

Le biotecnologie in sanità: una roadmap per l'Italia

1. Il settore delle biotecnologie sanitarie in Italia: key facts

1.1. Le caratteristiche del settore

Secondo i dati e le previsioni Statista, le entrate stimate a livello globale dell'industria farmaceutica passeranno da poco meno di 1.100 miliardi di dollari nel 2022 - 344 dei quali per farmaci biotecnologici innovativi - agli oltre 1.400 miliardi di dollari, di cui 505 miliardi per farmaci biotech, nel 2026.

Oggi circa la metà di tutti i nuovi farmaci e delle terapie in sviluppo per il prossimo futuro è biotech e la proporzione cresce nei trattamenti innovativi come vaccini, anticorpi monoclonali per il trattamento di tumori e malattie infiammatorie/infettive, terapie cellulare, terapia genica e medicina rigenerativa.

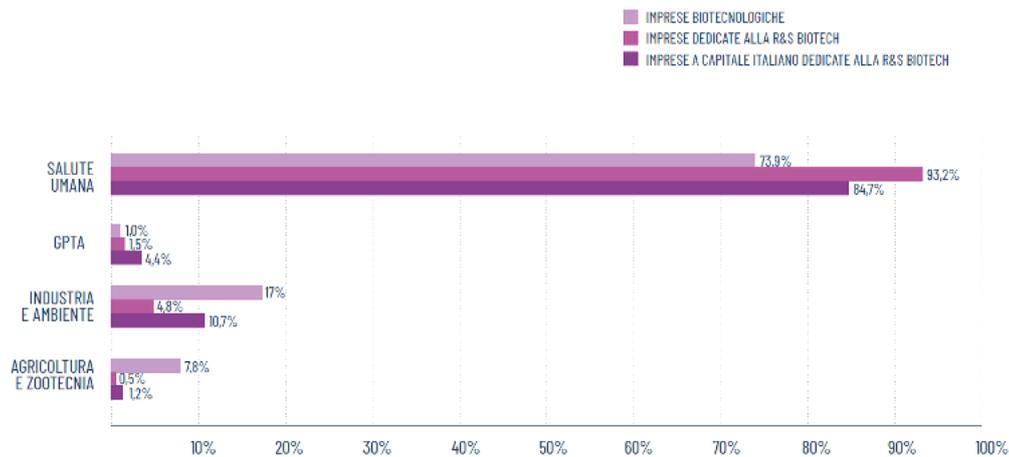
La categoria dove le industrie biotech stanno puntando maggiormente è quella oncologica, per la quale si investe il triplo rispetto ad altri ambiti della medicina (il 40% complessivo). L'11% di queste risorse sono indirizzate alla ricerca e alla produzione di farmaci per disturbi neurologici, un altro 11% per malattie rare, il 4,5% per i vaccini, il 4,2% in ambito virologico, il 3,9% respiratorio, il 2,5% soltanto in ambito immunologico, al momento, e l'1,9% in ambito cardio-metabolico.

Il biotech pesa oggi per il 31% sul totale dei ricavi del mercato farmaceutico, che diventerà il 34% nel 2026. Solo quattro anni fa, nel 2018, pesava per il 26% su un valore complessivo di 900 miliardi di dollari.

Oggi i farmaci biotech costituiscono il 20% di tutti i medicinali in commercio e il 50% di quelli in fase di sviluppo. I bio-farmaci generano già quasi un terzo delle vendite globali nel settore farmaceutico.

L'Italia è oggi tra i principali poli farmaceutici al mondo, con 34,3 miliardi di valore della produzione nel 2020. Attualmente i più presenti sul mercato italiano sono i medicinali privi di brevetto e i biosimilari, il cui consumo è superiore alla media europea. Considerando il totale delle imprese, tuttavia, circa tre quarti del fatturato biotech totale è prodotto dal settore della salute e ben il 90% degli investimenti totali in R&S biotech in Italia riguarda il comparto sanitario.

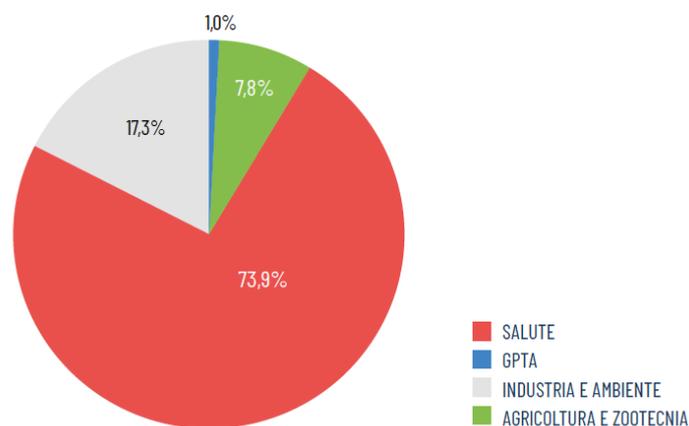
Grafico 1. Distribuzione del fatturato biotech per settore di applicazione prevalente e per tipologia di impresa



Fonte: BioInItaly – Rapporto 2022

Le imprese che operano nel settore delle biotecnologie applicate alla salute sono infatti 344, la metà delle aziende biotech italiane, una percentuale che arriva al 58% se consideriamo le realtà dedicate esclusivamente alla R&S biotech, le quali impegnano il 75% dei propri costi totali di ricerca in attività di questo tipo. Lo evidenzia il rapporto BioInItaly 2022 di Enea e Assobiotech, che traccia una crescita nel numero di imprese biotech: 790 aziende censite nel 2021. Il fatturato complessivo di queste aziende che operano nel comparto salute continua a crescere incessantemente da anni: fra il 2014 e il 2020 si è registrata infatti una crescita del 158% fra le imprese dedicate alla R&S biotech a capitale italiano. Nel 2021 il fatturato del settore biotech-salute ha toccato quota 7,5 miliardi di euro, rappresentando l'ambito più redditizio di tutto il mercato.

Grafico 2. Distribuzione percentuale del fatturato biotech totale, per settore di applicazione prevalente

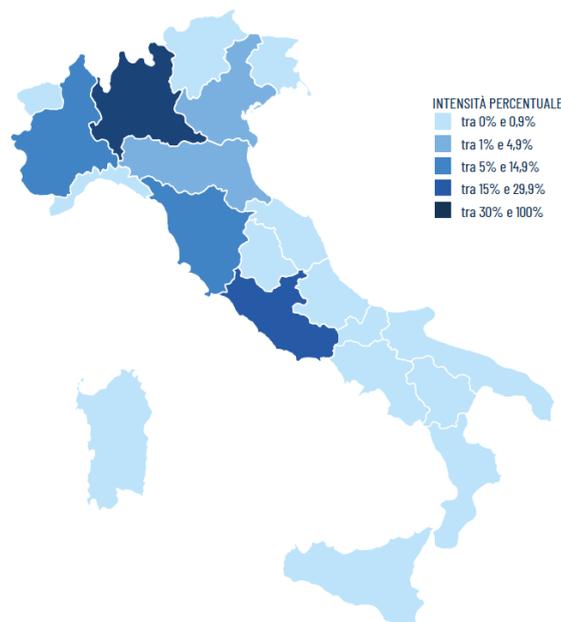


Fonte: BioInItaly – Rapporto 2022

Il 93% del fatturato del biotech-salute si concentra a Nord Ovest, in Lazio e in Toscana. In altre parole, il Centro Italia è caratterizzato attualmente da una presenza di aziende biotech quasi

completamente operanti nel settore salute. La concentrazione degli investimenti nelle prime quattro regioni (Lombardia, Lazio, Toscana, Piemonte) sfiora nel 2020 l'85% del totale: con in primis la Lombardia (36% degli investimenti), seguita da Lazio (il 24%) e dalla Toscana (19%).

