Malattie rare e sviluppo economico

Eugenio Aringhieri, Presidente Gruppo Biotecnologie Farmindustria

Roma 18 settembre 2012

FARMINDUSTRIA

Dalle biotecnologie arrivano i maggiori contributi per il trattamento delle Malattie Rare

Colpiscono non più di 5 persone su 10 mila abitanti.

Sono patologie caratterizzate da:

- difficoltà diagnostiche;
- carenza di informazioni, di assistenza e di conoscenze scientifiche;
- disuguaglianze e difficoltà nell'accesso al trattamento e alle cure.

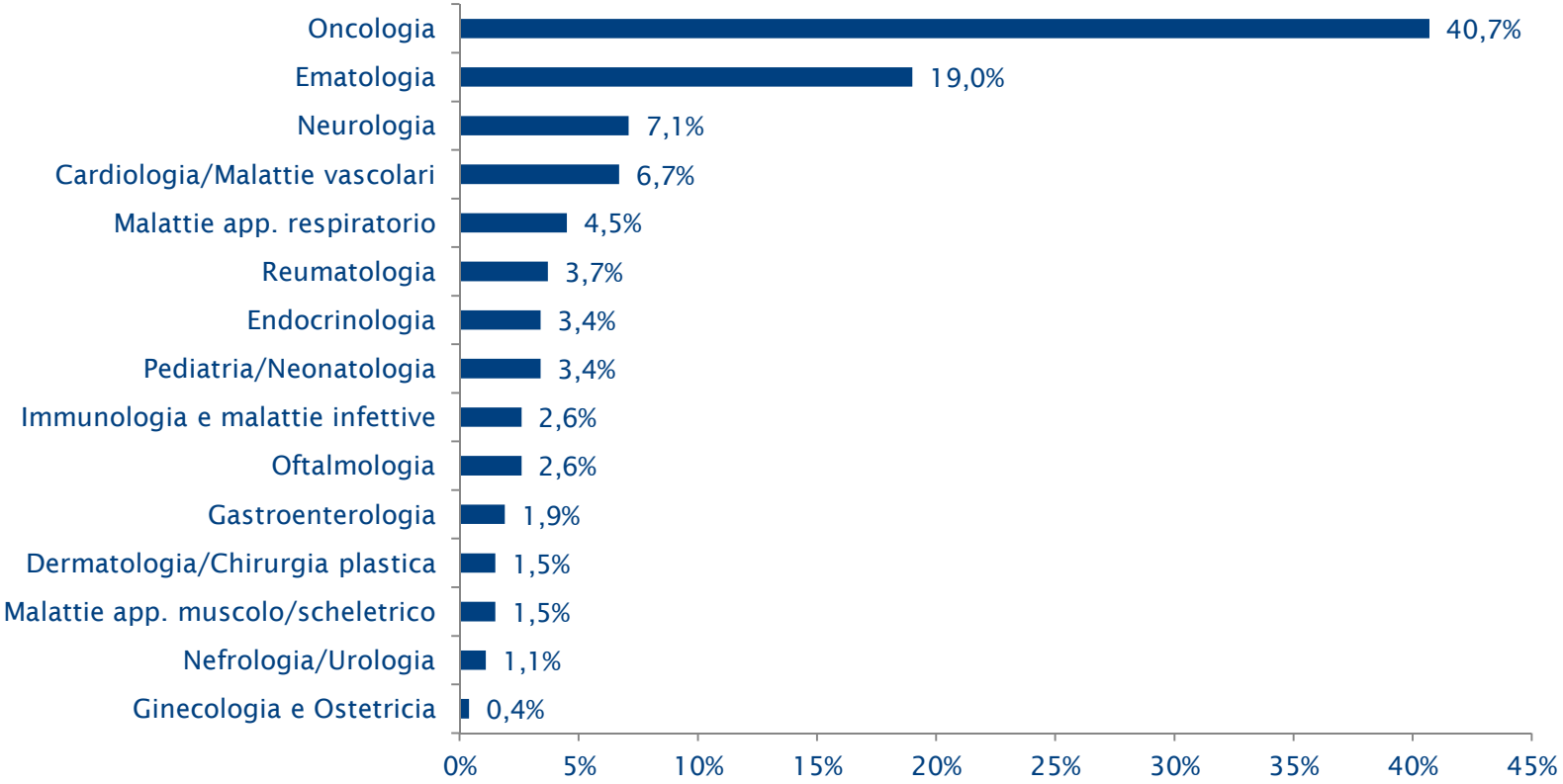
Oltre 7 mila malattie che interessano **circa 2 milioni** di persone in Italia e il **6-8%** della popolazione europea (ossia **24-36 milioni**).

