“L’industria: oltre il farmaco e la ricerca”

Dott. Giorgio Ghignoni

Direttore Esecutivo
Public Affairs & Policy
Pfizer Italia

Convegno
“MALATTIE RARE E DISABILITA’
Palazzo Senatorio
Aula Giulio Cesare
Roma, 3 Dicembre 2008

I numeri della rarità

- Malgrado la rarità di ognuna di tali malattie, è sempre sorprendente scoprire che, secondo una stima diffusamente accettata, “nei 25 paesi europei circa 30 milioni di persone sono affette da malattie rare”

- Ciò significa che il 6-8% dell’intera popolazione europea ne è colpito

- Questo numero è equivalente all’intera popolazione di Olanda, Belgio e Lussemburgo assieme



Fonte: www.eurordis.org

Il paradosso della rarità

- Questi dati mostrano che, sebbene le “malattie siano **rare**, i pazienti con malattie rare sono **molti**”

- Quindi “non è una rarità **avere una malattia rara**”

- Non è una rarità nemmeno “essere colpiti” da una malattia rara, in quanto **l’intera famiglia** viene davvero colpita in un modo o nell’altro;

Fonte: www.eurordis.org

Malattie rare: la situazione in Europa

- La Commissione Europea ha costituito un Forum Farmaceutico di cui fa parte il Working Group sul Pricing che ha l'obiettivo di:
  - promuovere lo sviluppo sostenibile di farmaci orfani di valore
  - migliorare l'accesso ai farmaci orfani per tutte le persone affette da malattie rare in Europa

- Criticità da superare:
  - Difficoltà nel valutare e premiare l'innovazione
  - La sfida dell'ottimizzazione dei budget
  - Accesso alle terapie limitato in molti paesi dell'UE
- Risultati:
  - Elaborazione di Principi guida

Fonti: www.eurordis.org
http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Malattie rare: i colli di bottiglia

- **Difficoltà nel processo di R&D:**
  - esiguità del numero dei pazienti,
  - mancanza di registri dei pazienti e di centri nazionali di riferimento

- **Corretta valutazione del valore clinico dei farmaci innovativi**
  - Dati limitati per l'esiguo numero dei pazienti inclusi negli studi clinici
  - Frammentazione della valutazione del farmaco orfano all'interno dei singoli stati membri

- **Le decisioni in tema di prezzo e rimborso in crescente sensibilità. I fattori cruciali:**
  - Incertezza sul valore
  - Mancanza di informazione
  - Alti rischi di sviluppo
  - Volumi ridotti ed incerti
  - Estensioni di indicazioni occasionali
  - Necessità del trattamento spesso per tutta la vita
  - Fondi destinati ai farmaci orfani limitati
  - Difficoltà ad ottenere una diagnosi tempestiva ed un trattamento appropriato

Fonti: www.eurordis.org

http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Malattie rare: le soluzioni proposte (1/4)

- Possibili soluzioni proposte dal Gruppo di Lavoro sulla definizione dei prezzi:

1. **Implementare il dialogo tra industrie ed autorità regolatorie fin dalle primissime fasi di sviluppo del farmaco:**
   - Chiarire la necessità di un farmaco orfano
   - Fare una previsione sul numero ed il profilo dei pazienti
   - Definizione dei dati clinici necessari per le successive valutazioni sul valore clinico, sul prezzo e rimborso
   - Per l'industria: maggiori certezze a sostegno dell'investimento
   - Per le autorità: maggiore conoscenza del farmaco che si andrà a valutare e rimborsare
   - Migliorare la programmazione a lungo termine sia per le aziende che per le autorità che per la società in generale

Fonti: www.eurordis.org

http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Malattie rare: le soluzioni proposte (2/4)

2. **Scambio di conoscenze tra Stati Membri ed Autorità Regolatorie Europee sulla valutazione scientifica e sul valore clinico del farmaco orfano:**
   - Produzione tempestiva di opinioni fondate su maggiori dati, informazioni condivise, esperienze e discussioni approfondite
   - Focus su un approccio clinico-terapeutico piuttosto che economico
   - Reports sulla valutazione del valore clinico con informazioni più dettagliate che possono facilitare le decisioni sul prezzo e rimborso

