

Gli enti regolatori e le innovazioni terapeutiche: quale futuro?

Mario Melazzini

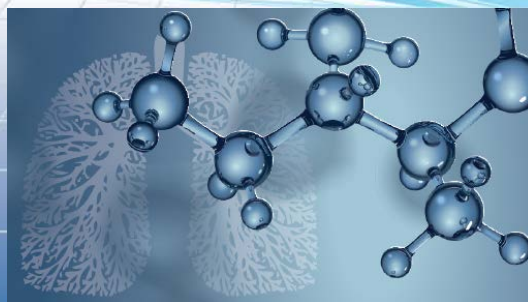
m.melazzini@aifa.gov.it

AIFA

Agenzia Italiana del Farmaco

@mmelazzini

Milano, 24 marzo 2017



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

| Interessi nell'industria farmaceutica | NO | Attualmente | Da 0 a 3 anni precedenti | oltre 3 anni precedenti |
|---|----|--------------------------|--------------------------|---------------------------------------|
| INTERESSI DIRETTI: | | | | |
| 1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> obbligatorio |
| 1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> obbligatorio |
| 1.3 Impiego per una società: altre attività | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 2. Consulenza per una società | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 3. Consulente strategico per una società | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 4. Interessi finanziari | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 5. Titolarità di un brevetto | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| INTERESSI INDIRETTI: | | | | |
| 6. Sperimentatore principale | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 7. Sperimentatore | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |
| 9. Interessi Familiari | X | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> facoltativo |

* **Mario Melazzini**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

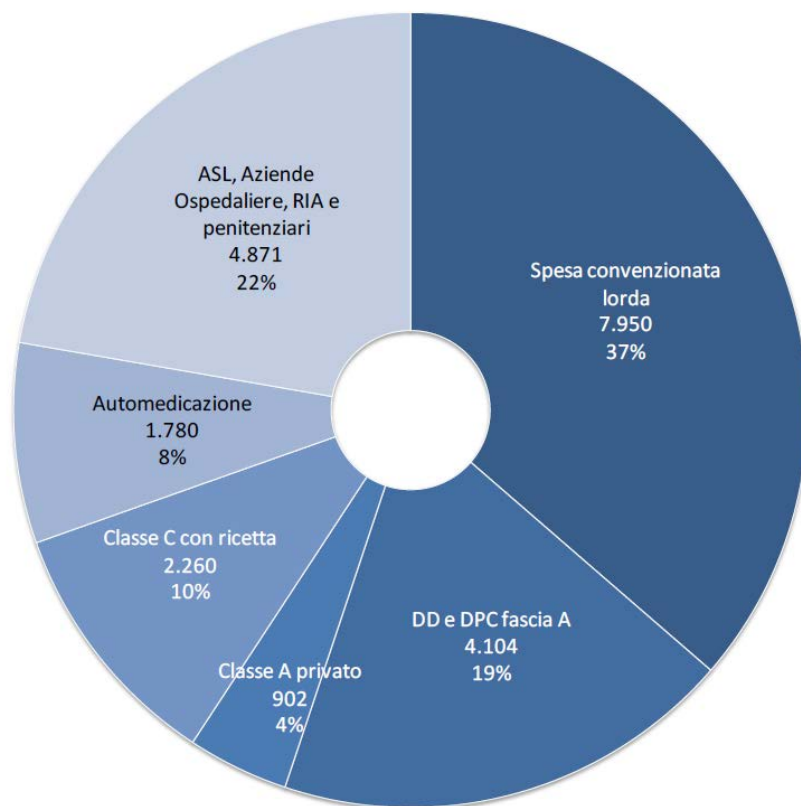


Contesto ed evoluzione dello scenario di riferimento

- ✓ Invecchiamento della popolazione
- ✓ Aumento delle patologie cronico degenerative
- ✓ Comorbidità
- ✓ Maggiore necessità assistenziali per particolari fasce di popolazione
- ✓ Nuove povertà che impattano sulla salute
- ✓ Risparmio forzoso per bilanci pubblici vincolati a tetti di spesa
- ✓ Sostenibilità della spesa farmaceutica
- ✓ Disomogeneità regionale
- ✓ Sviluppo delle conoscenze scientifiche e tecnologiche
- ✓ Complessità di modelli ed interventi basata su evidenze
- ✓ Crescente impegno sul versante delle procedure e degli esiti
- ✓ Relazione tra sistema sanitario, sociale e sviluppo socio economico
- ✓ Pazienti più informati e consapevoli



Spesa farmaceutica-offerta SSN



Nei primi nove mesi del 2016 la spesa farmaceutica nazionale totale (pubblica e privata) è stata pari a circa **21,9 miliardi di euro**, di cui il **77,4%** è stato rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN). La spesa dei farmaci acquistati direttamente dal cittadino è stata di **4.942 milioni di euro**, composta soprattutto dai farmaci di classe C con obbligo di ricetta (10,3%).