Figura 1. Distribuzione geografica percentuale del fatturato biotech, per sede legale



Fonte: BioItaly - Rapporto 2022

Ad oggi i farmaci biotech sono i principali strumenti per trovare la giusta soluzione a importanti bisogni dei pazienti, contribuendo in alcuni casi a curare definitivamente patologie rare grazie a terapie geniche innovative.

1.2. Gli elementi dell'ecosistema

L'Italia mostra alcuni fattori abilitanti per lo sviluppo del settore biotecnologico:

- **Università e ricerca accademica**

L'Italia ha una solida tradizione nel campo dell'università e della ricerca accademica, che costituiscono fattori abilitanti per lo sviluppo del settore biotecnologico.

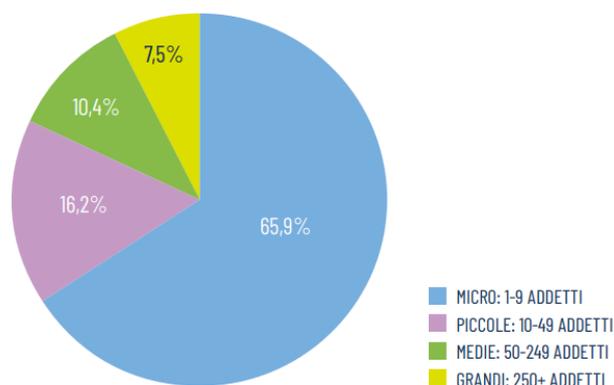
In Italia, ci sono numerose università e istituti di ricerca che si dedicano attivamente alla ricerca biotecnologica. Ad esempio, l'Istituto Italiano di Tecnologia (IIT) è un centro di ricerca di punta che si occupa di biotecnologie avanzate e altre aree scientifiche. Altre istituzioni accademiche di rilievo includono l'Università degli Studi di Milano, l'Università degli Studi di Padova e l'Università di Bologna, che hanno dipartimenti e programmi di ricerca specifici nel campo della biotecnologia.

Inoltre, l'Italia partecipa a progetti di ricerca internazionali nel campo della biotecnologia e fa parte di importanti organizzazioni scientifiche e consorzi, come l'European Federation of Biotechnology (EFB) e il Consorzio Interuniversitario Nazionale per la Biotecnologia (CIB). Ogni anno, l'Italia forma profili specifici nel campo biotech: secondo uno studio dall'Università di Bologna - AlmaLaurea, su circa 3 milioni di laureati nel periodo 2004-2018, il 7,1% di essi (9,5% uomini e 5,5% donne) risulta fondatore di oltre 236.000 imprese (pari al 3,9% del complesso delle imprese). Il 13,4% ha fondato l'impresa prima di iscriversi all'università, il 23,7% durante gli studi universitari, il 27% entro il terzo anno dalla laurea e il restante 35,9% dopo il terzo anno dalla laurea. Elevata è la presenza di start up innovative (20,2%), di cui il 24,3% opera nel settore professionale, scientifico e delle attività tecniche.

- Un tessuto industriale caratterizzato da piccole e medie imprese innovative

Il tessuto biotech nazionale è rappresentato da microimprese, seguita dalle piccole (nel complesso 82% delle imprese individuate).

Grafico 3. Distribuzione percentuale delle imprese biotecnologiche nel 2022



Fonte: BioItaly - Rapporto 2022

- **Un sistema attrattivo per le sperimentazioni cliniche**

Il settore della ricerca clinica, per diversi aspetti, è un'eccellenza del sistema scientifico ed economico in Italia, e da decenni è un motore di sviluppo ed avanzamento per l'intero Paese. In accordo all'ultimo report pubblicato da AIFA sulle sperimentazioni cliniche in Italia, nel 2019 sono state autorizzate 672 sperimentazioni cliniche: 129 (19,2%) nazionali e 543 (80,8%) internazionali. La superiorità di quest'ultime si configura come un'esportazione di servizi, contribuendo positivamente alla bilancia commerciale italiana.

Il dato del 2019 supera dell'1% il dato del 2018, attestandosi intorno al valore modale del decennio. Ciò è stato segno di rinnovata fiducia nel sistema italiano e soddisfatte aspettative di una progressiva riorganizzazione e semplificazione a livello nazionale della normativa in materia di sperimentazione clinica, in previsione dell'applicazione futura del Regolamento (UE) 536/2014, avvenuta poi il 31 gennaio scorso.

In media, il 92% dei finanziamenti diretti proviene da finanziamenti profit di aziende farmaceutiche. Da questi dati emerge un ruolo assolutamente trainante del contributo delle imprese del farmaco al finanziamento complessivo delle sperimentazioni cliniche. Le sperimentazioni cliniche generano importanti ricadute sulla filiera del settore, sia in termini di

indotto che in termini di occupazione (di circa euro 700M all'anno da parte delle aziende del settore).

L'ultima approvazione di quattro decreti attuativi per la piena implementazione nell'ordinamento del Regolamento europeo semplifica ulteriormente le procedure, valorizza l'innovazione, velocizza l'accesso alla cura per i cittadini consentirà all'Italia di essere più attrattiva e alle aziende operanti nel Paese di essere protagoniste nella ricerca in un contesto internazionale sempre più competitivo.

- **Istituzioni regolatorie eccellenti nel panorama internazionale**

L'Italia ha un quadro normativo ben definito per il settore biotech, che garantisce la sicurezza e l'efficacia dei prodotti. L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è responsabile della regolamentazione e dell'autorizzazione dei prodotti biotecnologici, assicurando che essi soddisfino gli standard di qualità richiesti.

L'AIFA è un ente pubblico che opera in autonomia, trasparenza ed economicità, sotto la direzione del Ministero della Salute e la vigilanza del Ministero della Salute e del Ministero dell'Economia e Finanze, in collaborazione con altre entità come le Regioni, l'Istituto Superiore di Sanità, gli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico, le Associazioni dei pazienti, i medici e le società scientifiche, nonché il settore produttivo e distributivo.

Le principali attività svolte dall'AIFA sono:

- Sperimentazione Clinica;
- Promozione della ricerca;
- Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC);
- Farmacovigilanza;
- Informazione;
- Governo della spesa farmaceutica;
- Ispezioni.

L'Agenzia svolge un ruolo attivo nel panorama internazionale collaborando con diverse organizzazioni e agenzie regolatorie:

- European Medicines Agency (EMA): L'AIFA collabora strettamente con l'EMA, l'agenzia regolatoria dell'Unione Europea responsabile dell'autorizzazione e della sorveglianza dei medicinali. L'AIFA partecipa ai comitati scientifici ed esercita un ruolo attivo nel processo di valutazione dei farmaci a livello europeo.
- Gruppi di lavoro europei: L'AIFA è coinvolta in vari gruppi di lavoro europei che si occupano di tematiche specifiche legate alla regolamentazione dei medicinali. Questi gruppi lavorano su questioni come l'innovazione, la valutazione dei farmaci, l'armonizzazione delle pratiche regolatorie e la farmacovigilanza.
- European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA): L'AIFA partecipa a EUnetHTA, una rete europea che promuove la collaborazione tra agenzie di valutazione delle tecnologie sanitarie. L'obiettivo è condividere conoscenze e migliorare la valutazione dell'efficacia e dell'appropriatezza dei farmaci e delle tecnologie sanitarie.
- Collaboration on HTA (HAG): L'AIFA è coinvolta nella Collaboration on Health Technology Assessment (HAG), che è una piattaforma di cooperazione tra le agenzie di

valutazione delle tecnologie sanitarie dei paesi membri dell'Organizzazione per la Cooperazione e lo Sviluppo Economico (OCSE). Questa collaborazione mira a migliorare la qualità e l'efficacia delle valutazioni delle tecnologie sanitarie.

