Orphan Europe: dedicata alle malattie rare

Dr Roberto Orsenigo, MD
Direttore Generale

Associazione Dossetti, Roma 27 febbraio 2009

Orphan Europe

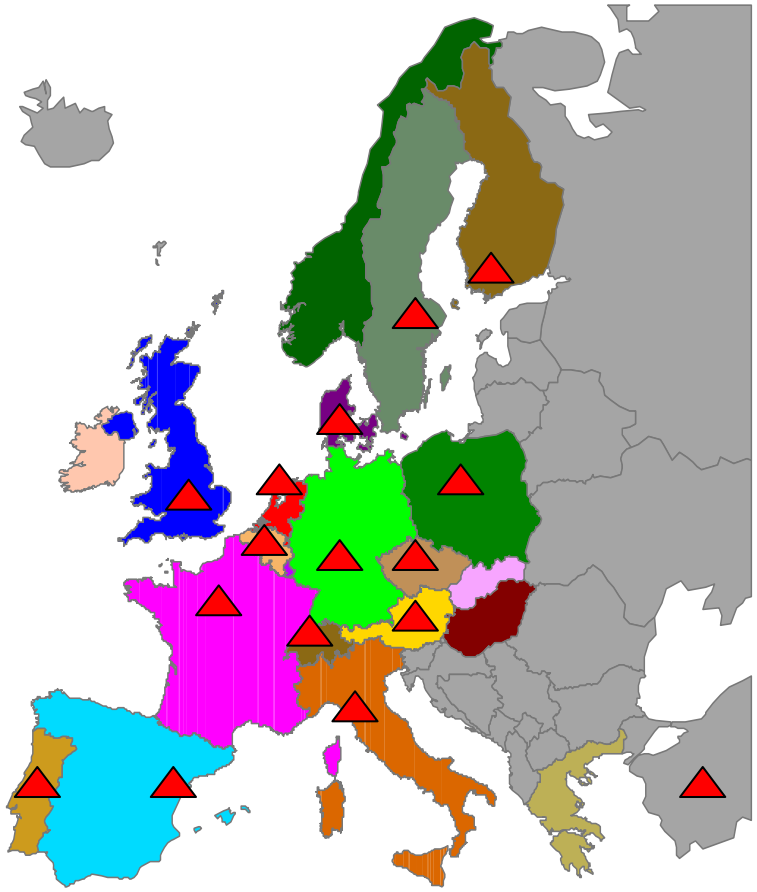
- Azienda farmaceutica attiva dal 1990. Dal dicembre 2007 appartiene al Gruppo Recordati.
- Totalmente dedicata alle malattie rare.
- Fornisce farmaci orfani per il trattamento di 9 malattie rare.



La presenza di Orphan Europe

Francia
Germania
Polonia
Rep. Ceca
Austria
Regno Unito
Spagna
Italia
Portogallo

Belgio
Paesi Bassi
Lussemburgo
Svezia
Danimarca
Finlandia
Svizzera
Emirati Arabi
Turchia



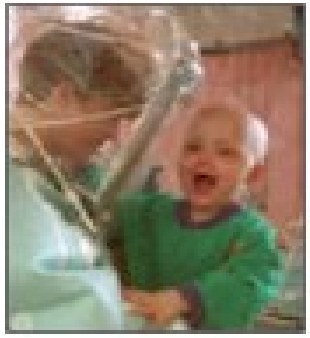
I farmaci disponibili



Cistinosi nefropatica	Cystagon®	Cisteamina bitartrato
Deficit di NAGS	Carbaglu®	Acido carglumico
Omocistinuria	Cystadane®	Betaina anidra
Porfiria acuta intermittente	Normosang®	Emina umana
Deficit di sucrasi isomaltasi	Sucraid®	Sacrosidasi
Malattia di Wilson	Wilzin®	Zinco acetato
Dotto arterioso pervio	Pedea®	Ibuprofene i.v.
Deficienza di SCID-ADA	Adagen	Pegademasi
Colestasi / Fibrosi cistica	Vedrop	Tocofersolan

Le malattie rare

Dotto arterioso pervio	6-9/10.000
Fibrosi cistica	1-5/10.000
Porfiria acuta intermittente	1-5/10.000
Malattia di Wilson	1-9/100.000
Cistinosi nefropatica	1-9/1.000.000
Omocistinuria	1-9/1.000.000
Deficienza di SCID-ADA	1-9/1.000.000
Deficit di NAGS	Eccezionale
Deficit di sucrasi-isomaltasi	Ignota



Dati Orphanet

Popolazione residente gennaio 2007: 59,1 milioni

ORPHAN EUROPE

RECORDATI GROUP

La nostra missione

Fornire ai pazienti, agli operatori sanitari e alle aziende farmaceutiche un network globale specializzato nello sviluppo, nella registrazione, nella commercializzazione e distribuzione di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare.

Cos'è un farmaco?

Una sostanza che può essere utilizzata sull'uomo o somministrata all'uomo allo scopo di ripristinare, correggere o modificare funzioni fisiologiche, esercitando un'azione farmacologica, immunologica o metabolica, ovvero di stabilire una diagnosi medica

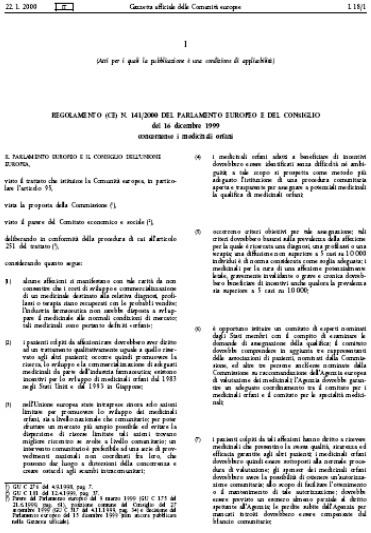
(mod. da DL 219 del 24 aprile 2006).



Cos'è un farmaco orfano?

I **farmaci orfani** sono destinati alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione rara (<1:2.000) che comporta una minaccia per la vita o una debilitazione cronica.

I **farmaci orfani** sono quelli che l'industria farmaceutica ha scarso interesse a sviluppare e commercializzare perche è poco probabile che in mancanza di incentivi la commercializzazione di tali medicinali sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario.



