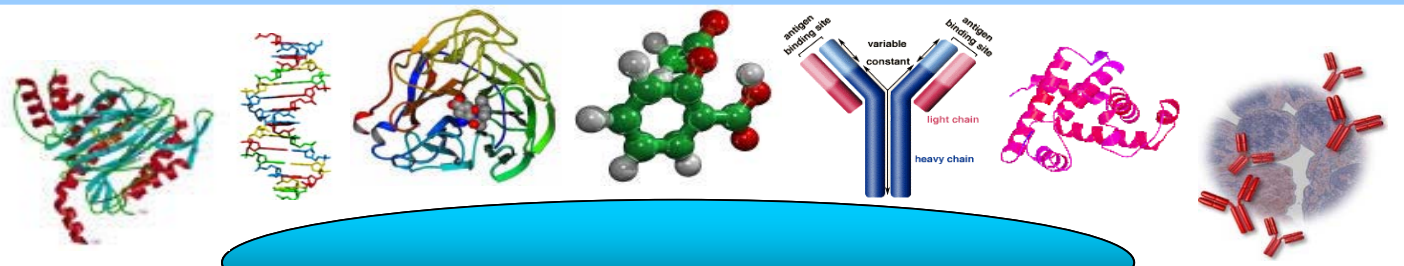
Malattie “orfane” di terapia: tra innovazione e continue sfide per la ricerca

Giorgio Ghignoni
Direttore Esecutivo
Politiche Sanitarie Nazionali e Regionali - Pfizer Italia

Roma, 5 Dicembre 2007

Ricerca e sviluppo di un farmaco

Lo sviluppo di un farmaco è un processo a tappe successive che richiede una costante valutazione delle informazioni disponibili e analisi prospettiche



