



Novartis Oncology

Il ruolo delle aziende farmaceutiche nella ricerca e vendita dei farmaci orfani

Luigi Boano

General Manager Novartis Oncologia

Membro del Comitato di Presidenza Assobiotec

Padova, 5 Maggio 2017

 **NOVARTIS**

Malattie Rare e Tumori Rari

Natura delle patologie

Malattie Rare

- Patologie gravi, spesso ereditarie
- Patologie croniche, nella maggior parte dei casi a lunga sopravvivenza
- 7.000/8.000 malattie rare riconosciute
- Totale: circa 450 – 600 mila persone in Italia

Tumori Rari

- 25% di tutte le patologie neoplastiche (onco - ematologiche)
- Patologie spesso a breve sopravvivenza (*circa il 50% dei pazienti affetti da Tumore Raro non sopravvive a 5 anni dalla diagnosi*)
- 89.000 nuovi casi nel 2015
- Totale: 900.000 persone in Italia

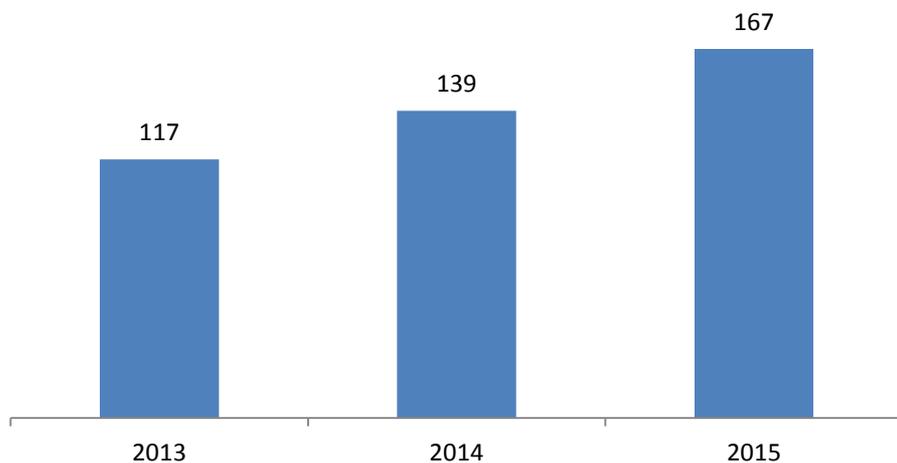
**Entrambe
patologie
neglette**

Il numero di sperimentazioni cliniche in malattie rare sta aumentando nel corso degli anni*

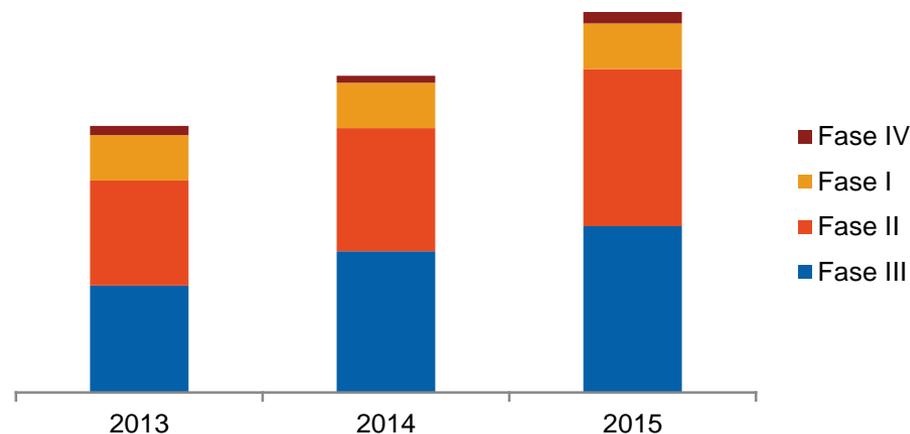
La ricerca clinica nell'ambito malattie rare è ostacolata dalla **difficoltà nello sviluppo di trial clinici**, dovuta a:

