FARMINDUSTRIA

Associazione Culturale "Giuseppe Dossetti: i Valori"
Malattie Rare e Disabilità

L'impegno di Farmindustria nelle Malattie Rare

Giuseppe Caruso

Roma, 4 dicembre 2009

Malattie Rare:
un "contenitore", tante patologie



- Colpiscono non più di 5 persone su 10 mila abitanti.
- Identificate oltre 8 mila malattie (OMS) che interessano 2-3 milioni di persone in Italia e più di 30 milioni in Europa.
- Sono patologie caratterizzate da:
  - difficoltà diagnostiche;
  - carenza di informazioni, di assistenza e di conoscenze scientifiche;
  - conseguenze sociali pesanti per il paziente;
  - disuguaglianze e difficoltà nell'accesso al trattamento e alle cure;
  - elevato costo dei trattamenti.

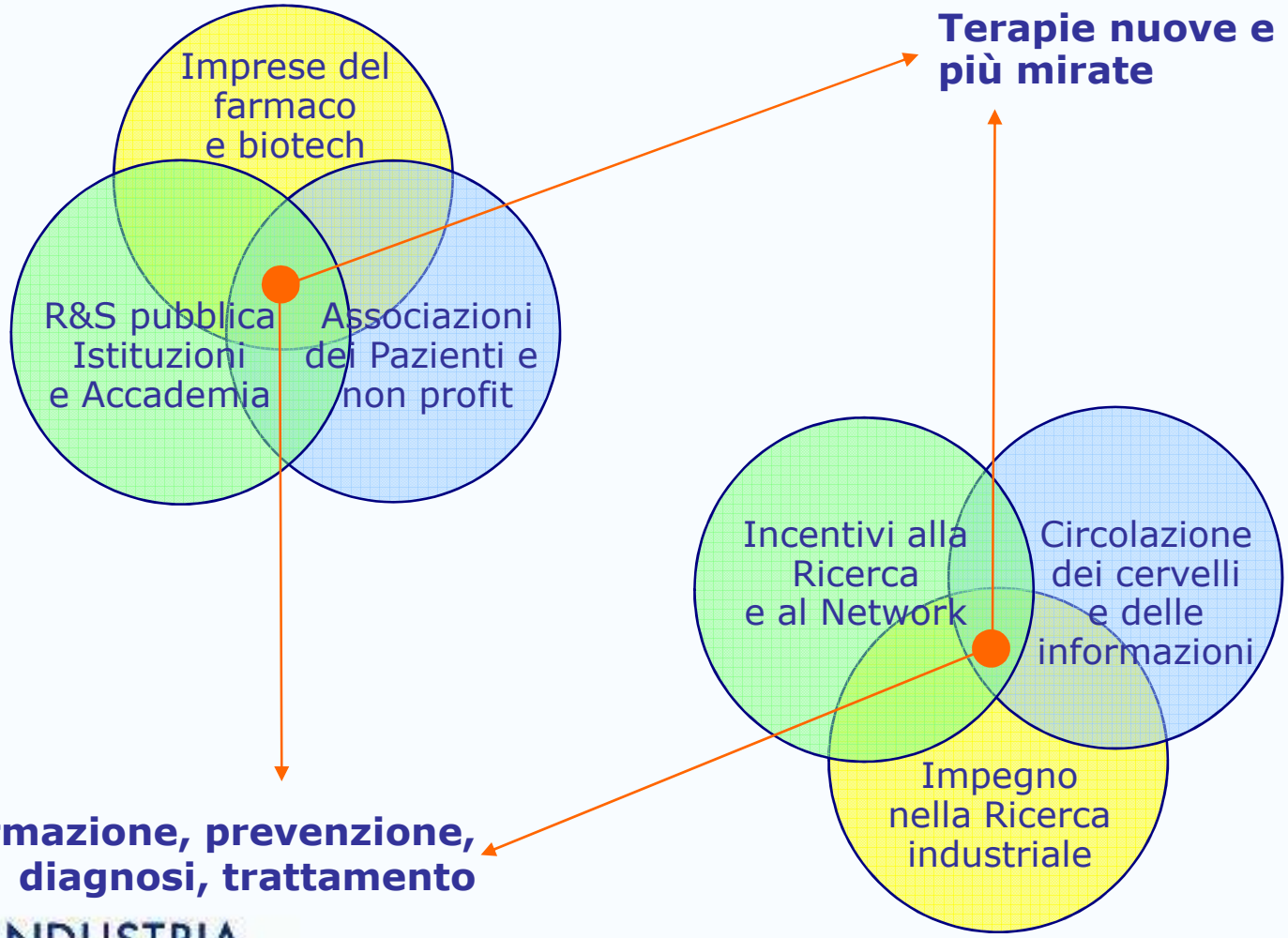
In un campo così complesso serve

l'impegno di una rete di attori:

nessuno può farcela da solo!

