

# La posizione dell'industria

Eugenio Aringhieri, Presidente Gruppo Biotecnologie Farindustria

Roma 23 febbraio 2012



FARMINDUSTRIA

---

# Le Malattie Rare

Colpiscono non più di 5 persone su 10 mila abitanti.

Sono patologie caratterizzate da:

- difficoltà diagnostiche;
- carenza di informazioni, di assistenza e di conoscenze scientifiche;
- disuguaglianze e difficoltà nell'accesso al trattamento e alle cure.

Circa **8** mila malattie che interessano **oltre 1 milione** di persone in Italia e il **6-8%** della popolazione europea (ossia **24-36 milioni**).

Di queste solo **284** malattie e **47** gruppi di malattie rare danno diritto all'esenzione ai sensi del D.M. N. 279/2001 (Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione).

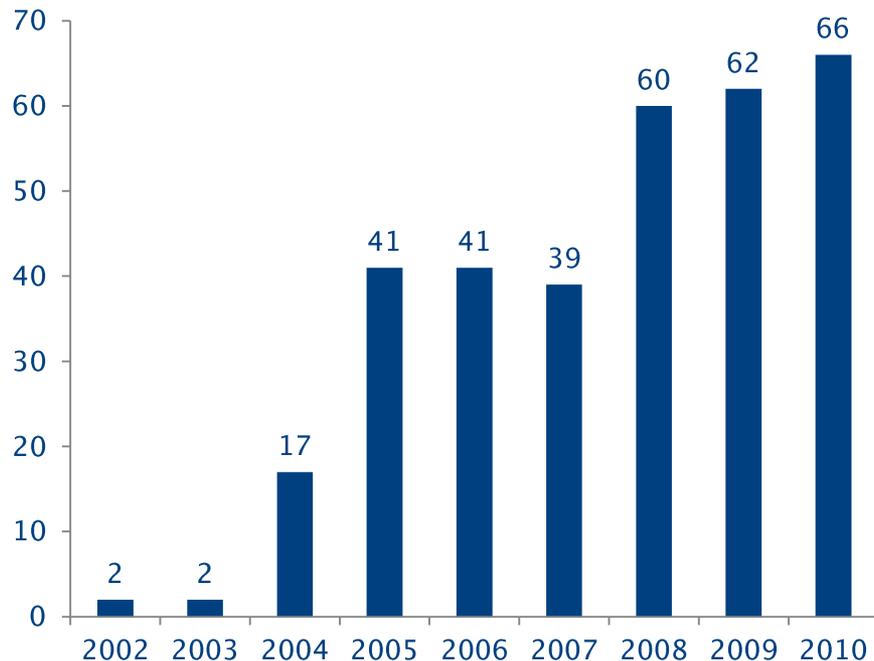
**È fortemente sentita l'esigenza di un aggiornamento della codifica internazionale delle malattie rare, che agevoli l'accesso alle cure del Paziente e, allineando i LEA, assicuri parità di diritti per i malati rari.**



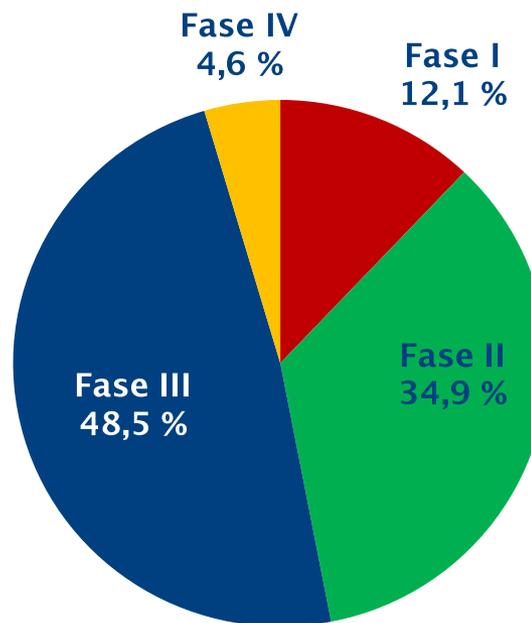
# Il ruolo dell'Italia nelle sperimentazioni cliniche con farmaci orfani

