

Trovare una cura anche per un solo malato

Una malattia rara è una malattia che colpisce meno di 5 pazienti ogni 10 mila.

Mi chiamo Lorenzo Terranova e sono il Quality Assurance Manager e Qualified Person dell'impianto Kedrion Orphan Drug di Siena. Kedrion Biopharma è la quinta azienda a livello mondiale nel business dei farmaci plasmaderivati. È un'azienda italiana con sede in provincia di Lucca, ma possiede diversi stabilimenti produttivi e centri di plasmaderesi in tutta Europa e negli Stati Uniti.

Il nostro è un piccolo impianto per la produzione di farmaci orfani plasmaderivati.

I farmaci orfani sono quei farmaci che curano malattie estremamente rare, per i quali le aziende farmaceutiche tendono a non fare investimenti in quanto il ritorno sarebbe molto scarso.

Kedrion invece ha deciso di investire in questo settore perché è da sempre nel campo delle malattie rare.

Il nostro stabilimento nasce all'interno della Fondazione Toscana Life Sciences, nell'ambito di un progetto regionale per lo sviluppo di farmaci orfani.

L'autorizzazione di un impianto farmaceutico è un percorso lungo e complesso, bisogna infatti soddisfare tutti quelli che sono i requisiti delle GMP, che sono le linee guida europee che regolano la produzione di farmaci. È stata necessaria una ristrutturazione completa dell'impianto per adeguarlo a quelli che sono i requisiti dell'autorità e inoltre un grosso lavoro a livello non solo ingegneristico, ma anche procedurale e documentale.

Al termine di questo percorso siamo stati ispezionati dall'Agenzia Italiana del Farmaco nel marzo del 2015.

L'esito dell'ispezione è stato positivo e a ottobre 2015 l'Agenzia Italiana del Farmaco ha rilasciato l'autorizzazione all'impianto Kedrion Orphan Drug per la produzione di farmaci plasmaderivati per studi clinici nell'uomo.

Attraverso un percorso analogo siamo riusciti anche ad ottenere la certificazione di AIFA per dei nuovi laboratori di controllo qualità che abbiamo approntato sempre nei locali di Toscana Life Sciences.

Queste due certificazioni ottenute in un così breve lasso di tempo sono state un successo veramente al di sopra delle nostre aspettative iniziali.

Oggi possiamo dire che ne è valsa veramente la pena.

Nel nostro lavoro non siamo partiti da zero. Il fatto di nascere all'interno di TLS ci ha ovviamente facilitato in molti modi.

Una malattia rara è una malattia che colpisce meno di 5 pazienti ogni 10 mila. Un farmaco orfano è un farmaco che cura una malattia rara, i cui numeri però sono talmente bassi da non risultare remunerativi per l'industria farmaceutica.

Nel nostro caso stiamo partecipando allo sviluppo di un farmaco per trattare un solo paziente attualmente conosciuto in Italia.

Ci sono molte persone che non hanno accesso a terapie efficaci e io voglio continuare a lavorare per loro.

Lorenzo Terranova

QA Manager & Qualified Person Impianto Kedrion Orphan Drug