



COMUNICATO STAMPA

LOTTA AI TUMORI, IL PIEMONTE SI PREPARA AD INTRODURRE LE TERAPIE INNOVATIVE CAR-T NEL SSR

A TORINO ESPERTI DA TUTTO IL PIEMONTE PER FARE IL PUNTO DELLA SITUAZIONE

*A Torino si è svolta la settima tappa della Road Map CAR-T, un tavolo di confronto organizzato da **Motore Sanità** per favorire l'introduzione di questa terapia nel SSR piemontese. Questo percorso di cura innovativo è in grado, attraverso la bioingegnerizzazione delle cellule dei pazienti, di restituire al sistema immunitario la sua naturale capacità di riconoscere ed eliminare le cellule tumorali. Dopo le prime tappe che hanno coinvolto Veneto, Toscana, Lazio, Lombardia, Campania e Sicilia la settima tappa della Road Map, organizzata da Motore Sanità, ha portato il discorso sulle CAR-T in Piemonte, con l'evento "Road Map CAR-T prospettive attuali e future dell'uso delle CAR-T in Italia". Sul lavoro che dovranno svolgere in tandem istituzioni e ospedali per introdurre queste terapie in Piemonte è intervenuto **Mario Boccardo**, Direttore SC Ematologia Universitaria, AOU Città della Scienza e della Salute Torino: "CAR-T sono una nuova immunoterapia che per la prima volta si sono dimostrate capaci di guarire alcuni tipi di tumori ematologici. Le CAR-T aprono la strada a speranze di guarigione con anche nuove situazioni da risolvere: dalla complessità del trattamento, alle inaspettate tossicità neurologiche e infine anche all'investimento necessario per queste terapie".*

Torino, 17 Luglio 2019 - La terapia con Chimeric Antigen Receptor T-Cells (CAR-T) si sta imponendo come l'ultima frontiera dell'immunoterapia e in particolare delle terapie cellulari. Una terapia estremamente efficace che parte da un principio molto semplice: restituire al sistema immunitario, attraverso differenti metodiche, la sua naturale capacità di riconoscere ed eliminare le cellule tumorali. Uno degli approcci più sofisticati all'immunoterapia è la terapia con cellule T, che esprimono la molecola cosiddetta CAR (Chimeric Antigen Receptor). Mentre la lettera T rappresenta le cellule, o linfociti, T. Queste cellule sono le più potenti cellule killer a disposizione del sistema immunitario. Gli scienziati, attraverso complesse metodologie di bioingegneria genetica, riescono a modificare queste cellule permettendo attraverso il gene CAR di legarsi ad una cellula tumorale ed una volta legata, il CAR induce la cellula T a distruggere la cellula tumorale. Una arma, per ora, efficace contro la leucemia linfoblastica acuta e il linfoma diffuso a grandi cellule nei pazienti refrattari alle terapie "standard" i quali hanno un'aspettativa di vita nulla entro breve tempo. 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 di Italia, 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, Toscana, Lazio, Lombardia, Campania e Sicilia la settima tappa della Road Map, organizzata da **Motore Sanità** con il patrocinio di **Conferenza delle Regioni e delle Province autonome** e di **SIFO** ha portato il discorso sulle CAR-T in Piemonte con l'evento "**Road Map CAR-T prospettive attuali e future dell'uso delle CAR-T in Italia**". L'evento si è svolto presso l'aula Aristotele all'interno del Dipartimento di Biotecnologie molecolari e Scienze per la salute.

"Ogni anno in Italia – dichiara **Franca Fagioli**, Direttore SC Oncoematologia Pediatrica e Centro Trapianti, Presidio Ospedaliero Infantile Regina Margherita, AOU Città della Salute e della Scienza Torino - vengono diagnosticati approssimativamente 500 casi di leucemia linfoblastica acuta nella popolazione pediatrica e degli adolescenti. Di questi circa 50 vengono seguiti presso il Centro di Oncoematologia Pediatrica dell'AOU Città della Salute e della Scienza di Torino, organizzato secondo un modello di assistenza in Rete con diversi Centri localizzati su tutto il territorio del Piemonte e della Valle d'Aosta. Grazie ai più recenti protocolli di trattamento chemioterapico – prosegue il Direttore - più dell'80% di questi paziente riesce a guarire ma per i pazienti che presentano una recidiva di malattia la sopravvivenza resta attorno al 50%. L'immunoterapia basata sull'impiego delle CAR-T cells ha dimostrato in questa categoria di pazienti risultati molto promettenti, con alcuni aspetti da definire relativi a questa strategia terapeutica, quali la ottimale gestione degli eventi avversi, la collocazione all'interno dell'iter terapeutico del singolo paziente e l'eventuale associazione con sequele tardive. L'immunoterapia basata sull'impiego delle CAR-T cells rappresenta una strategia terapeutica complessa la cui corretta gestione richiede la presenza di requisiti strutturali ed organizzativi adeguati, la presenza di un sistema di gestione della qualità del processo, un elevato grado di interazione fra le singole figure coinvolte e soprattutto un'adeguata expertise del team. Alla luce di questo ultimo aspetto – conclude l'esperto - la formazione riveste un ruolo fondamentale che i singoli enti coinvolti (AIFA, EBMT, JACIE etc) stanno provvedendo ad integrare nei rispettivi programmi di accreditamento.