- **numero esiguo di pazienti**
- **potenziale carenza d'interesse** nello sviluppo di nuove terapie

Sperimentazioni in Malattie Rare

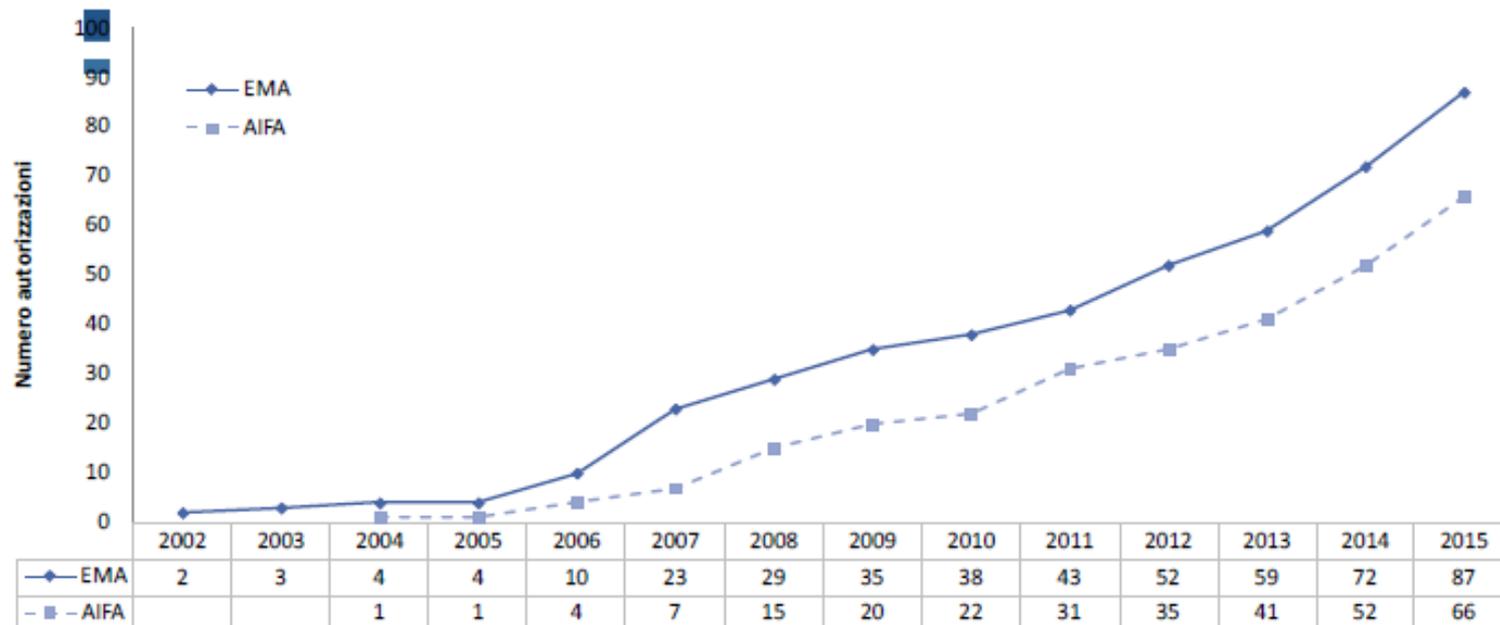


Sperimentazioni in Malattie Rare per fase



Il numero dei farmaci orfani autorizzati è cresciuto in maniera importante negli ultimi anni

Figura 1.9.1. Confronto farmaci autorizzati EMA ed approvati AIFA (dato cumulato 2002-2015)



Talassemia

Years

L'innovazione che ha permesso ai pazienti di diventare nonni



EXJADE era



'00

'90

No chelation



'60

- **6500 pazienti**
- **Ruolo chiave dello screening neonatale**

Age

Acromegalia: una malattia rara un tempo sommersa



- Incidenza 2.8-6 casi/milione/anno
 - Prevalenza regionale 38-75 casi/milione
 - Età alla diagnosi 40-50 aa
 - Tempo storico per arrivare alla diagnosi 7-10 anni
- ▼
- Tempo attuale per arrivare alla diagnosi 3 anni

