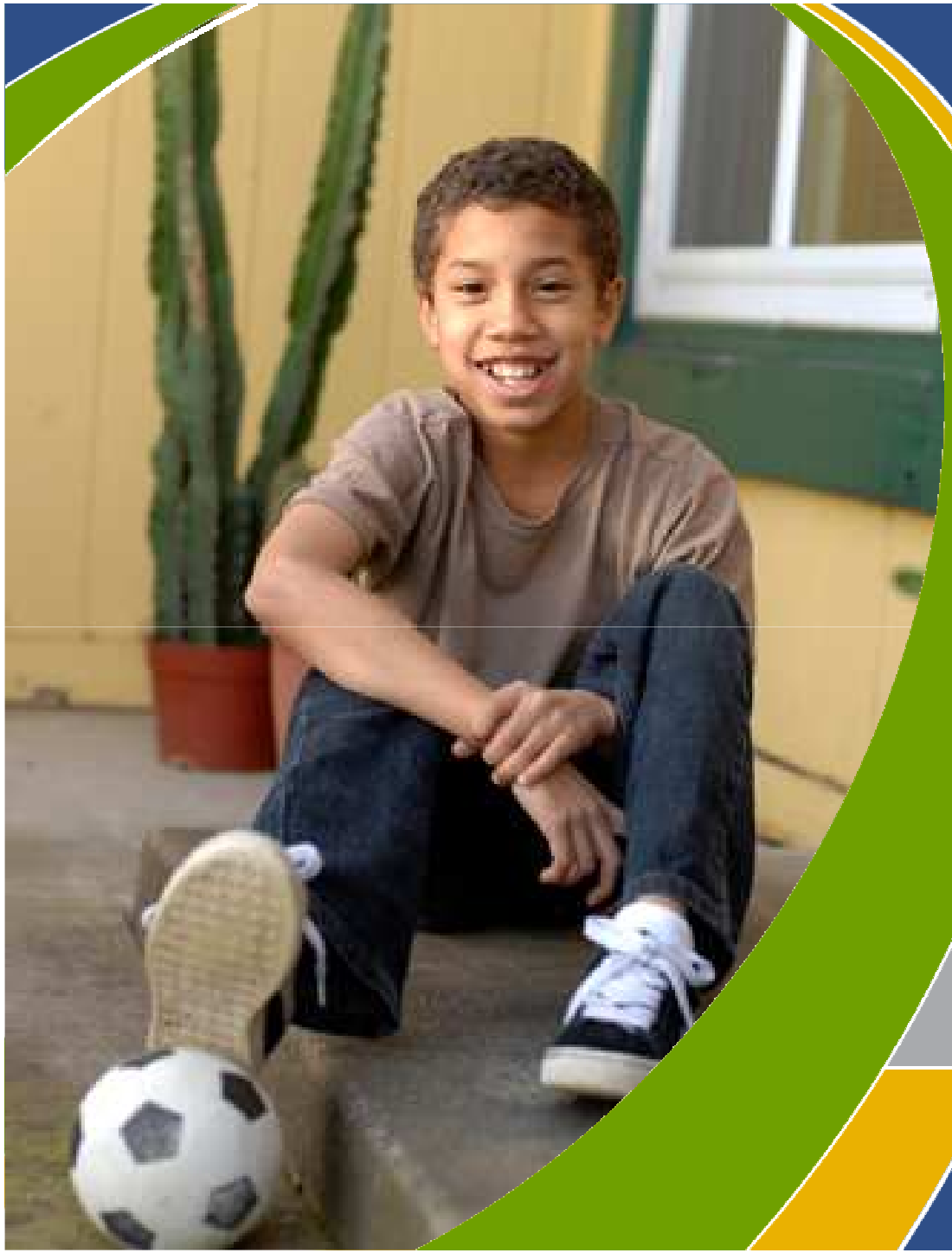


genzyme

Biotecnologie, Innovazione e Sostenibilità

Riccardo Palmisano
Amministratore Delegato & Direttore Generale
Genzyme Italia

05 Giugno 2009

Definizioni, un punto di partenza: Biotecnologia

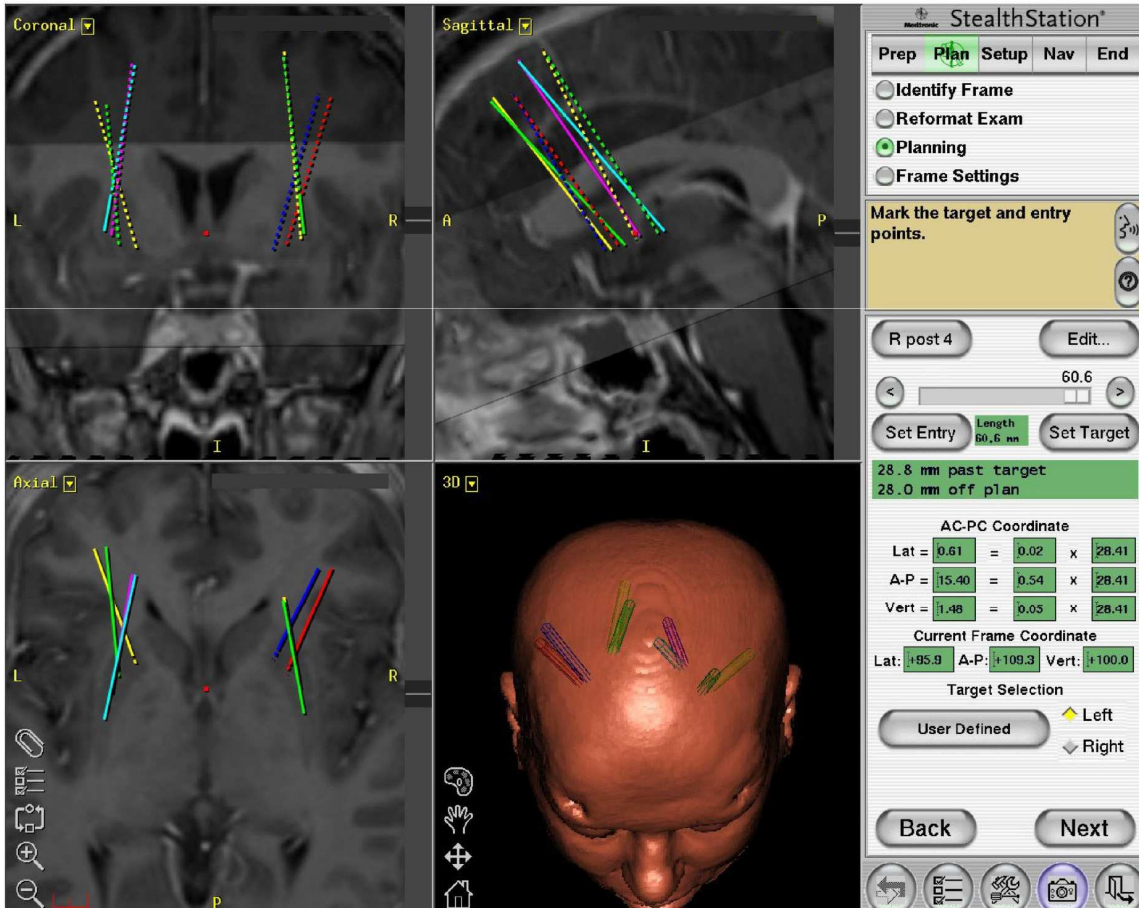
- **Biotecnologia:** definizione ampia è quella proposta nell'art. n. 2 della Convenzione sulla Diversità Biologica delle Nazioni Unite (Conferenza di Rio '92): *"biotecnologia é l'insieme delle conoscenze che consentono di utilizzare sistemi biologici, organismi viventi o loro derivati per ottenere o modificare prodotti e processi al fine di usi specifici"* Definizione dell'OECD, secondo cui *"le biotecnologie sono l'applicazione di principi scientifici e ingegneristici al trattamento dei materiali tramite agenti biologici, al fine di procurare merci e servizi"*

- **Non tutta la ricerca biotecnologica è per definizione innovativa, così come non tutta l'innovazione è biotecnologia: bisogna distinguere!**

Biotecnologia

- **Biotecnologia Innovativa: un esempio**

Terapia genica mediante iniezione stereotassica del gene



genzyme

Innovazione

- **Innovazione:** *”L'innovazione terapeutica si riferisce a un prodotto che rispetto ad altri farmaci già disponibili offre benefici aggiuntivi per i pazienti.*
  Non possiamo dire che l'innovazione risiede in una qualsiasi molecola con un nuovo meccanismo d’azione o con una nuova struttura chimica. In molti casi, il nuovo meccanismo d’azione o le caratteristiche tecniche del nuovo farmaco non si accompagnano a dimostrazioni di reali vantaggi che sono solo prevedibili.”

