



Genova, 28 settembre 2023 -

Rispondendo a una domanda sulla sostenibilità dei trattamenti Car T in Italia - durante i lavori dell'Annual Meeting di Alleanza Contro il Cancro, la rete oncologica nazionale del Ministero della Salute - Franco Locatelli, Presidente del Consiglio Superiore di Sanità, coordinatore dell'Oncoematologia e dell'Officina farmaceutica dell'IRCCS Bambino Gesù nonché membro del Direttivo di ACC stessa - di cui ha diretto il progetto sulle Car T finanziato dal Parlamento con 10 milioni di euro - ha detto che “più si accumulano dati che documentano l'efficacia delle terapie in vari contesti più si pone il tema, specialmente in un Paese come il nostro che ha la fortuna di godere di un sistema sanitario universalistico”.



*Prof. Franco Locatelli*

Secondo Locatelli “è importante valorizzare il ruolo che può essere svolto dalle istituzioni accademiche non solo nello sviluppo di nuovi approcci ma anche nella manifattura delle cellule Car T; una pianificazione nazionale per individuare un congruo numero di centri - ha detto ancora Locatelli - è fondamentale così come è rilevante sottolineare che grazie alla creazione del Centro Nazionale per lo sviluppo di terapia genica e farmaci con tecnologia a RNA, si è già creata una massa critica di quelle istituzioni che hanno interessi e competenze nel merito. Ciò anche per riuscire a offrire le terapie nella cura di patologie di nicchia che magari riescono a riscuotere minor interesse dalla grande industria”.

Locatelli è entrato anche nel merito più strettamente scientifico spiegando che “per tanti anni si è ritenuto che le leucemie linfoblastiche acute derivanti dai precursori dei T linfociti non fossero suscettibili a un’azione terapeutica da parte delle cellule Car T. In realtà, adesso, abbiamo evidenza che attraverso una nuova tipologia di costrutto che include una sequenza che blocca sull’espressione delle cellule Car T il bersaglio aggredito dalle medesime - evitando una sorta di lotta fratricida - si riescono a ottenere dei risultati di straordinario interesse. Grazie a una collaborazione con l’università e una biocompany di Singapore abbiamo trattato nove pazienti - grazie a una interazione con AIFA per avere accesso all’uso non ripetitivo - e tutti hanno risposto ottenendo una remissione completa con negatività di malattia residua minima”.

Locatelli ha anche informato sullo stato dell’arte dello studio nei bambini con neuroblastoma: “Dopo aver pubblicato i risultati ottenuti nello studio di fase 1-2, ci accingiamo a validare l’efficacia dell’approccio rispetto a quello che è una sorta di

standard of care per il trattamento dei pazienti ricaduti e che progrediscono con trattamenti convenzionali; mi riferisco agli approcci di chemio e immunoterapia, quest'ultima declinata attraverso l'utilizzo di un anticorpo monoclonale che aggredisce GD2, lo stesso bersaglio delle Car T. Ciò che vogliamo documentare in uno studio che coinvolgerà i principali centri pediatrici europei che trattano questi pazienti - ha concluso Locatelli - è una auspicata superiorità delle cellule Car T perché solo attraverso uno studio clinico randomizzato avremo la possibilità di avere evidenza inconfutabile”.