



**Bisogno di salute:**  
**ruolo delle Società Scientifiche a supporto delle Istituzioni**

XXIII Congresso Nazionale FADOI  
12 maggio 2018, Bologna

**Mario Melazzini**

**[m.melazzini@aifa.gov.it](mailto:m.melazzini@aifa.gov.it)**

**[@mmelazzini](#)**

# 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
<b>INTERESSI DIRETTI:</b>				
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
<b>INTERESSI INDIRETTI:</b>				
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.

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso

# AIFA e le Società Scientifiche



**AGUI**  
Associazione Ginecologi  
Universitari Italiani



Associazione Italiana di Oncologia Medica



**AIPO**  
ASSOCIAZIONE  
ITALIANA  
PNEUMOLOGI  
OSPEDALIERI



ALLEANZA  
CONTRO  
IL CANCRO

**AGOGI**

ASSOCIAZIONE  
OSTETRICI GINECOLOGI  
OSPEDALIERI ITALIANI



**ASSIMEFAC**  
Associazione Società Scientifica Interdisciplinare  
e di Medicina di Famiglia e di Comunità



**CIPOMO**  
Collegio Italiano dei  
Primari Oncologi  
Medici Ospedalieri



**FIMMG**  
Federazione Italiana  
Medici di Famiglia  
adviser  
CON PROFESSIONI



Federazione  
Italiana  
Medici *Pediatri*



**FNOMGeO**  
Federazione Nazionale degli Ordini dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri



**FICOG** | Federation of Italian Cooperative  
Oncology Groups



**SICP**  
Società Italiana di Cure Palliative



Società Italiana di Ematologia



**sie**  
Società Italiana  
Endocrinologia



**SIF**  
SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA



Sindacato  
dei  
Medici  
Italiani



**SIGO**  
SOCIETÀ ITALIANA  
DI GINECOLOGIA E OSTETRICIA



CENTRO STUDI  
**SIP**  
SOCIETÀ ITALIANA DI  
PNEUMOLOGIA



**SIGOT**  
Società Italiana di Geriatria Ospedale e Territorio  
Associazione medico scientifica senza scopo di lucro



**SNaMID**  
Società Nazionale Medica  
Interdisciplinare Cure Primarie



**SIMG**  
SOCIETÀ ITALIANA DI  
MEDICINA GENERALE  
E DELLE CURE PRIMARIE



CONGRESSO NAZIONALE 12-15 maggio 2010  
**FADOI**  
Bologna  
Federazione Nazionale Medici Cardiologi Ospedalieri



Società Italiana di **Pediatria**  
dedicato a tutti i bambini, a quelli che li amano e li accudiscono



**A.N.M.C.O.**  
ASSOCIAZIONE NAZIONALE MEDICI CARDIOLOGI OSPEDALIERI



**SID**  
Società Italiana  
di Diabetologia

## Art. 32.

La Repubblica tutela la salute come fondamentale diritto dell'individuo e interesse della collettività, e garantisce cure gratuite agli indigenti.

Nessuno può essere obbligato a un determinato trattamento sanitario se non per disposizione di legge. La legge non può in nessun caso violare i limiti imposti dal rispetto della persona umana.

**Legge n. 833 del 23 dicembre 1978** istituisce il “Servizio Sanitario Nazionale”: tutela la salute dei cittadini, garantisce, a partire dagli indigenti, l'accesso alle cure primarie anche tramite la dispensazione di **farmaci essenziali**.

**AIFA:** tutela della Salute attraverso i farmaci; garantire unitarietà ed omogenità del sistema farmaceutico; favorire l'equilibrio economico della spesa farmaceutica

**L. 24 novembre 2003, n. 326 "Conversione in legge, DL 30 settembre 2003, n. 269"**

**Art. 48 comma 5 c)** provvedere entro il 30 settembre di ogni anno, o semestralmente nel caso di sfondamenti del tetto di spesa di cui al comma 1, a redigere l'elenco dei farmaci rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale, sulla base dei criteri di costo e di efficacia in modo da assicurare, su base annua, il rispetto dei livelli di spesa programmata nei vigenti documenti contabili di finanza pubblica, nonché, in particolare, il rispetto dei livelli di spesa definiti nell'Accordo tra Governo, regioni e province autonome di Trento e Bolzano

- Sperimentazione e ricerca
- Registrazione dei farmaci
- Attività di HTA
- Negoziazione dei prezzi e rimborsabilità
- Monitoraggio e governo della spesa farmaceutica
- Attività di FV e garanzia della sicurezza dei farmaci
- Attività Ispettive
- Farmaci contraffatti
- Rapporti internazionali
- Informazione scientifica

- **Sviluppo delle conoscenze** scientifiche e tecnologiche;
- **Sviluppo di nuovi farmaci;**
- **Sostenibilità economica e “governance”** del sistema in un contesto caratterizzato da nuovi farmaci ad alto costo;
- **Garanzia** per i pazienti di un **accesso rapido ai nuovi farmaci;**
- **Pazienti** più informati e consapevoli;

**Bisogni sanitari  
e assistenziali**

L'impatto delle tecnologie sanitarie sulla soddisfazione dei bisogni e sulla spesa totale non è misurabile direttamente: **l'innovazione è continua** e gli impatti di diverse innovazioni sono intercorrelati.

**Accessibilità  
VS  
Sostenibilità**

**Costi alti e  
risultati incerti**

**Innovazione**



*Public spending on health and long-term care: a new set of projections. OECD  
ECONOMIC POLICY PAPERS, NO.6 © OECD 2013*

*New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability © OECD 2017*

[http://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Healthcare\\_expenditure\\_statistics](http://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Healthcare_expenditure_statistics)

