
AUDIZIONE Camera dei Deputati

Malattie rare

Pierluigi Russo

Roma, 29 Aprile 2015



Agenzia Italiana del Farmaco
AIFA

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Precedenti 2 anni	Da oltre 2 a 5 anni precedenti	Oltre 5 anni precedenti (facoltativo)
Interessi diretti:					
Impiego in una società	x				
Consulenza per una società	x				
Consulente strategico per una società	x				
Interessi finanziari	x				
Titolarità di un brevetto	x				
Interessi indiretti:					
Sperimentatore principale	x				
Sperimentatore	x				
Sovvenzioni o altri fondi finanziari	x				

* **Pierluigi Russo**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 26.01.2012 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 20.03.2012 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.



Punti di discussione

- Stato della ricerca delle malattie rare
- disposizioni per l'utilizzo di farmaci off-label (L.79 del 2014)
- sensibilizzazione opinione pubblica
- iniziative per il coinvolgimento di pazienti con malattie rare in tavoli decisionali



Punti di discussione

- Stato della ricerca delle malattie rare
- disposizioni per l'utilizzo di farmaci off-label (L.79 del 2014)
- sensibilizzazione opinione pubblica
- iniziative per il coinvolgimento di pazienti con malattie rare in tavoli decisionali



FARMACI PER MALATTIE RARE: NEL 2014 RECORD DI AUTORIZZAZIONI EMA

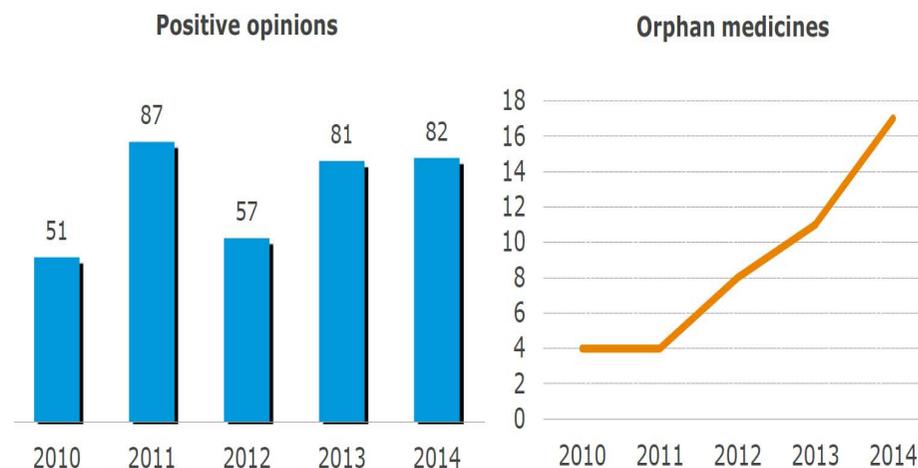


9 January 2015
EMA/9834/2015
Press Office

Press release

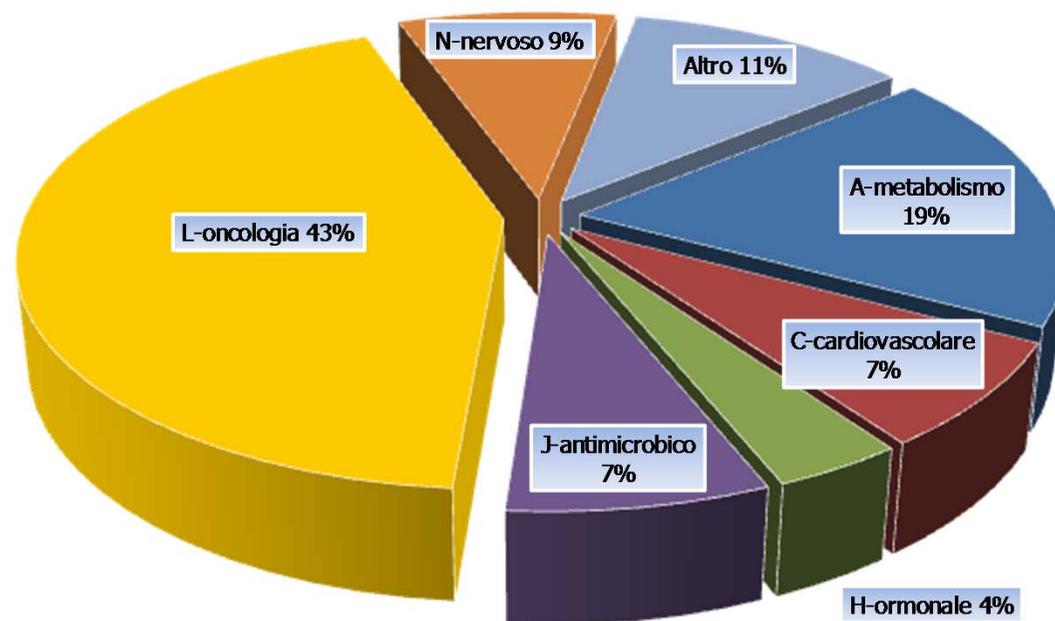
Record number of medicines for rare diseases recommended for approval in 2014