22.1.2000 IT Gazzetta ufficiale delle Comunità europee L 18/1

I

(Atti per i quali la pubblicazione è una condizione di applicabilità)

REGOLAMENTO (CE) N. 141/2000 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO
del 16 dicembre 1999
concernente i medicinali orfani

IL PARLAMENTO EUROPEO E IL CONSIGLIO DELL'UNIONE EUROPEA,

visto il trattato che istituisce la Comunità europea, in particolare l'articolo 95,

vista la proposta della Commissione (1),

visto il parere del Comitato economico e sociale (2),

deliberando in conformità della procedura di cui all'articolo 251 del trattato (3),

considerando quanto segue:

(1) alcune affezioni al manifestarsi con tale rarità da non consentire che i costi di sviluppo e commercializzazione di un medicinale destinato alla relativa diagnosi, profilassi o terapia siano recuperati con le probabili vendite; l'industria farmaceutica non sarebbe disposta a sviluppare il medicinale alle normali condizioni di mercato; tali medicinali sono pertanto definiti «orfani»;

(2) i pazienti colpiti da affezioni rare dovrebbero aver diritto ad un trattamento qualitativamente uguale a quello riservato agli altri pazienti; occorre quindi promuovere la ricerca, lo sviluppo e la commercializzazione di tali farmaci medicinali da parte dell'industria farmaceutica; esistono incentivi per lo sviluppo di medicinali orfani dal 1983 negli Stati Uniti e dal 1993 in Giappone;

(3) nell'Unione europea sono integrate alcune sole azioni limitate per promuovere lo sviluppo dei medicinali orfani, ma a livello nazionale che comunitario per poter disporre un mercato più ampio possibile ed evitare la dispersione di risorse limitate tali azioni trovano miglior riscontro se svolte a livello comunitario; un intervento comunitario è giustificato ad una serie di provvedimenti nazionali non coordinati fra loro, che possono dar luogo a distorsioni della concorrenza e creare ostacoli agli scambi intracomunitari;

(4) i medicinali orfani aderti a beneficiare di incentivi dovrebbero essere identificati senza difficoltà ai medicinali per i quali è richiesta una diagnosi, una profilassi o una terapia una diffusione non superiore a 5 casi su 10 000 individui o di norma considerata come soglia adeguata i medicinali per la cura di una affezione potenzialmente letale, gravemente invalidante o grave e cronica dovrebbero beneficiare di incentivi anche qualora la prevalenza sia superiore a 5 casi su 10 000;

(5) occorrono criteri obiettivi per tale assegnazione; tali criteri dovrebbero basarsi sulla prevalenza della affezione per la quale è richiesta una diagnosi, una profilassi o una terapia una diffusione non superiore a 5 casi su 10 000 individui o di norma considerata come soglia adeguata i medicinali per la cura di una affezione potenzialmente letale, gravemente invalidante o grave e cronica dovrebbero beneficiare di incentivi anche qualora la prevalenza sia superiore a 5 casi su 10 000;

(6) è opportuno istituire un comitato di esperti nominati dagli Stati membri con il compito di esaminare le domande di assegnazione della qualifica; il comitato dovrebbe comprendere in aggiunta tre rappresentanti delle associazioni di pazienti, nominati dalla Commissione, ed altre tre persone ancheste nominate dalla Commissione su raccomandazione dell'Agenzia europea di valutazione dei medicinali (l'Agenzia dovrebbe garantire un adeguato coordinamento tra il comitato per i medicinali orfani e il comitato per le specialità medicinali;

(7) i pazienti colpiti da tali affezioni hanno diritto a ricevere medicinali che presentino la stessa qualità, sicurezza ed efficacia garantite agli altri pazienti; i medicinali orfani dovrebbero quindi essere sottoposti alla normale procedura di valutazione; gli sponsor dei medicinali orfani dovrebbero avere la possibilità di ottenere un'autorizzazione comunitaria allo scopo di facilitare l'investimento e il mantenimento di tale autorizzazione; dovrebbe essere previsto un esonero almeno parziale di diritto spettante all'Agenzia; le perdite subite dall'Agenzia per esonerati invece dovrebbero essere compensate dal bilancio comunitario;

(1) GU C 337 del 4.11.1998, pag. 7.
(2) GU C 169 del 17.6.1999, pag. 32.
(3) Parere del Parlamento europeo del 9 marzo 1999 (GU C 175 del 21.6.1999, pag. 34), posizione comune del Consiglio del 27 settembre 1999 (GU C 317 del 4.11.1999, pag. 54) e decisione del Parlamento europeo del 15 dicembre 1999 (non ancora pubblicata nella Gazzetta ufficiale).

Cos'è un farmaco orfano?

Esclusività di mercato

Per un periodo di 10 anni dopo la concessione dell'AIC prodotti simili direttamente competitivi non possono essere immessi sul mercato.