Farmaci dell'apparato respiratorio



- Settima categoria terapeutica a maggior spesa pubblica, pari a quasi 828,7 milioni di euro (**13,7 euro pro capite**).
- Spesa derivante dall'assistenza farmaceutica convenzionata: **12,4 euro pro capite**.
- Acquisto da parte delle strutture sanitarie pubbliche: **1,3 euro pro capite**.

Effetto consumi, prezzi e mix

spesa farmaceutica convenzionata di classe A-SSN:

2015 versus 2016

| | Spesa pro capite | DDD/1000 ab die | Δ% 2016-2015 | | | | Δ% costo medio DDD |
|--|------------------|-----------------|--------------|--------------|--------------|-------------|--------------------|
| | | | spesa | DDD | prezzi | mix | |
| R-Sistema respiratorio | 12,39 | 45,41 | -4,93 | -4,05 | -3,61 | 2,79 | -0,92 |
| Adrenergici ed altri antiasmatici | 5,74 | 11,57 | -5,51 | 3,07 | -5,87 | -2,61 | -8,32 |
| Anticolinergici | 2,49 | 5,94 | -4,70 | -2,66 | -2,15 | 0,06 | -2,09 |
| Glicocorticoidi | 1,66 | 8,49 | -10,10 | -10,85 | -0,14 | 0,97 | 0,83 |
| Agonisti selettivi dei recettori beta2-adrenergici | 0,74 | 4,74 | -13,29 | -10,37 | -5,64 | 2,53 | -3,25 |
| Altri antistaminici per uso sistemico | 0,60 | 6,52 | -5,03 | -5,14 | -0,03 | 0,15 | 0,12 |
| Adrenergici in combinazione con anticolinergici | 0,38 | 1,15 | 108,11 | 36,53 | -2,43 | 56,22 | 52,43 |
| Antagonisti dei recettori dei leucotrieni | 0,37 | 2,03 | -3,61 | -2,25 | -0,31 | -1,09 | -1,39 |
| Derivati piperazinic | 0,31 | 4,11 | -8,28 | -7,44 | -0,27 | -0,63 | -0,90 |

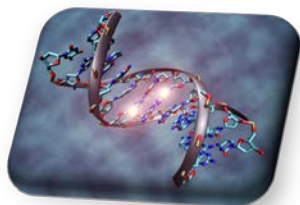
Spesa e consumi farmaci erogati dalle strutture pubbliche gennaio-settembre 2016

| | Spesa SSN pro capite | Inc. % | Δ% 16/15 | DDD/1000 ab die | Inc. % | Δ% 16/15 |
|---|-------------------------------|-----------|-------------|--------------------|-----------|-------------|
| R-Sistema respiratorio | 1,27 | | 32,74 | 2,71 | | -1,91 |
| Altri preparati per il sistema respiratorio | 0,41 | 32,62 | 176,75 | 0,00 | 0,18 | 146,83 |
| Altri antiasmatici per uso sistemico | 0,39 | 30,42 | 16,60 | 0,06 | 2,38 | 20,64 |

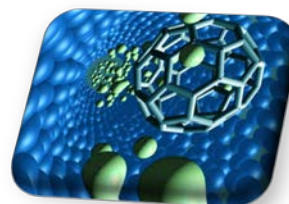
- I dati hanno evidenziato una forte crescita rispetto al 2015 **(+32,7%)** e un lieve decremento dei consumi **(-1,9%)**. La categoria a maggiore incidenza sulla spesa delle strutture sanitarie pubbliche è rappresentata dagli “altri preparati per il sistema respiratorio” ad esempio ivacaftor il medicinale innovativo per il trattamento della fibrosi cistica **(+176,7%)**, seguita dagli “altri antiasmatici per uso sistemico” (roflumilast per la BPCO e omalizumab l’asma).

Le nuove tecnologie in campo sanitario

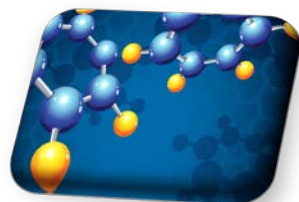
Le nuove tecnologie stanno entrando nei sistemi di assistenza sanitaria ad un ritmo senza precedenti offrendo immense opportunità, ma aumentando le sfide tra i decisori politici, le autorità di regolamentazione, i contribuenti, i medici e i pazienti.



