



## Biotechnologie per la cura della salute: sconfiggere le malattie con gli strumenti che il nostro corpo ha a disposizione

Le biotechnologie consentono, attraverso l'applicazione delle conoscenze della biologia, di scoprire e mettere a punto nuovi farmaci e terapie per il trattamento delle malattie.

La strategia di base per lo sviluppo di un nuovo farmaco deriva dalla comprensione della patogenesi della malattia, e non dalla semplice sperimentazione di un principio attivo come in passato. La possibilità di ottenere farmaci più efficaci o mirati, davvero su misura, è quindi più concreta.

Grazie alle biotechnologie, milioni di pazienti hanno già potuto beneficiare di progressi notevoli sia a livello di prevenzione – grazie alla possibilità di diagnosticare le malattie su base genotipica e all'identificazione del maggior rischio in presenza di geni di suscettibilità – sia a livello di terapie personalizzate, ovvero le più idonee per lo specifico problema di salute in un determinato paziente.

### Introduzione

- I farmaci e le terapie biotecnologiche impiegano proteine, enzimi, anticorpi e altre sostanze naturali normalmente prodotte dall'organismo umano per curare le malattie, compresi i disordini genetici. Le biotechnologie sfruttano anche altri organismi viventi, come piante, batteri, virus e cellule animali, utili nella produzione su larga scala di medicine per uso umano.
- Le biotechnologie sono già una realtà consolidata. Sono infatti già disponibili numerosi farmaci biotecnologici per la cura di gravi malattie. Così come sono disponibili numerosi test diagnostici, basati cioè su metodiche di origine biotecnologica, per individuare l'eventuale rischio di sviluppo di una malattia o per diagnosticarne la presenza.
- Sono tre le aree primarie nel settore della cura della salute in cui le biotechnologie sono oggi usate comunemente: farmaceutica (includere le terapie avanzate come la terapia genica e cellulare), diagnostica e vaccini.

### Perché costano così tanto?

- Occorrono molti anni per identificare una molecola target (responsabile di una patologia), determinarne la sequenza genica ed elaborare un processo per produrre un trattamento stabile, attivo biologicamente e riproducibile. Per questo motivo l'industria biotecnologica spende di più in ricerca e sviluppo (circa il 20-25% del fatturato) rispetto all'industria farmaceutica tradizionale (circa il 15% del fatturato).
- Una terapia biotecnologica richiede tecniche di produzione e processi distributivi complessi e specialistici. I medicinali biotecnologici derivano infatti da fonti naturali: per questo motivo sono spesso meno stabili delle molecole sintetiche e pertanto necessitano di un trattamento e di una distribuzione speciali.
- Numerose terapie biotecnologiche non possono essere somministrate oralmente, ma richiedono iniezione o infusione. Ciò rende necessarie una particolare purezza e sterilità, che ne aumenta i costi di produzione.
- Molti trattamenti biotecnologici sono mirati a pazienti con malattie rare: in questo caso si parla di farmaci orfani. Questi trattamenti hanno costi di sviluppo simili a quelli dei farmaci impiegati per curare malattie con maggiore diffusione. Il numero di pazienti, però, è notevolmente inferiore, il che determina un minore ritorno degli investimenti effettuati per sviluppare la terapia.

## Cosa hanno di diverso i trattamenti biotecnologici?

Farmaci convenzionali	Farmaci biotecnologici
Realizzati mescolando composti chimici	Molto più complessi, mimano le sostanze prodotte dal corpo umano come enzimi, insulina e anticorpi
Nella maggior parte dei casi si tratta di molecole relativamente semplici e piccole, che possono essere veicolate sotto forma di pillole e iniezioni	I farmaci biotecnologici sono realizzati sfruttando cellule vive in coltura all'interno di bioreattori. Vengono poi purificati e, dato il complesso processo produttivo, devono quasi sempre essere somministrati tramite iniezione o infusione
Per ogni composto chimico tradizionale sono previsti circa 50 test di qualità e monitoraggio	Data l'elevata complessità dei farmaci biotecnologici, la produzione di prodotti tramite queste tecnologie richiede un alto monitoraggio e un notevole controllo qualità: in media per ogni prodotto biotecnologico sono richiesti 250 test
I farmaci convenzionali, basati su molecole relativamente semplici, sono facili da copiare	Il materiale di partenza ed il complesso processo produttivo comportano una maggiore difficoltà nella riproduzione esatta di una molecola biologica

## Farmaci biotecnologici: cosa fa la differenza

- Dal 2007, più di 325 milioni di pazienti hanno beneficiato di farmaci e terapie biotecnologiche (compresa la terapia genica) per trattare o prevenire attacchi di cuore, infarto, sclerosi multipla, tumore al seno, fibrosi cistica, leucemia, rasi disordini genetici, epatiti, diabete e altre malattie.
- I prodotti biotecnologici rappresentano attualmente il 40% dei prodotti registrati.
- Circa il 50% di tutti i nuovi farmaci e terapie in sviluppo originano dalle biotecnologie, e la proporzione cresce nei trattamenti più innovativi come: ormoni della crescita, fattori di crescita ricombinanti, vaccini, anticorpi monoclonali per il trattamento di tumori e malattie infiammatorie/infettive, terapia cellulare ecc.
- Il settore delle biotecnologie per la cura della salute cresce ogni anno di circa il 15%, più del doppio rispetto alla farmaceutica tradizionale, e ora è 7 volte più grande di 10 anni fa.

Il più recente report PhRMA (The Pharmaceutical Research and Manufacturers of America) indica che ad oggi sono stati impiegati più di 600 farmaci e terapie biotecnologiche per trattare più di 100 malattie.

Di questi 600 farmaci:

- 210 sono rivolti al trattamento dei tumori
- 50 sono rivolti al trattamento di malattie infettive
- 44 sono rivolti al trattamento di disordini autoimmuni
- 22 sono rivolti al trattamento dell'AIDS
- sono rivolti al trattamento di malattie cardiovascolari

### Per saperne di più:

[www.europabio.org](http://www.europabio.org)  
[www.bioimpact.org](http://www.bioimpact.org)



The European Association for Bioindustries

**EuropaBio's mission is to promote an innovative and dynamic biotechnology-based industry in Europe.**

L'obiettivo di EuropaBio è di promuovere un'industria biotecnologica dinamica e innovativa in Europa. EuropaBio, l'associazione europea delle bio-industrie, rappresenta 72 società, 6 membri associati, 4 bioregioni e 25 associazioni nazionali che raggruppano circa 1800 piccole e medie imprese.

Aprile 2009