

2 dicembre 2013 17:51

ITALIA: Staminali e ricerca malattie rare bimbi

Una riflessione approfondita sulle opportunita' e le criticita', in ambito scientifico e regolatorio, della ricerca transazionale che utilizza medicinali a base di cellule staminali mesenchimali e degli esiti di sperimentazioni cliniche controllate su bambini affetti da malattie rare e gravi. E' partito da qui il meeting informale congiunto del Comitato per le Terapie Avanzate (Cat) e del Comitato Pediatrico (Pdco) dell'Agenzia Europea dei Medicinali (Ema) che si e' svolto a Trieste il 25 e il 26 novembre. L'incontro e' stato organizzato dall'Agenzia Italiana del Farmaco e dall'Agenzia Slovena per i medicinali e i dispositivi medici, nell'ambito degli eventi correlati alla Presidenza Lituana del Consiglio Ue.

All'organizzazione del meeting hanno contribuito gli Ospedali Pediatrici Burlo di Trieste e Bambino Gesù di Roma, che hanno anche supportato gli aspetti scientifici dell'incontro definendo agenda dei lavori e relatori, in collaborazione con i colleghi europei del Cat e del Pdco. In particolare, e' emersa la necessita' di una maggiore collaborazione e condivisione delle informazioni scientifiche tra i responsabili della ricerca translazionale e le autorita' regolatorie al fine di un'applicazione rigorosa, uniforme e condivisa dei requisiti della qualita' delle terapie cellulari. E' stata poi sottolineata la particolare rilevanza della ricerca non-clinica per comprendere i meccanismi biologici, le caratteristiche cellulari e il meccanismo d'azione che rappresentano la base essenziale per assicurare e predire la sicurezza dell'uso sull'uomo delle terapie basate su cellule staminali mesenchimali.

Infine e' stato sottolineato che condurre una sperimentazione clinica osservando gli standard scientifici di eccellenza e la normativa vigente e' la condizione essenziale ed irrinunciabile per dimostrare l'efficacia di queste terapie. La valutazione delle terapie cellulari necessita chiaramente di un certo grado di flessibilita' da parte delle autorita' regolatorie. La flessibilita' valutativa deve necessariamente essere basata su una serie di considerazioni quali: il rischio intrinseco della terapia, la tipologia di patologia da trattare, l'innovativita' della terapia, le esperienze pregresse su prodotti simili ed altro ancora. Tuttavia, e' stato chiaramente condiviso, tra i rappresentanti delle autorita' regolatorie da una parte e la comunita' scientifica dall'altra, che questa flessibilita' non puo' in nessun caso prescindere da un'approfondita caratterizzazione del farmaco e dalla stima della sicurezza ed efficacia del prodotto medicinale per assicurare ai pazienti la miglior terapia possibile ed un rapporto del profilo beneficio-rischio positivo.