FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE

LA LEGGE 648/96:

MODELLO EUROPEO DI SANITÀ PUBBLICA DA PERFEZIONARE

Giovedì, 10 maggio 2012 ore 8.30 – 14.30

CAMERA DEI DEPUTATI
Palazzo Marini - Sala delle Colonne
Via Poli, 19 - Roma

Prof.ssa Adriana Ceci

Fondazione per la Ricerca Farmacologica Gianni Benzi Onlus
Via Abate Eustasio, 30 - 70010 Valenzano (Ba) – C.F. 93347800729 - P.IVA 06780820723
Tel 080-9643146 - Fax 080-9643144 - info@fondazionebenzi.org - www.fondazionebenzi.org
Iscritta in data 19/11/08 al n° 47/P del Registro delle Persone Giuridiche della Prefettura di Bari

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

TAVOLA ROTONDA - L'ITALIA GUARDA A BRUXELLES

Quale Modello per l'Europa?

AGENDA EUROPEA 2007-2013:

- programmi e strategie nazionali per le malattie rare
- centri specializzati e reti europee di riferimento
- l'innovazione scientifica dalla scoperta al letto dell'ammalato
- informazione e formazione
- Politiche comuni per i farmaci orfani
- servizi per i pazienti e per chi si prende cura di loro.

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

TAVOLA ROTONDA - L'ITALIA GUARDA A BRUXELLES

Quale Modello per l'Europa?

- Entro il 2013 tutti i Paesi Europei dovranno avere un Piano Nazionale per le MR
- Sono stabilite precise linee guida per l'attuazione e il monitoraggio di tali Piani
- Focus su
  - -Registri, ricerca e competenze
  - -Reti Europee
  - -Centri di riferimento s
  - -Sostegno alle organizzazioni dei pazienti

EUROPLAN- progetto europeo

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

TAVOLA ROTONDA - LA L. 648/96: UNA RISORSA TUTTA ITALIANA, DA PERFEZIONARE E MUTUARE

La disponibilità di farmaci per la cura delle malattie rare

- **Patients affected by Rare Diseases are entitled to receive the best available treatment**
- **drugs for RD patients should be tested at same level of evidence than conventional patients**