- **Accordi internazionali:** L'AIFA ha instaurato accordi di collaborazione bilaterali con altre agenzie regolatorie internazionali, come Health Canada e la Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti. Questi accordi facilitano lo scambio di informazioni, le attività di valutazione e la cooperazione in materia di farmacovigilanza.

Attraverso la partecipazione a queste iniziative internazionali, l'AIFA contribuisce all'armonizzazione delle pratiche regolatorie, alla condivisione di conoscenze scientifiche e alla promozione di standard elevati nell'ambito della valutazione dei farmaci e della sicurezza dei pazienti.

- **Una rete di associazioni di pazienti e i cittadini che hanno sviluppato visione e competenze per generare partnership**

Le Associazioni offrono supporto alla comunità dei pazienti e delle famiglie attraverso condivisione di esperienze e buone pratiche e contribuiscono a colmare alcuni specifici bisogni informativi, partendo da un denominatore comune. Favoriscono la consapevolezza e la capacità di autodeterminazione del paziente, punto di forza indispensabile per le malattie rare; offrono un bagaglio di conoscenza diverso e complementare a quello medico e/o istituzionale, stimolando ricerche, azioni ed interventi sociosanitari.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha più volte dichiarato l'intenzione di avviare consultazioni e un coinvolgimento delle associazioni pazienti, adottando come primo strumento *Open AIFA*, iniziativa dedicata ad incontri a cadenza mensile con l'Agenzia e rappresentanti della società civile, del mondo accademico, aziende farmaceutiche per favorire un dialogo diretto e trasparente.

L'Istituto Superiore di Sanità (ISS) ha un esempio significativo di partecipazione con il proprio Centro Nazionale Malattie Rare, che coinvolge le associazioni pazienti di malattie rare nelle proprie attività. A livello europeo, l'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) prevede la partecipazione dei cittadini nell'ambito del Management Board, che vede nella sua composizione di quattro esponenti della società civile: uno delle organizzazioni dei medici e uno dei veterinari, due rappresentanti delle organizzazioni di cittadini-pazienti.

- **Un sistema finanziario solido con regole robuste e risorse disponibili**

L'Italia ha istituito programmi di finanziamento pubblico per la ricerca e lo sviluppo nel settore biotech. Ciò include fondi governativi destinati a progetti innovativi e incentivi fiscali per promuovere gli investimenti privati nel settore. A livello di governo centrale, responsabili delle politiche a supporto della ricerca e sviluppo nel settore biotech sono il Ministero della Salute, il Ministero dell'Università e della Ricerca (MUR), il Ministero dello Sviluppo Economico (MISE) e l'AIFA.

Il Programma Nazionale di Ricerca Sanitaria del Ministero della Salute, che ha avuto lo scopo di individuare le linee di indirizzo utili al potenziamento del sistema di ricerca, dettaglia sei articolazioni della ricerca biomedica perseguite nel corso del biennio 2020-2022:

- Oncologia;
- Medicina rigenerativa, trapianti d'organo e ingegneria dei tessuti;
- Neuroscienze;
- Interazioni microrganismi-ospite nella salute e nelle malattie umane e animali;
- Biotecnologie microbiche;
- Terapia genica e medicina personalizzata.

Il documento riporta anche le diverse fonti di finanziamento del Ministero della Salute, che coinvolgono anche il mondo biotech:

- La ricerca corrente

La ricerca corrente è affidata agli IRCCS e IZS (Istituti Zooprofilattici Sperimentali) ed è finanziata dal Ministero della Salute in accordo alle linee di Programmazione Triennale approvate. Le attività di ricerca Corrente degli Istituti sono valutate e finanziate secondo determinati criteri tra i quali, oltre la mera attività di ricerca scientifica, i trial clinici e il trasferimento tecnologico che pesano, ai fini del riparto del finanziamento, rispettivamente per il 10% e il 5%.

- La ricerca finalizzata

La ricerca finalizzata si attua attraverso il Bando della ricerca finalizzata. Tale bando include iniziative progettuali di ricerca biomedica innovativa, che vedano una fase di ricerca pre-clinica precedere coerentemente studi di applicazione di quanto prodotto, per cui una verifica/validazione sul paziente di quanto identificato nella parte clinica. Il bando della ricerca finalizzata è rivolto a tutti gli operatori del SSN e prevede specifiche tipologie progettuali, di durata triennale (tipologie progettuali RF, CO, GR e SG), cui vengono assegnati determinati finanziamenti.

- Il bando conto capitale

Le risorse finanziarie sono stanziare per l'acquisto di strumentazione e apparecchiature per la ricerca, finalizzate al potenziamento del parco tecnologico degli IRCCS e dell'ISS.

- Centro nazionale per la prevenzione e il controllo delle malattie

L'annuale programma del Centro Nazionale per la prevenzione e il controllo delle malattie (Ccm) è un'ulteriore fonte di finanziamento del Ministero della Salute per l'attuazione del programma attraverso l'attuazione di progetti, in collaborazione con le Regioni e i partner istituzionali. Tali si connotano come progetti di intervento e non di ricerca e, in linea generale, tutte le progettualità fanno riferimento ad aree di maggior interesse per la prevenzione, quali: ambiente e clima, bioterrorismo, incidenti, malattie infettive e diffuse, malattie croniche, promozione di stili di vita salutari, sostegno a individui vulnerabili ecc. L'interlocutore privilegiato è rappresentato dalle Regioni insieme ad altri enti partner (INAIL, ISS). Tutti i progetti sono realizzati secondo criteri precisi e standard di progettazione, prevedendo

indicatori chiave di valutazione, di processo e di risultato. Sono monitorati tramite rendicontazioni trimestrali, finanziarie e di attività.

- Piano Sviluppo e Coesione

La Delibera CIPESS n. 2 del 29 aprile 2021 ha riclassificato il Piano Operativo Salute in Piano di Sviluppo e Coesione (PSC) del Ministero della Salute. Tale programma operativo intendeva finanziare lo sviluppo e il potenziamento di infrastrutture e azioni infrastrutturali, con particolare riferimento a reti di infrastrutture innovative, per la ricerca clinica e preclinica, per la sperimentazione, per la realizzazione di prototipi e servizi tecnologici innovativi, che possano essere utilizzate contemporaneamente e congiuntamente da strutture sanitarie, da ricercatori e da strutture di ricerca pubblici e privati e da imprese.

Tra le 5 traiettorie in cui si declina il Piano, la numero 4 è interamente dedicata alle biotecnologie e alla bioinformatica in ambito di sviluppo farmaceutico. La traiettoria era la creazione di Hub delle Scienze della Vita, in cui far convergere attività di ricerca di base, preclinica e clinica per lo sviluppo di terapie innovative, attraverso il coinvolgimento di attori pubblici e privati.

