

Il ruolo delle aziende farmaceutiche nella Ricerca dei farmaci orfani

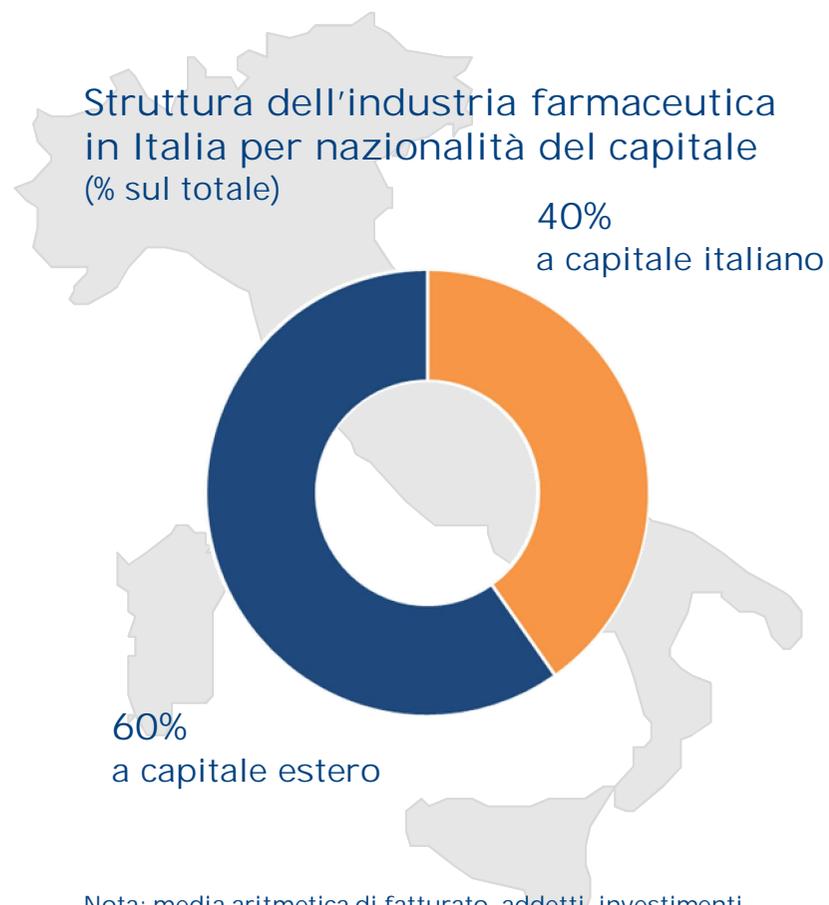
Laura Crippa, Vice Presidente Gruppo Biotecnologie

Padova, 5 maggio 2017



FARMINDUSTRIA

I numeri dell'industria farmaceutica in Italia



Nota: media aritmetica di fatturato, addetti, investimenti in produzione e R&S, vendite estere, imposte pagate

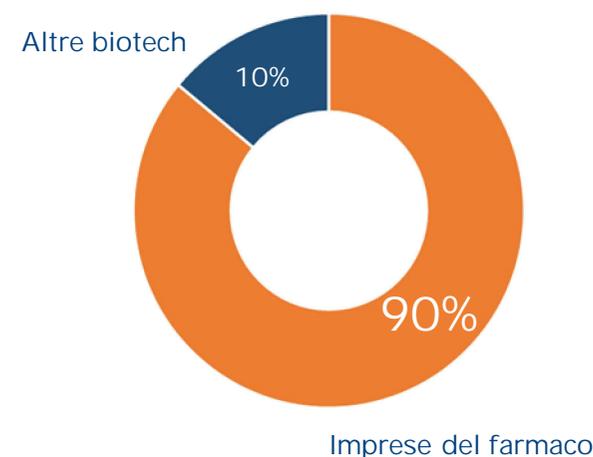
- Circa **200 aziende** associate a Farmindustria, che rappresentano oltre il 90% del valore industriale del settore
- **64.000 addetti** e altri 66.000 nell'**indotto**
- **6.100** addetti alla **R&S**, il 52% donne
- **30** miliardi di euro di **valore della produzione**, il 73% destinato all'export (22 miliardi di euro)
- **2,6** miliardi di euro di **investimenti**, dei quali 1,4 in R&S e 1,2 in produzione