# Spesa farmaceutica nel periodo 1985 – 2017

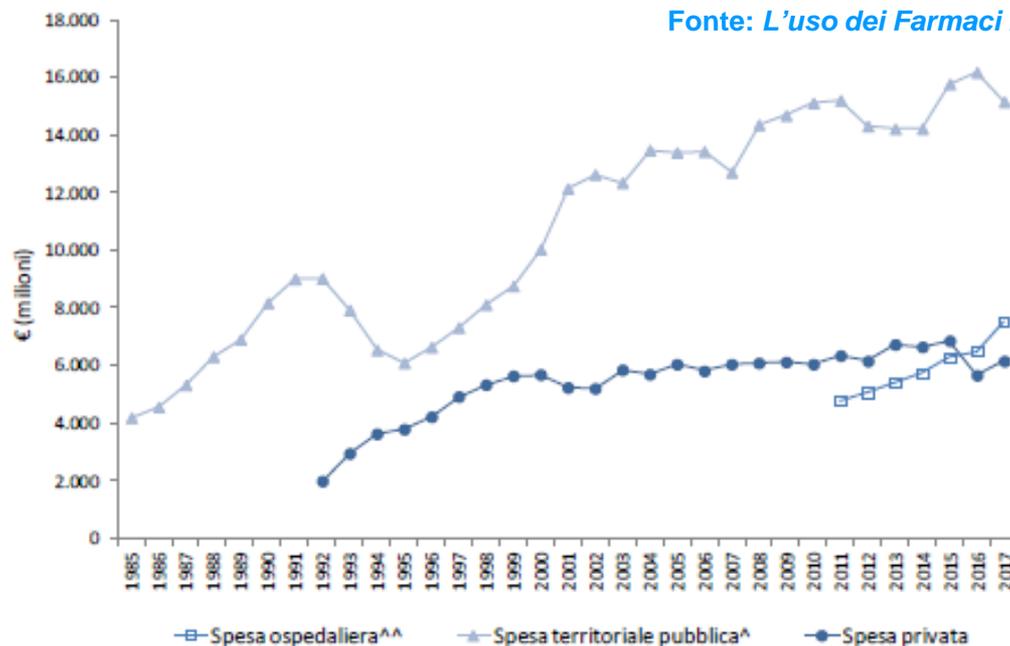
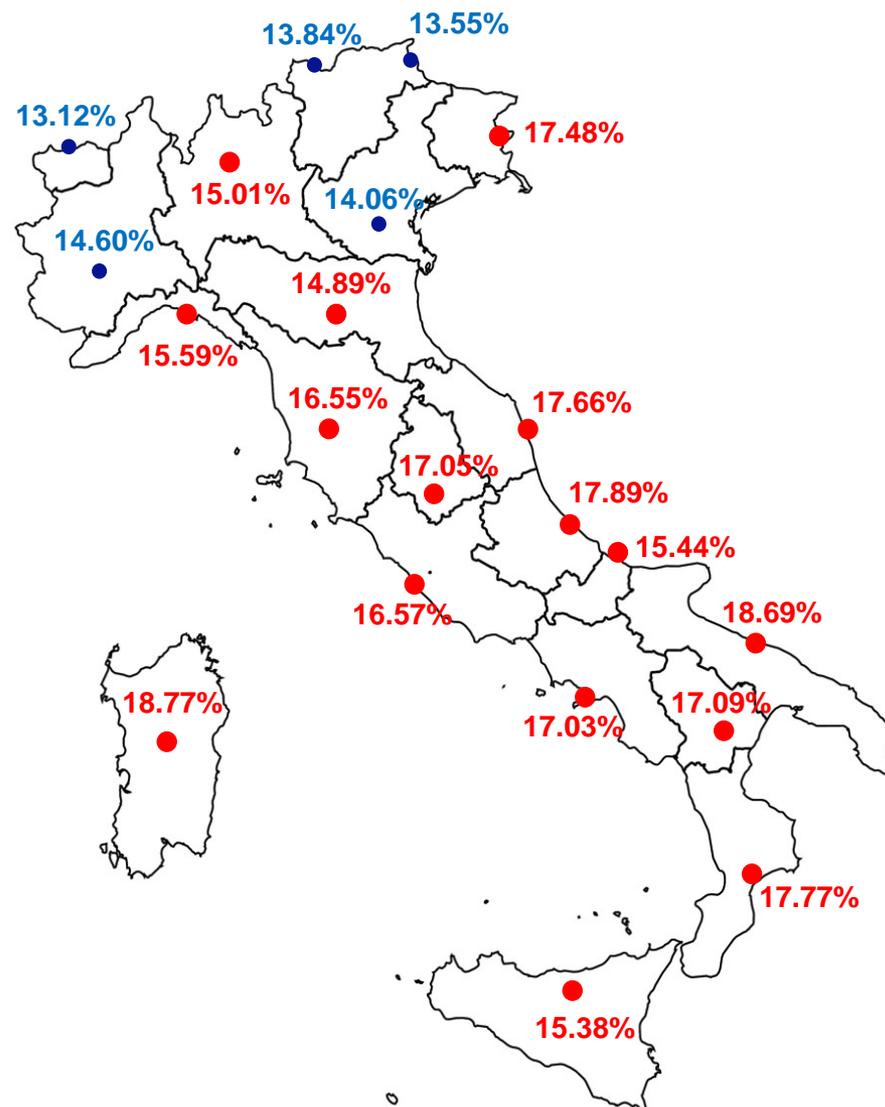


Tabella 2.1 Spesa pro capite SSN per I livello ATC in ordine decrescente di spesa: confronto primi nove mesi 2016-2017

