FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

Associazione "Giuseppe Dossetti: i Valori" ONLUS 'Sviluppo e Tutela dei Diritti']

FARMACI INNOVATIVI
Qualità Efficacia Appropriatezza
Garanzia dell'universalità delle cure sul territorio nazionale
Giovedì, 9 ottobre 2008 ore 08.30 – 14.30

CAMERA DEI DEPUTATI
Palazzo Marini – Sala delle Conferenze
Via del Pozzetto, 158 Roma

Prof.ssa Adriana Ceci

Sede Legale:
Via Abate Eustasio, 30
70010 Valenzano (BA)
Tel./Fax (+39) 080.4674084

Sede Operativa:
Dipartimento Farmacobiologico, Facoltà di Farmacia,
Università di Bari, Campus Via Orabona 4 70125 Bari
Tel./Fax: (+39) 080.5442245/2801

Istanza di riconoscimento della personalità giuridica presentata alla Prefettura di Bari in data 1.2.08

Codice Fiscale n° 93347800729

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi:quale definizione

- diverse tipologie di innovatività

(della molecola, del metodo produttivo, dell'effetto clinico, del costo, ecc)

- diversi criteri adottati nel mondo (EUROPA/EMEA, USA, Giappone)

- diverse esigenze ed aspettative dei soggetti interessati

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

Farmaci Innovativi: quale definizione

"L'innovazione terapeutica / clinica"

medicinali capaci di trattare o prevenire, in tutti i pazienti o in specifici gruppi, malattie che mancano di adeguati trattamenti

"L'innovazione per la qualità della vita "

- medicinali che, sono capaci, in tutti i pazienti o in specifici gruppi di facilitare le modalità di cura (es:tipo di somministrazione e formulazione).

"L'innovazione socio-economica"

- medicinali capaci di offrire benefici correlati alla sanità pubblica o alle finanze pubbliche

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi: quale definizione

'La definizione di 'Innovatività' non può essere slegata dalla definizione di 'Valore Terapeutico' delle nuove sostanze.

Sono Innovativi :

a) I nuovi trattamenti per patologie finora non trattate;

b) I nuovi trattamenti che apportano

un aumento significativo dell'attesa di vita;

una significativa riduzione delle disabilità;

una significativa riduzione degli eventi avversi ed esiti;

un significativo miglioramento delle modalità di assunzione.

'Medicinal Products and Public Health'
Lisbona 11-12 aprile 2000

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

ERICE STATEMENT ON DRUG INNOVATION*

General Definition

Innovation is : **“The process of making improvement by introducing something new that should potentially yield a benefit for users**".

Definition in the drug context

Innovation in the field of medicinal products consists of a completely or partially **new active substance or biological entity or combinations** acting against a disease, relieving symptoms or preventing a disease, **that can improve the quality of patient management and outcomes**

Workshop on Drug Innovation at the Ettore Majorana Centre, May 24 to 27, 2007

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi: a favore di chi?

Objectives set out in the EMEA Road Map

1- Timely access to safe and effective innovative medicines

The EMEA must strive for further gains in the operating efficiency of the centralised procedure, without compromising the quality of the assessment process that assures the safety of medicines reaching the market. **Patients suffering from severe or life-threatening conditions in particular will benefit from timely access to innovative medicinal products.**

2- Access to Information

The EMEA will follow up on initiatives agreed with the European Commission to improve access to information and enhance the Agency's profile in the outside world as an approachable, informative and transparent organization.

The European Medicines Agency Road Map to 2010

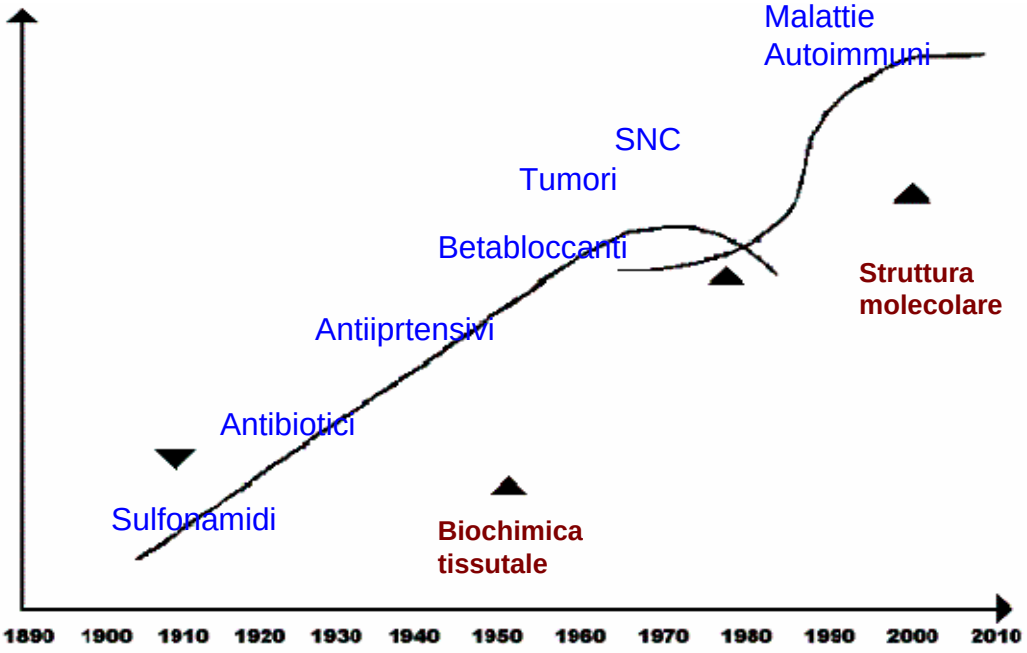
FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

Farmaci Innovativi: a favore di chi?

