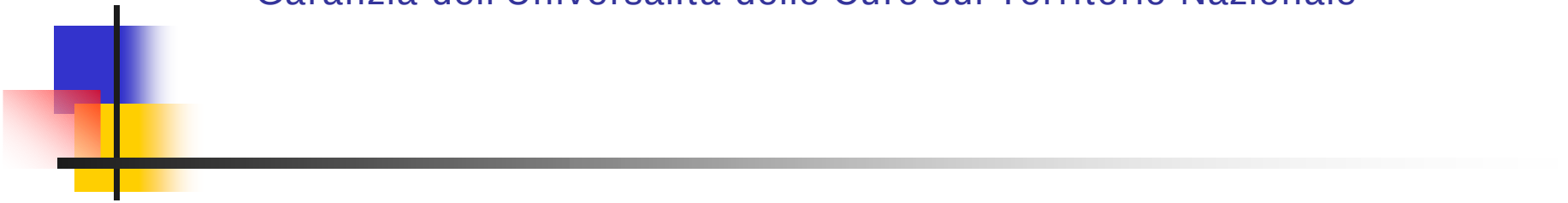
FARMACI INNOVATIVI
Qualità Efficacia Appropriatezza

Garanzia dell'Universalità delle Cure sul Territorio Nazionale



La ricerca nell'innovazione:
dal laboratorio ai bisogni dei pazienti

Roma, 9 Ottobre 2009

Raffaele Sabia
Vice President Medical
AstraZeneca SpA

L'innovazione in AstraZeneca

- **E' un cambiamento che genera benefici per il paziente e la collettività, oltre che per l'azienda**
  - farmaci capaci di fare la **differenza nella qualità di salute** dei cittadini
  - **metodologie di ricerca sofisticate** e con maggior potenziale di successo
  - processi produttivi più efficaci ed eco-compatibili
  - nuove modalità di **partnership con la comunità scientifica e le Istituzioni** a livello centrale e periferico

- **Ha un riferimento stretto con l'attuale contesto socio-economico**
  - risposta all'aumentata richiesta di salute da parte dei cittadini
  - si concentra in **aree di grande bisogno medico**
    - oncologia, malattie cardiovascolari, del SNC ed infettive
  - economicamente sostenibile / genera risparmi

- **E' un requisito indispensabile per rimanere competitivi**
  - Azienda farmaceutica
  - Paese Italia

Innovazione: dalla teoria alla pratica

Un forte impegno in ricerca & sviluppo

- **12.000 dipendenti nel settore ricerca e sviluppo** (ca. il 20% dei dipendenti)
  - 17 principali centri di R&S in 8 Paesi
    - Svezia, UK, USA, Francia, Canada, India, Cina e Giappone
- 26 stabilimenti di produzione in 18 paesi
- **Oltre 5,2 mld $ gli investimenti in R&S nel 2008**
  - ca. il 17% del fatturato globale
- **Dal 2005 al 2008:**
  - gli investimenti in R&S sono cresciuti del 16%
  - gli investimenti di marketing si sono ridotti del 7%
- **In Italia, nel 2008**
  - 58 studi clinici, 847 centri clinci/universitari, 21.845 pazienti

Innovazione: dalla teoria alla pratica

Le aree di intervento

Focalizzazione delle competenze
(Re-engineering dell'R&D, Biotech, collaborazioni scientifiche)

Migliori tecniche predittive in laboratorio

Medicina personalizzata
(biomarkers e sviluppo di test diagnostici)

Partnership con le Istituzioni
(programmi di appropriatezza)

Farmaci efficaci

Ai pazienti appropriati

A costi sostenibili

Partnership e focalizzazione delle conoscenze

Accordi di collaborazione

Acquisizioni

Partnership

Collaborazioni scientifiche con

Università/ Ospedali

ed

Istituti di Ricerca

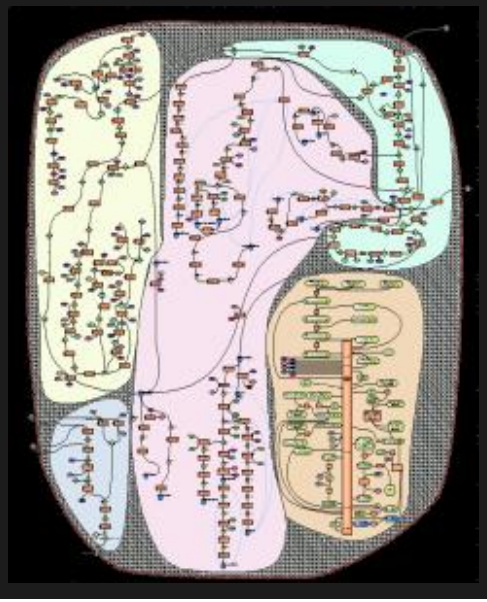
Pipeline R&S

Tecniche predittive in laboratorio

Migliore comprensione dei meccanismi patologici per

- migliorare sicurezza e tollerabilità dei farmaci
- aumentare l'efficacia e i successi nello sviluppo

