

DICHIARAZIONI PER EVENTO

"PROSPETTIVE ATTUALI E FUTURE DELL'USO DELLE CAR-T IN ITALIA"

Luca Coletto, Sottosegretario Ministero della Salute

"La terapia CAR-T – dichiara **Luca Coletto**, Sottosegretario Ministero della Salute - rappresenta una nuova frontiera dell'immunoterapia, con risposte significative in pazienti con leucemia linfoblastica acuta e linfoma a grandi cellule senza altra possibilità terapeutica. Rappresenta quindi una terapia salvavita per una consistente percentuale dei pazienti che sono sottoposti a questo trattamento che non avrebbero altra possibilità terapeutica. Compito del ministero – prosegue il Sottosegretario - che al proposito ha già attivato specifica commissione, sarà la verifica del rispetto dei criteri AIFA, ente regolatore deputato al proposito, ed alla vigilanza sulla capacità dei centri che la effettueranno, di assicurare in sicurezza la terapia anche grazie ad un addestramento del team dedicato fatto in collaborazione con le aziende produttrici. Altro compito del ministero sarà di assicurare un adeguato fondo per l'innovazione oncologica che possa far fronte alle coperture economiche derivare dai farmaci innovativi, alla monitorizzazione in collaborazione con la commissione stato-regioni della situazione in corso d'opera, come fatto per altre terapie come quelle per l'epatite C, e di individuare con le regioni stesse future necessità organizzative nel caso di introduzioni di terapie CAR-T o similari - conclude Coletto - per il trattamento di altre patologie quali per esempio il mieloma multiplo, la leucemia linfatica cronica e alcuni tumori solidi"

Rossana Boldi, Vicepresidente XII Commissione (Affari Sociali) Camera dei Deputati

"L'introduzione delle Car-t nel trattamento di alcuni tumori liquidi, rappresenta un percorso di cura innovativo impensabile fino ad alcuni anni or sono. Si tratta di una immunoterapia personalizzata che ha creato grandissime aspettative nei pazienti, ma che non è semplice da introdurre nel nostro SSN". Come sottolineato dall'Onorevole, per introdurre le Car-T in Italia, sarà necessaria individuare la giusta regolamentazione e la giusta organizzazione. "Vanno individuati centri regionali polispecialistici – prosegue l'On. Boldi - che necessitano di una organizzazione particolare, poiché i pazienti vanno seguiti prima, durante e dopo il trattamento, e dove la procedura stessa fa parte del trattamento. Si calcola che in Italia potrebbero usufruire di questa terapia circa 600-700 pazienti all'anno, affetti da linfomi a grandi cellule B, refrattari ad altre terapie, e per i quali, in almeno il 40% dei casi, la nuova terapia potrebbe essere risolutiva. È indispensabile quindi, utilizzare appieno i fondi a disposizione per i farmaci innovativi, semplificare e accelerare le procedure burocratiche, implementare- conclude il Vicepresidente - la collaborazione tra strutture sanitarie, comunità scientifica e aziende farmaceutiche, per dare al più presto risposte certe ai pazienti".

Antonio De Poli, Questore Senato della Repubblica.

"Le Car-T rappresentano un'innovazione importante che apre, di fatto, un'autostrada verso il successo di cura contro i tumori, non solo quelli liquidi ma anche altri tipi di neoplasie. Bisogna investire sulla ricerca e per farlo, più che mai, è indispensabile cambiare schema di gioco: per garantire il sistema universalistico delle cure contro i tumori è necessario che il mondo scientifico, quello istituzionale (a partire da Governo, Parlamento e ISS) e dell'industria farmaceutica si alleino per trovare sempre più risorse a sostegno delle terapie innovative. C'è un problema di costi e –

prosegue il Senatore - proprio per garantire la sostenibilità del sistema, è fondamentale un 'patto' tra tutti gli attori coinvolti nella lotta alla malattia. Bisogna promuovere le cure innovative, superare certi schemi attraverso un maggiore sforzo di partnership pubblico-privato, guardando sempre all'obiettivo e al traguardo finale: mettere al centro dell'attenzione il paziente oncologico".

Giuseppe Simeone, Presidente VII Commissione Sanità, Regione Lazio

Questo evento costituisce un prezioso momento di confronto fra istituzioni politiche, nazionali e regionali, alti rappresentanti di aziende ospedaliere e universitarie, nonché del mondo accademico. Non c'è dubbio che la terapia CAR-T rappresenti l'ultima frontiera dell'ingegneria genetica in grado di dare risposte significative nei pazienti con leucemia linfoblastica acuta e linfoma a grandi cellule. E' considerata una terapia farmacologica con approvazione da parte dell'EMA ed in corso di trattativa per l'accesso in Italia da parte di AIFA. Le regioni giocheranno un ruolo di primo piano dovendo svolgere diversi compiti importanti. In primis quello di individuare i centri che potranno effettuare la terapia rispettando i criteri AIFA per l'individuazione dei medesimi. Come pure una volta stabilito il prezzo da parte di AIFA, le regioni dovranno programmare l'attività in crescendo della terapia, calcolando l'impatto economico comunque coperto dal fondo per l'innovazione. Relativamente alla nostra regione, occorrerà verificare se i centri vadano individuati nella sola città di Roma o ne vanno identificati anche in altre città laziali, istituendo un'apposita commissione con gli specialisti del settore e monitorando insieme al ministero l'andamento applicativo. Ritengo fondamentale che si crei una rete interregionale dedicata alla cura di questi pazienti con questa terapia, attraverso protocolli condivisi. Non da meno si dovrà individuare la formula di rimborso insieme al Ministero (forfettaria, DRG?) anche per affrontare una possibile e all'inizio certa mobilità interregionale, dovuta ad un'applicazione temporalmente differenziata. Per quanto mi compete mi adopererò in commissione Sanità insieme ai colleghi a dare il supporto necessario affinché questa terapia possa essere applicata nei centri con strutture idonee a prestare le cure, nel territorio romano e laziale.