  Nicola Montanaro

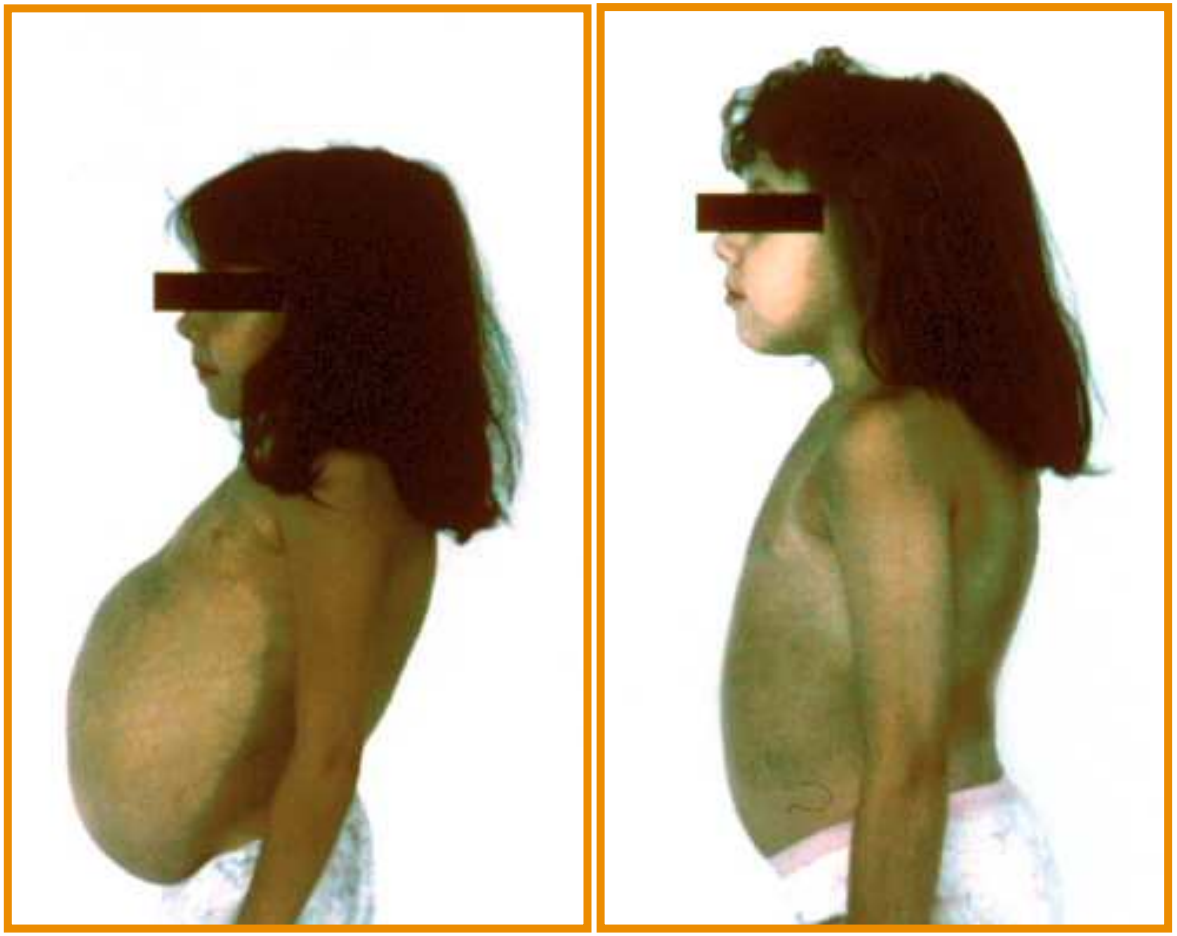


Nicola Montanaro,
Professore Ordinario di Farmacologia,
Facoltà di Medicina e Chirurgia,
Alma Mater Studiorum Università di Bologna
Coordinatore Gruppo di Lavoro AIFA su
Innovazione Terapeutica e nuovi Farmaci

