

TERAPIE GENICHE: COME AGGIORNARE LA REGOLAMENTAZIONE EUROPEA PER ESSERE PRONTI PER IL FUTURO?

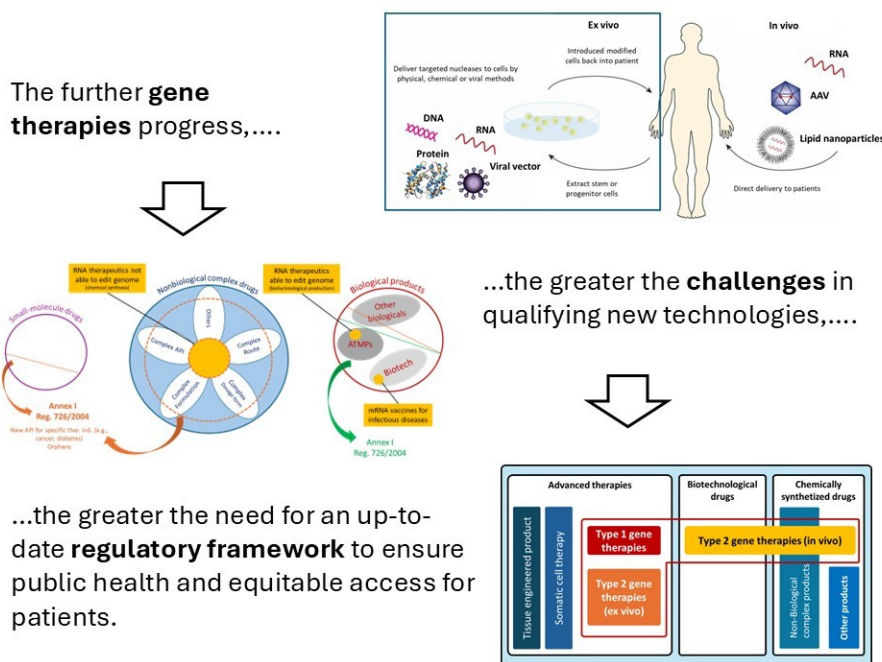
Sara Azari – Università degli Studi di Milano, Sara Manellari – Università degli Studi di Milano, Paola Minghetti – Università degli Studi di Milano, Umberto M. Musazzi – Università degli Studi di Milano, Giulio Pompilio – Università degli Studi di Milano, Paolo Rocco – Università degli Studi di Milano

Data 30 giugno 2025

Abstract Il quadro normativo europeo sui Medicinali per Terapie Avanzate (ATMP), che include le terapie geniche, risale al 2007, quando il biotech farmaceutico era agli inizi. Oggi, le scoperte scientifiche e tecnologiche—dalle terapie basate su complessi CRISPR/Cas9–RNA alle nuove tecnologie di produzione e ai sistemi di somministrazione—ne hanno evidenziato i limiti. In questo lavoro discutiamo le criticità, dal punto di vista regolatorio, nel qualificare i prodotti con meccanismi d’azione diversi (per esempio, editare il genoma dell’ospite oppure modulare l’espressione genica), introducendo criteri più chiari e consulenza mirata. Sugeriamo anche di razionalizzare supporto e incentivi per le terapie più complesse, considerando sia il funzionamento sia i processi produttivi, per accelerarne lo sviluppo sicuro ed equo per i pazienti.

Parole chiave Terapia genica, medicinali per terapie avanzate (ATMP), classificazione del medicinale, editing genetico, quadro normativo

Graphical abstract



[LEGGI LA PUBBLICAZIONE COMPLETA](#)