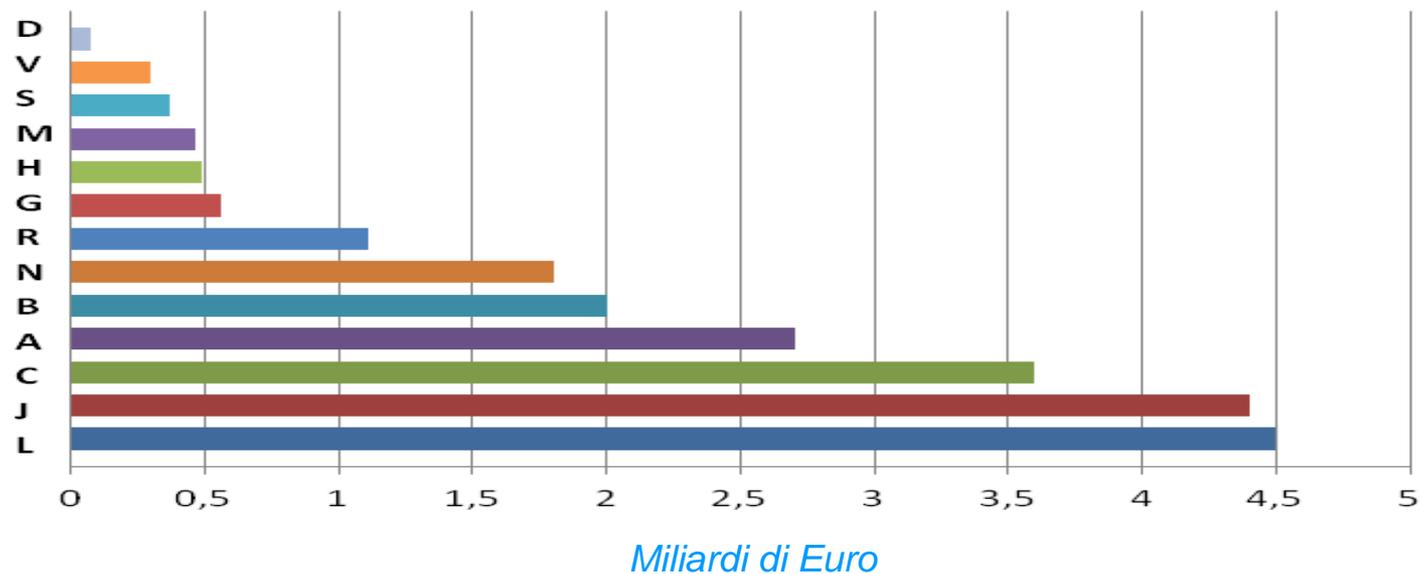
I livello ATC	Spesa pro capite A-SSN		Spesa pro capite Strutture sanitarie pubbliche (b)		Spesa SSN (a+b)	
	Assistenza convenzionata (a)	Δ% 17-16		Δ% 17-16		Δ% 17-16
L	2,94	-0,5	59,35	11,3	62,29	10,7
J	9,72	-1,4	36,39	-20,9	46,11	-17,5
C	40,37	-2,5	3,79	8,4	44,17	-1,6
A	24,57	2,4	9,49	1,7	34,06	2,2
B	6,10	-2,9	19,63	2,5	25,73	1,1
N	16,92	1,1	6,34	16,0	23,26	4,7
R	12,29	-0,8	1,50	28,2	13,79	1,7
G	5,19	-3,0	1,43	-11,8	6,62	-5,1
H	2,83	19,8	3,44	-7,9	6,27	2,8
M	4,64	-6,0	0,98	18,2	5,61	-2,5
S	2,86	-0,1	1,84	8,7	4,70	3,1
V	0,10	-0,9	3,89	4,6	3,99	4,7
D	0,71	5,5	0,27	13,2	0,98	7,5
P	0,16	1,4	0,02	25,4	0,18	3,8
<b>Totale</b>	<b>129,41</b>	<b>-0,5</b>	<b>148,35</b>	<b>-1,0</b>	<b>277,76</b>	<b>-0,7</b>

# Spesa farmaceutica gennaio- novembre 2017

	ITALIA
FSN gen-nov 17	102.535.012.065
Risorse complessive 14,85%	15.226.449.292
Spesa convenzionata	7.765.205.039
Spesa per acquisti diretti	8.611.331.111
Spesa complessiva	16.376.536.150
Scostamento assoluto	1.150.086.858
Inc. %	15.97%



# Impatto spesa sul SSN



antineoplastici ed immunomodulatori, antimicrobici e cardiovascolari

**Costo medio di una intera terapia antitumorale:**

- 3.853 euro nel periodo 1995-1999
- **44.900** euro nel periodo 2010-2014
- **70.000-100.000** euro: proiezione nel periodo 2018-2020
- **Terapie avanzate one-shot: 350.000 – 500.000 € e oltre**

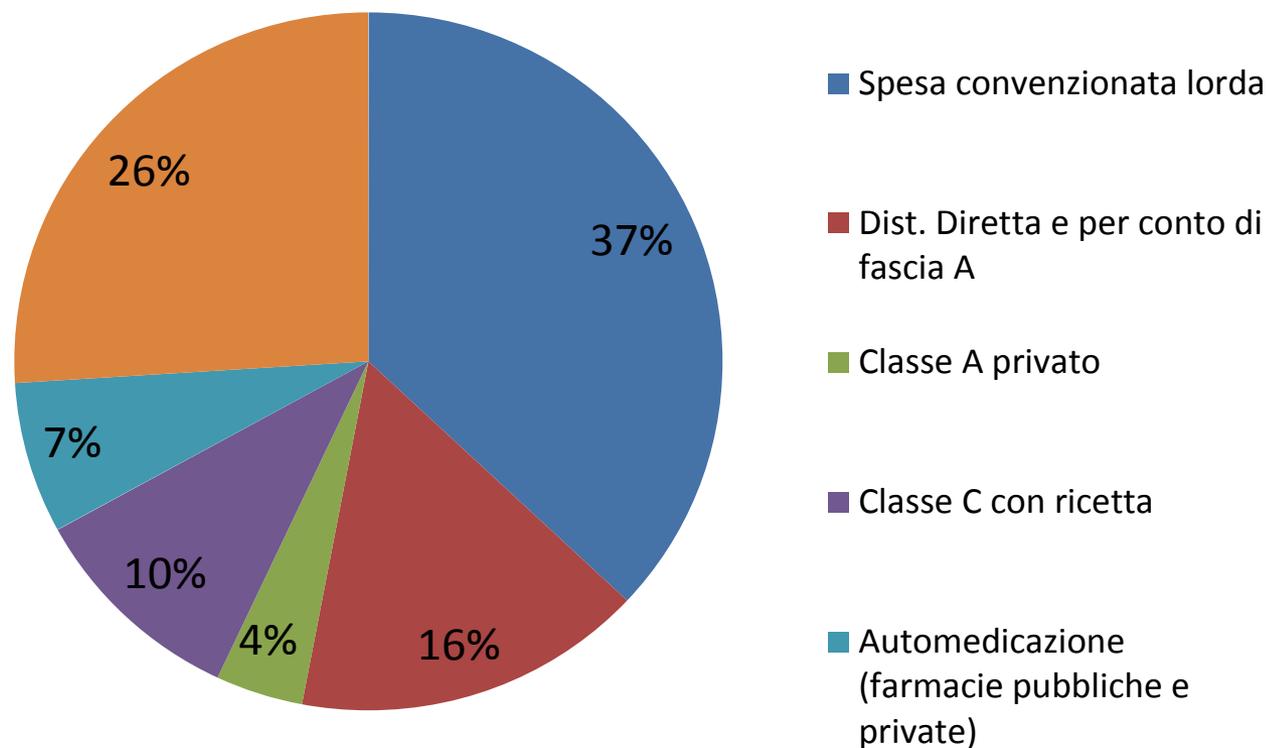
# Fondi per i farmaci innovativi oncologici e non oncologici

