

L'ACCESSO ALLE TERAPIE PER MALATTIE RARE IN ITALIA: OPPORTUNITA' E PROSSIME SFIDE

3PIS 3PSolution



Mario Melazzini

Roma, 2 marzo 2017



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	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
INTERESSI DIRETTI:				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
INTERESSI INDIRETTI:				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Mario Melazzini**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

Il contesto

- Lo sviluppo di terapie per le malattie rare è una sfida che richiede una nuova flessibilità regolatoria. Tra gli obiettivi dell' *International Rare Disease Research Consortium* c'è quello di poter disporre di almeno 200 nuove terapie per malattie rare entro il 2020;
- E' necessario promuovere la ricerca e valorizzare l'innovazione dei nuovi farmaci sviluppati in questo ambito;
- Obiettivo di AIFA è fare in modo che ogni paziente riceva la terapia più mirata, garantendo che il farmaco sia al contempo sicuro, efficace e di qualità;
- AIFA affronta il percorso della nuova governance del farmaco, nella consapevolezza che l'innovazione sia la sfida del futuro.



Il contesto europeo

L'autorizzazione dei medicinali orfani in UE è affidata all'EMA e gode di diversi benefici regolatori:

- **Protocol assistance:** EMA fornisce assistenza agli sponsor di sperimentazioni cliniche su medicinali orfani rispondendo a quesiti relativi ai tipi di studi necessari per dimostrare la qualità del medicinale ed il profilo rischio/beneficio
- **Accesso alla procedura centralizzata:** tutti i medicinali orfani sono valutati centralmente in modo da ottenere una unica opinione valida in tutti gli Stati membri
- **Dieci anni di market exclusivity**
- **Riduzione delle tariffe** dovute per la valutazione
- **Grants:** sono disponibili finanziamenti a livello europeo ed internazionale:
 - Horizon 2020, EU Framework Programme for Research and Innovation;
 - E-Rare, un progetto transnazionale per programmi di ricerca sulle malattie rare;

Grants sono inoltre disponibili per gli sponsor negli Stati Uniti ed in Giappone:

- United States: Food and Drug Administration: Orphan products grants program
- Japan: National Institute of Biomedical Innovation: Services to promote development of medicinal products for rare diseases



Horizon 2020 e malattie rare

Horizon 2020 è il più grande programma di finanziamento della ricerca e dell'innovazione dell'Unione europea, attivo dal 2014 al 2020.

La Commissione europea fornirà finanziamenti per studi clinici sulle sostanze che hanno ricevuto una designazione di farmaco orfano da parte della Commissione europea sulla base di una raccomandazione della COMP



