



THE HEALTHCARE TO COME

Fondazione Umberto Veronesi and Fondazione Silvio Tronchetti Provera
present

Conference on Personalized Medicine

October 16th, 2019

Università degli Studi di Milano

ABSTRACT

Main Sponsors



Sponsor



Partners



ABSTRACT SESSIONE 1

La medicina di precisione ha reso più efficace la lotta al cancro?

Chair: Pier Giuseppe Pelicci | Director of the Research Area, IEO; Chairman, Department of Experimental Oncology, IEO; Full Professor of Pathology, University of Milan

Trainata dall'evoluzione della diagnostica molecolare, dalle scienze omiche e dalla disponibilità di un'enorme quantità di dati relativi a pazienti e patologie, la Medicina di Precisione ha radicalmente cambiato l'approccio alla prevenzione, alla diagnosi e al trattamento delle malattie.

L'oncologia è la disciplina dove questo impatto risulta già evidente, come dimostra l'introduzione nella pratica clinica di numerose terapie geneticamente mirate che sfruttano specifiche alterazioni genetiche responsabili della crescita tumorale.

Dai primi esempi di medicina personalizzata in oncologia verso la fine degli anni novanta, sono stati introdotti molti trattamenti mirati di successo e, più recentemente, l'immunoterapia con gli inibitori delle molecole "di blocco" della risposta immunitaria (ICI) ha portato a risultati senza precedenti con effetti duraturi e, in alcuni casi, alla completa guarigione di diversi tipi di tumori (come il melanoma, il linfoma, il tumore del polmone e molti altri). Ciò nonostante, vi è ancora margine di miglioramento dato che la maggior parte dei pazienti non risponde all'immunoterapia a causa di una resistenza intrinseca alla malattia o alla rapida comparsa di tumori resistenti.

In questa sessione, due dei principali esperti mondiali dei nuovi approcci terapeutici nelle fasi pre-clinica e clinica (Padmanee Sharma – Professore presso il Reparto di Oncologia Medica Genitourinaria, Divisione di Medicina Oncologica presso la University of Texas MD Anderson Cancer Center di Houston TX – USA e Giulio Draetta Senior Vice President e Responsabile della Therapeutics Discovery, Division of Discovery and Platforms presso la University of Texas MD Anderson Cancer Center di Houston TX- USA) discuteranno con alcuni tra i principali esperti italiani del settore dello stato dell'arte delle immunoterapie e delle terapie mirate, nonché delle priorità di ricerca atte ad estendere i benefici dell'immunoterapia ad un numero di pazienti sempre più grande.

ABSTRACT SESSIONE 2

Deep learning e medicina basata sull'evidenza

Chair: Giuseppe Testa | Full Professor, Molecular Biology, University of Milan; Director, Laboratory of Stem Cell Epigenetics, IEO, Milan

Come afferma Foucault ne 'La nascita della clinica', la medicina moderna ha definito modalità specifiche per astrarre la conoscenza dalla complessità dell'interazione tra medico e paziente, dove la formazione in campo medico è ancora organizzata in base all'obiettivo di applicare pre-esistenti classificazioni delle patologie ai singoli pazienti, facendo una media tra gli standard della salute e le eventuali deviazioni da essi attraverso contesti sperimentali sempre più controllati.

Nella sua ambizione di confrontare 'il tu con il tu', il paradigma emergente della medicina di precisione mira invece a capovolgere buona parte dell'attuale epistemologia biomedica, esplorando la maggiore risoluzione delle misurazioni personalizzate (dai genomi ai log ai social network) e l'apertura intrinseca alla digitalizzazione pervasiva per guidare nuovi approcci che garantiscano un livello di conoscenza affidabile.

Questa sessione esplora queste tensioni epistemiche radicali e il loro potenziale impatto sulla società per quanto attiene a sanità e ricerca.

ABSTRACT SESSIONE 3

La roadmap dei primi test clinici e dell'accesso al mercato degli ATMP: l'esperienza con le terapie cellulari e geniche per la malattie rare

Chair: Luigi Naldini | Director, SR-TIGET, Milan

Le terapie cellulari e geniche stanno diventando un nuovo pilastro della medicina moderna e ci aiutano a trattare un numero sempre crescente di patologie umane. In alcune strategie, le cellule staminali emopoietiche vengono prelevate da un paziente affetto da sindrome da immunodeficienza ereditaria, geneticamente corrette ex vivo e infuse nuovamente nello stesso paziente per garantirgli/le la costante disponibilità di una progenie funzionale potenzialmente per il resto della vita; le cellule mature di linee diverse possono quindi contrastare condizioni patologiche come le deficienze immunitarie primarie, le malattie del sangue e quelle da accumulo.

In altre strategie, i linfociti vengono prelevati da un paziente oncologico, espansi ed ingegnerizzati ex vivo per meglio contrastare il tumore, quindi nuovamente infuse nel paziente.

L'Italia è stata all'avanguardia nello sviluppo dei farmaci per terapia avanzata, gli ATMP, con tre delle prime quattro terapie cellulari e geniche registrate per il mercato dell'Unione Europea e per quello internazionale provenienti dalla pipeline della ricerca nazionale.