Number of medicines with new active substances continues to increase



Year	New (non-orphan) medicines	Orphan medicines	Biosimilars	Generic, hybrid, informed-consent, PUMA applications	Withdrawals prior to opinion	Negative opinions
2010	20	4	1	26	12	2
2011	38	4	0	45	13	4
2012	30	8	0	19	10	8
2013	46	11	4	20	8	5
2014	40	17**	3	22	6***	3

FARMACI ORFANI E LORO AREE TERAPEUTICHE



Come incoraggiare la cura delle malattie rare?

- **Decreto Balduzzi**: classe Cnn e procedura accelerata di P&R (CHMP *positive opinion*)
- **Decreto del Fare**: procedura P&R 100 giorni
- **Spending review D.L.95/2012, novellato dalla Legge di Stabilità 2013**
- **Determinazione AIFA 27/2/2014 ed elenco farmaci orfani**

(in <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/elenco-medicinali-orfani>)



• ELENCO FARMACI ORFANI (CDA AIFA 27.02.2014)



Criteri di inclusione:

- Reg. CE: 141/2000
- anche oltre i 10 anni commercializzazione

Criteri di esclusione:

- Fascia di non rimborsabilità
- Revocati – sospesi
- Decisione EMA
- Decisione Sponsor

• ORPHAN LIKE:

- Circolare EMA/7381/01
- Database Orphanet

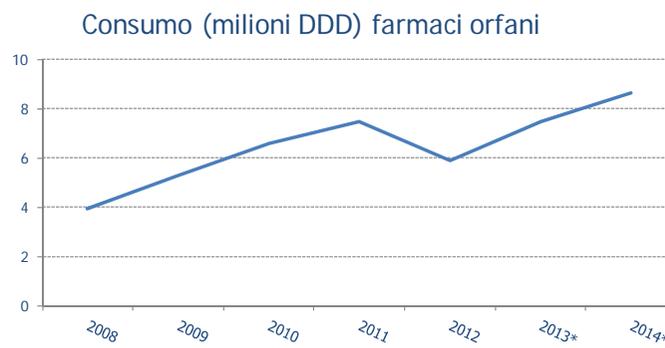
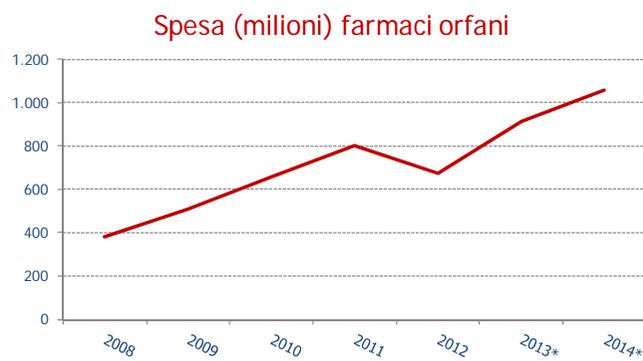
- Patologie non rare
- No richiesta benefici L.147/2013 entro il 31/12/2013

TREND DEI MEDICINALI ORFANI AUTORIZZATI AL 31.12.14



Impatto di spesa e consumo dei farmaci orfani

ANNO	2008	2009	2010	2011	2012	2013*	2014* stima
Spesa farmaci orfani (milioni)	382	507	657	800	671	914	1.055
Inc. % farmaci orfani sulla spesa	6,80	8,43	10,04	11,40	8,04	4,65	5,10
Consumo (DDD) farmaci orfani (milioni)	4,0	5,3	6,6	7,5	5,9	7,5	8,6
Inc. % farmaci orfani sul consumo	0,16	0,21	0,23	0,2	0,16	0,03	0,03



Punti di discussione

- Stato della ricerca delle malattie rare
- disposizioni per l'utilizzo di farmaci off-label (L.79 del 2014)
- sensibilizzazione opinione pubblica
- iniziative per il coinvolgimento di pazienti con malattie rare in tavoli decisionali



DISCIPLINA USO *OFF-LABEL* DEI FARMACI

Legge n.79/2014 aggiornamento **Legge n. 648/1996**

«...Possibilità di inserire un farmaco *off-label* per una determinata indicazione nella lista 648, purché l'indicazione sia conforme alla ricerca condotta in ambito di comunità medico-scientifico, secondo parametri di economicità e appropriatezza...»