Target Identification

Target Validation

In vitro and in vivo Pharmacology test

DISCOVERY PLATFORMS

Hit Identification

Lead optimization

Patentability

Pre-Clinical Development

PRODUCT DEVELOPMENT

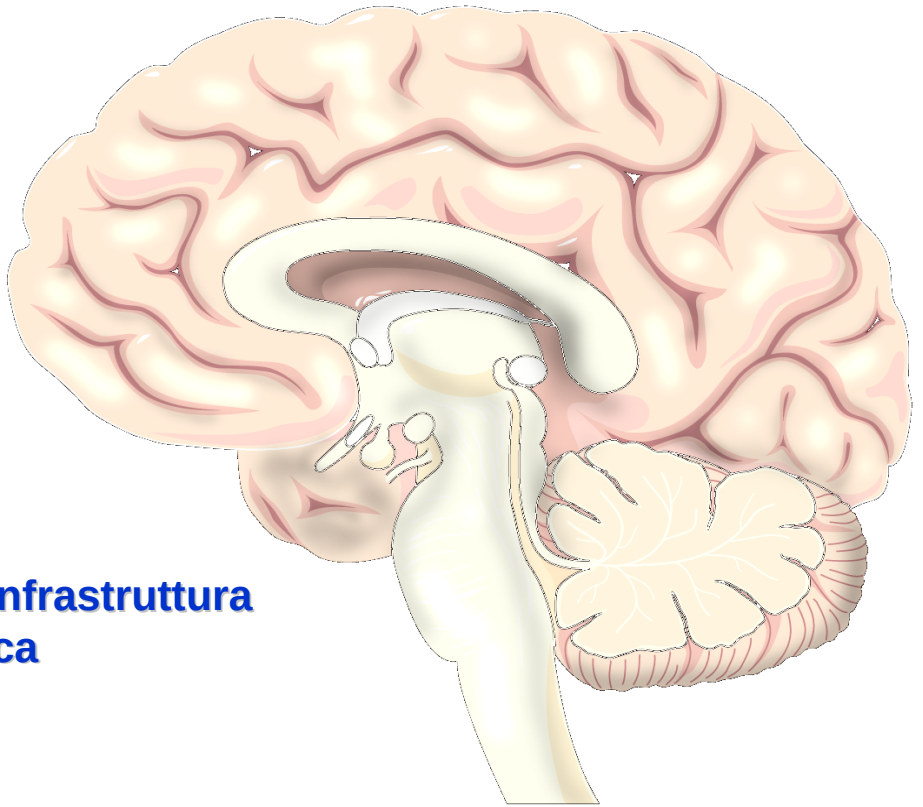
Human Trials



Il processo di sviluppo inizia con l'analisi delle ipotesi

Prevenzione delle placche senili

Bloccare la neurotossicità glutammato-mediata



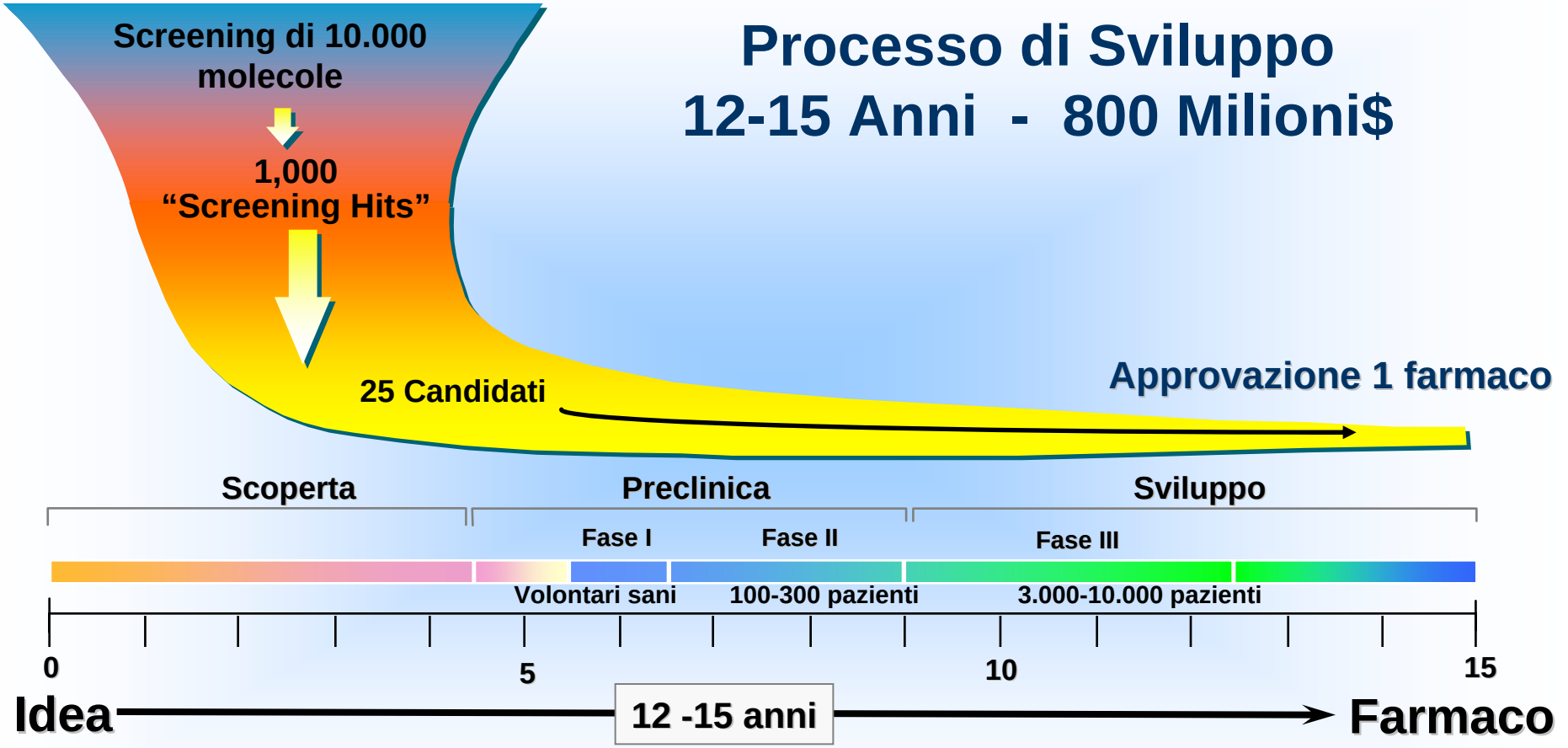
Attenuare la neuroinfiammazione

Bloccare il programma di neurodegenerazione fibrillare

Stabilizzazione dell'infrastruttura neurologica

