



T O S C A N A

TLS

L I F E

S C I E N C E S

NELLA RICERCA IL FUTURO È GIÀ OGGI: BIOTECH E TERAPIE AVANZATE

FABRIZIO LANDI, Presidente Toscana Life Sciences

Roma, giovedì 25 maggio 2017

IL RINASCIMENTO DELLA RICERCA PER NUOVE OPPORTUNITÀ DI CURA

La sfida che l'Italia può cogliere

Farmindustria - Federazione Nazionale della Stampa Italiana - FNSI

Guardando il futuro

“Il fattore di maggiore
discriminazione fra paesi ricchi
e poveri sarà la tecnologia”
(Christine Lagarde, Aprile 2015)



La rivoluzione genomica

Le nuove tecnologie e il progresso scientifico stanno modificando rapidamente le società

«Le società capaci di adattarsi al cambiamento saranno quelle in grado di cogliere le enormi opportunità create dalla tecnologia»

Le **tecnologie biotech** e in specifico le **post-genomiche** e le relative applicazioni diagnostico-terapeutiche sono fra le più promettenti.



La post-genomica sta cambiando l'industria della salute

La **post-genomica** sta permettendo di attuare in tempi brevi la medicina predittiva e personalizzata.

Il secolare paradigma «one drug fits for all» è sbagliato

Le nuove **tecnologie di sequenziamento**, permettono di muoversi verso una medicina che oggi viene definita delle **4P**:

Predittiva

Preventiva

Personalizzata

Partecipativa



IoT e Big Data per la medicina di precisione



Per ogni **singolo individuo** sarà possibile mettere a punto **strategie di prevenzione** e identificare il miglior percorso terapeutico.

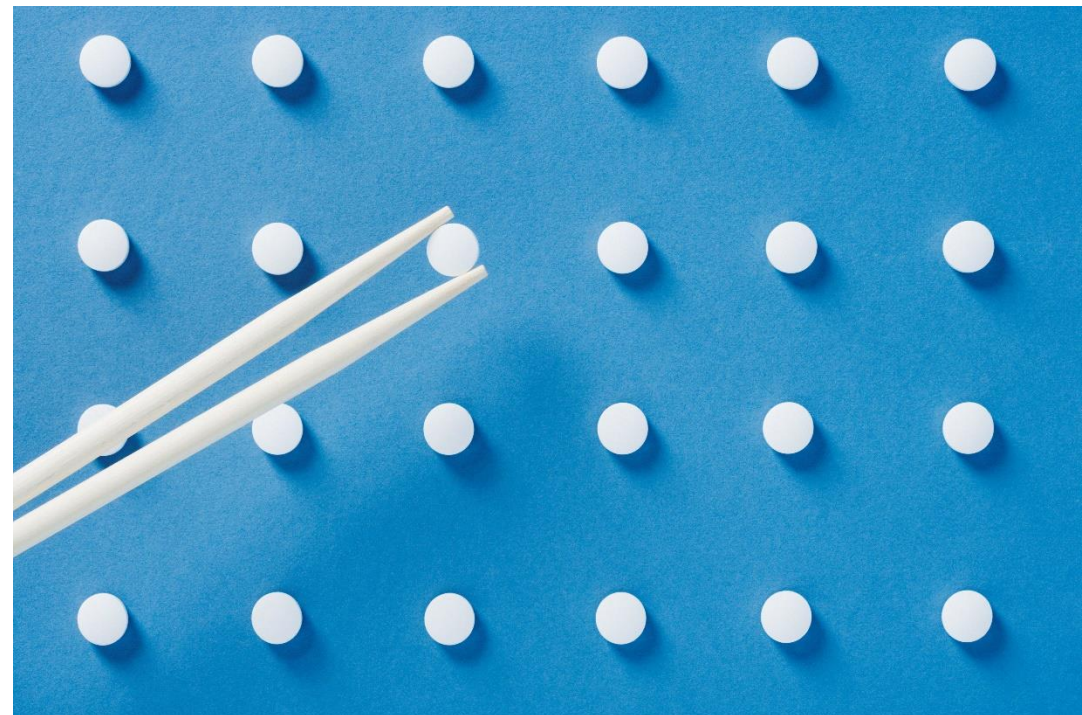
Grazie alla generazione di una **massa enorme di dati** e a nuove tecniche di data mining, le **informazioni genetiche** saranno correlabili alle **malattie**.

Si ipotizza che entro il 2020 il sequenziamento dell'intero genoma di ogni neonato sarà fattibile ed economicamente sostenibile.

