

Reimmaginare il futuro



“ La tutela della salute è una precondizione necessaria per guardare avanti con meno paura e più ottimismo, ma anche per unire mondi diversi. ”

Giangiaco Schiavi | Editorialista Corriere della Sera

Non ci voleva il Covid per scoprire l'importanza della sanità come bene pubblico da tutelare e difendere e non ci voleva la pandemia per dare alla sanità il ruolo di driver dello sviluppo, ma la crisi generata dal virus ha dato a tutti una consapevole certezza: **dall'efficienza degli ospedali, dall'assistenza sul territorio e dalla scoperta di nuovi farmaci dipende la nostra vita**, e non solo questa.

La tutela della salute è una precondizione necessaria per guardare avanti con meno paura e più ottimismo, ma anche per unire mondi diversi fatti da medici, scienziati, istituzioni ospedaliere, laboratori di ricerca e istituti farmacologici con un indotto variegato che offre competenze e occupazione, tecnologia e cultura, requisiti indispensabili alla crescita e allo sviluppo.

Per questo, **per uscire dall'emergenza pandemica e dalla crisi di sistema in cui il mondo è precipitato, siamo chiamati a cambiare, a costruire una nuova normalità con al centro le scienze della vita**, in ogni caso a fortificare i sistemi di difesa e prevenzione che fino a ieri davamo per scontati, ma che scontati non sono: esigono investimenti, studi, ricerche, alleanze pubbliche e private, competenze, rispetto, onestà, e anche la capacità di ricominciare ogni volta che il risultato non è quello immaginato e previsto. La corsa ai vaccini che ha interrotto l'escalation pandemica riassume questo tempo della cura, della ricerca che aiuta a crescere e dell'innovazione capace di unire tecnologia e umanità.

A noi non piace veder soffrire i bambini, lasciare senza cura gli anziani, sapere che ci sono persone che portano per tutta la vita le conseguenze

dell'aver pescato un numero sbagliato nella lotteria dei geni, mi ha detto un giorno Edoardo Boncinelli, scienziato, genetista e filosofo. Non ci piace nemmeno che i deboli e i malati vengano lasciati morire senza aver offerto loro una possibilità di cura o che uomini e donne anziani alle prese con malattie degenerative finiscano in un angolo buio dell'esistenza. Per questo **i valori della ricerca e della buona sanità vanno incentivati e sostenuti: sono un potente motore di efficienza e di rinascita**, connessi all'innovazione digitale e tecnologica degli ospedali, non disgiunti dall'indispensabile umanità. Scienza e medicina nel secolo scorso hanno fatto arretrare le frontiere dell'impossibile grazie all'ingegno e agli investimenti nella ricerca: oggi con una pillola possiamo controllare ipertensione e diabete e con la chirurgia e certi farmaci intelligenti abbiamo reso croniche e curabili malattie altrimenti mortali.

Eppure è bastato un virus fuori controllo a dirci che quel tanto che si è fatto non è ancora abbastanza e che il passato non può sostituirsi al futuro che abbiamo davanti. In questa transizione - che tocca anche gli stili di vita e la lotta all'inquinamento che avvelena il pianeta - **medicina e ricerca avranno sempre più un ruolo sociale**.

Siamo a una svolta, con un passaggio di testimone e di competenze, fervore di idee e iniziative, verso quel benessere che secondo l'Oms è la spinta necessaria a migliorare le condizioni di vita del genere umano. È una grande sfida, locale e globale. Ma è anche un sogno. **E se non si sogna, se la salute smette di migliorare, anche la società non migliora**.



4 | LA VISIONE DI NOVARTIS



“ L’innovazione farmaceutica è vicina alla vita, ai sentimenti, ai bisogni più autentici di ciascuno di noi. ”

Pasquale Frega | Country President di Novartis Italia e Amministratore Delegato Novartis Farma

Re-immaginare la medicina è la missione di Novartis, per prolungare e migliorare la vita delle persone. Come è successo a Sofia, una bambina nata con la Sma1, malattia genetica rara: senza una terapia efficace, avrebbe affrontato un drammatico percorso, e con lei, la sua famiglia. L’approvazione nel novembre 2020 di una terapia genica e la tempestività nel renderla disponibile pochi giorni prima del compimento dei suoi sei mesi di vita, limite dell’approvazione di trattamento a quell’epoca, hanno portato a cambiare quel destino. Abbiamo, quindi, partecipato a un grande lavoro di squadra, con medici e istituzioni, in una lotta contro il tempo.