Sensori
Robotica
Genomica



Stampa 3D



Cellule staminali
Intelligenza artificiale
Medicina di precisione



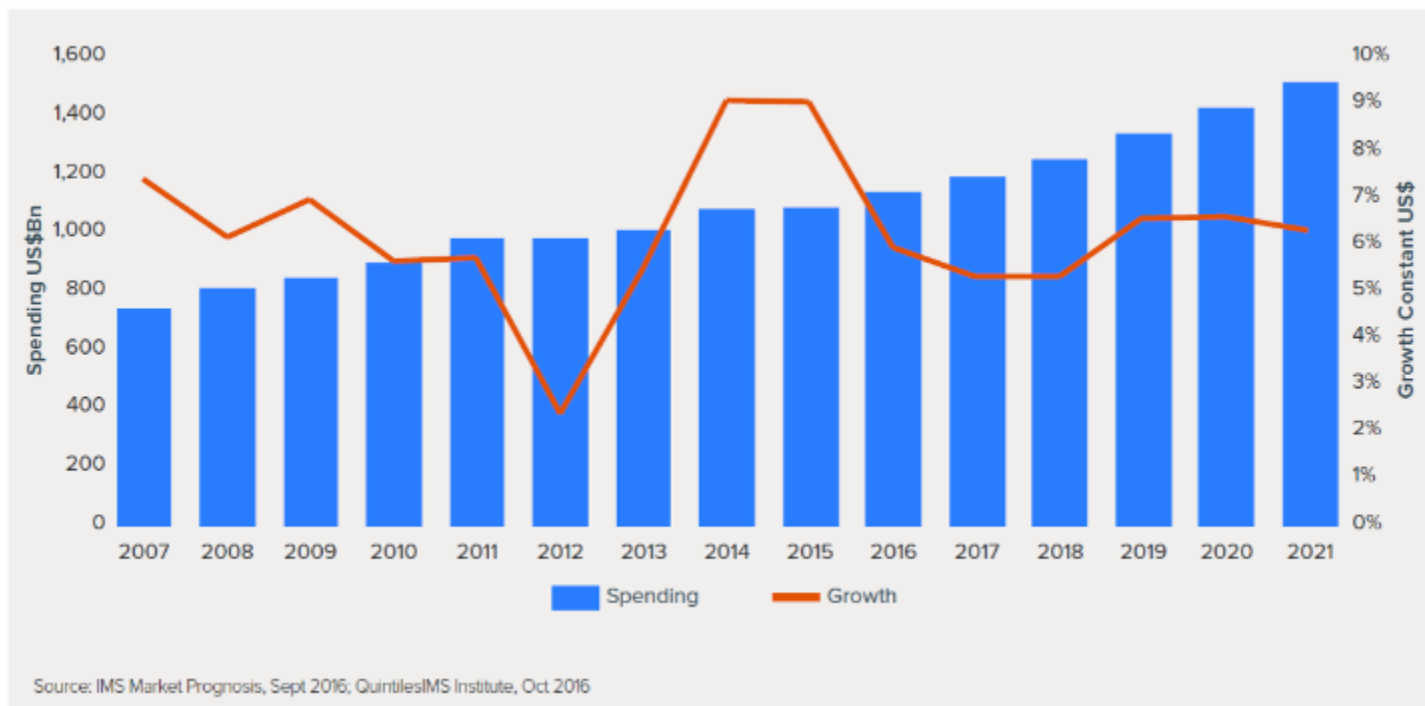
Farmaci combinati con nanotecnologie e strumenti digitali



