biotech italiane trovano ulteriore conferma nei settori degli "orphan drug" (Od) e delle "terapie avanzate" (Ta). Dei 47 progetti gestiti dalle 21 imprese attive nel settore delle malattie rare, 10 hanno infatti ottenuto la "orphan drug designation" dall'Ema, 7 dalla Fda e 30 da entrambi gli enti re-

golatori. Dei suddetti progetti, 15 traggono origine da imprese pure biotech, 3 da farmaceutiche italiane e 29 da filiali di multinazionali con sede in Italia. La più parte di questi progetti sono in fase avanzata di sviluppo clinico (4 in Fase I, 20 in Fase II e 20 in Fase III), mentre 3 sono ancora in fase di preclinica. Per quanto riguarda le Ta, le attività di R&S condotte dalle 18 imprese di cui è stato possibile analizzare la pipeline, si focalizzano su terapie allogeniche e autologhe su vettori virale, vaccini a base di Dna, e il numero dei farmaci in via di sviluppo è cresciuto da 32 a 40.

Tra questi, 13 sono prodotti di terapia cellulare, 19 di terapia genica e 7 di medicina rigenerativa. Quattro prodotti, tra l'altro, hanno conseguito la "orphan drug designation". Quanto al loro stadio di sviluppo, 20 progetti sono in fase preclinica, 6 in Fase I, 9 sono in Fase II e 3 in Fase III di sviluppo clinico.

(v.d.c.)

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Come ti rifaccio un cuore con le cellule staminali ma scatta l'allarme sui bluff

ANCORA IN GRAN PARTE SCONOSCIUTE DAL PUBBLICO SONO CONSIDERATE LO STRUMENTO MIGLIORE IN GRADO DI ASSICURARE DECINE DI APPLICAZIONI SUL CORPO UMANO. TUTTAVIA NEI LABORATORI GLI SCIENZIATI SONO PRUDENTI

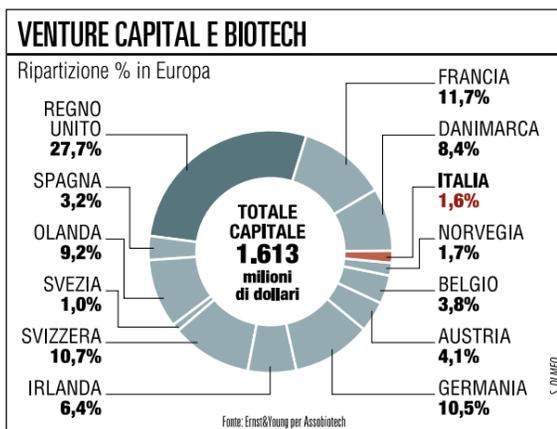
Christian Benna

Milano

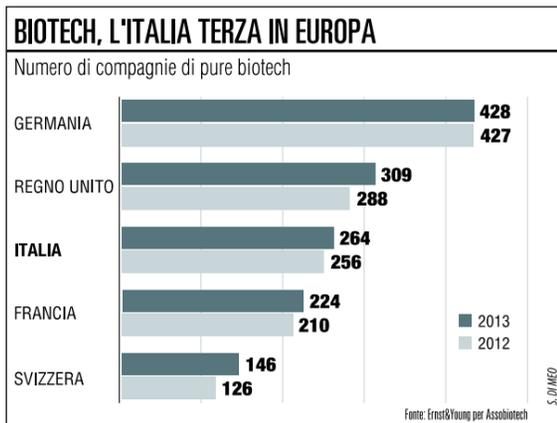
Sono in grado di generare nuove ossa, produrre insulina dalla pelle, riparare il tessuto cardiaco e quello muscolare, ricostruire una cornea. Non passa settimana senza che vengano annunciate nuove — e spesso sensazionali — scoperte scientifiche riguardo le sperimentazioni sulle staminali. Eppure, nonostante il richiamo mediatico (e purtroppo anche di natura giudiziaria, come nel caso Stamina di Davide Vannoni), queste cellule primitive e non specializzate restano un mistero per la maggior parte dei cittadini. Un italiano su due dichiara di non sapere neppure di cosa di tratti. Appena il 29% dei connazionali dice di averne sentito parlare, mentre l'82% fa confusione tra le embrionali e quelle prelevate dal cordone ombelicale. E per queste ultime non è ancora chiara la distinzione tra donazione (permessa in Italia) e conservazione (a uso personale, in banche del cordone all'estero).

La fotografia in chiaro scuro della conoscenza nazionale delle cellule staminali arriva da un sondaggio Ispo per Assobiotech (associazione per lo sviluppo delle biotecnologie che fa parte di Federchimica) realizzato su un campione rappresentativo di 600 individui dell'universo dei 20-44enni italiani. «Gli italiani — spiega Renato Mannheimer, coordinatore dell'indagine — non conoscono la distinzione tra cellule staminali neonatali ed embrionali. Le informazioni possedute, quindi, non permettono loro di distinguere con chiarezza tra le diverse fonti di cellule staminali, lasciando intendere che anche i risvolti di tipo etico, spesso protagonisti del dibattito pubblico, difficilmente possono essere correttamente compresi».

