

STATO DELL'ASSISTENZA ALLE PERSONE CON MALATTIA RARA IN ITALIA: IL CONTRIBUTO DELLE REGIONI

Venezia, 21 Aprile 2015

LE SOMMINISTRAZIONI DOMICILIARI DEI FARMACI ORFANI E I REGISTRI DEI FARMACI

- Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia
- Centro di Ricerche Cliniche per le Malattie Rare, IRCCS Istituto Mario Negri, Ranica, Bergamo

Farmaci Orfani

- I farmaci orfani sono medicinali caratterizzati da scarsa redditività
 - Per questo motivo, la loro commercializzazione non risulta in generale vantaggiosa per le imprese produttrici
-

Categorie di farmaci orfani

- ❑ Farmaci utilizzati in condizioni a bassa frequenza (es. calamità naturali, avvelenamenti)
 - ❑ Farmaci per malattie diffuse nei paesi poveri
 - ❑ Farmaci dai costi di ricerca e sviluppo molto elevati
 - ❑ Farmaci a brevetto scaduto
 - ❑ **Farmaci per malattie rare**
-

The "gold standard"

- Orphan drugs must go through the same development process as any other drug and must be shown to meet the same standards for effectiveness and safety as a drug for a common condition

Il Regolamento europeo per i farmaci orfani

- Chi è colpito da una malattia rara ha diritto alla stessa qualità di trattamento di ogni cittadino europeo
- Senza incentivi non vi è possibilità di procedere nello sviluppo di farmaci destinati a pochi individui

Il percorso di un farmaco orfano

□ Designazione

- Sono disponibili elementi che suggeriscono come un prodotto abbia le caratteristiche per diventare un farmaco efficace nella cura di una malattia rara
 - Se viene *designato*, il prodotto avrà diritto ai benefici previsti dal Regolamento sui farmaci orfani
-

Committee for Orphan Medicinal Products (COMP)

- Lo status di orfano riconosciuto dal COMP implica per il produttore
 - Esclusività per lo sfruttamento del farmaco per un periodo di 10 anni
 - Assistenza nel completamento dei protocolli di studio
 - Sgravi fiscali sulle procedure centralizzate per ottenere l'approvazione da parte dell'EMA
 - ...
-

Il percorso di un farmaco orfano

□ Autorizzazione (al commercio)

- Le ricerche condotte, anche grazie ai benefici del regolamento, permettono di concludere che il farmaco è efficace nella cura di una malattia rara
 - Può essere dato parere favorevole alla commercializzazione con procedura centralizzata
-

Legislazione europea per i farmaci orfani (2000 – 2010)

Dalla designazione ...	
Richieste di designazione	845
Parere positivo (COMP)	684 (80.90%)
Parere negativo	14 (1.7%)
Revoca della richiesta	147 (17.4%)
... alla disponibilità sul mercato	
Richieste autorizzazione al commercio	108
Prodotti approvati (EMA)	63 (58.3%)
Indicazioni autorizzate	73
Malattie trattate	46

Per avere un termine di paragone...

- Nei primi 25 anni dall'introduzione della legge per i farmaci orfani negli USA (1983, Orphan Drug Act)
 - 250 farmaci approvati
 - 200 malattie rare trattate
-

Farmaci orfani in Italia

Aggiornamento al luglio 2013	
Farmaci autorizzati dall'EMA	64
Inseriti nel Prontuario (AIFA)	46
A carico del SSN	39
Non inseriti nel Prontuario	18
Autorizzati nel 2012	10
Autorizzati nel 2013	2

La legge 648/96

- Un farmaco orfano può non apparire nel Prontuario, ma essere presente nelle liste previste dalla Legge 648/96, che consente di erogare farmaci a carico del SSN quando non vi sia alternativa terapeutica valida

 - Previo parere della Commissione consultiva tecnico scientifica dell'AIFA, sono in particolare inseriti nelle liste della 648/96
 - medicinali innovativi in commercio in altri Stati ma non sul territorio nazionale

 - medicinali ancora non autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica

 - medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata
-

SOMMINISTRAZIONE A DOMICILIO DI FARMACI AD ALTO COSTO PER PERSONE CON MALATTIA RARA

Documento condiviso approvato nel
giugno 2013

Domiciliazione della terapia - Esempio

- Riclassificazione, ai fini del regime di fornitura, del medicinale «Prolastin» (Alfa-1-antitripsina) (Determina n. 747/2012).

 - Medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri di riferimento individuati dalle Regioni e Province Autonome (RNRL)

 - La domiciliazione della terapia potrà avvenire solo dopo un adeguato periodo di controllo (almeno tre dosi) e monitoraggio presso i centri ospedalieri di riferimento
-

Premessa

- ❑ Le Regioni e le Province autonome hanno il compito di garantire l'assistenza domiciliare
 - ❑ Per alcuni prodotti farmaceutici spesso ad alto ed altissimo costo, specialmente per le malattie rare, la possibilità di somministrazione domiciliare è prevista dai decreti autorizzativi alla messa in commercio
 - ❑ L'accesso a tale somministrazione è un diritto del paziente, qualora le sue condizioni cliniche lo consentano
-

Cosa prevede il documento

- L'offerta dell'assistenza domiciliare deve essere garantita dal servizio pubblico anche se può in taluni casi essere integrata da un'offerta privata, secondo le procedure di acquisizione di servizi che ogni Regione o Provincia Autonoma ha definito
 - Per le Regioni che hanno deciso di avvalersi della ditta privata di assistenza domiciliare deve essere esclusa la presenza di conflitti di interesse della ditta di assistenza infermieristica
-

Cosa prevede il documento

- Sono anche possibili e idealmente da incentivare iniziative legislative regionali e le conseguenti attività per la formazione dei pazienti e dei care-giver per l'autosomministrazione a domicilio dei trattamenti, qualora le condizioni lo consentano.
-

Esempio di normativa regionale

□ Regione Marche

- Delibera 1557 del 18/11/2013

Legislazione europea per i farmaci orfani (2000 – 2010)

- 845 candidate orphan drug designations
- 63 orphan drugs granted
- RCT were done for 38 orphan drugs
 - One third were tested in trials involving fewer than 100 patients (>50% in trials with 100-200 cases)
 - For 42.9 % of the approved orphan drugs the clinical trials lasted less than one year

DIFFICULTIES TO OVERCOME

- ❑ Small numbers of patients at individual treatment centers
- ❑ Different stages of disease at presentation
- ❑ Patients must be recruited through numerous Centers to obtain a suitable numerosity