Altre fonti:

- Cofinanziamento Bando MISE (bando UTT)

Il bando UTT (Utilizzo Innovativo delle Tecnologie) è un'iniziativa promossa dal Ministero dello Sviluppo Economico (MISE) in collaborazione con altre istituzioni. Questo bando prevede il cofinanziamento di progetti di ricerca e sviluppo tecnologico che promuovono l'utilizzo innovativo delle tecnologie in diversi settori industriali. Attraverso il bando UTT, le imprese possono presentare progetti che riguardano la realizzazione di nuovi prodotti, processi o servizi che sfruttano tecnologie all'avanguardia. Questi progetti devono essere caratterizzati da un forte potenziale di innovazione e devono rispondere a specifici fabbisogni del mercato. I progetti selezionati possono beneficiare di un cofinanziamento da parte del MISE, che contribuisce a sostenere le attività di ricerca e sviluppo dell'impresa.

- Azioni congiunte europee (EU partnership)

Le azioni congiunte europee, o partnership europee, sono iniziative collaborative che coinvolgono diversi paesi dell'Unione Europea per affrontare sfide comuni e raggiungere obiettivi condivisi. Queste partnership sono strumenti strategici utilizzati dalla Commissione Europea per promuovere la cooperazione e la convergenza tra gli Stati membri in specifici settori di interesse. Esse coinvolgono attori pubblici e privati, come governi nazionali, istituti di ricerca, università, industria e società civile, e mirano a promuovere la collaborazione, lo scambio di conoscenze, la condivisione delle risorse e lo sviluppo congiunto di soluzioni innovative. Vengono solitamente implementate attraverso programmi di finanziamento specifici, come Horizon Europe (il programma quadro europeo per la ricerca e l'innovazione) o altri strumenti finanziari dell'Unione Europea. Questi programmi forniscono risorse finanziarie per sostenere progetti di ricerca congiunti, programmi di formazione, sviluppo tecnologico, infrastrutture e altre iniziative volte a raggiungere gli obiettivi stabiliti dalla partnership. L'obiettivo principale delle azioni congiunte europee è promuovere la

cooperazione transnazionale, stimolare l'innovazione, favorire lo sviluppo economico sostenibile e affrontare sfide comuni che richiedono un approccio integrato e coordinato a livello europeo. La Commissione Europea ha inserito il biomedicale tra le tecnologie abilitanti chiave per le traiettorie di sviluppo economico che supporteranno il nostro continente nel recuperare una propria sovranità tecnologica nelle catene globali del valore.

- Bandi progetti collaborazione MAECI

Il Ministero degli Affari Esteri e della Cooperazione Internazionale (MAECI) promuove diversi bandi per progetti di collaborazione internazionale. Questi bandi offrono finanziamenti e sostegno a iniziative che promuovono la cooperazione bilaterale e multilaterale, lo sviluppo sostenibile, la promozione della cultura e della lingua italiana, nonché la promozione dei diritti umani e della democrazia.

- Ricerca indipendente - AIFA

L'AIFA ha un proprio bando a scadenza annuale con cui finanzia studi clinici "no profit" indirizzati a studiare:

- farmaci rari e malattie rare;
- relazioni tra medicinali per dimostrare il valore terapeutico aggiuntivo;
- l'appropriatezza prescrittiva per ottimizzare le strategie terapeutiche;
- il profilo di sicurezza dei farmaci e promuovere una corretta informazione.

Il Bando è destinato a tutti i ricercatori italiani, di associazioni pubbliche e no profit, finanziato da una quota del fondo pari al 5% delle spese promozionali sostenute dalle Aziende Farmaceutiche. Inoltre, il Bando può anche finanziare progetti strategici occasionali, concordati con il Ministero della Salute e finanziati nell'ambito dei fondi confluiti nella "Riserva straordinaria per attività istituzionale" dell'Agenzia.

- Risorse Regionali

In accordo alla riforma del titolo V della Costituzione, le Regioni hanno competenza legislativa concorrente in materia di ricerca sanitaria e sono titolate ad intervenire nel settore della ricerca e dell'innovazione. In particolare, esse hanno la facoltà di stanziare fondi propri per la ricerca e hanno un ruolo strategico poiché partecipano alla gestione dei fondi strutturali europei attraverso le cosiddette Strategie Regionali dell'Innovazione.

- Fonti di Finanziamento dei privati

Gli enti privati erogatori di finanziamenti per la ricerca sanitaria si distinguono in profit e no profit. Gli investimenti no profit comprendono le grandi fondazioni bancarie, ed alcune fondazioni ed associazioni che raccolgono fondi dai cittadini e altri donatori. La raccolta dei fondi è sostenuta anche con il meccanismo del 5 per mille, attraverso il quale i cittadini possono destinare una parte dell'IRPEF ad enti di ricerca o associazioni che sostengono la

ricerca. Una parte importante di investitori profit è rappresentata dall'industria farmaceutica e delle tecnologie mediche che finanzia l'attività di ricerca sanitaria, sia per attività di ricerca intramurale, sia per progetti di ricerca, come i trial clinici, svolti da enti di ricerca esterni e interni di strutture sanitarie.

Volgendo lo sguardo alle imprese high-tech, il biomedicale è il settore che attira la maggior parte degli investimenti privati: nel primo semestre 2022, il settore medicale è il quinto settore italiano per concentrazione di investimenti di venture capital (8,9% dei 10.863 milioni di euro investiti complessivi tra gennaio e giugno).

Il Piano Nazionale Ripresa e Resilienza (PNRR) menziona le biotecnologie farmaceutiche nello specifico della Missione Salute facendo riferimento all'ecosistema innovativo della ricerca. All'interno della sola Missione Salute sono state stanziare risorse ad hoc per la creazione di un centro nazionale pandemico e per il Biotecnopolo di Siena, per la creazione di un hub per gli ATMP e per la diagnostica avanzata e per la creazione di una rete di trasferimento tecnologico proprio nel campo delle life science che metterà a sistema tutti gli IRCSS e le maggiori università. Il PNRR, quindi, rappresenta per gli investitori la possibilità di attingere a un funding strutturato per le imprese che fanno Ricerca e Sviluppo e che vogliono vincere le sfide che il mercato pone.

Il MUR è a capo del Programma Operativo Nazionale (PON) ricerca e innovazione sin dal 2000. Per quanto riguarda le facoltà di finanziamento, dal MUR dipendono l'allocazione del Fondo ordinario per gli enti e le istituzioni di ricerca, del Fondo per il finanziamento dei dipartimenti di eccellenza e del Fondo per il finanziamento delle attività base di ricerca. Il Piano Nazionale per la Ricerca 2021-2027 così definisce la necessità di occuparsi del comparto delle biotecnologie mediche: "le potenzialità delle nuove biotecnologie potranno generare innovazione e un reale miglioramento della salute dei cittadini solo in un contesto di innovazione, anche nel campo delle teorie e delle ipotesi che negli ultimi decenni hanno guidato la ricerca scientifica. L'innovazione tecnologica, infatti, per portare benessere e salute ai cittadini, deve necessariamente accompagnarsi a innovazione delle idee e a nuovi paradigmi della conoscenza scientifica per superarne i limiti concettuali".

Al MUR inoltre fa capo ALISEI, il cluster tecnologico nazionale dedicato alle scienze avanzate della vita.

Anche nella Missione 4 del PNRR, Istruzione e Ricerca, afferente al MUR, sono diverse le risorse stanziare per supportare la creazione di ecosistemi innovativi nel campo delle scienze della vita. Si tratta di investimenti complessivi che superano il miliardo di euro e riguardano, in particolare:

- Il centro nazionale per l'RNA e le terapie avanzate.
- L'ecosistema toscano life science
- L'ecosistema lombardo con focalizzazione sul settore delle life sciences.
- I partenariati estesi per nuovi patogeni e infettivologia, per le neuroscienze e i neurofarmaci, per l'invecchiamento e per la diagnostica avanzata e medicina di precisione.