Innovazione

- **Innovazione clinica sostanziale: un esempio**

Anni ‘80:
Genzyme inizia lo sviluppo della prima terapia enzimatica sostitutiva per una rara malattia genetica da accumulo lisosomiale



Innovazione

- **Innovazione clinica sostanziale: un esempio**



genzyme

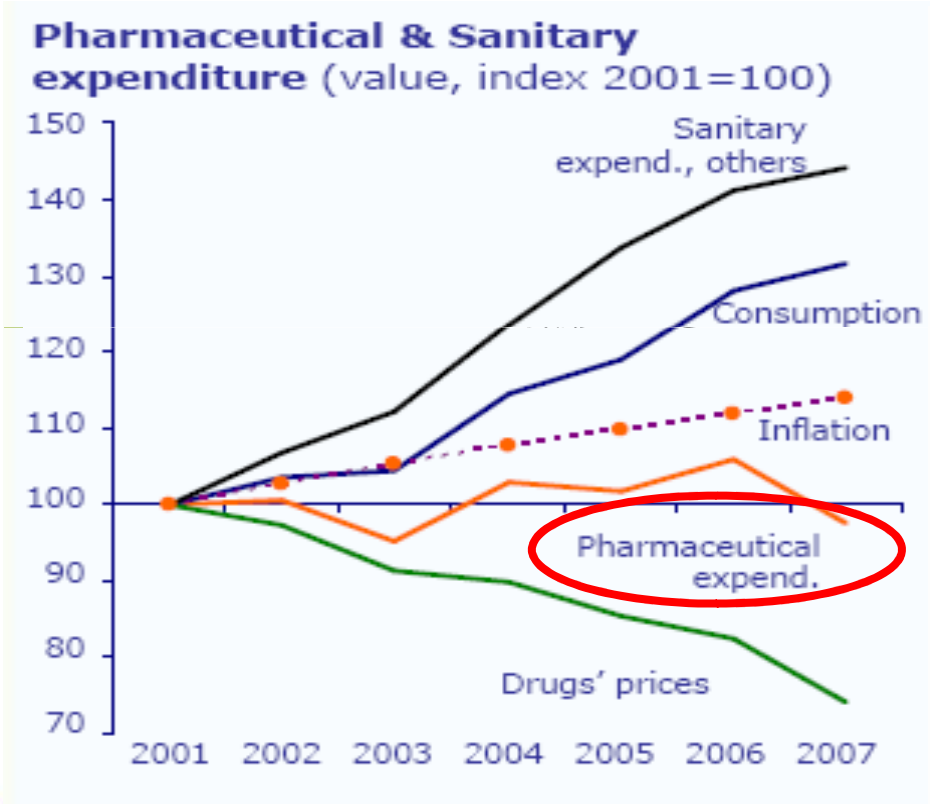
Innovazione

- **Innovazione:** *"L'innovazione terapeutica si riferisce a un prodotto che rispetto ad altri farmaci già disponibili offre benefici aggiuntivi per i pazienti. Non possiamo dire che l'innovazione risiede in una qualsiasi molecola con un nuovo meccanismo d'azione o con una nuova struttura chimica. In molti casi, il nuovo meccanismo d'azione o le caratteristiche tecniche del nuovo farmaco non si accompagnano a dimostrazioni di reali vantaggi che sono solo prevedibili."* Prof.Nicola Montanaro

- **Negli ultimi anni si è parlato molto di supporto ed incentivo pubblico all'innovazione per giustificare i tagli dei prezzi, ma mentre questi si sono visti, il primo punto è ancora latitante…**

Innovazione

- **Innovazione: bassi investimenti**



31-MAG-2009

da pag. 20

Il Sole 24 ORE

Direttore: Gianni Riotta

Farmaceutica. Le richieste al Governo

Dompé: «Spazio all'innovazione»

Roberto Turno

ROMA

«Non chiediamo regali, sconti 3x2 o altro. Al Governo chiediamo di scommettere sull'innovazione. Non basta più che i ministeri di Sviluppo, Ricerca, Welfare riconoscano a parole il ruolo strategico per l'Italia dell'industria farmaceutica. Servono fatti concreti. Non possono continuare a considerarci il bancomat da usare ogni volta che i conti non tornano per defi-ter fare meglio di tutti».