Le potenzialità della medicina di precisione

Promuovere e sostenere la medicina **predittiva, preventiva, personalizzata** e partecipativa significa anche contenere i **costi della sanità**.

Costi che aumenteranno del **25-35% nei prossimi 10 anni** e più a causa dell'**invecchiamento** della popolazione, in particolare italiana.



È stato calcolato che l'investimento di circa 2\$ in farmaci innovativi porta a un risparmio finale di circa 11\$.

Sequenziare il genoma umano in un giorno



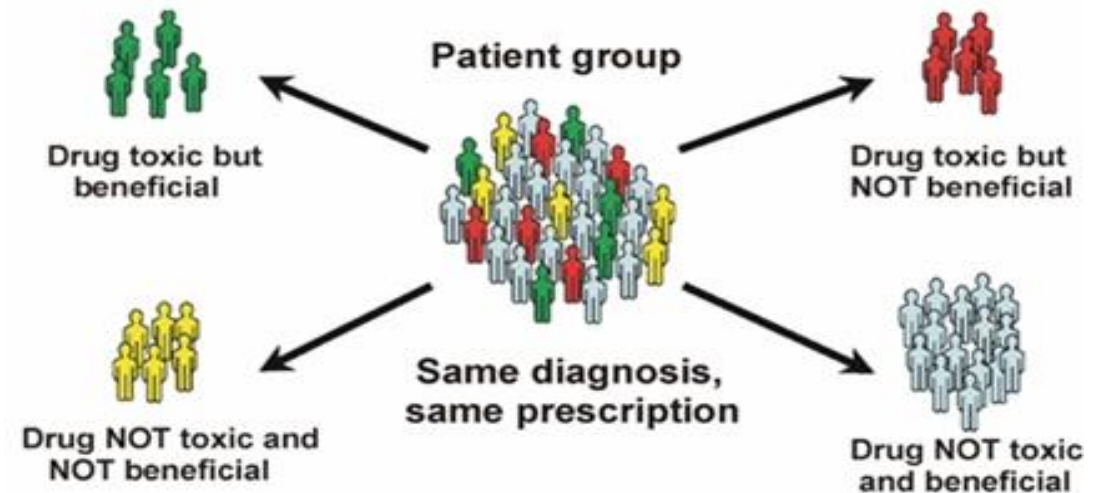
Il sequenziamento del primo genoma umano, quello di J. **Craig Venter**, circa 13 anni fa ha avuto un costo di **100 milioni \$** e ha richiesto oltre nove mesi di lavoro.

Sarà possibile a breve sequenziare un intero genoma umano al costo di 100 \$ e si potranno sequenziare cento-mille genomi al giorno.

Le applicazioni della genomica funzionale

La **medicina di precisione** è una delle applicazioni dell'era post-genomica.

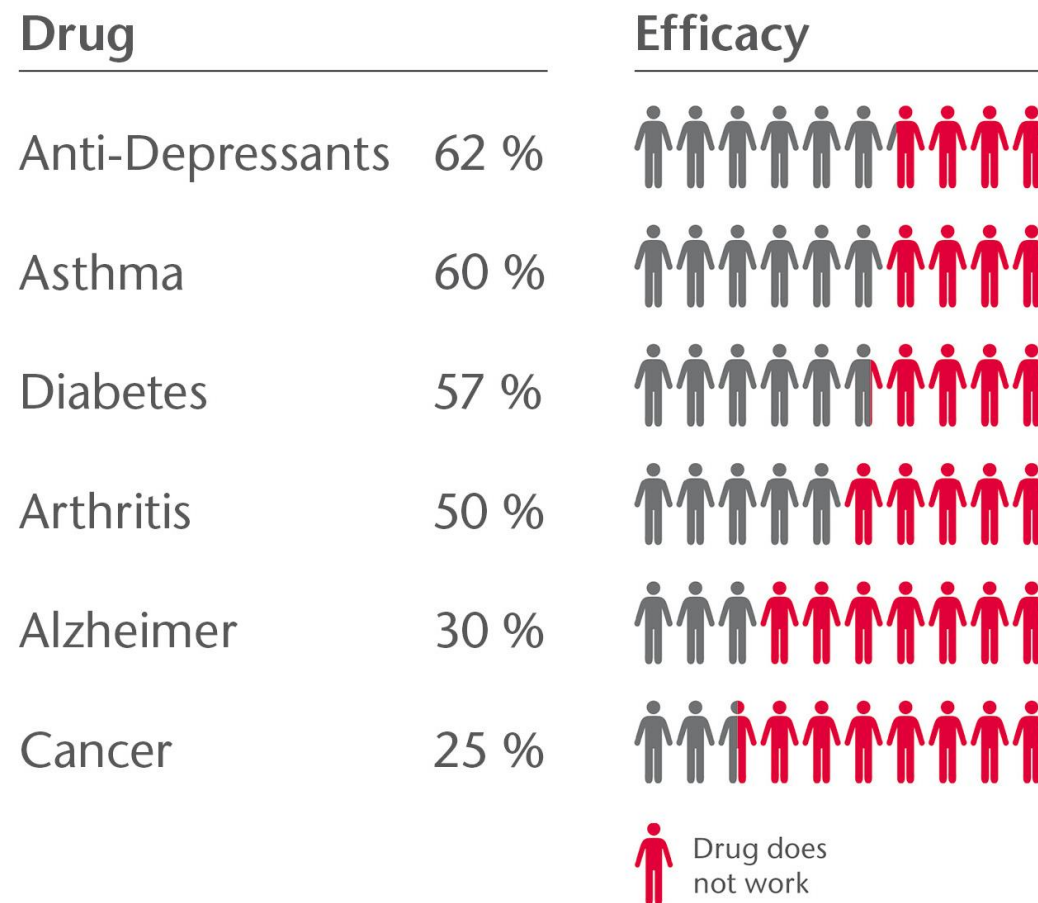
Oggi è possibile, usando **analisi molecolari del genoma** di ogni paziente, dividere i pazienti (stratificare) in **sottogruppi**:
quelli che rispondono al trattamento o che non rispondono, oppure quelli per i quali il trattamento è tossico o ben tollerato.



