Malattie rare e disabilità

RIMBORSABILITÀ DEI FARMACI
NELLE MALATTIE RARE

Nello Martini 1° dicembre 2006

Tre punti chiave

- **La rarità**
- **Il diritto**
- **L'accesso e la presa in carico**

Per una medicina con fondamento etico

AIFA e malattie rare

- La rimborsabilità
- La sperimentazione clinica in Italia
- La ricerca promossa e finanziata dall'AIFA

Rimborsabilità dei farmaci nelle malattie rare

Tipologia	Registrazioni		
	Principi attivi	Specialità	Confezioni
01. Farmaci orfani per malattie rare	14	14	22
02. Nuove entità chimiche	65	84	155
03. Farmaci generici, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	137	552	1.271
04. Estensione delle indicazioni terapeutiche	17	20	29
05. Confezioni in sostituzione o nuove, per numero di unità posologiche o per forma farmaceutica	66	76	165
06. Modifica del dosaggio unitario	16	19	30
07. Variazione del regime di rimborsabilità	33	67	151
08. Carenze di mercato	4	4	4
09. Rinegoziazione prezzo	23	35	68
10. Altro (rettifica esito CTS)	1	1	1
Totale	**376**	**872**	**1.896**

Rimborsabilità dei farmaci nelle malattie rare

N°	Molecola	Farmaco	Titolare	Tipo	Classe	Reg Disp
1	Pilocarpina cloridrato	SALAGEN	NOVARTIS	M	A	OSP2
2	Pegvisomant	SOMAVERT	PFIZER LIMITED UK	E	H	OSP1
3	Pegvisomant	SOMAVERT	PFIZER LIMITED UK	E	H	OSP1
4	Pegvisomant	SOMAVERT	PFIZER LIMITED UK	E	H	OSP1
5	Pegvisomant	SOMAVERT	PFIZER LIMITED UK	E	H	OSP1
6	Miglustat	ZAVESCA	ACTELION REGISTRATION LTD	E	H	OSP1
7	Laronidasi	ALDURAZYME	GENZYME EUROPE B.V.	E	H	OSP1
8	Acido carglumico	CARBAGLU	ORPHAN EUROPE SARL	E	H	OSP1
9	Acido carglumico	CARBAGLU	ORPHAN EUROPE SARL	E	H	OSP1
10	Iloprost sale di trometamolo	VENTAVIS	SCHERING A.G.	E	H	OSP1
11	Iloprost sale di trometamolo	VENTAVIS	SCHERING A.G.	E	H	OSP1
12	Busulfano	BUSILVEX	PIERRE FABRE PHARMA SRL	E	H	OSP1
13	Mitotano	LYSODREN	LABORATOIRE HRA	E	H	OSP2
14	Zinco acetato	WILZIN	ORPHAN EUROPE SARL	E	H	OSP2
15	Zinco acetato	WILZIN	ORPHAN EUROPE SARL	E	H	OSP2
16	Levodopa/Carbidopa	DUODOPA	SOLVAY PHARMACEUTICALS	M	H	OSP2
17	Sorafenib tosilato	NEXAVAR	BAYER	E	H	OSP2
18	Glucosidasi acida umana ricombinante	MYOZYME	GENZYME EUROPE B.V.	E	H	OSP1
19	Sunitinib maleato	SUTENT	PFIZER ITALIA	E	H	OSP2
20	Sunitinib maleato	SUTENT	PFIZER ITALIA	E	H	OSP2
21	Sunitinib maleato	SUTENT	PFIZER ITALIA	E	H	OSP2
22	Imatinib	GLIVEC	NOVARTIS PHARMA	E	H	OSP2

La spesa SSN

53 ml €

Le sperimentazioni cliniche in Italia
(http://oss-sper-clin.agenziafarmaco.it)

Anno	N. SC
2000	560
2001	610
2002	565
2003	565
2004	607
2005	620
2006*	507
TOTALE	4.034

* Dati aggiornati al 13 novembre 2006

Le sperimentazioni per fase
(http://oss-sper-clin.agenziafarmaco.it)

