

FARMACI INNOVATIVI

Qualità **E**fficacia **A**ppropriatezza

Roma, 26 giugno 2008

Riccardo Palmisano
Amministratore Delegato & G.M.
Genzyme S.r.l.

genzyme

Farmaci Innovativi



Il punto di vista dell'industria di Ricerca Biotecnologica

- **Qualità**
- **Efficacia**
- **Appropriatezza**

…*ma non solo*,

a garanzia dell'universalità delle cure sul territorio nazionale

Qualità: la produzione industriale di proteine da colture cellulari prevede standard di qualità elevatissimi, ma anche costi e tempi rilevanti





Coltura
di partenza





Bioreattori di produzione





Controlli di qualità



Prodotto finale

Efficacia: anche l'industria di ricerca deve raccogliere le sue sfide



La Ricerca non può continuare a sviluppare "Me too drugs", registrandoli con studi clinici di non inferiorità!



Goddard Cartoon ©PharmaVentures; all rights reserved

Efficacia: la sfida sono gli “unmet clinical needs” e le terapie personalizzate, ma questo aumenta i costi e tempi della ricerca



- I costi di R&D di un farmaco biotech per Malattie Rare sono comparabili a quelli di un farmaco che si rivolge a decine di milioni di pazienti nel mondo (600 mio$)



- Per ogni farmaco che ottiene l’autorizzazione all’immissione in commercio occorrono 8-10 anni di lavoro

- Gli investimenti per lo scale up produttivo sono sensibilmente più alti rispetto a quelli necessari per la tradizionale produzione chimico-farmaceutica



Efficacia: i costi di sviluppo non terminano con l'autorizzazione all'immissione in commercio dell'Emea



Un caso:

- Dopo quasi dieci anni di ricerche, il 5 agosto 2001 Genzyme ottiene dall'EMEA l'AIC in "circostanze eccezionali" del farmaco orfano Fabrazyme (agalsidasi beta), prima terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine nei pazienti con diagnosi confermata di malattia di Anderson-Fabry

- L 'autorizzazione in "circostanze eccezionali" è accordata dall' EMEA per i farmaci orfani per i quali l'efficacia, a causa della rarità della patologia, della sua gravità e delle limitate conoscenze scientifiche, è stata valutata in tempi più brevi e su una casistica più limitata di quanto di solito non venga richiesto

- Tali "circostanze" impegnano al momento della registrazione la casa farmaceutica ad una revisione annuale dei risultati clinici, fino a quando non vengano forniti ulteriori dati riguardanti differenti regimi posologici, dosi di mantenimento, risultati a 5 anni di terapia, studi sui bambini e studi di sicurezza a lungo termine del farmaco

- Nel febbraio 2008, l'Emea ha rimosso la dicitura "autorizzato in circostanze eccezionali", concedendo la piena autorizzazione alla commercializzazione di Fabrazyme nell'Unione Europea

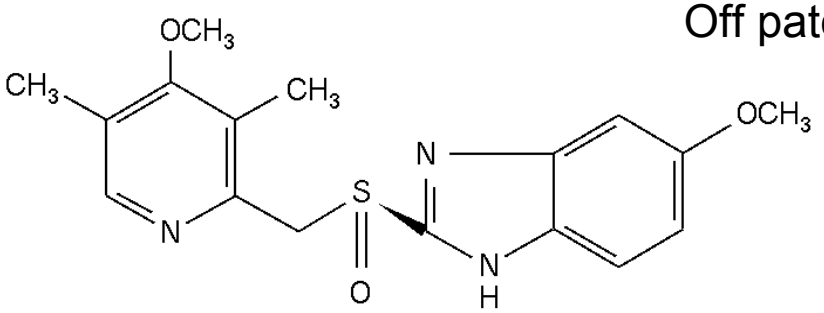
Appropriatezza terapeutica: la chiave del sistema