La farmaceutica in Italia sa essere competitiva anche in Ricerca e Innovazione

Quota di imprese innovative sul totale



Composizione del settore del farmaco biotech in Italia (% sul totale)



● 1° settore

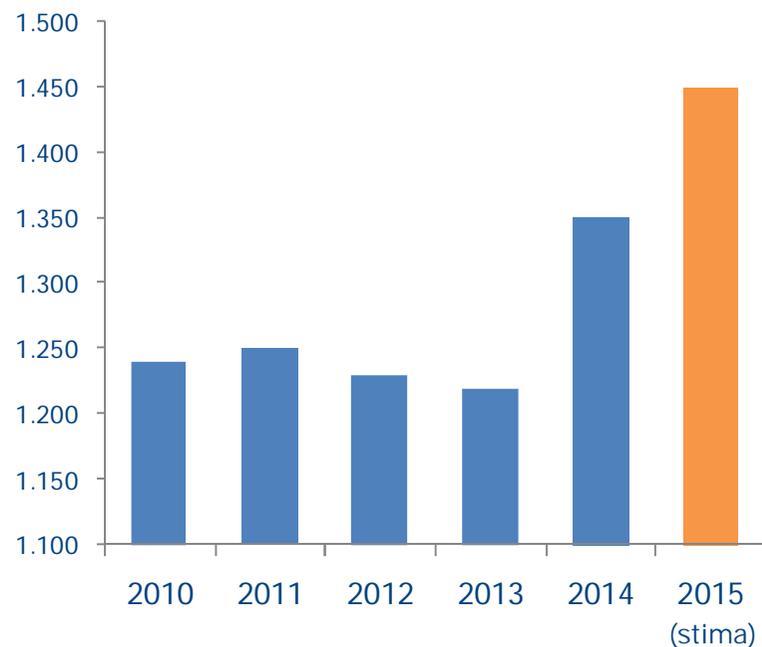
per R&S svolta esternamente,
(ampie ricadute positive sul sistema nazionale della ricerca)

● +54%

domande di brevetto farmaceutico in Italia nel 2015 (media settori in Italia +9%, media internazionale farmaceutica +10%)

L'Italia partecipa alla «rivoluzione» dell'innovazione farmaceutica mondiale aumentando l'impegno in R&S

Spese R&S della farmaceutica in Italia
(milioni di €)



- oltre 7.000

i farmaci in sviluppo nel mondo

In Italia specializzazione per biotech, vaccini, emoderivati ...

- investimenti in R&S: +15% in 2 anni
- più di 300 prodotti biotech in sviluppo
- ... ed eccellenza nelle terapie avanzate e nelle malattie rare
- il primo farmaco in Europa a base di cellule staminali è italiano
- la prima terapia genica "ex-vivo" è italiana
- la prima terapia cellulare basata sulla modifica genetica del sistema immunitario è italiana