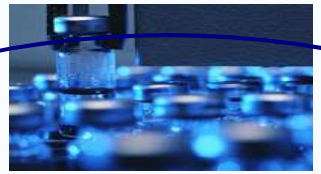
FARMINDUSTRIA

Malattie Rare: un paradigma appropriato per lo sviluppo dei network della Ricerca, dell'informazione e della formazione

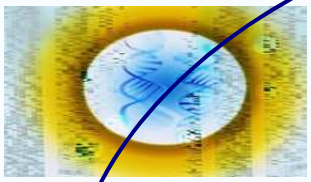


FARMINDUSTRIA

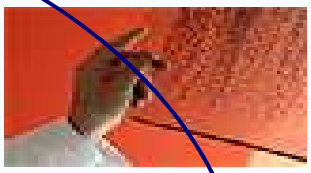
Dalla Ricerca farmaceutica e dalle "nuove" tecnologie i maggiori contributi per la cura delle Malattie Rare



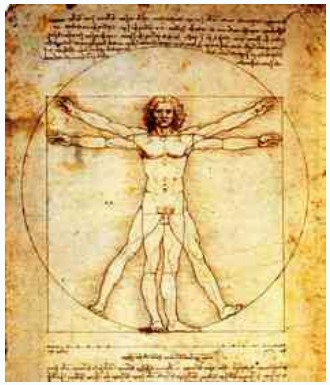
Robotica



Biomarcatori

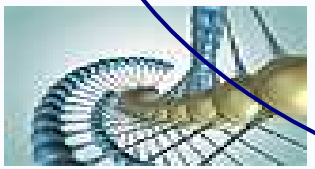


Bersagli molecolari



Ingegneria tissutale

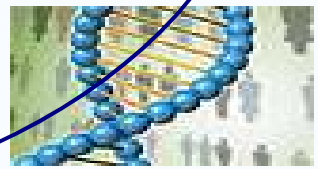
Terapia cellulare



Nanotecnologia



Bioinformatica



Omics

FARMINDUSTRIA

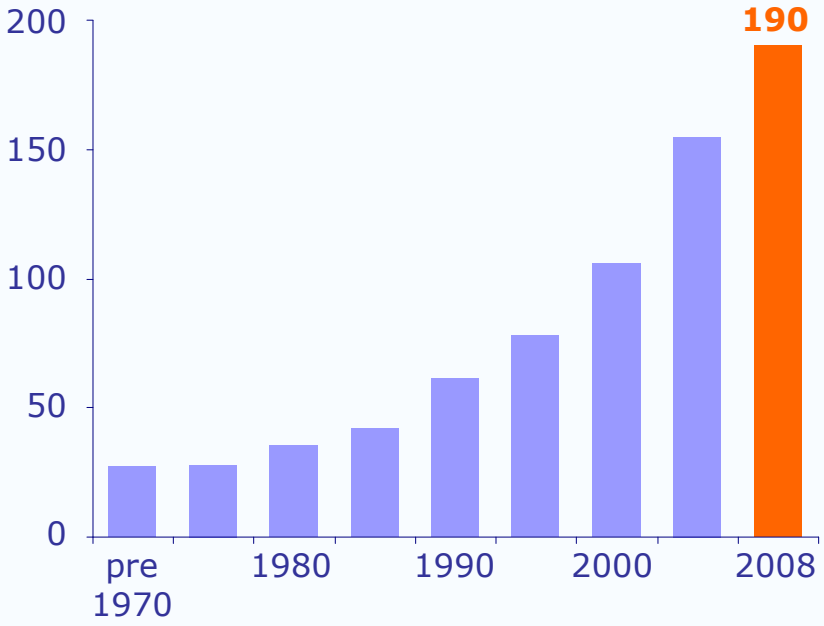
Ricerca biotech: impegno crescente per la competitività scientifica del Paese

