



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



## 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



# 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



## 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***



## **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**



## Farmaci Innovativi: a favore di chi?

### Objectives set out in the EMEA Road Map

#### *1- Timely access to safe and effective innovative medicines*

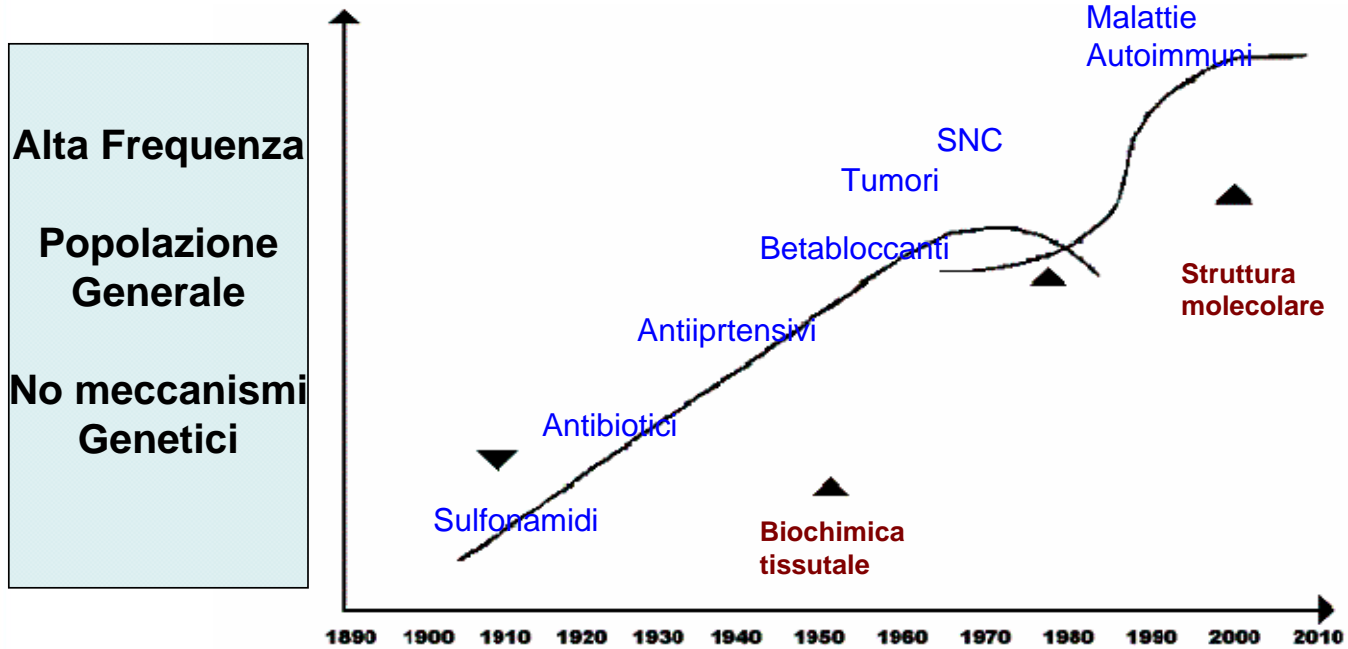
The EMEA must strive for further gains in the operating efficiency of the centralised procedure, without compromising the quality of the assessment process that assures the safety of medicines reaching the market. **Patients suffering from severe or life-threatening conditions in particular will benefit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



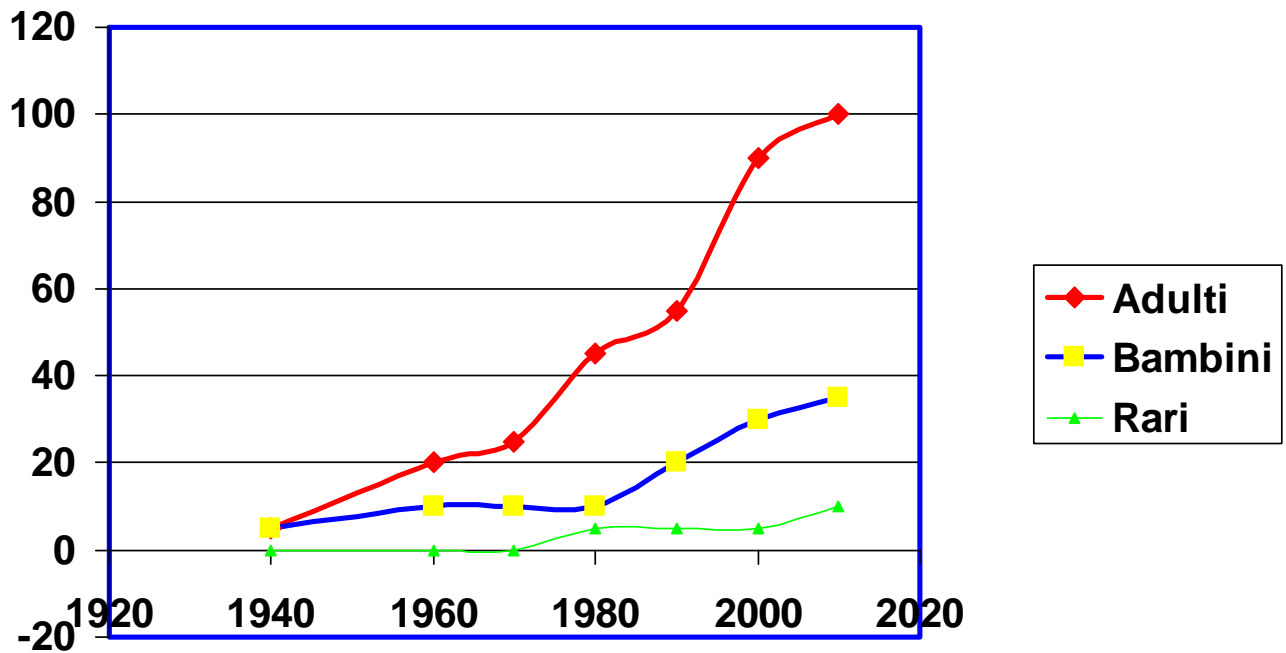
## Farmaci Innovativi: a favore di chi?



Elaborazione da: V. Silano, Forum Farmaceutico Europeo



## Farmaci Innovativi: popolazioni a confronto



Elaborazione da: V. Silano, Forum Farmaceutico Europeo



## 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*



## 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**



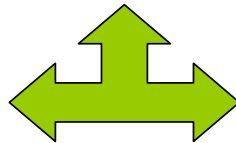
## Orphan drug regulation

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



**1° CRITERIO**



**2° CRITERIO**

**Prevalenza  
< 5 casi su 10000**

**Mancanza di altri  
metodi soddisfacenti**