Agenzia Italiana del Farmaco

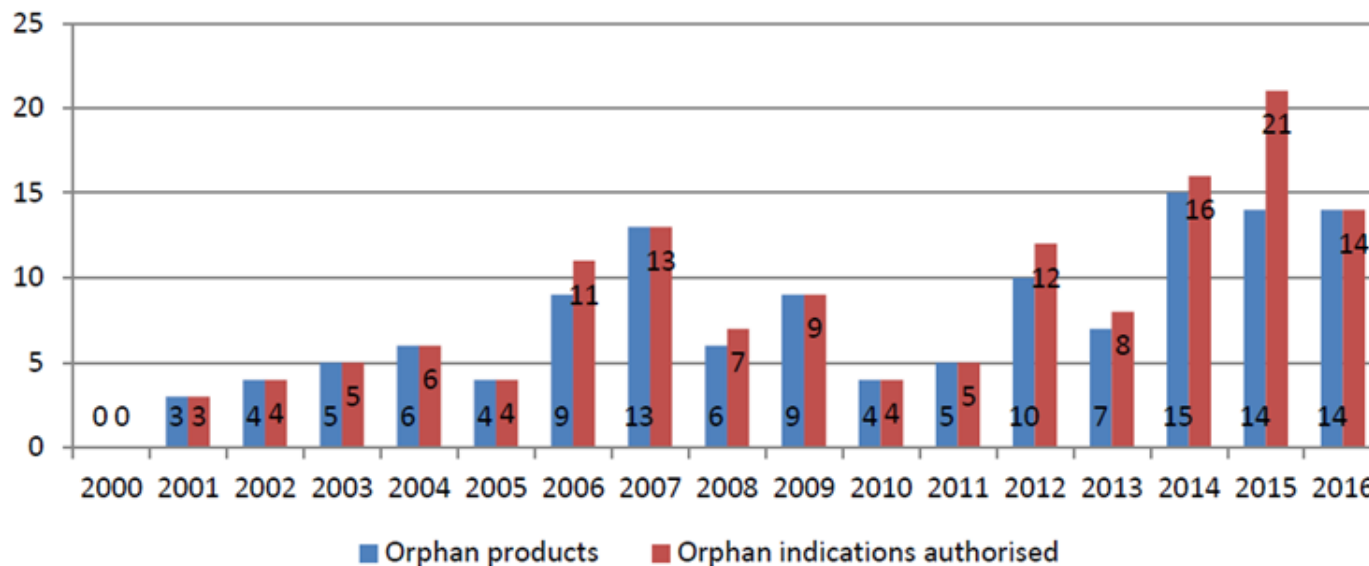
AIFA

EMA: Medicinali orfani approvati

2.2. Designated orphan medicines authorisation activities

In 2016 fourteen new marketing authorisations for orphan medicinal products were granted by the European Commission, making for a total of 128 designated orphan medicinal products with European Union-wide marketing authorisations since the orphan legislation was implemented.

Figure 2. Number of marketing authorisations for orphan medicinal products requested and granted

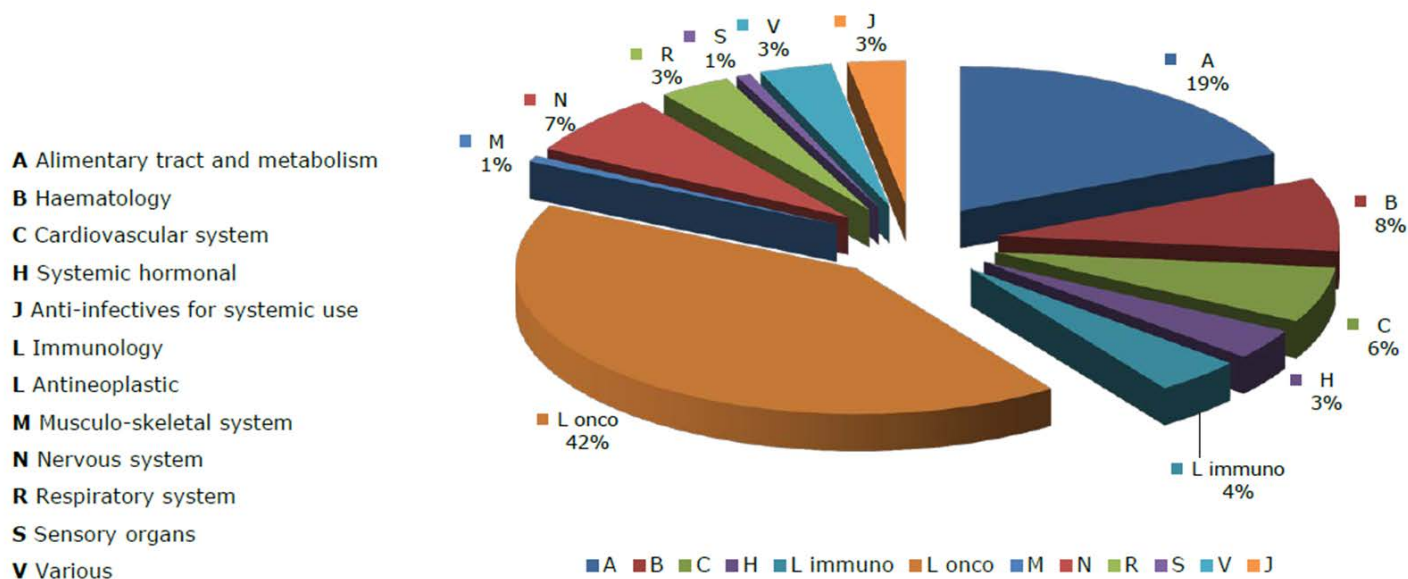


EMA: Medicinali orfani approvati



EUROPEAN MEDICINES AGENCY

128 Orphan Marketing Authorisations granted to date*



Number of conditions: 101

- * Including:
- 12 authorised extensions of indication
- 13 withdrawals from the register of orphan medicinal products (including 6 ext. of indication)
- 4 withdrawals from register medicinal products human use
- 26 removals from register after expire of the market exclusivity period

Farmaci orfani in valutazione da parte di EMA



6 February 2017
EMA/85096/2017
Information Management Division

Applications for new human medicines under evaluation by the Committee for Medicinal Products for Human Use February 2017

