

Verso un'era di farmaci nuovi

di Maria Luisa Nolli

Non passa settimana che non si legga sui giornali, dai quotidiani, ai settimanali, alle riviste, un articolo o un'intervista riguardante qualche scoperta scientifica in campo biotecnologico/biomedico. Questo tipo di comunicazione, che fino a qualche anno fa era sporadica e quasi interamente legata alle riviste specializzate, oggi è diffusa a tal punto che le parole gene, proteina, anticorpi, cellule staminali sono entrate nel linguaggio comune.



In questi ultimi anni è in atto una campagna di sensibilizzazione dell'opinione pubblica sulla ricerca biotecnologica e biomedica che si spera abbia l'effetto di aumentare i finanziamenti da destinare alla ricerca in questo settore che, da quando si sono intrapresi gli studi sulla mappatura del genoma umano, è in rapidissima evoluzione. I risultati più importanti consistono nell'individuazione di geni responsabili di funzioni che regolano il corretto funzionamento di vie metaboliche e la cui mancanza o alterazione provoca patologie ad oggi irrisolte. Elucidata la sequenza del Dna di questi geni dovrebbe essere possibile progettare innovativi farmaci mirati. Il campo della diagnostica è quello che sta beneficiando ormai da un decennio delle scoperte della biologia molecolare e degli studi sulla sequenza del genoma umano. Tutti capiamo che una tempestiva e corretta diagnosi di potenziali patologie è una premessa necessaria ad una corretta terapia. L'individuazione delle sequenze geniche che modulano determinate funzioni e la correlazione tra i prodotti di questi geni e determinate patologie ha portato allo sviluppo di sonde molecolari di polinucleotidi e proteiche (anticorpi monoclonali) che hanno rivoluzionato il campo della diagnostica medica e che oggi sono al servizio di tutta la comunità. È anche attraverso questa diagnostica avanzata che si è arrivati a capire che in campo terapeutico occorrono farmaci dalla tipologia diversa rispetto al passato.

Lo sviluppo di nuovi farmaci

Se si guardano i portafogli delle industrie farmaceutiche internazionali ai prodotti tradizionali si stanno affiancando i biofarmaci. Lo sviluppo e l'immissione sui mer-

cati di questi nuovi farmaci, che vengono per la maggior parte prodotti da cellule ricombinanti, sta rivoluzionando il campo produttivo e analitico da una parte e regolatorio dall'altra. I produttori di biofarmaci devono attrezzarsi con impianti diversi dai tradizionali, che garantiscano la sicurezza e il controllo di qualità del prodotto finito, mettere a punto sistemi di analisi in grado di misurare molecole diverse dalle tradizionali. D'altro canto i comitati etici degli organi regolatori devono vigilare su questi nuovi prodotti e nel frattempo avere un'attitudine positiva al loro sviluppo in quanto essi potrebbero costituire novità importanti per la cura di malattie oggi non curabili. Prendiamo l'esempio di due tipi di prodotti che stanno avendo, a stadi differenti, uno sviluppo veramente considerevole, gli anticorpi monoclonali e le cellule, in particolare quelle staminali.

Anticorpi monoclonali

Si sapeva da tempo che gli anticorpi monoclonali, in assoluto tra i prodotti biotecnologici più di successo dell'ultimo ventennio, nati come strumento di ricerca e diagnostico, potevano, per la specificità del legame anticorpo-antigene, presente in ogni essere animale, diventare un potente strumento terapeutico soprattutto nel campo dei tumori. L'avvento della biologia molecolare, con la messa a punto di sistemi di cellule ricombinanti in grado di produrre anticorpi umanizzati o umani, ha permesso di sviluppare molecole anticorpali più sicure e di dare finalmente il via al loro sviluppo come agenti terapeutici.

Cellule staminali

Nel caso delle cellule staminali, il cui obiettivo è quello di impiegarle al posto di

un farmaco tradizionale (terapia cellulare), lo stadio di sviluppo industriale come farmaci è ad un livello meno avanzato mentre la ricerca di base, volta a scoprire la biologia di queste cellule e i relativi meccanismi di pluripotenzialità e differenziazione è molto attiva insieme alla ricerca clinica, con le cellule isolate dai pazienti e l'accessibilità al trapianto. La scoperta che esistono e si possono isolare cellule staminali da diversi tipi di tessuto, e soprattutto che queste possono differenziare in altri tipi di linee rispetto al tessuto dal quale originano, è un punto molto importante per lo sviluppo della terapia cellulare basata sulle cellule staminali perché permette di superare il problema etico di utilizzare le cellule embrionali. L'attività di ricerca con le cellule staminali è molto attiva negli ospedali, perché la disponibilità di queste cellule provenienti da pazienti con patologie diverse costituisce un materiale prezioso per gli studi clinici. Potranno queste cellule avere sviluppi industriali e diventare dei farmaci nel senso tradizionale del termine? A livello industriale i problemi da risolvere con le cellule staminali sono ancora molti: la loro espansione senza perdere il potenziale differenziativo e la conservazione/stabilità costituiscono delle sfide interessanti per l'industria biotecnologica. Si ha la sensazione che il futuro di queste cellule come farmaci si giocherà sul rapporto stretto tra industria biotecnologica e ospedali per poter da un lato fornire cellule efficaci, sicure ed in quantità adeguate e dall'altra avere a disposizione queste cellule per una sperimentazione appropriata in grado di confermare i dati provenienti dalla ricerca di base.

M.L. Nolli, Amministratore Delegato Areta International - Milano.