## gennaio-novembre 2017

	A	B	C	D	E=B-C-D	F	G	H	I=E-H	J	K
Regione	Spesa tracciabilità totale^	Spesa tracciabilità (SOLO A e H - Colonne B e C Tab.12)	Spesa tracciabilità Innovativi Non Oncologici^	Spesa tracciabilità Innovativi Oncologici	Spesa tracciabilità A e H farmaci non Innovativi	Payback totale**	Payback Farmaci innovativi	Payback Farmaci non Innovativi	Acquisti diretti farmaci Non Innovativi	Scostamento spesa Innovativi non Oncologici dal fondo	Scostamento spesa Innovativi Oncologici dal fondo innovativi (Cfr. Colonna F Tab.9bis)
PIEMONTE	753.338.093	711.148.420	73.485.276	24.647.640	613.015.505	85.293.328	60.250.673	25.042.655	587.972.850	-33.748.234	-22.335.197
V .D'AOSTA	16.647.714	15.519.651	954.481	500.010	14.065.159	1.511.221	944.394	566.827	13.498.333	10.087	500.010
LOMBARDIA	1.554.904.203	1.481.846.431	203.287.451	51.935.105	1.226.623.874	176.060.501	130.731.880	45.328.621	1.181.295.253	5.318.557	-15.301.910
P.A. BOLZANO	80.092.833	75.186.914	4.398.891	3.657.473	67.130.550	5.128.601	2.473.033	2.655.568	64.474.981	1.925.859	3.657.473
P.A. TRENTO	70.581.174	66.101.648	4.026.240	2.539.569	59.535.839	5.391.603	3.133.820	2.257.783	57.278.056	892.419	2.539.569
VENETO	790.960.432	746.679.317	65.557.250	24.867.686	656.254.381	71.083.768	47.054.099	24.029.668	632.224.712	-21.615.953	-15.251.419
FRIULI V.G.	232.773.313	221.271.078	13.533.273	10.502.793	197.235.011	15.333.535	7.533.569	7.799.966	189.435.045	5.999.704	10.502.793
LIGURIA	309.571.576	294.188.883	26.776.530	12.494.481	254.917.873	29.740.776	20.243.813	9.496.963	245.420.910	-4.568.832	1.392.932
E. ROMAGNA	859.217.185	810.634.132	68.533.002	34.390.832	707.710.298	84.803.435	61.483.622	23.319.813	684.390.485	-30.452.730	-3.111.278
TOSCANA	773.998.239	738.524.514	50.761.009	31.471.118	656.292.387	79.720.952	56.562.032	23.158.920	633.133.467	-27.673.592	9.598.549
UMBRIA	180.920.077	171.383.201	12.692.224	6.319.570	152.371.407	11.803.725	6.831.657	4.972.068	147.399.339	-3.401.607	-2.942.604
MARCHE	311.961.311	289.173.057	17.094.236	11.618.762	260.460.059	22.014.189	13.676.966	8.337.224	252.122.835	-6.093.375	2.108.116
LAZIO	1.018.180.354	976.606.147	76.315.457	38.278.334	862.012.356	99.604.328	65.404.112	34.200.217	827.812.139	-44.645.907	-17.278.918
ABRUZZO	240.375.164	229.921.306	13.732.834	8.402.641	207.785.832	19.872.093	9.709.738	10.162.355	197.623.476	-4.507.577	-128.032
MOLISE	54.709.348	52.767.615	3.383.864	1.606.569	47.777.182	4.967.263	3.435.929	1.531.334	46.245.848	-3.674.387	-2.015.754
CAMPANIA	1.113.155.621	1.065.213.707	142.829.175	38.525.439	883.859.093	159.256.887	128.054.542	31.202.346	852.656.748	-61.629.305	-37.878.499
PUGLIA	832.516.422	799.533.400	74.005.963	26.733.649	698.793.788	93.538.978	66.824.398	26.714.581	672.079.207	-19.267.276	284.808
BASILICATA	116.004.090	108.528.377	9.906.766	3.440.889	95.180.723	8.340.967	5.455.320	2.885.647	92.295.076	145.727	-864.829
CALABRIA	372.530.943	356.526.362	33.454.065	8.299.961	314.772.336	39.041.921	27.485.710	11.556.210	303.216.126	-11.577.377	-9.245.771
SICILIA	810.124.061	775.229.404	74.623.864	22.019.335	678.586.205	82.585.410	58.757.627	23.827.783	654.758.422	-6.464.617	-311.518
SARDEGNA	380.637.571	329.647.255	30.359.876	10.335.733	288.951.646	42.353.113	29.399.269	12.953.844	275.997.802	960.606	10.335.733
<b>ITALIA</b>	<b>10.873.199.725</b>	<b>10.315.630.819</b>	<b>999.711.727</b>	<b>372.587.589</b>	<b>8.943.331.504</b>	<b>1.137.446.597</b>	<b>805.446.204</b>	<b>332.000.393</b>	<b>8.611.331.111</b>	<b>-264.067.810</b>	<b>-85.745.745</b>

## Composizione della spesa

**Totale :  
21.668 miliardi €**



\*al netto della spesa per i farmaci erogati in distribuzione diretta e per conto di fascia A e della spesa per i vaccini

# Futuro e Innovazione: realizzabile e sostenibile?

- ❖ Immunoterapie
- ❖ Nuovi antitumorali;
- ❖ Terapie avanzate
- ❖ MoAb per Alzheimer e per demenze;
- ❖ Terapia genica,
- ❖ Sensoristica,
- ❖ 3D printing,
- ❖ Cellule staminali,
- ❖ Wearable devices
- ❖ Robotica
- ❖ Farmaci combinati con nanotecnologie