Un singolo genoma di una persona occupa oltre 4GByte di memoria: ecco perché i Big Data trovano nelle Scienze della Vita la più significativa applicazione.

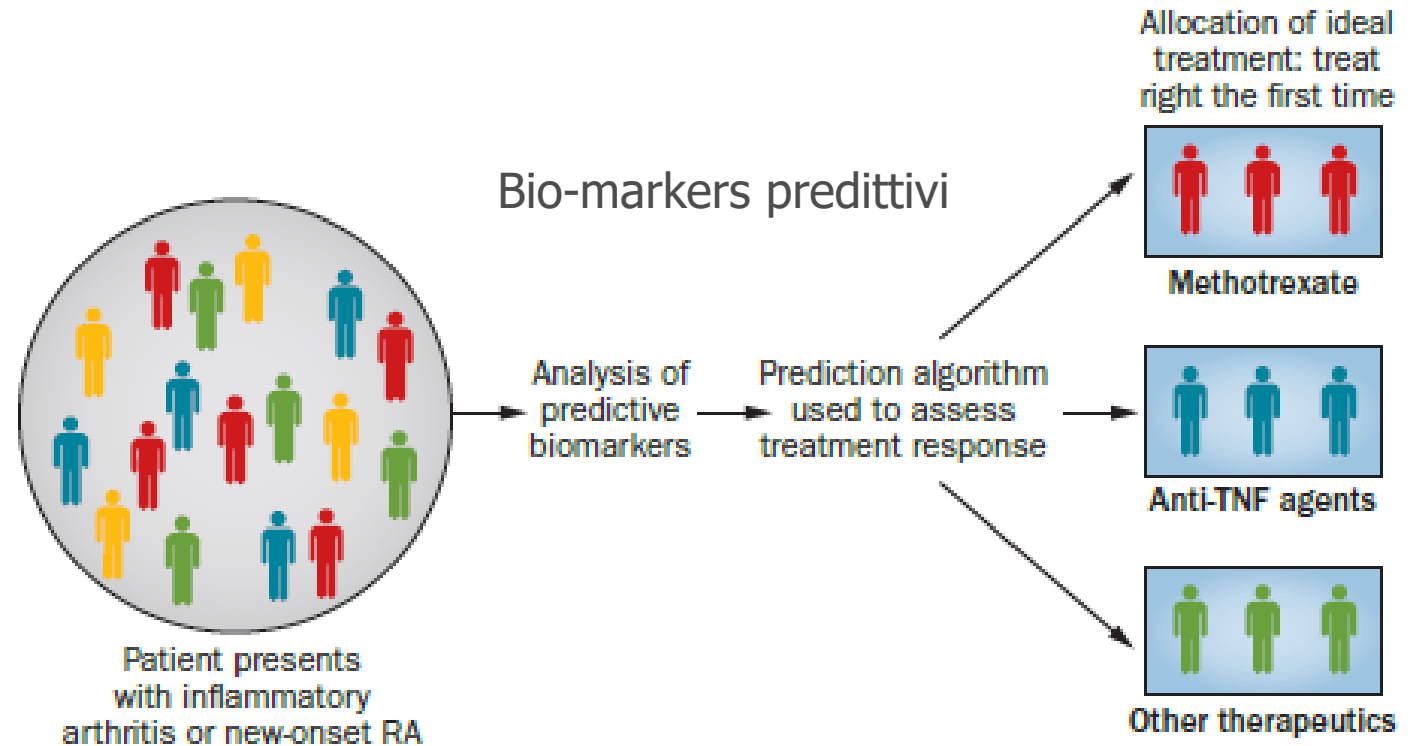
L'efficacia dei farmaci non è uguale per tutti