Per questo motivo, gli stakeholder della comunità biomedica italiana, l'industria farmaceutica e gli enti normativi hanno affrontato la sfida di pianificare per la prima volta un sistema per la produzione, la sperimentazione in ambito clinico e, eventualmente, la commercializzazione di farmaci derivanti dalle colture ex vivo e dalla modificazione genetica delle cellule dei pazienti, intesi per essere somministrati una sola volta ma dotati del potenziale di offrire vantaggi terapeutici prolungati - o effetti collaterali - per l'intera vita del paziente. Andavano quindi affrontate problematiche quali la definizione e il monitoraggio della sicurezza degli ATMP sia nel breve che nel lungo periodo, la determinazione della loro qualità e dei possibili dosaggi e la loro somministrazione sicura ai pazienti. Inoltre, bisognava stabilire la prima volta anche i costi e le modalità di rimborso per questo genere di farmaci così nuovi.

Nonostante questa esperienza sia stata gratificante dal punto di vista dello sviluppo di nuovi farmaci sempre più potenti e capaci di contrastare gravi patologie ancora senza cura, dovremmo chiederci quali condizioni abbiano favorito il circolo virtuoso del loro sviluppo; che ruolo abbia giocato il mondo accademico, quello industriale, nonché gli enti normativi nel tracciare il percorso che ha condotto a test clinici di successo e, conseguentemente, alla commercializzazione dei primi farmaci di questo genere.

Le patologie rare rappresentavano un banco di prova ideale per i primi ATMP, ma oggi siamo di fronte ad una rapida espansione delle terapie cellulari e geniche per il trattamento di malattie più comuni quali i tumori, e ci si chiede se i paradigmi che hanno consentito il primo efficace sviluppo degli ATMP per le malattie rare siano tuttora validi, e come e fino a che punto il loro costo possa risultare sostenibile.

Dato che sempre più grandi aziende farmaceutiche operano in questo nuovo settore, e che sarà disponibile un numero sempre maggiore di ATMP per una gamma sempre più vasta di patologie, come riusciranno il quadro clinico e quello normativo ad adeguarsi e a cambiare? E tali cambiamenti porteranno più vantaggi ai pazienti o agli interessi del business? Come potremo semplificare l'attuale quadro normativo per i test clinici dei futuri ATMP? Come potremo sostenere ulteriore innovazione quando i primi ATMP per le malattie rare avranno raggiunto il mercato protetti dall'esclusività di farmaci orfani e compensati da prezzi di mercato alle stelle che potrebbero ostacolare i test clinici di prodotti nuovi o migliori? Come garantire un accesso pubblico equo a queste nuove cure? Lo sviluppo di nuovi ATMP si focalizzerà principalmente sulle malattie più comuni come i tumori trascurando ancora una volta le malattie rare?

Solo la collaborazione tra tutti gli stakeholder in ambito scientifico, medico, farmacologico, decisionale, normativo e di sensibilizzazione, sulla base di evidenze scientifiche e ispirati dai principi etici di una società giusta, consentirà di affrontare queste sfide e di cogliere la promessa di fornire il tanto atteso sollievo dove il carico di malattia risulta ancora insoddisfatto.

ABSTRACT SESSIONE 4

Decisioni mediche e politiche pubbliche

Chair: Fabio Pammolli | Full Professor, Department of Management, Economics and Industrial Engineering, Politecnico of Milano - CADS, joint center between Human Technopole and Politecnico di Milano

La recente crescita di produttività nel settore della ricerca e dello sviluppo per i prodotti farmaceutici sembra essere trainata da progetti per gruppi target e sottopopolazioni specifici, in base a specifici biomarcatori e caratteristiche genomiche.

Questa più elevata specificità dell'innovazione in campo farmaceutico rappresenta al tempo stesso un'opportunità e una sfida per le politiche pubbliche e per l'analisi economica.

Per prima cosa, l'identificazione della popolazione target deve essere confermata da evidenze reali in seguito al lancio, mediante il controllo di qualsivoglia co-variazione rilevante. A tal proposito, la disponibilità e l'accessibilità ai dati rappresentano un problema, così come l'accettazione dei target e delle conseguenti strategie di rimborso che non si basino su trial clinici estesi.

Come identificare le soluzioni socialmente accettabili per assegnare ai pazienti i corretti trattamenti e per definire l'insieme di pazienti legittimati a ricevere una determinata cura? Come conciliare la riduzione del numero di falsi positivi con la riduzione di potenziali falsi negativi? Quale è il nuovo ruolo delle scelte operate in campo medico?

Quali sono le soluzioni disponibili in termini di prezzi e coperture assicurative? Come definire degli schemi di prezzi basati sugli outcome? Come affrontare le difficili scelte di ammissibilità e il nuovo equilibrio tra accesso e sostenibilità sollevati dall'innovazione tecnologica e medica, con l'obiettivo di raggiungere un equilibrio tra analisi dei costi e dei benefici e dimensione etica? Queste sono solo alcune delle problematiche che verranno affrontate durante questa sessione.



Main Sponsors



Sponsor



Partners

