FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC
Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie

MALATTIE RARE E SVILUPPO ECONOMICO

Associazione «G. Dossetti: I valori»

AUDITORIUM MINISTERO DELLA SALUTE

Roma, 18 Settembre 2012

Ugo Capolino Perlingeri

Le biotecnologie e la crescita economica

- **La bioeconomia vale oggi in Europa più di € 2.000 miliardi l'anno, e dà lavoro a oltre 22 milioni di persone.**

- **Le biotecnologie hanno reso possibile negli anni il miglioramento dei processi in molteplici settori industriali e valgono oggi tra lo 0,4 e lo 1,1% del PIL globale, con una crescita media dello 11% negli ultimi tre anni.**

Fonte: Rapporto sulle biotecnologie in Italia - 2012

Le imprese attive nel settore delle biotecnologie della salute

In Italia il numero totale delle imprese attive nel settore salute è di 238.

- **Multinazionali con sede in Italia: 45**
- **Imprese a capitale italiano: 193**

Il totale fatturato calcolato con riferimento all'anno 2010 è pari a € 6.811 milioni, con un aumento (4%) rispetto al dato 2009, in linea con il trend di crescita dell'intero settore.

Fonte: Rapporto sulle biotecnologie in Italia - 2012

L'impegno delle imprese biotech nella ricerca nel settore salute

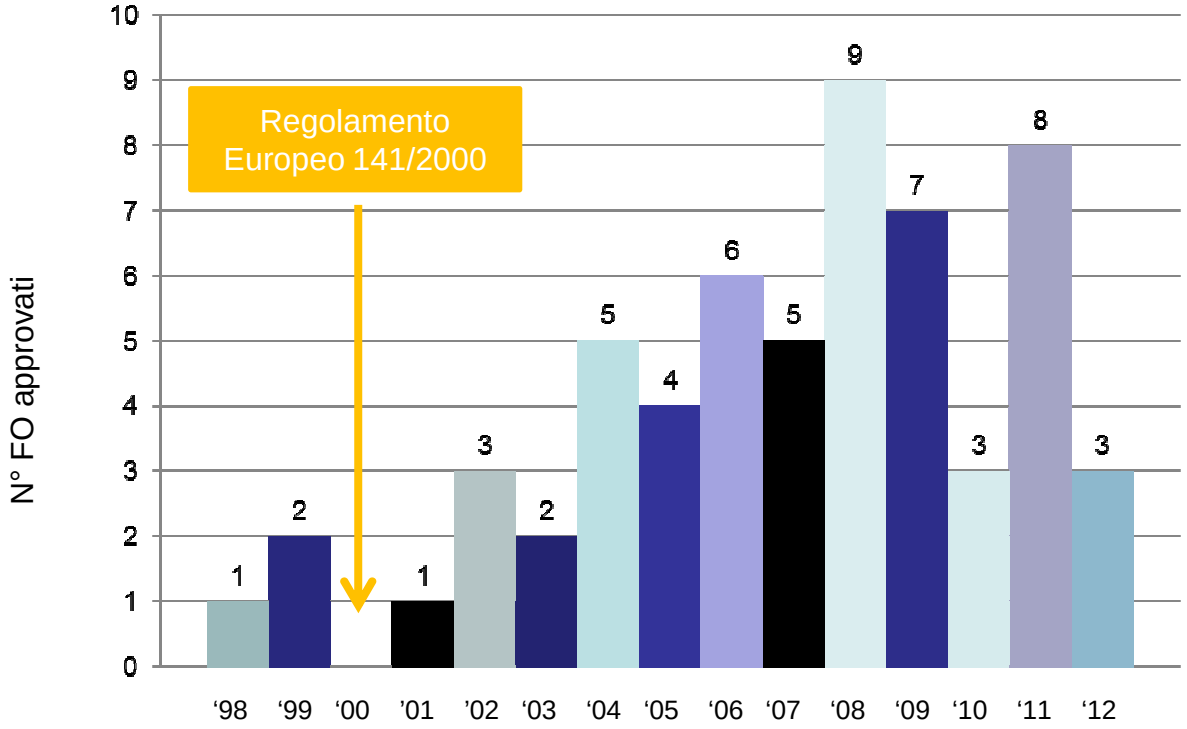
- **Il 20% dei farmaci in commercio e il 50% di quelli in sviluppo è di derivazione biotecnologica**
- **I farmaci biotecnologici costituiscono il segmento più innovativo del settore biofarmaceutico**
- **L'80% delle malattie rare ha un'origine genetica: dalla ricerca biotecnologica i maggiori contributi per la cura**
- **480 sono i farmaci e i vaccini in commercio per più di 100 patologie**
- **E' stato calcolato che nel 2014 sei tra i primi dieci farmaci saranno di origine biotecnologica**