In campi come l'oncologia, l'Alzheimer, l'artrite e il diabete, ad oggi la **percentuale dei pazienti** per i quali un determinato **farmaco è efficace** può variare dal 25% al 60% a secondo della patologia e della terapia assegnata.



La stratificazione dei pazienti

La capacità di identificare dei bio-marcatori predittivi (**bio-markers**) per stratificare i pazienti rappresenta la prossima grande sfida per migliorare la **qualità delle terapie** e realizzare la medicina di precisione, il nuovo paradigma nel campo biomedico.



Nella ricerca il futuro è già oggi



Precision Medicine in Diabetes: Is It Time?

Jose C. Florez

Diabetes Care 2016;39:1085–1088 | DOI: 10.2337/dc16-0586

THE CHALLENGE: HETEROGENEITY OF DIABETES



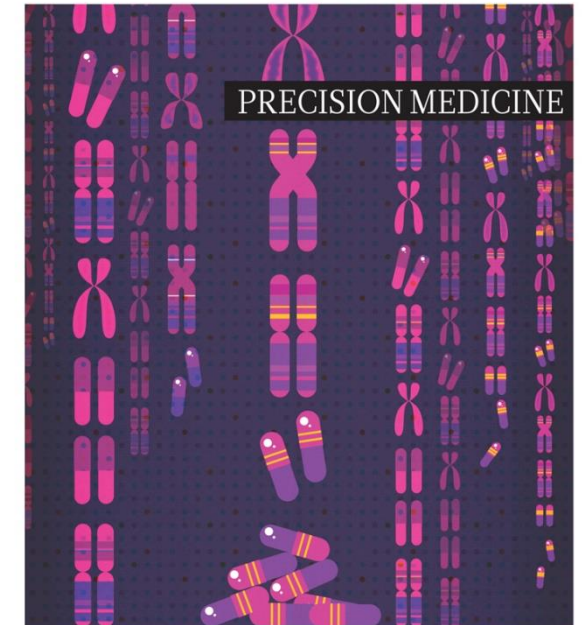
Review

A Precision Medicine Initiative for Alzheimer's disease: the road ahead to biomarker-guided integrative disease modeling

H. Hampel [✉](#), S. E. O'Bryant, S. Durrleman, E. Younesi, K. Rojkova, V. Escott-Price, ...[Show all](#)

Pages 107-118 | Received 22 Nov 2016, Accepted 08 Dec 2016, Published online: 09 Feb 2017

natureOUTLOOK



Produced with support from:

illumina

A personal approach
to health care

I test genetici, un mercato che cresce

I test genetici hanno potenzialità diagnostiche, prognostiche e terapeutiche: consentono l'analisi dei geni, o dei cromosomi, e aiutano a predire un rischio di malattia, a fare una diagnosi o a identificare i portatori di malattie genetiche.

Già oggi, in alcuni casi i test genetici permettono di **escludere** da trattamenti costosi quei **pazienti geneticamente non responsivi alla terapia** e di identificare il trattamento migliore realizzando così la medicina personalizzata.

Si stima che il mercato globale dei test genetici raggiungerà i 60 miliardi di dollari dopo il 2020 (Report Buyer 2014) con vendite annuali pari a tasso di crescita del 10%.