## 1/2

Le sperimentazioni cliniche con medicinali orfani per anno



Le sperimentazioni cliniche con medicinali orfani per fase anno 2010



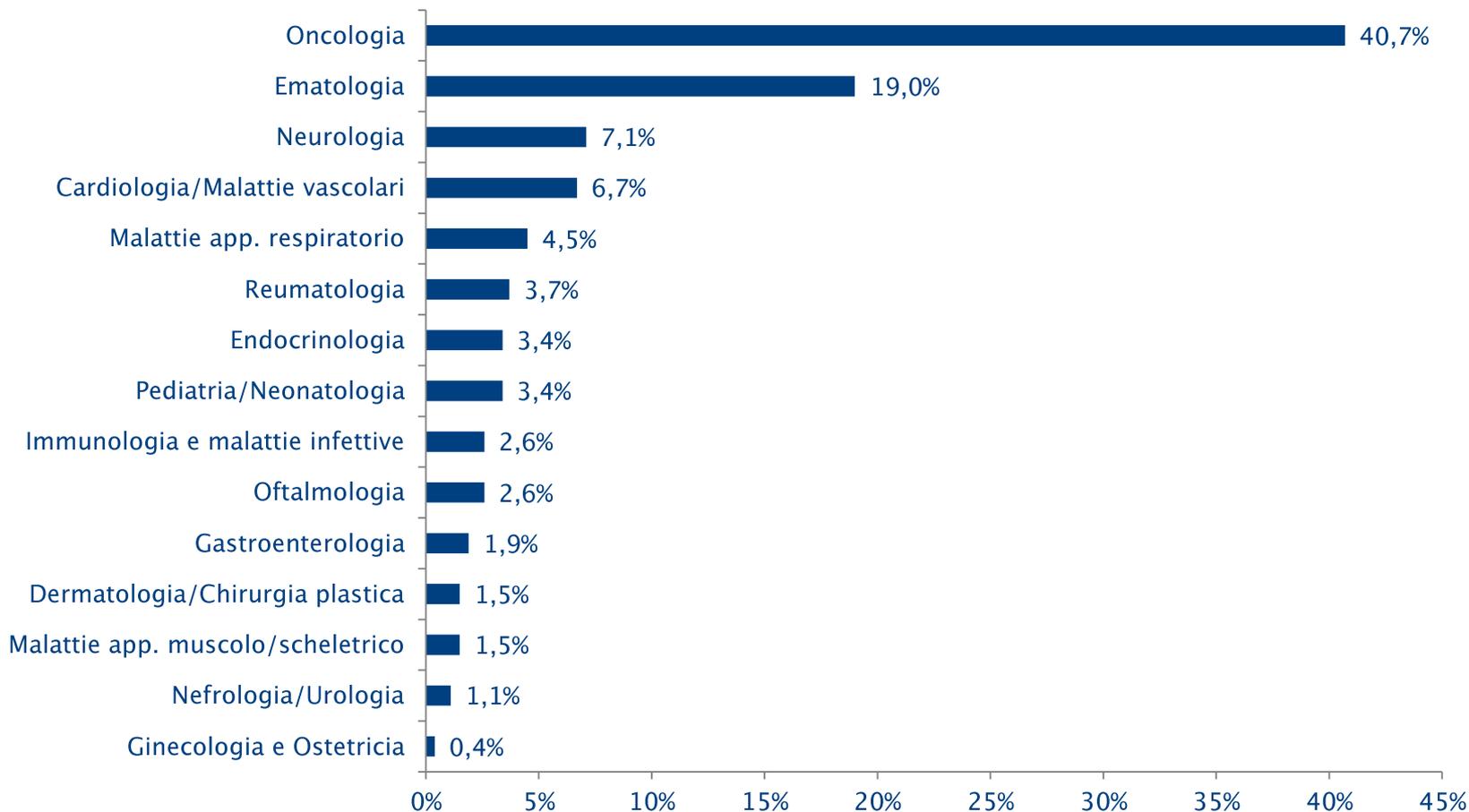
In Italia, le Aziende farmaceutiche finanziano quasi il 90% delle sperimentazioni cliniche con farmaci orfani.