Settore anticiclico per eccellenza, nel bel mezzo della crisi internazionale la farmaceutica ha presentato in Italia bilanci da leggere tra le righe. L'export si conferma il traino, a conferma della capacità dell'industria di competere sui mercati esteri: 11,96 miliardi nel 2008 (-0,5% sul 2007), pari al 53% dell'intera produzione di settore e soprattutto il 37,4% del totale dell'export hi-te-

siti di ricerca e di produzione al governo della spesa e al consolidamento degli investimenti, rendendo strutturali gli accordi di programma e anche prevedendo per dieci anni l'automatismo dei crediti d'imposta in R&s. Palazzo Chigi, presto, dovrà scegliere. Chissà se con risposte direttamente da Berlusconi già a L'Aquila, Tremonti (e conti pubblici) permettendo.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

genzyme

Sostenibilità

- **Sostenibilità:** *"Il tema del rapporto tra sostenibilità e innovazione…: per motivazioni e per responsabilità diverse, la politica farmaceutica nel nostro Paese negli ultimi cinque anni è stata esclusivamente centrata sul problema del governo e del contenimento della spesa. Ciò significa che è stata la variabile economica a guidare prevalentemente le scelte. Se dobbiamo combinare sostenibilità e innovazione dobbiamo, invece, trovare un trade-off tra le due variabili e considerare il farmaco non solo come un elemento di spesa ma anche come frutto della ricerca, dell'innovatività, degli investimenti in R&S. Bisogna creare le condizioni affinché nell'ambito del governo della spesa sia la variabile sanitaria e non il tetto di spesa a guidare il processo e a definire le scelte. Si tratta di un cambiamento importante che deve essere condiviso ... È necessario trovare una continuità tra innovazione e sostenibilità e quindi ridisegnare la piattaforma della farmaceutica."* Nello Martini, 2007 Direttore Generale AIFA, oggi Direzione Ricerca & Sviluppo Accademia Nazionale di Medicina

- **La Sostenibilità deve essere intesa per tutti gli attori del sistema, pubblica amministrazione, SSN, Regioni e "pagatori" in genere, ma anche aziende di ricerca**

Sostenibilità

- **Sostenibilità per le aziende: un cattivo esempio**

Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

MANOVRA PER IL GOVERNO DELLA SPESA FARMACEUTICA CONVENZIONATA E NON CONVENZIONATA.

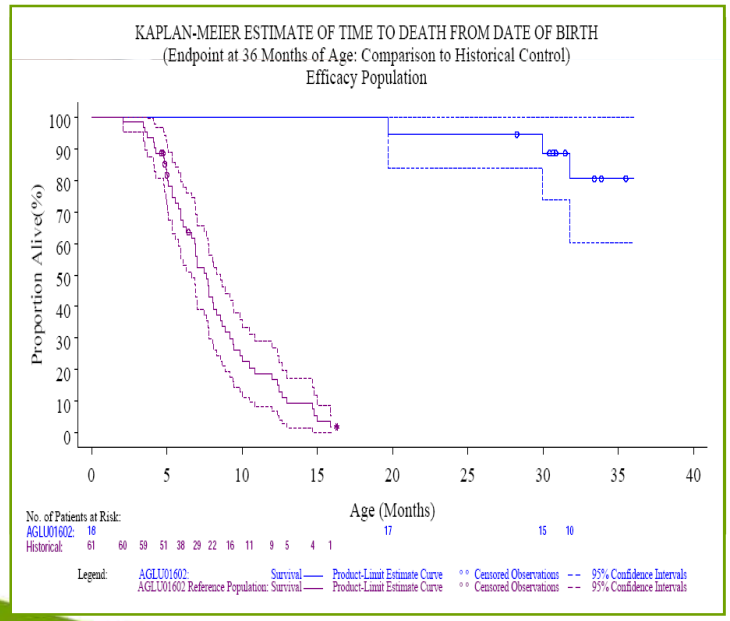
3. Per i prodotti autorizzati successivamente alla data del 1° ottobre 2006, la riduzione temporanea si applica sul prezzo negoziato. Il prezzo al pubblico finale è arrotondato alla seconda cifra decimale.