Di queste solo **284** malattie e **47** gruppi di malattie rare danno diritto all'esenzione ai sensi del D.M. N. 279/2001 (Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione).

È fortemente sentita l'esigenza di un aggiornamento della codifica internazionale delle malattie rare, che agevoli l'accesso alle cure del Paziente e, allineando i LEA, assicuri parità di diritti per i malati rari.

Le sperimentazioni cliniche in Italia con farmaci orfani: un esempio di eccellenza

Le sperimentazioni cliniche con medicinali orfani per area terapeutica anno 2010



L'83% delle sperimentazioni cliniche con medicinali orfani è in fase avanzata di sviluppo.

Fonte: Osservatorio Sperimentazioni Cliniche (Aifa) 2011

Oltre 300 progetti biotech in Italia, in rete tra imprese del farmaco, biotech e centri di eccellenza pubblici e privati

Pipeline di farmaci biotech in Italia, per fase di studio e tipo di impresa

	Imprese del farmaco	Altre biotech del farmaco	TOTALE
Preclinica	11	69	80
Fase 1	20	23	43
Fase 2	59	39	98
Fase 3	82	16	98

La Ricerca delle "**altre biotech del farmaco**" si concentra nelle **prime fasi**. Con l'85% dei progetti in discovery e l'86% in preclinica alimentano il bacino di innovazione delle **imprese del farmaco**, che hanno un **ruolo prevalente nello sviluppo clinico** a conferma della rete di eccellenza con i Centri di Ricerca pubblici e privati

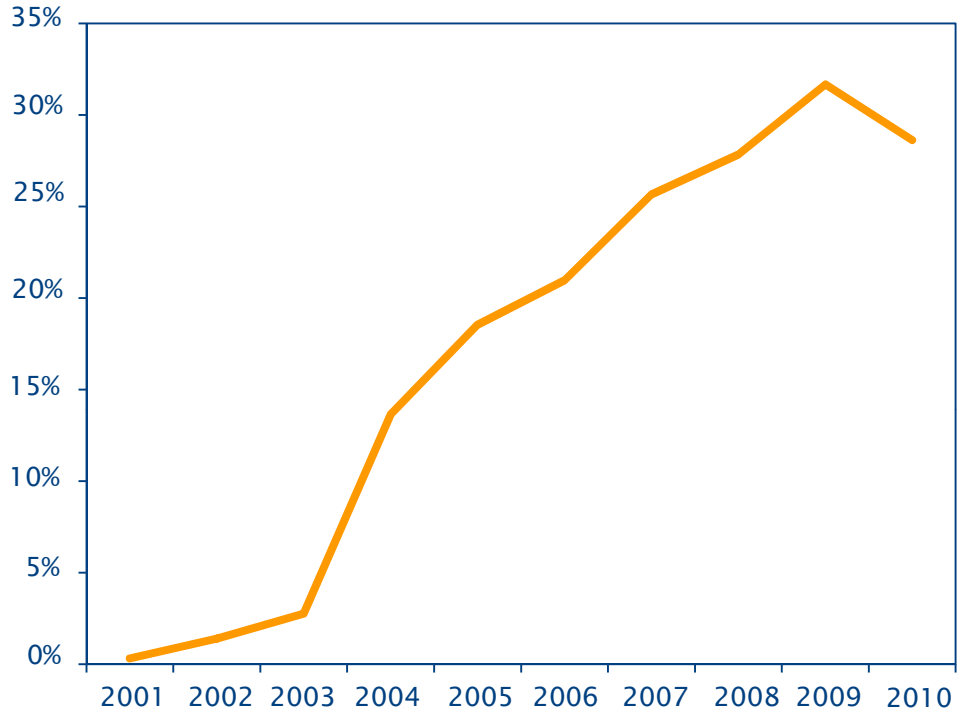
A questi si sommano 84 progetti di *discovery*

FARMINDUSTRIA

Fonte: Rapporto sulle biotecnologie del settore farmaceutico in Italia 2012

Un trend che deve tornare a crescere

% degli studi clinici principio attivo di natura biologica/biotecnologica sul totale delle sperimentazioni cliniche



Dopo una crescita importante del rapporto degli studi clinici nel biotech rispetto al totale delle sperimentazioni cliniche, si assiste a una flessione nel 2010, dato in linea con il trend europeo.