Italia: medicinali biotech in sviluppo, per fase e area (marzo 2009)

Fase clinica	**136**
Antineoplastici e immunomodulatori	54
Sist. Nervoso Centrale	22
Cardiovascolare	8
Fase preclinica	**73**
Discovery	**49**

Fonte: Blossom&Company-Assobiotec, 2009

Numero di aziende di biotecnologie per la Salute in Italia



7.684 addetti in R&S

1,3 mld € investiti in R&S

14,5 mld € il valore della produzione

Fonte: Blossom&Company-CrESIT, 2009

FARMINDUSTRIA

Valore scientifico e sociale del biotech: nuove possibilità di cura

- 325 milioni di pazienti in tutto il mondo hanno tratto beneficio dai prodotti ottenuti con l'impiego delle biotecnologie
- il 20% dei prodotti disponibili sono biotecnologici
- il 40% dei nuovi farmaci registrati è di origine biotecnologica
- il 50% dei composti in sviluppo proviene dal biotech

Biotecnologie applicate alla medicina

Prevenzione	= Vaccini
Diagnosi	= Test genetici
Terapia	= Cellule staminali, Terapia genica, Proteomica, Farmacogenetica



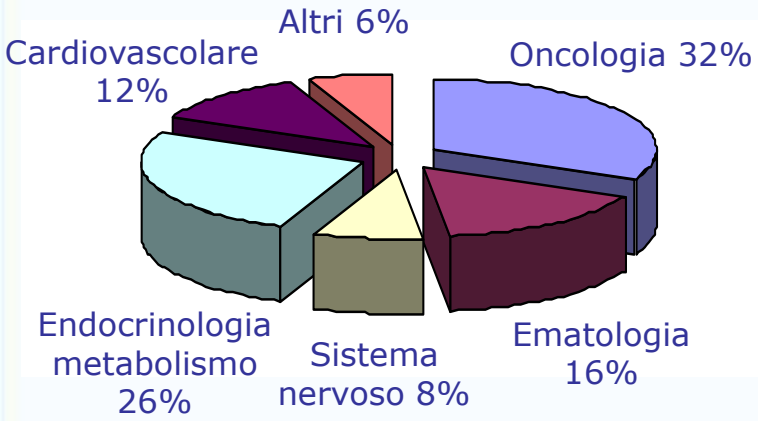
FARMINDUSTRIA

Oggi le patologie sono un po' meno orfane

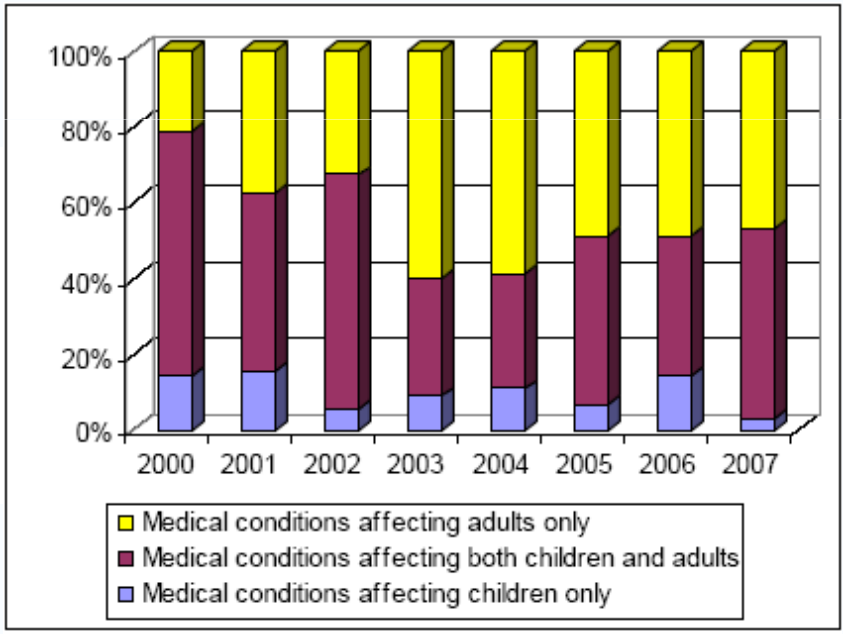
Dall'aprile 2000 ad oggi:

- **1023** domande presentate all'EMEA per la qualifica di farmaco orfano
- **657** designazioni di farmaco orfano
- **48** autorizzazioni all'immissione in commercio

Farmaci orfani per area terapeutica in Europa



Farmaci orfani per classe di età in Europa



Fonte: EMEA, 2009

FARMINDUSTRIA

Studi Clinici in pediatria: impegno notevole per l'industria farmaceutica

Sperimentazioni per età dei soggetti arruolati
(OsSC AIFA, 2009 - Dati 2004-2008)

Fasce di età	SC	%
Pediatria (fino a 12 anni)	**318**	**8,6**
Minori (da 13 a 18 anni)	**364**	**9,9**
Adulti (da 19 a 64 anni)	3.399	92,3
Geriatria (oltre 65 anni)	2.762	75,0

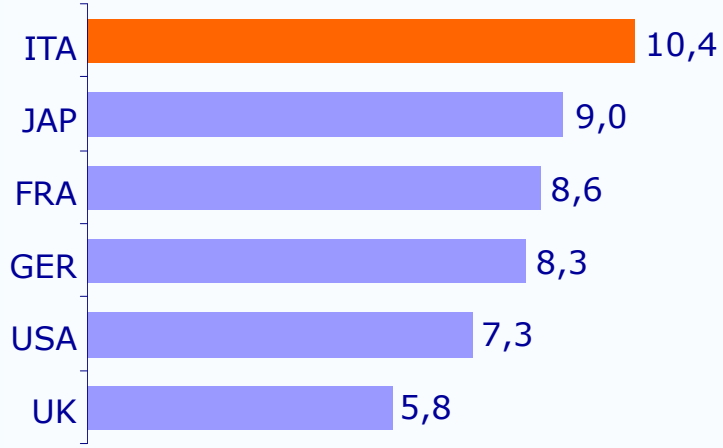
FARMINDUSTRIA

Nelle Malattie Rare l'impegno della Ricerca in Italia

(Anni 2000-2008)

Indice di specializzazione di pubblicazioni su Malattie Rare

(% sul totale del Paese in Scienze della Vita)



