FARMINDUSTRIA

Fondazione Dossetti

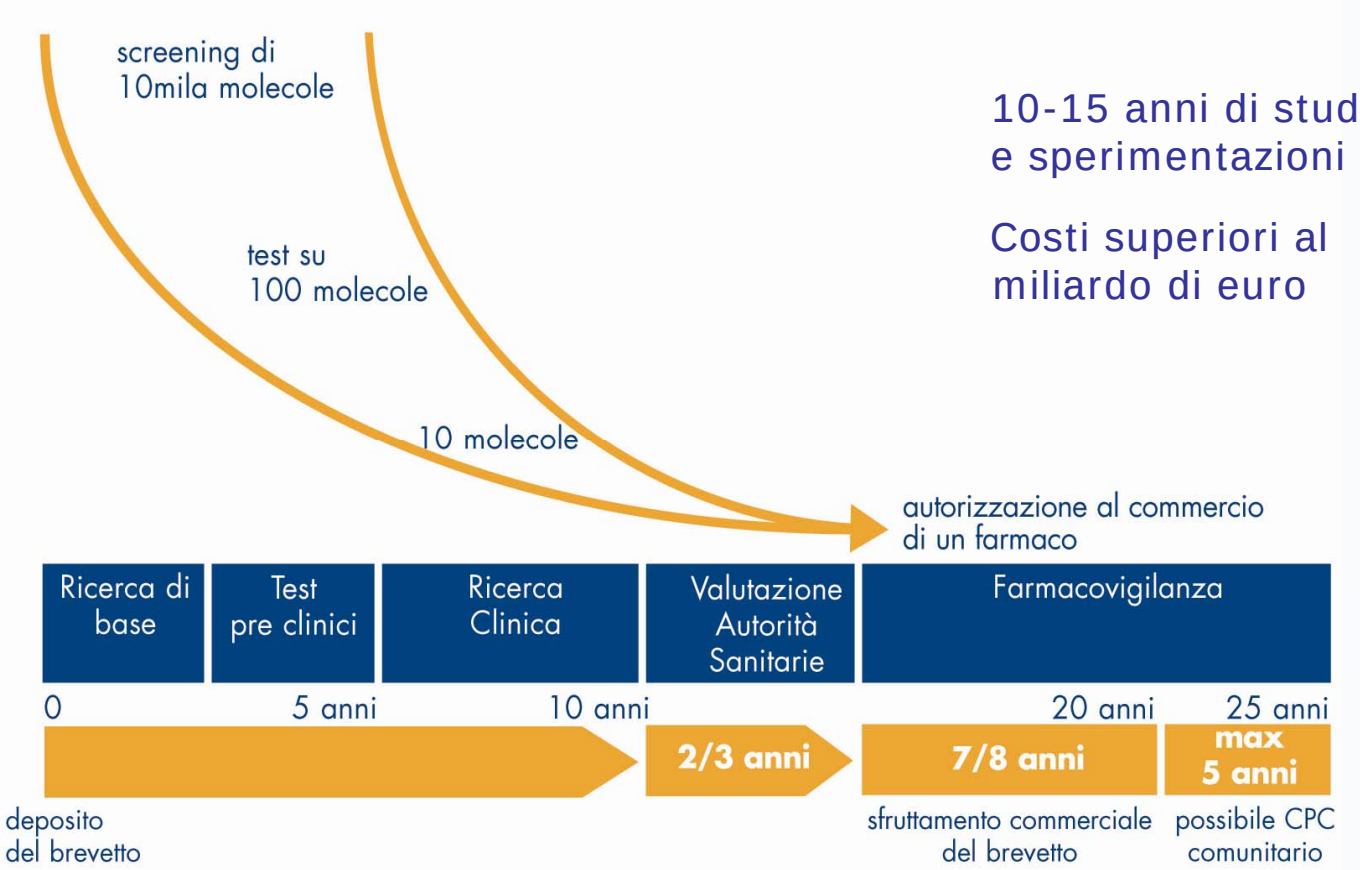
L’impegno di Farmindustria per le malattie rare