FASE	%
I	1,5
II	34,0
III	53,8
IV	8,7
Bioeq/Biod	2,0

* Dati aggiornati al 13 novembre 2006

Sperimentazioni per anno

SC totali su Farmaci Orfani: 79

Anno	N. SC
2002*	2
2003*	2
2004	16
2005	39
2006	20
Totale	**79**

→ **2%**

* L'informazione sul farmaco orfano è registrata in OsSC da maggio 2004, pertanto i dati relativi al 2002 e 2003 sono sottostimati

Sperimentazioni per area terapeutica

SC totali su Farmaci Orfani: 79

Area terapeutica	N. SC	%
Oncologia	27	*34,2*
Ematologia	19	*24,1*
Cardiologia/Malattie vascolari	10	*12,7*
Endocrinologia	7	*8,9*
Malattie dell'apparato respiratorio	3	*3,8*
Immunologia e malattie infettive	2	*2,5*
Neurologia	2	*2,5*
Reumatologia	2	*2,5*
Nefrologia/Urologia	2	*2,5*
Dermatologia/Chirurgia plastica	1	*1,3*
Gastroenterologia	1	*1,3*
Pediatria/Neonatologia	1	*1,3*
Oftalmologia	1	*1,3*
Ginecologia e ostetricia	1	*1,3*
Totale	**79**	***100,0***

L'utilizzo del fondo del 5%

(Art. 48, Legge 326/2003)

- ✓ Farmaci orfani per malattie rare e farmaci non ancora autorizzati ma che rappresentano una speranza di cura per patologie gravi
- ✓ Ricerca sull'uso dei farmaci e in particolare: studi clinici comparativi tra medicinali tesi a dimostrare il valore terapeutico aggiuntivo; studi su farmaci orfani; studi sull'appropriatezza e l'informazione
- ✓ Centro di informazione indipendente sui medicinali
- ✓ Programma di farmacovigilanza attiva

Il fondo per la ricerca indipendente AIFA

(Art. 48, Legge 326/2003)

- ✓ Fra i compiti dell'Agenzia vi è quello di promuovere la ricerca scientifica di carattere pubblico sui settori strategici del farmaco
- ✓ E' costituito un fondo alimentato dal 5% delle spese per attività di promozione delle aziende farmaceutiche

LA RICERCA INDIPENDENTE PROMOSSA E FINANZIATA DALL'AIFA

Bando 2005

- ✓ Lettere di intenti presentate: 402
- ✓ Protocolli ammessi alla study session: 102
- ✓ Studi finanziati: 54
- ✓ Stanziamento complessivo: 35 milioni di euro

Risultati del bando 2005: protocolli per area

Area	Protocolli finanziati	
	N	%
Farmaci orfani e malattie rare	20	37%
Confronti testa a testa	13	24%
Farmacovigilanza e appropriatezza	21	39%
Totale	54	100%

Area 1- Farmaci orfani per malattie rare e sottogruppi di pazienti non responder

Tematiche area 1

- ✓ Valutazione del profilo beneficio-rischio dei farmaci orfani per malattie rare, approvati o designati dall'EMEA
- ✓ Valutazione del profilo beneficio-rischio nei trattamenti off-label nelle malattie rare
- ✓ Valutazione del profilo beneficio-rischio dei farmaci in pazienti non-responder nei confronti delle terapie standard

Aree di ricerca Bando 2006

Area 1	Farmaci orfani per malattie rare e sottogruppi di pazienti non responder.
Area 2	Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN
Area 3	Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure

Area 1: farmaci orfani (es. studi approvati)

- ✓ Efficacy and safety of treatment with N-butyl-deoxynojirimycin (NB-DNJ-miglustat) in patients with Niemann-Pick disease type C
- ✓ Multicenter study of the efficacy and tolerability of tetrahydrobiopterin in a pediatric population affected by phenylketonuria
- ✓ Evaluation of the efficacy of the treatment with ACE-inhibitors on the renal damage in patients affected by glycogen storage disease type 1a and type 1b …

Tre punti chiave

- **La rarità**
- **Il diritto**
- **L'accesso e la presa in carico**

Per una medicina con fondamento etico