International non-proprietary name (salt, ester, derivative, etc.) / Common Name	Therapeutic area ⁴
Parathyroid hormone	Calcium homeostasis
Pentosan polysulfate sodium	Urologicals
Plitidepsin	Antineoplastic medicines
Rucaparib (camsylate)	Antineoplastic medicines
Telotristat (etiprate)	Other alimentary tract and metabolism products
Tivozanib (hydrochloride monohydrate)	Antineoplastic medicines
Trientine (tetrahydrochloride)	Other alimentary tract and metabolism products
Velmanase alfa	Other alimentary tract and metabolism products
Vosaroxin	Antineoplastic medicines

International non-proprietary name (salt, ester, derivative, etc.) / Common Name	Therapeutic area ⁴
Alpha-1-antitrypsin	Antihemorrhagics
Avelumab	Antineoplastic medicines
Burosumab	Medicines for bone diseases
Caffeine (citrate)	Psychoanaesthetics
Cenegermin	Ophthalmologicals
Cerliponase alfa	Other alimentary tract and metabolism products
Ciclosporin	Ophthalmologicals
Dinutuximab beta	Antineoplastic medicines
Eteplirsen	Other medicines for disorders of the musculo-skeletal system
Expanded human allogeneic mesenchymal adult stem cells extracted from adipose tissue	Immunosuppressants
Gemtuzumab ozogamicin	Antineoplastic medicines
Glibenclamide	Medicines used in diabetes
Inotuzumab ozogamicin	Antineoplastic medicines
Levamisole (hydrochloride)	Anthelmintics
Lutetium (177Lu) dotatate	Therapeutic radiopharmaceuticals
Masitinib (mesylate)	Antineoplastic medicines
Metreleptin	Other alimentary tract and metabolism products
Midostaurin	Antineoplastic medicines
Ngr-htnf	Antineoplastic medicines
Niraparib (tosylate monohydrate)	Antineoplastic medicines
Nonacog beta pegol	Antihemorrhagics
Nusinersen	Other nervous system medicines
Paclitaxel	Antineoplastic medicines
Pacritinib (citrate)	Antineoplastic medicines

ELENCO DEI FARMACI ORFANI CHE HANNO PRESENTATO DOMANDA DI P&R IN AIFA AL 28/02/2017

Criteri di selezione: Ricerca integrale delle procedure negoziali tipo 01 (farmaci orfani) per il periodo 01/12/2016-28/02/2017 + farmaci con domanda antecedente al 01/01/2016, ma ancora in negoziazione.

19 farmaci (4 farmaci - Raxone, Strensiq, Kanuma, Revestide - la cui domanda è del 2015, ma che risultano ancora in negoziazione)

Farmaco	Principio attivo
RAXONE	idebenone
STRENSIQ	Asfotase alfa
KANUMA	sebelipasi alfa
REVESTIVE	teduglutide
HOLOCLAR	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali
SCENESSE	Afamelanotide
STRIMVELIS	Frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ geneticamente modi
DARZALEX	daratumumab
GALAFOLD	migalastat
IDELVION	Fattore IX di coagulazione del sangue
ALPROLIX	Fattore IX di coagulazione del sangue
FARYDAK	Panobinostat
LARTRUVO	Olaratumab
VENCLYXTO	VENETOCLAX
WAKIX	Pitolisant HCL
ONIVYDE	Irinotecan
OICALIVA	acido obeticolico
NINLARO	ixazomib citrato
ZALMOXIS	Linfociti T allogeneici

SC in malattie rare in Italia anno 2015

SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 167 (24,9%) in malattie rare

Tabella 14

Sperimentazioni in malattie rare per fase
SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 167 (24,9%) in malattie rare

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	

Tabella 15

Sperimentazioni in malattie rare per Promotore profit / no profit, nazionali e internazionali
SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 167 (24,9%) in malattie rare

Tipo Promotore	Nazionali		Internazionali		Totale	
	SC	%	SC	%	SC	%
Profit	1	4,8	138	94,5	139	83,2
No profit	20	95,2	8	5,5	28	16,8
Totale	21	12,6	146	87,4	167	100,0

Ulteriori canali di accesso ai farmaci orfani in Italia

D.M. 8 maggio 2003

Legge 648/1996

Legge 326/2003 fondo AIFA

Ricerca Indipendente: Bando AIFA 2016

Le malattie rare tra le tematiche del Bando 2016

Area tematica 1 - Malattie rare: 135 progetti

Area tematica 2 - Popolazioni fragili: 160 progetti

Area tematica 3 - Medicina di genere 48 progetti

