

Regolamentazione europea per le terapie avanzate

Annarita Meneguz, Dipartimento del Farmaco, Istituto Superiore di Sanità
mail annamene@iss.it o annarita.meneguz@iss.it

La Commissione Europea ha presentato a novembre 2005 la sua proposta definitiva di Regolamento europeo sulle terapie avanzate, a dimostrazione che i medicinali per terapie avanzate rappresentano una speranza per i malati.

I prodotti destinati alla terapia genica e cellulare sono stati classificati come medicinali e disciplinati in quanto tali nella Comunità, mentre i prodotti di ingegneria tissutale non sono stati classificati come medicinali o dispositivi medicali e quindi esulano da qualsiasi quadro legislativo comunitario. Da ciò derivano approcci nazionali divergenti quanto alla loro classificazione e autorizzazione giuridica, che ostacolano la libera circolazione nella Comunità e precludono ai pazienti l'accesso a tali terapie innovative. 'L'obiettivo del regolamento è di facilitare la ricerca, lo sviluppo e l'autorizzazione dei prodotti per migliorare l'accesso dei pazienti a queste terapie avanzate.

La Commissione ha largamente consultato pazienti, industria, ospedali, medici, poteri politici e ricercatori. Eurordis ha contribuito al processo esprimendo le proprie osservazioni. Le principali misure della proposta della Commissione sono: la creazione di una procedura centralizzata di autorizzazione all'immissione in commercio dei prodotti per le terapie avanzate; la creazione di un Comitato per le terapie avanzate (CAT) in seno all'Agenzia europea del farmaco (EMA) che ha il compito di consigliare durante il processo di autorizzazione all'immissione in commercio; il CAT ha la responsabilità di formulare criteri e linee guida per la valutazione di questi prodotti; prescrizioni tecniche e strategia di gestione del rischio per assicurare la qualità e la sicurezza.

Un aspetto importante è quello legato alle questioni etiche legate alla terapia genica e cellulare. 'E' abbastanza chiaro che, per ragioni etiche, la decisione sull'uso o non uso di qualsiasi tipo di cellula, ivi comprese le cellule staminali embrionali, resta una responsabilità nazionale.'

Esistono tre tipi di terapie avanzate: terapia genica, terapia cellulare somatica e ingegneria tissutale. Le terapie genica e cellulare sono state testate a livello clinico per il trattamento di specifiche malattie genetiche, forme rare di cancro e altre malattie neurodegenerative. L'ingegneria tissutale è un nuovo settore biotecnologico che combina vari aspetti della medicina, della biologia cellulare e dell'ingegneria, al fine di rigenerare, riparare o sostituire tessuti umani. Non è difficile immaginare il potenziale di queste nuove terapie per il miglioramento della qualità di vita delle persone affette da malattie rare. Tuttavia, le terapie avanzate si basano su nuovi e complessi processi di produzione e, al momento, l'esperienza nella valutazione di questi prodotti è poco diffusa. Gli aspetti come la presa in carico a lungo termine dei pazienti e le strategie di gestione dei rischi dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio sono cruciali. La creazione di un regolamento europeo è un mezzo per rispondere a questi fattori complessi, offrendo un quadro regolamentare per sostenere il progresso e garantire la protezione sanitaria dei pazienti