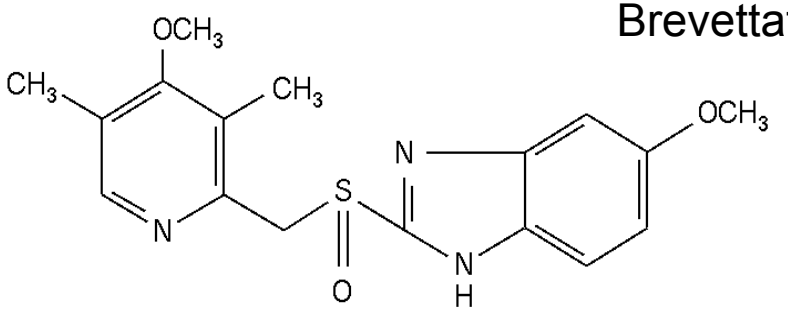
- Prodotti registrati in base a studi clinici di “non inferiorità”, soprattutto nei settori caratterizzati da grandi numeri (i.e. statine, inibitori della pompa, anti-ipertensivi, farmaci per le patologie dell'apparato respiratorio, etc.)
- Line extensions
- Fix combinations
- Enantiomeri

Non sono il futuro di un SSN virtuoso

Off patent



Brevettato

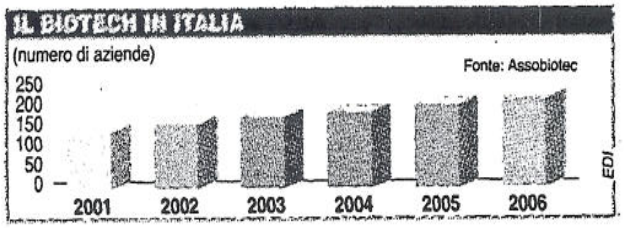


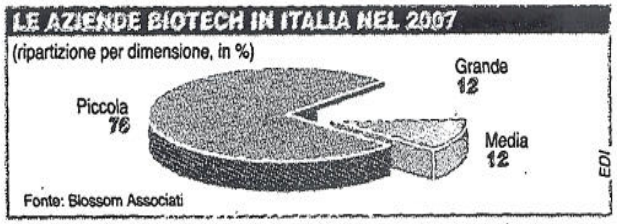
Le parole chiave per un sistema virtuoso sono INNOVAZIONE e SOSTENIBILITA'



NUOVE TECNOLOGIE/ *Le grandi case farmaceutiche hanno avviato una corsa all'acquisto dei piccoli laboratori biotecnologici, spinte dalla necessità di rafforzare la 'pipeline' di prodotti*

e dalla vastità dei mercati per molte invenzioni maturate in piccoli centri di ricerca condotti anche da studenti universitari





Biotech, il settore del futuro fra scienza ed economia

Il fatturato complessivo si avvia rapidamente a superare i 100 miliardi di dollari e anche in Italia si sta formando una base industriale di tutto rilievo