Una flessione, anche in valore assoluto, che segue il trend generale degli studi clinici in Italia (compresi quelle di fase I e II)

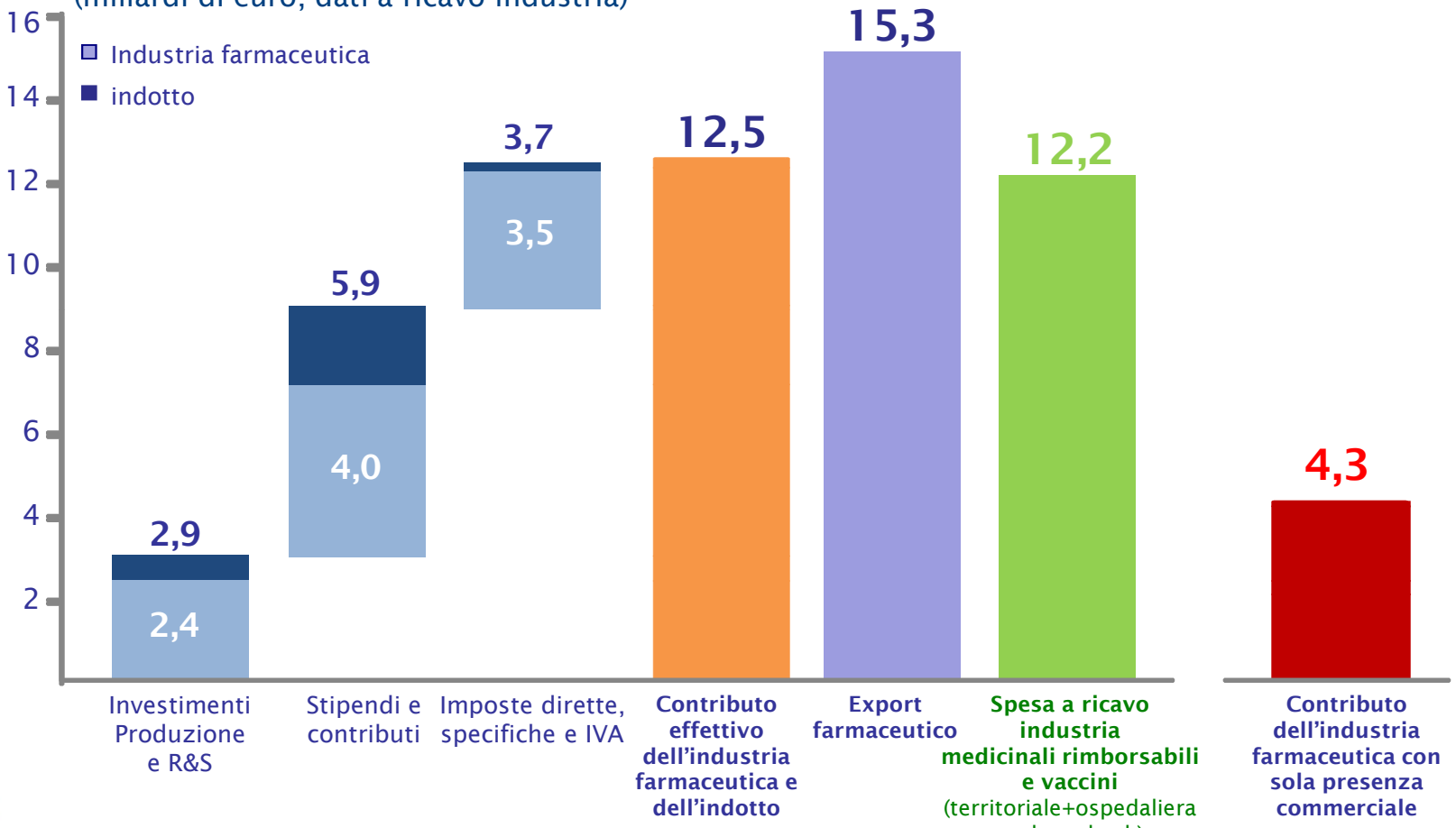
L'Italia ha le potenzialità per aumentare gli studi clinici (che rappresentano investimenti, prodotti nuovi a disposizione, crescita nella formazione del personale che effettua le sperimentazioni), ma deve creare le condizioni per un Sistema Paese più competitivo per la Ricerca e l'accesso all'innovazione

FARMINDUSTRIA

Fonte: Elaborazione Farmindustria su dati OsSC (AIFA)