Nel pieno della pandemia Sofia è ‘rinata’, per merito della terapia genica ricevuta all’Ospedale Santobono, che le consentirà di avere una vita nuova, molto diversa da quella cui la sua malattia l’avrebbe condannata. Una piccola grande storia che ci permette di afferrare il **senso profondo di un’espressione astratta come medicina trasformativa**. Ed è una storia che dimostra quanto sia necessario re-immaginare la medicina, riconoscendo **il valore insostituibile della ricerca farmaceutica e della conoscenza scientifica** e ripensando i modelli di assistenza e di accesso alle terapie. Innovare significa sfruttare le potenzialità della rivoluzione digitale; **impegnarsi per la sostenibilità e l’inclusione**, in ogni aspetto della vita collettiva, con un focus particolare sul **diritto e l’accesso alla salute**; dialogare con tutti gli interlocutori, ascoltandoli e ‘lasciandosi guidare’ dalle loro esigenze; promuovere la più larga diffusione della cultura scientifica; valorizzare le persone, rispettandone le diversità. Si tratta di un impegno a tutto tondo, di cui cerchiamo di dare conto in que-

sto spazio, con un racconto a più voci, interne ed esterne a Novartis. E non possiamo che partire dalla ricerca medico-scientifica e dal suo valore. Il nuovo ecosistema inclusivo e sostenibile che si sta oggi costruendo, anche grazie al PNRR, va nella direzione di una **sempre maggiore attenzione ai pazienti**, prevenendo la potenziale progressione della malattia, con un uso intelligente delle risorse. È uno scenario nel quale come Novartis ci ritroviamo e vogliamo anzi essere tra i protagonisti di questa evoluzione: abbiamo il know-how, i farmaci, le capacità in termini di tecnologia, investimenti e di partnership per offrire un contributo importante. Basti pensare che **in Italia negli ultimi tre anni abbiamo investito in ricerca clinica 200 milioni di euro e ne abbiamo pianificati altri 250 milioni nel prossimo triennio**. Sono dati che hanno un valore scientifico ed etico oltre che economico: queste risorse incrementano infatti il know-how condiviso con finalità di miglioramento delle condizioni di vita e contribuiscono a rendere accessibili a pazienti e caregiver le cure più innovative. Non dimentichiamo però che, come dimostra [REImagine](#), il cortometraggio che abbiamo realizzato per **promuovere un approccio nuovo al mondo della ricerca**, dietro ogni storia di innovazione ci sono persone che, con le loro parole e azioni, sanno rafforzare la fiducia nella ricerca e la cultura scientifica. Sono manager vicini ogni giorno alla ricerca e ai pazienti, i quali attraverso la loro testimonianza ci ricordano come **l’innovazione farmaceutica sia molto vicina alla vita, ai sentimenti, ai bisogni più autentici di ciascuno di noi**. Una sensibilità che è nel Dna di Novartis e a cui ogni giorno cerchiamo di rendere onore col nostro lavoro.

6 | GINO BOANO

GENERAL MANAGER NOVARTIS ONCOLOGY ITALIA

Quando si parla di salute non ci sono vie di mezzo: bisogna agire, bene e subito. Per questo il mio non è un lavoro d'ufficio: perché il nostro compito è cercare di **dare risposte a patologie che hanno ancora bisogni clinici insoddisfatti**, o ne hanno solo di parziali, e così **incidere davvero sulla salute delle persone**. Il mio obiettivo è riuscirci ogni giorno di più, e meglio: attraverso partnership con enti e istituzioni sanitarie per migliorare l'accesso all'innovazione e la sostenibilità dei servizi offerti; mettendo in azione iniziative atte a favorire una gestione più efficiente dei trial clinici; realizzando progetti per migliorare i percorsi del paziente e l'appropriatezza delle terapie.

Da 25 anni mi occupo di oncologia e di tumori ematologici e posso dire che in questo tempo il **mondo della medicina e della ricerca è cambiato molto**, e in meglio. Per questo, possiamo parlare ad esempio di "[Oncologia del Futuro](#)" come, da un lato, di una realtà diagnostica e terapeutica che riesce a curare e guarire una certa fetta di popolazione, dall'altro come di un percorso che ci permetterà di andare a incidere su patologie causate da alterazioni genetiche, quindi di essere in grado di cambiare quei pezzi del genoma umano che sono alterati.