Roma, 27 settembre 2006

genzyme

Sostenibilità

- **Sostenibilità per le aziende: la realtà dei fatti**
- **Tra i farmaci che hanno subito il taglio "retroattivo" ci sono due Orphan Drug Genzyme:**
  - **Clofarabina: Leucemia Linfoblastica Acuta refrattaria o recidivante in età ped.**
  - **Myozyme: Malattia di Pompe (Glicogenosi di tipo II)**





genzyme

Appropriatezza Terapeutica

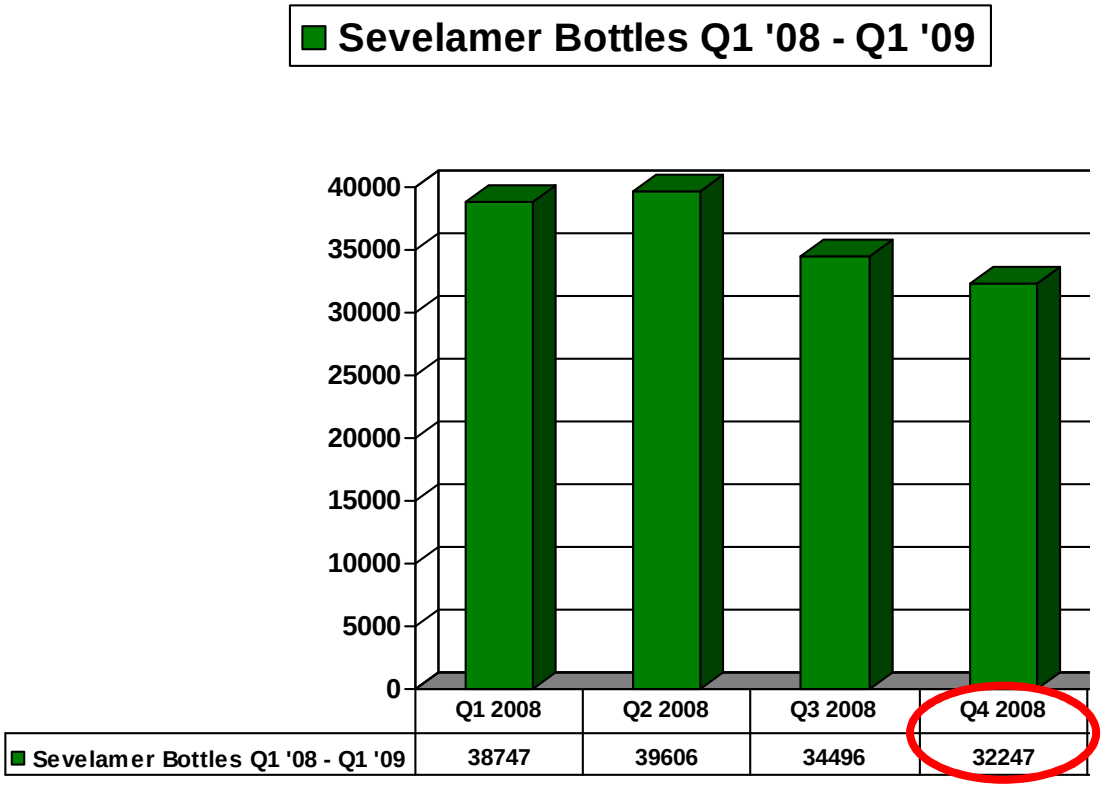
- **Biotecnologia, Innovazione, Sostenibilità e…**

…Appropriatezza Terapeutica!