L'industria farmaceutica in Italia: un valore che il Paese non può perdere

Contributo diretto e indotto dell'industria farmaceutica in Italia e spesa pubblica per medicinali rimborsabili – 2011
(miliardi di euro, dati a ricavo industria)



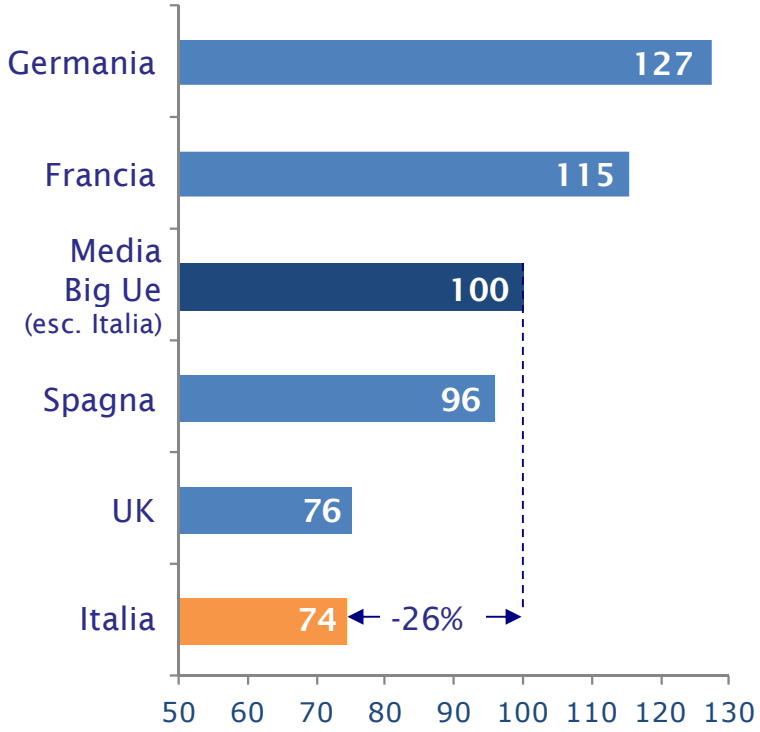
Fonte: elaborazioni e stime su dati Aifa, Farmindustria, Istat

L'Italia spende meno di altri per la Salute, ma spesso spende male e penalizza l'innovazione

Spesa sanitaria pubblica in % sul PIL

	Quota % sul PIL (2009)	Crescita della quota % sul PIL (2010-2030)
Francia	9,2	1,5
Germania	8,9	0,9
Regno Unito	8,2	3,3
Italia	**7,2**	**0,6**
Spagna	7,0	1,6
Media Big 5	**8,1**	**1,6**
Altri Paesi Ue 15	8,1	1,6
Media Ue 15	**8,1**	**1,6**
USA	8,3	5,1

Spesa pubblica totale procapite in Italia e negli altri Paesi Big Ue
(territoriale+ospedaliera, media altri Big Ue=100)

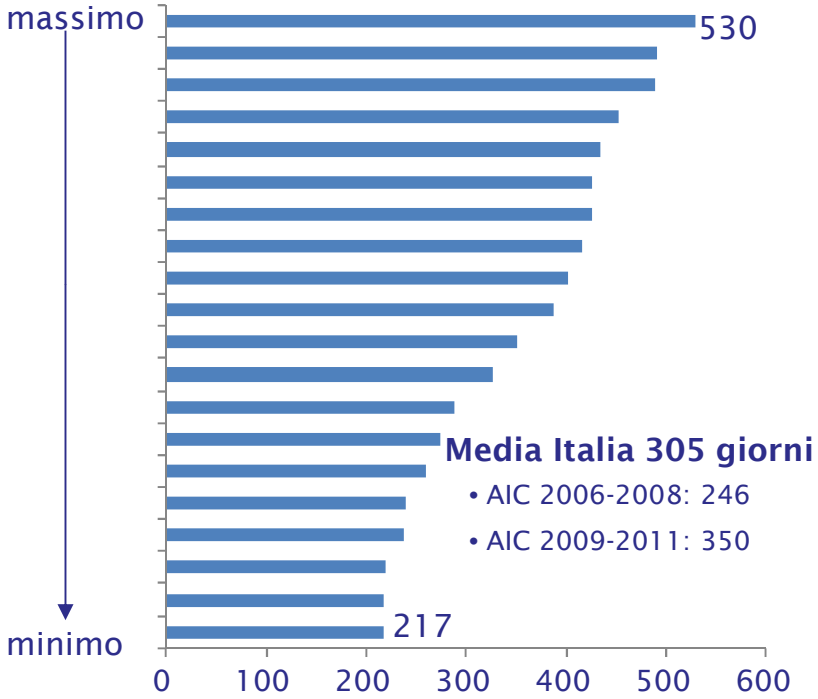


In % sul PIL e in termini procapite la spesa sanitaria in Italia è più bassa di circa il 10% rispetto agli altri grandi Paesi Ue (e del 26% considerando la farmaceutica)