# Il ruolo dell'Italia nelle sperimentazioni cliniche con farmaci orfani

## 2/2

### Le sperimentazioni cliniche con medicinali orfani per area terapeutica anno 2010



Fonte: Osservatorio Sperimentazioni Cliniche (Aifa) 2011



# L'impegno in rete di Farmindustria per la Ricerca

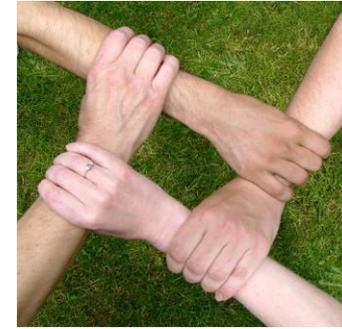


## Protocollo di intesa con Fondazione Telethon (2009)

- per stimolare la collaborazione delle Imprese per lo sviluppo clinico;
- per individuare strumenti legislativi più efficaci di defiscalizzazione;
- per ottimizzare il percorso dalla individuazione della terapia alla registrazione;
- per realizzare strumenti per diffondere i risultati.



# Per la formazione insieme alle Società Scientifiche e Federazioni mediche



**Corso di formazione** “Conoscere per assistere” in collaborazione con UNIAMO, SIP, SIMG, FIMP, FIMMG, SIMGePeD, SIGU per “*formare i formatori*”.

- > per un'opera di sensibilizzazione e formazione dei medici e dei pediatri;
- > per migliorare l'iter diagnostico;
- > per ottimizzare l'assistenza globale dei malati rari e delle loro famiglie.

**Nazionale: Roma, 26–28 febbraio 2009**

**Regionale:**

**Trentino Alto Adige, Lombardia, Liguria, Lazio e Campania (2010)**

**Puglia (8 ottobre 2011)**

**Emilia Romagna (22 ottobre 2011)**

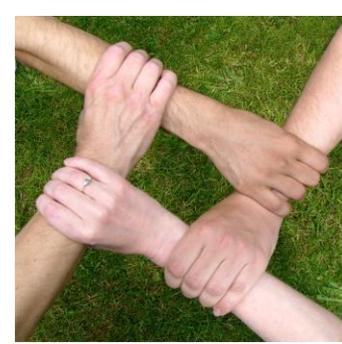
**Calabria (17 dicembre 2011)**

**Sicilia (21 e 28 gennaio 2012)**

**Sardegna , Abruzzo e Molise (inizio 2012)**



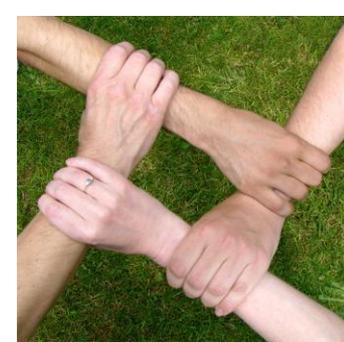
# In rete con le Associazioni



- **Protocollo di intesa con Uniamo (2000)**  
Per promuovere l'adozione di idonei strumenti legislativi, migliorare l'assistenza, favorire la R&S, sostenere progetti mirati, incoraggiare la creazione di una rete.
- **Guida alle Associazioni Italiane Malattie Rare (prima edizione 2004 e seconda 2008)**  
Raccolta ragionata delle numerose Associazioni di volontariato che si occupano di Malattie Rare in collaborazione con Uniamo e Orphanet.
- Realizzazione delle **giornate delle Malattie Rare** “Un giorno raro per persone molto speciali” (**29 febbraio 2008**), “Il Paziente al centro dell'assistenza” (**28 febbraio 2009**), “Pazienti e ricercatori, insieme per la vita” (**28 febbraio 2010**) e “Rari Ma Uguali” (**28 febbraio 2011**).



# Europplan – Progetto europeo per lo sviluppo di Piani nazionali per le malattie rare



Coinvolti 25 Paesi europei, EURORDIS, Centro Nazionale Malattie Rare (ISS) e Uniamo

Farindustria condivide finalità e obiettivo del progetto e per questo ha deciso di sostenerlo.

25 febbraio 2011– conferenza finale presso l'ISS

**Obiettivo:** produrre raccomandazioni su come sviluppare strategie e piani nazionali per le malattie rare che seguano le Raccomandazioni Europee per le azioni nel campo delle malattie rare (2009/C 151/02)



# I prossimi passi necessari...

- Realizzare un quadro normativo certo e chiaro necessario per permettere piani di investimento stabili a medio e a lungo periodo
- Migliorare i tempi di accesso all'innovazione a livello nazionale e regionale dei medicinali che hanno ottenuto la designazione di farmaco orfano dall'EMA.



# Una prima risposta...

La rapida approvazione di un Piano Nazionale per le Malattie Rare condiviso da tutti gli stakeholders