## Come può il nostro SSN sostenere tutto ciò?

(tetti spesa 2017: tot-14,85%-convenzionata 7,96%-acquisti diretti 6,89%)



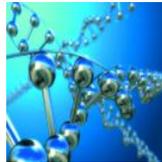
*'There is a side effect with this new drug - the NHS goes bankrupt'*

# Exponential, disruptive technologies



## AI, Machine Learning, Omics

Cognitive capabilities that can find patterns in genomic or other data to create care unique to an individual



## Synthetic Biology & Nanotech

The ability to produce synthetic tissues and organs creates new opportunities for surgical therapy and device production

Nuovi scenari medico-scientifici



## Networks & Sensors

Increased speed and declining costs of computation, network connectivity and sensing



## Digital Medicine

Increasing the sensing capabilities focused around the human body



## DIY & the Maker Movement

The creativity unlocked when the public has access to the tools needed to create manufactured works themselves



## Incentive Competitions

Using a prize based competition to evoke a community to participate in solving a problem



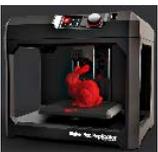
## Virtual / Augmented Reality

Immersive 3D representations to what a person sees to allow advanced simulation or digitally-enhanced problem solving



## Gamification

Leveraging game mechanics to incentivize individual or group behaviors



## Additive Manufacturing

3D scanning, digital design, and 3D printing digitize the creation / distribution of products



## Crowdsourcing & Micro-work

Leveraging communities external to an organization to achieve a specific goal



## Crowdfunding

Leveraging the public to fund the creation of a product or company

MA Scientific Advice

Interoperabilita' e condivisione di (open)data al fine di verificare la coerenza con le valutazioni di HTA e le linee guida

Ruolo attivo del paziente nel supportare i processi e le decisioni regolatorie e la gestione della spesa

Nuovi strumenti?  
Nuove attività?  
Nuove strutture?  
Nuovi modelli?

Horizon scanning

Collaborazione tra Stati membri UE nella valutazione congiunta della negoziazione dei prezzi e dell'approvvigionamento

La disponibilita' dei big data puo' consentire accordi con nuovi modelli di pagamento

Farmacogenomica come parte della pratica clinica e del processo decisionale regolatorio

Data base and analysis office



The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

# Accelerated Approval and Expensive Drugs — A Challenging Combination

Walid F. Gellad, M.D., M.P.H., and Aaron S. Kesselheim, M.D., J.D., M.P.H.

**Selected Drugs That Have Received Accelerated Approval since 2011 and Their Listed Cost.\***

Approval Year	Drug (Brand Name)	Initial Indication	Surrogate Measure Used for Approval	Current Cost (\$/mo)
2011	Crizotinib (Xalkori)	Anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive locally advanced or metastatic non-small-cell lung cancer	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	14,353
2012	Bedaquiline (Sirturo)	In combination therapy for pulmonary multidrug-resistant tuberculosis	Time to sputum culture conversion	6,000
2013	Pomalidomide (Pomalyst)	Multiple myeloma that has progressed despite receipt of two prior therapies	Overall response rate, based on European Group for Blood and Marrow Transplant criteria	14,165
2014	Blinatumomab (Blinicyto)	Philadelphia chromosome-negative relapsed or refractory B-cell acute lymphoblastic leukemia	Complete remission or complete remission with partial hematologic recovery rate	56,262
2014	Pembrolizumab (Keytruda)	Unresectable or metastatic melanoma with disease progression	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	9,252
2014	Ceritinib (Zykadia)	ALK-positive locally advanced or metastatic non-small-cell lung cancer with disease progression or intolerance to crizotinib	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	14,628
2015	Panobinostat (Farydak)	Multiple myeloma that has progressed despite receipt of two prior therapies	Progression-free survival based on European Group for Blood and Marrow Transplant criteria	10,625
2015	Palbociclib (Ibrance)	Postmenopausal women with metastatic estrogen receptor-positive, human epidermal growth factor receptor 2-negative advanced breast cancer	Progression-free survival based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	11,224
2016	Eteplirsen (Exondys 51)	Duchenne's muscular dystrophy in patients with confirmed mutation amenable to exon 51 skipping	Increase in dystrophin in skeletal muscle	57,600



*The* **NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE**  
**First FDA Approval Agnostic of Cancer Site**  
**— When a Biomarker Defines the Indication**

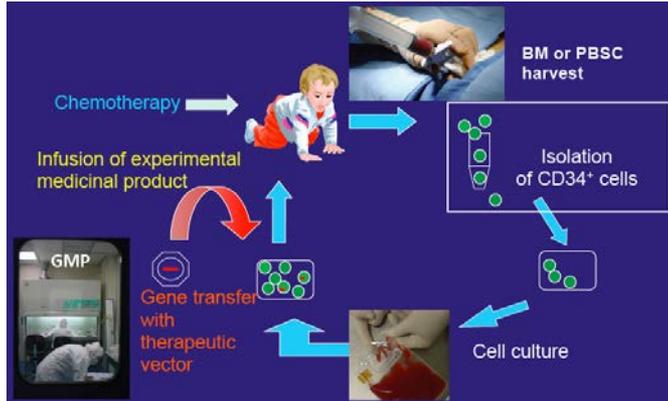
Perspective  
 OCTOBER 12, 2017

Steven Lemery. M.D., M.H.S., Patricia Keegan. M.D., and Richard Pazdur. M.D.