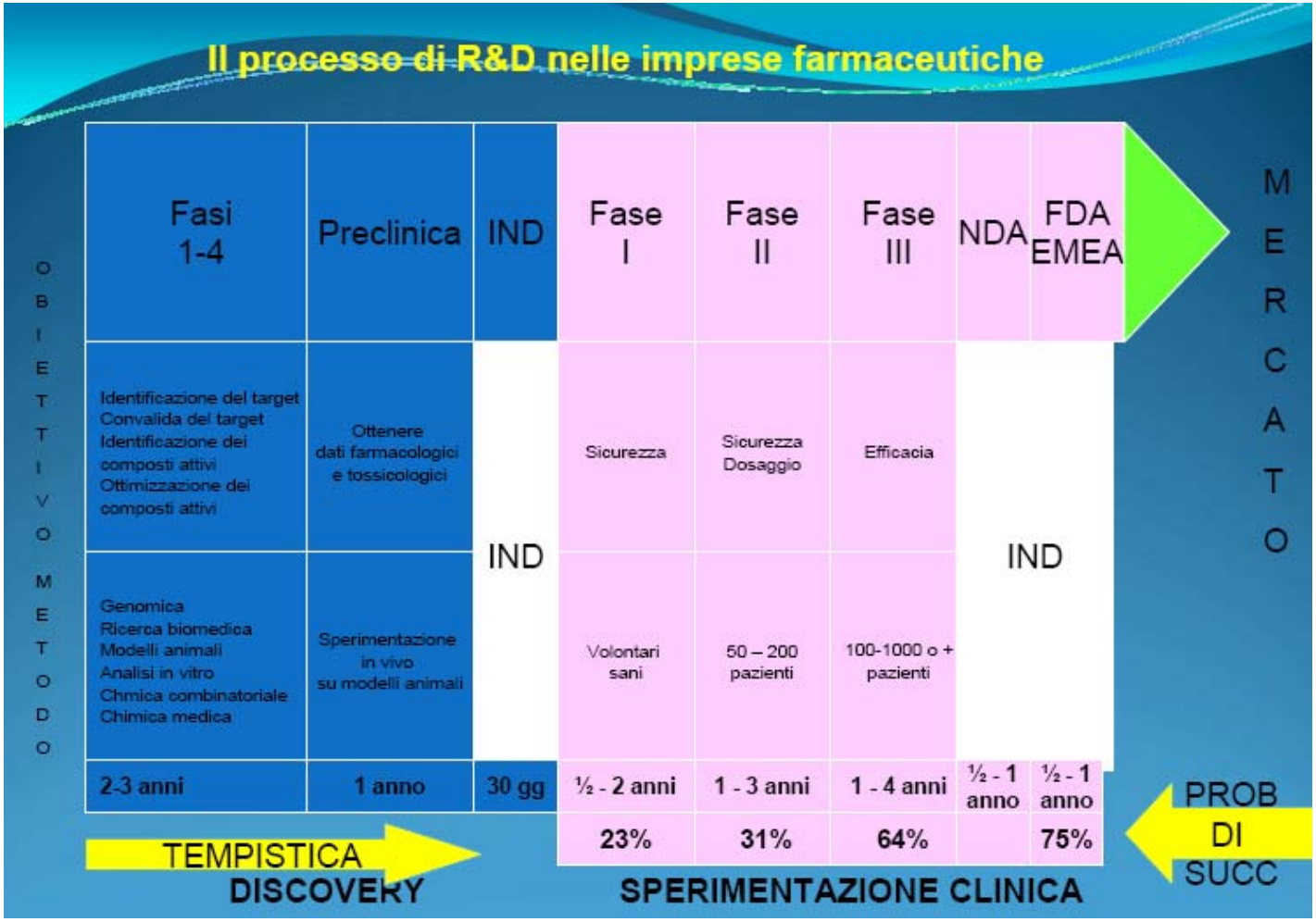
Riduzione dei costi di registrazione

I costi di registrazione sono ridotti per la registrazione tramite procedura centralizzata.

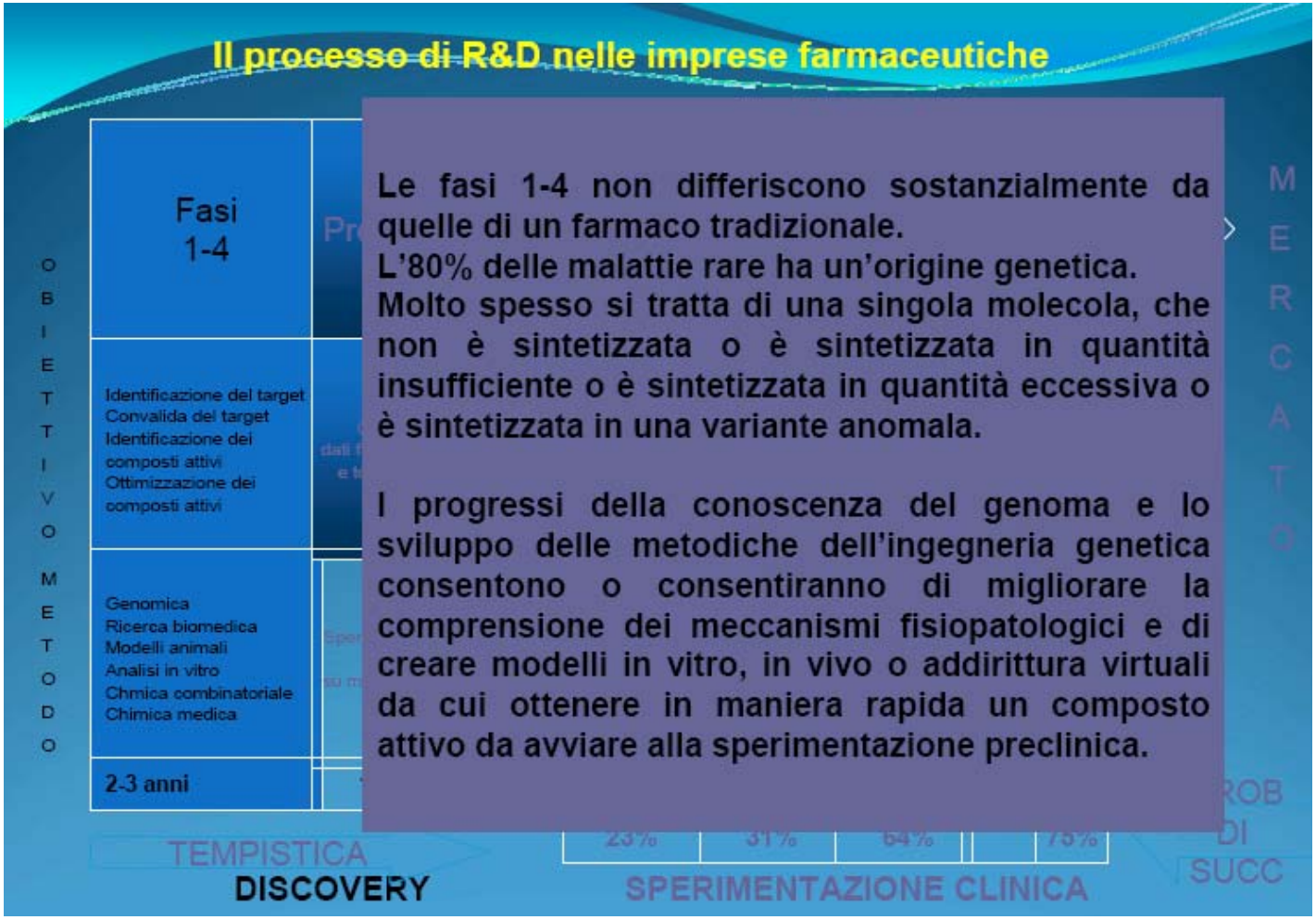
Assistenza al protocollo

Dopo aver ottenuto la designazione di farmaco orfano è possibile avere consulenza gratuita per lo sviluppo clinico del farmaco.