Infine, il MISE coordina il PON Imprese e Competitività e PON Iniziativa PMI. Negli anni passati, un contributo sostanziale alle attività di ricerca e sviluppo è venuto dal Piano Nazionale Industria 4.0: attraverso questo insieme di misure, si introducevano agevolazioni fiscali per le attività di R&D e per le imprese ad alto contenuto innovativo.

Nel 2022, il MISE ha istituito il Fondo Industriale per lo Sviluppo Biomedico e, in collaborazione con l' Agenzia nazionale per le nuove tecnologie, l'energia e lo sviluppo economico sostenibile (ENEA), La fondazione dispone di una dotazione finanziaria di 500 milioni di euro e ha lo scopo di sostenere gli investimenti in attività di ricerca e trasferimento tecnologico, secondo una logica di innovazione aperta che coinvolge PMI, startup innovative e università.

1.3. Focus sulle sperimentazioni cliniche: evidenze dallo studio ALTEMS

L'importanza ed il valore delle sperimentazioni cliniche per il sistema Italia sono ormai riconosciuti. L'impegno finanziario diretto per le sperimentazioni cliniche da parte delle aziende farmaceutiche operanti in Italia viene stimato in € 700 milioni all'anno. Oltre ai costi di struttura, inclusi quelli per il personale, le aziende farmaceutiche promotrici di studi clinici, per eseguire una sperimentazione clinica presso un centro, erogano alla struttura sanitaria ospitante sia un investimento Diretto in denaro, che compensa interamente tutte le spese emergenti dello studio, che, per la normativa vigente, non possono gravare sul Servizio Sanitario Nazionale (Ssn), sia un investimento Indiretto, anche tramite la fornitura di tutti i farmaci sperimentali e di controllo necessari per la gestione dei pazienti. Ciò si traduce in costi evitati per il Ssn e si realizza così un effetto leva, tale per cui per ogni euro di investimento, si realizza un'utilità economica più ampia. Secondo il Report Annuale del Laboratorio sul Management delle Sperimentazioni Cliniche (Lab MSC), che presenta i risultati della ricerca Averted Costs 2021, sulla stima dei costi evitati per i farmaci forniti dagli sponsor negli studi clinici da loro promossi, nel periodo 2017-2020, su un totale di quasi € 314 milioni rilevati come investimento diretto, sono stati misurati più di € 623 milioni di investimento Indiretto, con un effetto leva pari a 2,95. Questo indica che per ogni euro investito erogato dalle aziende sponsor per studi clinici, il Ssn realizza un vantaggio complessivo di quasi 3 euro. Considerando anche gli studi monobraccio o con placebo, che comunque forniscono un trattamento ai pazienti, l'investimento indiretto totale è stato di €744 milioni, con un effetto leva di 3,44, anche con un calcolo conservativo. Tali risultati indicano grandezze di rilievo macroeconomico, che confermano l'assoluta rilevanza del settore della ricerca clinica per il sistema italiano ed il fondamentale contributo delle aziende farmaceutiche operanti in Italia. Nella ricerca 2021, inoltre, il campo di indagine è stato allargato, in via sperimentale, anche ai costi evitati per le prestazioni diagnostiche e di laboratorio. Da questa analisi preliminare emerge l'indicazione che i trial clinici apportano ulteriori benefici potenziali sia al Ssn, sia ai centri sperimentali coinvolti e ai pazienti arruolati, anche grazie alle prestazioni diagnostiche, alla copertura del percorso paziente standard ed al surplus di prestazioni fornite ai pazienti.

Nel 2022, Il Laboratorio sul Management delle Sperimentazioni Cliniche di ALTEMS - Università Cattolica del Sacro Cuore, in collaborazione con Farindustria, ha introdotto l'Indicatore sullo Stato del Settore della Ricerca Clinica in Italia, con l'obiettivo di costituire uno strumento di interlocuzione tra e con tutti gli attori in gioco in questo importante asset del sistema Paese.

È stato costruito un questionario online di 60 domande (50 a risposta chiusa e 10 a risposta aperta) per misurare le diverse prospettive del settore, tra cui le aspettative degli operatori, le tendenze in atto e la competitività del sistema Italia. Il Questionario è sottoposto ogni 9 mesi circa ad un Panel di 198 esperti, operanti sia nel settore privato sia in quello pubblico del settore della Ricerca Clinica italiana. L'Indicatore può assumere un valore compreso tra -100% e +100%, dove il limite inferiore indica un atteggiamento del panel massimamente pessimista, mentre il limite superiore indica un atteggiamento massimamente ottimista. Un valore intorno allo zero indica un atteggiamento neutrale, che include le mancate risposte.

Complessivamente, l'Indicatore è risultato pari a -6,49%, indicando un atteggiamento leggermente pessimista.

Nel Report sono riportate anche i risultati dell'Indicatore per le diverse prospettive in cui è articolato il Questionario e per diversi focus tematici trasversali.

Le diverse prospettive prese in esame sono:

1. Sviluppo e Competitività
2. Punti di Forza e Criticità
3. Obiettivi ed Azioni
4. Valore Futuro

I Temi descrivono argomenti di interesse più circoscritto, trasversali a tutte le Prospettive, e sono:

1. Studi Profit ed Industria Farmaceutica
2. Studi No Profit
3. Centri sperimentali e conduzione degli studi clinici
4. Gestione degli studi clinici
5. Competitività del sistema Paese
6. Politica, Economia, Legislazione
7. Impatto della pandemia COVID-19

Come risultati, emergono posizioni fondamentalmente bilanciate nelle prospettive "Sviluppo, e Competitività" e "Valore e Futuro", con valori positivi di poco superiori a zero, rispettivamente di 4,3% e 1,2%. D'altra parte, lo score delle restanti prospettive "Punti di Forza e Criticità" e "Obiettivi e Azioni" si colloca più nettamente in campo negativo, con valori inferiori a -10%, indicando un'opinione più pessimista riguardo sia l'evoluzione dei noti punti di debolezza, sia la capacità del sistema Paese di implementare le azioni necessarie a conseguire gli obiettivi di miglioramento identificati.

L'analisi per temi, invece, ha confermato punti discussi da tempo, ma che non hanno trovato sinora una soluzione efficace, come ad esempio:

- Lo scarso rapporto tra Aziende e Istituzioni;
- Una normativa specifica troppo restrittiva o onerosa, soprattutto per studi di Fase I;
- La necessità di migliorarne l'organizzazione delle eccellenze dei Centri italiani di sperimentazione, uniformando processi e procedure, al fine di mitigarne la disomogeneità e le peculiarità, così come l'organizzazione dei Comitati Etici italiani, reputata inadeguata a sostenere l'eccellenza delle strutture;

- Un atteggiamento pessimista sull'attuale crisi economica, con la temuta contrazione degli investimenti, contrastata però da un atteggiamento positivo verso la considerazione del contributo del PNRR allo sviluppo del settore.

La misurazione della loro percezione e la segmentazione per i diversi componenti del settore forniscono un inedito valore aggiunto che può supportare il dialogo e contribuire efficacemente al miglioramento della situazione attuale.

2. Il biotec in italia: criticità e prospettive

2.1. Punti di forza e debolezza del sistema italiano delle life sciences

Il settore delle imprese biotech può essere visto come un'opportunità per ridisegnare e ripensare il sistema sanitario italiano.