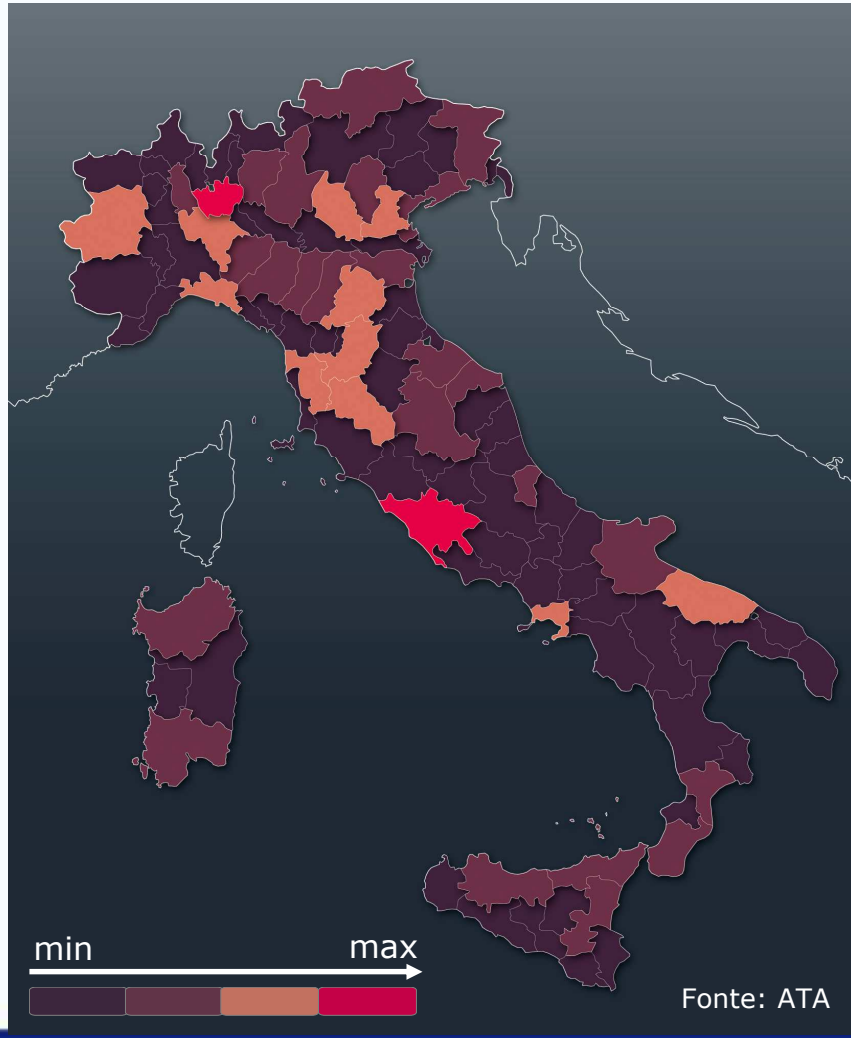
Pubblicazioni su Malattie Rare

(% sul totale dei 6 Paesi)