Claudio Cavazza, Vice Presidente Farmindustria

Roma, 27 febbraio 2009

La Ricerca farmaceutica: un processo lungo, complesso, continuo e costoso

Il percorso per la nascita di un nuovo farmaco



10-15 anni di studi e sperimentazioni

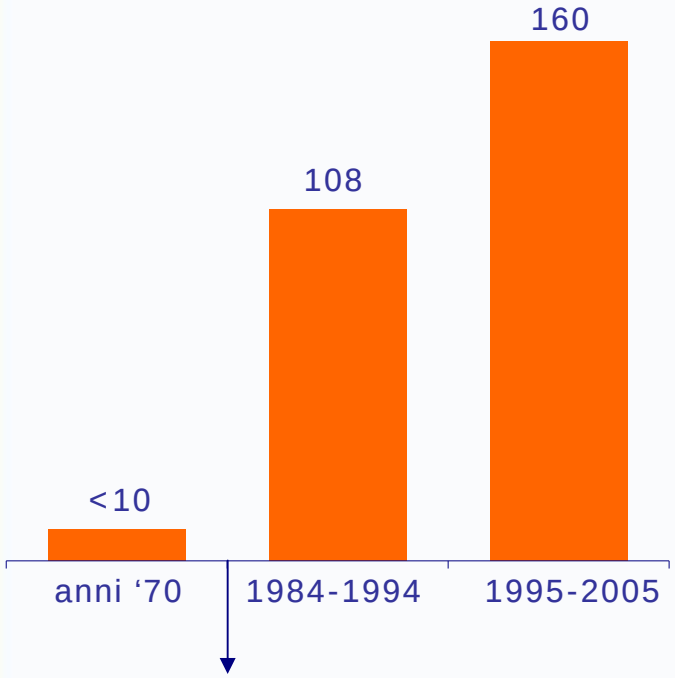
Costi superiori al miliardo di euro

FARMINDUSTRIA

Fonte: Indicatori Farmaceutici Farmindustria, 2008

Oggi le patologie sono un po' meno orfane

N° di farmaci per malattie rare approvati negli USA



1983: Orphan Drug Act

Incentivi per chi registra farmaci orfani, credito di imposta su spese per studi clinici, stanziamenti pubblici, esclusiva di mercato

Le azioni intraprese in Europa e i loro effetti

- Priorità del programma comunitario 1999-2003
- Priorità del programma comunitario di sanità pubblica 2003-2008
- Rare Disease Task Force istituita nel 2004
- Area Prioritaria nel 7° Programma Quadro
- Regolamento EC 141/2000: Esclusività di mercato

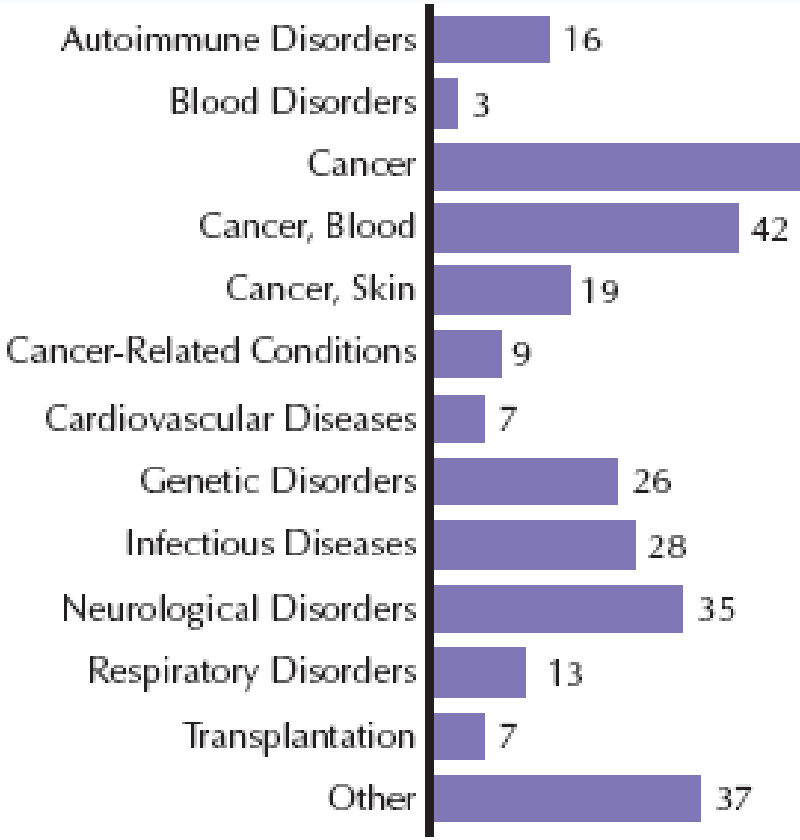
Dall'aprile 2000 ad oggi:

- 873 domande presentate all'EMEA per la qualifica di farmaco orfano
- 569 designazioni di farmaco orfano
- 48 autorizzazioni all'immissione in commercio