Fruitori delle piattaforme genomiche



Genomica avanzata – Creazione di valore



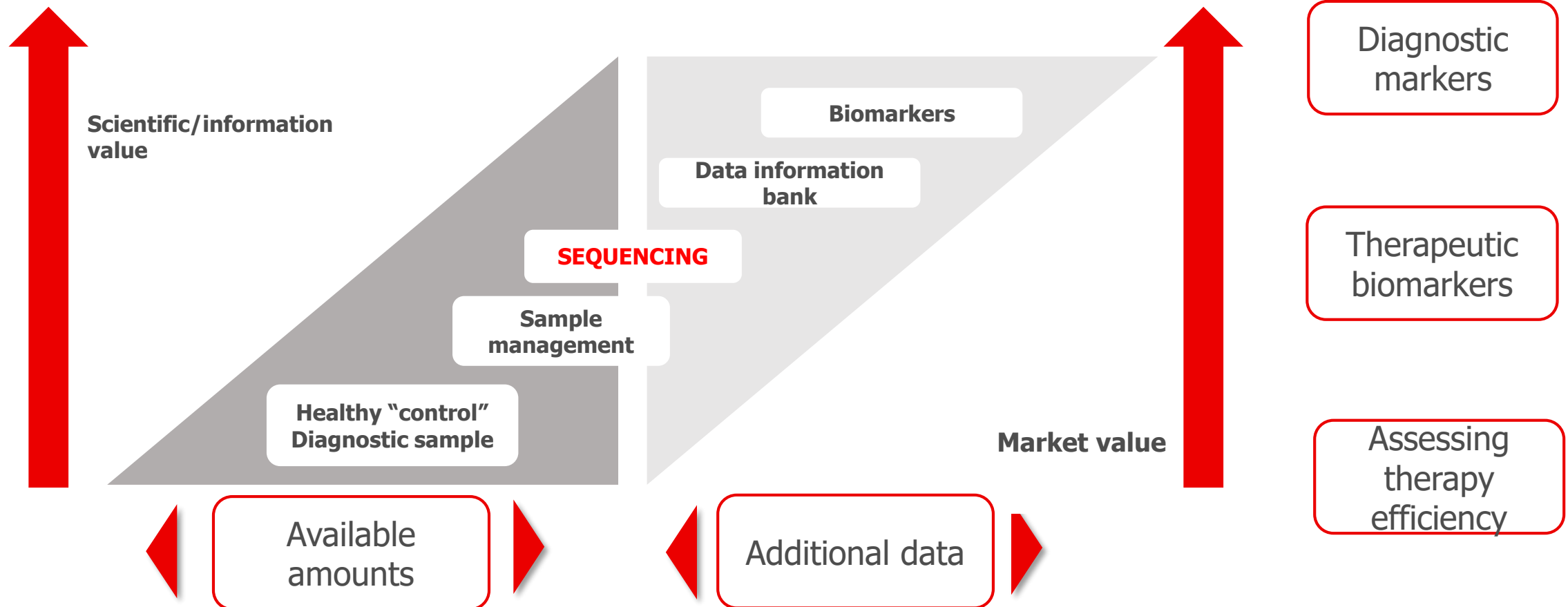
Dalle bio-banche alle banche dati

I campioni biologici raccolti devono essere conservati insieme ai dati clinici, in **Bio-banche**, che devono permettere lo sviluppo di vere e proprie **Banche dati** da cui estrarre e analizzare le informazioni.

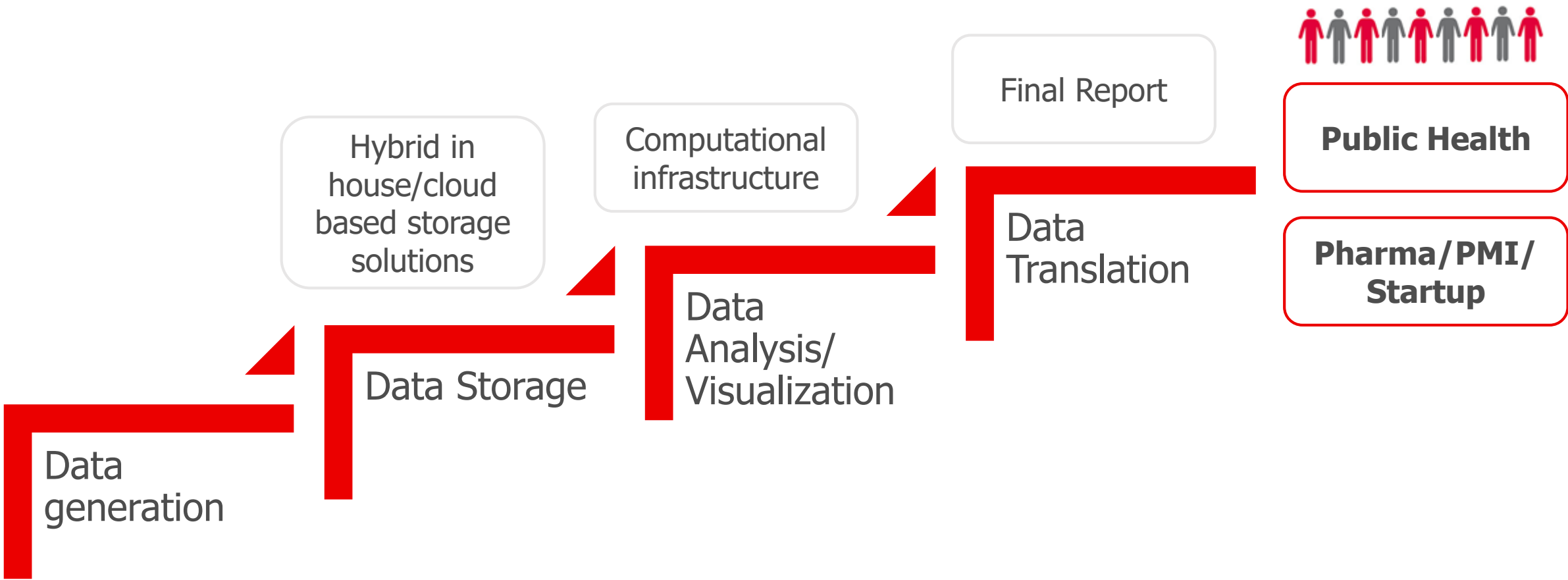
Questo consentirà di **identificare nuovi marcatori** (biomarkers) associati a specifiche condizioni fisiologiche o patologiche.