Due nuovi aspetti della L.79 del 2014:

1. possibilità di inserire un farmaco *off-label* in lista 648 anche in presenza di altra alternativa terapeutica tra farmaci autorizzati
2. riferimento ai parametri di economicità e di appropriatezza



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

DISCIPLINA USO *OFF-LABEL* DEI FARMACI

Legge n.79/2014 aggiornamento **Legge n. 326/2003**

Due nuovi aspetti della L.79 del 2014:

1. Introdotta una modifica alla destinazione del Fondo a disposizione di AIFA, consentendo anche alle Regioni e alle società scientifiche nazionali del settore clinico di specifico interesse di poter accedere a tale Fondo
2. viene ribadito che il 50% di detto Fondo sia destinato alla sperimentazione clinica dei medicinali per un impiego non compreso nell'autorizzazione all'immissione in commercio

Orientamento CdA AIFA:

altri possibili utilizzi del Fondo - finanziamento di farmaci *off-label* in studi clinici *no-profit*

- consentire la copertura della spesa per farmaci utilizzati *off-label* all'interno di sperimentazioni *no-profit* nel territorio regionale, purché si tratti di *"farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie"*

.....**Registri AIFA**

- ottenere informazioni sul profilo beneficio-rischio....e **sul costo-beneficio**



FONDO AIFA

VALORE ECONOMICO 2014

Attualmente infatti l'uso *off-label* di farmaci riconducibili al Fondo avviene già a carico del SSN:

- nel 2014, il Fondo per l'impiego di farmaci orfani per le malattie rare e di medicinali che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, ammonta a circa **15.6 milioni di euro**
- l'ammontare di spesa per i pazienti che nel 2014 hanno avuto accesso al fondo AIFA per i soli farmaci orfani è di **88.685 euro (239.895 euro)**

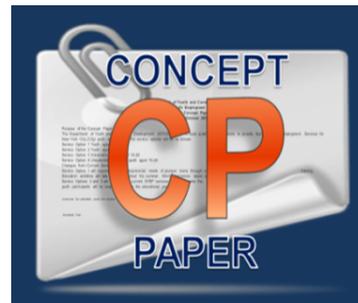


Punti di discussione

- Stato della ricerca delle malattie rare
- disposizioni per l'utilizzo di farmaci off-label (L.79 del 2014)
- sensibilizzazione opinione pubblica
- iniziative per il coinvolgimento di pazienti con malattie rare in tavoli decisionali



INIZIATIVE AVVIATE DA AIFA



VADEMECUM PER IL CITTADINO

Non ho nulla
da perdere
a provarlo

Cure "miracolose": guida per il paziente



4. Per approfondire

Fonti fidate

AIFA - Agenzia Italiana del Farmaco www.agenziafarmaco.gov.it Il sito dell'autorità nazionale competente per l'attività regolatoria dei farmaci in Italia.

Banca Dati Farmaci AIFA <https://farmaci.agenziafarmaco.gov.it> Banca dati ufficiale AIFA dei farmaci autorizzati in Italia.

NHS Choices www.nhs.uk Il portale online dell'NHS è il sito di salute più grande dell'UK. La sezione "Behind the headlines" legge gli articoli giornalistici alla luce della ricerca.

PubMed Health www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmedhealth. Revisioni delle ricerche d'efficacia clinica con sommari facili da leggere.

La cattiva scienza Lo spiritoso best-seller di Ben Goldacre (Mondadori Editore - 2009) solleva il coperchio su ciarlatani e giornalisti sensazionalistici.

Testing Treatments <http://it.testingtreatments.org> Come riconoscere se un trattamento è migliore di un altro e cosa rende corretta una sperimentazione.

"Non so in cosa credere..."

Dare un senso alle storie di scienza Una guida su come gli scienziati presentano e giudicano la ricerca, e su come è possibile porre domande.

Evidence Based Medicine Matters Un opuscolo che spiega come la medicina basata sull'evidenza sia oggi la chiave del successo nella cura della salute.