Le scienze per la vita sono al centro dell'attuale rivoluzione industriale. Basti pensare alle nuove opportunità di cura che arrivano dai farmaci innovativi, dai farmaci orfani, dalle terapie avanzate e geniche, le terapie cellulari, l'editing genetico e i nuovi sistemi di diagnosi predittiva oggi integrati con l'intelligenza artificiale. Non solo: le nuove biotecnologie permettono già oggi un approccio alle cure personalizzato e a vantaggio di tutti, dai pazienti oncologici ai malati rari.

Il capitale umano che l'Italia ha a disposizione è un prezioso aiuto per conseguire obiettivi tra loro complementari. In primo luogo, le competenze scientifiche e professionali sono in grado di sostenere la trasformazione dei sistemi produttivi per garantire la competitività nei prossimi anni. Al tempo stesso, l'investimento per lo sviluppo dello stesso capitale umano, permette di costruire i presupposti per efficientare il sistema mantenendo intatta la sua impronta universalistica garantendo così ai cittadini accesso alle terapie più innovative in una strategia *win-win*.

Nonostante il personale coinvolto, composto non solo da ricercatori ma anche da altre figure professionali, sia molto spesso in condizioni economiche precarie, i risultati in termini di produzione di innovazione sono evidenti: in Europa, i ricercatori italiani senior sono terzi per premi Erc (*European Research Council*) ottenuti e l'Italia è tra i primi paesi che sviluppano in ambito farmaceutico, specialmente nelle malattie rare, con una percentuale di trial nel 2021 di 46%, contro il 39% della Germania, il 38% della Francia e il 36% del Belgio.

Ciò è indice da parte del paese di una forte capacità di ottimizzazione delle risorse.

Nonostante questi successi, la strada da fare per garantire un percorso efficiente delle imprese biotech in Italia per il prossimo decennio è ancora lunga e gli ostacoli sono molteplici: manca la capacità di fare sistema, supportata da una visione funzionale delle regolamentazioni a sostegno dello sviluppo; esistono ostacoli imprenditoriali delle *start up* per evolversi da piccole e medie imprese a solide e stabili aziende leader nel settore per una continua ricerca all'innovazione, supporto alla scienza e necessità di un grande capitale; la necessità di una normativa che proceda di pari passo all'innovazione; la messa a disposizione di incentivi pubblici e privati.

Il concetto di velocità, quindi, non può essere scisso da quello di competizione, anche in termini di accelerare sui decreti attuativi dei regolamenti sia italiani (Testo unico per le malattie rare, Pdta personalizzati) ma soprattutto europei (Regolamento europeo sulla sperimentazione clinica) e sulla rapida allocazione di risorse e investimenti, altrimenti vi è il rischio di perdere importanti centri di sperimentazione in Italia a favore di altri paesi che sono stati più veloci nell'implementazione dei propri sistemi normativi.

È necessario creare un ecosistema della salute che integri la ricerca, sia pubblica che privata, con il tessuto industriale, per concorrere insieme allo sviluppo economico: solo la stretta collaborazione

tra ricerca e produzione può creare valore. Tale concetto è maggiormente valido in un settore caratterizzato da piccole e medie imprese, come lo è il mondo biotech.

Le Istituzioni hanno un ruolo chiave nella creazione di un ecosistema favorevole all'innovazione attraverso interventi volti a semplificare la burocrazia, incentivare gli investimenti e favorire la collaborazione.

Occorre, quindi, diffondere una cultura di collaborazione per sviluppare programmi di ricerca congiunti, volti allo sviluppo di terapie innovative: il nuovo polo biotecnologico di Siena è un esempio favorevole della collaborazione tra il ministero dello sviluppo economico e il ministero dell'università, così come la partecipazione del ministero della salute al bando congiunto dello sviluppo economico in merito al trasferimento tecnologico.

Poiché la natura umana tende ad essere avversa all'innovazione e al cambiamento, è fondamentale preparare la società e dimostrare quanto l'innovazione apporti benefici, promuovendo costantemente l'educazione che deve essere da un lato compresa e dall'altro saper essere spiegata.

Le università, quindi, ha il ruolo chiave di formare studenti con competenze adeguate al mondo del lavoro, investire in ricerca, incentivare i ricercatori e tutelare la proprietà intellettuale e dotarsi di competenze per sviluppare processi di trasferimento tecnologico, per concretizzare i risultati dalla teoria (ricerca biofarmaceutica) alla pratica (farmaco biotech di ultima generazione).

Caratteristica peculiare del mondo biotech è il ruolo del paziente: la condivisione e la collaborazione è alla base. Si parla di mettere a disposizione nuove terapie in grado di cambiare la vita delle persone, in particolare nelle aree terapeutiche caratterizzate da bisogni insoddisfatti di salute come le patologie oncologiche o le malattie rare.

2.2. Attrattività economica e legittimazione istituzionale

Il migliore posizionamento dell'Italia nel variegato settore delle scienze della vita passa per due determinanti fondamentali:

- l'attrattività del Paese verso gli investitori, nazionali ed internazionali;
- l'attenzione che le istituzioni e la società manifestano nei confronti del valore generato dal settore.

In merito al primo aspetto, l'attrattività è determinata da una dimensione del mercato interno robusta ed in crescita e di un export altrettanto dinamico.

La pandemia da Covid-19 ha messo a dura prova l'economia del paese, ma per il mercato farmaceutico è stata l'occasione per crescere e raddoppiare in termini di punti percentuali.

Il farmaco biotech è uno degli elementi caratterizzanti la crescita dell'industria farmaceutica in Italia, caratterizzata da una pipeline significativa di prodotti in via di sviluppo di questo tipo. Il fatturato 2021 del settore biotech-salute, infatti, è stato di 7,5 miliardi di euro, l'ambito più redditizio, corrispondente al 75% del fatturato totale di tutto il mercato biotech. A testimonianza di ciò, le Startup innovative del settore in Italia sono più che raddoppiate. Sono soprattutto terapie innovative (Atmp) ad essere al centro della ricerca, e si possono suddividere in terapia cellulare, ingegneria tessutale e terapia genica. L'ultima è la più conosciuta ed ha lo scopo di correggere difetti genetici scatenante la patologia, con tecniche di editing genomico, in primis la Crispr-Cas9, una sorta di sorta

di forbice molecolare in grado di “tagliare e ricucire” un DNA. Tale innovazione tecnologica sta rivoluzionando la pratica clinica per malattie come le immunodeficienze primarie, malattie neurodegenerative, malattie metaboliche, tumori solidi ed ematologici, malattie autoimmuni e patologie del sistema neuromuscolare.

In virtù di un ampio bagaglio di competenze e a una filiera forte e diversificata sia nelle tipologie di aziende sia nelle fasi produttive, la capacità delle imprese di coniugare alti livelli di qualità, innovazione, investimenti, produttività ha sostenuto lo sviluppo del settore e l’attrazione di rilevanti investimenti. Ciò è testimoniato dall’aumento dell’export negli ultimi 10 anni, di gran lunga superiore agli altri stati europei (+117% rispetto a +103% per la media di Germania, Francia, Spagna, Belgio, Irlanda). Dal 2016 al 2021 il valore medio dei farmaci esportati è cresciuto del 52%, più del totale Ue (+35%). L’innovatività delle produzioni ha così determinato un surplus estero di medicinali e vaccini pari a 18 miliardi di euro in tre anni.

