

Giacomo Baruchello

Vice Presidente, Regional & General Manager Italy & Iberia, Blueprint Medicines

Mastocitosi Sistemica: l'impegno di Blueprint sul fronte delle terapie target mirate a colpire selettivamente la causa molecolare alla base della patologia

Qual è l'impegno di Blueprint nella Mastocitosi Sistemica?

Blueprint Medicines è un'azienda globale che si occupa di ricerca e sviluppo di terapie di precisione, con una leadership riconosciuta nella mastocitosi sistemica, una rara e complessa condizione patologica caratterizzata dalla proliferazione e attivazione anomala dei mastociti nel corpo.

La mastocitosi sistemica rappresenta una sfida significativa per la comunità scientifica, con un impatto notevole sulla prognosi e qualità della vita dei pazienti colpiti. In questo contesto, Blueprint Medicines si pone all'avanguardia nella ricerca e nello sviluppo di terapie target mirate a colpire selettivamente la causa molecolare alla base della patologia, con l'obiettivo di offrire trattamenti di precisione in grado di superare la resistenza ai farmaci, ridurre la tossicità e prolungare il beneficio per il paziente. Con il riconoscimento del recettore KIT D816V come bersaglio molecolare clinicamente valido per le cellule mastocitarie anomale, un elemento centrale della nostra visione strategica è l'espansione della nostra leadership nella mastocitosi sistemica ad altri disturbi delle cellule mastocitarie.

Stiamo sfruttando la nostra piattaforma di ricerca scientifica e le nostre conoscenze mediche per avere un impatto su un numero maggiore di persone affette da disturbi delle cellule mastocitarie.

Blueprint è un'azienda globale focalizzata sullo sviluppo di terapie che agiscono in modo selettivo sui driver genetici. Ci descrive l'attuale pipeline? Che sfide vi attendono?

Fondata nel 2011 e quotata al Nasdaq nel 2013, Blueprint Medicines ha rapidamente consolidato la sua posizione come leader nel campo della medicina di precisione. Con oltre 650 dipendenti distribuiti in otto paesi, l'azienda ha raggiunto importanti traguardi, tra cui l'approvazione di due terapie nell'Unione Europea e la presenza di oltre sei candidati in fase di sviluppo nella pipeline. La nostra presenza globale si riflette nei più di 2.000 partecipanti ai nostri studi clinici, dimostrando il nostro impegno per portare soluzioni innovative a un ampio numero di pazienti. Concentrandoci su patologie come la mastocitosi sistemica, i tumori solidi ed altri disordini dei mastociti, miriamo a migliorare significativamente la vita dei pazienti. Nel 2022, abbiamo destinato investimenti significativi, con oltre 477 milioni di dollari dedicati alla ricerca e sviluppo, confermando la nostra dedizione a promuovere la scoperta di terapie avanzate e all'avanguardia.

Nel corso del 2023, abbiamo compiuto progressi significativi lungo la nostra linea di ricerca e sviluppo, consentendoci di concentrare gli investimenti sui programmi ancora più promettenti. Un elemento centrale della nostra strategia di crescita è consolidare la nostra posizione di leadership nella mastocitosi sistemica, espandendoci ad altre malattie allergico-infiammatorie in cui i mastociti svolgono un ruolo fondamentale. Grazie alla nostra piattaforma di ricerca scientifica per il targeting molecolare, le nostre conoscenze in biologia computazionale e cellulare, e le nostre competenze nello sviluppo e commercializzazione di farmaci su scala mondiale, ci stiamo impegnando per sviluppare terapie di precisione che colpiscano in modo selettivo i fattori genetici alla base di diverse patologie. Oggi, più che mai questa attività procede a pieno regime e la nostra pipeline vanta più di 6 molecole in fase di sviluppo. Il nostro focus clinico oggi, oltre alla mastocitosi sistemica, è l'allergologia e l'oncologia, aree con forti unmet needs in cui ci stiamo distinguendo ormai da qualche anno. In tutto il nostro portafoglio, stiamo investendo per offrire farmaci di precisione innovativi ai pazienti, mantenendo nel contempo un profilo finanziario solido e sostenibile.