Fonti: www.eurordis.org

http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Malattie rare: le soluzioni proposte (3/4)

3. **Adozione di decisioni condizionate di prezzi e rimborso che permettono:**
   - Rapido accesso ai farmaci
   - Controllo dell'utilizzazione attraverso specifiche previsioni annuali di budget
   - Fissare la tempistica per rivedere e chiarire i risultati attesi degli studi clinici ulteriori ed i successivi aggiustamenti su prezzo e rimborso
   - Chiaro allineamento iniziale e condiviso di costi, rischi e benefici

Fonti: www.eurordis.org

http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Malattie rare: le soluzioni proposte (4/4)

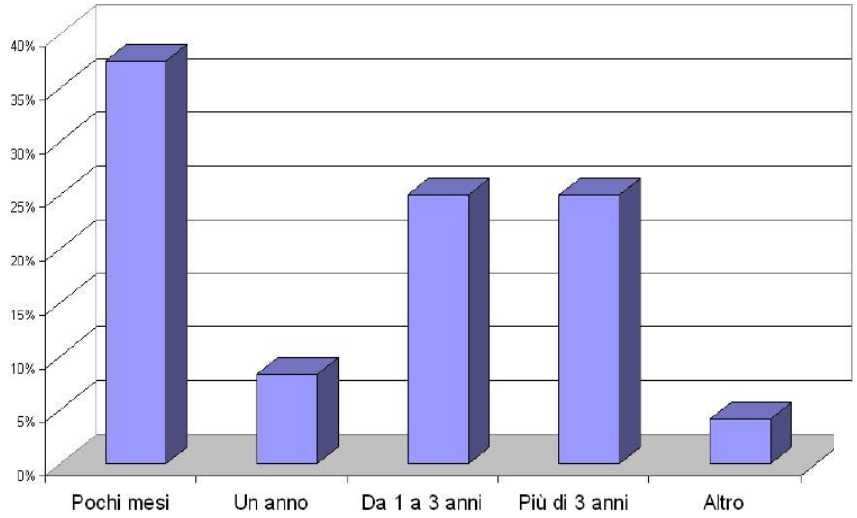
4. **Sensibilizzare e costruire un'expertise sulle malattie rare a livello europeo:**
   - Creazione di registri di pazienti standardizzati a livello internazionale e network per i centri di riferimento
   - Facilitazione nell'arruolamento dei pazienti nei trial clinici
   - Acquisizione di dati aggiuntivi sui benefici del farmaco
   - Tali dati potranno costituire la base per successive revisioni di prezzo
   - Necessità di coordinamento all'interno dei singoli Stati e tra gli Stati membri in materia di Malattie Rare attraverso un Ente Europeo specifico che faciliti l'accesso ai farmaci orfani, migliori la qualità delle cure e permetta di raccogliere e confrontare i dati di tutti gli Stati Membri

Fonti: www.eurordis.org

http://ec.europa.eu/pharmaforum/pricing_en.htm

Le malattie rare e l'accesso: una panoramica italiana (1/3)