Dalle Bio-banche alle Banche dati



Le Banche dati a beneficio di pazienti e sviluppo industriale



Il Rinascimento del Biotech

La Rivoluzione del Rinascimento del Biotech: un'opportunità per la ricerca italiana nel settore Life Sciences



Il cambiamento di paradigma: l'Open Innovation

E' in atto una profonda trasformazione a livello internazionale sia della domanda sia dell'offerta di innovazione. Un'indagine condotta sui principali gruppi farmaceutici internazionali mostra come oggi, nell'80% dei casi, **l'innovazione più efficiente nasce dall'acquisizione di progetti nati in piccole aziende biotech o centri di eccellenza.**



L'esplosione delle nuove tecnologie

La diffusione di nuove tecnologie permette sia di esplorare nuove frontiere sia di rendere più efficiente l'intero processo di sviluppo. Una vera e propria "rivoluzione": **cresce la specializzazione, le conoscenze richieste si moltiplicano e diventano più complesse**, determinando processi interdisciplinari e sinergie tra realtà diverse.



Piccoli team di ricerca: le nuove Botteghe del Rinascimento

I nuovi prodotti biotech nascono da una profonda conoscenza del funzionamento dei **processi biologici** che si vogliono curare/correggere. Un contesto in cui saranno più vincenti **team di ricerca piccoli e focalizzati**, in ideale parallelismo con le botteghe degli artisti/artigiani del nostro Rinascimento.



Il motore dell'innovazione

In questo "mercato delle idee" il **sistema Italia** può avere grandi opportunità. I legami tra aziende farmaceutiche biomedicali, PMI biotech, centri pubblici e privati di eccellenza, sia nella ricerca di base sia in quella applicata, rappresentano il **motore dell'innovazione** nelle Scienze della Vita, sul quale investire per valorizzare le competenze già presenti nel Paese.

Scienze della Vita

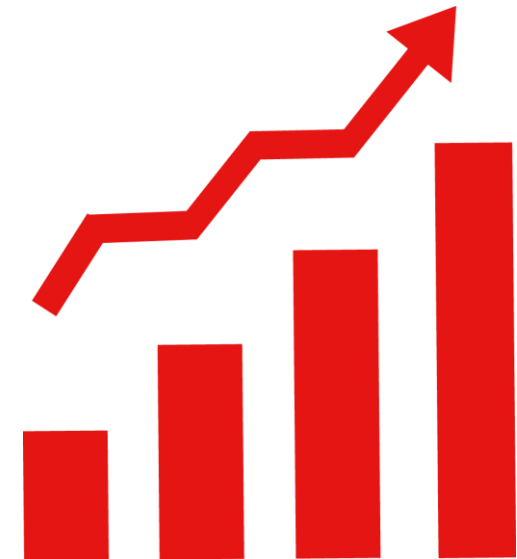
volano per la crescita economica, ruolo chiave nelle politiche di sostenibilità del SSN

Cambia l'offerta di strumenti terapeutici e la gestione del paziente

per adattarsi al rapido sviluppo demografico, caratterizzato da uno spostamento della popolazione verso la terza età e dall'aumentata incidenza di molte patologie croniche degenerative. Si prevede che, entro il 2050, i costi di funzionamento dei sistemi sanitari possano incrementare anche del 30-40% e che le dinamiche dell'indotto sanitario siano destinate a cambiare drasticamente.