Sostenibilità per tutti gli attori del sistema



Per le aziende di ricerca



Per il sistema sanitario

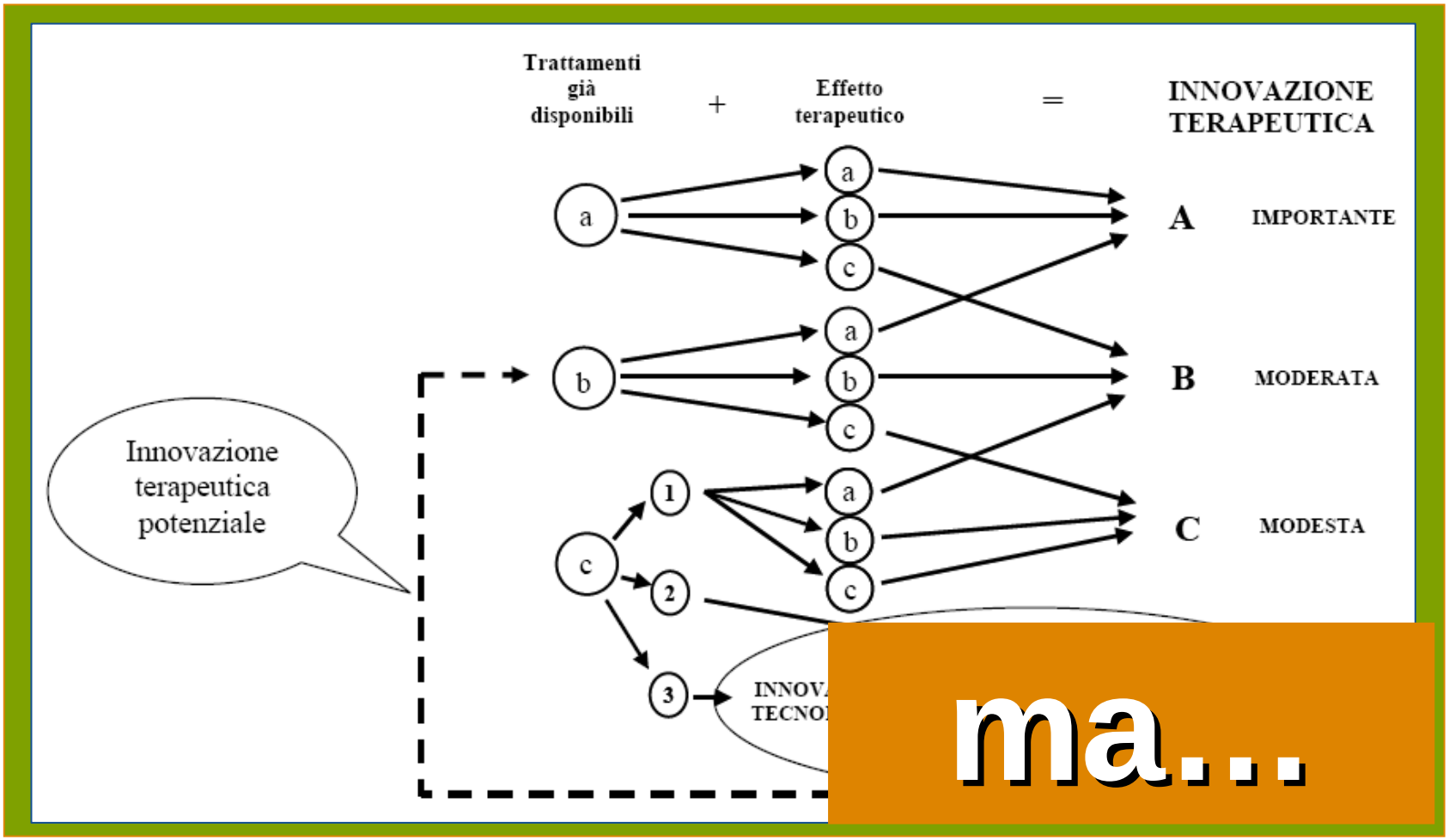
Ministero della Salute

AIFA

ISTITVTO SVPERIORE DI SANITÀ

Nuovo algoritmo per la negoziazione prezzo: un passo avanti nel sistema per l'attribuzione del grado di innovatività e del prezzo conseguente