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

TAVOLA ROTONDA - LA L. 648/96: UNA RISORSA TUTTA ITALIANA, DA PERFEZIONARE E MUTUARE

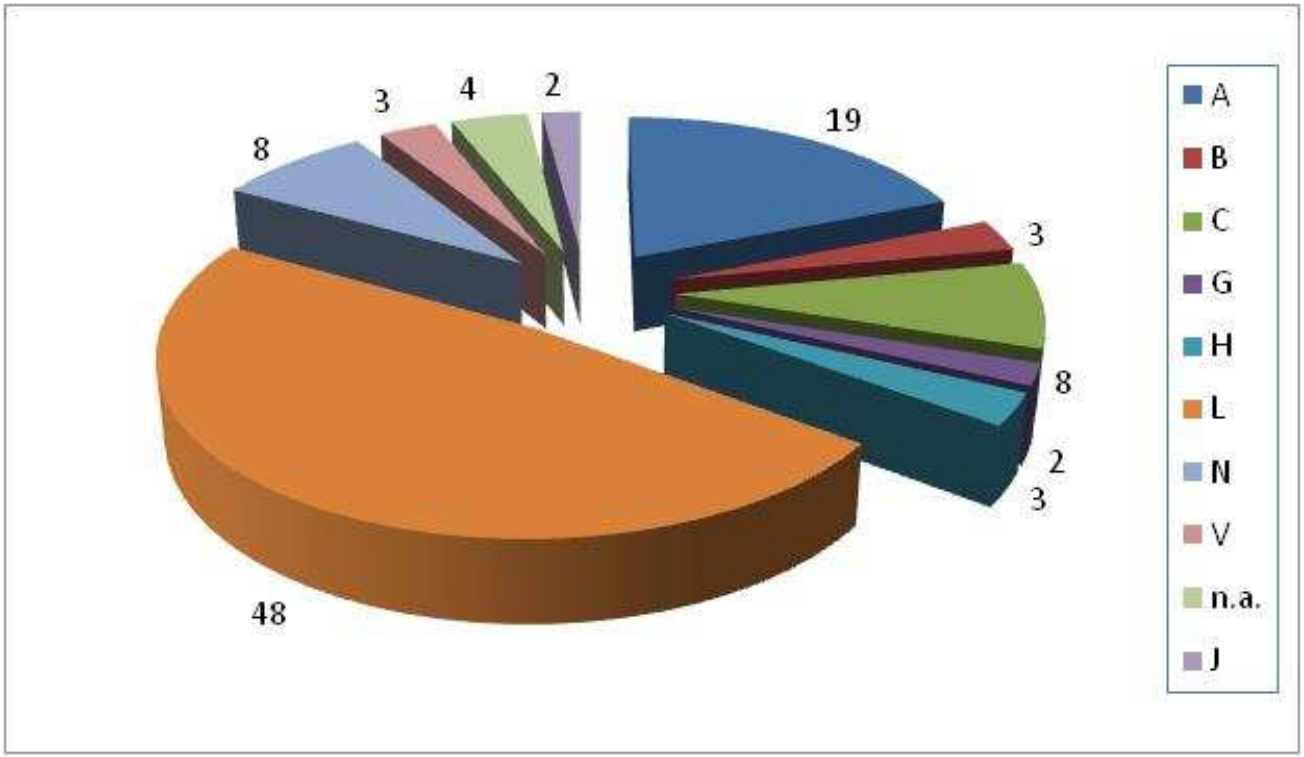
- Al pari dei farmaci non orfani lo sviluppo dei FO deve essere basato su precisi criteri di qualità, efficacia e sicurezza
- In particolare pino, disegno e approccio statistico dei trials clinici sono uguali per OD e non OD
- La rarità, la dispersione geografica, la scarsa conoscenza della patologia, gravità della malattia rendono difficile seguire un 'normale' processo di sviluppo del farmaco
- Lo scarso ritorno economico e l'alto costo del farmaco 'orfano' disincentivano i produttori

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

Criticità nelle procedure: basso rapporto Des./Appr.

Regolamento n. 141/2000/CE

	Designazioni	Approvati	Approv./ Design.
EU	699	58	8%



FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

disponibilità di farmaci per i pazienti



- Farmaci autorizzati all'immissione in commercio
- Farmaci impiegati per uso compassionevole
- Farmaci usati 'off-label'

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

La disponibilità dei farmaci per i pazienti

FARMACI REGISTRATI

Le procedure europee di registrazione sono :

1. Nazionale
2. Comunitaria centralizzata
3. Comunitaria di mutuo riconoscimento
4. Decentralizzata

Dir. 2001/83/EC; Reg. EC/726/2004

Le eccezioni alle procedure di autorizzazione sono 3:

1 – procedura accelerata
2 – autorizzazione 'condizionale'
3 – procedura in circostanze eccezionali

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

La disponibilità dei farmaci per i pazienti

Uso compassionevole

Conditions

1. the product must be **unauthorised** in the EU
2. the patient has a serious/chronic illness (e.g. cancer)
3. the product must be the subject of an marketing application or be undergoing clinical trials

Requirements :

1. although safety data may be collected during a compassionate use programme, it is not a substitute for clinical trials;
2. **cannot be used for an authorised product used for an unauthorised indication (i.e. off-label use)**



Reg. (EC) No 726/2004;
Guideline on compassionate use 2007



Decreto 8 maggio 2003

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

La disponibilità dei farmaci per i pazienti

Uso compassionevole

DECRETO 8 maggio 2003.

Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica.