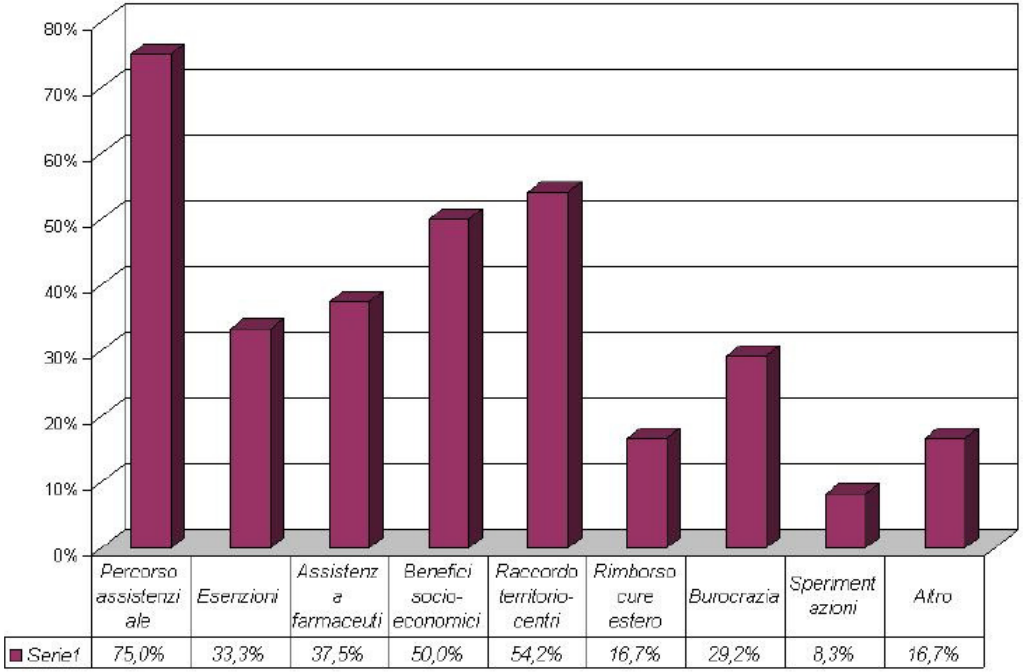
Tempi medi per giungere a diagnosi



Fonte: Cittadinanzattiva, Tribunale dei Diritti del Malato 2008

- ***Difficoltà nella diagnosi e post- diagnosi***
- ***Difficoltà di presa in carico e ostacoli burocratici***
- ***Difficoltà di accesso ai farmaci***
- ***Difformità tra regioni***

