

# Comitati dell'EMA: Comitato per le terapie avanzate (CAT)

## Introduzione

Il Comitato per le terapie avanzate (CAT) dell'EMA valuta la qualità, la sicurezza e l'efficacia dei prodotti medicinali per terapie avanzate (advance-therapy medicinal products, ATMP). Gli ATMP sono farmaci per uso umano prodotti con geni e cellule o tessuti e includono terapie geniche, farmaci per terapie cellulari somatiche, terapie basate sull'ingegneria tissutale e terapie combinate. Il seguente articolo contiene maggiori informazioni sugli ATMP ed espone i concetti normativi e la legislazione che disciplinano le attività del CAT.

## Il Comitato per le terapie avanzate (CAT) dell'EMA

Gli ATMP possono offrire nuove potenziali opportunità di cura per numerose patologie quali la malattia di Alzheimer, i tumori, le malattie genetiche come la distrofia muscolare o le lesioni dermiche da ustione.

Esistono quattro gruppi principali di ATMP:

- **Farmaci per terapie geniche (GTMP)**

I farmaci per terapie geniche (gene-therapy medicines, GTMP) contengono geni che inducono un effetto terapeutico. I GTMP inseriscono i geni ricombinanti nelle cellule, spesso ciò avviene mediante l'utilizzo di un virus come vettore (veicolo impiegato per trasferire il materiale genetico a una cellula target) per trasportare il gene. Un gene ricombinante è un tratto di

DNA che viene creato in laboratorio, mettendo insieme DNA da diverse fonti. Quando il gene entra nelle cellule del paziente, queste producono una proteina o ne arrestano la produzione, il che può contribuire al rallentamento o alla cura di diverse patologie, tra cui le malattie genetiche, i tumori o le malattie di lunga durata.

- **Farmaci per terapie con cellule somatiche**

I farmaci per terapie con cellule somatiche contengono cellule (non cellule sessuali) o tessuti che sono stati manipolati al fine di modificarne le caratteristiche biologiche. Queste terapie possono essere utilizzate per curare, diagnosticare o prevenire le malattie. Un esempio di terapia con cellule somatiche è quella che utilizza le cellule tumorali manipolate di un paziente per combattere le altre cellule tumorali presenti nell'organismo.

- **Farmaci basati sull'ingegneria tissutale**

I farmaci basati su ingegneria tissutale contengono cellule o tessuti che sono stati elaborati (sostanzialmente, modificati) per essere poi utilizzati per riparare, rigenerare o sostituire i tessuti. Un esempio di prodotto basato sull'ingegneria tissutale è la pelle artificiale utilizzata per curare pazienti vittime di ustioni.

- **ATMP combinati**

Gli ATMP combinati contengono uno o più dispositivi medici come parte integrante del farmaco.

Questi trattamenti offrono grandi potenzialità per i pazienti, perché le tecnologie alla base delle terapie avanzate possono produrre effetti positivi a lungo termine. Possono offrire una cura efficace per i pazienti e di conseguenza ridurre i costi della gestione sanitaria a lungo termine.

Sebbene generino tante aspettative, le terapie avanzate vengono anche associate a:

- **Nuovi rischi significativi**, quali
  - Rischio di infezione virale se il vettore virale si riattiva
  - Rischio di cancro
  - Rischio per i professionisti sanitari e per chi presta le cure di restare incidentalmente esposti alla cura
- **Problemi di carattere etico**, quali
  - Mancato rispetto dei diritti dei donatori viventi per mancanza di informazione
  - Somministrazione ai pazienti di prodotti a base di cellule staminali di efficacia non dimostrata o non sicuri

Le terapie avanzate spesso sono elaborate da piccole aziende o unità di ricerca nelle strutture ospedaliere. La legislazione nell'ambito dell'UE fornisce incentivi per incoraggiare la ricerca e lo sviluppo delle terapie avanzate offrendo riduzioni degli oneri per l'ottenimento della consulenza scientifica da parte dell'EMA. Per i responsabili dello sviluppo degli ATMP adesso sono disponibili nuove procedure di regolamentazione (classificazione degli ATMP e certificazione degli ATMP).

## **Concetti normativi e legislazione applicabile**

Dal 2008, tutti gli ATMP sono tenuti ad attenersi alla Procedura Centralizzata (PC). Questa garantisce che gli stessi beneficino della procedura unica di valutazione e autorizzazione disponibile nell'ambito dell'UE. Ciò facilita la commercializzazione dei prodotti da parte delle aziende e l'accesso agli stessi da parte dei pazienti, nei diversi Stati Membri.

Gli ATMP sono farmaci complessi che richiedono criteri di valutazione che vanno oltre quelli utilizzati nel campo farmaceutico tradizionale. Ad esempio, per i prodotti che contengono o che sono interamente composti di organismi geneticamente modificati (OGM) è necessaria una valutazione del rischio ambientale al fine di stimare il rischio per la salute umana e l'ambiente.

La legislazione prevede che gli esperti del CAT analizzino tutte le aree pertinenti alle terapie avanzate, tra cui:

- dispositivi medici,
- ingegneria tissutale,
- terapia genica,
- terapia cellulare,
- biotecnologia,
- chirurgia,
- farmacovigilanza,
- gestione del rischio ed
- etica.

Il CAT prepara una bozza di parere su ciascun prodotto. Questo parere viene inviato al CHMP. Sulla base del parere del CAT, il CHMP adotta una raccomandazione sulla concessione o il rigetto, la variazione, la sospensione o la revoca di un'autorizzazione all'immissione in commercio. Questa raccomandazione viene inviata poi alla Commissione europea per una decisione in merito all'autorizzazione all'immissione in commercio.

Una volta che i prodotti sono stati autorizzati e commercializzati, l'EMA effettua un'ulteriore valutazione sulla loro sicurezza ed efficacia. L'EMA inoltre offre supporto scientifico alle aziende per aiutarle a mettere a punto i sistemi necessari al monitoraggio della sicurezza di tali farmaci.

Le aziende che producono gli ATMP devono essere in grado di

tracciare tutti i loro prodotti dal sito di produzione agli ospedali o alle strutture sanitarie presso cui vengono consegnati ai pazienti. Anche gli ospedali devono essere in grado di tracciare tutti i pazienti che le ricevono. I sistemi adottati devono consentire la completa tracciabilità, attraverso sistemi di codifica anonimi, in caso di donatori esterni:

- Presso la banca dei tessuti: collegamento tra donatore e donazione.
- Presso il sito di produzione: collegamento tra donazione e prodotto.
- Presso la struttura ospedaliera o l'ambulatorio: collegamento tra prodotto e paziente.

## Ulteriori risorse

- Agenzia europea per i medicinali (2015). *Comitato per le terapie avanzate (CAT)*. Scaricato il 3 settembre 2015 da [http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about\\_us/general/general\\_content\\_000266.jsp](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp)
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. Scaricato il 4 settembre 2015 da <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- Organizzazione mondiale della sanità (2015). *Politica sanitaria e problemi etici, legali e sociali (ELSI) in genomica*. Scaricato il 4 settembre 2015 da <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

## Allegati

- Scheda informativa: Sintesi dei concetti normativi e della legislazione, nonché ruolo delle

## organizzazioni di pazienti

Size: 99,441 bytes, Format: .docx

Questa scheda informativa fornisce una panoramica sui diversi concetti normativi e sulla legislazione relativi ai prodotti medicinali, nonché sul ruolo delle organizzazioni di pazienti in tali processi normativi.

A2-5.08.3-v1.1