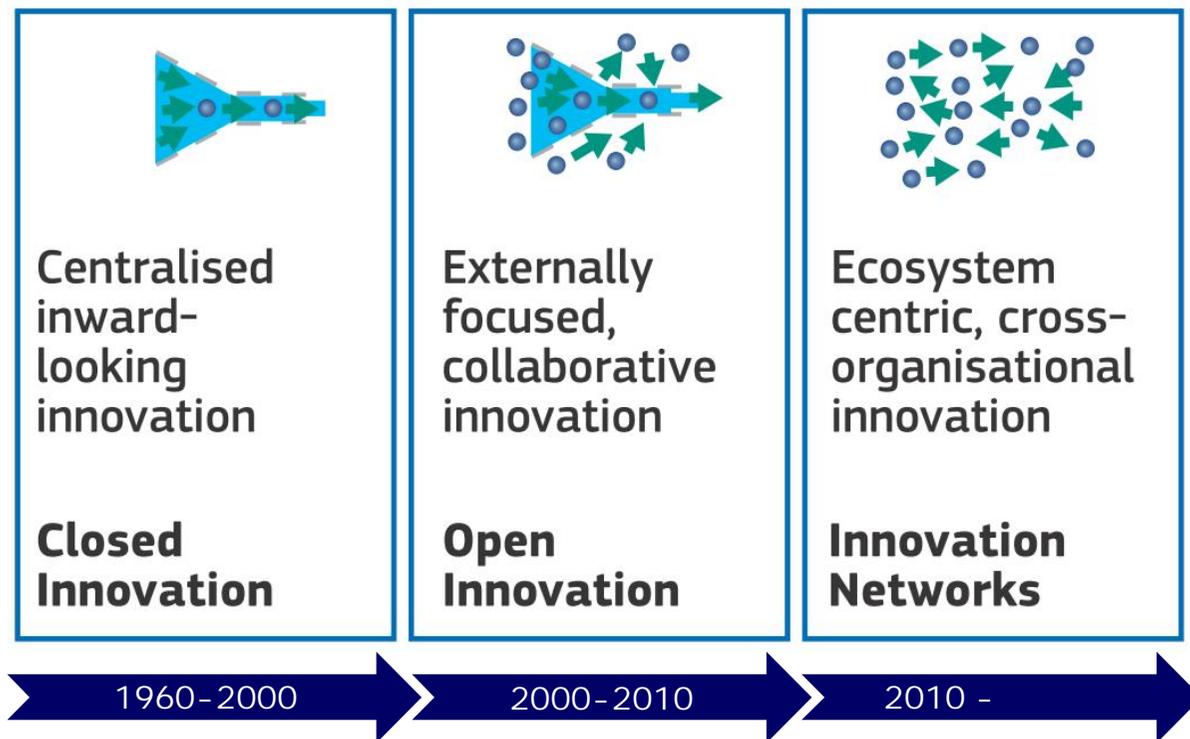
La Ricerca nelle malattie rare

È contraddistinta da:

- **scarso numero di pazienti**, che richiede la promozione di studi collaborativi, di respiro internazionale, e di disegni sperimentali clinici alternativi;
- **peculiarità clinica** delle malattie rare, che sono spesso eterogenee, multisistemiche, e dalla storia naturale - in molti casi poco nota; questo aumenta i tempi e le prospettive di fallimento della ricerca di base e clinica.

Peraltro, dallo studio delle malattie rare possono arrivare anche **conoscenze aggiuntive** per la comprensione dei meccanismi di patologie comuni.

Cambia il modo di generare innovazione: dalla *open innovation* al network della Ricerca



è la capacità di connettersi al network internazionale e di “saper fare”
che rende competitiva la propria specializzazione

Esempi di partnership pubblico-privato

- Alleanze Fondazione Telethon/Ospedale San Raffaele con GSK per lo sviluppo della terapia genica per l'ADA-SCID e con Biogen per il trattamento dell'emofilia A e B
- Accordi di collaborazione Istituto Telethon di genetica e medicina (TIGEM) con Shire e Biomarin per lo sviluppo di terapie per le malattie rare
- Partnership tra l'Università degli Studi di Modena e Chiesi che ha portato alla scoperta di un farmaco di ingegneria tissutale per la rigenerazione della superficie corneale



Le sperimentazioni cliniche in Italia nelle malattie rare per fase

Fase	2015		
	SC	% su SC in malattie rare	% su SC autorizzate per fase
Fase III	73	43,7	23,9
Fase II	69	41,3	30,8
Fase I	20	12,0	29,0
Fase IV	5	3,0	7,4
Totale	167	100,0	

Il numero di **sperimentazioni** in queste patologie è **cresciuto** nel tempo passando da **66 autorizzate** nel **2010** (il 10% rispetto al totale delle sperimentazioni cliniche) a **167** nel **2015** (quasi il 25%).

L'**83%** è sostenuto e condotto dalle imprese del farmaco.



