

*NUOVE CURE/ Più facile lo sviluppo delle applicazioni cellulari rispetto ai tradizionali farmaci*

# Crescono le terapie avanzate

**Ma per le imprese gli ostacoli per l'industrializzazione sono ancora molti**

**L'**uso terapeutico di cellule autologhe si presenta, in alcuni casi, come un'alternativa al farmaco connotata da maggiori garanzie di sicurezza e compatibilità alle esigenze di una fisiologica guarigione. Nel mercato delle terapie mediche, le quote del farmaco e dei dispositivi medici sono destinate a lasciare sempre più spazio a quelle delle terapie avanzate, quindi all'uso terapeutico di cellule.

Le cellule autologhe che vengono impiegate nell'area terapeutica possono essere staminali o differenziate (fibroblasti, condrociti, cheratinociti, isole pancreatiche ecc.) e intervengono prevalentemente nell'area della riparazione e rigenerazione tissutale. Nel trapianto autologo di entrambe le tipologie di cellule assistiamo alla totale assenza di «Gvhd» e di effetti collaterali che, invece, possono subentrare solo in conseguenza all'uso di «scaffold» o di un sistema di delivery. La sicurezza biologica, inoltre, viene garantita dall'ottemperanza obbligatoria delle «Cell factories» alle regole della «Good manufacturing practice» che impongono una rigida tutela del campione da contaminazioni e tumorigenicità con un occhio molto vigile alla tracciabilità. Lo sviluppo di nuove applicazioni cliniche basate sull'impiego di cellule autologhe, purtroppo viaggia a rilento a causa dell'esiguo numero di aziende, spesso con capitali limitati e poca convinzione, che investono in quest'area. Infatti, uno dei fattori limitanti allo sviluppo di questo settore, per le aziende private o pubblico-private, è costituito dalla naturale difficoltà che si incontra nel proteggere le terapie cellulari con brevetti che rappresentano invece la condizione propedeutica di un investimento.

Questo è uno dei motivi per cui le aziende del settore orientano i loro investimenti prevalentemente nell'area di sviluppo degli «scaffold» e dei sistemi di delivery, piuttosto che nelle manipolazioni cellulari che sono anche impossibili da industrializzare. Sul fronte della ricerca scientifica svolta in contesti universitari, invece, riscontriamo numerosi studi bloccati su modelli animali a causa della notevole carenza di Cell factories certificate «Gmp», indispensabili per accedere alla fase clinica.

Uno dei limiti all'applicazione clinica delle terapie cellulari, quindi, è costituito dall'esigenza di disporre di una Cell factory conforme agli standards «Gmp» e quindi molto costosa nella sua realizzazione, gestione e manutenzione. Riuscire a riparare un tessuto danneggiato con le sue stesse cellule rappre-

senta un Gold standard che difficilmente potrà essere rimpiazzato con altre soluzioni. La riparazione di una lesione indotta mediante l'impianto di cellule autologhe coltivate rappresenta la soluzione più ecologica di cui poter disporre rispetto all'impiego di prodotti farmaceutici o fisici finalizzati alla stimolazione di una produzione cellulare fisiologica.

Il percorso per portare al mercato un'applicazione clinica di una terapia cellulare è sicuramente molto più breve e meno oneroso di quello che devono sopportare le aziende farmaceutiche per i nuovi farmaci. Diventa invece più costoso produrre il farmaco/cellula nella Cell factory rispetto a un farmaco prodot-

to in un'industria che lavora in economia di scala con un prodotto non biologico e non personalizzato. Torna a essere vincente la terapia cellulare su quella farmacologica nel momento in cui si attribuisce un adeguato valore alla sicurezza del paziente e alla rapidità del risultato terapeutico in quanto l'espansione cellulare in laboratorio è molto più rapida e biologicamente sicura rispetto alla proliferazione fisiologica che avviene in un tessuto danneggiato. L'impiego delle cellule staminali mesenchimali (dal tessuto adiposo, midollo, polpa dentale ecc.) è vicinissimo alla clinica in importantissime aree della medicina.

Sono stati completati con successo studi su animali di grossa taglia che hanno dimostrato quanto sia efficace l'uso delle cellule staminali mesenchimali, orientate in vitro con una molecola chimica, nella riparazione di un cuore infartuato. Gli studi sul cuore, declinati poi nell'area vascolare, hanno prodotto vari progetti di ricerca, finalizzati alla cura di lesioni e deficit vascolari, che stanno già dimostrando le elevate proprietà nella cura dei vasi. L'impiego più immediato e facile da monitorare è legato alla cura degli epitelii di rivestimento, intorno ai quali l'uso delle mesenchimali ha già trovato il suo impiego in varie applicazioni. Le eventuali conferme in fase clinica dei risultati di questi studi determinerebbero un potenziale sconvolgimento delle linee guida che oggi sono orientate solo verso l'impiego di terapie farmacologiche mettendo in discussione il successo di importanti investimenti effettuati nella stessa area in ambito farmaceutico.

**Giuseppe Mucci**

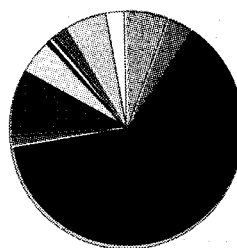
*Amministratore delegato Bioscience Institute Spa*

© RIPRODUZIONE RISERVATA

**Il mercato dei farmaci (2009)**

Tipologia farmaco	Mld \$
Oncologia	52,37
Lipidi regolatori	35,28
Farmaci respiratori	33,59
Antidiabetici	30,40
Anti-ulceranti	29,61
Antagonisti dell'angiotensina II	25,20
Antipsicotici	23,24
Antidepressivi	19,41
Farmaci contro malattie autoimmuni	17,96
Inibitori dell'aggregazione piastrinica	14,60
Antivirali Hiv	13,75
Anti-epilettici	12,99
Analgesici narcotici	11,23
Analgesici non narcotici	11,17
Eritropoietine	10,80
<b>Totale</b>	<b>341,6</b>

**Il mercato delle terapie cellulari (2009)**



Spesa totale

6,9 miliardi di dollari

- Ortopedia/colonna vertebrale
- Pelle/derma
- Sostituzione/preservazione organi
- Oftalmologia
- Sangue cordonale e bancaggio delle cellule
- Cardiologia
- Urologia
- Dentale/orale
- Generale
- Cancro
- Neurologia