FARMINDUSTRIA

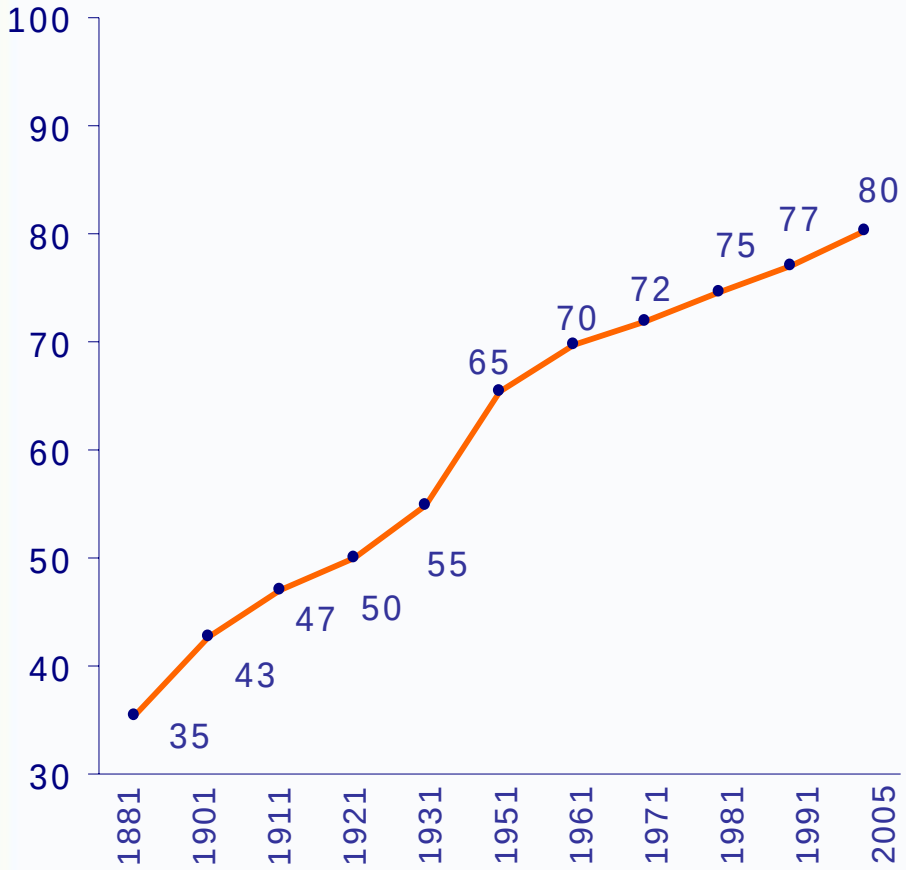
Ricerca e sviluppo: non solo competitività ma speranza

Sergio Dompé
Presidente Farmindustria

Malattie rare e disabilità “Siamo rari … ma tanti”
Roma, 1 dicembre 2006

Ogni quattro mesi, uno di vita in più

Italia: anni di aspettativa di vita alla nascita
(media uomini e donne)



Fonte: istat

E' il frutto del progresso
economico, sociale, sanitario
ma certamente dipende,
in buona parte,
dai nuovi medicinali,
nati dalla Ricerca farmaceutica