## Il modello di R&D e MA

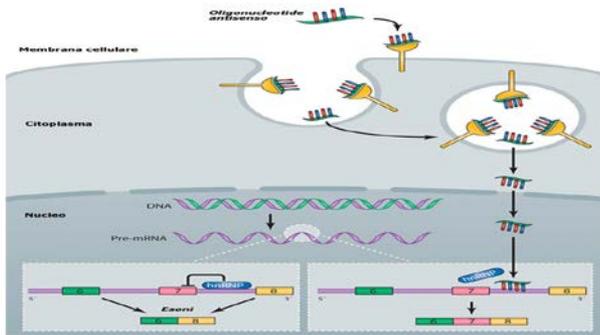
Presente	Futuro
Istologia	Biomarker
Popolazione - Biomarker	Farmaco
Farmaco	Indicazione
Indicazione	Indipendente da istologia





## Strimvelis®

- Indicato per il trattamento di pazienti con immunodeficienza grave combinata da deficit di adenosina deaminasi (ADA-SCID), per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA (antigene leucocitario umano)-compatibili.
- Determina n. 1028/2016 (GU Serie Generale n.178 del 01-08-2016)

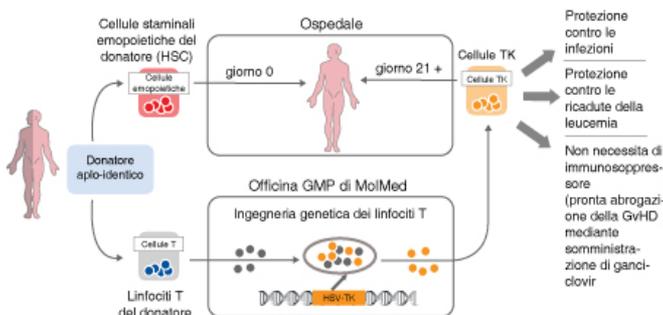


## Spinraza® (nusinersen)

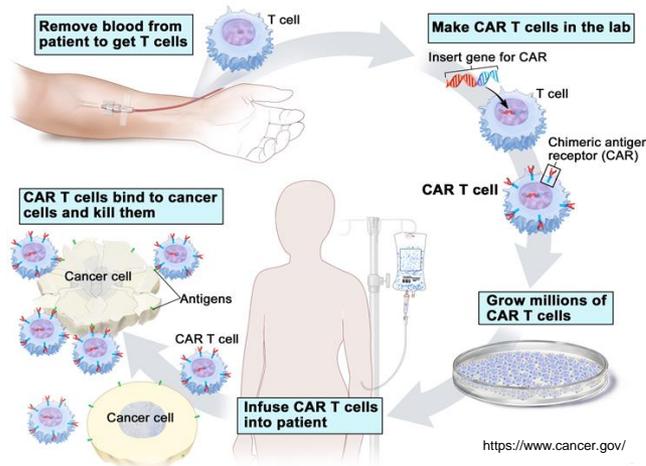
- Indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q.
- Determina n. 1611/2017 (GU Serie Generale n.226 del 27-09-2017)

## Zalmoxis® (Molmed)

- Indicato come trattamento aggiuntivo nel trapianto aploidentico di cellule staminali emopoietiche (HSCT) in pazienti adulti con neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio.
- Determina n. 139/2018 (GU Serie Generale n.37 del 14-02-2018)



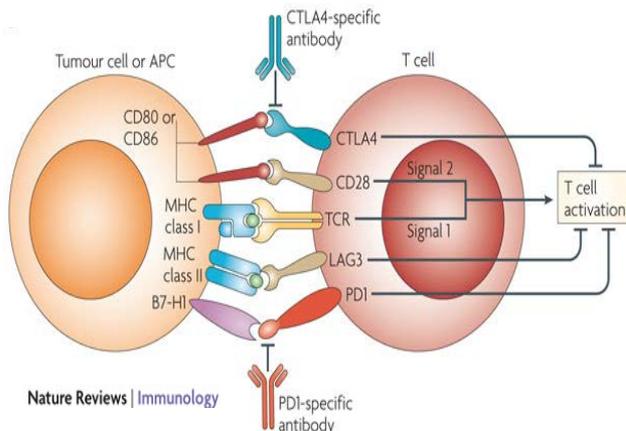
## Terapie avanzate: CAR-T cells



**Kymriah®:** trattamento della **Leucemia Linfoblastica Acuta** in pazienti fino a 25 anni di età nel caso di fallimento terapeutico delle terapie standard

**Yescarta®:** trattamento di alcuni tipi di **linfomi a grandi cellule B** negli adulti che non hanno risposto o hanno subito una ricaduta dopo almeno due precedenti trattati

## mAb: Immunoterapia e neoplasie



	Indicazione	Autorizzazione EU
<b>atezolizumab</b>	in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma uroteliale	21/09/2017
<b>avelumab</b>	in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma a cellule di Merkel (Merkel Cell Carcinoma, MCC) metastatico	18/09/2017
<b>nivolumab</b>	per il trattamento del melanoma, cancro polmonare non a piccole cellule, carcinoma renale, linfoma Hodgkin, cancro a cellule squamose testa/collo, carcinoma uroteliale	19/06/2015

REVIEW

Open Access



# Precision medicine: from pharmacogenomics to pharmacoproteomics

Allison B. Chambliss<sup>1,2\*</sup> and Daniel W. Chan<sup>1</sup>

Published in final edited form as:

*Metabolomics*. 2016 July ; 12(7): . doi:10.1007/s11306-016-1066-x.

## Pharmacometabolomics informs Pharmacogenomics

Drew Neavin<sup>1</sup>, Rima Kaddurah-Daouk<sup>2</sup>, and Richard Weinshilboum<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Department of Molecular Pharmacology and Experimental Therapeutics, 200 First Street SW, Mayo Clinic, Rochester, MN 55905

<sup>2</sup>Department of Psychiatry and Behavioral Medicine, Duke Institute for Brain Sciences, 3552, Blue Zone, Duke South, Durham, NC 27710

EXPERT OPINION ON DRUG DISCOVERY, 2018  
<https://doi.org/10.1080/17460441.2018.1394839>



Taylor & Francis  
Taylor & Francis Group

EDITORIAL



## Advances in omics for informed pharmaceutical research and development in the era of systems medicine

Jane P. F. Bai<sup>a</sup>, Ioannis N. Melas<sup>b</sup>, Junguk Hur<sup>c</sup> and Ellen Guo<sup>d</sup>

<sup>a</sup>Office of Clinical Pharmacology, Center for Drug Evaluation and Research, U.S. Food and Drug Administration, Silver Spring, Maryland, USA;

<sup>b</sup>Translational Bioinformatics, UCB Celltech, Slough, UK; <sup>c</sup>Department of Biomedical Sciences, University of North Dakota, School of Medicine & Health Sciences, Grand Forks, North Dakota, USA; <sup>d</sup>College of Pharmacy, University of Illinois at Chicago, Chicago, Illinois, USA