Nonostante questi successi, la sfida di una salute che ponga sempre di più il paziente al centro è continua e aperta. Sul versante [delle terapie avanzate, o delle terapie geniche](#), non si tratta più infatti oggi tanto e solo di somministrare farmaci, bensì di **lavorare in sinergia con tutti gli attori della filiera della salute** per creare disegni di informazione, prevenzione e di gestione della malattia ad hoc per ogni paziente, nel nome di una medicina che parta dalla persona e ritorni ad essa rispettandone unicità biologica ed emotiva.

Per questo dico sempre che non sono solo un manager, bensì un ambasciatore della migliore salute possibile: perché mi muovo con ostinazione in ogni dove sul territorio per preparare un contesto utile al fatto che **l'innovazione venga accolta e diventi utile al paziente**. Lo faccio con passione e orgoglio, perché in ambito di Ricerca e Sviluppo Novartis Italia svolge un ruolo di rilievo: in tal senso

“Guadagnare tempo per la ricerca, investimenti da dedicare alla cura, vita da restituire ai pazienti. Perché ogni minuto conta per salvare una vita.”



fanno testo un elevato numero di trial clinici, 238 nel 2020, e l'erogazione di più di 3.000 ore in attività formative finalizzate al corretto svolgimento delle sperimentazioni cliniche, incluse quelle rivolte al personale dei centri di ricerca. Tutti dati che, uniti al tema dei farmaci ad uso compassionevole, fanno emergere **la necessità urgente di una forte alleanza fra politica, istituzioni, operatori del mondo della salute e industria farmaceutica** per rendere la ricerca clinica in Italia un laboratorio di sviluppo all'altezza delle proprie potenzialità.

Il valore della ricerca clinica per me ha un significato chiaro: per il Paese significa Innovazione e dunque risorse aggiuntive da riutilizzare in sanità; per i pazienti accesso alle migliori terapie in tempi rapidi, allungamento e migliore qualità della vita.

Guadagnare tempo per la ricerca, investimenti da dedicare alla cura, vita da restituire ai pazienti: questo è il compito delle aziende farmaceutiche oggi e domani e Novartis lo ha a cuore.

Per questo non mi fermo mai. **Perché ogni minuto conta per salvare una vita.**

ROSANNA D'ANTONA

PRESIDENTE DI EUROPA DONNA ITALIA

| 7

“ **Mettere il paziente al centro è un lavoro collettivo che può essere costruito solo come connessione tra medici, pazienti, associazioni e ricerca scientifica.** ”



Mi chiamano spesso la “paziente zero” dello IEO poiché, nel 1994, quando mi sono ammalata, il Professor Veronesi stava aprendo l'Istituto e mi ha proposto di operarmi lì. Venticinque anni fa questa patologia assomigliava più a una sentenza di morte quando il tumore non veniva diagnosticato per tempo. Invece dico sempre che, nella mia sfortuna, perché il tumore non è certo un piacevole incontro, sono però stata fortunata ad aver potuto **vivere la mia malattia nel modo che oggi credo sia l'unico possibile: in maniera partecipativa, come soggetto attivo.** Da questa esperienza porto con me alcune parole importanti che ancora mi guidano e per le quali mi batto ogni giorno insieme alle 170 associazioni di volontariato che fanno parte della nostra rete. **La prima è prevenzione,** come anticipazione diagnostica e adozione di stili di vita coerenti, che deve permeare il nostro comportamento quotidiano. Per farlo, è necessario entrare in un paradigma mentale che non è subire, ma partecipare a un percorso, un viaggio guidato dalla convinzione che esiste uno spazio, sempre più esteso, di diagnosi, di cura, e di successo delle terapie. **La seconda parola importante è qualità della vita,** l'attenzione alla vita del paziente. Essere malati è una situazione di estrema fragilità, alimentata spesso da dolore e sofferenza; questa condizione colpisce sia chi sta in un letto d'ospedale sia chi cerca di dare cura e conforto: il caregiver quando è un familiare o una

