



SU INIZIATIVA DI MOTORE SANITÀ

## ROMA

SALA ATTI PARLAMENTARI  
BIBLIOTECA DEL SENATO  
"GIOVANNI SPADOLINI"  
Piazza della Minerva, 38

**20 GIUGNO 2019**

ROAD MAP CAR-T

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

2019 MOTORE  
**SANITÀ**  
Gestire il Cambiamento

Comunicato stampa

## L'INNOVAZIONE NELLE TERAPIE ONCOLOGICHE, L'INTRODUZIONE DELLE CAR-T IN ITALIA

A Roma la terza tappa della road map Car-T,  
un tavolo di confronto per favorire l'introduzione di questa terapia nel Lazio

**Sen. De Poli: investire su cure innovative,  
serve alleanza tra istituzioni-ricercatori e industria**

– L'immunoterapia negli ultimi anni ha compiuto passi da gigante. L'ultimo, ma non per importanza, è l'introduzione delle CAR-T nel trattamento dei pazienti con linfoma e leucemia che non rispondono alle terapie convenzionali. Una terapia in grado di restituire al sistema immunitario, attraverso differenti metodiche, la sua naturale capacità di riconoscere ed eliminare le cellule tumorali. "L'introduzione delle Car-t nel trattamento di alcuni tumori liquidi – afferma **Rossana Boldi**, Vicepresidente XII Commissione (Affari Sociali) Camera dei Deputati - rappresenta un percorso di cura innovativo impensabile fino ad alcuni anni or sono".

**Roma, 20 Giugno 2019** – L'immunoterapia negli ultimi anni ha compiuto passi da gigante. L'ultimo, ma non per importanza, è l'introduzione delle CAR-T nel trattamento dei pazienti con linfoma e leucemia che non rispondono alle terapie convenzionali. Una terapia in grado di restituire al sistema immunitario, attraverso differenti metodiche, la sua naturale capacità di riconoscere ed eliminare le cellule tumorali. La terapia con Chimeric Antigen Receptor T-Cells (CAR-T) si sta quindi imponendo come l'ultima frontiera dell'immunoterapia e in particolare delle terapie cellulari. Nuove terapie ma anche nuove sfide: questo tipo di trattamento in buona parte dei pazienti risolutivo, richiede centri dotati di un apparato organizzativo adeguato, anche per la possibile

comparsa di eventi avversi comunemente non riscontrabili con le terapie attualmente in uso, quali la sindrome da rilascio di citochine e problematiche di tipo neurologico. Non ultima per importanza la necessità di formulare nuovi sistemi di rimborso per remunerare il corretto valore di queste terapie. Questo importante traguardo scientifico quindi ha bisogno di un passo in avanti dei SSR per quanto riguarda governance e organizzazione delle sue strutture al fine di garantire ai pazienti più fragili una così nuova ed importante arma per combattere il male che li affligge. Per questo motivo **Motore Sanità** con il contributo di **Novartis** ha dato vita alla Road Map CAR-T. Una serie di convegni regionali con l'idea di creare un ponte comunicativo tra mondo sanitario, esponenti politici e stakeholder, per mettere i diversi servizi sanitari regionali dello Stivale, in condizione di assumere le migliori decisioni operative che rendano il sistema di cura efficace e sostenibile. Dopo la prime tappe che hanno coinvolto Veneto e Toscana, la terza tappa della Road Map è stato il Lazio che il 20 Giugno si è reso protagonista nell'evento "**Road Map Car-t prospettive attuali e future dell'uso delle Car-t in Italia**", con il patrocinio di **Regione Lazio della Conferenza delle Regioni e delle Province autonome** e del **Senato della Repubblica**. Un evento nato con l'intento di creare un tavolo di confronto tra esponenti politici, della sanità regionale e stakeholder tecnici, per favorire l'introduzione di questa terapia. "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".

Anche l'On. **Rossana Boldi**, Vicepresidente XII Commissione (Affari Sociali) Camera dei Deputati condivide l'impatto positivo che l'introduzione delle Car-T può avere in Italia. "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".

L'importanza nel riuscire, in un modo corretto, ad introdurre le terapie innovative (tra cui Car-T) è fondamentale per il nostro paese, come sottolineato da **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".

Quando si parla di Car-T non si parla solo di un possibile futuro nel trattamento dei tumori, ma si parla soprattutto del presente e della possibilità di curare pazienti a cui attualmente non sono offerte altre possibilità terapeutiche. "Ad oggi – dichiara **Roberto Foà**, Direttore UOC Ematologia AOU Policlinico Umberto I Roma - 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 – prosegue il Direttore - 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". "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".

Quando si parla di terapie e di farmaci innovativi si parla spesso anche del prezzo che potrebbero avere, però come spiegato da **Francesco Saverio Mennini**, Professore di Economia Sanitaria, EEHTA CEIS; Università di Roma "Tor Vergata", Kingston University, quando si parla di una terapia non si può considerare solo il prezzo: "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".

Per l'introduzione delle Car-T sono necessarie, quindi, diverse azioni da parte del SSN e dei singoli sistemi sanitari regionali, però non si può lasciare che l'innovazione rallenti il suo corso a causa della burocrazia, perchè quando si parla di nuove terapie e nuovi farmaci non ci si deve dimenticare che si parla anche di persone malate a cui fin troppo spesso non è concesso troppo tempo per aspettare. "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".

**Le opinioni e i contenuti espressi nell'ambito dell'iniziativa sono nell'esclusiva responsabilità dei proponenti e dei relatori e non sono riconducibili in alcun modo al Senato della Repubblica o ad organi del Senato medesimo**

L'evento è stato organizzato su iniziativa di **Motore Sanità** con il contributo di



Per ulteriori informazioni e materiale stampa, visitate il nostro sito internet [www.motoresanita.it](http://www.motoresanita.it)

**Ufficio stampa Motore Sanità**  
comunicazione@motoresanita.it  
**Marco Biondi** – Cell. 327 8920962