Agenzia Italiana del Farmaco

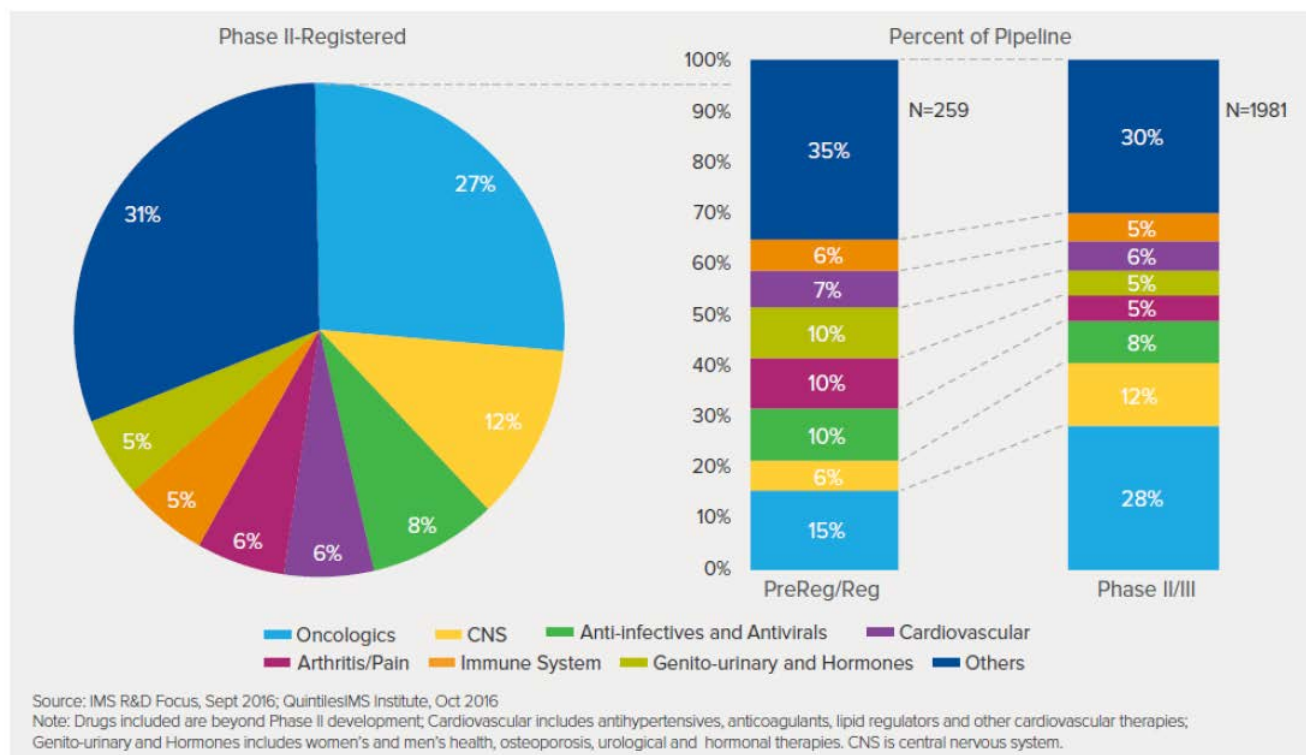
AIFA

L'evoluzione del mercato farmaceutico



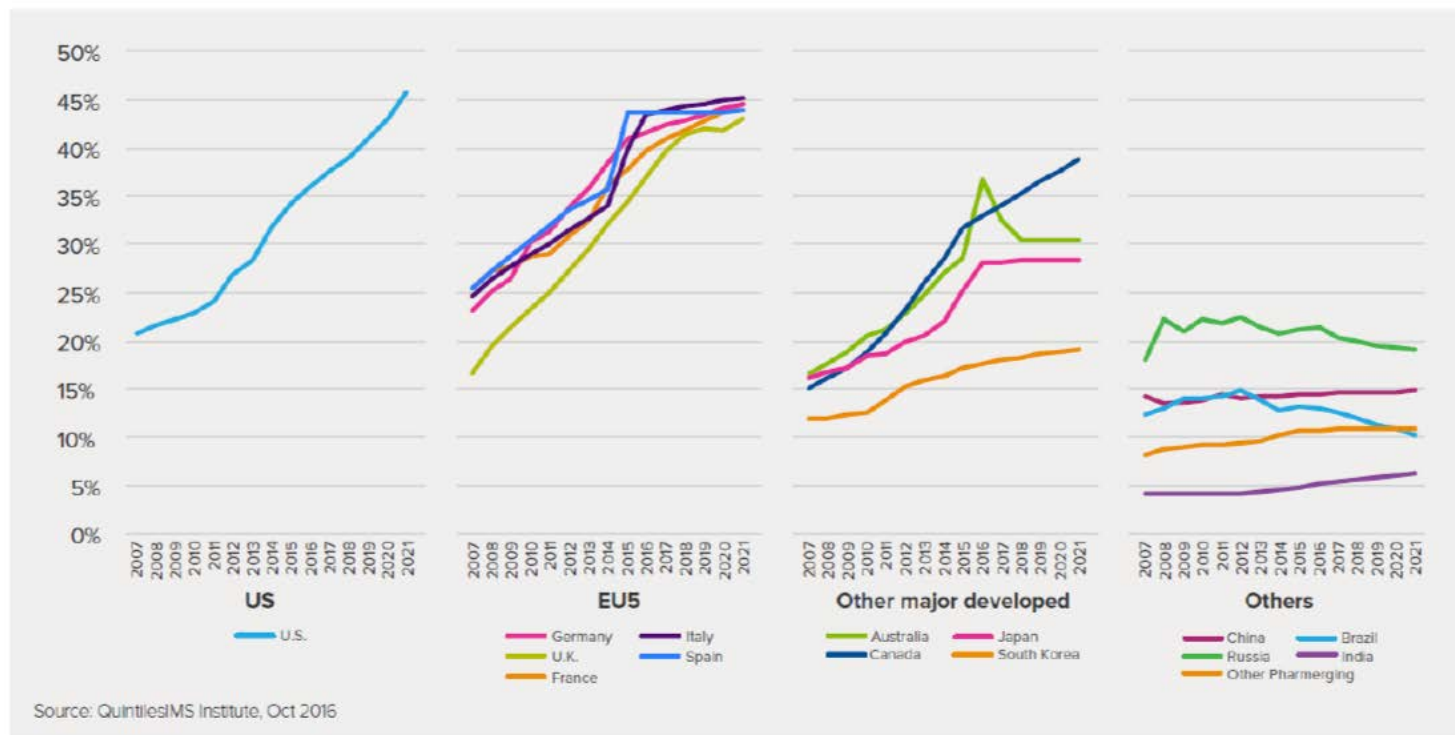
Global Medicine Spending Will Reach Nearly \$1.5 Trillion by 2021 on an Invoice Price Basis, Up Nearly \$370 Billion from the 2016 Estimated Spending Level

