



FEDERCHIMICA

ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie

La ricerca biofarmaceutica ed i farmaci innovativi

Leonardo Vingiani
Direttore ASSOBIOTEC

ROMA, 20 marzo 2009

L'impegno delle imprese biotech nella ricerca si traduce in innovazione

- Un settore che esiste da appena 30 anni e ha già aiutato più di 325 milioni di persone grazie ai farmaci biotecnologici
- Il 20% dei farmaci in commercio e il 50% di quelli in sviluppo è di derivazione biotecnologica
- 480 sono i farmaci e i vaccini testati per più di 100 patologie

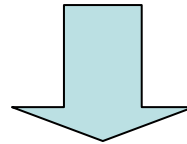


L'impegno delle imprese biotech nella ricerca si traduce in innovazione

- A livello europeo, la maggior parte dei farmaci innovativi approvati con procedura centralizzata dall'EMA è rappresentata da prodotti biotecnologici
- In Italia oltre 90 farmaci biotecnologici hanno ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio, ed il 40% dei prodotti in sviluppo clinico sono farmaci biotecnologici
- L'80% delle malattie rare ha un'origine genetica: dalla ricerca biotecnologica i maggiori contributi per la cura

Dalla terapia aspecifica alla terapia individualizzata nello sviluppo dei nuovi farmaci

- In passato: farmaci rivolti a patologie di grande diffusione, senza target terapeutici definiti
- Oggi: farmaci innovativi, sviluppati con l'intento di individuare un target terapeutico specifico



- Individualizzazione della terapia:
 - Risposta terapeutica più specifica
 - Riduzione esposizione pazienti non responsivi a potenziali effetti collaterali
 - Riduzione trattamento pazienti con minima possibilità di risposta (risparmio risorse)

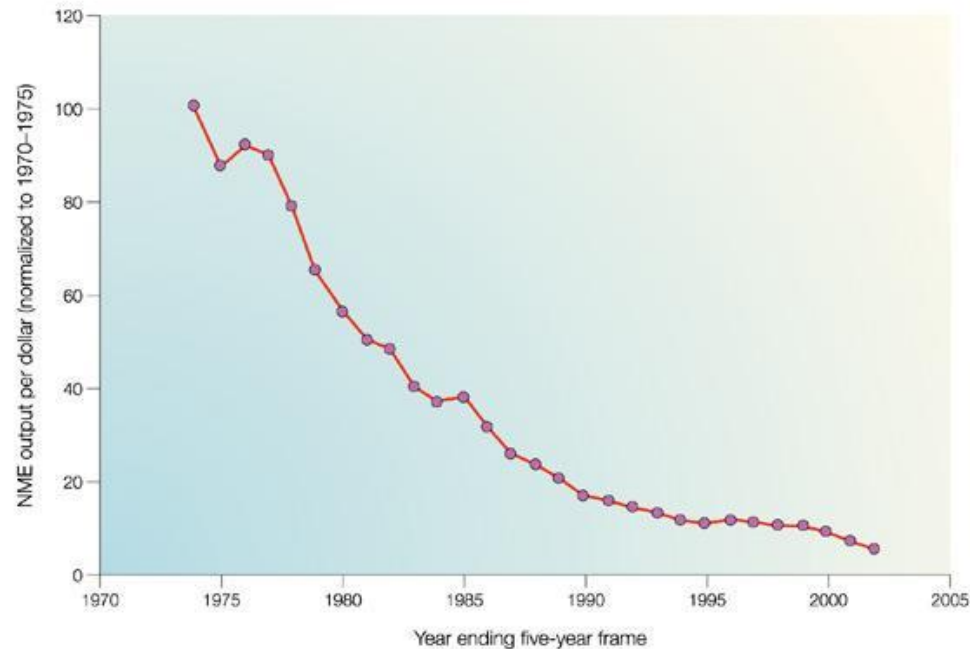
Poco meno del 20% dei farmaci approvati dall'EMA ogni anno sono "orphan drugs"

Tabella - Farmaci orfani e principi attivi autorizzati a livello centralizzato dall'EMA secondo l'indicazione per la designazione, la data di autorizzazione dell'EMA e i riferimenti alla *Gazzetta Ufficiale* per l'immissione in commercio in Italia