Preso atto che vengono proposti studi nazionali ed internazionali definiti «expanded access» ovvero «protocolli di accesso allargato», onde assicurare al paziente l'accesso a terapie farmacologiche sperimentali, quando non esista valida alternativa terapeutica;

Considerato la opportunità di adottare procedure che garantiscono al paziente l'accesso a terapie farmacologiche sperimentali e di fornire indicazioni relative all'uso dei medicinali sottoposti a sperimentazione clinica;

Decreto 8 maggio 2003

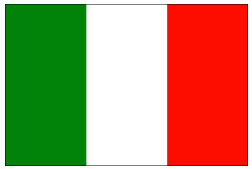
FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

La disponibilità dei farmaci per i pazienti

Uso ‘off label’



Non c’è una legge ad hoc



Legge 23 dicembre 1996, n. 648

"Conversione in legge del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, recante misure per il contenimento della spesa farmaceutica e la rideterminazione del tetto di spesa per l'anno 1996"

pubblicata nella *Gazzetta Ufficiale* n. 300 del 23 dicembre 1996

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

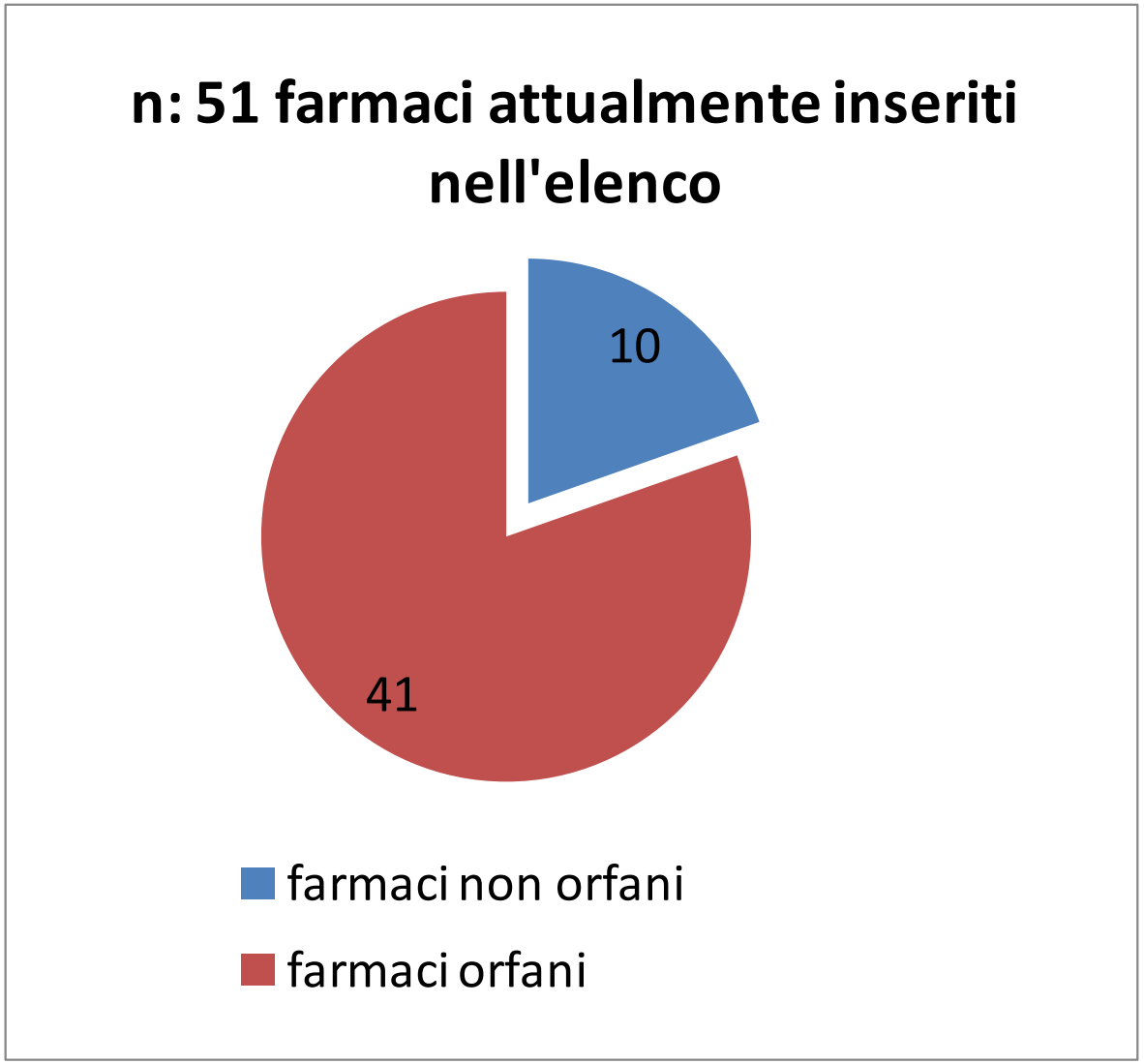
Legge 648/1996
(aggiornata Circ. n. 13, 30 Agosto 1999)