Meccanismi



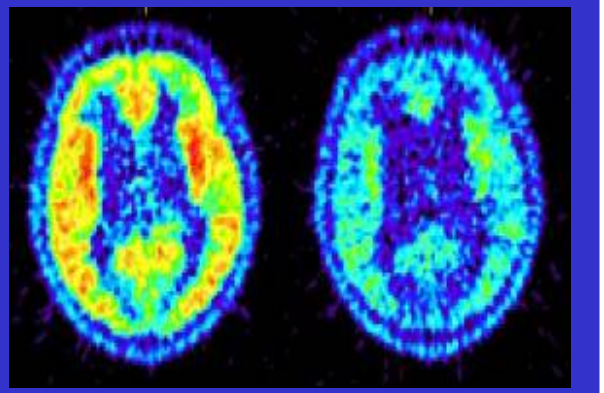
Modelli





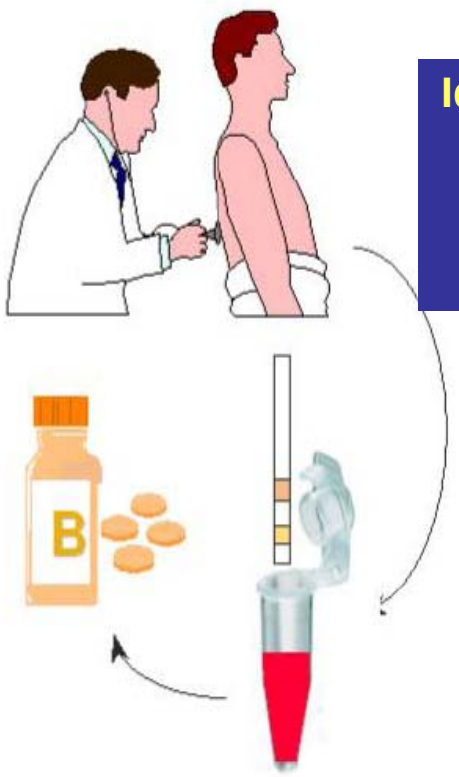
Pazienti

Markers



Le potenzialità della genomica per la ricerca traslazionale

Identificazione di markers prognostici e predittivi (fenotipo tumorale)



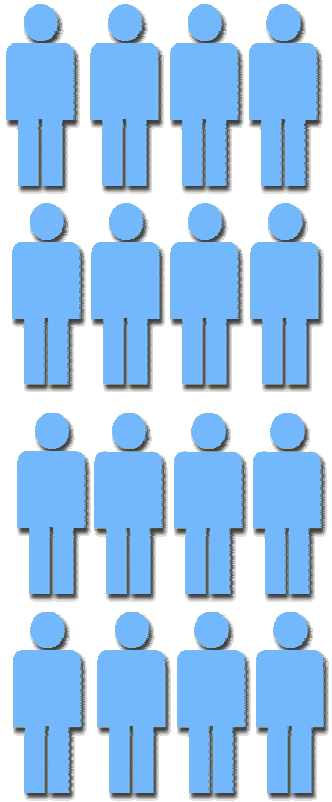
Identificazione di pazienti che avranno un beneficio dalla terapia

Estensione di trattamenti innovativi a pazienti non responders ai trattamenti standard

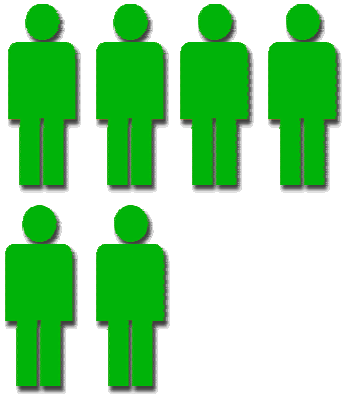
Identificazione di sottopopolazioni di pazienti che rispondono a trattamenti innovativi

Terapie più mirate = più efficaci e più sicure
Risparmio di risorse

Personalised medicine:
“il problema della predittività”