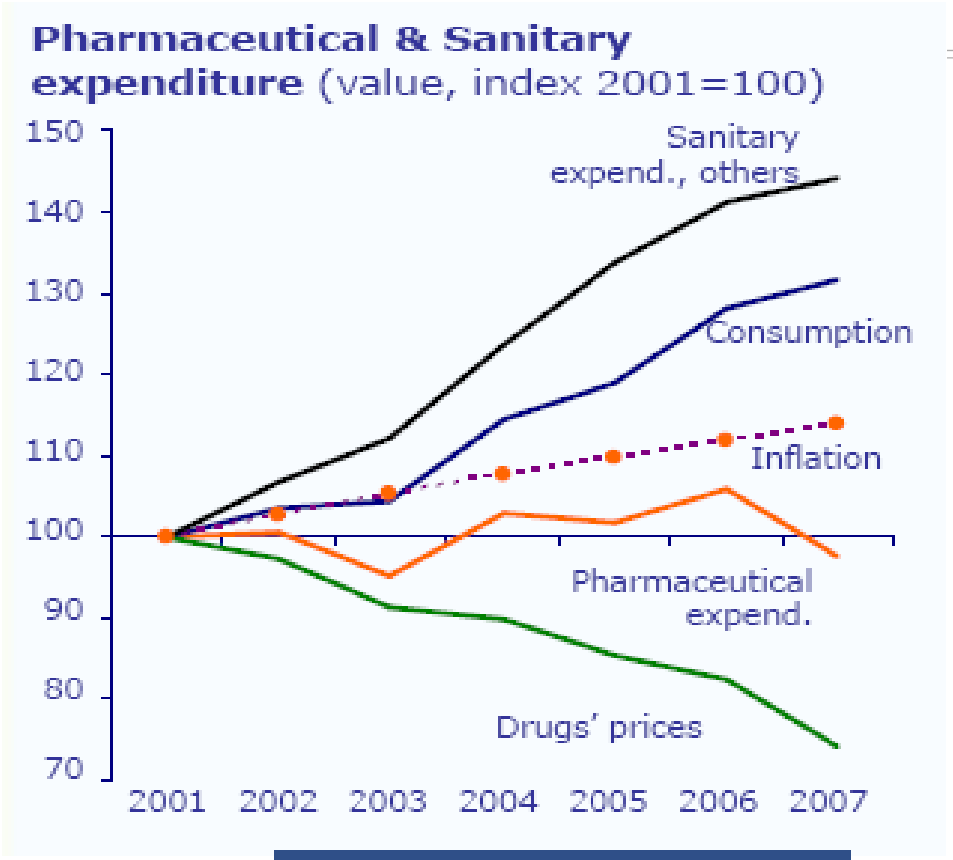




… attenzione ai prezzi dei farmaci innovativi



algoritmo OK, ma i prezzi italiani restano i più bassi d'Europa



30% di tagli prezzi indiscriminati in 6 anni

mar 15/05/2007 | Il Sole 24 ORE | Estratto da pagina: 23

Industria. Dall'assemblea Assobiotec le imprese indicano gli interventi prioritari chiesti al Governo

«Più aiuti ai farmaci innovativi»

Livia Turco promette una mini-riforma nella Finanziaria 2008

E una volta tanto le risposte non si sono fatte attendere. «La normativa attuale è troppo protettiva nei confronti dei farmaci maturi e troppo poco incentivante per quelli innovativi», ha riconosciuto il ministro della Salute, Livia Turco — presente ai lavori — promettendo con la prossima Finanziaria «elementi di riforma (nuova regolazione dei prezzi; più attenzione all'innovazione) derivati dal lavoro svolto al tavolo interministeriale sulla farmaceutica molto sollecitato dal presidente del Consiglio, Romano Prodi».

…attenzione alle forzature (1)



l'Health Technology Assessment è positivo, ma pensare di "pagare" solo i successi terapeutici è pericoloso



…attenzione alle forzature (2)



Il Risk Sharing non è applicabile indiscriminatamente a tutti i settori: metastasi oncologiche, malattie rare, etc.

- Farmaco per la cura di un tumore in fase metastatica, senza possibilità di cura definitiva per il quale l'obiettivo della terapia è:
  - Evitare il più a lungo possibile la progressione, con il minor numero di effetti collaterali
- In caso di progressione, la terapia viene sospesa (o cambiata)
- Quando si sono esaurite tutte le possibilità terapeutiche, si ricorre alle sole cure palliative
- In questo caso è poco ragionevole applicare un "risk-sharing", in quanto:
  - Tutti i pazienti che ricevono la terapia possono essere considerati "successi", fino a quando il tumore non progredisce
  - Quando c'è progressione, la terapia viene sospesa e quindi non c'è spreco
- In questo caso il controllo va rivolto più all'appropriatezza terapeutica (sospensione in caso di progressione) che alla condivisione del rischio

… e agli incentivi alla ricerca innovativa



- **Finanziaria 2008:** incentivi alla ricerca attraverso l'incremento del tetto del credito di imposta per R&S da 15 a 50 milioni di € e dell'aliquota sulle commesse pubbliche, passata dal 15% al 40%

- **AIFA:** bando per l'assegnazione di fondi (5% degli stanziamenti per le attività promozionali delle industrie farmaceutiche) a progetti indipendenti dedicati alle malattie rare

- **Programma Industria 2015:** incentivi all'innovazione industriale e allo sviluppo della competitività del sistema produttivo italiano:
  - riduzione delle aliquote IRES (dal 33% al 27,5%) e IRAP (dal 4,25% al 3,9%)
  - istituzione di un Fondo per le Biotecnologie e incentivi alla R&S delle Fondazioni Bancarie.



ThQ&LAou!

Riccardo Palmisano
Vice President & GM Genzyme Italy

genzyme