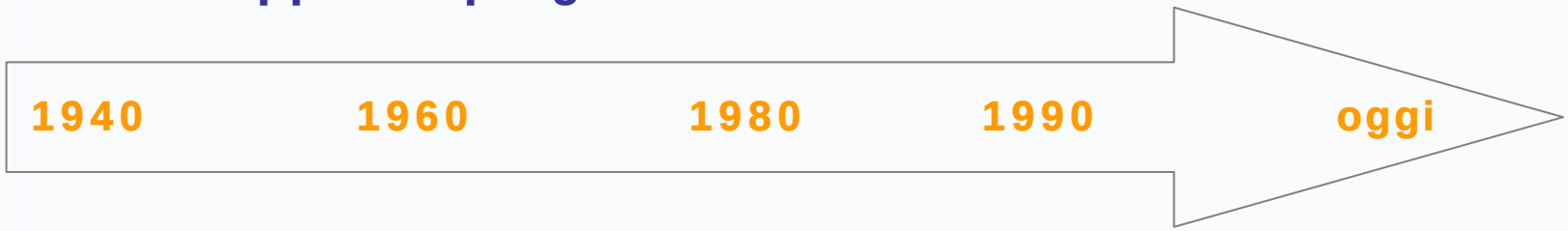
La Ricerca è Vita

Più del 90%
della Ricerca è sostenuto
dall'industria farmaceutica

FARMINDUSTRIA

50 anni di innovazione per il benessere delle persone

Alcune tappe dei progressi nella Ricerca farmaceutica



1940

- Produzione su scala industriale di antibiotici e vaccini
- Scoperta del DNA
- Prime vaccinazioni antipolio
- Premio Nobel agli scopritori del cortisone

1960

- Vaccino contro il morbillo
- Trombolitici
- Anti-ipertensivi e anti-rigetto
- Beta 2 agonisti
- Trattamento ulcera senza operazione

1980

- ACE-inibitori
- Statine
- Inibitori di pompa protonica
- Insulina di origine biotech
- Introduzione in terapia dell'interferone
- Anticorpi monoclonali
- SSRI
- Primi farmaci contro l'AIDS

1990

- Progressi in oncologia
- Sartani
- Uso della serotonina
- Inibitori della proteasi
- Trattamenti per osteoporosi e artriti
- Nuovi farmaci per asma, patologie psichiatriche e perinatali
- Trattamenti per leucemia mieloide cronica
- Miglioramento cure per patologie neurodegenerative
- Mappatura del genoma umano

FARMINDUSTRIA

Alcuni dei risultati dell'innovazione farmaceutica

Calo del tasso di mortalità dal 1965 al 2000

Malattie della prima infanzia	-80%
Febbre reumatica e cardiopatia reumatica	-75%
Aterosclerosi	-68%
Malattie cardiache ipertensive	-67%
Ulcera gastrica e duodenale	-61%
Ischemia cardiaca	-41%
Enfisema	-31%
Ipertensione	-22%

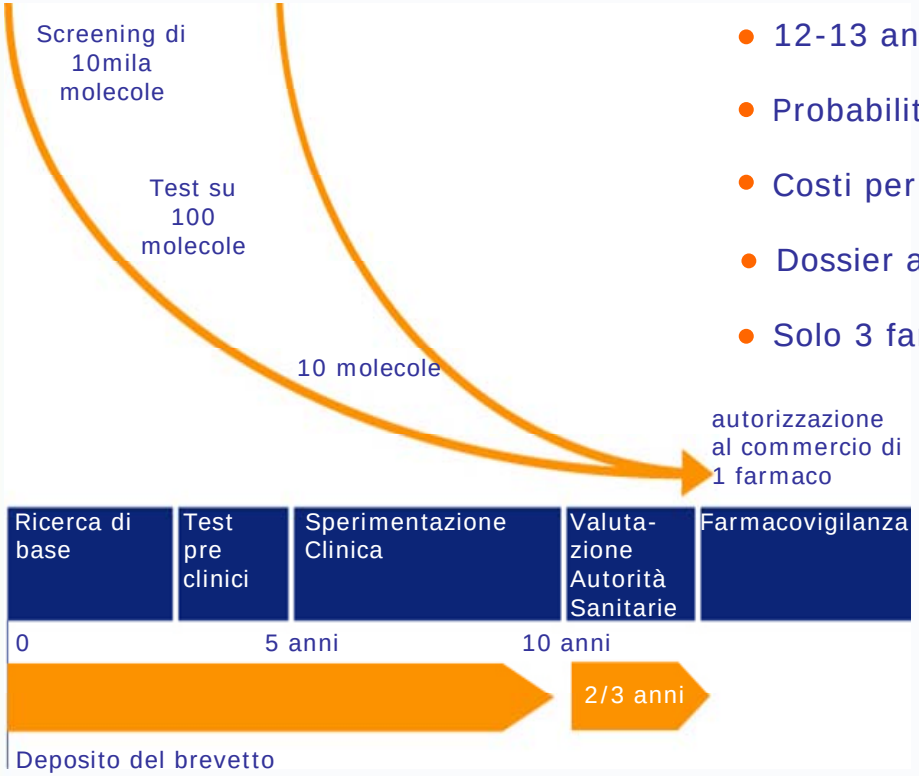
Fonte: efpia, phrma

Ma c'è ancora molto da fare.
Ci sono altre sfide che la Ricerca sui farmaci
sta già affrontando per rendere disponibili terapie
nuove e sempre più efficaci,
tra cui cancro, AIDS, Alzheimer, sclerosi multipla, malattie rare