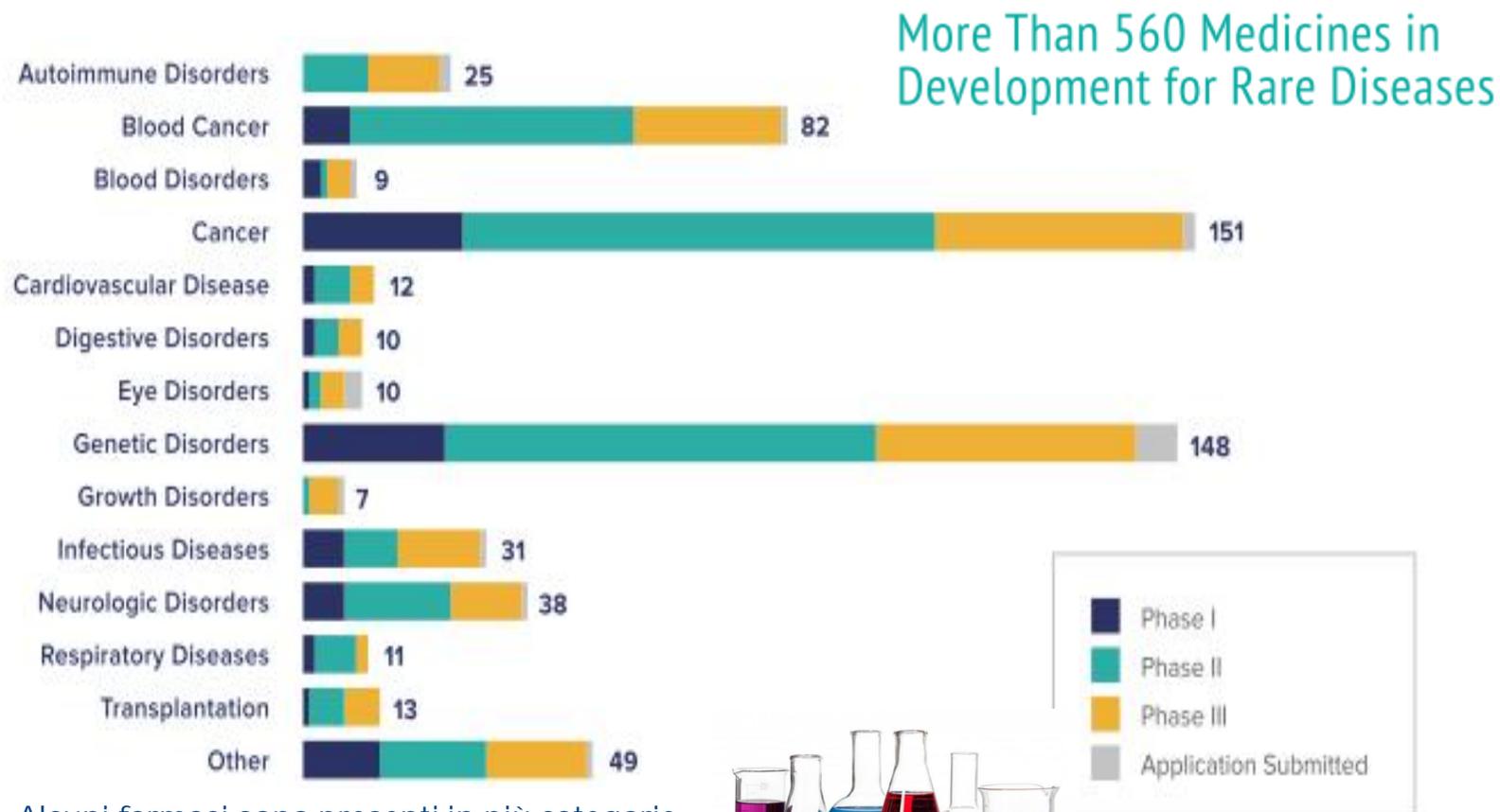
Dall'aprile 2000 ad oggi: nuove risposte terapeutiche

- **2.771** domande presentate all'Agenzia Europea del Farmaco per la designazione di farmaco orfano

 da **80** domande nel **2006**
a **209** nel **2016**

- **1.858** designazioni
- **131** autorizzazioni all'immissione in commercio rilasciate dall'UE

Solo poche malattie rare hanno un trattamento... ma cresce l'impegno di imprese farmaceutiche



