

genzyme

Malattie Rare e Orphan Drugs: Il ruolo di Genzyme

Riccardo Palmisano
Amministratore Delegato & G.M.
Genzyme S.r.l.

Roma, 27 Febbraio 2009

Malattie Rare ed Orphan Drugs

- Dalla fine del 2005 ad oggi Genzyme ha partecipato ad almeno 7 eventi organizzati da Dossetti su questo tema e sull'innovazione sostenibile
- In 5 di questi eventi Genzyme ha avuto l'opportunità di presentare la sua posizione sul tema in oggetto
- Nello stesso periodo numerosi altri eventi sono stati organizzati sull'argomento …



… per esempio, nel solo 2008 …

genzyme

Malattie Rare ed Orphan Drugs

- Pubblicazione e presentazione libro di Margherita De Bac “Siamo solo noi”



- 1° Giornata Europea delle Malattie Rare

Malattie Rare

- Convegno di Cittadinanza Attiva in collaborazione con Cergas Bocconi

- Convegno sulle Malattie Rare in Senato organizzato dal Sen. Di Girolamo

Sanità news

MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI
“La difficoltà di coniugare bisogno assistenziale e scarsità di risorse”

Martedì, 28 ottobre 2008 – ORE 9.00

genzyme

Malattie Rare ed Orphan Drugs

Qualcosa non sta evidentemente funzionando per i Pazienti…

Sanità News - L'informazione giornaliera sulla sanità italiana!

LE ASSOCIAZIONI DEI PAZIENTI SI MOBILITANO PER LA GIORNATA NAZIONALE DELLE MALATTIE RARE

24 February 2009

Le associazioni dei pazienti affetti da malattie rare si mobilita con una serie di iniziative pubbliche per celebrare la seconda giornata nazionale delle malattie rare prevista per il prossimo 28 febbraio.
Per l'occasione l'Associazione "Giuseppe Dossetti": i Valori, ha chiesto al Governo un decreto legge per riportare l'Italia in Europa nel campo dell'assistenza alle migliaia di malati rari, molti dei quali bambini, presenti nel nostro Paese.
«Le legislature passano - scrive in una nota ufficiale Corrado Stillo, responsabile dell'Osservatorio per la Tutela e lo Sviluppo dei Diritti dell'Associazione "Dossetti" - e i disegni di legge che da anni vengono presentati in Parlamento per la tutela dei diritti dei malati rimangono lettera morta; vengono ripresentati, ma non arrivano alla discussione né tanto meno all'approvazione. Intanto migliaia di malati rari, molti dei quali bambini, rimangono senza la copertura che hanno gli altri: farmaci, prestazioni sanitarie, visite specialistiche sono a totale carico delle famiglie, che non reggono l'urto di un peso così grande».

Finanziamento alla Ricerca

612 Orphan drug designation in Europa

… ma solo…

44 Farmaci Orfani approvati finora da EMEA

gap

Molta ricerca di base, ma poca “industrializzazione”



Accesso al Farmaco Orfano

- Rapporto sulle Malattie Rare Cittadinanzattiva – Cergas Bocconi



Settimanale Milano — Il Sole 24 ORE Sanità — 11-NOV-2008

Diffusione: n.d. — Lettori: n.d. — Direttore: Ferruccio de Bortoli — da pag. 14

MALATTIE RARE/ Da Cittadinanzattiva e Cergas-Bocconi, in collaborazione con Uniamo Orphanet, Fimmg e Celgene periscopio sulle cure più "inaccessibili"

Farmaci innovativi e "orfani": detta legge la disparità

- 1 Paziente Raro su 4 non conosce la diagnosi prima dei 3 anni

  ⇨**molti aspettano addirittura fino a 7 anni (!!!)**

- l'eccessiva burocrazia aumenta tempi per diagnosi e reperimento farmaci con considerevoli aumenti dei costi per i Pazienti Rari

- più della metà dei cittadini segnala problemi di accesso ai farmaci

  ⇨**disomogeneità tra Regioni e tra ASL all'interno della stessa Regione**

- il 16% dei Pazienti si è visto sospendere i farmaci (spesso salvavita) dalla propria ASL

  ⇨**in 1 caso su 10 i Pazienti non hanno più ripreso la terapia**

genzyme

Screening Neonatale allargato

Malattie rare: screening neonatale «Servono passi avanti»

Salute 24
SITO INTERNET

19 Novembre 2008

Basta una goccia di sangue. Lo **screening neonatale metabolico allargato** permette di individuare precocemente fino a **40 malattie genetiche**, alcune rare, prelevandone un piccolo campione **dal tallone del neonato**. Un test **indolore** e **non invasivo** che a poche ore dalla nascita consente di diagnosticare malattie che possono compromettere gravemente l'esistenza del bambino. Un test non sempre disponibile, non per tutte le malattie, non dappertutto. Per questo l'**Aimps**, l'Associazione italiana mucopolisaccaridosi e malattie affini, ha indirizzato in questi giorni una lettera aperta al ministro del Welfare, Maurizio Sacconi, per chiedere "**un ulteriore passo in avanti**" nell'estensione del test.

