



***Informal Meeting del Comitato per le Terapie Avanzate (CAT) e del Comitato Pediatrico (PDCO) dell'EMA sulla ricerca translazionale***

Si è svolto a Trieste, il 25 e il 26 Novembre scorso, un meeting informale congiunto del Comitato per le Terapie Avanzate (CAT) e del Comitato Pediatrico (PDCO) dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA).

L'incontro è stato organizzato dall'Agenzia Italiana del Farmaco e dall'Agenzia Slovena per i medicinali ed 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 l'agenda dei lavori e i relatori, in collaborazione con i colleghi europei membri del CAT e del PDCO.

L'incontro ha offerto la possibilità di una riflessione approfondita sulle opportunità e sulle criticità, in ambito scientifico e regolatorio, della ricerca translazionale che utilizza medicinali a base di cellule staminali mesenchimali e degli esiti di sperimentazioni cliniche controllate su bambini affetti da malattie rare e gravi.

In particolare, è emersa la necessità di una maggiore collaborazione e condivisione delle informazioni scientifiche tra i responsabili della ricerca translazionale e le autorità regolatorie al fine di un'applicazione rigorosa, uniforme e condivisa dei requisiti della qualità delle terapie cellulari.

È stata poi sottolineata la particolare rilevanza della ricerca non-clinica per comprendere i meccanismi biologici, le caratteristiche cellulari ed 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, è stato sottolineato che condurre una sperimentazione clinica osservando gli standard scientifici di eccellenza e la normativa vigente è la condizione essenziale ed irrinunciabile per dimostrare l'efficacia di queste terapie.

La valutazione delle terapie cellulari necessita chiaramente di un certo grado di flessibilità da parte delle autorità regolatorie. La flessibilità valutativa deve necessariamente essere basata su una serie di considerazioni quali: il rischio intrinseco della terapia, la tipologia di patologia da trattare, l'innovatività della terapia, le esperienze pregresse su prodotti simili ed altro ancora. Tuttavia, è stato chiaramente condiviso, tra i rappresentanti delle autorità regolatorie da una parte e la comunità scientifica dall'altra, che questa flessibilità non può 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.