Alta Frequenza

Popolazione Generale

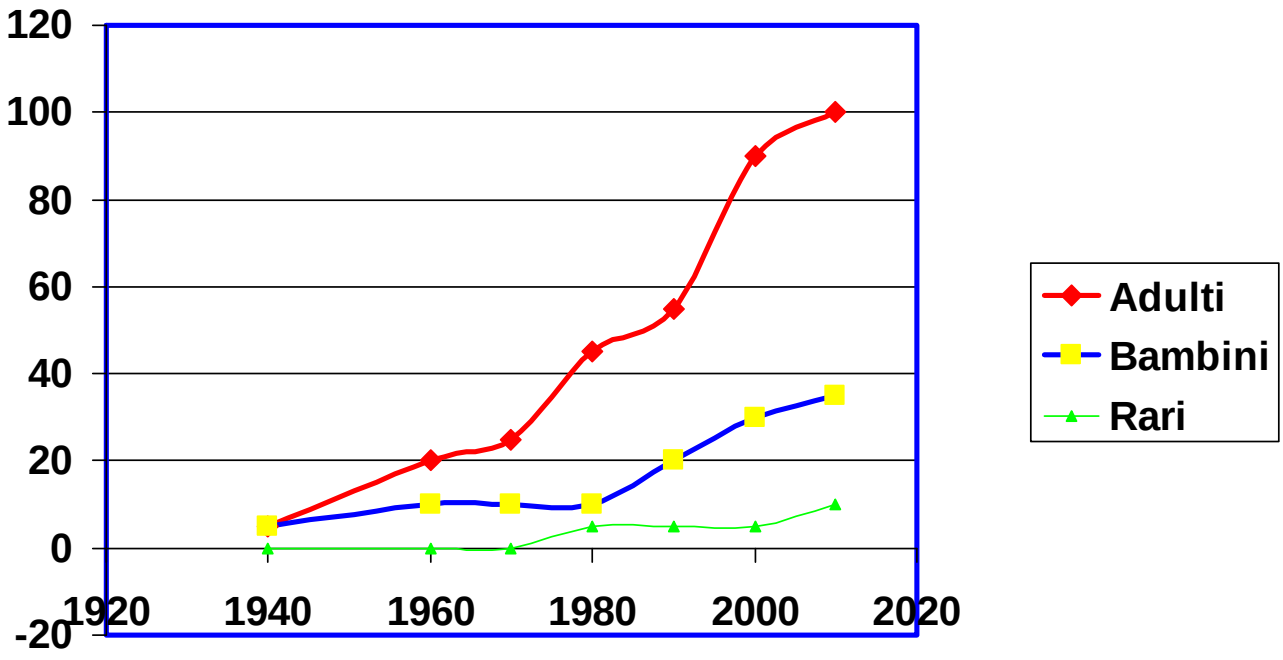
No meccanismi Genetici



Elaborazione da: V. Silano, Forum Farmaceutico Europeo

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi: popolazioni a confronto



Elaborazione da: V. Silano, Forum Farmaceutico Europeo

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi: a favore di chi?

1- Timely access to safe and effective innovative medicines

The EMEA must strive for further gains in the operating efficiency of the centralised procedure, without compromising the quality of the assessment process that assures the safety of medicines reaching the market. Patients suffering from severe or life-threatening conditions (in particular suffering from Rare Diseases) will benefit from timely access to innovative medicinal products.

2- Better Medicines for children

Paediatric Population should be entitled to have access to the same quality of treatment as other patients: to cover **the lack of medicines** for paediatric use scientific and regulatory **actions** should be implemented

The European Medicines Agency Road Map to 2010

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

Farmaci Innovativi: in che modo?

Measures set up by European Commission

1- Provide special rules for innovative medicines, technologies and therapies approval:

Orphan drug regulation *(dec.* 2000*)*

Paediatric Regulation (dec. 2006)

2- Implement special measures for innovative medicines, technologies and therapies development:

Advanced Therapies

Accelerate procedure

Under exceptional circumstances approval

3- Stimulate research and innovation in the EU's pharmaceutical, biotechnology and healthcare industries:

Innovative Medicines Initiatives

FP7 / EU Framework Program / Priority List

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

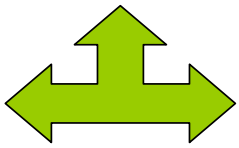
Orphan drug regulation

Istituisce una procedura per l'assegnazione della qualifica di farmaco orfano

Offre incentivi per la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali orfani così qualificati

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
onlus

1° CRITERIO



2° CRITERIO

Prevalenza
< 5 casi su 10000

Mancanza di altri metodi soddisfacenti