Alzheimer

La Ricerca farmacologica: un processo lungo, complesso, costoso

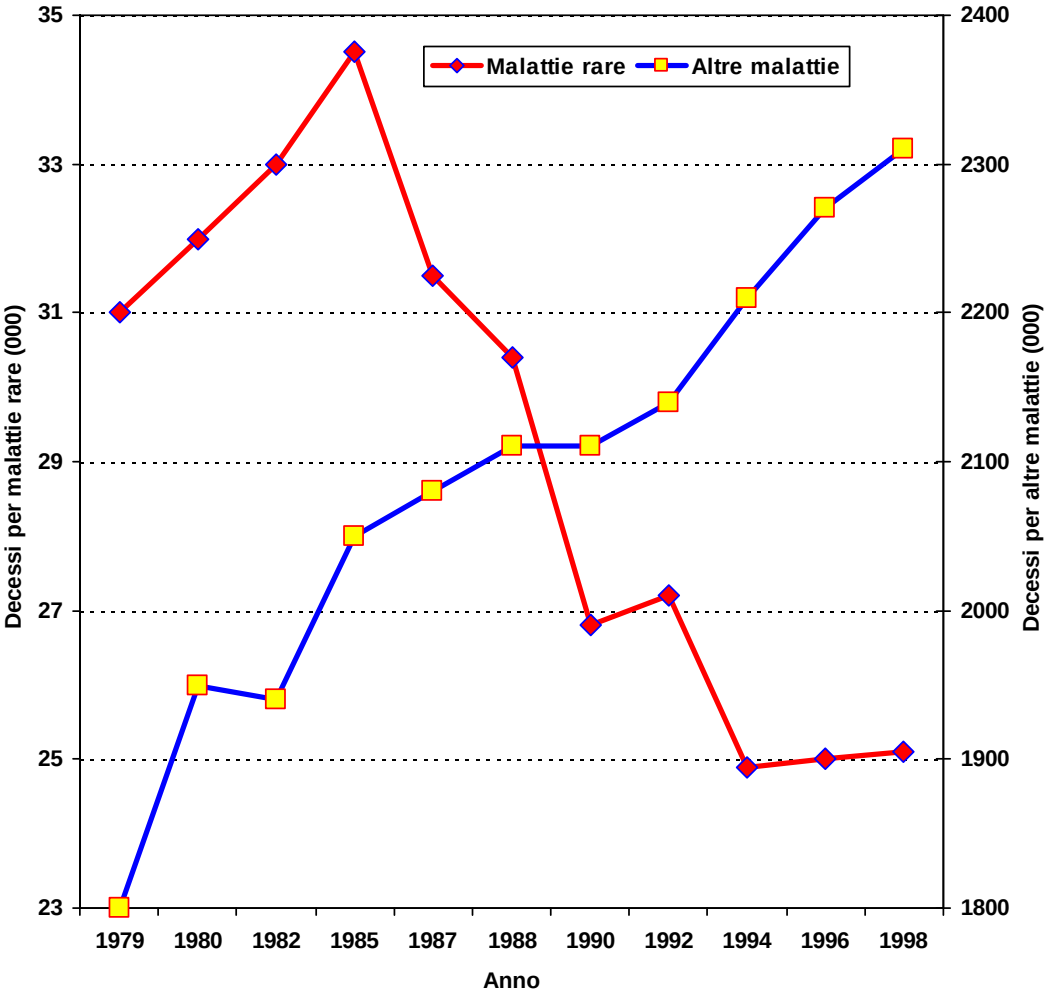


FROM CAN TO MAN

Il contributo della ricerca alla Salute

- Manifesta riduzione nei tassi di mortalità (e.g. neoplasie, patologie cardiovascolari e respiratorie, HIV/AIDS)
- Significativi miglioramenti nella quantità di vita (viviamo 30 anni più a lungo che agli inizi del 900) e qualità di vita (e.g. asma, diabete, patologie croniche)
- Malattie infettive, Alzheimer, Sclerosi multipla e malattie orfane restano aree per le quali trovare soluzioni efficaci