Alcuni farmaci sono presenti in più categorie



FARMINDUSTRIA

Fonte: PhRMA, Report 2016

L'innovazione che offre nuove opportunità per i Pazienti

Nuove opportunità di trattamento e farmaci che consentono una migliore qualità della vita e una maggiore sopravvivenza

- per l'**ADA-SCID** (immunodeficienza severa combinata legata al deficit di adenosina-deaminasi): la prima terapia genica ex-vivo
- per la **SMA** (Atrofia Muscolare Spinale): il primo farmaco che modifica sostanzialmente il decorso della malattia
- Per patologie più studiate come **l'emofilia** o le **malattie da accumulo lisosomiale**: la personalizzazione della terapia in termini di dose, frequenza di somministrazione, via di somministrazione



La Ricerca continua... l'importanza dei dati «real world»

- comprendere meglio la storia della malattia
- raccogliere informazioni sull'efficacia a lungo termine
- permettere decisioni informate e scegliere il miglior approccio terapeutico, anche nel caso in cui sia disponibile lo screening neonatale



Politiche per le malattie rare a confronto

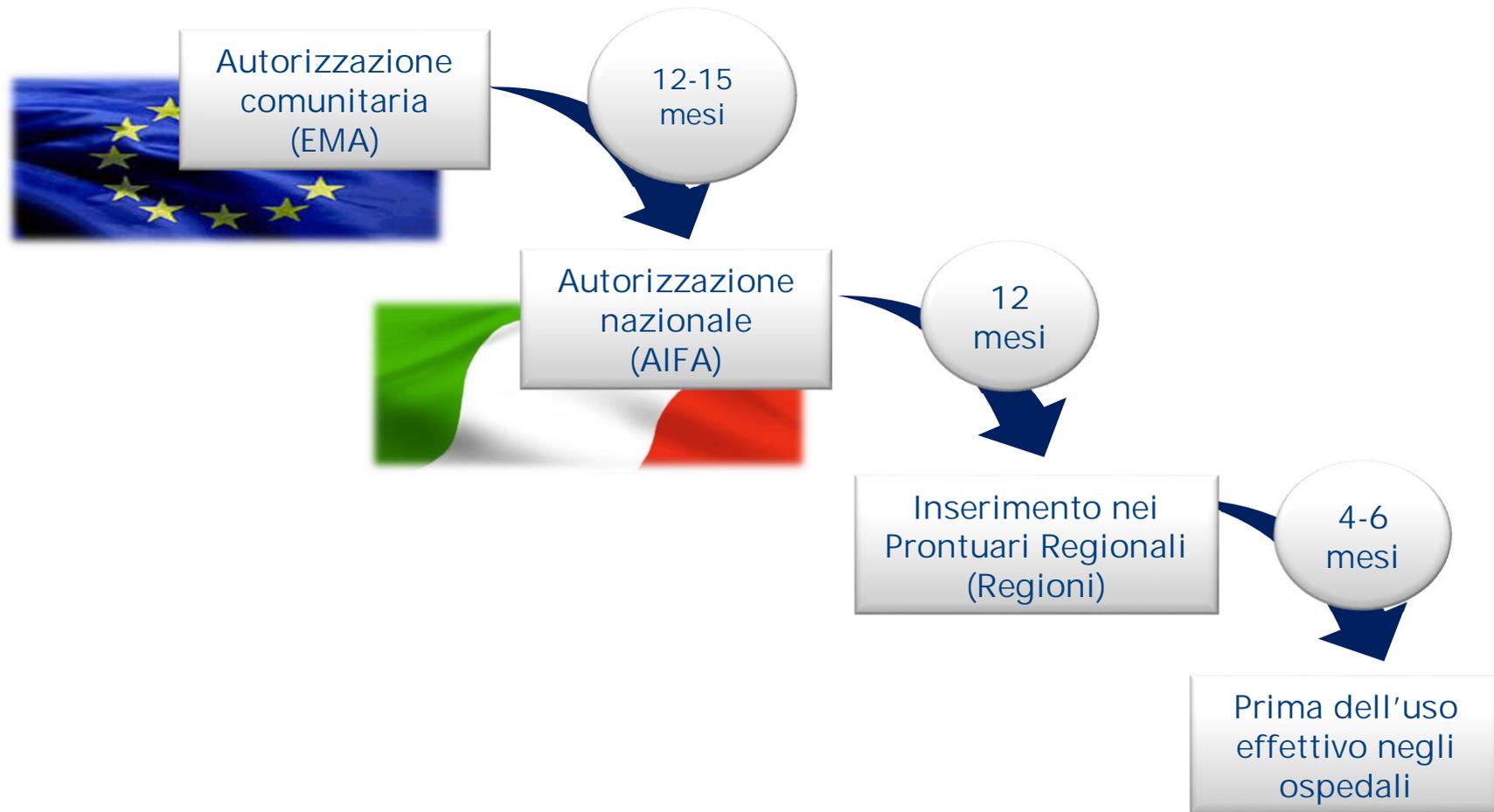
	Francia	Germania	Regno Unito	Canada
Politiche nazionali	Due piani implementati. In corso il lancio del terzo piano	Approvato; Implementazione in corso	Piano adottato. Implementazione in corso	Approvato; In fase di implementazione
Processo autorizzativo	Autorizzazione centrale UE Designazione FO da parte del COMP	Autorizzazione centrale UE Designazione FO da parte del COMP	Autorizzazione centrale UE Designazione FO da parte del COMP	Disponibile processo accelerato
Programmi di early access	Programmi di accesso precoce per farmaci orfani con e senza AIC	Garantito nella III fase della sperimentazione clinica laddove sicurezza ed efficacia del prodotto sono garantite	Piano per early access approvato ma non specifico per le malattie rare	No piano per early access; I pazienti possono candidarsi per accedere a programmi particolari in alcune circostanze
Accesso alle terapie	AIC richiesta Farmaco orfano può essere prescritto solo nei Centri di riferimento per malattie rare	Esistono diverse iniziative per migliorare l'accesso ai farmaci orfani. Non sono previsti specifici finanziamenti per i farmaci orfani	Procedura dedicata ai farmaci ultra-orfani (HST). Il Fondo Scozzese per i nuovi medicinali ha stanziato 80 milioni di sterline per farmaci orfani	I farmaci orfani sono autorizzati attraverso HTA come gli altri medicinali. Nei piani farmaceutici provinciali sono previste agevolazioni per farmaci orfani