In arrivo numerose nuove molecole



The Number of New Medicines Reaching Patients Will Be Historically Large

L'impatto sulla spesa delle nuove molecole



New Medicines Increasingly are Specialty in Nature, and Their Share of Global Spending Will Continue to Rise Through 2021

Futuro e Innovazione: realizzabilità e sostenibilità

- ✓ Altre terapie per l'epatite C;
- ✓ MoAb per Alzheimer e per demenze;
- ✓ Nuovi antitumorali;
- ✓ Nuovi antiretrovirali.

Terapia genica

Editing genetico

Farmaci stampati 3D

Immunoterapia

Il SSN sarà in grado di sostenere tutto ciò?

Farmaci innovativi

La terapia più giusta?

Quali rischi?

Trials clinici

Real World Data



Eventuali rivalutazioni

Le raccomandazioni dell'OCSE

- Più investimenti nella ricerca biomedica.
- Adattare le politiche per regolamentare l'ingresso sul mercato di nuove tecnologie.
- Migliorare la sorveglianza post-commercializzazione.
- Incoraggiare l'innovazione ad alto valore.
- Utilizzare nuovi metodi per garantire un accesso più rapido ai trattamenti la cui efficacia è incerta, cercando nel contempo di ridurre l'incertezza sull'impatto dei trattamenti.
- Promuovere la valutazione continua delle tecnologie sanitarie (HTA) in tutti i tipi di tecnologia biomedica.
- Sviluppare metodi per produrre le prove sulla sicurezza e l'efficacia dei trattamenti nella vita reale.

Innovatività e sostenibilità

AIFA, entro il 31 marzo 2017, definisce i criteri per la classificazione di:

- **farmaci innovativi e a innovatività condizionata**
- **farmaci oncologici innovativi.**

Il requisito di innovatività potrà valere per un massimo di **36 mesi**.

400. A decorrere dal 1° gennaio 2017, nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito un Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi, con una dotazione di **500 milioni di euro annui**.

401. A decorrere dal 1° gennaio 2017, nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito un Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali oncologici innovativi, con una dotazione di **500 milioni di euro annui**, mediante utilizzo delle risorse del comma 393.

- Conciliare la **promozione della ricerca e la valorizzazione dell'innovazione** con **l'accesso ai nuovi farmaci e la sostenibilità** è una priorità per il nostro SSN.
- AIFA si impegna a fare in modo che ogni paziente riceva la terapia più mirata, basata sui criteri sostenuti dalla Comunità Scientifica internazionale e garantendo che il farmaco sia il più **appropriato**, in termini di rapporto costo-beneficio e in relazione alla patologia:
- ✓ **Approccio etico**
- ✓ **Responsabilità sociale**
- ✓ **Sostenibilità economica del Sistema**
- **Nuova governance del farmaco**, nella consapevolezza dell'impatto della gestione del trattamento farmacologico del malato cronico sull'assistenza sanitaria.

Prezzi alti dei farmaci non sempre giustificabili

I prezzi sono spesso il risultato del potere di mercato correlato alla protezione brevettuale, dell'esclusività garantita dalla normativa vigente, della forza del mercato sanitario. In rari casi i prezzi elevati sono associati a molecole innovative con una efficacia importante ma comunque ad un costo iniziale esorbitante e discutibile.

La sfida politica risiede nel mettere a disposizione queste molecole ad un prezzo ragionevole, in modo da:

- **Incentivare** lo sviluppo e l'adozione di nuove tecnologie per migliorare i bisogni di salute dei cittadini;
- Assicurare un accesso equo all'innovazione;
- Promuovere la sostenibilità del sistema sanitario.