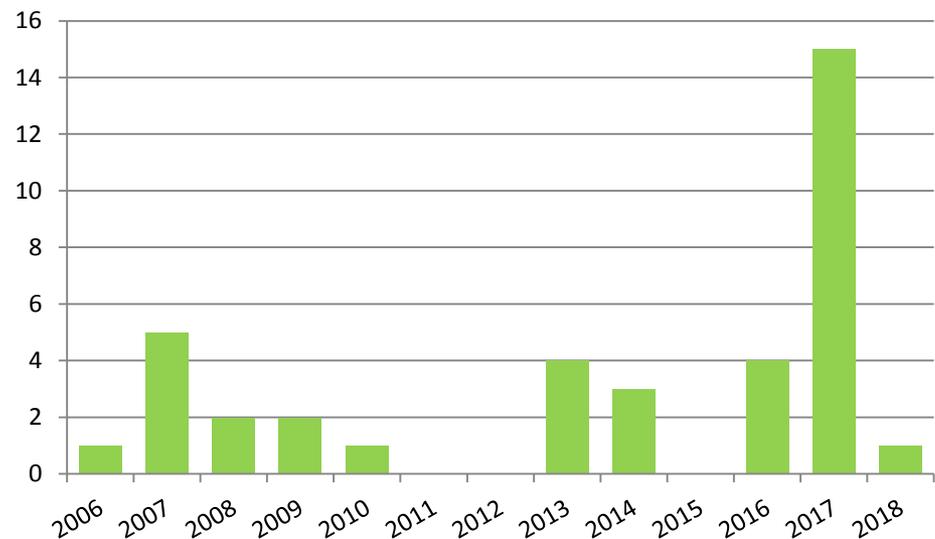
**ARTICLE HISTORY** Received 1 September 2017; Accepted 17 October 2017

**KEYWORDS** Omics; drug discovery and development; genetic disorders; systems medicine; disease-on-chip; cancers

- **Società scientifiche**
- Commissioni Regionali e aziende ospedaliere
- Operatori sanitari
- Associazioni di pazienti
- Associazioni della società civile
- Associazioni di categoria industriale
- Aziende farmaceutiche

## Biosimilari approvati in Europa 2006 - 2018

- ✧ 38 Biosimilari autorizzati
- ✧ 15 sostanze



In Italia la posizione dell'AIFA chiarisce che i medicinali biologici e biosimilari non possono essere considerati *sic et simpliciter* alla stregua dei prodotti generici, o equivalenti.

Pur considerando che la scelta di trattamento rimane una decisione clinica affidata al medico prescrittore, a quest'ultimo è anche affidato il compito di contribuire a un utilizzo appropriato delle risorse ai fini della sostenibilità del sistema sanitario e la corretta informazione del paziente sull'uso dei biosimilari.

Come dimostrato dal processo regolatorio di autorizzazione, il rapporto rischio-beneficio dei biosimilari è il medesimo di quello degli originatori di riferimento. Per tale motivo, l'AIFA considera i biosimilari come prodotti intercambiabili con i corrispondenti originatori di riferimento. Tale considerazione vale tanto per i pazienti *naïve* quanto per i pazienti già in cura.

Inoltre, in considerazione del fatto che il processo di valutazione della biosimilarità è condotto, dall'EMA e dalle Autorità regolatorie nazionali, al massimo livello di conoscenze scientifiche e sulla base di tutte le evidenze disponibili, non sono necessarie ulteriori valutazioni comparative effettuate a livello regionale o locale.

# Previsione di risparmio (in milioni di €)

PRODOTTO	Flusso Tracciabilità 12 mesi	Fatturato			Previsione risparmio 0,1			Previsione risparmio 0,25			DM Scagioni	Previsione risparmio		
		3 anni	5 anni	10 anni	3 anni	5 anni	10 anni	3 anni	5 anni	10 anni		3 anni	5 anni	10 anni
		adalimumab Humira®	€ 285,0	€ 855	€ 1.425	€ 2.850	€ 85	€ 142	€ 285	€ 214		€ 356	€ 712	0,5
bevacizumab Avastin®	€ 223,0	€ 669	€ 1.115	€ 2.230	€ 67	€ 111	€ 223	€ 167	€ 279	€ 557	0,5	€ 334	€ 557	€ 1.115
trastuzumab Herceptin®	€ 280,1	€ 840	€ 1.400	€ 2.801	€ 84	€ 140	€ 280	€ 210	€ 350	€ 700	0,5	€ 420	€ 700	€ 1.400
pegfilgrastim Neulasta®	€ 27,7	€ 83	€ 138	€ 277	€ 8	€ 14	€ 28	€ 21	€ 35	€ 69	0,32	€ 27	€ 44	€ 89
<b>TOTALE</b>	<b>€ 816</b>	<b>€ 2.447</b>	<b>€ 4.078</b>	<b>€ 8.157</b>	<b>€ 245</b>	<b>€ 408</b>	<b>€ 816</b>	<b>€ 612</b>	<b>€ 1.020</b>	<b>€ 2.039</b>		<b>€ 1.209</b>	<b>€ 2.014</b>	<b>€ 4.029</b>

### L' **Autorità competente nazionale:**

- coordinerà la valutazione degli studi clinici
- farà da referente
- fornirà una prima valutazione dello studio

### Le **Autorità competenti degli altri Stati membri** forniranno:

- i propri commenti
- la loro decisione finale sull'autorizzazione

### Le **associazioni di pazienti** saranno coinvolte:

- nella definizione, in particolare per le malattie rare,
  - ✧ dei **protocolli di ricerca**
  - ✧ delle procedure di **valutazione e autorizzazione** sperimentazioni
- ✧ come **componenti del Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali**

**DM 19 aprile 2018 “Costituzione del Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici, ai sensi dell’articolo 2, comma 1, della legge 11 gennaio 2018, n. 3” (GU n.107 del 10-5-2018)**