IMPEGNO BIPARTISAN - "Nella Finanziaria 2008 - scrive il presidente dell'Aimps, **Flavio Bertoglio** - esiste uno **stanziamento di 3 milioni di euro** per l'esecuzione di un programma pluriennale di interventi in materia di ammodernamento tecnologico del patrimonio sanitario pubblico destinati all'acquisto di nuove tecnologie, basate sulla **spettrometria di massa**, per effettuare screening neonatali allargati a tutte quelle patologie metaboliche ereditarie, per la cui terapia esistono evidenze scientifiche efficaci". Un impegno sottoscritto da rappresentanti di entrambi gli schieramenti politici.

Potevamo (ed ancora possiamo) fare di più

Sanità News - L'informazione giornaliera sulla sanità italiana!

MOZIONE DELLA MAGGIORANZA AL SENATO PER GARANTIRE FARMACI AI MALATTI RARI

20 November 2008

Se si analizza la situazione nelle varie regioni italiane si scopre un quadro abbastanza allarmante: sono, infatti, più di 2 milioni gli italiani che sono affetti da malattie considerate rare, le quali nell'80% dei casi sono di natura genetica. Non poche difficoltà si riscontrano per quanto riguarda la diagnosi di una malattia "rara" e, quindi, successivamente per le cure adeguate che attendono i principali risultati terapeutici dallo sviluppo di nuovi farmaci ottenuti attraverso l'impiego di metodologie avanzate (biotecnologie, terapia genica, cellulare). La problematica molto grave delle malattie rare, per le quali il Sistema Sanitario Nazionale riconosce l'esenzione per l'acquisto dei farmaci, anche se non di tutti proprio per la difficile classificazione di queste malattie, non può più attendere ma necessita di una definitiva soluzione. Con questa motivazione i senatori Bianconi, Tomassini, Calabrò, Boldi, Carrara, Colli, De Lillo, Rizzotti e Saccomanno, hanno presentato una mozione che impegna il Governo a recepire le raccomandazioni del Consiglio europeo, dello scorso 11 novembre, partendo dall'istituzione di un fondo ad hoc per garantire farmaci innovativi, orfani, fascia C, parafarmaci a carico del Servizio Sanitario Nazionale con una gestione trasparente tramite l'inserimento uguale in tutti i prontuari regionali, in tempi prestabiliti, una volta avuta l'autorizzazione alla commercializzazione; in merito ai farmaci cosiddetti "orfani"; viene richiesto, inoltre, un maggiore impegno a rivedere i LEA in modo che vengano applicati con una maggiore uniformità, anche in merito ai costi e agli sconti applicati alle aziende ospedaliere, così da garantire una giusta distribuzione dei farmaci orfani all'interno, non solo di queste ultime strutture ma, alle medesime condizioni, anche all'interno delle farmacie, così da agevolare l'accesso soprattutto per alcuni di questi farmaci di fascia H; ed infine che venga assicurata la presa in carico del paziente attraverso un coordinamento di diversi attori con una formazione specifica, anche europei, case manager, percorsi diagnostico/terapeutici con la semplificazione di questi ultimi. "Mi auguro che questa mozione trovi un ampio consenso - auspica Laura Bianconi (Pdl), prima firmataria e relatrice in Commissione Igiene e Sanità dei disegni di legge in materia di farmaci orfani e malattie rare - è importante che al più presto venga individuata una legge in grado di rispondere tempestivamente alle tante problematiche che da anni queste persone e le loro famiglie sono costretti ad affrontare, primo fra tutti l'inevitabile calvario dei pellegrinaggi da parte dei pazienti in altre regioni alla ricerca del farmaco".

genzyme

Come vengono decise le priorità in Sanità?

- È esploso il “caso Englaro” e, con esso, il testamento biologico

Quotidiano Milano
CORRIERE DELLA SER
Diffusione: 680.130 Lettori: 2.722.000 Direttore: Paolo Mieli

Direttiva di Sacconi a ospedali e cliniche. Il pad

Eluana, il ministro in
illegale togliere cibo

Quotidiano Roma
la Repubblica
17-FEB-2009
Diffusione: 627.157 Lettori: 2.991.000 Direttore: Ezio Mauro da pag. 4

Il caso
Eluana, a Napolitano
14mila messaggi
BUZZANCA A PAGINA 4

“Legge condivisa sul testamento biologico”

Appello di Napolitano sul sito del Quirinale. 14 mila messaggi sul caso Englaro

- Le Malattie Rare ed i Farmaci Orfani sono “passati di moda”?!?



genzyme

Per le Malattie Rare ed i Farmaci Orfani ci vuole sinergia

- **La rarità ha specifiche esigenze di Networking e Coordinamento:**
  - Centri di Competenza scientifica (registri, presa in carico, etc.)
  - Pagatori centrali e territoriali (fondo integrativo centrale e budget locali)
  - **Finanziamenti alla ricerca** europei, nazionali, regionali
  - Ricerca pubblica, ricerca onlus, **ricerca privata**
- **In particolare, su quest'ultimo punto, sarà fondamentale:**
  - Coordinamento degli interventi, evitando i finanziamenti "a pioggia"
  - Intervento della Ricerca pubblica nella fase di screening dei progetti
  - Anticipo della proof of concept per i farmaci orfani (**experimental research**)
  - Supporto al **technology transfer**
  - Semplificazione ed accelerazione dell'**iter registrativo nazionale e** regionale

Pubblicazioni scientifiche e brevetti sono interessanti, ma
> i **Pazienti** non possono più aspettare e
> le **Aziende di R&D Biotech** hanno un ruolo chiave che va supportato

genzyme