FARMINDUSTRIA

Fonte: PhRMA Survey, Report 2007, EMEA

Un impegno che non basta mai, ma che continua a crescere



Fonte: PhRMA Survey, Report 2007

- Accordo FDA-EMEA: procedure comuni per approvazione e immissione in commercio delle nuove molecole, minimizzando la burocrazia e velocizzando i tempi per la disponibilità dei farmaci
- Obiettivo comune: strategie per informazione, prevenzione, diagnosi e trattamento delle malattie rare
- Nel mondo 300 farmaci orfani in sviluppo
- Una crescita della R&S a cui partecipa anche l'Italia, con investimenti ingenti, importanti prodotti allo studio e aziende leader a livello internazionale

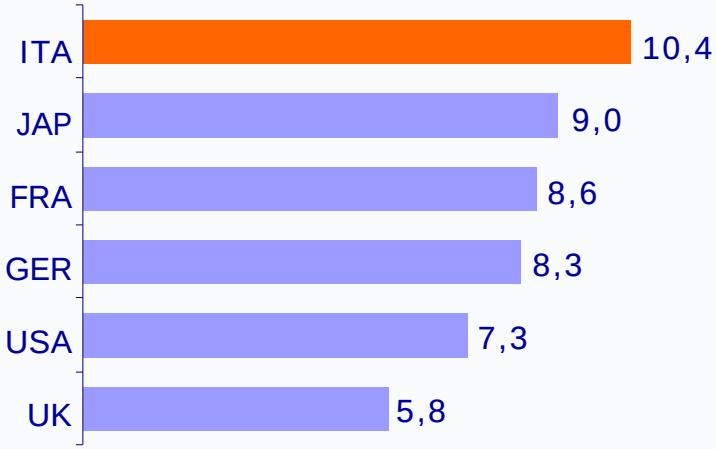
FARMINDUSTRIA

Nelle malattie rare l'impegno della Ricerca in Italia

(Anni 2000-2008)

Indice di specializzazione di pubblicazioni su malattie rare

(% sul totale del Paese in Scienze della Vita)



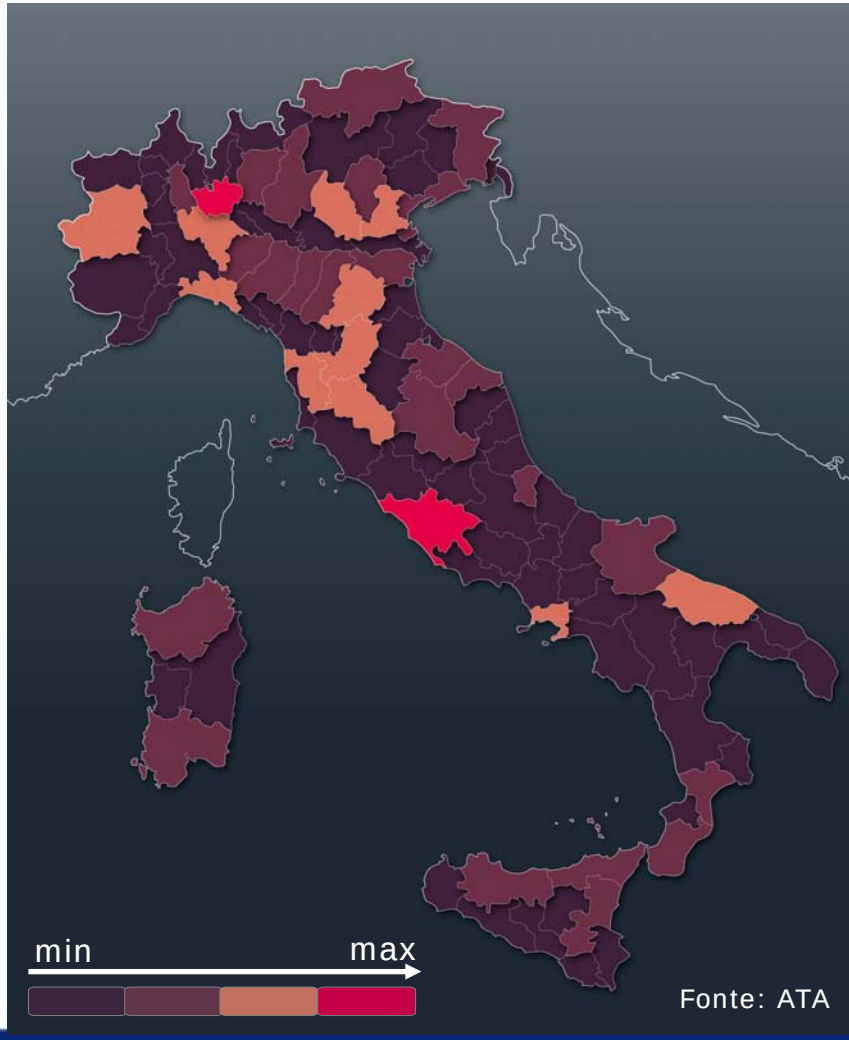
Pubblicazioni su malattie rare

(% sul totale dei 6 Paesi)