Procedure diagnostiche per l'acromegalia

- Analisi ormonali basali / dinamiche
- Analisi biochimiche generali e mirate alle complicanze
- Imaging ipofisario
Campo visivo
- Imaging extraipofisario

Novartis Oncology



Malattie Rare e Tumori Rari: tutele

Forme di tutela riconosciute

Malattie Rare

- Elenco delle Malattie Rare
- Rete nazionale per la prevenzione, sorveglianza, diagnosi e cura delle Malattie Rare
- Registro nazionale di pazienti (*Istituto Superiore di Sanità*)
- Esenzione per diagnosi, monitoraggio e assistenza

(D.M. n.279/ 2001)

- Piano Nazionale per le Malattie Rare (n.2013/16)

Tumori Rari

- L'elenco delle Malattie Rare esclude sostanzialmente i Tumori Rari
- **E' fondamentale la creazione ed il riconoscimento istituzionale di un elenco di tumori rari e l'identificazione di nuove misure regolatorie e normative**



Le principali criticità del paziente con tumore raro ed il ruolo delle aziende

	<i>Criticità per il paziente</i>	<i>Contributo delle aziende</i>
<i>Ricerca</i>	Limitata disponibilità di terapie efficaci, che si collega alla difficoltà nello sviluppo di trial clinici	Aumentare la ricerca
<i>Diagnosi e trattamento</i>	Difficoltà ad accedere a un centro di riferimento per una diagnosi clinica e patologica certa e tempestiva, e ad essere assistiti con approccio multidisciplinare	Supportare la creazione di una rete nazionale tra i centri specializzati sul territorio nazionale e la definizione di percorsi diagnostici terapeutici
<i>Accesso</i>	Disomogeneità nell'accesso e qualità di cura sul territorio	Favorire l'agevolazione e l'omogeneità di accesso per i pazienti con tumori rari, al fine di garantire tempestività ed equità di accesso su tutto il territorio nazionale
<i>Fattore tempo</i>	Decorso rapido della patologia	

Creazione di reti per migliorare diagnosi, ricerca e cura dei pazienti (1/2)



L'importanza di fare Network



Creazione di reti per migliorare diagnosi, ricerca e cura dei pazienti (2/2)

Sanità24 | Il Sole **24 ORE**

DAL GOVERNO

Tumori rari, la rete nazionale pronta per l'Intesa Stato-Regioni

- Assicurare che **diagnosi e trattamento** avvengano secondo **criteri uniformi**
- Garantire la **migliore qualità di cura**
- **Facilitare e omogenizzare l'accesso alle terapie** sul territorio nazionale limitando la migrazione sanitaria
- Ottenere una **razionalizzazione della spesa**, guidando i pazienti attraverso percorsi dedicati

Esempio: diagnosi e monitoraggio dei pazienti con leucemia, in partnership con la comunità scientifica



Totale Laboratori standardizzati: 54
Tot centri afferenti: 164



Come funziona?

- 1) Il centro spedisce il campione
- 2) Il lab analizza con tecniche standardizzate
- 3) Il centro visualizza il risultato
- 4) Il lab spedisce al centro il risultato dell'analisi



Il contributo delle aziende a supporto dei pazienti con tumori rari, considerazioni finali

Supportare la creazione ed il riconoscimento istituzionale di un **elenco di tumori rari**, strumento operativo ragionevole per l'introduzione di nuove misure regolatorie e normative



La creazione di **reti sul territorio nazionale** tra i centri oncologici specializzati sui vari tumori rari
=> miglioramento della diagnosi, ricerca e cura per i pazienti



Favorire l'**accesso** dei farmaci per i Tumori Rari
=> garantire tempestività ed equità di accesso su tutto il territorio nazionale