Numero di decessi per malattie rare e altre malattie 1979-1998



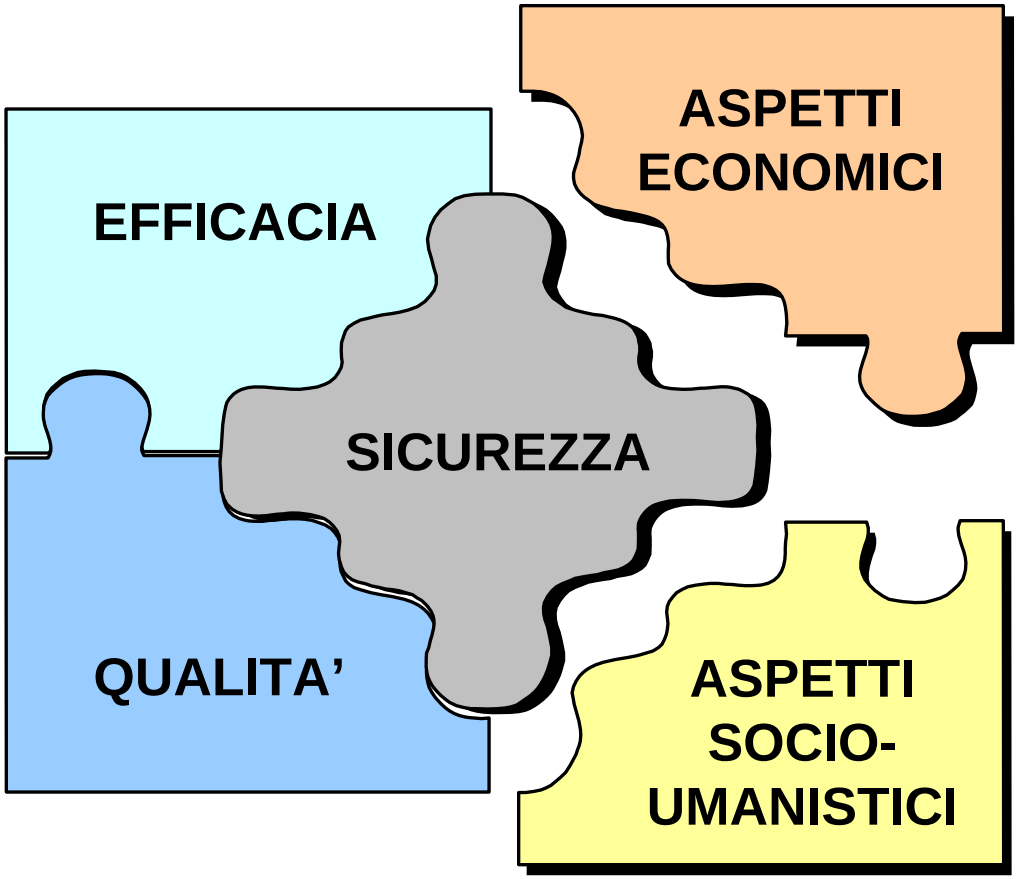
Fonte: Lichtenberg, 2001b modificato

Ricerca ed innovazione vera: le nuove sfide

Obiettivi

- **Valore aggiunto in termini di beneficio medico complessivo o di popolazione**
- **Risposta a bisogni sempre più particolari o di individuo**
- **Potenziamento dell'effetto sulla qualità della vita**
- **Rapporto costo-beneficio ottimale, vantaggio economico e sostenibilità**

