Orphan Europe: dedicati alle malattie rare

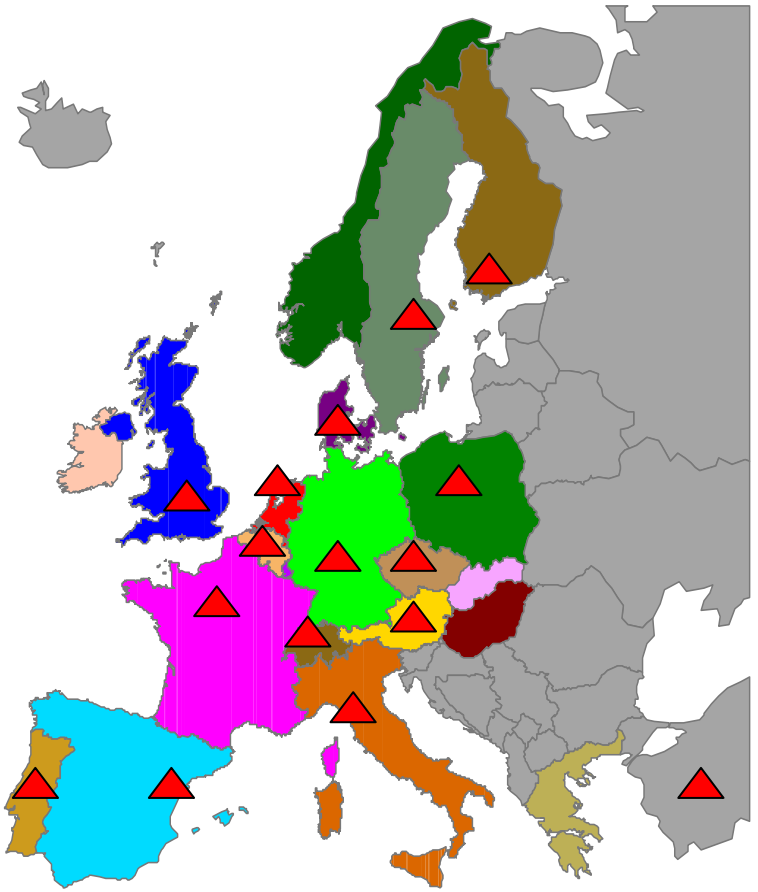
Orphan Europe

- Azienda farmaceutica attiva dal 1990.
- Totalmente dedicata alle malattie rare.
- Fornisce farmaci che salvano la vita.
- Orientata al paziente.
- Costante crescita del numero dei prodotti, della presenza, del fatturato e del personale.

La presenza di Orphan Europe

Francia
Germania
Polonia
Rep. Ceca
Austria
Regno Unito
Spagna
Italia
Portogallo

Belgio
Paesi Bassi
Lussemburgo
Svezia
Danimarca
Finlandia
Svizzera
Emirati Arabi
Turchia
Israele (a breve)



La strategia di sviluppo

Un insieme di:

- Farmaci in licenza
- Farmaci in co-sviluppo
- **Farmaci sviluppati in proprio**

16 anni di esperienza

Prima del 2000

Approvati:

- **Normosang**
- **Cystagon**

Dopo il 2000

6 designazioni di farmaco orfano in EU

Approvati:

- **Pedea**
- **Carbaglu**
- **Wilzin**
- **Cystadane (2007)**

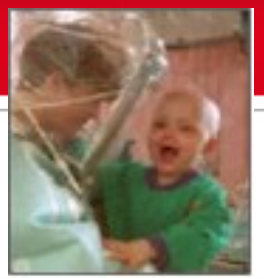
Designazione di farmaco orfano negli USA per Carbaglu

ORPHAN EUROPE

I farmaci disponibili

Cistinosi nefropatica	Cystagon®	Cisteamina bitartrato
Deficit di NAGS	Carbaglu®	Acido carglumico
Omocistinuria	Cystadane	Betaina anidra
Porfiria acuta intermittente	Normosang®	Emina umana
Deficit di sucrasi isomaltasi	Sucraid®	Sacrosidasi
Malattia di Wilson	Wilzin®	Zinco acetato
Dotto arterioso pervio	Pedea®	Ibuprofene i.v.
Deficienza di SCID-ADA	Adagen	Pegademasi
Avvelenamento da cianuro	Cyanokit	Idrossicobalamina
Colestasi / Fibrosi cistica	Vedrop	Tocofersolan

I pazienti in Italia



Cistinosi nefropatica	**52**
Deficit di NAGS	**2**
Omocistinuria	**57**
Porfiria acuta intermittente	**26**
Malattia di Wilson	**76**
Dotto arterioso pervio	**1091***
Deficienza di SCID-ADA	**13**

*** confezioni**

Popolazione residente censimento 2001: 56,3 milioni

ORPHAN EUROPE

Le problematiche

La consapevolezza

La ricerca e lo sviluppo

La produzione e la distribuzione

Gli aspetti regolatori e legislativi

Gli aspetti finanziari

Gli aspetti etici

La consapevolezza

Le malattie rare sono oltre 6.000 e colpiscono milioni di persone.