Per il vice presidente di Assobiotech, Riccardo Palmisano «c'è assoluta necessità di una maggiore cultura scientifica relativa alle staminali e alle biotecnolo-



Le cellule staminali sono in grado di generare nuove ossa, produrre insulina dalla pelle, riparare il tessuto cardiaco e quello muscolare



[LA SCHEDA]

Due settori diversi, ma uniti dalla stessa mission

Pure biotech e aziende del farmaco sono due realtà imprenditoriali che presentano una chiara divisione ma un forte complementarità di ruoli. Una peculiarità che emerge in modo evidente dal rapporto realizzato di Assobiotech ed Ernst&Young. Lo studio, infatti, ha analizzato i due comparti arrivando a questa conclusione: da un lato ci sono le imprese pure biotech le quali, con il 77% dei progetti compresi tra la fase di *discovery* e la Fase I di sviluppo clinico, costituiscono un'autentica promessa per l'intero settore. Dall'altro, ci sono invece le imprese a capitale estero, con l'81% dei progetti compresi tra la Fase II e III di sviluppo clinico, che confermano i livelli di eccellenza raggiunti dalla ricerca italiana nella conduzione di trial clinici di fase avanzata.

(v.d.c.)

© RIPRODUZIONE RISERVATA

gie, e alle molteplici possibilità che esse aprono per la tutela della salute e l'evoluzione sociale». Non è un caso che oggi in Italia «il 97% dei cordoni ombelicali venga gettato, trattato come rifiuto biologico». Per questo l'industria rappresentata da Assobiotech è pronta a fare la propria parte. Ma serve soprattutto un chiaro e preciso impegno da parte delle istituzioni pubbliche». Perciò Assobiotech chiede «un tavolo tecnico, a cui siedano pubblico e privato, che produca un documento condiviso con poche e corrette informazioni per rendere consapevole e alfabetizzare la popolazione alle staminali, alla loro rilevanza e al loro utilizzo. L'Italia non può rimanere anche in questo campo il fanalino di coda dell'innovazione in

Europa». Attorno alle staminali, in Italia, e in particolare a quelle prelevate dal cordone ombelicale, si assiste a un lungo braccio di ferro tra sostenitori della donazione e quelli della conservazione.

Nel nostro paese ci sono 18 banche pubbliche dove è possibile donare il cordone ombelicale del neonato, le cui cellule staminali sono utilizzate per la cura di alcune malattie. In vent'anni di vita queste banche hanno accolto 25 mila donazioni, servite poi per circa 470 trapianti. Numeri ancora esigui, e oggetto spesso di critiche, soprattutto se comparati a quelli delle banche private all'estero (San Marino ospita 70 mila campioni) dove le famiglie possono scegliere di conservare le cellule cordonali, come in una sorta di

assicurazione sul futuro dei propri figli.

In mezzo al dibattito, che si misura a colpi di studi scientifici e anche di *lobbying* sulle normative, il mondo della medicina rigenerativa a partire dalla staminali continua a fare passi da gigante nelle ricerche. Queste cellule sono in grado di trasformarsi in altri tipi di cellule e si distinguono sia per potenzialità di differenziarsi che per l'origine: mesenchimali (midollo osseo), emapotoietiche (sangue), embrionali (sulle quali è vietata la ricerca).

In Italia ci sono 13 centri di ricerca autorizzati dall'Aifa, sia pubbliche che private, vere e proprie *cell stem factory* che producono terapie basate sull'uso di cellule staminali, come quelli dell'epider-

mide per il trapianto di pelle a quelle del sangue per la lotta alla leucemia. In questo campo, tuttavia, è bene muoversi con i piedi di piombo, come ha dimostrato il clamore suscitato dal caso Stamina che prometteva cure miracolose o i sempre più frequenti viaggi della speranza in paesi extraeuropei dove la normativa sulle terapie è molto elastica. Se tutti sono concordi nel dire che lo studio sulle staminali sia ormai diventato l'ultima frontiera della scienza, spalancando le porte alla medicina rigenerativa, con tessuti che si ripariano da sé, in laboratorio non mancano gli eccessi di entusiasmo se non di vere e proprie frodi scientifiche.

Una ricerca compiuta dal British Medical Journal ha dimostrato che ci sono troppi falsi positivi nei test condotti sull'uomo con le cellule staminali. L'algoritmo utilizzato ha analizzato 133 articoli relativi a 49 sperimentazioni cliniche su malattie del cuore trattate con cellule staminali prelevate dal midollo osseo (mesenchimali), individuando oltre 600 discrepanze. «C'è una logica commerciale — ha commentato il direttore del Laboratorio cellule staminali dell'università Sapienza di Roma, Paolo Bianco — a incoraggiare molte delle sperimentazioni cliniche basate sulle cellule staminali prelevate dal midollo osseo. E c'è un eccesso di trial clinici irrazionali e scientificamente infondati che utilizzano cellule staminali, mesenchimali e non, per scopi totalmente implausibili sul piano medico e biologico».

© RIPRODUZIONE RISERVATA