I risultati della ricerca sono da valutarsi in termini multidimensionali

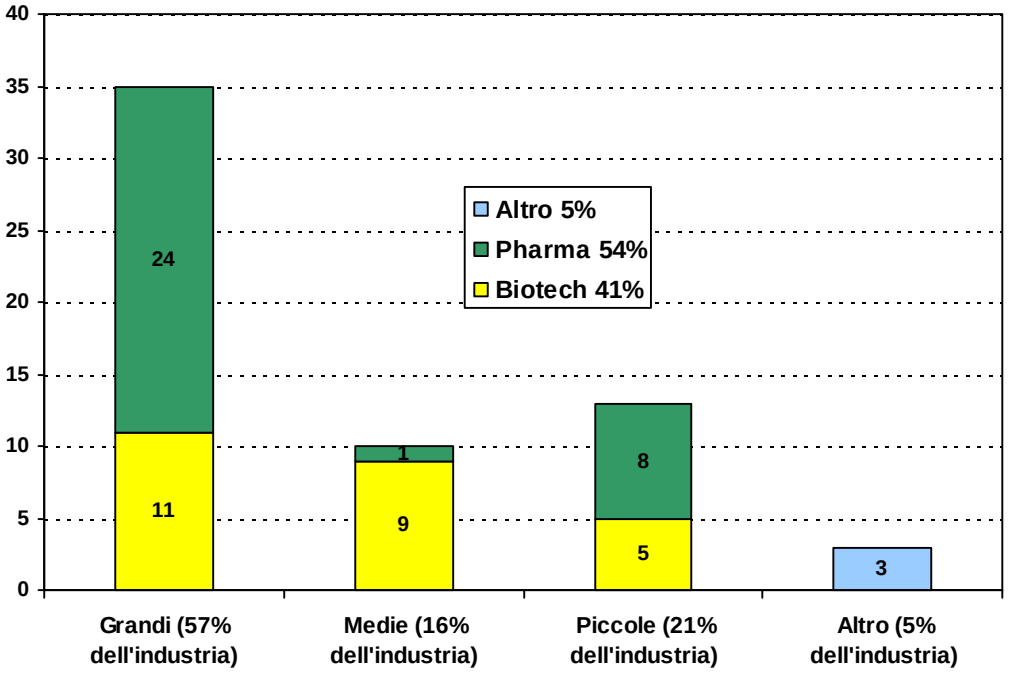


Cosa può rappresentare la ricerca per una multinazionale del farmaco

Dati riferiti a Pfizer Inc.

- 7,4 Miliardi di dollari investiti in ricerca nel 2005 e oltre 7,6 nel 2006
- Staff tecnico di oltre 12.500 scienziati
- 152 nuove molecole in sviluppo e 235 progetti di ricerca in numerose aree terapeutiche
- Un patrimonio di oltre 3 milioni di molecole in attesa di sviluppo

Distribuzione del numero di AIC di farmaci orfani in base alle dimensione delle imprese e al tipo di sponsor (1998-2001) fonte Kaitin 2002



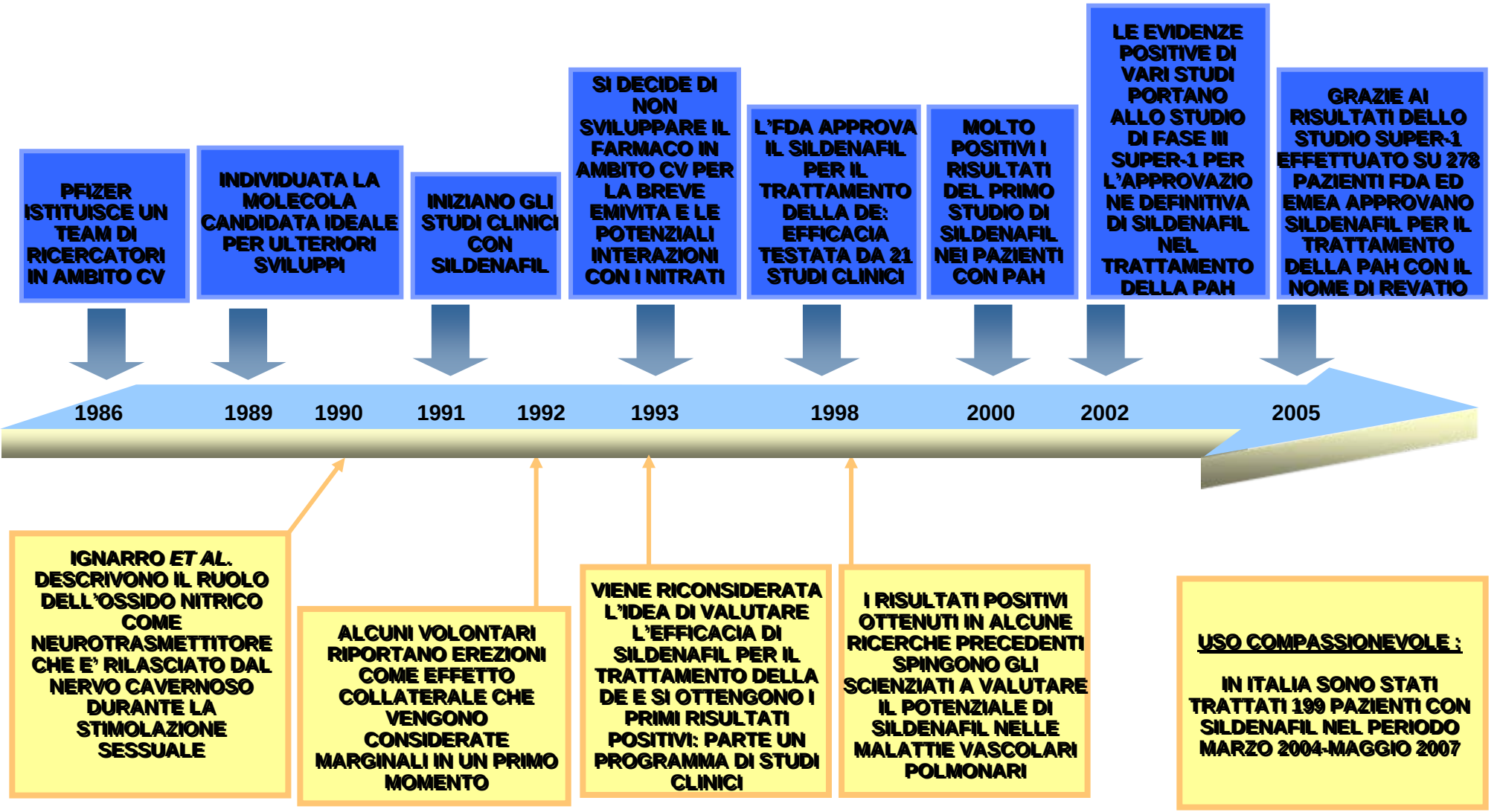
L’impegno di Pfizer nell’area delle Malattie rare