Questo implica che l'innovazione dovrebbe avere un prezzo che offra valore e dovrebbe essere sostenibile.

Come conciliare innovazione, sostenibilità e rapido ed equo accesso per i pazienti?

Regulatory Toxicology and Pharmacology 80 (2016) 314–320



Contents lists available at ScienceDirect

Regulatory Toxicology and Pharmacology

journal homepage: www.elsevier.com/locate/yrtph



Commentary

New trends and challenges in the European regulation of innovative medicines[☆]



Harald Enzmann

Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Kurt Georg Kiesinger Allee 3, 53175, Bonn, Germany

Diminishing the differences in the requirements of regulators and HTA bodies is in the best interest of both patients and the pharmaceutical industry, avoiding duplication of work and accelerating patients' access by early decisions on price and reimbursement.

Qual è il prezzo ragionevole di un nuovo farmaco?

VIEWPOINT

Payer and Policy Maker Steps to Support Value-Based Pricing for Drugs

Peter B. Bach, MD
Health Outcomes
Research Group,
Memorial Sloan
Kettering Cancer
Center, New York,
New York.

**Steven D. Pearson,
MD, MSc**
Institute for Clinical and
Economic Review,
Boston, Massachusetts.

Prescription drugs is the only major category of health care services for which the producer is able to exercise relatively unrestrained pricing power. By law, drug manufacturers can set the price that Medicare and Medicaid programs pay for new drugs, and they also benefit from significant negotiating advantages over private insurers, who are required to cover most new drugs and are unable to obtain significant price concessions from manufacturers, particularly for drugs that offer some clinical advantage or use alternative mechanisms of action compared with available treatment options. As a result, drug prices in the United States are generally 2 to 6 times higher than prices

B-cell acute lymphoblastic leukemia that is Philadelphia chromosome negative), at \$65 000 per month of treatment, costs 5 times as much as its value supports, but bendamustine HCL (approved for treatment of chronic lymphocytic leukemia), at \$7725 per month, costs 60% less than its DrugAbacus price.⁹

Now that value-based prices can be determined for drugs, insurers and policy makers can consider steps toward a value-driven pricing system (Table) that does not require Medicare negotiation, price setting, or mandates. What will be needed, however, is a shift toward providing an array of incentives to bolster the business case

JAMA December 15, 2015 Volume 314, Number 23

Will drug companies' price-transparency efforts fall short?



In January, 2017, Merck and Co disclosed its aggregate drug price increases since 2010 in an annual Corporate Responsibility Report and has pledged to update those figures each year. Despite headlines and widespread outrage about massive price hikes in the industry in recent years, Merck's

Care Taskforce. "I am sceptical that it will be so obvious as to make the high prices rational and understandable."

"Every new drug appears to cost more than the last; prices rise even when competitors appear, when the market size expands, when drugs work less well than hoped", said Peter Bach (Memorial

Unless firms specify to whom and why they offer rebates and discounts, "you're not being transparent, in my mind," Kinch said.

According to the figures from the Merck & Co report, after rebates, discounts, and returns to insurers and other payers, the average net annual

The path forward with drug companies, "as with any other for-profit company, is to correlate the price of the product, drugs in this case, to the value it brings to patients, the health-care system, and society", said Bach.

THE LANCET
Oncology

Volume 18, No. 3, p288, March 2017

Il giusto prezzo

La questione morale nell'assistenza sanitaria: la politica dei prezzi dei farmaci tra etica e legge di mercato