Il processo terapeutico viene ottimizzato

L'ottimizzazione dell'intero processo terapeutico (prevenzione, diagnosi, terapia, riabilitazione, rieducazione) assumerà un'importanza fondamentale anche di razionalizzazione economica. Le nuove tecnologie diagnostiche e terapeutiche, combinate con l'informatizzazione dei processi, costituiranno lo strumento per garantire ai cittadini livelli qualitativi di assistenza sempre più elevati.





La medicina predittiva e preventiva assume una nuova centralità

Nella prospettiva di assicurare il mantenimento delle condizioni di funzionalità e benessere, la medicina predittiva e preventiva assumeranno crescente importanza, valorizzando il contributo di discipline diverse quali la biologia molecolare e la genetica. **Cosa cambierà:**



Il processo di innovazione nelle Scienze della Vita

GLI ATTORI

Sistema
delle
Imprese

**Sistema
Sanitario**
Prima inter pares

Sistema
della
Ricerca

Sistema del
Trasferimento
tecnologico

I FACILITATORI

- Cluster nazionale (es. Alisei)
- I Distretti regionali
- I facilitatori e aggregatori territoriali

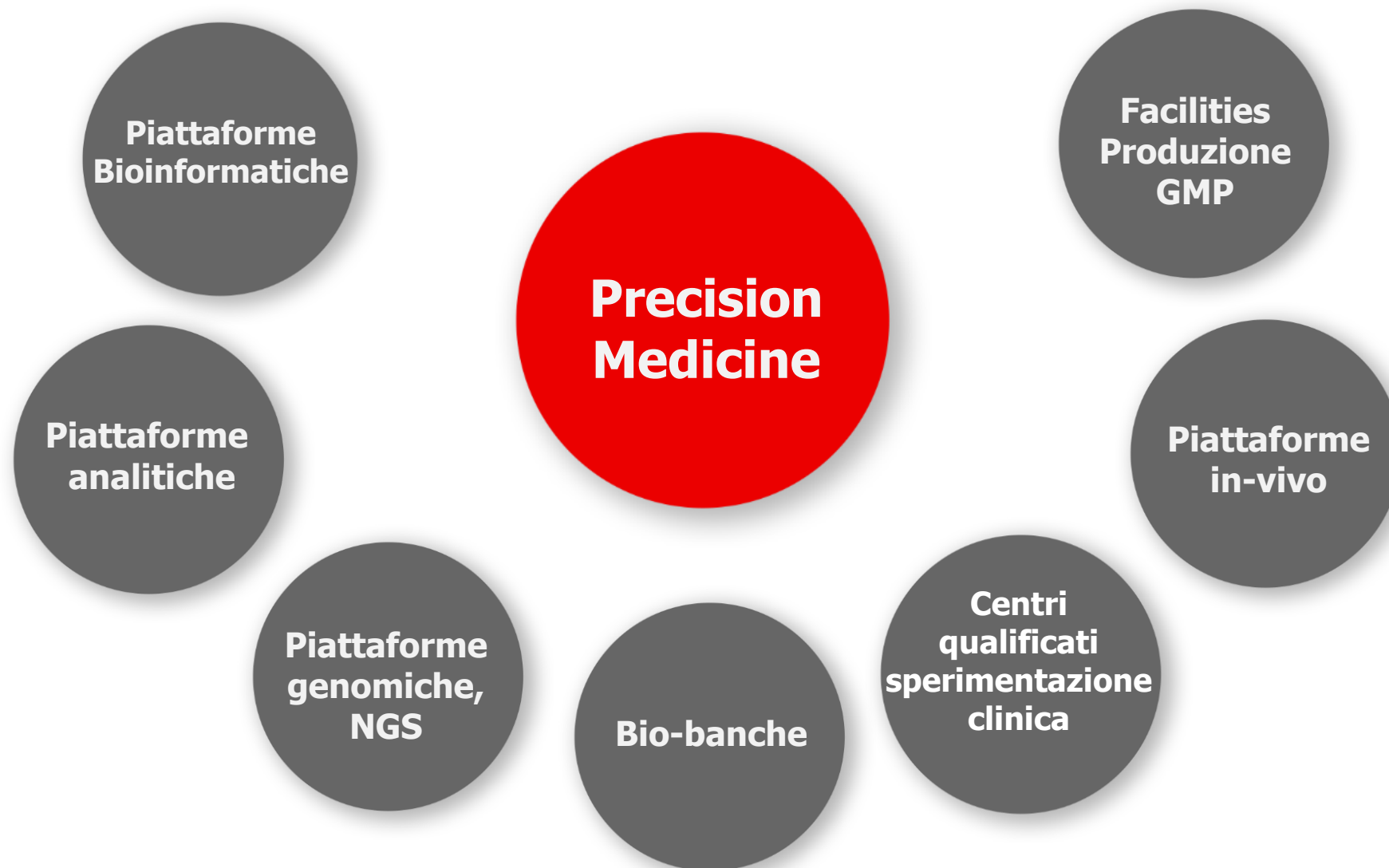
IL PARADIGMA

La **medicina di precisione**,
modello del futuro per tutto
il mondo della salute

Attori e strumenti per la realizzazione di una piattaforma ad accesso aperto

Gli ingredienti

- Scelte strategiche sul modello e sugli ambiti di specializzazione e intervento
- Infrastrutture e piattaforme integrate
- Finanziamenti pubblici per progetti capaci di attrarre investimenti privati



Fondazione Toscana Life Sciences

La Fondazione Toscana Life Sciences, un nuovo modo di collaborare fra pubblico e privato

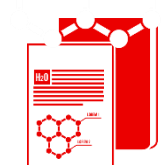
TLS è una fondazione no profit a supporto delle attività di ricerca e innovazione nel settore scienze della vita.

13 Soci pubblici e privati

- Regione Toscana
- Istituzioni ed enti locali (Comune, Provincia e Camera di Commercio di Siena)
- Università e Scuole Superiori (Scuola Normale di Pisa, Scuola Sant'Anna di Pisa, IMT Alti Studi Lucca e le Università di Firenze, Pisa e Siena)
- Azienda Ospedaliera Universitaria Senese
- Banca e Fondazione Monte dei Paschi di Siena



TLS, facilitatore e attrattore di sistema nelle Scienze della Vita



- Creazione di startup innovative