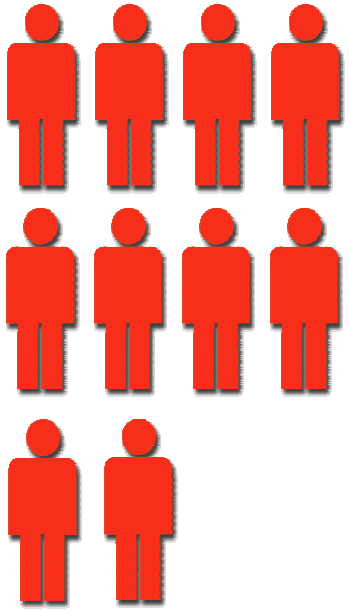


Biomarker positive
likely to benefit
from a particular
treatment



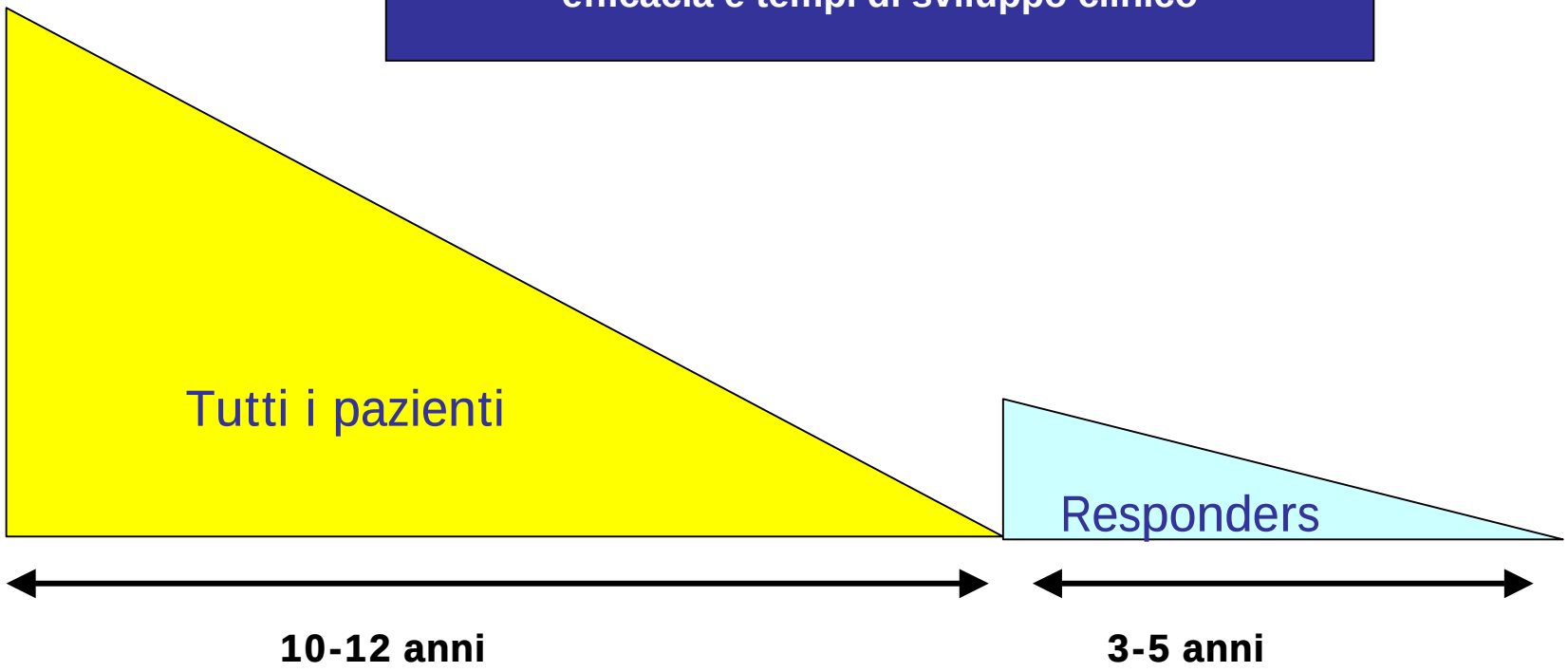
Biomarker negative
unlikely to benefit
from a particular treatment

Offer alternative
therapy



Medicina personalizzata: Tecniche predittive

La farmacogenomica ci aiuta oggi a migliorare efficacia e tempi di sviluppo clinico