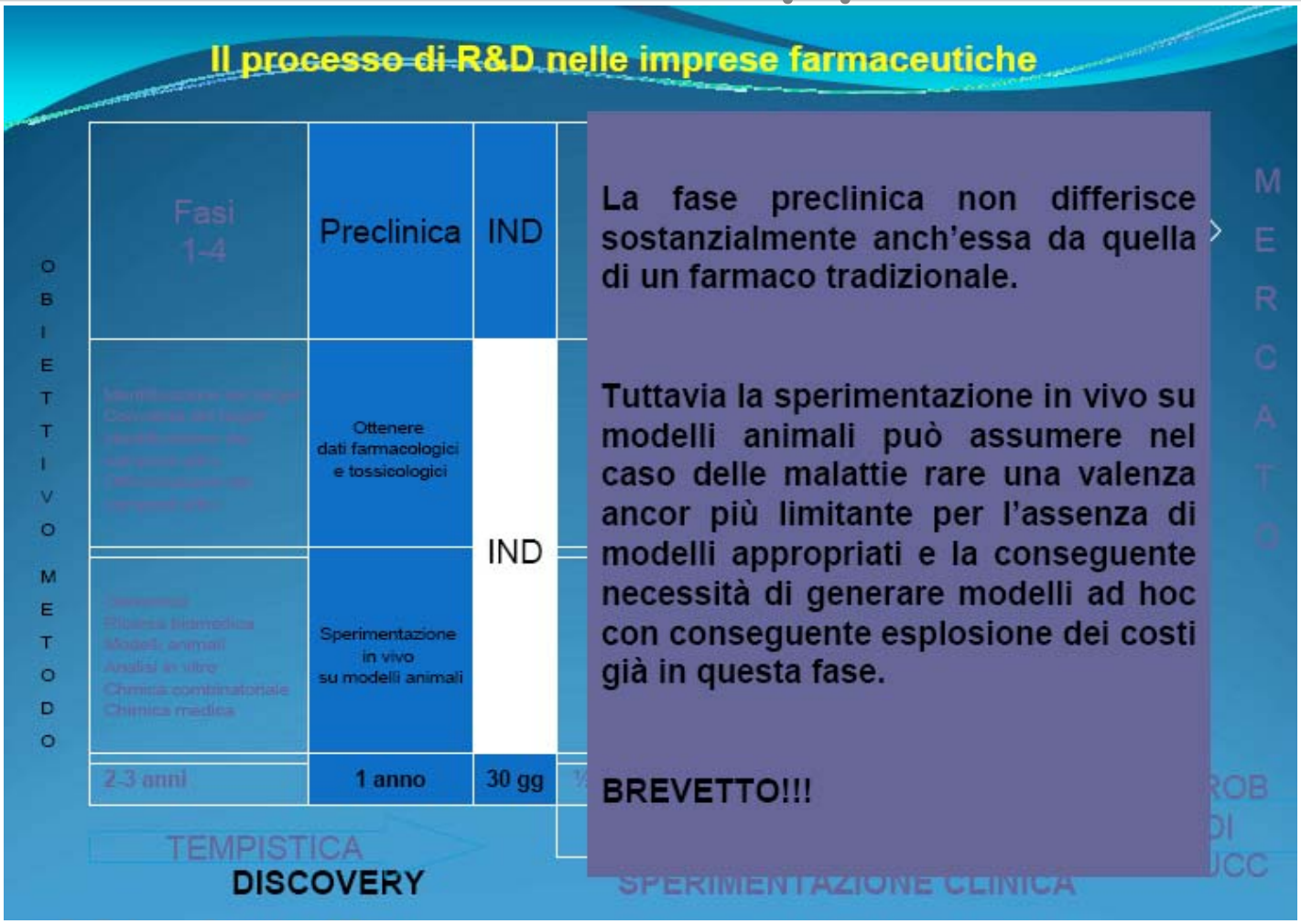
La ricerca e lo sviluppo



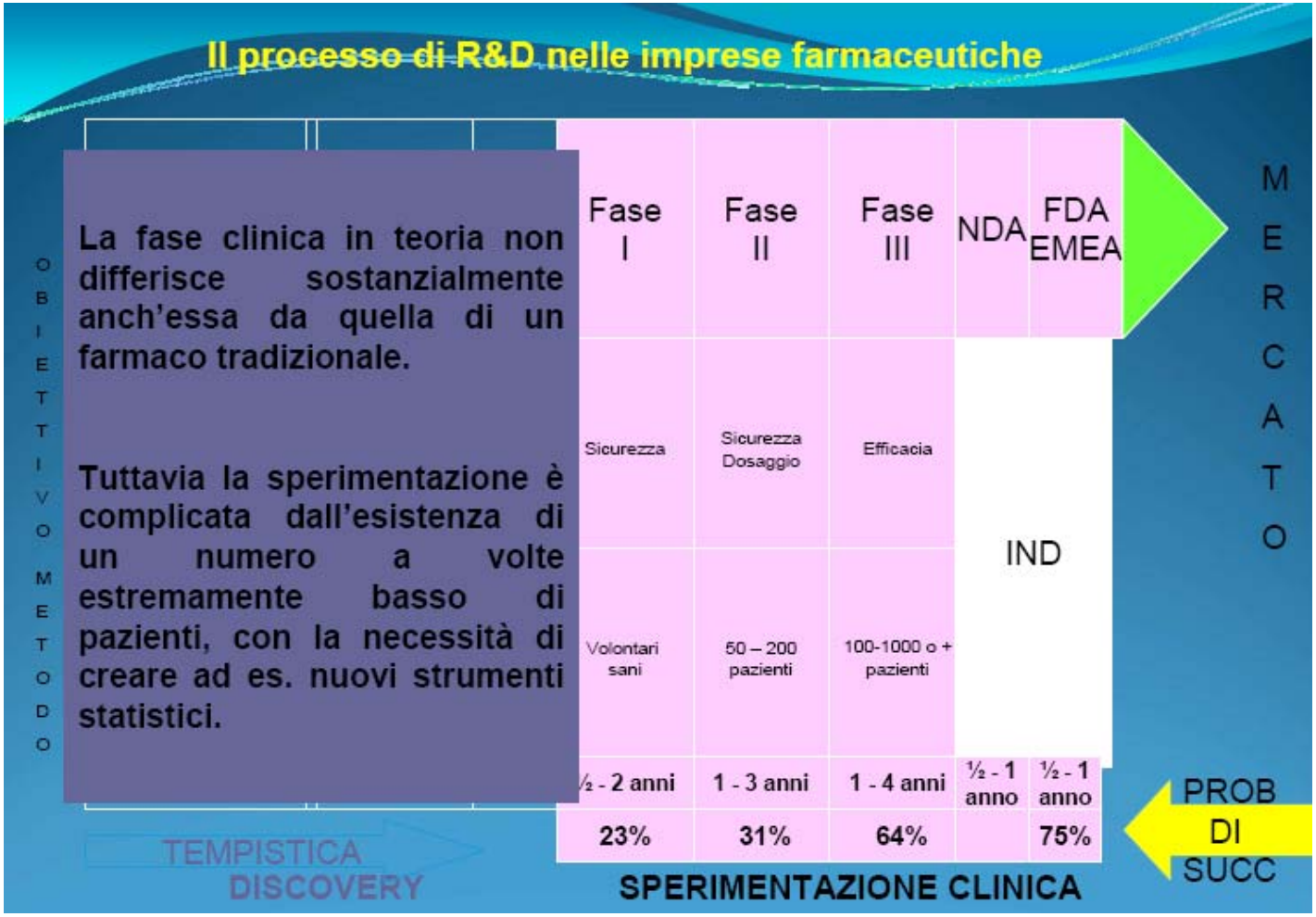
La ricerca e lo sviluppo



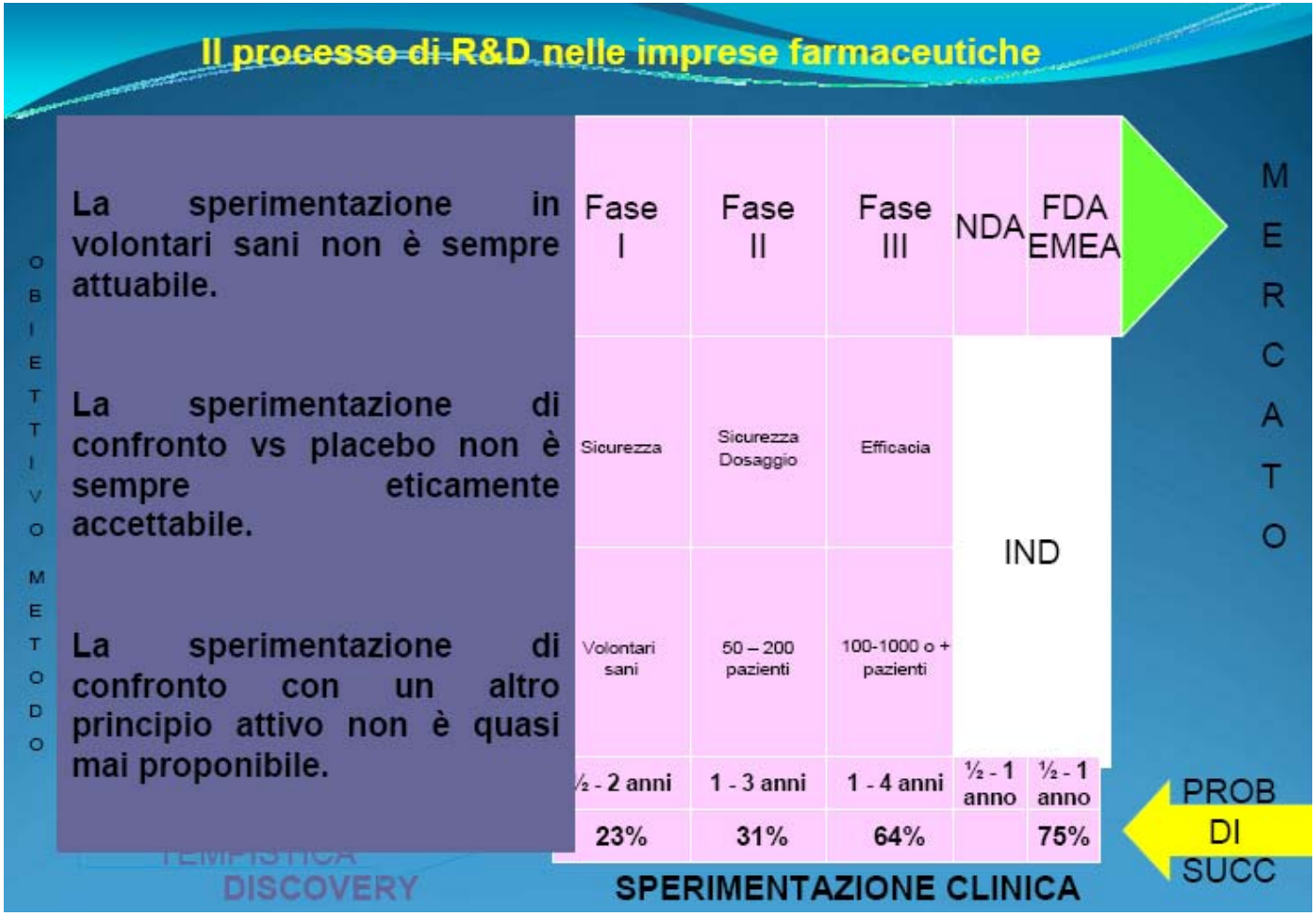
La ricerca e lo sviluppo



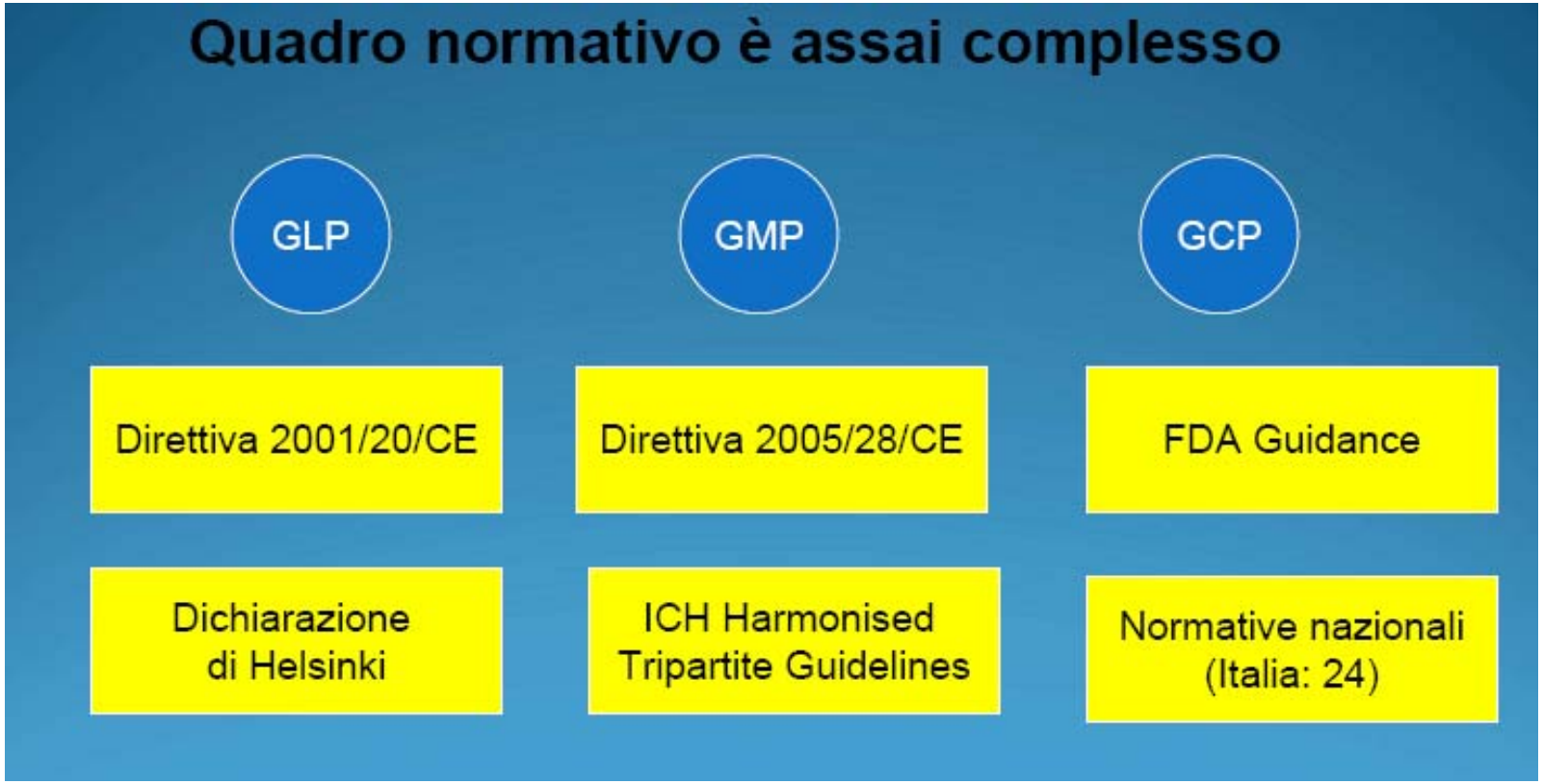