Le difficoltà dopo la diagnosi riguardano

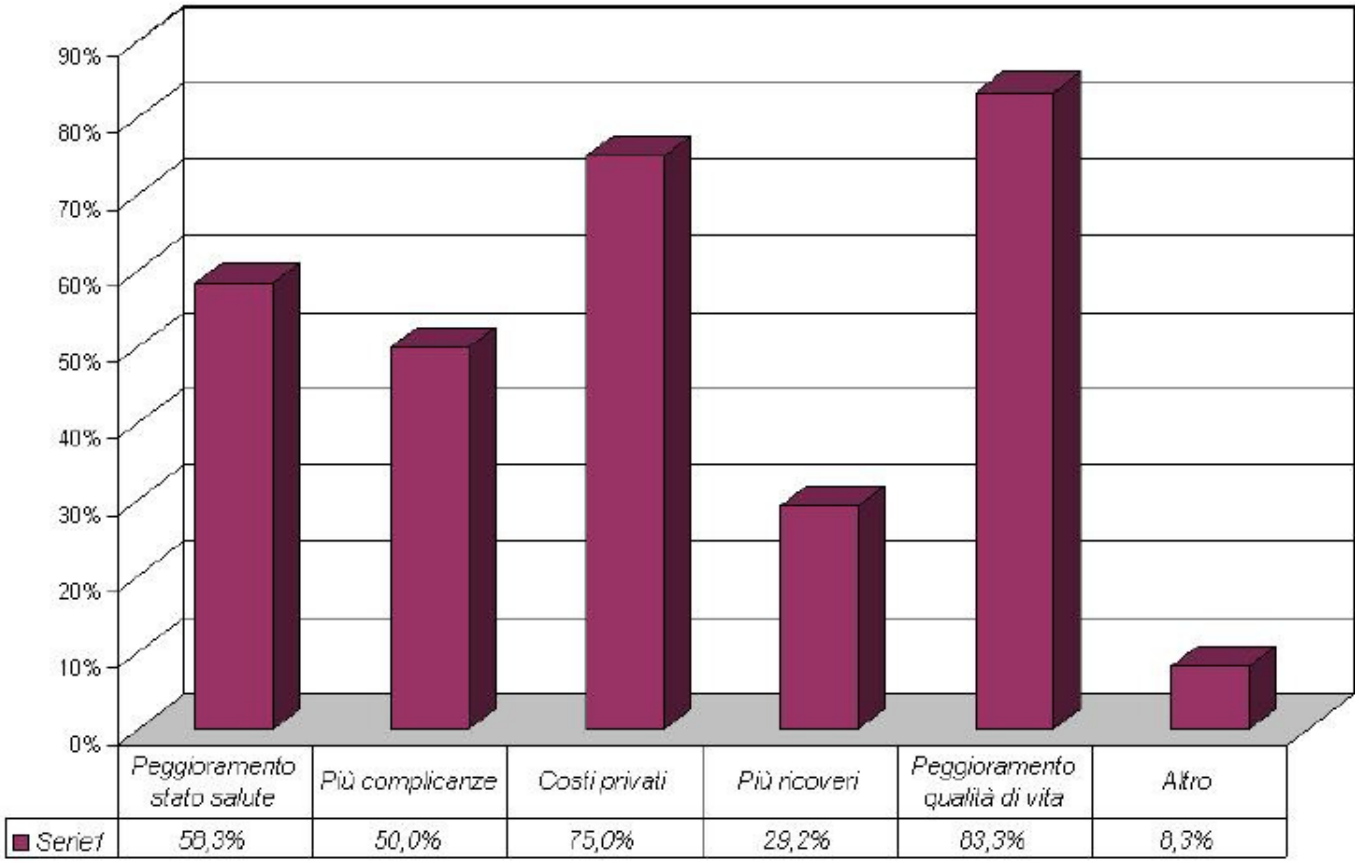


	Percorso assistenziale	Esenzioni	Assistenza farmaceutica	Benefici socio-economici	Raccordo territorio-centri	Rimborso cure estero	Burocrazia	Sperimentazioni	Altro
Serie1	75,0%	33,3%	37,5%	50,0%	54,2%	16,7%	29,2%	8,3%	16,7%

Fonte: Cittadinanzattiva, Tribunale dei Diritti del Malato 2008

Le malattie rare e l'accesso: una panoramica italiana (2/3)