- Attrazione Pmi e grandi imprese
- Attrazione gruppi di ricerca pubblici e privati

Incubatori di impresa

Il nuovo paradigma della Precision Medicine

- Nuovi investimenti industriali e di ricerca
- Piattaforme pubblico private di sistema
- Ufficio regionale valorizzazione della ricerca
- Formazione specialistica (ITS)
- Potenziamento sistema regionale sperimentazione clinica

Smart Specilization Strategy

Scelte strategiche di sistema e specializzazione territoriale

SANITÀ

Prima inter pares tra sviluppo economico ricerca, istruzione e formazione

Cluster nazionale

Distretto tecnologico

Le Scienze della Vita in Toscana



37 start-ups biomedicali
su ~300 in Italia



>16.000 addetti
1.400 in R&D



350 Aziende operanti nelle scienze della vita
farma, dispositivi medici, biotech, ICT per la salute, nutraceutica, servizi



8 .6 Mrd fatturato del settore, > 1,1 Mrd di export
farma, dispositivi medici, biotech, ICT per la salute, nutraceutica, servizi



Forte presenza di centri di ricerca di alto livello
3 università, 3 scuole di eccellenza, 15 istituti CNR, 2 sez. INFN



Terza regione per impianti di produzione biotech
11 sedi impresa, 7 impianti e 8 centri di ricerca

La Toscana con TLS: un modello sperimentale per la **Precision Medicine**

L'obiettivo è quello di sostenere la creazione in Toscana di un ecosistema di **Precision Medicine** che metta in relazione i soggetti (pazienti, clinici, ricercatori) e le piattaforme di riferimento (laboratori clinici e di ricerca, bio-banche, database, le infrastrutture informatiche di gestione e analisi dei dati) e che, da un lato, miri alla condivisione delle conoscenze e a fornire, attraverso il Sistema Sanitario, strumenti efficienti ed efficaci di screening, diagnosi e cura a servizio del cittadino e dall'altro a far crescere il sistema economico-industriale del territorio.



Toscana Life Sciences tra i migliori 15 incubatori biotech in Europa



Labiotech.eu, il principale media digitale dell'industria europea del biotech, ha inserito TLS, unica realtà italiana, nella rosa degli acceleratori di settore dove nascono e crescono alcune delle aziende più innovative d'Europa. Per approfondire: [link all'articolo](#).



Toscana Life Sciences Foundation
Via Fiorentina, 1 - 53100 Siena ITALY
www.toscanalifesciences.org