FARMINDUSTRIA

La Ricerca farmaceutica: un processo lungo, complesso, costoso

Il percorso per la nascita di un nuovo farmaco



- 12-13 anni di studi e sperimentazioni
- Probabilità di successo 1 su 5-10 mila
- Costi per centinaia di milioni di euro
- Dossier articolati e particolareggiati
- Solo 3 farmaci su 10 ammortizzano i costi

Una sfida ancora più complessa per i farmaci orfani

Difficoltà di diagnosi, sperimentazioni cliniche, identificazione di soluzioni, ricerca e sviluppo di terapie

FARMINDUSTRIA

Le esperienze nei Paesi Avanzati nel campo dei farmaci orfani

Negli USA una normativa ad hoc (l'Orphan Drug Act, 1983) ha fortemente incentivato l'impegno delle imprese per le malattie rare

- 1995-2005: approvati più di 160 farmaci per malattie orfane
- 1984-1994: approvati 108 farmaci per malattie orfane
- 1970s: approvati 10 farmaci per malattie orfane
- Negli USA opera il National Organization for Rare Disorders (NORD)

Nel 1999 l'Ue ha adottato un regolamento che agevola le aziende che fanno Ricerca nell'area delle malattie rare. Dal 2001 a oggi:

- 22 farmaci orfani che hanno già ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio su mercato europeo
- 268 farmaci, già designati orfani, in fase di sperimentazione clinica
- 458 domande di assegnazione della qualifica di farmaco orfano
- Nell'Ue opera la European Organization for Rare Disorders (EURORDIS)

FARMINDUSTRIA

Fonte: Phrma, Scrip No. 3157, May 17th 2006

In Italia non mancano le potenzialità per risposte positive alla sfida

- 30 farmaci biotech in avanzata fase di sviluppo e 29 in fase preclinica
- Brillanti ricercatori, anche con crescenti doti manageriali che possono dare vita a imprese, piccole ma molto innovative
- Imprese già attive nei farmaci orfani
- Dialogo costruttivo tra tutti gli operatori della Salute (Istituzioni, Medici, Pazienti, Imprese)

FARMINDUSTRIA

L'impegno dell'AIFA per la ricerca

Ricerca indipendente finanziata (anno 2005)

- **407** lettere di intenti
- **101** progetti ammessi alla fase di valutazione
- **54** protocollo di studio finanziati (35 milioni di euro)
- Di questi, **20** riguardano l'Area 1 "*Farmaci orfani e negletti*"

Fonte: Comunicato AIFA 24 marzo 2006;
Risultati finali dei bandi AIFA 2005 per la ricerca indipendente.

Bandi di ricerca (anno 2006)

- **454** lettere di intenti
- Di queste, **184** riguardano l'Area 1 "*Farmaci orfani per malattie rare o farmaci per sottogruppi di pazienti non responders*"

Fonte: Comunicato AIFA 11 ottobre 2006

FARMINDUSTRIA

Proposte per un impegno sempre maggiore

E' necessario un approccio nuovo che sappia coinvolgere pubblico e privato in una logica di solidarietà e con risorse - anche finanziarie - adeguate alla sfida

C'è bisogno quindi di sinergie, di incentivi concreti, di agevolazioni fiscali, finanziarie e procedurali, oltre che di norme di tutela brevettuale che incentivino le biotecnologie, dalle quali può venire la risposta alla maggior parte delle malattie rare

Infine c'è l'urgenza di "mettere in rete" le conoscenze acquisite

In Italia positiva esperienza di Orphanet
2300 diagnosi
294 progetti di ricerca per 430 malattie
198 laboratori
165 associazioni di pazienti

FARMINDUSTRIA