

IL COMMENTO

Monica Torriani

# TERAPIE AVANZATE comunicazione fattore chiave

La *cell and gene therapy* sta aprendo nuove prospettive di cura ma solo informando correttamente gli attori coinvolti sarà possibile superare i blocchi culturali che ne rallentano la diffusione

Le terapie avanzate portano nuova speranza ai pazienti che soffrono di malattie prive di alternative di cura. **Maria Luisa Nolli** è co-founder e amministratore delegato di NCNbio, azienda che offre servizi alle compagnie operanti nel settore biotech. L'attività di Nolli si innesta su un'esperienza trentennale nell'ambito di multinazionali pharma e biotech, anni durante i quali ha formato la sua visione completa e panoramica della biologia cellulare, affrontando sfide impegnative in ruoli di ricerca prima e team leader successivamente. Oggi Maria Luisa Nolli è membro del board di Assobiotech (e delegato a Europabio) e di Afi e Airi (come esperta di red biotech) ed è autrice di più di 60 pubblicazioni e 10 brevetti. In questa intervista mette a fuoco i presupposti necessari perché le terapie avanzate esprimano il loro massimo valore, a partire dal fronte delle **malattie rare**: «Fino a qualche tempo fa – spiega Nolli – le **malattie rare** erano considerate non interessanti. Si diceva che l'industria non avesse interesse a investire in ricerca e sviluppo, a causa dello scarso numero di pazienti coinvolti. Oggi, invece, le **malattie rare** hanno acquisito notevole rilevanza sociale. A trasformare lo scenario, ha contribuito anche la diagnostica medica molto sofisticata oggi a disposizione, che



Maria Luisa Nolli



permette di rilevare patologie che prima non potevano essere neppure caratterizzate e individuate con chiarezza nel paziente. Un secondo aspetto di grande importanza è rappresentato dal fatto che la **malattia rara** oggi è diventata anche un modello di studio per i farmaci nuovi».

**Terapia cellulare e genica hanno oggi l'obiettivo di soddisfare gli *unmet medical need*, rivolgendosi a pazienti per cui il tempo assume un valore molto speciale. Come ritiene che si possa accelerare il *technology transfer*?**

Sulla base della mia esperienza, dato che seguo questo aspetto da tanto tempo, posso dirle che il *technology transfer* delle terapie avanzate oggi avviene a più livelli, non procede direttamente dal progetto al prodotto. Esiste un primo stadio che va dal progetto al prototipo (e passa attraverso l'ottenimento di un finanziamento) e un secondo step che invece porta dal progetto industriale alla sperimentazione clinica, fino alla produzione di ciò che dovrà essere commercializzato. Si tratta di due livelli completamente differenti, nell'ambito dei quali agiscono attori complementari



**«Le idee  
devono  
essere  
brevettate e  
la proprietà  
intellettuale  
protetta»**

fra loro. Eventuali interventi di miglioramento del *technology transfer* dipendono molto anche dalla qualità del progetto. È innanzitutto importante che l'innovazione sia brevettata, che la proprietà intellettuale sia protetta. Nell'ambito di una iniziativa non solo nuova ma anche innovativa, la protezione crea interesse nei confronti del trasferimento tecnologico da parte degli investitori e lo accelera. Se, unitamente alla protezione intellettuale, si hanno anche a disposizione dati che dimostrano effetti non solo in vitro, ma di efficacia preclinica e tossicologia in vivo (preclinica, insomma), si è posizionati ancora meglio. Se, poi, il progetto ha già varcato la soglia della preclinica e ha affrontato una fase I nel paziente, allora la sua posizione è a livelli avanzati. Spesso i progetti non presentano tutti questi requisiti. Allora è molto importante che chi li segue sappia indicare la direzione giusta ai ricercatori coinvolti. Mi è capitato, nella mia esperienza professionale, di vedere progetti con proprietà intellettuale molto frammentata o inesistente e posso dire che i tempi, in questi casi, si allungano significativamente. I finanziamenti cui i ricercatori vorrebbero avere accesso sono troppo limitati rispetto alle esigenze dell'iniziativa. E sappiamo tutti che avere a che fare con finanziamenti piccoli sottrae molto tempo, perché permette poca libertà di movimento. D'altra parte, è anche vero che i finanziamenti sono proporzionati allo stato del progetto.

**Le terapie avanzate rappresentano una rivoluzione su più fronti e ci traghettano da piccole molecole a intere cellule, da grandi siti produttivi a tecnologie flessibili, da masse a nicchie di pazienti. Quali interventi regolatori potrebbero assecondare meglio questo cambiamento in atto?**

Il regolatorio in questo settore è in grande evoluzione. Le leggi di qualche anno fa si stanno già rinnovando, perché di fatto le terapie avanzate comportano l'iniezione di cellule nei pazienti. Necessariamente, dunque, l'ambito delle regole non può essere quello del farmaco tradizionale e neppure quello delle macromolecole, come gli anticorpi e le proteine. Da un lato gli enti regolatori sono prudenti, perché ancora non conosciamo perfettamente la farmacocinetica, il metabolismo e tutto quello che succede dopo l'infusione della terapia. Dall'altro lato vediamo nelle maglie della normativa europea in evoluzione – la più sicura al mondo per il paziente, quella che garantisce la maggiore qualità del trattamento che ad esso portiamo – delle aperture. Attraverso la sempre più specifica conoscenza di questi prodotti, la maggiore possibilità di studiarne gli effetti sui pazienti e il monitoraggio a lungo termine (e non solo nel breve), la normativa progressivamente si modifica, per permettere di formulare processi