USA	50,9	Regno Unito	9,6
Giappone	13,8	Italia	8,5
Germania	10,0	Francia	7,1

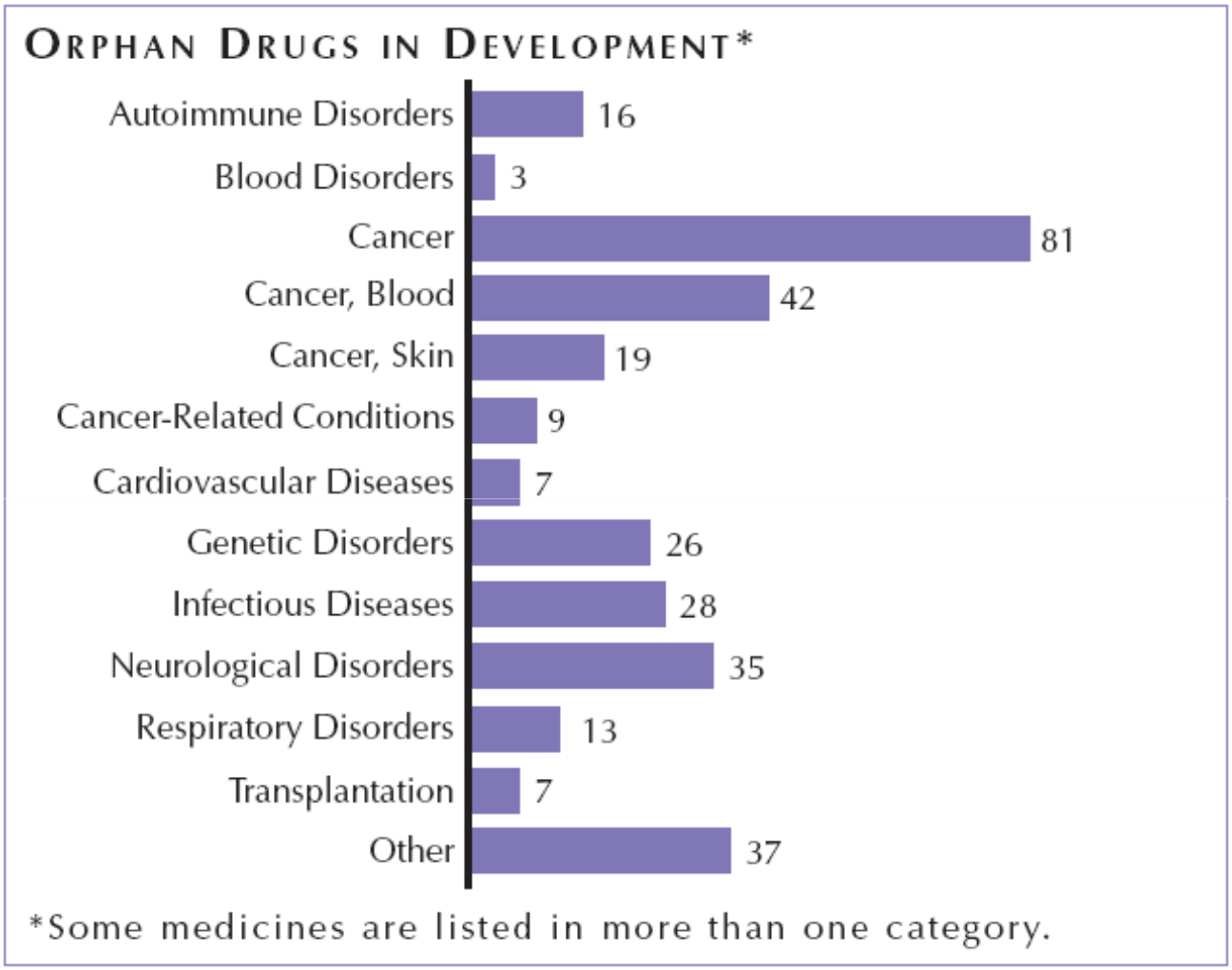
FARMINDUSTRIA

Pubblicazioni nelle Malattie Rare



2009 Report
ORPHAN DRUGS IN DEVELOPMENT FOR
Rare Diseases

More Than 300 Medicines Are in Development to Treat or Prevent Rare Diseases



FARMINDUSTRIA

Fonte: PhRMA, Report 2009

Gli incentivi UE per i promotori della ricerca clinica nelle Malattie Rare

- Supporto nella stesura del protocollo per la designazione di farmaco orfano da parte degli esperti della commissione di valutazione



- 10 anni di esclusività di mercato
- Esenzioni e riduzione delle tariffe:
  - esenzione della tariffa per la stesura del protocollo e del follow-up;
  - esenzione della tariffa per le ispezioni pre autorizzative;
  - riduzione (50%) sulla tariffa per le richieste di autorizzazione all'immissione in commercio;
  - riduzione (50%) sulla tariffa per le attività post autorizzative per il primo anno.

FARMINDUSTRIA

Criticità da affrontare e … superare



- Il **25%** dei pazienti ha atteso da **5** a **30** anni per avere la conferma della diagnosi.
- Il **40%** dei pazienti ha avuto inizialmente una **diagnosi sbagliata**.
- Il **25%** dei pazienti ha dovuto spostarsi **in un'altra regione** (il 2% in un altro Paese) per avere la diagnosi.
- Nel **33%** dei casi la diagnosi è stata **comunicata in maniera insoddisfacente** (nel 12% dei casi in maniera inaccettabile).
- Nel **25%** dei casi **non è stato comunicato** ai pazienti o ai loro familiari **che si trattava di una malattia genetica**.
- La **consulenza genetica** è stata offerta **solo nel 50%** dei casi.

Si può fare e si deve fare di più!

FARMINDUSTRIA

Fonte: Eurordiscare 2
Survey of the delay in diagnosis for 8 rare diseases in Europe

Alcuni segnali positivi dalle Istituzioni

L'avvio del Registro nazionale delle Malattie Rare in Italia

- 435 patologie censite;
- 70.000 schede valutate;
- copertura del 62% della popolazione italiana;
- 7 le Regioni che non hanno ancora fornito i dati.



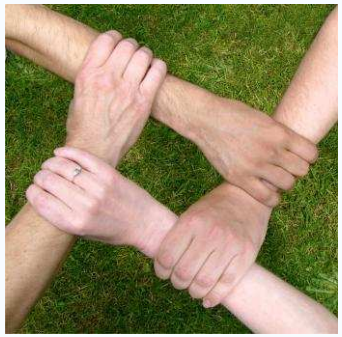
Fonte: ISS

Istituzione del "**Fondo di credito per i nuovi nati**"
25 milioni di euro per ciascuno degli anni 2009, 2010 e 2011

Il Fondo è stato integrato di **10 milioni di euro** per l'anno 2009 per la corresponsione di contributi in conto interessi in favore delle famiglie di nuovi nati o bambini adottati nel medesimo anno che siano portatori di Malattie Rare.