La ricerca e lo sviluppo



La ricerca e lo sviluppo



La ricerca e lo sviluppo



La ricerca e lo sviluppo

Regolamento EU 1394/2007

- ✓ Terapia genica
- ✓ Terapia cellulare somatica
- ✓ Ingegneria tessutale



Regolamento EU 1901/2006

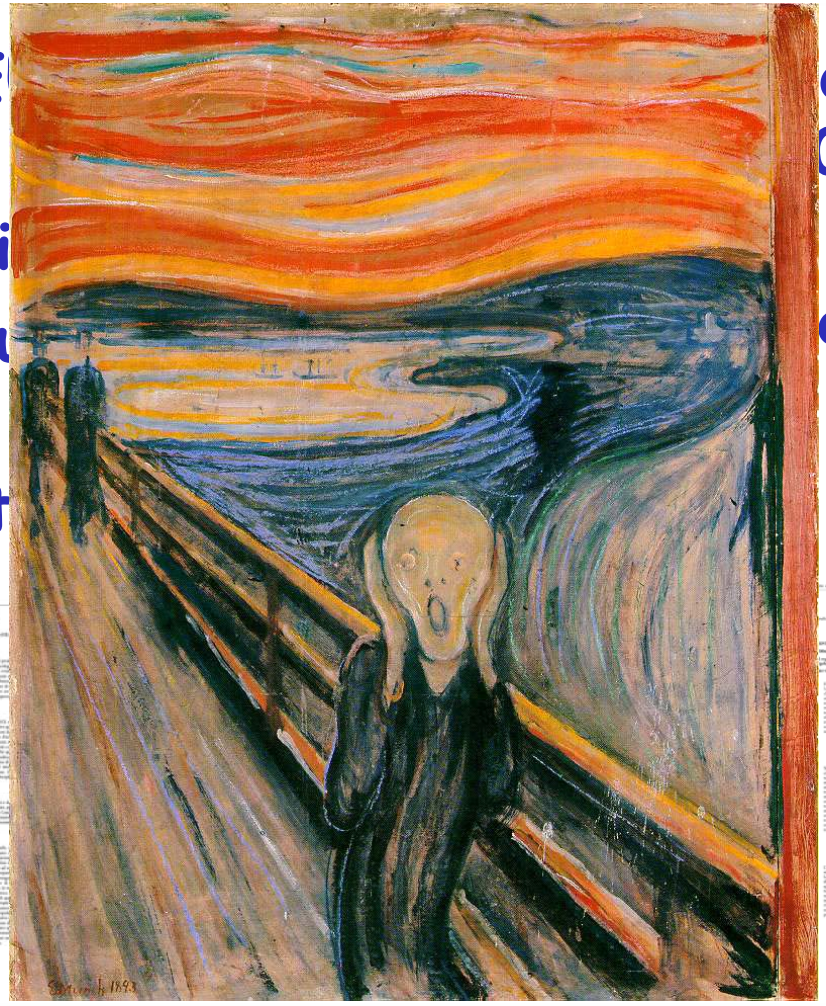