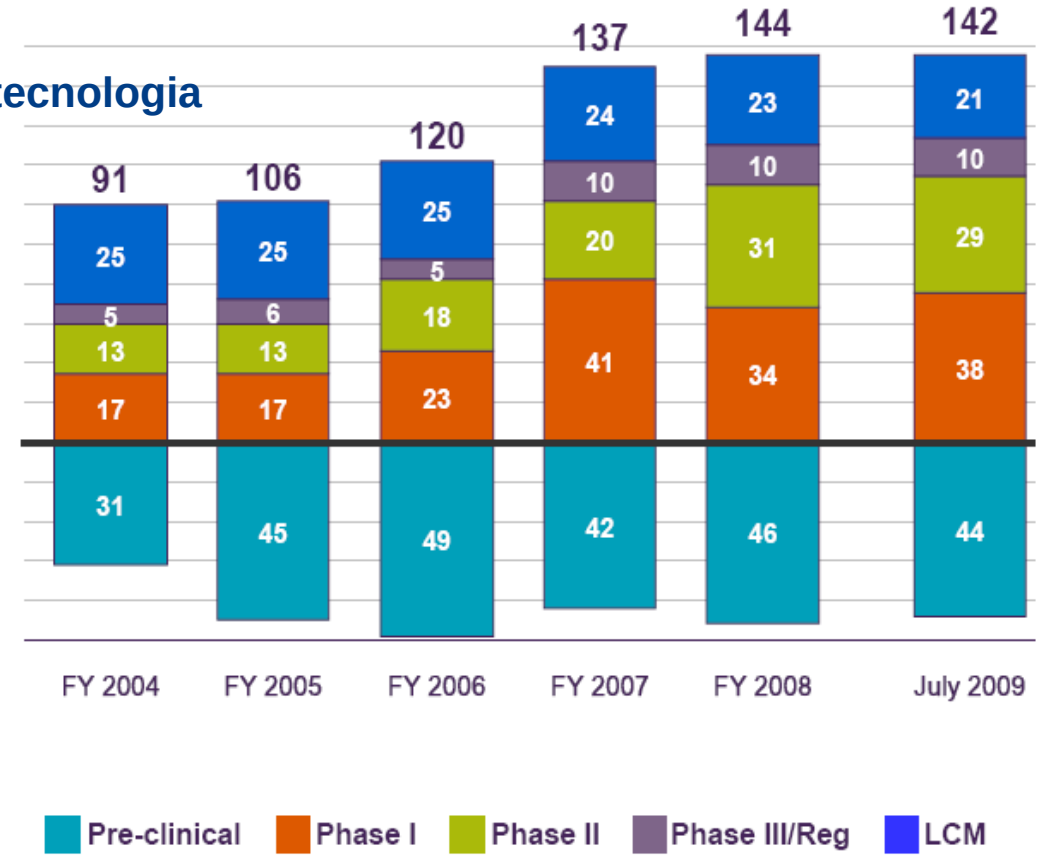
Quintiles Transnational, 2004

I progetti di R&S in corso

- Oltre **140 progetti di ricerca**, di cui 100 in fase sperimentale nell'uomo

- Ricerche in **aree cliniche caratterizzate** da grande bisogno: oncologia, malattie infettive (TBC), LES, depressione, schizofrenia, Parkinsons, Alzheimer, diabete, trombosi….

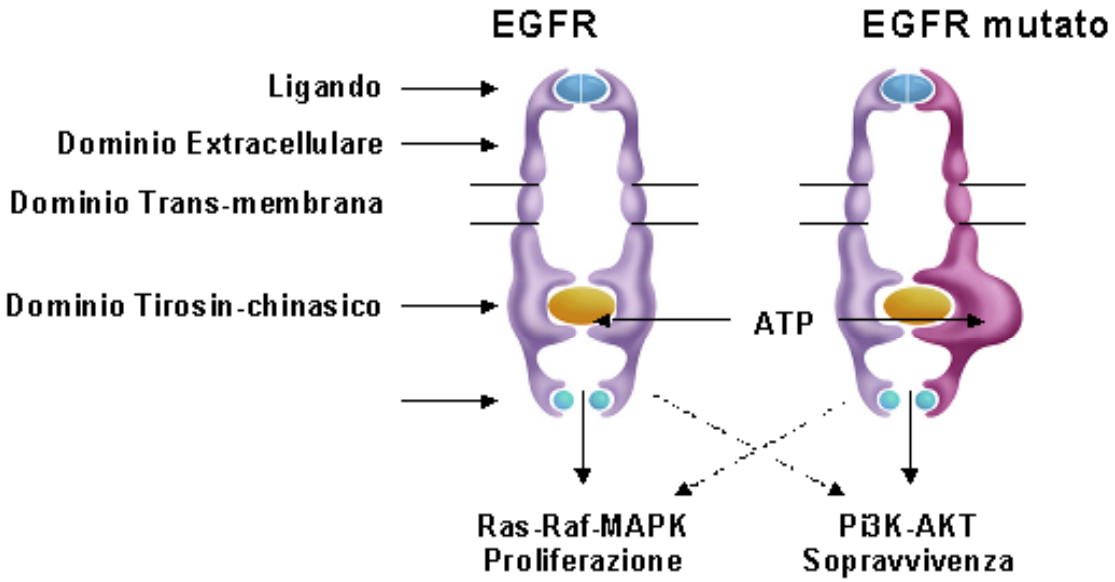
- Il **25% di farmaci di biotecnologia**