FARMINDUSTRIA

L'impegno in rete di Farmindustria per le Malattie Rare



- **Protocollo di intesa con Uniamo (2000)** Per promuovere l'adozione di idonei strumenti legislativi, migliorare l'assistenza, favorire la R&S, sostenere progetti mirati, incoraggiare la creazione di una rete.
- **Annuario Orphanet-Italia delle Malattie Rare (2005)** Realizzazione di un Censimento dei Centri che si occupano di diagnosi e cura per ciascuna malattia rara.
- **Guida alle Associazioni Italiane Malattie Rare (prima edizione 2004 e seconda 2008)** Raccolta ragionata delle numerose Associazioni di volontariato che si occupano di Malattie Rare in collaborazione con Uniamo e Orphanet.
- Realizzazione delle **giornate delle Malattie Rare** "Una giornata rara per persone molto speciali" **(29 febbraio 2008)** e "Il Paziente al centro dell'assistenza" **(28 febbraio 2009)**.
- Realizzazione **corso di formazione nazionale** "Conoscere per assistere" in collaborazione con UNIAMO, SIP, SIMG, FIMP, FIMMG, SIMGePeD **(2009)** per "*formare i formatori*".

FARMINDUSTRIA

26-28 febbraio 2009: "Conoscere per Assistere"

Formazione per Pediatri e Medici di Medicina Generale in collaborazione con UNIAMO, SIP, SIMG, FIMP, FIMMG, SIMGePeD.

- Per affrontare in modo concreto e diretto una serie di problematiche assistenziali trasversali
- Per riflettere sul delicato aspetto del passaggio mirato e guidato dal pediatra di famiglia al medico di medicina generale e garantire una reale continuità di cura
- Per creare nei partecipanti veri e propri formatori in grado di trasferire le conoscenze acquisite nelle diverse realtà regionali e provinciali

Prossimi appuntamenti regionali:
Lombardia e **Trentino Alto Adige** (marzo 2010)

FARMINDUSTRIA

I più recenti protocolli siglati da Farmindustria per le Malattie Rare

- **Protocollo di intesa con Fondazione Telethon (2009)**
  - > per stimolare la collaborazione delle Imprese per lo sviluppo clinico;
  - > per individuare strumenti legislativi più efficaci di defiscalizzazione;
  - > per ottimizzare il percorso dalla individuazione della terapia alla registrazione;
  - > per realizzare strumenti per diffondere i risultati.

- **Protocollo di intesa con UNIAMO, SIP, FIMP, SIMGePeD, SIGU, FIMMG e SIMG (2009)**
  - > per un'opera di sensibilizzazione e formazione dei medici e dei pediatri;
  - > per migliorare l'iter diagnostico;
  - > per ottimizzare l'assistenza globale dei malati rari e delle loro famiglie.



FARMINDUSTRIA

Una nuova politica del farmaco per lo sviluppo sostenibile (1)



Valorizzare il farmaco nell'area strategica **Scienze della Vita**:
una esigenza necessaria per la **ricerca sulle Malattie Rare**!

Azioni di **politica industriale** per la competitività del settore:

- garantire **stabilità del quadro normativo e certezza delle regole**
  - > coerenza dei vari livelli di governo (nazionale e regionale)
  - > risorse adeguate alla domanda di salute

- confermare e potenziare gli **incentivi alla ricerca e all'innovazione**
  - > automatismo del credito d'imposta alla R&S (almeno per 10 anni)
  - > finanziamenti adeguati al programma Industria 2015
  - > Accordi di Programma strutturati
  - > risorse dedicate alle fasi precoci della ricerca clinica

- favorire il **consolidamento del network di ricerca pubblico-privato**

FARMINDUSTRIA

Una nuova politica del farmaco per lo sviluppo sostenibile (2)



- tutelare la **proprietà intellettuale e** riconoscere il valore del **marchio**
- rispettare i **tempi** definiti dalla normativa per l'approvazione etico-scientifica (CE) e l'autorizzazione (AC) dei clinical trials
- dare certezza dei tempi per l'**accesso** all'innovazione, evitando la frammentazione dei sistemi di valutazione o un loro uso strumentale ai fini del contenimento dei costi
- migliorare l'efficienza delle **procedure burocratiche e amministrative** Meno leggi e più controlli, per ottimizzare le procedure e rendere più semplici e rapidi gli adempimenti amministrativi
- valorizzare il ruolo dei **medici** e dei **servizi** sul territorio
- premiare l'**eccellenza** e il **merito** in aree strategiche

FARMINDUSTRIA

Grazie
per l’attenzione



FARMINDUSTRIA