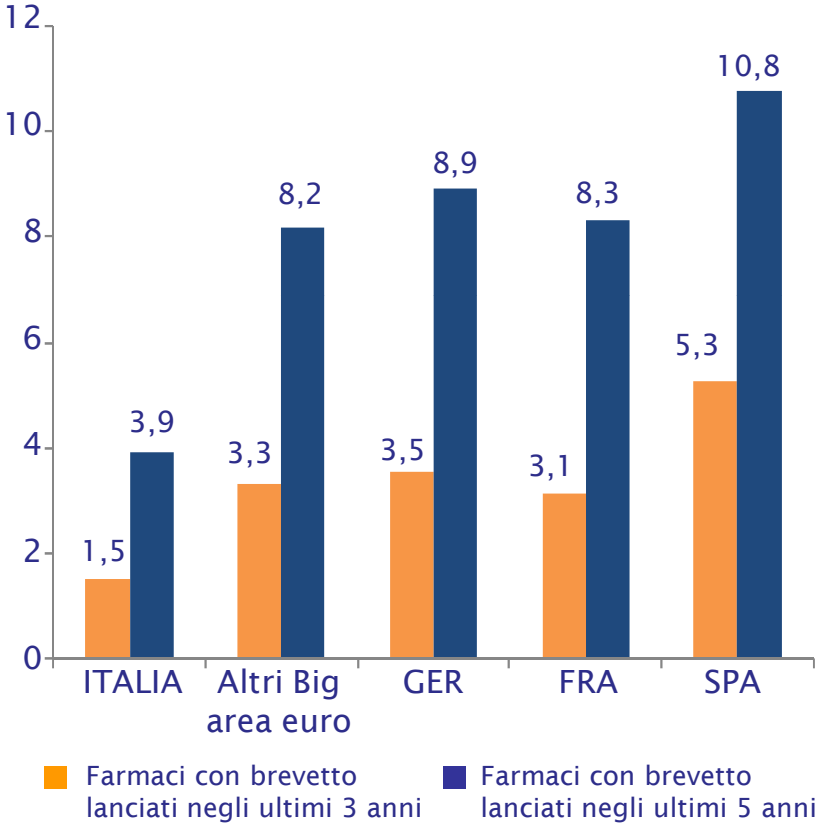
Fonte: stime su dati Oecd, IMS, Cergas Bocconi

Condizioni penalizzanti per l'innovazione e ritardi per l'accesso a livello regionale

Giorni necessari per inserire i farmaci nel primo prontuario dopo quello nazionale, per Regione
(farmaci con AIC nel periodo 2006-2011)



% delle vendite in farmacia di medicinali lanciati negli ultimi 3-5 anni
(% sul totale 2011)