Farmaco orfano	Principio attivo	Indicazione per la designazione di farmaco orfano	Data di autorizzazione EMA	<i>Gazzetta Ufficiale</i>
Aldurazyme	Laronidasi	Mucopolisaccaridosi di tipo I	10 giugno 2003	n. 277, 25 novembre 2004
Atriance	Nelarabina	Leucemia linfoblastica acuta	22 agosto 2007	in via di autorizzazione
Busilvex	Busulfan	Trattamento di condizionamento precedente al convenzionale trapianto di cellule emopoietiche progenitrici-HPCT	9 luglio 2003	n. 145, 24 giugno 2005
Carbaglu	Acido carglumico	Iperammonemia dovuta alla deficienza di N-acetilglutammato sintasi	24 gennaio 2003	n. 278, 26 novembre 2004
Cystadane	Betaina anidra	Omocistinuria	15 febbraio 2007	in contrattazione
Diacomit	Stiripentolo	Epilessia mioclonica severa dell'infanzia	4 gennaio 2007	
Elaprase	Idursulfase	Mucopolisaccaridosi di tipo II (Sindrome di Hunter)	8 gennaio 2007	
Evoltra	Clofarabina	Leucemia linfoblastica acuta	29 maggio 2006	n. 67, 21 marzo 2007
Exjade	Deferasirox	Trattamento del sovraccarico cronico di ferro in pazienti con beta talassemia major	28 agosto 2006	n. 85, 12 aprile 2007
Fabrazyme	Agalsidasi beta	Malattia di Fabry	4 maggio 2001	n. 27, 1° febbraio 2002

La produttività del settore farmaceutico

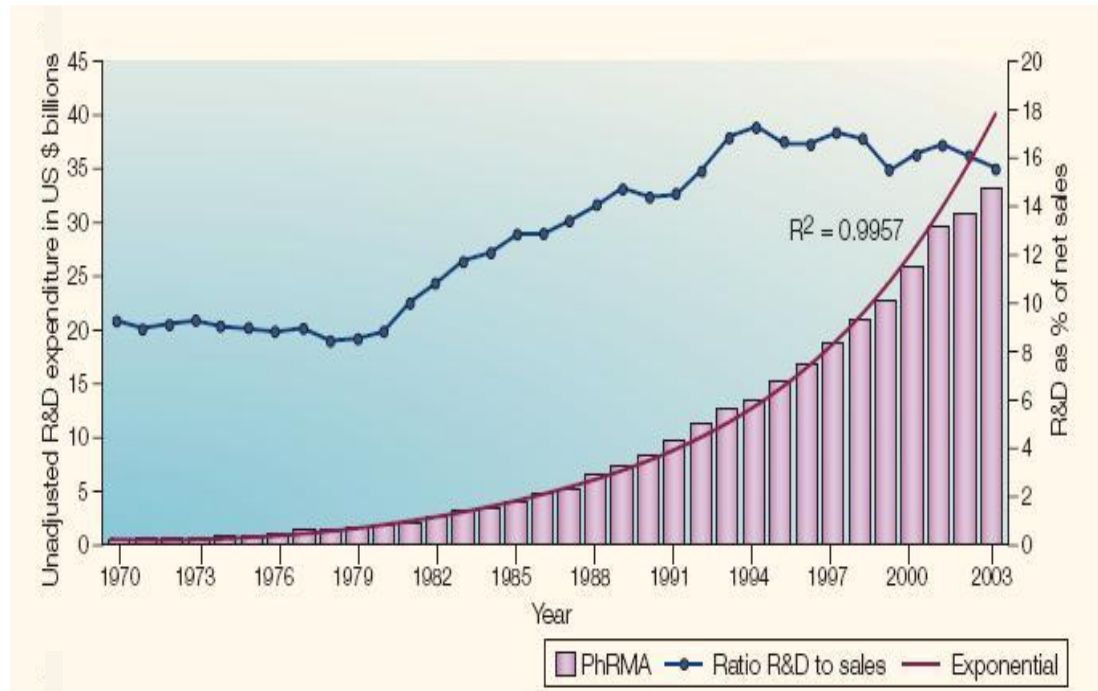
- Per una nuova molecola la probabilità media di raggiungere il mercato è solo del 5% ed i costi si aggirano intorno a 1 miliardo di dollari
- Il tempo medio per portare un farmaco sul mercato supera i 10 anni
- Il sistema è altamente improduttivo e dispendioso



Fonte: Booth B. et al. Nature Rev. Drug Discov. 3, 451-456. (2004)