Assobiotec e i Famaci Orfani

- **11 delle 36 Aziende farmaceutiche associate commercializzano Farmaci Orfani**

- **Il 53% dei Farmaci Orfani approvati in Italia sono commercializzati da Aziende associate**

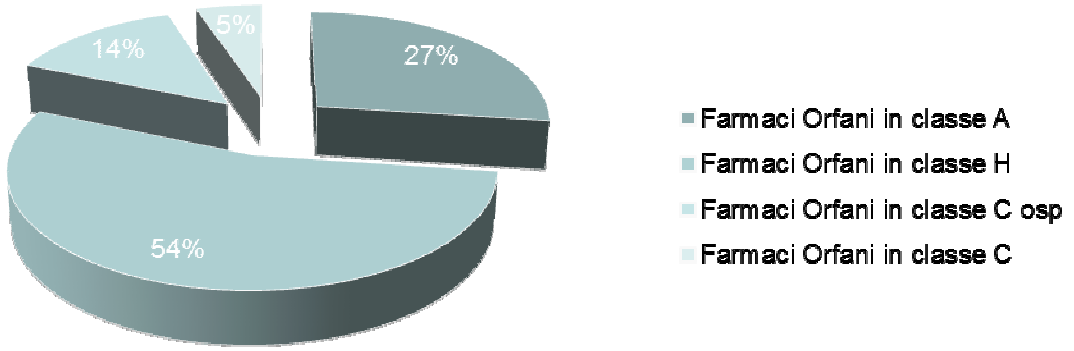
Il numero dei farmaci orfani approvati in Italia



Ad oggi sono stati approvati 53 FO & 6 Orphan-like di cui 50 dopo l'approvazione del Regolamento EU nel 2000

La situazione Italiana rispetto a quella Europea

- **L'82% dei FO approvati in EU ha ottenuto l'Autorizzazione all'Immissione in Commercio in Italia**
- **Il 2% dei FO è disponibile tramite la Legge 648/96**
- **Il 71% dei FO autorizzati a livello europeo è rimborsato dal SSN**



La spesa e il consumo per farmaci orfani in Italia

Trend di spesa e consumo per farmaci orfani (anni 2007-2011)

Anno	2007	2008	2009	2010	2011	Δ% 2011 vs 2007
Spesa farmaci orfani	263.421.013	381.575.880	506.678.965	656.650.964	799.862.219	203
Incidenza percentuale farmaci orfani su spesa farmaceutica ospedaliera	5,7	6,8	8,4	10,0	11,4	
Consumo (DDD) farmaci orfani	2.737.340	3.950.037	5.271.295	6.595.432	7.494.000	174
Incidenza percentuale farmaci orfani su consumo farmaceutico ospedaliero	0,11	0,16	0,21	0,23	0,20	

Rappporto Osmed 2012

I Registri AIFA per garantire l'appropriatezza della spesa

- **Più della metà dei FO rimborsati dal SSN sono inseriti nei Registri AIFA (23 FO con Registro AIFA su 44 FO rimborsati dal SSN).**

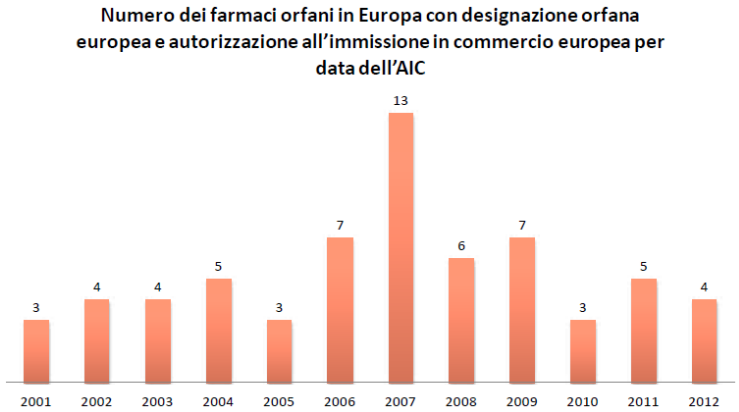
- **Più dell'80% della spesa ospedaliera per i FO è monitorata attraverso i Registri AIFA**