Verso una “Medicina Personalizzata”

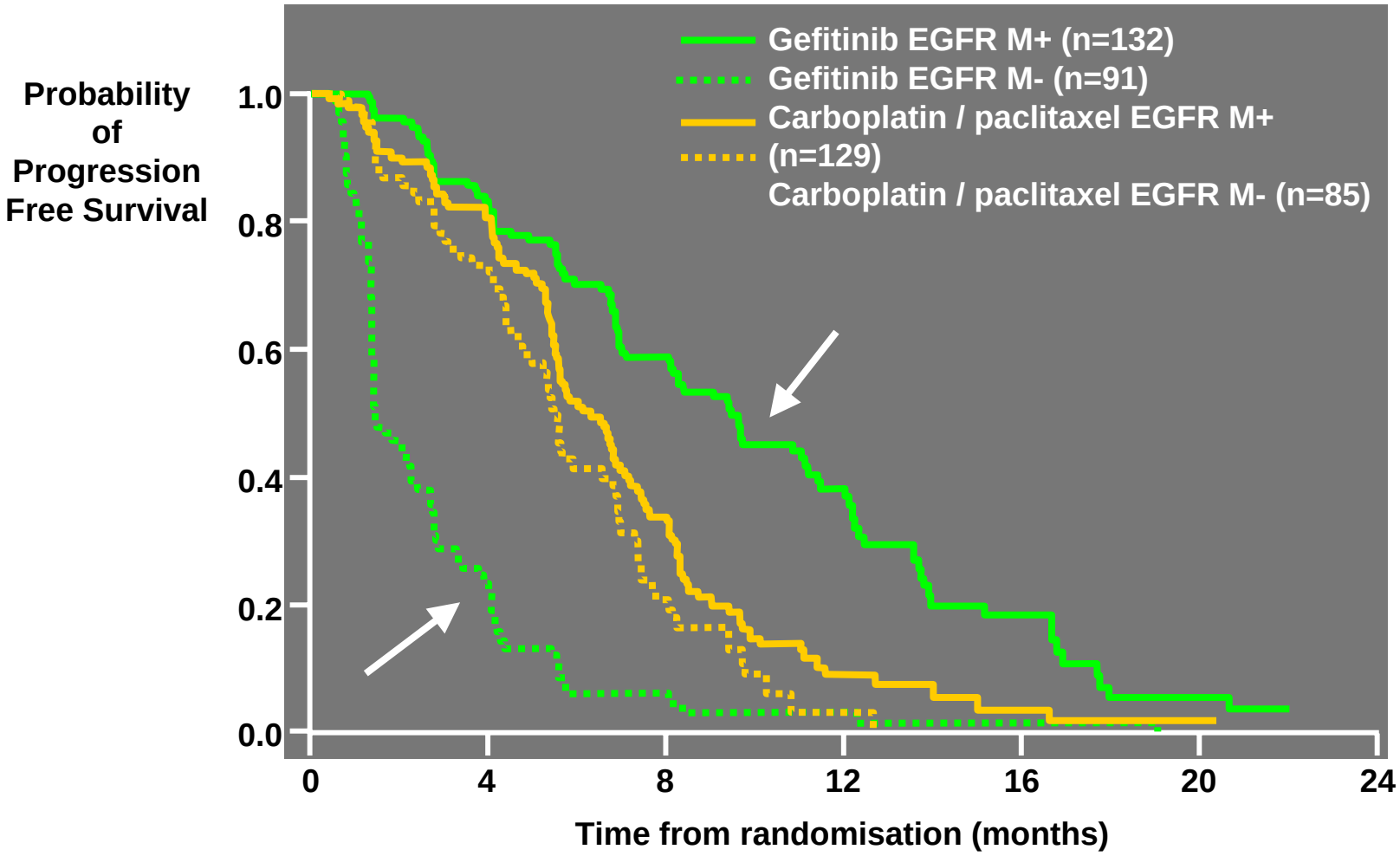
Gefitinib (Iressa®) il primo inibitore della tirosina chinasi dell’EGFR