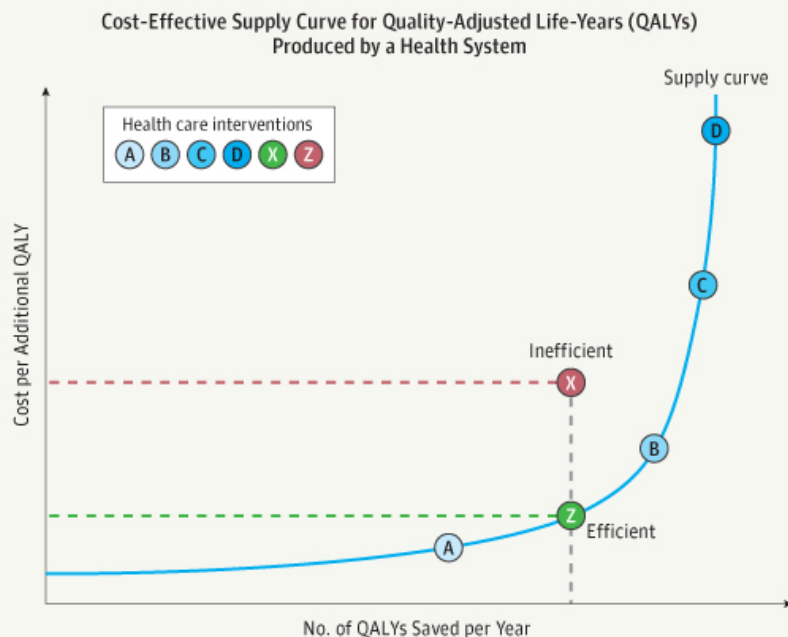


14/09/2015

Il dibattito internazionale intorno alla questione dell'arrivo sul mercato di nuovi farmaci specialistici sempre più costosi, con le implicazioni etiche e morali che ne derivano per le istituzioni sanitarie così come per le aziende produttrici, si fa sempre più intenso e interessante. Ne è un esempio un [editoriale](#) di Uwe E. Reinhardt, professore di economia sanitaria, sistemi sanitari comparati, microeconomia e gestione finanziaria alla Princeton University, recentemente apparso su JAMA Forum.

JAMA Forum: Probing our Moral Values in Health Care: the Pricing of Specialty Drugs

BY [NEWS@JAMA](#) on AUGUST 11, 2015



SCHOOL OF PUBLIC HEALTH
Powerful ideas for a healthier world

A to Z Index Search

People - Calendar - myHarvardChan - Email - News

News

News Home

Press Releases

Features

[Home](#) > [News](#) > [In the News](#) > Poll: Most Americans support government action to keep drug prices down

Poll: Most Americans support government action to keep drug prices down

Etica e morale: assistenza sanitaria

EFPIA

EFPIA response to Reuters article "Industry weighs radical shake up of European Drug Pricing"

EFPIA notes today's article published by Reuters, entitled: "Industry weighs radical shake up of European Drug pricing". As an industry, we acknowledge the affordability challenges faced by healthcare systems, under pressure from rising healthcare demand. Our industry wants to be part of the solution in making medicines more accessible and healthcare more sustainable.

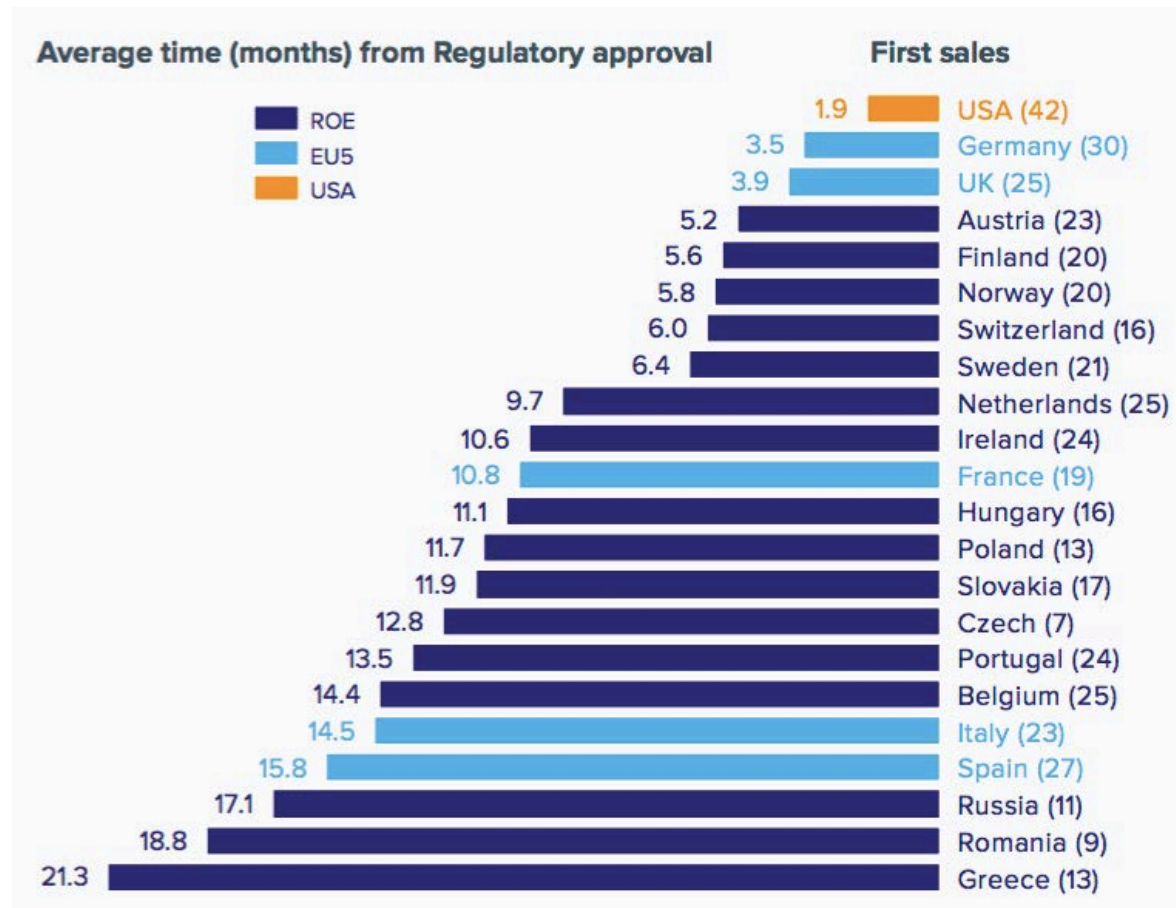
Adottare un modello di definizione del prezzo basato sugli *outcomes* prodotti e sul valore generato in termini di salute effettiva, piuttosto che sulla monetizzazione degli investimenti in ricerca e sviluppo e sui volumi di vendita dei medicinali.