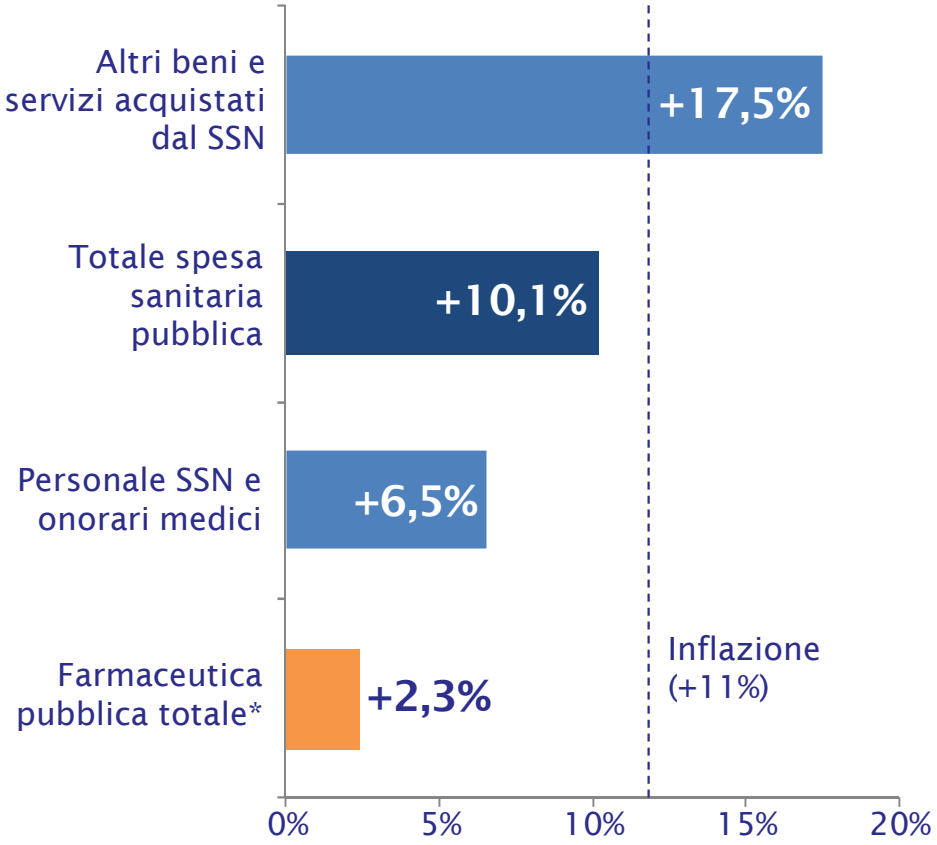


Dal primo livello regionale all'uso effettivo nelle strutture sono necessari in media altri **70 giorni**

Fonte: Farmindustria, elaborazioni su dati IMS

Ottimizzare la spesa sanitaria guardando tutte le voci senza penalizzare il farmaco

Variazione % cumulata 2006-2011



Negli ultimi 5 anni

- **la % sul PIL della farmaceutica pubblica è ferma all'1,1%**, gli altri beni e servizi sono saliti dal 2,6% al 2,9%
- **le imprese hanno pagato oltre 11 miliardi per esigenze di finanza pubblica**
- **Spesa farmaceutica pubblica procapite in calo (-0,8%)**

Nel 2011

la farmaceutica pubblica è scesa del 4%, mentre per fare alcuni esempi
- lavanderia, la mensa, la pulizia +4,2%;
- manutenzioni e riparazioni +2,8%;
- Leasing e godimento beni di terzi +4,4%;
- spese generali +6,3%
- specialistica convenzionata +3,3%

Nel 2012 farmaceutica ancora in calo (-3%).

* territoriale+ospedaliera, esc. copayment e payback, inclusi i vaccini

Fonte: elaborazioni e stime su Aifa, MEF, Istat

Le novità degli ultimi due provvedimenti: aspetti positivi

La **legge del 7 agosto 2012 n. 135** ha introdotto il budget aziendale per la spesa farmaceutica ospedaliera e fissato un tetto di spesa ospedaliero.
In caso di eventuale sfondamento del tetto previsto per un farmaco orfano, il ripiano è a carico degli altri farmaci.

Il **decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158** prevede che:

Le Regioni sono tenute ad assicurare agli assistiti l'immediata disponibilità dei medicinale che possiedono il requisito dell'innovatività.

Per i farmaci orfani:

- la domanda di rimborsabilità può essere presentata prima del rilascio dell'AIC. Sulla domanda di classificazione Aifa si pronuncia entro 90 gg.
- È prevista l'esclusione dall'automatica collocazione dei medicinali in un'apposita sezione della classe C.

Le novità degli ultimi due provvedimenti: criticità

Il **decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158** prevede che:

Qualora sia disponibile un'alternativa terapeutica fra i medicinali autorizzati, è ammessa la presenza nell'elenco di cui alla legge 648/96 di un farmaco non autorizzato solo nel caso in cui tale farmaco possieda un profilo di sicurezza non inferiore a quello del farmaco autorizzato e quest'ultimo sia eccessivamente oneroso per il SSN.

I passi per sostenere e incentivare la Ricerca nelle malattie rare

- Garantire in concreto i tempi di accesso all'innovazione a livello nazionale e regionale dei medicinali che hanno ottenuto la designazione di farmaco orfano dall'EMA.
- Applicare criteri di valutazione trasparenti, con premi adeguati all'innovazione.
- Tutelare concretamente la proprietà intellettuale.
- Assicurare sostegni automatici e strutturali, quali il credito di imposta.
- Realizzare un quadro normativo certo e chiaro necessario per permettere piani di investimento stabili a medio e a lungo periodo.

Grazie per l'attenzione

FARMINDUSTRIA