William Arcese, Direttore UOC Trapianto Cellule Staminali e Rome Transplant Network, Università di Roma "Tor Vergata"

"Negli ultimi anni – afferma **William Arcese**, Direttore UOC Trapianto Cellule Staminali e Rome Transplant Network, Università di Roma "Tor Vergata" - si è assistito ad uno straordinario sviluppo delle terapie utilizzabili per il trattamento delle neoplasie ematologiche. Ultima in ordine di tempo, ma non certo in termini di potenzialità terapeutica, è stata introdotta la immunoterapia cellulare dei CAR-T – prosegue l'esperto - il cui successo di applicazione a condizioni di malattia ormai giudicate intrattabili, sembra prospettare straordinari risultati. Definire efficacia ed indicazioni cliniche corrette per la terapia con CAR-T è oggi imperativo. Per tale ragione – conclude Arcese - il senso di responsabilità della comunità scientifica deve essere condiviso con quello dell'amministrazione pubblica e più in generale della politica perché si possa rispondere al meglio all'attesa terapeutica nell'ambito di un sistema sanitario sostenibile basato sul Welfare".

Francesco Saverio Mennini, Professore di Economia Sanitaria, EEHTA CEIS; Università di Roma "Tor Vergata", Kingston University

"Quando si parla di valore di una tecnologia è necessario sottolineare che il valore non è coincidente con il prezzo – afferma l'esperto - che rappresenta solo la quantificazione iniziale dell'offerta da parte del venditore. Per quanto attiene lo specifico del farmaco o di una tecnologia

sanitaria, diviene necessario coniugare il valore “terapeutico” del farmaco con il suo valore economico e sociale, un esercizio cui sono chiamati i decisori del settore sanitario – prosegue Mennini - i medici, gli operatori sanitari, ma anche i pazienti, e tutti i decisori coinvolti (Min Economia, INPS, INAIL). Per garantire un approccio proattivo in termini di valore del farmaco risulta cruciale, soprattutto in questo periodo caratterizzato dall’ingresso di tecnologie differenti da quelle alle quali ci eravamo abituati, il tema delle regole di accesso al mercato. Occorrono – conclude Mennini - regole chiare che definiscano e tutelino l’innovazione accompagnate anche da nuovi modelli finanziari”.

Alessia Squillace dell'associazione "Cittadinanzattiva"

"Le CAR T – afferma **Alessia Squillace** dell'associazione "Cittadinanzattiva" - rappresentano una importante innovazione, ad oggi, per la cura di specifiche patologie ematologiche e specifici target di pazienti, ma la ricerca, in continua evoluzione, prospetta scenari molto incoraggianti anche per altre forme tumorali. In questa prospettiva, il nostro SSN deve prepararsi adeguatamente – prosegue Squillace - e per tempo ed essere pronto ad accogliere questa innovazione e quelle che verranno, per poter garantire certezza delle cure a tutti coloro che ne hanno bisogno e tempestività di accesso su tutto il territorio nazionale. C’è prima di tutto una questione etica: parliamo della vita delle persone, di malati che non hanno altre opzioni terapeutiche, di ragazzi e di bambini. Parliamo di genitori che sono disposti a tentare tutto per vedere salvata la vita del proprio figlio. Deve essere garantito, a chi ha bisogno, nessuno escluso, il diritto all’accesso e una adeguata informazione, anche in fase di sperimentazione. E questo tema deve essere prevalente su tutto il resto. Sono i bisogni di salute che devono “orientare” le scelte e non la questione economica a contenere e comprimere i diritti. C’è bisogno – conclude Squillace - di capovolgere il paradigma e attuare una programmazione a lungo termine e non solo a breve termine”.

Roberto Foà, Direttore UOC Ematologia AOU Policlinico Umberto I Roma

Ad oggi, l’Italia non ha ancora autorizzato l’uso clinico delle CAR-T per le due indicazioni approvate da EMA nell’Agosto 2018. E non ci sono indicazioni che ciò possa avvenire a breve. Stiamo diventando l’ultimo paese del Centro Europa, e non solo...

Ciò rappresenta un evidente danno per i pazienti a cui non viene offerta questa possibilità terapeutica ormai presente in molti altri paesi. In primis, i giovani pazienti con leucemia acuta linfoblastica recidivati/refrattari per cui le CAR-T possono rappresentare oggi l’ultima concreta possibilità terapeutica.