- ✓ Farmaco ad uso pediatrico



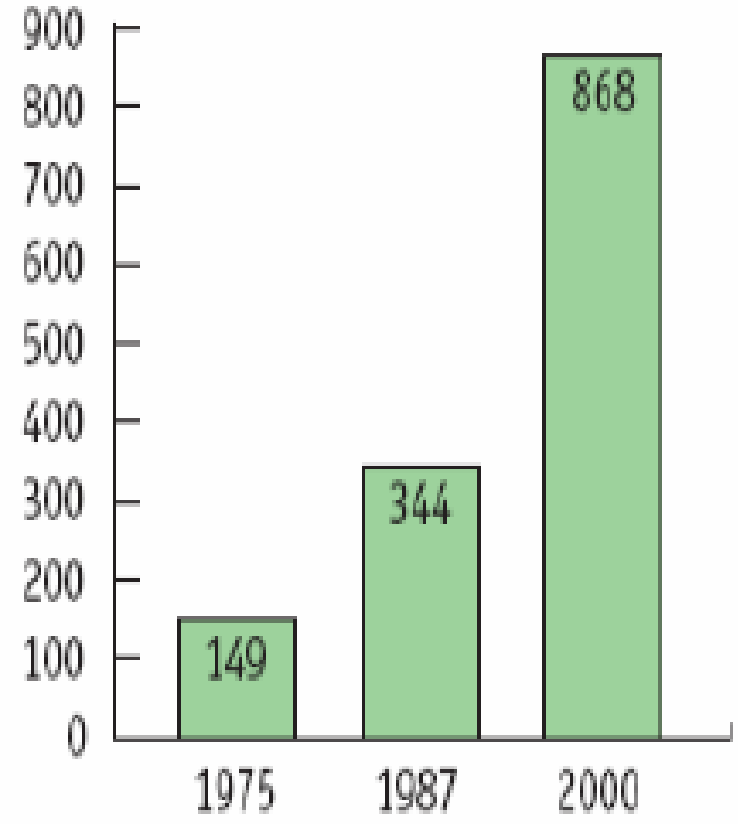
La ricerca e lo sviluppo

Regolamento E **o EU 1394/2007** **06**

- ✓ **Terapia geni** **ad uso**
- ✓ **Terapia cellu** **o somatica**
- ✓ **Ingegneria t**