- **Ancora una volta: Appropriatezza Terapeutica NON vuol dire Ridurre l'uso dei Farmaci, per esempio:**
  - Sì al non abuso di antibiotici nelle infezioni virali (p.es. influenza in pazienti non a rischio)
  - Sì all'uso di una classe terapeutica off label ma ancora efficace (p.es. H2 antagonisti)
  - Sì all'uso del bioequivalente laddove il brand non porta vantaggi dimostrabili
  - **NO a riduzione del dosaggio o sospensione di un farmaco per motivi di budget**

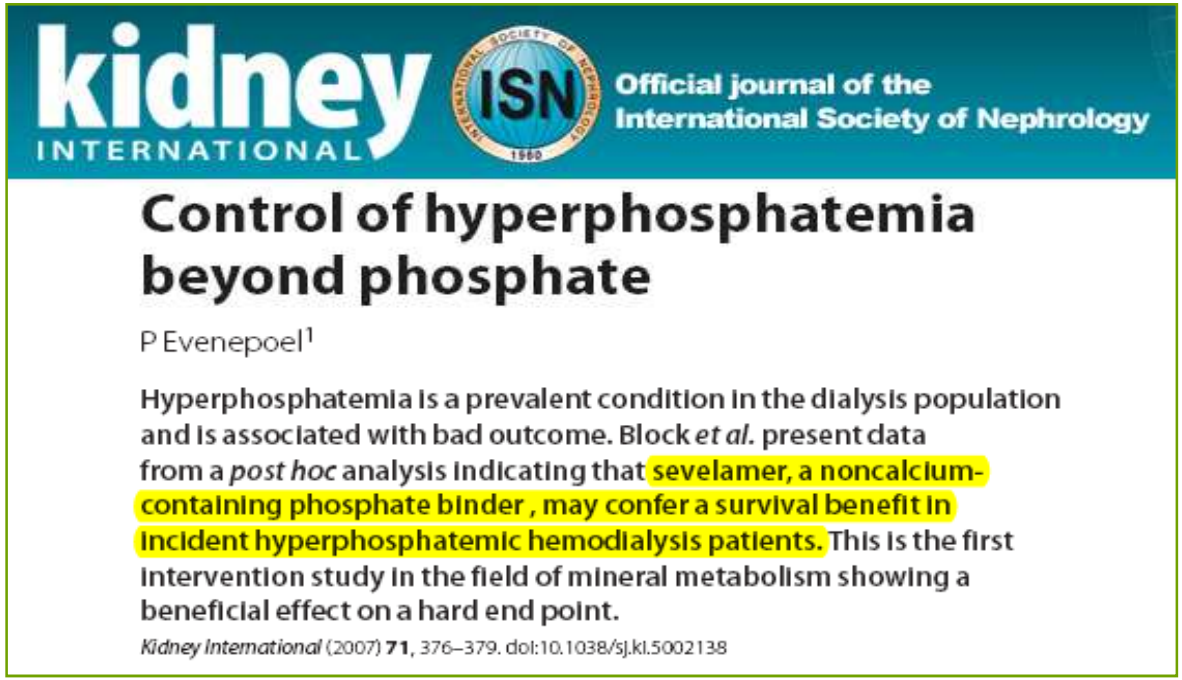
Appropriatezza Terapeutica

- **Appropriatezza Terapeutica: una cattiva applicazione**



Appropriatezza Terapeutica

- **Appropriatezza Terapeutica: una cattiva applicazione**



kidney INTERNATIONAL

ISN Official journal of the International Society of Nephrology

Control of hyperphosphatemia beyond phosphate

P Evenepoel[1]

Hyperphosphatemia is a prevalent condition in the dialysis population and is associated with bad outcome. Block *et al.* present data from a *post hoc* analysis indicating that sevelamer, a noncalcium-containing phosphate binder, may confer a survival benefit in incident hyperphosphatemic hemodialysis patients. This is the first intervention study in the field of mineral metabolism showing a beneficial effect on a hard end point.

Kidney International (2007) **71**, 376–379. doi:10.1038/sj.ki.5002138

Sevelamer aumenta la sopravvivenza se lo si somministra alla dose corretta ed in continuità terapeutica!

genzyme

Thank you!

Riccardo Palmisano
Amministratore Delegato & Direttore Generale
Genzyme Italia

genzyme