Principali conseguenze delle criticità nell'accesso

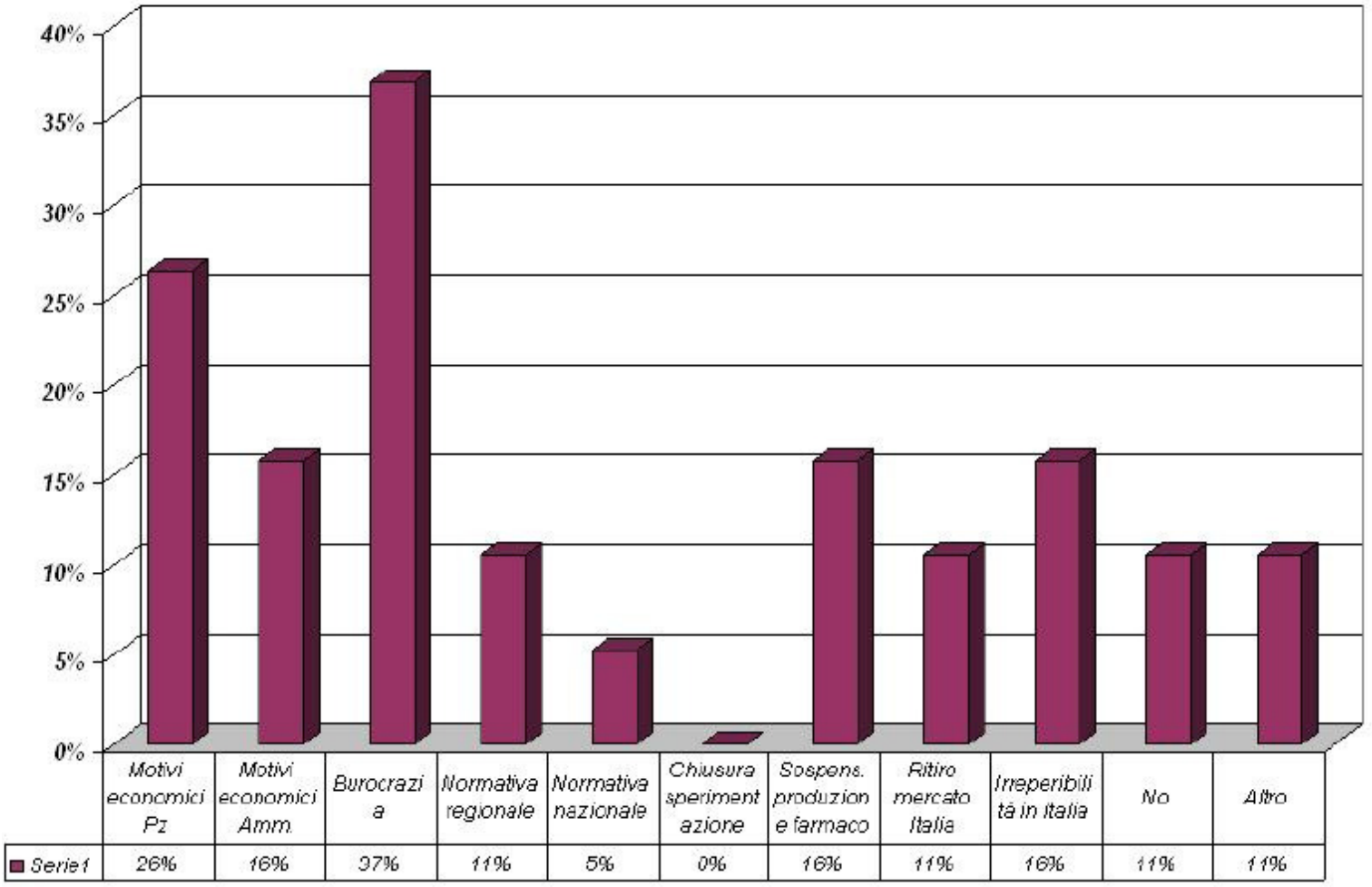


	Peggioramento stato salute	Più complicanze	Costi privati	Più ricoveri	Peggioramento qualità di vita	Altro
Serie1	58,3%	50,0%	75,0%	29,2%	83,3%	8,3%

Fonte: Cittadinanzattiva, Tribunale dei Diritti del Malato 2008

Le malattie rare e l'accesso: una panoramica italiana (3/3)

I cittadini hanno dovuto sospendere la terapia per



Fonte: Cittadinanzattiva, Tribunale dei Diritti del Malato 2008

L'impegno di Pfizer oltre il farmaco e la ricerca: Officina malattie rare

Obiettivi:

- offrire una tutela ai Malati Rari e alle loro Associazioni, al fine di restituire loro il diritto all'erogazione delle cure anche attraverso la domiciliarità, la dignità e le giuste tutele
- Diventare un punto di orientamento importante, per i Malati Rari, le loro Associazioni, le Istituzioni, le strutture sanitarie del territorio, la ricerca, le aziende farmaceutiche

Strumenti:

- far presentare nuovamente i disegni di legge già elaborati con integrazioni migliorative laddove necessario
- realizzazione di un piano triennale sulle malattie rare al fine di istituire un fondo per la ricerca, per lo sviluppo e per l'accesso dei pazienti ai medicinali orfani
- nascita di un Comitato Nazionale per le Malattie Rare
- riconoscimento ufficiale come malattia "rara" a patologie che da anni l'attendono
- Individuazione di sostegni economici ai malati a volte disabili gravi e non autosufficienti ed alle loro famiglie

L’impegno di Pfizer oltre il farmaco e la ricerca

- Sostegno alla Campagna di Comunicazione **“Insieme per non essere rari”**
- La Campagna è promossa dall’ISS insieme al periodico online Sanità News
- Si svolgerà per tutto il corso del 2009
- Obiettivi della Campagna:

  • Facilitare il dialogo tra medici, ricercatori, imprese e Associazioni di pazienti e familiari coinvolti nel tema delle malattie rare e farmaci orfani, attraverso la condivisione delle informazioni, la raccolta delle istanze che provengono dai pazienti, l’aggiornamento degli sviluppi medico-scientifici ed istituzionali in materia legislativa e di iter assistenziale