- 85% delle qualifiche di farmaco orfano riguarda il trattamento di malattie gravi e/o potenzialmente fatali
- 31% di definizione orfano spetta a rare forme tumorali
- 11% è rappresentato dalle malattie metaboliche
- 50% circa dei farmaci orfani è stato approvato per uso pediatrico

- Disturbi della crescita: Somatropin
- Acromegalia: Pegvisomant
- GIST – Gastro Intestinal Stromal Tumors: Sunitinib
- Carcinoma renale: Sunitinib
- Ipertensione polmonare: Sildenafil

Un percorso atipico? Il sildenafil

dall'Angina alla Disfunzione Erettile all'Ipertensione Polmonare*



Case History, Hossein A. Gofrani,et al. Nature, August 2006

Un caso di successo tra innovazione e sostenibilità di sistema: il risk sharing – Sunitinib

E' un farmaco oncologico indicato per due tumori rari:

- Tumori stromali del tratto gastrointestinale (GIST) non operabili e/o metastatici dopo fallimento di un trattamento con imatinib mesilato dovuto a resistenza o intolleranza
- Trattamento del carcinoma renale avanzato e/o metastatico (MRCC)

E' una innovazione terapeutica importante:

- Punteggio A-B-A secondo l'algoritmo AIFA per l'attribuzione del grado di innovatività

L'accesso alla terapia per i pazienti è stato rapido:

- Sutent è stato approvato dall'EMEA nel luglio 2006 e nel mese di dicembre 2006 era già disponibile, rimborsato in classe H, per i pazienti italiani

Secondo il protocollo concordato tra AIFA e AIOM:

- Per i pazienti con MRCC è prevista, dopo i primi tre mesi di trattamento, una verifica della risposta al trattamento con Sutent

Il risk-sharing tra SSN ed Azienda Farmaceutica:

- Per i primi tre mesi di trattamento è prevista una condivisione al 50% dei costi tra SSN e azienda, per poi garantire il pieno rimborso da parte del SSN nel prosieguo della terapia

Aree di approfondimento e soluzione

- Conoscenze scientifiche limitate e frammentarie
- Esiguo numero di pazienti da arruolare in studi clinici per determinazione efficacia e sicurezza di farmaci (stratificazione, indagini genotipiche e fenotipiche
- Dispersione geografica (studi multicentrici e necessità di coordinamento)

Malattie “orfane” di terapia:
tra innovazione e continue sfide
per la ricerca

Grazie per l’attenzione

Giorgio Ghignoni
Direttore Esecutivo
Politiche Sanitarie Nazionali e
Regionali - Pfizer Italia

Roma, 5 Dicembre 2007