Entrambi disponibili su www.senseaboutscience.org/resources.php

Leggere documenti di ricerca Articoli originali sulla ricerca si possono leggere su Europe PubMed Central: www.europepmc.org.

Si trovano oltre 22 milioni di sommari di articoli biomedici e di salute (abstract) e revisioni che offrono una panoramica degli ultimi sviluppi in un particolare ambito di ricerca.

Oltre 2,5 milioni di articoli sono oggi disponibili su Europe PMC.

Sebbene in molti siano in grado di accedere alle ricerche pubblicate, questa pubblicazione è rivolta agli addetti ai lavori.

Health Talk www.healthtalkonline.org un database unico di esperienze personali e informazioni su circa 50 patologie - video, audio e testi.

The Cochrane Collaboration www.cochrane.org Revisioni sistematiche che esplorano le evidenze favorvoli e sfavorevoli dei trattamenti.

UK Clinical Research Collaboration disponibile su: www.ukcrcl.org/publications/Informationbooklets.aspx "Sperimentazioni cliniche: cosa sono e cosa non sono" e "Comprendere le sperimentazioni cliniche".

International Clinical Trials Registry Platform (ICTRP) www.who.int/ictcp Un modo per trovare informazioni sulle sperimentazioni cliniche.

My Medicine www.mhra.gov.uk/mymedicine Una guida al ciclo di vita dei farmaci, dalla scoperta scientifica all'autorizzazione, fino al monitoraggio.



PROGETTO DETERMINAZIONE RARA

Partecipano e discutono:
Camillo Borzacchiello
Stabilimento Farmaceutico Militare
Giovanni Caracci
Agenas
Massimo Capobello
Ministero della Salute
Franca Dagna, Chiara Baldo
e direttori bobaniche TMSB
Bruno Dalapiccola,
rappresentante per l'Italia presso EUCLERD
Manalusa Lavitrano, Barbara Parodi
BBMRI ERC-IT
Federico Nazzari
Farmindustria
Francesca Pasetelli, Anna Ambrocin, Marco Crimi
Fondazione Telethon
Paolo Daniele Siviero, Daniele Sottesoldi, Luisa Muscolo
AIFA
Domenica Tarascio, Paola Torreni
Centro nazionale malattie rare ISS
Giuseppe Secchi
Assoibotec

E le Associazioni partner dell'iniziativa Determinazione rara

• A.C.A.R. onlus Associazione Conio Alla Rovescia • A.I.C.I. Ass. na It.na
Celle Interazioni • A.I.M.A.R. - Ass. It. per le Malformazioni Anoretali
• A.I.S.M.M.E. - Ass. It. Studio Malattie Metaboliche Ereditarie • A.M.R.I.
- Ass. per le Mal. Reumatiche Infantili onlus • A.P.M.M.C. - Ass.
Prevenzione Malattie Metaboliche Congenite • A.S.C.E. Associazione
Santa Coagulopatici Emorragici • A.S.T. - Ass. Sclerosi Tuberosa • ABC
Associazione Bambini Cri, Du, Chat • Acondroplasia Insieme per
Crescere onlus • ANELZZ onlus • AFP Ass.na It.na Febri Periodiche
• AISAC onlus Ass.na per l'informazione e lo studio dell'Acondroplasia
• AISPHEM Associazione Italiana per la sindrome di Phelan-Mc Dermid
• Angeli Noonan Ass.na It.na Sindrome Noonan onlus • Associazione
A.N.D.E. (Displasia Ectodermica) onlus • Associazione It.na
Sindrome di Poland • Associazione Smith-Magenis ASM17 Italia
onlus • ATDL (Riassente) e disprencocito Lombardi onlus • CIDP Italia
onlus - Ass. Italiana dei Pazienti di Polineuropatia Cronica Infiammatoria
Demielinizante • Castello - Ass. It. Sindromi Costello e
Cardiofaciocutanea onlus • F.O.P. - Ass. Italia Fibrodiplosia Ossificante
progressiva • I Colori del Vento • I.A.G.S.A. - International Aicardi
Gouletres Syndrome Association Onlus • I.L.A. Associazione Italiana
Angiodiplosie ed Emangiomi Infantili Onlus • LIRA - Lega Italiana
Ricerca Huntington e malattie correlate onlus • MITOCOM Onlus -
Insieme per lo studio e la cura delle malattie mitocondriali • UNITI Unione
Italiana Itiosi

determinazione
RARA

Con il patrocinio del
Ministero della Salute

Con il patrocinio e la collaborazione di:
AIFA
BBMRI - IT
IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
ISS
Fondazione Telethon Onlus

Si ringrazia GSK e Sanofi Aventis S.p.A.