La ricerca e lo sviluppo







DiMasi JA et al. J Health Econom 2003 (22): 151-185

La registrazione e l'accesso

Centralizzata europea

Prezzo e rimborsabilità

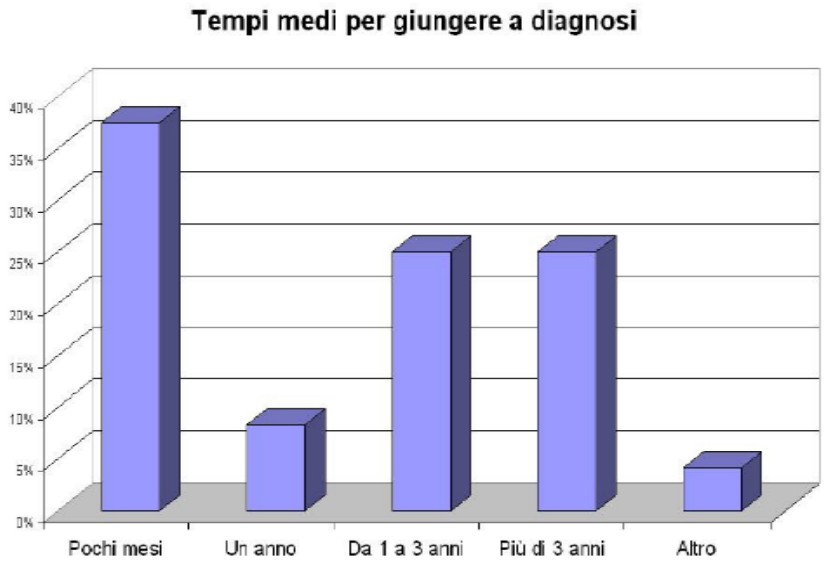
Prontuari regionali, provinciali, di area vasta, ospedalieri ..

