

1 RISCHI DI UN'ECESSIVA REGOLAMENTAZIONE

Meno barriere per Pmi biotech e ricercatori

La crescita epidemica di malattie croniche degenerative impone una rivalutazione dei modelli correnti di R&S e un'analisi degli impedimenti che oggi condizionano l'innovazione e l'introduzione di nuove cure. La spesa sanitaria solo negli Usa ha superato i 2.500 miliardi di dollari (17% del Pil).

Si prevede che tale spesa raggiungerà i 4.400 miliardi di dollari, avendo già da anni superato il tasso di crescita del Pil e creando quindi una condizione di insostenibilità economica a medio e lungo termine. Diverse terapie cellulari, biotecnologie e strategie di medicina rigenerativa sono attualmente in fase pre-clinica avanzata, e potrebbero entrare nella fase di verifica clinica iniziale. E oggi fondamentale permettere lo sviluppo di approcci che mirino a prevenire, curare ed eradicare tali malattie, riducendo i costi insostenibili di una spesa sanitaria che sempre più si concentra a tamponare con approcci migliorativi, ma non risolutivi. Il risultato è che il modesto aumento dell'aspettativa di vita registrato nell'ultimo decennio è avvenuto a scapito di un aumento di malattie degenerative che ne condizionano la qualità.

Investimenti in prevenzione scarseggiano e lo sviluppo di cure risolutive incontra ormai un muro regolatorio e impedimenti istituzionali spesso insormontabili. Infatti, l'attuale quadro normativo per l'introduzione di nuove terapie cellulari e terapie avanza-

te in genere deriva in gran parte dai regolamenti sui farmaci e negli Usa si è arrivati a spendere 52 miliardi di dollari in un anno per produrre una quindicina di nuovi farmaci, un numero simile a quello del 1963, quando la spesa annua rappresentava una minuscola frazione di quello che si spende oggi.

Se lo sviluppo di nuove cure dovrà sostenere gli stessi costi e tempi di sviluppo che oggi paralizzano lo sviluppo di nuovi farmaci, sarà impossibile per medici-ricercatori, istituzioni accademiche e piccole industrie biotecnologiche, poter sviluppare con successo una qualsiasi nuova strategia terapeutica che coinvolga cellule o biotecnologie. In queste condizioni si favorisce soltanto un mercato basato su farmaci e terapie non risolutive, che non diminuiranno mai l'incidenza e la progressione epidemica delle patologie che stiamo cercando di risolvere.

Lo sviluppo di nuove biotecnologie e strategie terapeutiche, dal trattamento di lesioni ischemiche cardiache alla sostituzione di funzioni renali, epatiche o pancreatiche endocrine (a esempio nella produzione di insulina nel diabete), potrebbe avere un impatto importante, dal trattamento di tumori oggi incurabili alla prevenzione dello sviluppo di condizioni di invalidità e insufficienza terminale d'organo. Ci si auspica che l'Europa non segua obiettivi di "armonizzazione" con il sistema regolamentare americano, ormai diventato talmente comples-

so e costoso che molti medici rinunciano all'idea di provare a contribuire allo sviluppo di strategie terapeutiche perché le barriere regolamentari e istituzionali appaiono ormai insormontabili. Si dirigono quindi i pazienti verso trattamenti approvati, alla meglio migliorativi, ma non risolutivi, il cui destino e l'inefficienza terapeutica è già spesso definito. In questo modo si evitano sia i rischi dell'insuccesso che le relative ritorsioni legali e istituzionali. Sarà quindi sempre più difficile trovare un medico-ricercatore in grado di proporre e tentare un intervento terapeutico in base alle sue capacità e conoscenze professionali, dopo appropriata valutazione dei rischi e benefici e con un adeguato processo di consenso informato.

Alcune terapie cellulari come l'utilizzo di prodotti autologhi (cellule dello stesso paziente), come per esempio nel caso del tessuto adiposo e cellule staminali in esso contenute o arricchite, sono già state utilizzate in clinica da diversi decenni in applicazioni di chirurgia plastica-ricostruttiva che ne hanno confermato la sicurezza in migliaia di pazienti. È ora fondamentale estendere biotecnologie e strategie di terapia cellulare anche a molte altre applicazioni, attualmente allo stadio di verifica pre-clinica, ma con un importante potenziale applicativo oltre ai traumi e alla chirurgia plastica-ricostruttiva.

Solo oggi iniziamo infatti a comprendere ed esplorare alcune delle possibili applicazioni e

l'impatto della medicina rigenerativa. È quindi importante non introdurre blocchi di partenza tali da imporre costi e tempi di ricerca e sviluppo sostenibili solo dalla grande industria farmaceutica, soprattutto quando siamo ancora a livello di esplorazione iniziale.

Bisognerebbe valutare modelli alternativi come l'istituzione di centri selezionati, che con l'approvazione di comitati etici e un rigoroso processo di consenso informato, possano garantire la sterilità e caratterizzazione dei prodotti cellulari utilizzati, senza limitarne la verifica clinica iniziale. Ovviamente sarebbe poi di vitale importanza sottoporre i risultati clinici iniziali a opportune verifiche, con la possibilità di sospensione della strategia, in presenza di dati o effetti collaterali che non ne giustificano l'ulteriore sperimentazione.

In questo contesto, potenziali nuove cure che dimostreranno un'efficacia iniziale potranno procedere a successive fasi di verifica e sicurezza prima della loro introduzione su larga scala. È auspicabile che il dibattito su queste tematiche di importanza strategica nazionale e internazionale continui ai livelli più alti, accademici e istituzionali, perché con il sistema corrente alla fine gli unici a perdere sono i pazienti, e quindi tutti noi.

Camillo Ricordi

*Md Diabetes research Institute
and cell transplant Center
University of Miami - Usa*

© RIPRODUZIONE RISERVATA

**Alcuni impieghi
sono ormai sicuri**

**Spesi 52 miliardi
per 15 medicinali**

