

---

## **Malattie rare: Ota, a Roma oltre 40 esperti per indicare politiche mirate a sviluppare e rendere equamente disponibili le terapie avanzate in Italia**

Due giorni di lavoro in presenza, a Roma, interamente focalizzati sulle terapie avanzate, cinque tavoli – dedicati ciascuno a uno specifico tema – che hanno lavorato per 18 mesi con la partecipazione di oltre 40 tra i massimi esperti del settore: ricercatori, clinici, associazioni di pazienti, aziende e rappresentanti delle istituzioni. Sono questi alcuni dei numeri del “retreAt 2023: verso un nuovo modello di sostenibilità delle terapie avanzate”, l’evento organizzato e promosso da Ota - Osservatorio terapie avanzate, tenutosi il 22 e il 23 giugno scorsi, presso la Sala Marinetti del White Space by Ripa a Roma. A darne notizia è un comunicato appena diffuso. Il retreAt – il cui nome richiama i classici “retreat”, i ritiri periodici e tematici organizzati dalla comunità scientifica internazionale e l’At, acronimo di “Advanced Therapies” – è il più ambizioso progetto di policy shaping in Italia che ha l’obiettivo di individuare e analizzare le criticità e le sfide relative alle terapie avanzate e, soprattutto, di formulare proposte concrete e immediatamente applicabili da sottoporre alle istituzioni per rendere tali innovazioni terapeutiche disponibili per tutti i pazienti che ne hanno bisogno. Un obiettivo che porta con sé l’intento di riposizionare l’Italia, Paese in cui sono stati ideati i primi prodotti di terapie genica e cellulari immessi in commercio, come protagonista, e non spettatore, di questa rivoluzione biomedica. I 5 tavoli tematici "sono stati dedicati a sviluppo delle terapie avanzate e partnership pubblico-privato, elemento fondamentale per poter avviare il lungo percorso che le terapie avanzate devono affrontare - si legge nel comunicato -; manifattura di questi innovativi farmaci, processo complesso che può diventare un 'collo di bottiglia' per il loro arrivo sul mercato; ricerca clinica, una fase particolarmente critica nel percorso di sviluppo di una terapia – soprattutto nell’ambito delle malattie rare e ultra rare – che può durare fino a 10 anni; sostenibilità delle terapie avanzate e accesso, una tematica fortemente attuale in questi ultimi anni che hanno visto il ritiro di importanti terapie geniche dal mercato; organizzazione dei centri di eccellenza e presa in carico dei pazienti, tappa finale e fondamentale per portare le terapie avanzate al loro traguardo".

Giovanna Pasqualin Traversa