Istituzione di un elenco di medicinali erogabili, qualora non esista una valida alternativa terapeutica, a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale da parte CTS:

- farmaci innovativi autorizzati in altri Stati ma non sul territorio nazionale
- farmaci non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica di cui siano "già disponibili risultati di studi clinici di fase seconda"
- farmaci da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata (off-label)

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI onlus

Farmaci off-label inseriti nella Legge 648/1996



(Aggiornato a marzo 2012)

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

Aggiornamento delle liste di farmaci off-label

Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Aggiornamento dell'elenco dei medicinali, istituito con il provvedimento della Commissione Unica del Farmaco (CUF) datato 20 luglio 2000, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 219 del 19 settembre 2000 con errata-corrige nella Gazzetta Ufficiale n. 232 del 4 ottobre 2000, erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi dell'art. 1, comma 4, del decreto legge 21 ottobre 1996 n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648.

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

Aggiornamento delle liste di farmaci off-label

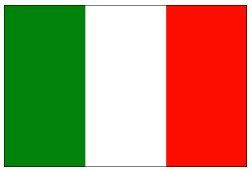
Liste **aggiornate** di farmaci **con uso consolidato**, sulla base dei dati della letteratura scientifica, per indicazioni anche differenti da quelle autorizzate

- Lista farmaci **Oncologia adulti** (All. 1 - aggiornamento luglio 2011)
- Lista farmaci **Oncologia pediatrica** (All. 2 - aggiornamento aprile 2011)
- Lista farmaci **Ematologia** (All. 3 - aggiornamento aprile 2011)
- Lista farmaci **Neurologia** (All. 4 - aggiornamento luglio 2011)
- Lista farmaci **Trapiantologia** (All. 5 - aggiornamento aprile 2011)
- Lista **radiofarmaci** (All. 6 - aggiornamento aprile 2011)
- Lista farmaci **pediatrici cardiovascolari** (aggiornata a gennaio 2010)
- Lista farmaci **pediatrici antinfettivi** (aggiornata a dicembre 2010)

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

Liste di farmaci pediatrici per cui è riconosciuto un bisogno terapeutico





IN ITALIA

CATEGORIA DI FARMACI	N farmaci nella lista	Lista pubblicata
A (tratto alimentare e metabolismo)	7	no
B (sangue)	12	no
C (cardiovascolari)	29	sì
D (dermatologici)	3	no
G, H (genito-urinari e ormoni)	4	no
N,M (sistema nervoso e muscoloscheletrico)	13	no
R (respiratorio)	5	no
J (antiinfettivi)	19	sì
anestetici	10	no

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

LEGGE 648: UNA RISORSA DA MIGLIORARE

La 648 ha anticipato la norma europea

La 648 è stata applicata in modo non burocratico

La 648 si è dimostrato un valido strumento
Per rispondere ai bisogni dei pazienti

- I FARMACI ORFANI SONO ANCORA POCHI
- LE IMPRESE E I RICERCATORI HANNO DIFFICOLTA' A SVILUPPARLI
- I COSTI SONO ELEVATI MA 'SOCIALMENTE' UTILI
- LA DISTRIBUZIONE SUL TERRITORIO E' DISOMOGENEA E DISEGUALE