Il sistema nazionale delle biotecnologie si sta progressivamente legittimando presso le istituzioni del Servizio sanitario nazionale ma anche verso quelle che sovrintendono al sistema economico. Il valore generato dalla ricerca scientifica per il Ssn appare sempre più evidente e il periodo pandemico ha rafforzato questa convinzione. La ricerca scientifica garantisce ai pazienti le migliori opportunità di cura e assistenza sanitaria in tempi più brevi nonché una maggiore competitività dell’Italia a livello globale. Non sono però da sottovalutare le dirette ricadute economiche degli investimenti che il sistema delle biotecnologie sanitarie produce. Un esempio eclatante è l’effetto leva generato dalle sperimentazioni cliniche in Italia. Il Report 2021 prodotto dal Laboratorio sul Management delle Sperimentazioni Cliniche ha mostrato come l’investimento industriale fatto per le sperimentazioni cliniche genera un forte effetto leva: un euro investito in uno studio clinico, infatti, ne genera quasi 3 (2,95) in termini di benefici economici per il Servizio Sanitario Nazionale. Tale effetto leva raggiunge 3,35 euro nelle sperimentazioni per prodotti in ambito oncologico. In alcuni settori i ritorni sono nettissimi: è stato stimato, soltanto nell’area dell’oncoematologia, un risparmio potenziale di circa 400 milioni di euro annui.

Un ulteriore fattore di “legittimazione” del settore biotecnologico sul fronte economico e sociale è dato dall’impatto crescente sull’occupazione, soprattutto di quella dei giovani.

Tra il 2016 e il 2021 l’industria farmaceutica si conferma la fonte di occupazione prioritaria tra tutti i settori: +8,5% rispetto a +1,1% della media, soprattutto grazie a settori quali R&S, produzione e personale di sede. Si è registrato inoltre un picco del +13% sia dei giovani under 35 e dell’occupazione femminile. Il 43% degli impiegati nel settore è donna, con una percentuale identica tra dirigenti e quadri, e in Ricerca e Sviluppo la percentuale sale al 51%.

Nel 2021 gli addetti farmaceutici sono stati stimati a circa 67 mila lavoratori, per il 90% laureati e diplomati, una percentuale di assorbimento di laureati molto più alta rispetto al 63% della media dell’industria nel suo complesso.

Questi elementi, insieme a molti altri, mostrano come il settore stia generando sul campo le motivazioni per ricevere un forte supporto da parte del sistema economico, della società e dell’opinione pubblica.

3. Biotech: una roadmap per l'Italia

3.1. Gli stakeholder a confronto per costruire la roadmap

Con il contributo non condizionato di Argenx, ALTEMS ha promosso una riflessione sull'attuale momento del biotech sanitario in Italia. Sulla base di una analisi del contesto condivisa con i principali interlocutori del sistema, è stato costruito un workshop per raccogliere pareri circa le debolezze e le forze che caratterizzano oggi il settore del biotech italiano. Quanto sopra riportato, infatti, mette in evidenza come quello attuale rappresenti un raro momento di svolta nello scenario europeo e internazionale. L'Italia, infatti, può far leva su indiscutibili assetti che possono garantire un grande potenziale di crescita laddove si possano affrontare e sciogliere i nodi che ancora limitano la crescita del settore.

Obiettivo della discussione, che si è tenuta il 18 ottobre 2022, era quello di disegnare una "road map" in grado di delineare i passi essenziali e condivisi dai diversi attori del sistema per portare l'Italia a giocare un ruolo di "hub" nelle biotecnologie sanitarie nei prossimi anni.

ALTEMS ha infatti portato intorno al tavolo scienziati, accademici, regolatori, istituzioni, industria ed associazioni dei pazienti, ponendo a tutti le medesime domande. L'Italia ha le potenzialità per accrescere il proprio ruolo nel settore biotecnologico mondiale? Quali sono i punti di forza e di debolezza del sistema, e quali le minacce e le opportunità? Quali sono le criticità da sorpassare e le priorità da dare alle azioni in grado di eliminare le barriere? Quale quindi il percorso da compiere nei prossimi 5 anni?

Partendo dagli interventi dei partecipanti al workshop è stato possibile ricostruire la "Roadmap per l'Italia".

3.2. La mappa e le sue milestones

Per fare dell'Italia il centro d'elezione europeo per innovazione e sviluppo per le biotech, di rilevanza sono 8 i passi da compiere

1. Delineare una esplicita politica industriale per la salute

Il sostegno alla filiera nazionale della salute è un dovere e una priorità anche a seguito della Pandemia di Covid-19. Per raggiungere questo obiettivo, è necessaria una visione molto chiara che metta insieme il diritto alla tutela della salute, il diritto alla ricerca e il valore dell'innovazione.

La salute non è solo assistenza ma è anche sviluppo ed occupazione. Per l'attuazione di politiche concrete, bisogna avere una visione complessiva del sistema, non più separata a silos, in modo tale da aiutare le piccole e medie imprese ad incentrarsi sull'innovazione.

La proposta è stata quella dell'istituzione di una cabina di regia, in grado di fornire la linea strategica industriale del Paese rispetto alle priorità della ricerca. Importante è lavorare come sistema-paese, guardando all'uniformità dei processi, rafforzando i punti di forza che esistono e fornendo gli strumenti mancanti. In tale ottica, la collaborazione virtuosa pubblico e privato è essenziale.

Possiamo affermare che la sollecitazione giunta ad ottobre 2022 ha trovato già una prima risposta con l'istituzione di un tavolo presso il Ministero dello Sviluppo Economico e del Made in Italy nel

marzo 2023 [<https://www.mise.gov.it/it/notizie-stampa/mimit-al-via-il-primo-tavolo-su-farmaceutica-e-biomedicale>].

2. Investire nella ricerca

Tale concetto ha bisogno di una spinta centrale perché dev'essere una priorità di coordinamento delle varie politiche.

È fondamentale essere rapidi, incentivare gli investimenti in ricerca e sviluppo nel settore biotech per produrre soluzioni terapeutiche efficaci per molte malattie rare dove la cura è ancora lontana. Le malattie rare sono circa 8000 e impattano in Italia non meno di 2 milioni pazienti. Essendo malattie diverse, con esigenze differenti tra loro e impattanti su un numero relativamente piccolo di persone e di famiglie, solo il 5% dispone di una terapia approvata.

In tale ottica rientra il potenziamento degli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS), la cui riforma mira a rendere gli IRCCS sempre più in grado di portare l'innovazione terapeutica ai pazienti, facilitare lo scambio di competenze specialistiche tra gli IRCCS stessi e con le altre strutture del Ssn [legge 3 agosto 2022, n. 129].

C'è bisogno di rendere allo stesso tempo qualitativamente attrattivo il lavoro dei ricercatori e del personale di ricerca, garantendo il reale funzionamento delle strutture e fornendo adeguati incentivi economici e di carriere tali da limitare i trasferimenti all'estero dei migliori cervelli.

3. Promuovere un modello industriale maturo

L'esistenza di tante startup interessanti dal punto di vista scientifico ma non contestualizzate rischia di non valorizzare le ricerche più interessanti e facendo così perdere l'opportunità di coglierne le potenzialità. È necessario approfondire le dinamiche industriali che caratterizzano la nascita, lo sviluppo e in alcuni casi il declino e la scomparsa della miriade di iniziative imprenditoriali che nascono spesso da personale di ricerca ma che non sviluppano quelle caratteristiche utili ad un percorso virtuoso.