persona amica. Ogni persona è unica e unico e personalizzato dovrebbe essere l'approccio alla cura, sul piano sia biologico sia psicologico, per fornire alle persone gli strumenti di cui hanno bisogno per vivere la propria vita nonostante la malattia. Questo è molto spesso il “lavoro” di un'associazione, specie se è inserita nel contesto ospedaliero, che sa come sostenere la paziente ma sa anche fare da ponte tra le sue esigenze e quelle della struttura che la cura: gli specialisti, i medici, le nurse, gli psicologi, i reparti operativi e organizzativi. **La terza parola importante che mi accompagna, è la scelta di nuovi linguaggi: parlare in modo nuovo,** comunicando in modo chiaro e facilmente comprensibile, significa avvicinare la ricerca al cittadino, renderlo soggetto attivo nel dialogo. Credo che il più grande insegnamento che abbiamo colto noi, come [Europa Donna](#), è essere parte attiva nel processo della salute; in tale ambito, il ruolo delle associazioni è proprio quello di continuare a parlare ai pazienti, e dei pazienti, in modo sempre più informato e autorevole. Uno dei contributi fondamentali di Novartis al valore della ricerca sta anche qui: non solo nella costanza e nella lungimiranza della ricerca, ma anche nell'impegno a favore della formazione delle associazioni; perché è importante che il paziente venga sostenuto, rassicurato e venga accompagnato nell'aderenza alle terapie da volontari qualificati. Ma è altrettanto **determinante che le associazioni vengano considerate all'interno del dibattito del sistema sanitario con un ruolo paritario agli altri attori del sistema, riconoscendo loro il giusto peso specifico.** Solo lavorando insieme possiamo offrire soluzioni sempre migliori ai pazienti e cambiare nei fatti il modo di interpretare la medicina. Mettere davvero il paziente al centro significa da un lato ascoltare i bisogni e le raccomandazioni, dall'altro considerarlo al pari di chi opera per garantire un accesso facilitato alle informazioni, una buona e sempre migliore gestione delle attività di prevenzione e diagnosi e sostenerlo nelle scelte di partecipazione alle ricerche e alle cure. Un lavoro collettivo che non può essere costruito se non come connessione tra medicina, ricerca scientifica, pazienti e associazioni.

8 | RICERCA CLINICA

Con un investimento programmato di 250 milioni di euro nel prossimo triennio, **Novartis conferma il suo ruolo di punta nella ricerca clinica in Italia**, testimoniato anche dalla solida leadership nazionale per numero di sperimentazioni promosse ogni anno.

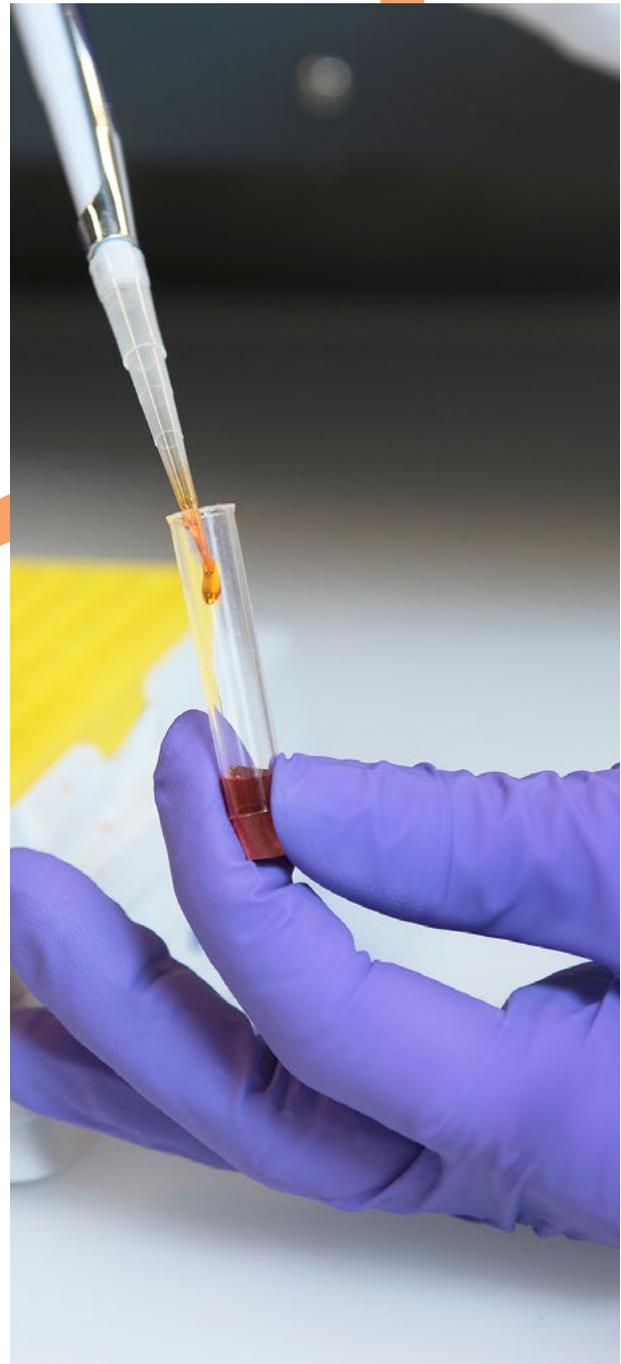
Nel nostro paese, inoltre, Novartis è **l'azienda a più alta 'intensità di R&S'**, cioè quella in cui gli investimenti in innovazione concorrono in misura maggiore alla formazione del valore aggiunto: l'8% nel 2020, una quota superiore alla stessa media del settore farmaceutico, di gran lunga il più innovativo nel panorama industriale italiano.