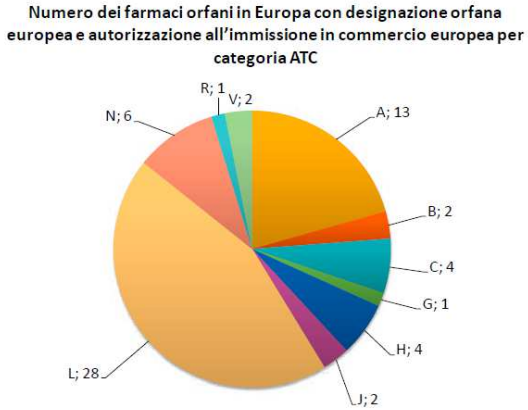
L'importanza della legislazione

Nel 1983 in US è stato pubblicato l'Orphan Drug Act.

Nel 2000, in Europa è stato adottato il Regolamento per i farmaci orfani (Regulation Number 141/2000 of the European Parliament and the Council) con lo scopo di favorire lo sviluppo di farmaci per i pazienti affetti da malattie rare per i quali non esiste alcuna alternativa terapeutica.

Da allora più di 850 farmaci hanno ottenuto la designazione orfana e ben 65 sono stati autorizzati all'immissione in commercio.





I Quaderni di Orphanet - Elenco dei Farmaci Orfani in Europa. Luglio 2012
http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/IT/elenco_dei_farmaci_orfani_in_europa.pdf

La Legislazione italiana a tutela dell'Innovazione e dei FO

Legge di conversione 7 agosto 2012, n. 135, GU n. 189 del 14-8-2012

- **Art. 15, comma 8, h): Esonero del ripiano in caso di superamento del budget se il farmaco è INNOVATIVO;**

- **Art. 15, comma 8, i): Esonero dal ripiano in caso di superamento del budget se il farmaco è ORFANO.**

DL n. 158 del 13 settembre 2012 ''Decreto Balduzzi''

- Art. 10, comma 2: immediata disponibilità agli assistiti dei medicinali ad "innovatività terapeutica di particolare rilevanza".

La sfide future

I dati di letteratura suggeriscono che nel mondo vi sono ancora più di 7000 malattie rare* per le quali non esiste una valida alternativa terapeutica.

Il primo FO sviluppato e prodotto in Italia.

*Centro Nazionale Malattie Rare - ISS

FEDERCHIMICA

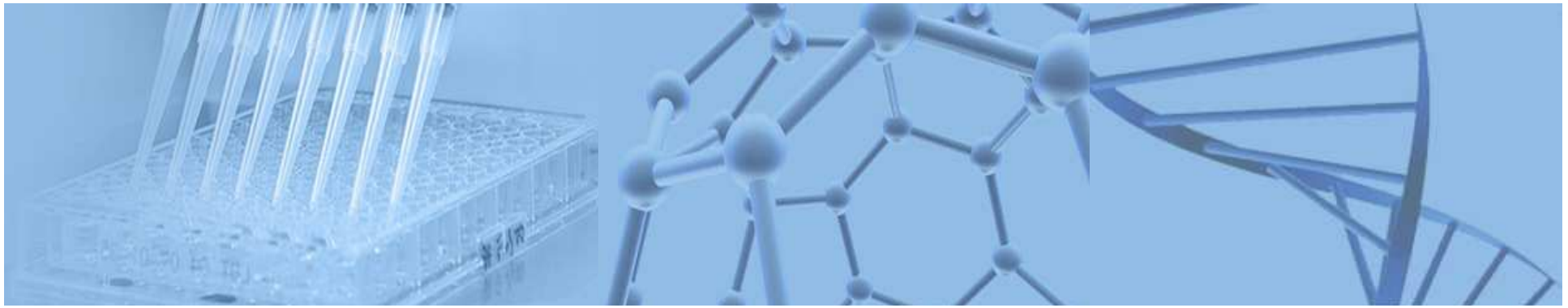
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie

GRAZIE PER L'ATTENZIONE

Per ulteriori informazioni:

www.assobiotec.it

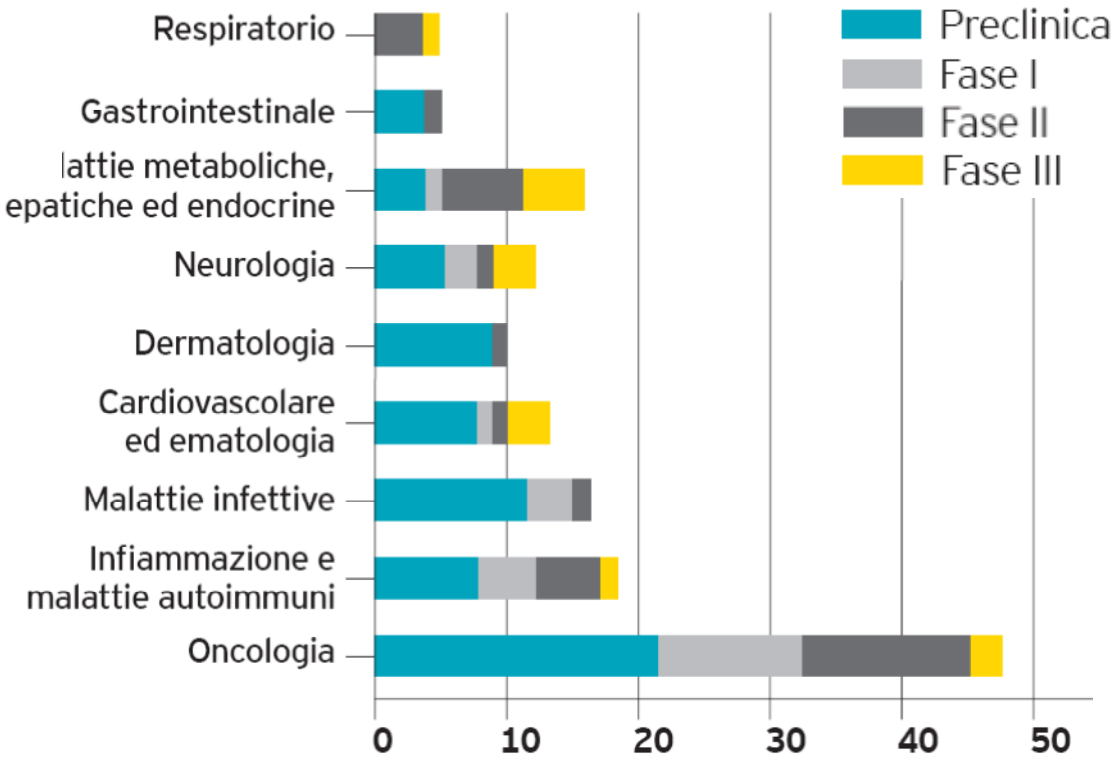


L'impresa biotech investe in Italia 350 Mln € in R&D…

Oncologia e Neurologia le aree di prevalente sviluppo: segmenti che negli ultimi anni hanno registrato il maggior tasso di crescita anche a livello globale

I dati complessivi evidenziano la capacità del comparto di ottimizzare gli investimenti in ricerca: la crescente produzione di valore negli anni è testimoniata dall'alto numero di prodotti in sviluppo clinico e preclinico sul territorio

Analisi per fase di sviluppo ed area terapeutica



Fonte: Ernst & Young – Assobiotec, BioInItaly Report 2010

… anche su farmaci orfani

Per fase di sviluppo e tipologia di impresa

	Pure biotech	Farma italiane	Multinaz	Altro	Tot
Preclinica	**66**	**13**	**3**	**7**	**89**
Fase I	**26**	**8**	**5**	**0**	**36**
Fase II	**24**	**9**	**29**	**0**	**62**
Fase III	**10**	**4**	**31**	**1**	**46**
Totale	**123**	**34**	**68**	**8**	**233**

Per orphan drug designation

	EMEA	FDA	Entrambi
Pure biotech	**4**	**0**	**5**
Farma italiane	**2**	**0**	**6**
Multinaz.	**1**	**1**	**12**
Totale	**7**	**1**	**23**

In Italia oltre 90 farmaci biotecnologici hanno ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio, ed il 40% dei prodotti in sviluppo clinico sono farmaci biotecnologici

Fonte: Ernst & Young – Assobiotec, BioInItaly Report 2010