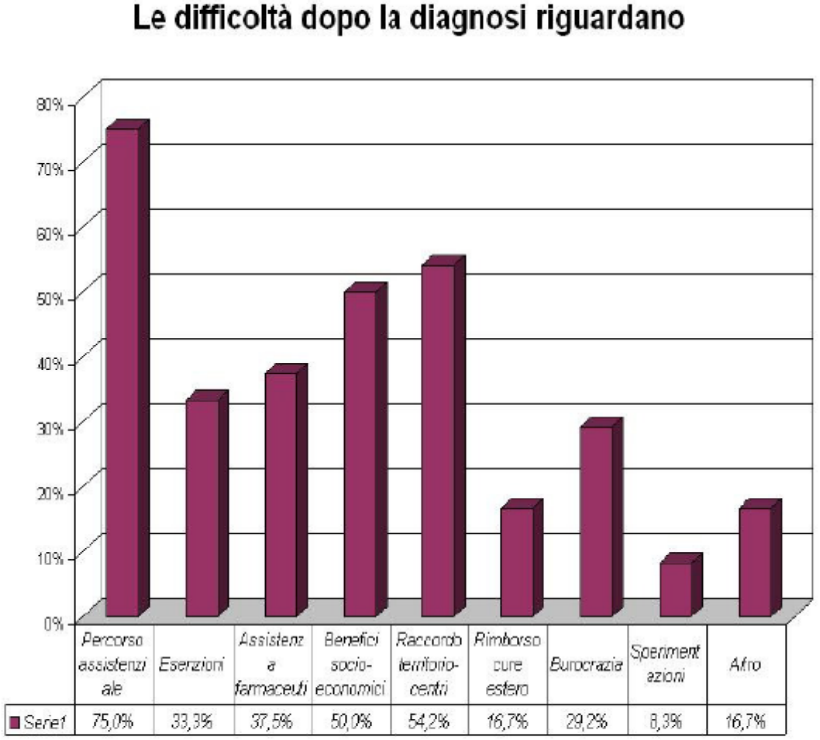


La registrazione e l'accesso

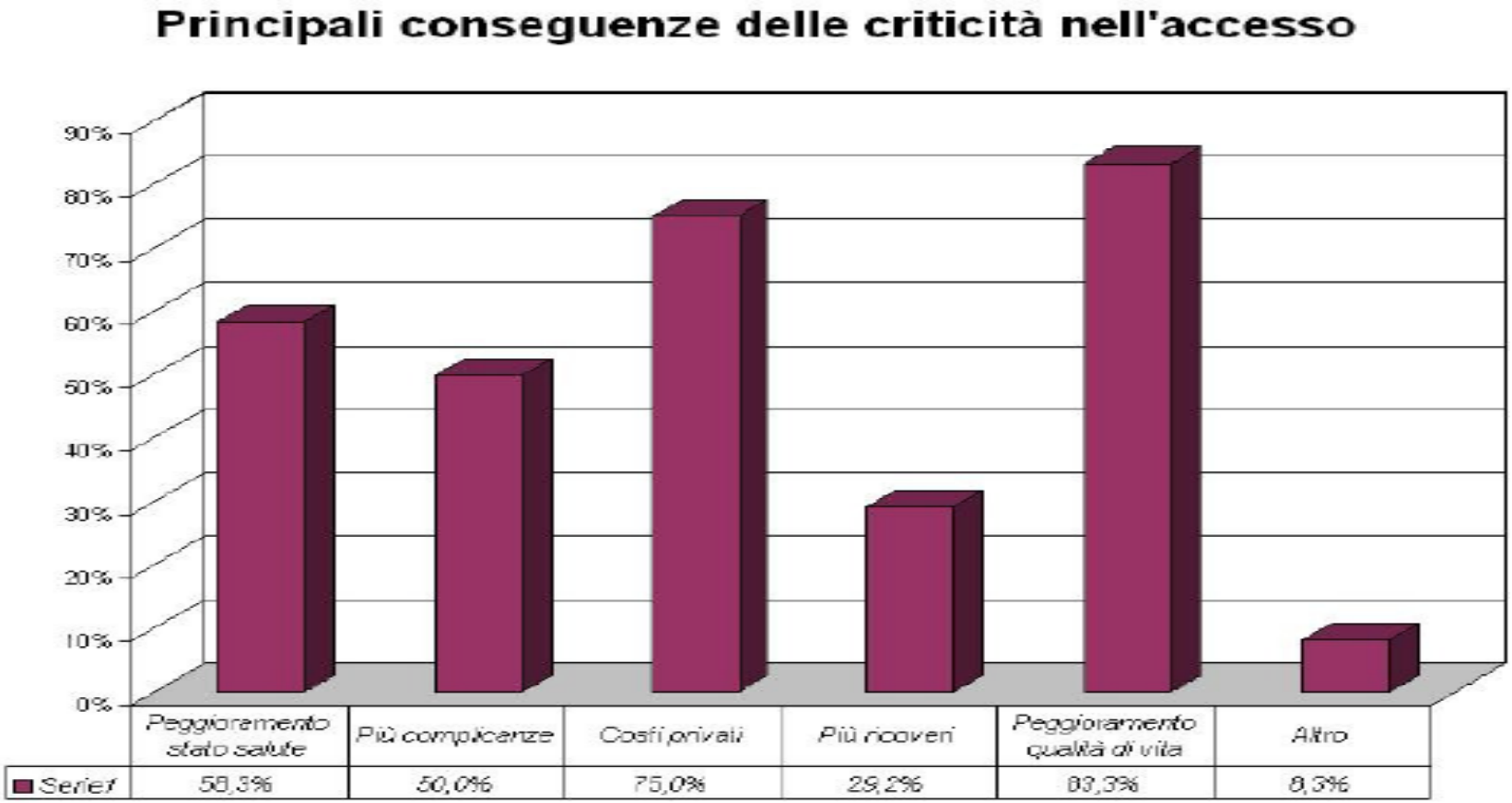


La registrazione e l'accesso

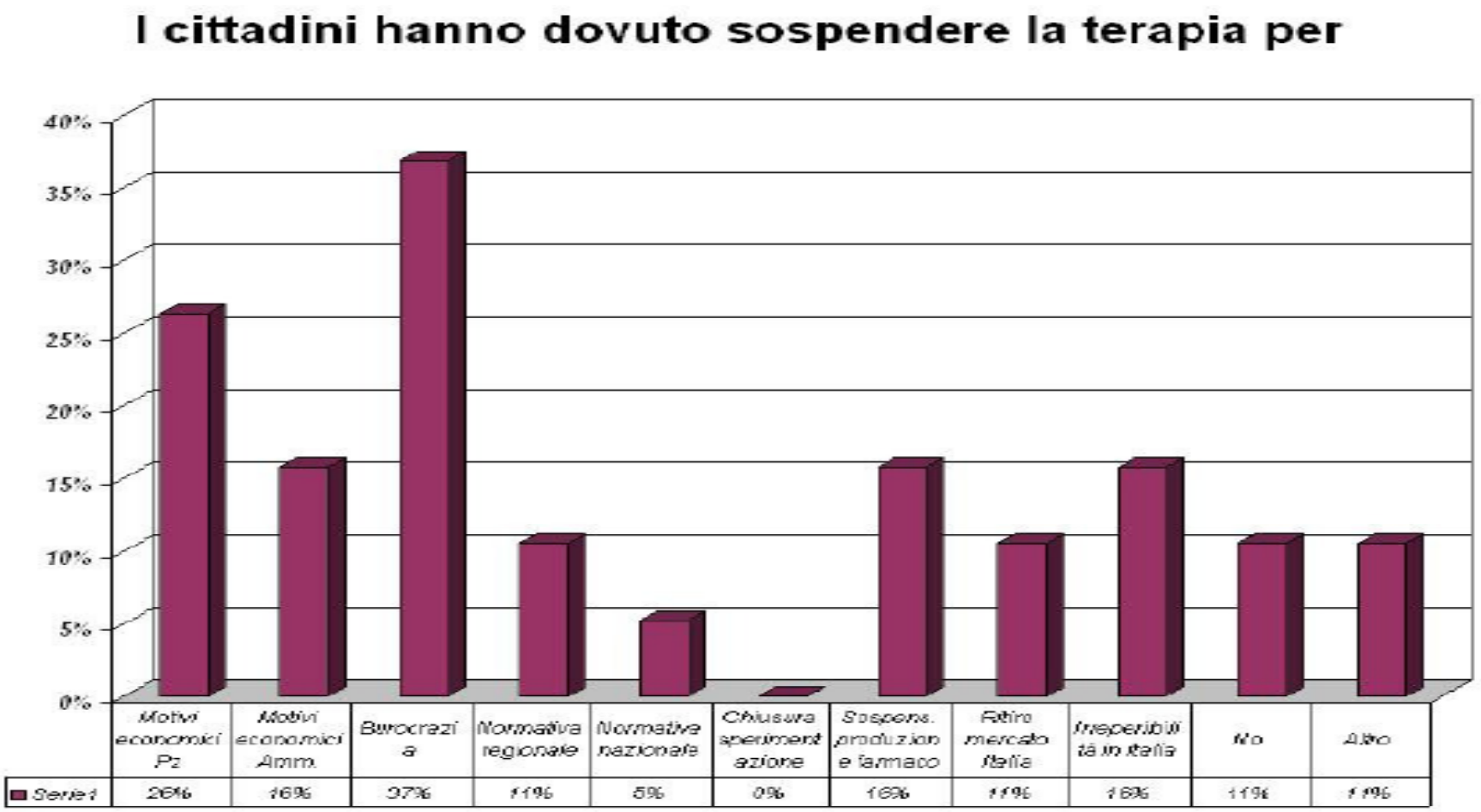




La registrazione e l'accesso



La registrazione e l'accesso



Farmacovigilanza



La produzione e la distribuzione

- Identici requisiti di qualità dei farmaci non orfani.
- Standard GMP.
- Confezionamento innovativo (21 lingue!).
- 250 lotti all'anno.
- Ricevimento e conservazione in temperatura ambiente, al freddo o in refrigeratore.

- Distribuzione diretta agli ospedali.
- 14.000 spedizioni all'anno.
- Tracciabilità e follow-up.
- Distribuzione in tutto il mondo.
- Consegna in emergenza.



L'educazione è fondamentale!

- Il contributo di Orphan Europe:
  - Orphan Europe Academy
  - Eurowilson
  - European Porphyria Initiative
  - Euroglycanet

  ....









La consapevolezza

Un farmaco orfano non è un farmaco "abbandonato".

Una malattia rara non è un fenomeno "isolato".



La salute è un diritto universale

ma forse è meglio che divenga

"il primo dovere della vita".

Grazie per l'attenzione!

Roberto Orsenigo

Wally Albini

Roberto Cinquini

Massimiliano Coppola

Caterina Donella

Paola Filippi

Salvatore Funiciello

Cristiana Giani

Giuseppe P.V. Sorace

