

Comunicato Boston 2022

Il Centro Chiara Gemmo e Elio Zago per la Ricerca sulla Talassemia dell'Università di Ferrara, fondato nel 2022 dal Dipartimento di Scienze per la Vita e Biotecnologie, Associazione Veneta per la Lotta alla Talassemia (AVLT), Rare Partners srl. , sono stati invitati a partecipare alla Conferenza Mondiale sui Farmaci Orfani tenutasi a Boston (USA) 11-13 Luglio 2022 a presentare i risultati dell'intensa attività scientifica di ricerca e clinica del Centro Chiara Gemmo e Elio Zago. Il Dr. Michele Lipucci Di Paola in rappresentanza del Centro di Ricerca e Associazioni AVLT di Rovigo e CFT di Prato (Firenze), ha presentato il poster "A drug repositioning project for Beta-thalassemia: sirolimus and Cinchona alkaloids" (Un progetto per il riposizionamento del farmaco Sirolimus per la talassemia e presentazione dei risultati degli studi clinici e sviluppo di trattamenti innovativi in combinazione con le nuove tecnologie di genome editing). Il lavoro è stato presentato alle compagnie farmaceutiche presenti alla conferenza di Boston (WODC 2022, USA) che hanno mostrato un significativo interesse alla nostra ricerca e soprattutto al modello di compartecipazione e sviluppo della ricerca che coinvolge i diversi partners del Centro Chiara Gemmo e Elio Zago e soprattutto le associazioni di pazienti.

Al convegno erano presenti oltre 500 partecipanti e oltre 200 compagnie farmaceutiche interessate allo sviluppo di farmaci orfani per le malattie rare.

Alcune principali tematiche affrontate nella conferenza sono state le seguenti:

- Sviluppo delle terapie cellulari e terapie geniche per le malattie rare: sfide per lo sviluppo e come i diversi partner possono lavorare insieme per accelerare rapidamente l'accesso a queste nuove terapie per i pazienti.
- Migliorare la qualità e la quantità della manifattura nelle terapie geniche e cellulari.
- Consorzi internazionali per le terapie geniche: come arrivare rapidamente alla fase clinica
- Soluzioni innovative per l'accesso anticipato ai trattamenti
- Come ottimizzare il coinvolgimento dei pazienti nello sviluppo degli studi clinici

- Nuovi trend di sostegno ai pazienti e le migliori pratiche nella terapia genica
- Modelli innovativi di pagamento delle terapie cellulari e terapie geniche
- Intelligenza artificiale e dati nel mondo reale per trovare pazienti con malattie rare per gli studi clinici e trattamenti.
- Le prospettive dei pazienti con malattie rare negli studi clinici: Comprendere le preferenze e l'esperienza dei pazienti.

Per quanto riguarda la talassemia, le novità e l'interesse delle nuove compagnie farmaceutiche è finalizzato all'impiego delle nuove tecnologie come il Genome Editing o Correttore Genico (GE) in grado di rendere i pazienti liberi dalle trasfusioni e in grado di produrre elevate quantità della propria emoglobina.

Al momento sono quattro le compagnie farmaceutiche interessate a sviluppare per la talassemia trattamenti innovativi e curativi con la tecnica del GE. Questa libera competizione nella fase di sviluppo clinico per la nostra patologia è un fattore di estrema importanza per consentire un rapido accesso a queste terapie a costi competitivi e sostenibili per la nostra sanità pubblica . Il nostro Centro Chiara Gemmo e Elio Zago è impegnato a collaborare con questi partner industriali per raggiungere insieme presto il nostro comune obiettivo:

“liberi dalla talassemia”.