- **L’EGFR è espresso nel 40-80% dei pazienti con tumori del polmone non a piccole cellule (NSCLC)**
- **Un sottogruppo dei pazienti con NSCLC (5-15%) presenta mutazioni dell’EGFR-TK**



Verso una “Medicina Personalizzata”

Gefitinib (Iressa®): superiore efficacia vs chemioterapia

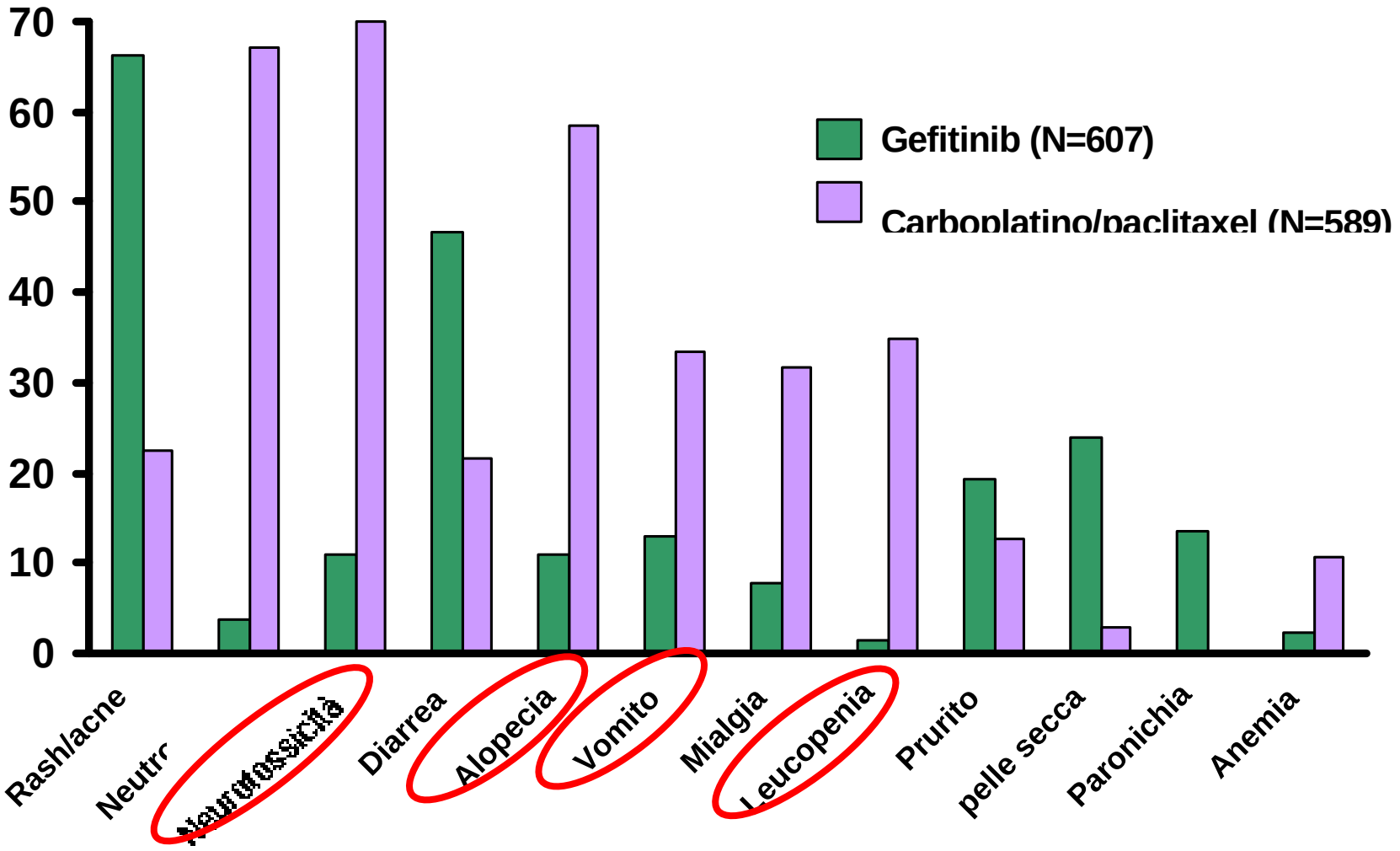


Hazard ratio <1 implies a lower risk of progression in the M+ group than in the M- group