USA	50,9	Regno Unito	9,6
Giappone	13,8	Italia	8,5
Germania	10,0	Francia	7,1

FARMINDUSTRIA

Pubblicazioni nelle malattie rare



L’impegno in rete di Farmindustria per le malattie rare

Farmindustria ha sostenuto, negli anni, impegni concreti a favore dei malati rari. Un “fare” che l’Associazione intende diffondere per una sempre maggiore sensibilità su un’area così complessa e delicata.

- **2000: Protocollo di intesa con Uniamo**
  Promuovere l’adozione di idonei strumenti legislativi, migliorare l’assistenza, favorire la R&S, sostenere progetti mirati, incoraggiare la creazione di una rete
- **2004: Prima edizione della Guida alle Associazioni Italiane Malattie Rare** (con Uniamo e Orphanet)
  Raccolta ragionata delle numerose Associazioni di volontariato che si occupano di malattie rare
- **2005: Annuario Orphanet-Italia delle malattie rare**
  Farmindustria ha contribuito alla realizzazione di un Censimento dei Centri che si occupano di diagnosi e cura per ciascuna malattia rara.
- Nel **2008** Farmindustria ha sostenuto la realizzazione della **prima giornata delle malattie rare** (29 febbraio 2008) “Una giornata rara per persone molto speciali”
- **26-28 febbraio 2009: Corsi di Formazione Professionale ECM** (in collaborazione con Uniamo)

FARMINDUSTRIA

La rete dell'informazione: un impegno condiviso a favore dei Pazienti

8 ottobre 2008: Seconda edizione della Guida alle Associazioni Italiane Malattie Rare con Uniamo e Orphanet

360 associazioni coinvolte

179 associazioni che hanno risposto attivamente fornendo gli aggiornamenti (+39% rispetto alla precedente edizione)

465 malattie elencate, alcune sono gruppi di patologie (es. le malattie metaboliche ereditarie che da sole raccolgono più di 500 patologie)



FARMINDUSTRIA

Farmindustria e Fondazione Telethon in rete per “curare le malattie genetiche”

Una sfida alla quale Farmindustria intende contribuire con possibili sinergie per:

- stimolare la collaborazione delle Imprese per lo sviluppo clinico;
- individuare gli strumenti legislativi più efficaci di defiscalizzazione;
- ottimizzare il percorso dalla individuazione della terapia alla registrazione della cura presso le Autorità regolatorie;
- realizzare strumenti informativi per diffondere i risultati della ricerca Telethon.

FARMINDUSTRIA

2 luglio 2008: siglato il Protocollo d'Intesa tra Farmindustria e la Fondazione Telethon

L'impegno dell' Associazione

- recepire la lista dei progetti avviati da Telethon, analizzarla ed eventualmente concordare modifiche ed integrazioni;
- informare la propria Giunta sull'avvio delle attività di confronto operativo;
- convocare una riunione con i responsabili della preclinica e dello sviluppo clinico delle aziende interessate nella quale, con modalità da concordare di volta in volta, potrebbe intervenire anche il ricercatore titolare della ricerca per discutere i vari aspetti scientifici;
- pianificare annualmente riunioni informative sullo stato di avanzamento ed i risultati della collaborazione.

FARMINDUSTRIA

Le politiche per incentivare la rete della Ricerca nelle malattie rare

- **Creazione di una rete tra Pubblico e Privato**
- **Certezza e chiarezza del quadro normativo necessari per permettere piani di investimento stabili**
- **Riconoscimento della proprietà intellettuale**
  (con allungamento della durata ed esclusività del prodotto)
- **Incentivi per la Ricerca e l'Innovazione**
  (Progetto Industria 2015, credito di imposta, accordi di programma, 7° Programma Quadro UE, FIRST, Fondo per le biotecnologie)

Una normativa favorevole alle malattie rare è un investimento in un quadro normativo positivo per le terapie personalizzate
(che rappresentano il futuro della R&S nelle Life Sciences)

FARMINDUSTRIA