

E' l'ora del biotech

*Sta diventando realtà
il sogno dei farmaci
personalizzati in base
alle caratteristiche
di ogni paziente
E corre il business
delle biotecnologie
applicate alla medicina*



Il biotech è un settore maturo e le grandi promesse in campo terapeutico stanno diventando una realtà. Nel 2004 il fatturato mondiale ha superato i 54 miliardi di dollari, il 17% in più rispetto all'anno precedente, e i rapporti «Beyond Borders 2005» della Ernst&Young e «Biotech 2005» della Burrell&Company prevedono che il consolidamento continuerà nei prossimi anni grazie a una nutrita schiera di nuovi prodotti nelle ultime fasi di sperimentazione e approvazione. Gli investimenti hanno superato quelli del 2003 toccando i 2,8 miliardi di dollari in Europa e i 16,9 miliardi di dollari negli Usa.

Fiducia ben riposta visto che gli analisti stimano che nove dei nuovi farmaci biotech approvati nel 2004 quest'anno produrranno, da soli, ricavi per tre milioni di dollari arrivando nel 2007 a un mercato di almeno otto milioni. Questo successo è confermato anche dall'aumento di importanza delle biotecnologie all'interno dell'industria farmaceutica. Dei 35 nuovi farmaci di cui si prevede l'arrivo sul mercato nel 2005, per un valore complessivo di 150 milioni di dollari a livello mondiale, almeno 20 saranno figli del biotech. Su un orizzonte più lungo ci sono tutte le premesse perché il settore diventi la vera spina dorsale della farmaceutica grazie ad almeno 700 diverse molecole in varie fasi di sviluppo e più di 400 già in sperimentazione clinica nei pazienti.

Ciò che è più importante però è la natura dei farmaci in arrivo. Se in passato le biotecnologie hanno soprattutto fornito all'industria farmaceutica nuovi strumenti di produzione che hanno semplificato e accelerato i processi, ora la sfida del biotech è assai più ambiziosa e mira a rivoluzionare la medicina come la conosciamo oggi. Il tallone d'Achille della maggior parte dei farmaci dei quali disponiamo è che sono efficaci solo su una frazione, dal 20 al 60%, dei pazienti ai quali vengono somministrati. E se in alcuni casi il farmaco semplicemente non dà benefici, in altri può rivelarsi addirittura dannoso o fatale per il paziente. Oggi però quella "medicina personalizzata" in grado di individuare il prodotto più efficace per ogni paziente è finalmente una realtà fatta di farmaci e test diagnostici destinati a individuare chi può veramente beneficiare di una determinata molecola.

Dallo scorso gennaio è disponibile negli Usa l'AmpliChip CYP450, il primo test genetico in grado di predire la risposta individuale del paziente a un ampio ventaglio di farmaci per il trattamento di malattie cardiovascolari, tumori e dolore cronico. Il test, sviluppato dalla svizzera Roche, è composto da un chip carico di sonde di Dna che permettono di analizzare in poche ore almeno 30 diversi marcatori genetici, prelevando qualche goccia di sangue. Oppure, l'efficacia di un farmaco può essere anche limitata a un gruppo etnico come è avvenuto per il BilDil, una combinazione di molecole messa a punto dall'americana NitroMed, che si è dimostrata efficace contro le malattie cardiache esclusivamente negli afro-americani.

Ma il 2004 ha visto progressi soprattutto nel campo degli antitumorali con l'approvazione di quattro nuovi farmaci in grado di colpire la malattia senza danneggiare i tessuti sani: l'Avastin della Genentech, il Tarceva, sviluppato da Genentech e Roche, l'Iressa dell'Astra Zeneca, e l'Erbix, di ImClone e Bristol-Myers Squibb. Ma, oltre a un migliore utilizzo dei farmaci esistenti, nuove classi di molecole stanno concludendo con successo le ultime fasi di sperimentazione. Tra le più promettenti il Sutent, un antitumorale di nuova concezione che potrebbe venire approvato dall'Fda, l'agenzia per il farmaco statunitense, entro il 2006. Inventato nel 2002 dalla Sugent, ora acquisita dalla Pfizer, questa molecola si è dimostrata in grado di bloccare le proteine secrete dalle cellule cancerose per stimolare la crescita tumorale e la proliferazione dei vasi sanguigni.

Nella stessa classe sono in corso di sperimentazione il Sorafenib sviluppato dalla Bayer in collaborazione con la Onyx Pharmaceuticals per i tumori renali, e il Lapatinib, contro il tumore al seno, sviluppato dalla GlaxoSmithKline.

La strada verso una medicina personalizzata, che colpisca la malattia senza danneggiare il paziente, non è però priva di ostacoli, sia scientifici che finanziari. «Lo sviluppo di questi farmaci biotech di seconda generazione, in grado di agire su precisi meccanismi cellulari e vie metaboliche coinvolge lo studio di sistemi estremamente complessi — spiega Saverio Minnucci, ricercatore presso l'Istituto e docente dell'Università di Milano, coinvolto nello sviluppo della start-up Congenia-Genextra per lo studio dell'invecchiamento —. Molto spesso le vie di regolazione sulle quali si vuole intervenire sono veri e propri crocicchi molecolari dove avvengono migliaia di interazioni. È necessario mettere a punto nuovi strumenti, sia tecnologici che teorici, per consentire la decifrazione di questi meccanismi estremamente sofisticati e l'ottimizzazione di farmaci biotech».

Ciò significa investire in ricerca, ma le biotech companies sembrano dover fare molto con poco aiuto da parte delle grandi aziende farmaceutiche. Le analisi di Boston Consulting mostrano che le biotech hanno creato il 67% delle molecole oggi in sperimentazione clinica, ma sono riuscite a raccogliere appena il 3% dei 40 milioni di dollari investiti dall'industria farmaceutica in ricerca e sviluppo nel 2004. Il rapporto tra le piccole aziende biotech, vero motore dell'innovazione, e le grandi farmaceutiche in grado di finanziare la sperimentazione e la commercializzazione è comunque ancora difficile.

La percentuale di successo di una molecola biotech nella terza e ultima fase di sperimentazione clinica che precede l'approvazione e la messa sul mercato è infatti di appena il 56% contro il 65-75% dei prodotti farmaceutici tradizionali. Le farmaceutiche tendono perciò a investire il più tardi possibile, lasciando alle piccole biotech il rischio di portare le molecole almeno fino alla prima fase di sperimentazione nell'uomo. Uno dei segreti del successo, come ha spiegato Arthur Levinson, Ceo della Genentech (la società con i migliori risultati nel 2004 e con una variazione pari a +52,65 in Borsa dall'inizio di quest'anno), all'ultimo congresso dell'Organizzazione mondiale degli industriali del biotech, «è la vicinanza ai centri di ricerca pubblici, che permettono di trasferire facilmente le conoscenze e accedere ai risultati della ricerca di base».

Tommaso Luciani