Mok et al NEJM 2009

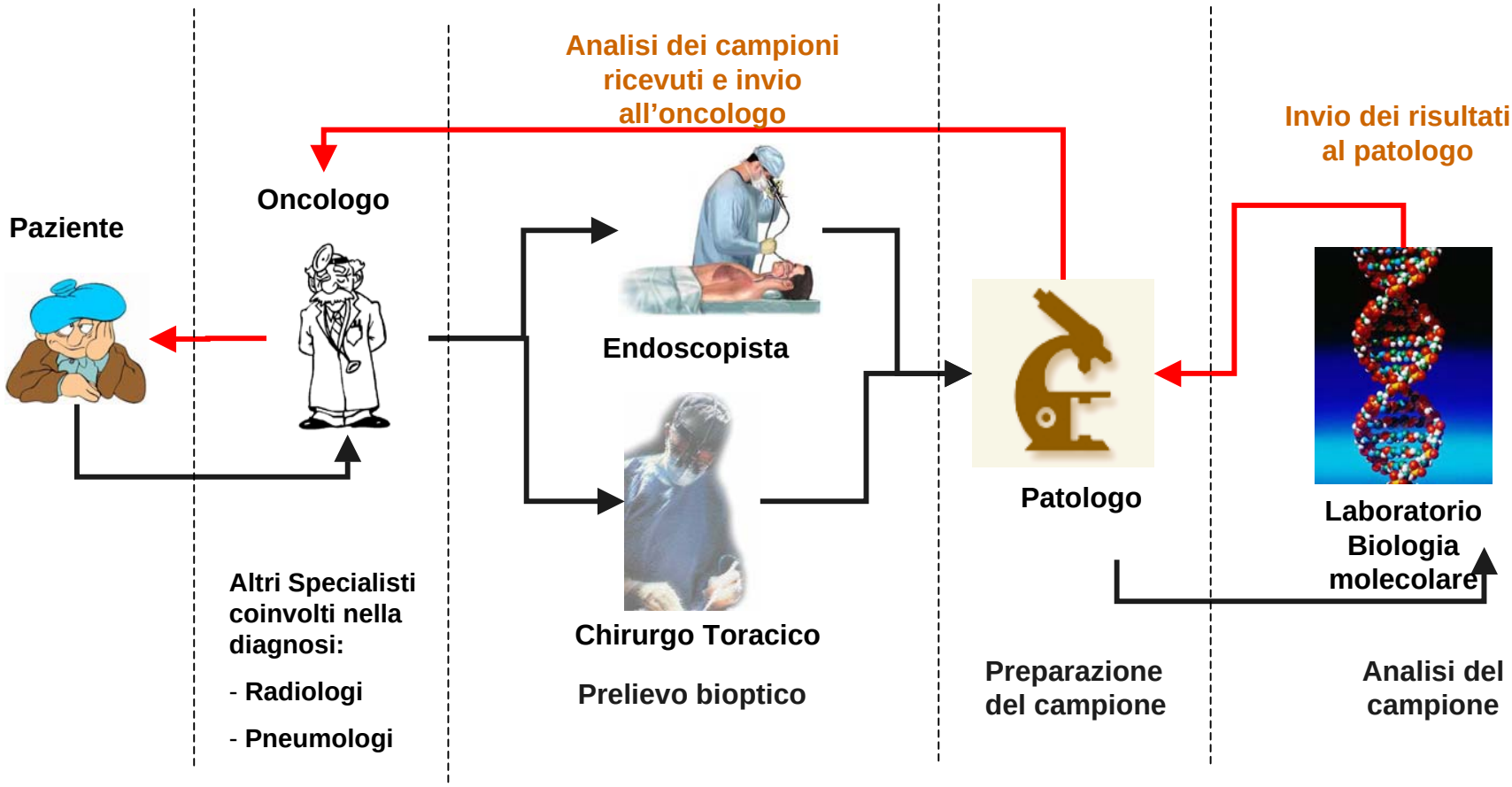
Gefitinib: migliore tollerabilità vs chemioterapia

Studio IPASS, eventi avversi (tutti i pazienti)



Un approccio multidisciplinare

- **Il test per la mutazione dell'EGFR (EGFR M+) è un chiaro criterio molecolare per selezionare i pazienti da trattare con beneficio**