Queste malattie sono poco conosciute, poco studiate e spesso male curate.

Però i pazienti che hanno una malattia rara hanno diritto come tutti gli altri a diagnosi accurate e tempestive, ad assistenza medica continuativa, a supporto socio-assistenziale.

La consapevolezza

E’ difficile avere una diagnosi: nel 35% dei casi la diagnosi è posta dopo 1-5 anni e nel 15% dopo più di 5 anni!

E’ difficile avere informazioni: non ci sono dati epidemiologici!

E’ difficile individuare pazienti per gli studi clinici: la ricerca di base e clinica non è metodologicamente semplice!

L’educazione è fondamentale!

- Il contributo di Orphan Europe:
  - Orphan Europe Academy
  - Eurowilson
  - European Porphyria Initiative
  - Euroglycanet

  ....

Orphan Europe Academy

- Corsi educazionali di livello avanzato sulle malattie rare

- Comitato scientifico independente
  - esperti nelle malattie rare
  - definisce i programmi
  - seleziona i partecipanti

- Nel periodo 2000-2006 sono stati organizzati circa 20 corsi

- www.orphan-europe-academy.com

ORPHAN EUROPE

Eurowilson

- Creare un database clinico europeo che permetta la conduzione di studi clinici nella malattia di Wilson
- Sixth Framework programme
- 75 Collaboratori da 62 centri in 20 Paesi
- Sviluppo di strumenti diagnostici

European Porphyria Initiative

- Una piattaforma per sviluppare un approccio comune alla gestione delle porfirie e promuovere la ricerca in questa area.
- 30 collaboratori in 19 centri.
- Facilitare la collaborazione a livello internazionale sulla ricerca di base e clinica.

Euroglycanet

- Progetto europeo coordinato dall'Università di Lovanio volto a studiare malattie metaboliche causate da difetti della glicosilazione.
- 13 centri in 11 Paesi
- Database dei pazienti affetti.
- Database delle mutazioni genetiche coinvolte
- Promuovere la diagnosi, la ricerca epidemiologica la ricerca di base e la ricerca clinica

ORPHAN EUROPE

La ricerca e lo sviluppo

Farmaco	Fase Pre-clinica	Fase Clinica	Approvazione
Carbaglu			
Pedea			
Vedrop			
Aerugen			
PI0824			
Cystadrop			

ORPHAN EUROPE

La ricerca e lo sviluppo

Peptimmune

ORPHAN SWEDISH ORPHAN INTERNATIONAL AB

Berna Biotech AG

ENZON PHARMACEUTICALS

MERCK

Jazz Pharmaceuticals

ORION PHARMA

TEVA

La produzione e la distribuzione

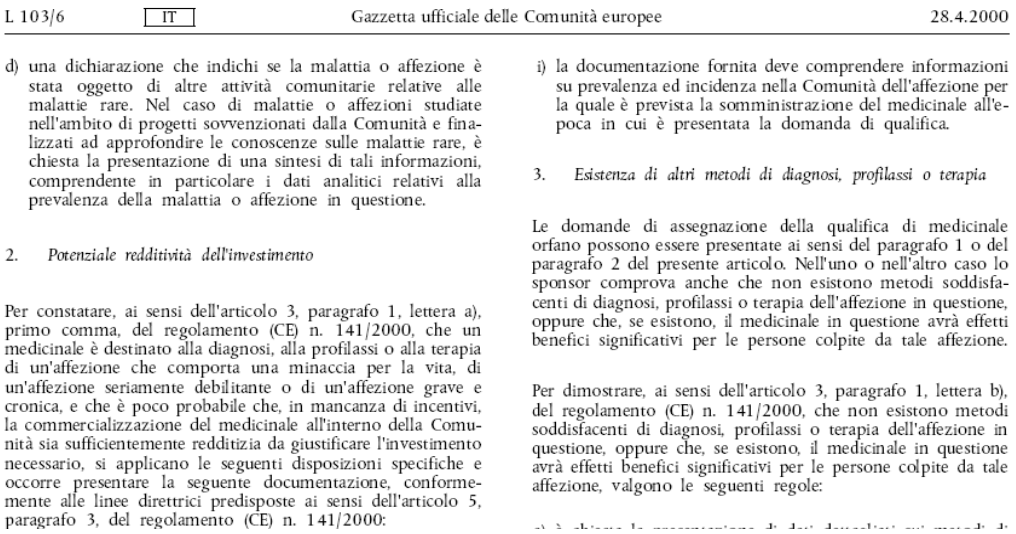
- Identici requisiti di qualità dei farmaci non orfani.
- Standard GMP.
- Confezionamento innovativo (21 lingue!).
- 250 lotti all'anno.
- Ricevimento e conservazione in temperatura ambiente, al freddo o in refrigeratore.