Questo forte impegno, in termini finanziari e di risorse professionali dedicate, nasce dalla consapevolezza dell'**assoluta centralità che la ricerca clinica**, espressione concreta della capacità di innovazione, **svolge nella creazione del valore**. E non solo per Novartis.

Anche tralasciando i primi, ovvi beneficiari, cioè i pazienti ai quali saranno destinate le terapie innovative oggetto di sperimentazione, l'impegno in ricerca clinica ha infatti **ricadute importanti per l'intera comunità medico/scientifica italiana**, in termini di crescita delle opportunità professionali e del 'capitale cognitivo' collettivo. Nel 2020, un anno che ha conosciuto pesanti condizionamenti per le attività di sperimentazione a causa della pandemia, sono stati comunque ben 1.914 i centri ospedalieri universitari italiani coinvolti nei 238 trial clinici promossi da Novartis, che hanno inte-

ressato 4.887 pazienti. **Accanto alla quantità, è da sottolineare anche la qualità degli studi clinici condotti da Novartis**, in collaborazione con le strutture ospedaliere italiane, rilevabile per esempio dal **numero delle pubblicazioni scientifiche** che vi sono collegate.

Sono state 206 nel 2020 e hanno contribuito in modo rilevante a consolidare la posizione di eccellenza dell'Italia, che fa parte della **top 10 mondiale** in quest'ambito.



TERAPIE AVANZATE

Attualmente, **sono 6 le cosiddette terapie avanzate disponibili in Italia** e accessibili ai pazienti in regime di rimborsabilità, un numero in linea con quello degli altri maggiori paesi europei. Di queste, **3 sono di Novartis**.

Con il termine **'terapie avanzate'**, tecnicamente ATMP-Advanced Therapy Medicinal Product, ci si riferisce soprattutto alle **terapie geniche e a quelle cellulari**: le prime mirano a correggere il difetto genetico che causa una patologia sostituendo nelle cellule il gene difettoso con una sua copia 'corretta'; le seconde permettono di riprogrammare determinate cellule del paziente per metterle in condizione di contrastare la malattia.

In entrambi i casi, ci troviamo di fronte a **una straordinaria evoluzione della medicina personaliz-**



zata, frutto dei grandi progressi degli ultimi anni in campo biotecnologico, che cambia i paradigmi stessi della cura, perché **consente di intervenire in modo potenzialmente risolutivo sulle cause** di patologie genetiche, croniche o tumorali, e **non solo sul controllo dei loro sintomi**. Con queste caratteristiche, le terapie geniche e cellulari sono one-shot, ne basta cioè **un'unica somministrazione**, o al massimo 2 o 3. Quasi la metà dei prodotti già disponibili o in fase avanzata di studio riguarda l'area oncologica ed ematologica, a seguire quelle del sistema nervoso e l'oftalmologia.

Novartis è tra le aziende più impegnate su questo territorio di frontiera della ricerca: attualmente sono 6 i progetti di **terapia genica** in corso, mentre nell'ambito della terapia cellulare si stanno esplo-

rando le **grandi potenzialità della tecnologia CAR-T** in area ematologica.