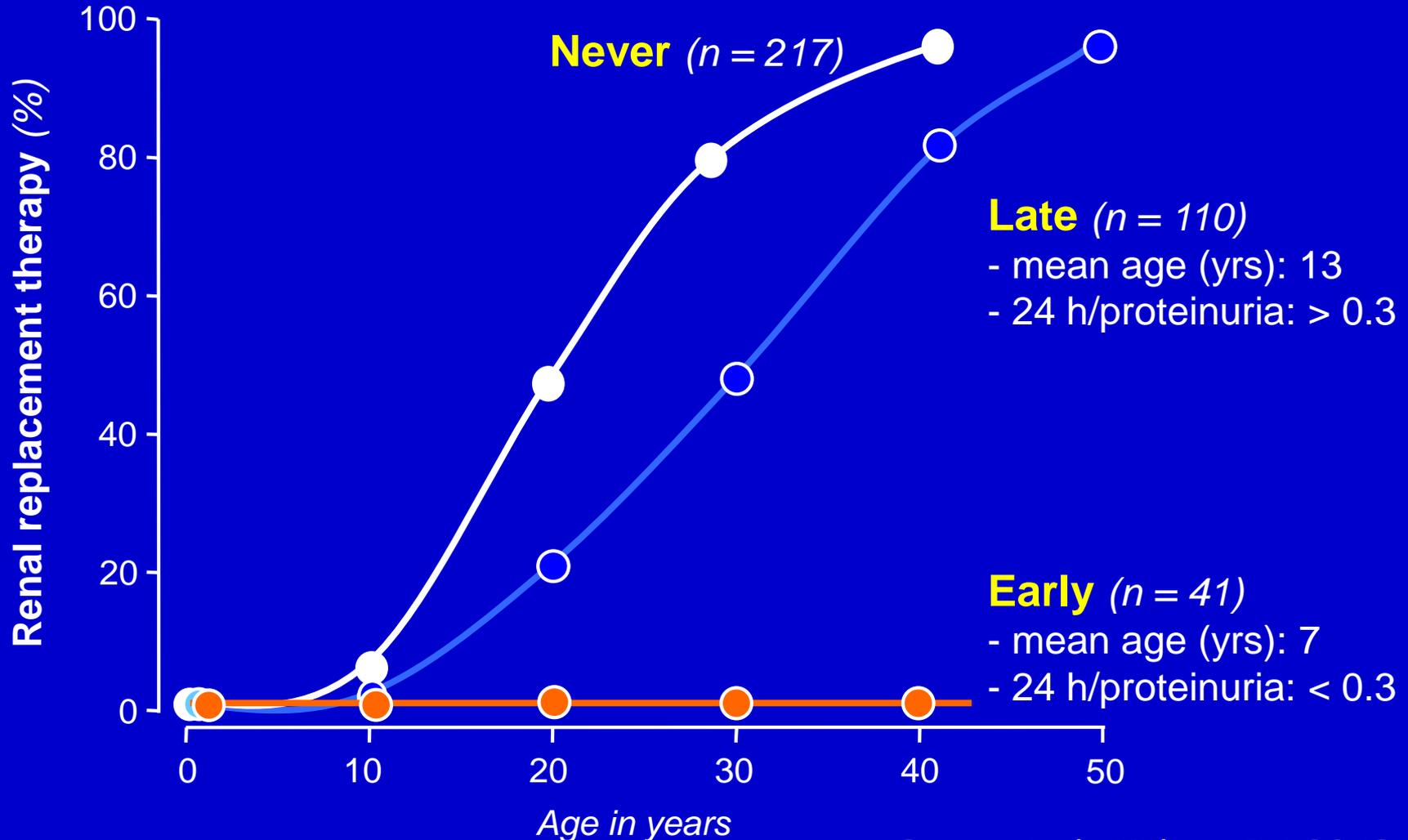
RARE DISEASES

- Recommendations are largely based on
 - Opinions of the experts
 - Retrospective studies in humans
 - Studi pre-clinici

 - Analysis of the Registries
 - Complex questions
 - Rare events
-

FIRST ANALYSIS OF PRIMARY ENDPOINTS OF THE EUROPEAN ALPORT REGISTRY:

ACE-inhibition delays need of dialysis



Registri dei farmaci sottoposti a monitoraggio

- Una sorveglianza post-marketing indipendente rappresenta la migliore garanzia per una corretta valutazione a lungo termine dell'efficacia e del rapporto costo/beneficio dei trattamenti commercializzati
 - Le notizie relative ai Registri dei farmaci sottoposti a monitoraggio sono disponibili sul sito di AIFA, così come gli elenchi dei Centri prescrittori forniti e aggiornati dalle Regioni
-

Documento per il Coordinamento dei flussi informativi

- Garanzia di controllo preventivo sui prescrittori
 - Controllo del carico amministrativo che grava sui medici prescrittori e sui farmacisti
 - Maggiore esaustività e completezza delle rilevazioni e dei monitoraggi post-marketing
-

Grazie per l'attenzione