La Città della Scienza e della Salute però non potrà da sola garantire la somministrazione della terapia a base di cellule Car-T, ma dovrà collaborare anche con altre strutture della sanità regionale, come spiegato da **Benedetto Bruno**, Direttore SSD Trapianto Allogeneico Cellule Staminali, AOU Città della Salute e della Scienza Torino: "In attesa delle definitive direttive dell'A.I.F.A. le regioni iniziano a valutare la possibilità di applicare le terapie con *CAR-T cells* nelle proprie strutture. L'applicazione richiede una attenta valutazione da diverse prospettive: da quella clinica a quella biologica e regolatoria (le *CAR-T cells* sono veri e propri prodotti di terapia genica), da quella degli investimenti necessari alle reali capacità delle strutture esistenti. Attualmente, i requisiti minimi prevedono che tali terapie vengano somministrate in strutture con Centri Trapianto accreditati "J.A.C.I.E" (in Italia attualmente se ne contano poco più di 40) e provvisti di reparti di anestesia/rianimazione pronti ad accogliere i pazienti nel caso di gravi complicanze. Questi requisiti non sono comunque condizione sufficiente per una efficace organizzazione del "percorso *CAR-T cells*" in quanto risultano fondamentali le attività ed il ruolo di ulteriori strutture

quali le Banche del Sangue, le Farmacie ospedaliere e le Unità di criopreservazione. Inoltre, nella “macchina organizzativa” non può non avere ampio spazio un’attenta e corretta informazione in quanto le terapie con *CAR-T cells* al momento possono essere utili solo in alcune patologie oncoematologiche ed in pazienti selezionati. Un oculato sforzo organizzativo multidisciplinare – conclude l'esperto - sarà imperativo per rendere il percorso efficiente e proficuo”.

L'utilizzo delle Car-T richiederà un nuovo approccio anche dal punto di vista della governance sanitaria, come sottolineato da **Franco Ripa**, Responsabile Programmazione dei Servizi Sanitari e Socio-Sanitari, Regione Piemonte: "La letteratura riporta diversi modelli di “governance” della spesa farmaceutica, che sono adottati a vari livelli anche per quanto riguarda l’utilizzo dei farmaci innovativi. Tutti questi approcci – prosegue l'esperto - presentano al contempo punti di forza e di debolezza, in relazione ai diversi punti di vista degli stakeholder interessati. È essenziale, comunque, consolidare il processo di programmazione e di monitoraggio, in modo da assecondare da un lato il miglioramento degli esiti clinici – conclude Ripa - e dall’altro il diritto all’accesso da parte dei cittadini.

Un ruolo fondamentale per la somministrazione delle terapie a base di cellule Car-T potrebbe essere svolto dalla Città della Scienza e della Salute di Torino, che già in sé racchiude competenze e apparecchiature per affrontare tutti gli aspetti legati all'utilizzo di questo farmaco. "I Linfomi diffusi a grandi cellule rappresentano il linfoma più comune – spiega **Umberto Vitolo**, Direttore SC Ematologia Ospedaliera, AOU Città della Scienza e della Salute Torino - e circa il 60% dei pazienti può guarire con le attuali terapie. Purtroppo per il 40% in cui la prima terapia non funziona le opzioni terapeutiche sono fino ad ora limitate. Alcuni di questi pazienti – aggiunge il Direttore - possono essere ancora trattati con successo con schemi diversi di terapia che includono chemioterapia intensiva ed autotrapianto, ma per molti con questa terapia non vi sono risultati e questi pazienti purtroppo muoiono. La terapia CAR-T con i linfociti modificati del paziente – prosegue l'esperto - è sicuramente una nuova concreta possibilità e con tale terapia circa il 40% dei pazienti trattati ha debellato la malattia in modo persistente. La terapia è sicuramente complessa e non scevra di effetti collaterali, ma un centro qualificato per tali terapie è in grado di gestire tali situazioni. Si stima che in Italia circa 500 pazienti all'anno affetti da Linfoma diffuso a grandi cellule avranno bisogno di tale terapia ed è quindi importante – conclude Vitolo - l'attivazione di una rete di centri specializzati in queste terapie per trattare questi pazienti e dare loro una nuova speranza".

Sul lavoro che dovranno svolgere in tandem istituzioni e ospedali per introdurre queste terapie in Piemonte è intervenuto **Mario Boccardo**, Direttore SC Ematologia Universitaria, AOU Città della Scienza e della Salute Torino: "CAR-T sono una nuova immunoterapia che per la prima volta si sono dimostrate capaci di guarire alcuni tipi di tumori ematologici. Le CAR-T aprono la strada a speranze di guarigione con anche nuove situazioni da risolvere: dalla complessità del trattamento, alle inaspettate tossicità neurologiche e infine anche all’investimento necessario per queste terapie".

L’evento è stato organizzato da **Motore Sanità** con il contributo di



Per ulteriori informazioni e materiale stampa, visitate il nostro sito internet www.cartitalia.it

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