

Quali Terapie avanzate sono attualmente approvate in EU

MA	ATMP	Azienda	Tipologia farmaco	Patologia e indicazione	Autorizzato al commercio in Italia
2020	Zolgensma	Novartis 	Terapia genica	SMA Trattamento di pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA). Gli adenovirus AAV9 riforniscono il paziente di una nuova copia totalmente funzionante del gene SMN1	
2019	Zynteglo	Bluebird bio B.V. 	Terapia genica	β-talassemia Trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da beta talassemia trasfusione-dipendente che non hanno un genotipo B0/B0, per i quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC antigene leucocitario umano compatibile	✓
2018	Luxturna	Novartis 	Terapia genica	Distrofie retiniche Trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali	✓
2018	Alofisel	TiGenix 	Terapia cellulare	Fistole perianali complesse da CD Trattamento delle fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale lievemente attiva, quando le fistole mostrano una risposta inadeguata ad almeno un trattamento convenzionale o con farmaci biologici	✓
2018	Yescarta	Gilead 	Terapia cellulare (CAR-T)	Linfoma diffuso a grandi cellule B Trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B refrattario o recidivante e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B dopo due o più linee di terapia sistemica	✓

2018	Kymriah	Novartis	Terapia cellulare (CAR-T)	<p>Leucemia linfoblastica acuta</p> <ul style="list-style-type: none"> •Pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età con leucemia linfoblastica acuta a cellule B che è refrattaria , in recidiva post trapianto o in seconda o ulteriore recidiva •Linfoma diffuso a grandi cellule B Pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica 	✓
2017	Spherox	Co.Don	Ingegneria dei tessuti	<p>Danni alla cartilagine del ginocchio</p> <p>Riparazione di difetti della cartilagine articolare sintomatici del condilo femorale o della patella del ginocchio con dimensione del danno fino a 10 cm2 negli adulti</p>	
2016	Strimvelis	Orchard Th.- Telethon	Terapia genica	<p>Immunodeficienza combinata severa</p> <p>Trattamento di pazienti con immunodeficienza grave combinata da deficit di adenosina deaminasi per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA compatibili</p>	✓
2015	Holoclar	Chiesi	Terapia cellulare	<p>Patologia corneale</p> <p>Trattamento di pazienti adulti affetti da deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave unilaterale o bilaterale causato da ustioni da agenti fisici o chimici. Per la biopsia sono necessari almeno 1-2 mm2 di tessuto limbare non danneggiato</p>	✓

2015	Imlygic	Amgen	Terapia genica	Melanoma metastico inoperabile Trattamento di adulti affetti da melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a) senza coinvolgimento dell'osso, del cervello, del polmone o altro coinvolgimento viscerale	✓
------	---------	-------	----------------	---	---



Assobiotec

Assobiotec, Associazione nazionale di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie, rappresenta circa 130 imprese e parchi tecnologici e scientifici operanti in Italia nei diversi settori di applicazione del biotech: salute, agricoltura, ambiente e processi industriali. L'Associazione riunisce realtà diverse - per dimensione e settore di attività - che trovano una forte coesione nella vocazione all'innovazione e nell'uso della tecnologia biotech: leva strategica di sviluppo in tutti i campi industriali e risposta concreta ad esigenze sempre più urgenti a livello di salute pubblica, cura dell'ambiente, agricoltura e alimentazione.

Costituita nel 1986 all'interno di Federchimica, Assobiotec è membro fondatore di EuropaBio e dell'International Council of Biotechnology Associations.