La produttività del settore farmaceutico

Gli investimenti in R&S aumentano a ritmi esponenziali

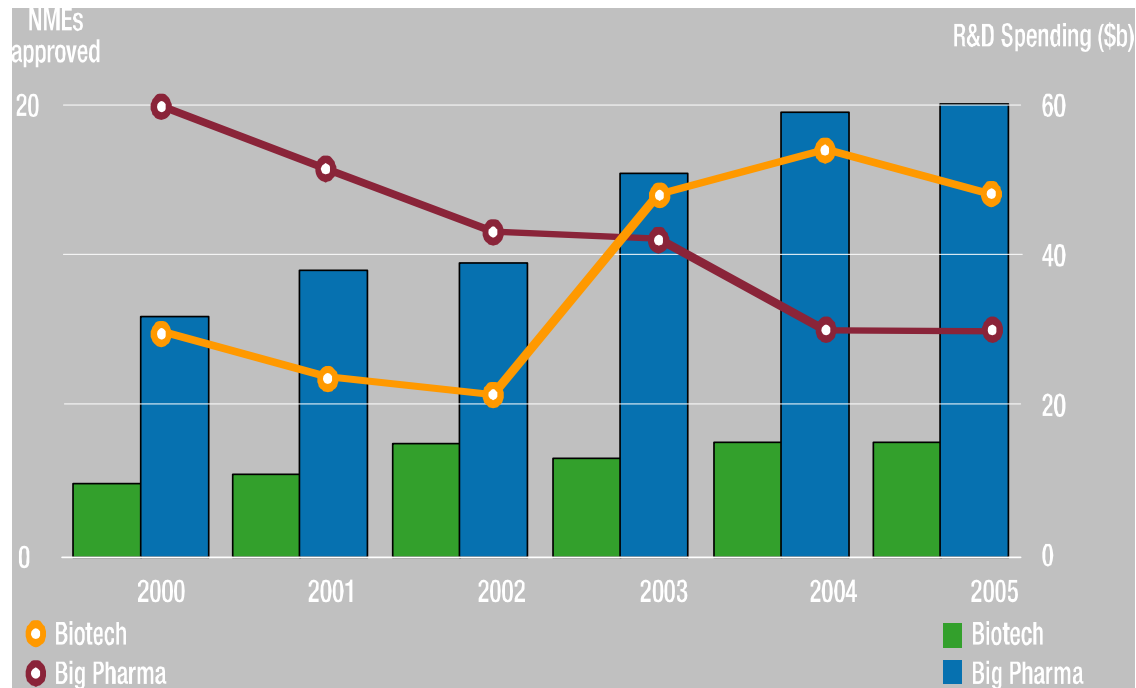


Spese in R&S 1970–2003

Fonte: Cohen F.J. et al.
Nature Rev. Drug Discov. 4, 78-84. (2005)

La produttività del settore farmaceutico

Ma la produttività della farmaceutica tradizionale è in costante declino mentre cresce l'efficienza del biotech



Fonte: Ernst & Young 2006

L'impresa biotech investe in Italia 1,5 Mld € in R&D, prevalentemente nello sviluppo di nuovi farmaci

- 136 progetti biotech attualmente in sviluppo clinico (26 in fase I, 55 in fase II, 55 in fase III)
- 40 progetti hanno ottenuto la designazione di "orphan status" (2 da FDA, 7 dall'EMA e 31 sia dall'EMA che dall'FDA)
- L'Italia vanta inoltre 73 progetti in preclinica e 49 discovery

Grazie agli incentivi all'innovazione sono cresciuti gli investimenti in ricerca

- Esenzione e/o riduzione tariffe per procedure autorizzative (EMEA, AIFA)
- Incremento del tetto del credito d'imposta per investimenti in R&D (Finanziaria 2008)
- Incentivi all'innovazione industriale e allo sviluppo della competitività (Programma Industria 2015)
- Matching grants Commissione Europea (IMI)

Assobiotec auspica un impegno condiviso per superare le criticità

- Tempi autorizzativi studi clinici (CE, contratti)
- Riconoscimento dell'innovazione
 - Prezzi remunerativi (ritorno sugli investimenti in R&D)
 - Accesso omogeneo sul territorio
- Semplificazione percorsi autorizzativi (clinico-regolatori) per farmaci salvavita

Grazie per l'attenzione!

Per maggiori informazioni:
assobiotec@federchimica.it
www.assobiotec.it