Responsabile scientifico
Sara Casati

segreteria organizzativa:
UNIAMO F.I.M.R. o.n.l.u.s.
San Marco 1737 - 30124 Venezia
Tel. e Fax 041 2410886
segreteria@uniamo.org
www.uniamo.org

UNIAMO
FEDERAZIONE ITALIANA
MALATTIE RARE



Ministero del Lavoro
e delle Politiche Sociali
Iniziativa finanziata
dal Ministero del Lavoro
e delle Politiche Sociali
Legge 383/2000
lettera d) annualità 2012

determinazione
RARA



ATTIVAMENTE INSIEME
NELLA RICERCA
E NELLA SPERIMENTAZIONE

Evento
pubblico
conclusivo

20
giugno
2014

Auditorium
Ministero della Salute
Lungotevere Ripa 1
Roma

promossa da:

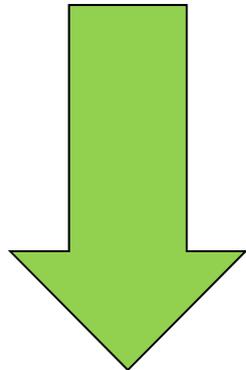
UNIAMO
FEDERAZIONE ITALIANA
MALATTIE RARE



Agenzia Italiana del Farmaco
AIFA

AIFA E LE ASSOCIAZIONI (ANCHE DEI PAZIENTI)

Open AIFA



Open-AIFA, una serie di incontri istituzionalizzati con la DG che favorisce una forma diretta di interazione collaborativa e che dà ai partecipanti l'opportunità di condividere le loro esperienze di vita reale e fornire input significativi per l'attività dell'Agenzia.



Agenzia Italiana del Farmaco

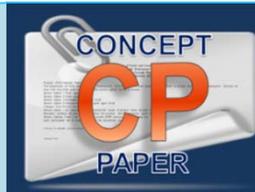
AIFA

OPEN SPEECH FORUM - FARMACI DIRITTO DI PAROLA



FARMACI Diritto di parola

CONCEPT PAPER



I ***Concept Paper***, documenti che rappresentano la posizione ufficiale dell'AIFA, sotto forma di *Position Paper*, finalizzati dopo una fase di ***Public Consultation*** durante la quale è possibile far pervenire ad AIFA il proprio commento al *Concept Paper*.

Tale fase ha una durata di 90 giorni ed è un' importante possibilità di interazione che ha lo scopo di sviluppare un documento completo che rifletta in un'unica posizione il contributo di tutti gli stakeholder.



Punti di discussione

- Stato della ricerca delle malattie rare
- disposizioni per l'utilizzo di farmaci off-label (L.79 del 2014)
- sensibilizzazione opinione pubblica
- iniziative per il coinvolgimento di pazienti con malattie rare in tavoli decisionali



MEMORANDUM OF UNDERSTANDING

PROTOCOLLO DI INTESA

TRA



AIFA

Agenzia Italiana del Farmaco

e

EUPATI

European Patients' Academy on Therapeutic Innovation

Modello-pilota per gli altri undici Paesi Europei partecipanti al progetto

Patrocinio gratuito AIFA- supporto operativo e personale docente esperto

Impegno di AIFA a sviluppare un programma ufficiale di collaborazione

Programma annuale di alta formazione per i pazienti/familiari

Contributo di AIFA all'implementazione di EUPATI

PROGETTO DI COLLABORAZIONE AIFA - EUPATI

- Fornire ai pazienti e/o ai familiari un percorso formativo, qualificato e certificato sulla ricerca di terapie innovative



Migliorare la consapevolezza nei cittadini per una partecipazione attiva nella ricerca, sviluppo e monitoraggio dei farmaci e come partner autorevoli nel percorso decisionale di linee guida



- Contribuire ad aumentare il numero di pazienti esperti nello sviluppo di nuove terapie concretizzando l'ingresso sistematico del "valore del paziente" all'interno di processi decisionali regolatori



RISULTATO ATTESO

Crescita (in)formativa del paziente e dei cittadini in ambito:

- scientifico-regolatorio



- maggiore attenzione alle problematiche di natura sanitaria



- maggiore consapevolezza sulle terapie innovative

- dialogo e confronto equo con i comitati tecnici





Grazie per l'attenzione

CONTATTI

Telefono: 06-5978.4599

E-mail: p.russo@aifa.gov.it

Web: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/>