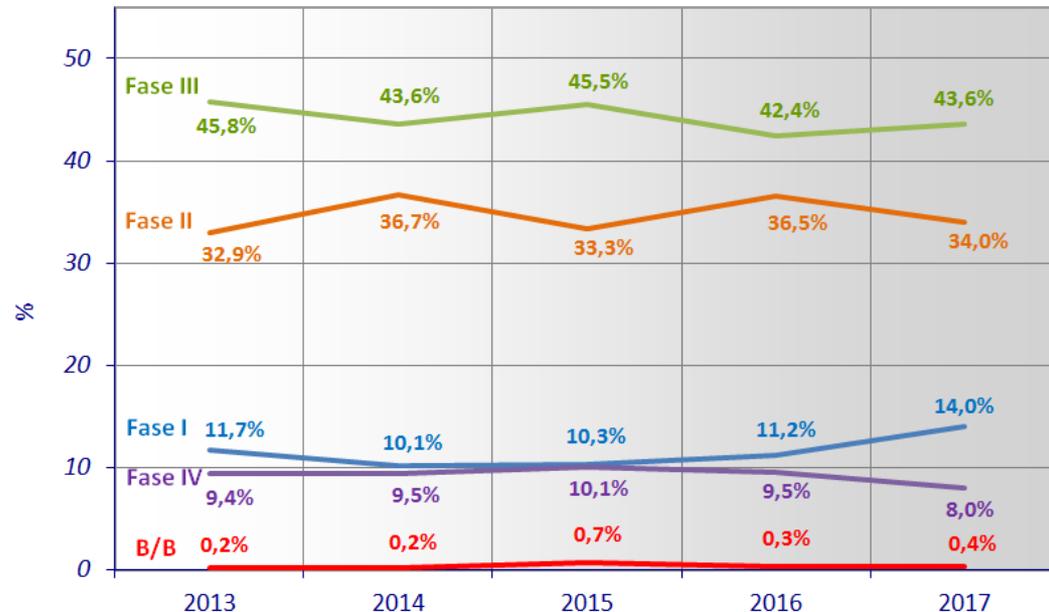
- Funzioni di supporto e di consulenza in materia di valutazione delle SC
- Procedure di valutazione delle SC che richiedono una revisione
- Monitoraggio attività dei comitati etici territoriali

Coinvolgimento delle **Società Scientifiche per supporto** :

- Nell’individuazione dei **requisiti dei centri autorizzati** alla conduzione delle sperimentazioni cliniche dalla fase I alla fase IV
- In **materia di sperimentazione scientifica**
- Nei programmi obbligatori di **formazione continua in medicina**
- Nell’**aggiornamento periodico** del personale medico, sanitario e socio-sanitario impegnato nella sperimentazione clinica dei medicinali

# Sperimentazioni cliniche aa 2013 - 2017

Anno	Totale
	SC
2013	583
2014	592
2015	672
2016	660
2017	564
<b>Totale</b>	<b>3.071</b>



- **78%** delle SC sono **multicentriche**
- **42,2%** di SC ambito **oncologico ed emato-oncologico**
- **25.5%** delle SC su malattie rare
- **60%** dei principi attivi sono **di natura chimica**
- **35%** dei principi attivi sono di **natura biologica**

# Voluntary Harmonization Procedure (VHP)

- Progetto **pilota** per la **valutazione** dei protocolli clinici di **fase I-IV multicentrici** che si svolgono in **più Stati membri dell'UE**
- **Valutazione armonizzata, coordinata e contemporanea** per tutti gli Stati
- Alla valutazione, segue **ratifica** da parte delle autorità competenti nazionali

## Sperimentazioni presentate in Europa tramite VHP

SC presentate nel quinquennio: 957

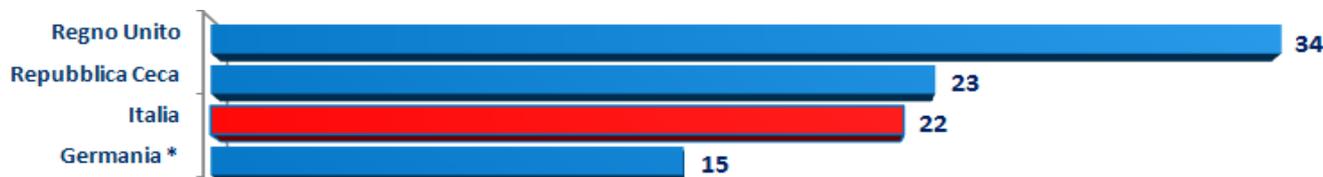
Anno	SC presentate (a)	SC presentate con richiesta di coinvolgimento dell'Italia (b)	% (b)/(a)	SC presentate con partecipazione dell'Italia (c)	% (c)/(b)	SC presentate con partecipazione dell'Italia come Stato Membro di riferimento (d)	% (d)/(c)
2013	166	99	59,6	83	83,8	1	1,2
2014	173	95	54,9	9	9,5	0	0,0
2015	218	131	60,1	116	88,5	19	16,4
2016	209	122	58,4	122	100,0	27	22,1
2017	191	117	61,3	106	90,6	22	20,8
Totale	957	564	58,9	436	77,3	69	15,8

## Sperimentazioni valutate dall'Italia tramite VHP per fase

SC valutate nel 2017: 106

Fase	2017	
	SC	%
FIH	2	1,9
Fase I	6	5,7
Fase II	29	27,4
Fase III	64	60,4
Fase IV	5	4,7
Totale	106	100,0

## Sperimentazioni seguite come autorità competente referente da ogni singolo Stato membro che aderisce al progetto VHP nell'anno 2017



## Bando 2016

Nr. protocolli presentati	343
Malattie Rare	135
Popolazioni fragili	160
Medicina di genere	48

**40 studi finanziati**  
**31.294.724 euro**

## Bando 2017

Malattie Rare	151
Malattie pediatriche	50
Medicina di genere	56
Sicurezza ed efficacia dei farmaci nelle popolazioni anziana e ultra-anziana	122
Resistenza agli antibiotici	35

## **Il futuro: consapevolezza concreta del presente**

L'utile ed il funzionale per garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti che devono ricevere la terapia appropriata, sulla base delle linee guida condivise dalla Comunità Scientifica nazionale e internazionale nel miglior rapporto costo-beneficio

***"Intelligence is the ability to adapt to change"***

***"Ricordatevi di guardare le stelle e non i vostri piedi...Per quanto difficile possa essere la vita, c'è sempre qualcosa che è possibile fare, e in cui si può riuscire."***

***Stephen Hawking***