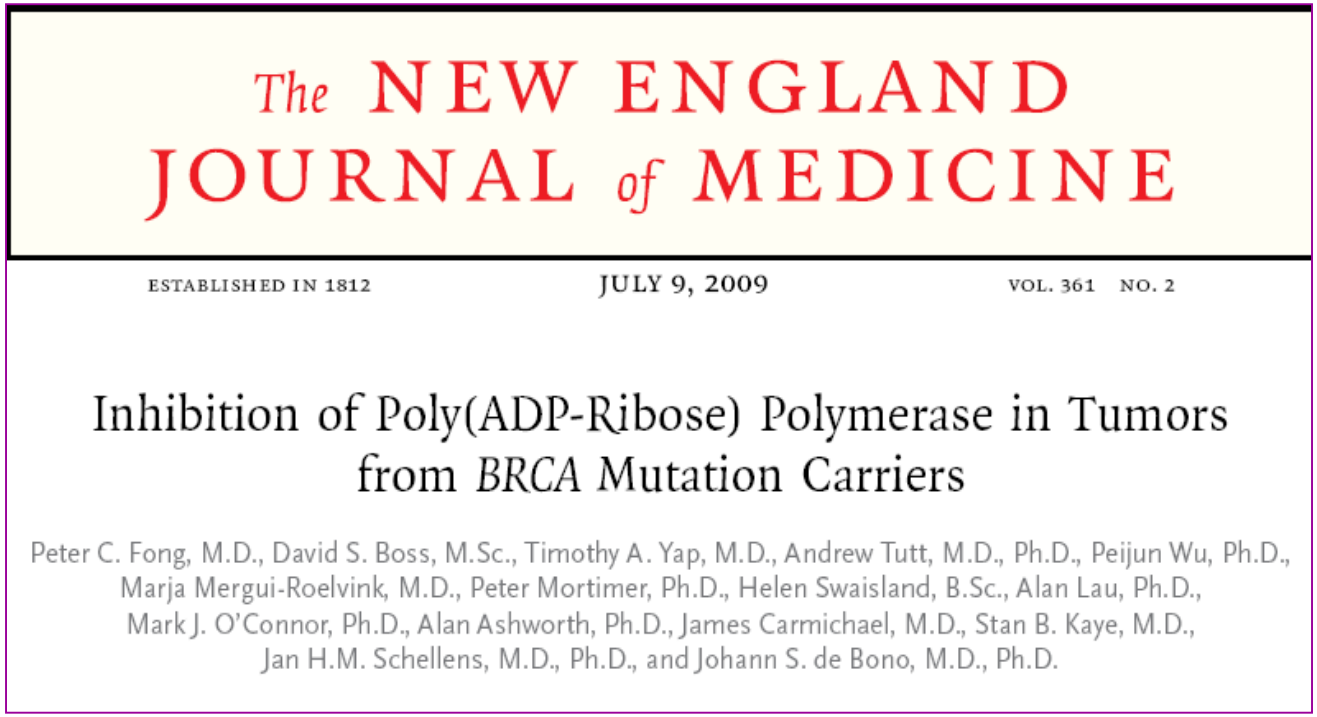


Innovazione in aree di grande bisogno: Orphan Drugs

Zactima: carcinoma midollare della tiroide

Cediranib: glioblastoma recidivante

Olaparib: tumore dell'ovaio



The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

ESTABLISHED IN 1812 JULY 9, 2009 VOL. 361 NO. 2

Inhibition of Poly(ADP-Ribose) Polymerase in Tumors from *BRCA* Mutation Carriers

Peter C. Fong, M.D., David S. Boss, M.Sc., Timothy A. Yap, M.D., Andrew Tutt, M.D., Ph.D., Peijun Wu, Ph.D., Marja Mergui-Roelvink, M.D., Peter Mortimer, Ph.D., Helen Swaisland, B.Sc., Alan Lau, Ph.D., Mark J. O'Connor, Ph.D., Alan Ashworth, Ph.D., James Carmichael, M.D., Stan B. Kaye, M.D., Jan H.M. Schellens, M.D., Ph.D., and Johann S. de Bono, M.D., Ph.D.

Come favorire l'innovazione farmaceutica in Italia? Alcuni spunti di riflessione

Necessità di potenziare la ricerca in Italia:

- **Incentivare la ricerca a livello centrale**
  - BLUPRINT initiative in UK (July 09): **"Innovation Pass"**
- Sfruttare meglio le **eccellenze disponibili** per la ricerca di base e dei biomarkers
- **"Unità di Ricerca"** nell'ambito dei centri clinici ospedalieri/universitari e stretta collaborazione col MMG
  - Potenziare i centri per la **FASE 1**
- Ulteriore snellimento della burocrazia e riduzione dei tempi di approvazione dei protocolli

Metodologia di valutazione dell'innovatività

- **Trasparenza** dei criteri decisionali e del processo di valutazione
- **Riconoscimento precoce dell'innovazione** e accesso facilitato a livello centrale e periferico
- Garantire il diritto dei pazienti: **21 sistemi diversi di accesso?**

Un dialogo più efficace con le Istituzioni:

- Partnership tra Istituzioni, Operatori sanitari, Cittadini e Pharma
  - Gestione delle complessità legate all'innovazione
  - Attuazione di programmi di appropriatezza diagnostico-prescrittiva