La normativa in Italia per l'early access

Requisito	Legge 648/96	Legge 326/2003	DM 8 maggio 2003	Legge 94/98
Mancanza di valida alternativa terapeutica	SI	Non esplicitato	SI	SI
Consenso informato	SI	Non esplicitato	SI	SI
Documentazione scientifica a supporto	Risultati studi clinici di fase II (per farmaci in fase di sperimentazione)	Relazione clinica del paziente	Studi di fase III o in casi di particolari condizioni malattia che pongono il paziente in pericolo di vita studi clinici di fase II	Almeno studi clinici di fase II positivamente conclusi
Assunzione di responsabilità del medico	SI	Non esplicitato	SI	SI
Trasmissione dati di monitoraggio	AIFA e Assessorato Regionale (solo per lista «classica» o «storica»)		Notifica della documentazione relativa alle richieste di medicinali formulate ai sensi DM 8 maggio 2003 e approvate dal Comitato Etico Locale	
Chi contribuisce al costo della terapia	SSN	AIFA	Fornitura gratuita da parte dell'azienda	Cittadino (tranne in caso di ricovero)

Dall'autorizzazione al paziente



L'impegno dell'industria

Con i farmaci vorremmo poter guarire tutte le malattie rare. Ma sono tante e nonostante gli sforzi di molte aziende, sono ancora poche quelle a cui abbiamo potuto dare una risposta.

Spesso si può fermare o rallentare la progressione della malattia, o almeno migliorarne i sintomi, riducendo così l'impatto sulla vita del malato raro e della sua famiglia.

L'industria del farmaco non si ferma qui. Continueremo sempre a ricercare nuove soluzioni terapeutiche per dare nuove speranze ai pazienti.

È una goccia nel mare dei bisogni: ma per chi la riceve, è una goccia che può dissetare.



Insieme si può vincere