Proprio nell'area ematologica ha indicazione una delle tre terapie avanzate Novartis già disponibili per i pazienti italiani. Si tratta della prima terapia cellulare CAR-T, approvata per la cura del linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) e della leucemia linfoblastica a cellule B, entrambi refrattari o recidivanti. La seconda terapia avanzata è rappresentata dalla prima terapia genica per il trattamento di gravi **malattie ereditarie della retina**. Infine, Novartis ha lanciato la prima terapia genica indicata per **l'atrofia muscolare spinale (SMA)**, una malattia genetica rara che può portare alla morte entro i primi due anni di vita.

Destinatari d'elezione di queste terapie sono, nella grande maggioranza dei casi, bambini o ragazzi, ai quali è per la prima volta offerta una concreta possibilità di guarigione o cura. Questo è un fattore usato per determinare i criteri di accessibilità al trattamento, che da un lato devono prendere in esame il radicale e positivo mutamento di prospettiva del percorso diagnostico-terapeutico e assistenziale del paziente, dall'altro essere compatibili con le esigenze di sostenibilità del sistema sanitario. Sulla base di questi parametri, e grazie a un dialogo costruttivo con tutti gli interlocutori coinvolti, sono state individuate soluzioni altamente innovative, capaci di **salvaguardare il diritto del paziente a un accesso sicuro e tempestivo alle terapie avanzate**.

10 | AAA

‘**Radioligando**’ è una parola ancora poco familiare al grande pubblico, ma **la terapia che identifica è già una realtà più che promettente**, in grado di svolgere una funzione di primo piano nel trattamento del cancro. Consiste nell’uso combinato di un composto, il ligando, capace di un’azione mirata di precisione e di un radioisotopo con attività terapeutica: somministrato al paziente per via endovenosa, **il radioligando si lega alle cellule tumorali e ne distrugge la capacità di replicarsi**.

Si tratta di una **tecnica innovativa nel trattamento del tumore, sviluppato da AAA - Advanced Accelerator Applications**, società del Gruppo Novartis attiva nel campo della radiofarmaceutica, con ben quattro insediamenti in Italia, attivi nella ricerca e nella produzione.

Questo **approccio terapeutico**, che consente una forte personalizzazione del trattamento in funzione delle caratteristiche del paziente, si rivela **efficace nel contrasto a diverse neoplasie**, a partire dai tumori neuroendocrini, i primi ai quali è stato applicato con successo.

La pipeline attuale di AAA comprende prodotti per più tumori solidi, come quello alla prostata in fase avanzata: i più recenti studi clinici sull’azione di un radiofarmaco per questa patologia hanno dimostrato un **abbattimento del 60% della progressione della malattia**, con una riduzione del 38% del rischio di mortalità per i pazienti.



ONCOLOGIA DEL FUTURO

Telemedicina più intelligenza artificiale, uguale: **gestione più tempestiva ed efficace del percorso diagnostico-terapeutico**. È quanto viene reso oggi possibile in oncologia da una piattaforma sviluppata da Novartis che incrementa, potenziandola, la capacità di comunicazione e interazione tra centri specialistici, migliorando l'accesso dei pazienti alle terapie più innovative. La piattaforma, che si chiama WelCare, è nata per gestire con la massima appropriatezza ed efficienza l'accesso alla terapia cellulare **CAR-T**, tecnica nuova e particolarmente complessa che richiede una forte integrazione di competenze tra clinici e strutture sanitarie dedicate.

Le circostanze in cui WelCare è nata, quelle determinate dall'emergenza pandemica, hanno costituito un forte stimolo allo sviluppo di tecnologie digitali che, come questa, fossero in grado di sostenere la medicina a distanza, grazie alla quale si spostano i dati e non i pazienti, con ricadute importanti in termini di sicurezza, qualità della vita per pazienti e caregiver, nonché sostenibilità per il sistema sanitario. La piattaforma messa a punto rappresenta dunque un felice esempio di resilienza di fronte alle limitazioni imposte dal Covid-19 e ai rischi sanitari indotti. Sulla base della positiva esperienza maturata nella gestione della CAR-T, Novartis ha deciso di **estendere l'applicazione di WelCare ad altre patologie oncologiche ed ematologiche**, indicando in questo modo un approccio che può rappresentare un modello per l'oncologia del futuro.