4. Promuovere la cooperazione tra industria ed università

Nonostante se ne parli da per lo meno due decenni, la partnership academia-industria ancora oggi fatica ad ottenere piena legittimazione e quindi sviluppo. Occorre, innanzitutto, incentivare la produzione scientifica e valorizzare la proprietà intellettuale dei ricercatori.

È necessario lo snellimento e l'armonizzazione delle procedure burocratiche e la definizione di linee guida che regolino in maniera chiara i rapporti tra istituti accademici ed industria.

L'Università deve aggiornare i propri programmi formativi, mentre l'impresa deve collaborare per offrire una formazione sul campo e creare le competenze per i lavori di domani. Intraprendere un percorso formativo nelle biotecnologie rappresenta un'opportunità per il futuro dei giovani. Si deve avere una grande ricerca di base affiancata da esperto di trasferimento tecnologico che sappia orientare il ricercatore per creare una realtà nel biotech.

Ciò dovrebbe avvenire sia con dialogo con controparte industriale, sia dando anche la possibilità alla parte pubblica di dare una quota di fonti per poter fare ricerca di base e fondare *spinoff* che si rivolgono all'impresa, soprattutto per prodotti considerati meno attrattivi (es. antibiotici di nuova generazione).

5. Garantire le competenze per il trasferimento tecnologico

È importante fondare un centro competenze per il trasferimento tecnologico. Il trasferimento tecnologico è il processo che permette la trasformazione dei risultati della ricerca biofarmaceutica in una nuova terapia o farmaco. La diffusione e l'efficienza dei processi di trasferimento tecnologico sono una priorità per supportare l'innovazione nel settore biofarmaceutico; Università ed enti di ricerca si devono dotare di competenze nella valutazione della potenzialità di nuove scoperte, nella tutela della proprietà intellettuale e nello sviluppo di accordi con le imprese. Diffondere processi di trasferimento tecnologico permetterebbe all'Italia di mantenere un ruolo competitivo nel settore biofarmaceutico a livello globale.

6. Ricerca dell'equilibrio tra promozione dell'innovazione, accessibilità alle cure e sostenibilità del Ssn

Il Servizio sanitario nazionale è il primo e principale interlocutore commerciale delle aziende del settore biotech in Italia. La crescita del settore e la sua attrattività a livello internazionale passa anche per la capacità del sistema sanitario e dei pazienti italiani di poter beneficiare in via prioritaria dei prodotti generati dalla filiera delle life sciences. È evidente che, essendo nella maggior parte dei casi farmaci per terapie avanzate, sussiste un problema generale di accesso per via dei costi di ricerca e produzione delle soluzioni innovative che spesso riguardano malattie rare e piccole popolazioni, circostanza che rende molto spesso difficile il mantenimento degli equilibri economico-finanziari. Le terapie biotecnologiche, così come quelle "avanzate" (le ATMPs) si caratterizzano per costi elevati associati ad una efficacia che spesso permette di assicurare la guarigione o comunque una modifica sostanziale della storia naturale di una patologia per popolazioni sempre più ampie. È quindi necessario adottare modalità innovative per l'analisi del valore di queste tecnologie ai fini del loro rimborso, considerano anche la capacità che molte terapie hanno di restituire rapidamente i pazienti alla vita familiare, sociale e lavorativa con benefici economici consistenti dovuti alla riduzione della perdita della produttività e connessi anche alla riduzione di spesa per l'ente previdenziale. Per tale motivo è auspicabile rendere la società partecipe del processo, in un'ottica di sviluppo sistema-paese, e coinvolgere tutti gli stakeholder.

In aggiunta, nonostante l'innovatività riconosciuta da parte dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), che dovrebbe accelerare l'introduzione sul mercato dei farmaci orfani (in maggioranza di natura biotecnologica), il processo di Prezzo e Rimborso (P&R) si dimostra altrettanto lungo e variabile come nel caso dei farmaci non-orfani. La mancanza di un sistema che consenta un accesso rapido alle terapie innovative, a causa del periodo di negoziazione, pone l'Italia in svantaggio rispetto ad altri paesi europei che invece prevedono tempi di accesso al mercato più brevi.

Nell'ottica di garantire un accesso omogeneo alle terapie farmacologiche da parte dei pazienti, in tempi uniformi e utili all'innovazione e, al contempo, sostenibilità del sistema, è auspicabile adeguare il percorso di accesso per i farmaci innovativi a quello di Germania o Francia, in cui la rimborsabilità è immediata in seguito all'approvazione dell'Agenzia Europea del Farmaco (EMA), salvo successiva negoziazione del prezzo definitivo di accesso al sistema pubblico.

7. Un contesto regolatorio rigoroso ed efficiente

Se non si troviamo soluzioni adatte a questo tipo di sviluppo rapido, vi è il rischio che alcune aziende si perdano nelle maglie troppo strette della burocrazia; molte biotech europee hanno lasciato il paese favorendo il mercato americano e orientale, determinando di fatto una “sconfitta” per l’Europa.

Abbiamo bisogno di una visione alta, di una strategia di riqualificazione europea e di una produzione di filiera. La soluzione deve partire da obiettivi a livello europeo, ricercando i virtuosismi, anche nelle policy, per attrarre gli investimenti.

Bisogna abbandonare quei livelli burocratici che, a livello regionale, possono determinare un ostacolo per l’innovazione.

8. Ruolo dei Comitati Etici

I comitati etici sono organismi che hanno la responsabilità di garantire la tutela dei diritti, della sicurezza e del benessere delle persone in sperimentazione e di fornire pubblica garanzia di tale tutela. Possono svolgere anche funzioni consultive in relazione a questioni etiche connesse con le attività scientifiche e assistenziali, allo scopo di proteggere e promuovere i valori della persona.

In virtù del loro ruolo, tali comitati, soprattutto per farmaci biotech, devono essere necessariamente supportati poiché il coinvolgimento attivo dei pazienti nella fase di progettazione, sviluppo ed implementazione della tecnologia biotech favorirebbe la diffusione delle opportunità di salute che le tecnologie biotech assicurano, nonché il superamento di possibili problematiche e insuccessi durante l’iter sperimentale.

I protagonisti del dibattito

1. Marco Baccanti - *Direttore Generale Enea Tech Biomedical*
2. Marcello Cattani - *Presidente Farmindustria*
3. Americo Cicchetti - *Direttore ALTEMS, Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari, Università Cattolica del Sacro Cuore*
4. Silvia Chirolì - *CM argenx*
5. Luca Coletto - *Responsabile dipartimento Sanità Lega*
6. Annarita Egidi - *Componente Consiglio di Presidenza Federchimica Assobiotec*
7. Carlo Ferro - *Presidente Agenzia Istituto per il Commercio Estero*
8. Leonardo Giagnoli - *Amministratore Delegato di Italia Angels for Growth*
9. Fabrizio Greco - *Presidente Assobiotec, AD di AbbVie Italia*
10. Andrea Grignolio - *Docente di Storia della Medicina e Bioetica all’Università Vita- Salute S.Raffaele di Milano, Ricercatore CNR*
11. Giovanni Leonardi - *Segretario Generale Ministero della Salute*
12. Beatrice Lorenzin - *Coordinatrice Forum tematico Politica Sanitaria PD*
13. Renato Mantegazza - *Direttore Dipartimento Ricerca e Sviluppo Clinico, Istituto neurologico Besta*
14. Giorgio Palù - *Presidente AIFA*
15. Annamaria Parente - *Responsabile Sanità Italia Viva*
16. Eva Pesaro - *Vice Presidente UNIAMO*
17. Elisa Pirro - *M5S*