## IL COMMENTO

**L'industria deve sostenere ricerca e sviluppo perchè i costi per arrivare al mercato sono veramente ingenti**

meno stringenti rispetto a qualche anno fa. Il profilo regolatorio procede di pari passo con la ricerca e il *manufacturing*. Insieme ai legislatori si potrà agire anche in modo tale da ridurre i costi di queste terapie, oggi molto onerosi soprattutto a causa del numero di controlli necessari ad assicurare gli elevatissimi standard di qualità richiesti per la loro produzione.

### **Come possiamo migliorare la comprensione di queste innovazioni da parte di tutti gli attori coinvolti?**

Stiamo vivendo oggi un esempio molto significativo con le terapie avanzate, che devono assolutamente essere comprese dal pubblico. Questo non è semplice. In primo luogo, perché si tratta di terapie paziente-specifiche o dirette a nicchie di pazienti; in secondo luogo, perché sono trattamenti molto costosi e poi perché è necessario ancora dimostrare la loro sostenibilità economica e sociale. Bisogna saper comunicare che queste terapie curano la malattia, permettono di passare da un malato a un soggetto sano con un intervento radicale, soprattutto nel caso della terapia genica, attraverso la quale il gene malato viene sostituito con uno sano. Le terapie avanzate salvano la vita delle persone. Nel caso dei malati non abbiamo bisogno di impegnare molte energie, non devono essere convinti: lo sono già, perché le terapie avanzate per loro rappresentano la vita. Ma per gli altri soggetti non direttamente coinvolti, è più complicato. Possiamo allora raggiungere l'obiettivo della comprensione innanzitutto facendo una campagna di comunicazione e diffusione di informazioni corretta. Abbiamo inoltre bisogno di far comprendere che in questo settore la collaborazione fra pubblico e privato è mandatoria. Non dimentichiamo che i risultati sono cominciati ad arrivare quando la grande industria ha deciso di investire in queste terapie. Noi abbiamo in Italia incredibili eccellenze in accademia, in ospedali anche privati, come nel caso del Bambino Gesù (con il professor Franco Locatelli), che stanno sviluppando terapie che vengono dalla loro ricerca. Ma, per ottenere la commercializzazione di questi prodotti, dobbiamo avere il sostegno dell'industria. Perché i costi per arrivare al mercato sono veramente ingenti. È solo diffondendo e comunicando bene cosa sono queste terapie, quali sono i loro vantaggi, che si comincia a far comprendere alla popolazione che si tratta di terapie salvavita.

### **Qual è il valore aggiunto che il mondo femminile può dare al settore biotech?**

Nel settore delle biotecnologie le donne, in particolare nel comparto salute di cui mi occupo, hanno ruoli molto cruciali in tutta la filiera del processo di sviluppo e produzione di questi farmaci. Stiamo parlando di terapie cellulari, che derivano dalla crescita di cellule in coltura. Nell'area di sviluppo e produzione delle colture cellulari le donne sono bravissime, sia per la loro manualità che per la loro sensibilità. Per coltivare le cellule occorre una sensibilità che va oltre la competenza tecnica. Alcune delle mie collaboratrici, anche del passato, mi hanno confermato la teoria che in questo ambito le donne sono vere protagoniste. In più, non dimentichiamo che l'universo femminile dispone di una potente capacità di risoluzione dei problemi e gestione dell'approccio al lavoro in multipurpose. In questi ruoli la donna può inserirsi come responsabile di produzione, responsabile di ricerca e sviluppo, nell'ambito del *quality system*, *team leader*; figure professionali che richiedono persone multitasking, persone che hanno un buon approccio al lavoro in gruppo, che risolvono problemi in urgenza. Nella filiera di questi prodotti il team è quello che fa in modo che i processi siano attuati nei tempi previsti, accorciando la fase di traslazione al letto del paziente.

### **Sulla base della sua esperienza, anche di past president e tuttora associata di Women and Technologies, su quale competenza le donne dovrebbero lavorare meglio in questo campo?**

Le donne hanno volontà e coraggio, molto più di 20-30 anni fa, ma ancora difficoltà a credere in loro stesse. A volte sono scoraggiate dal sovraccarico di lavoro, che giunge dalla vita privata, dalla competizione nei confronti del mondo maschile che, in determinate occasioni, non premia l'eccellenza, la passione e la voglia di fare tipica delle donne. In queste circostanze, le donne tendono a perdere fiducia mentre è proprio in questi casi che dobbiamo continuamente attingere alle nostre risorse interne. Lo ripeto sempre agli studenti del corso di biotecnologie avanzate di cui sono docente (presso l'Università di Pavia, ndr): nei momenti di crisi dobbiamo recuperare le nostre risorse e continuare ad alimentare i nostri obiettivi, perché questo costituisce un valore imprescindibile.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

La proprietà intellettuale è riconducibile alla fonte specificata in testa alla pagina. Il ritaglio stampa è da intendersi per uso privato