- Distribuzione diretta agli ospedali.
- 14.000 spedizioni all'anno.
- Tracciabilità e follow-up.
- Distribuzione in tutto il mondo.
- Consegna in emergenza.

Gli aspetti regolatori e legislativi

Le misure di ripiano della spesa farmaceutica non distinguono fra farmaci orfani e non.

Regolamento EU 141/2000:



L 103/6 IT Gazzetta ufficiale delle Comunità europee 28.4.2000

d) una dichiarazione che indichi se la malattia o affezione è stata oggetto di altre attività comunitarie relative alle malattie rare. Nel caso di malattie o affezioni studiate nell'ambito di progetti sovvenzionati dalla Comunità e finalizzati ad approfondire le conoscenze sulle malattie rare, è chiesta la presentazione di una sintesi di tali informazioni, comprendente in particolare i dati analitici relativi alla prevalenza della malattia o affezione in questione.

2. *Potenziale redditività dell'investimento*

Per constatare, ai sensi dell'articolo 3, paragrafo 1, lettera a), primo comma, del regolamento (CE) n. 141/2000, che un medicinale è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante o di un'affezione grave e cronica, e che è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione del medicinale all'interno della Comunità sia sufficientemente redditizia da giustificare l'investimento necessario, si applicano le seguenti disposizioni specifiche e occorre presentare la seguente documentazione, conformemente alle linee direttrici predisposte ai sensi dell'articolo 5, paragrafo 3, del regolamento (CE) n. 141/2000:

i) la documentazione fornita deve comprendere informazioni su prevalenza ed incidenza nella Comunità dell'affezione per la quale è prevista la somministrazione del medicinale all'epoca in cui è presentata la domanda di qualifica.

3. *Esistenza di altri metodi di diagnosi, profilassi o terapia*

Le domande di assegnazione della qualifica di medicinale orfano possono essere presentate ai sensi del paragrafo 1 o del paragrafo 2 del presente articolo. Nell'uno o nell'altro caso lo sponsor comprova anche che non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o terapia dell'affezione in questione, oppure che, se esistono, il medicinale in questione avrà effetti benefici significativi per le persone colpite da tale affezione.

Per dimostrare, ai sensi dell'articolo 3, paragrafo 1, lettera b), del regolamento (CE) n. 141/2000, che non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o terapia dell'affezione in questione, oppure che, se esistono, il medicinale in questione avrà effetti benefici significativi per le persone colpite da tale affezione, valgono le seguenti regole:

Gli aspetti regolatori e legislativi

Preparazioni galeniche con sostanze chimiche etichettate come “non ad uso umano”!!!!

Utilizzo di farmaci contenenti lo stesso principio attivo in differenti formulazioni non approvate per l’indicazione corrispondente alla malattia rara!!!!

Gli aspetti finanziari

I farmaci orfani sono classificati ad uso ospedaliero.

Tempi medi di pagamento della pubblica amministrazione: mediamente intorno a 1 anno!

Gli aspetti etici

Un’azienda farmaceutica esclusivamente dedicata alle malattie rare necessita di un approccio alternativo: il suo scopo è anteporre al profitto degli azionisti i diritti fondamentali degli esseri umani in tema di salute attraverso diverse forme: l’educazione, la cultura, la ricerca, lo sviluppo e la registrazione di farmaci.

Grazie per l’attenzione!

Roberto Orsenigo

Wally Albini

Paola Filippi

Salvatore Funiciello

Cristiana Giani

Piergiorgio Piazzi

Giuseppe P.V. Sorace