Powerful Ideas for Global Access to Medicines

Suerie Moon, M.P.A., Ph.D.

"Terapie non sostenibili e innovazione non adeguata sono diventate questioni globali. Così come i cambiamenti climatici, hanno bisogno di nuove politiche pubbliche e di cooperazione internazionale"

Time to market access after approval



Adattarsi per rispondere meglio ai bisogni dei pazienti

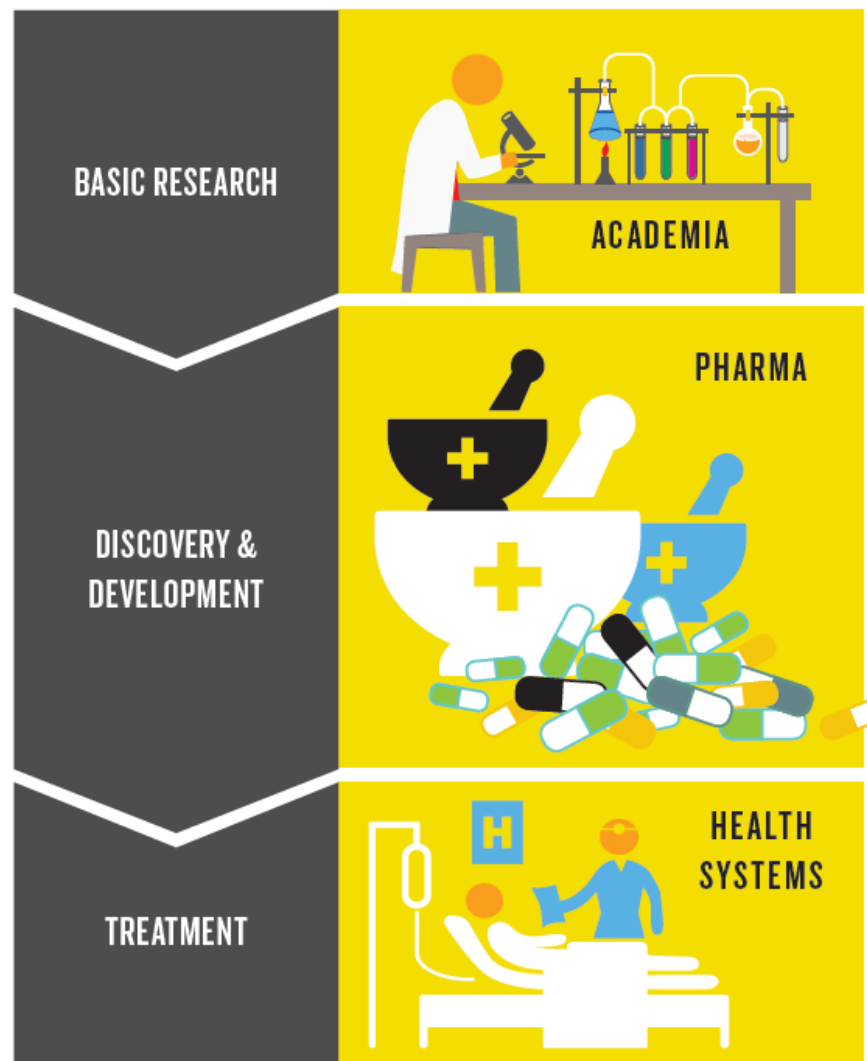
Early Patient Access to Medicines: Health Technology Assessment Bodies Need to Catch Up with New Marketing Authorization Methods

Lada Leyens Angela Brand

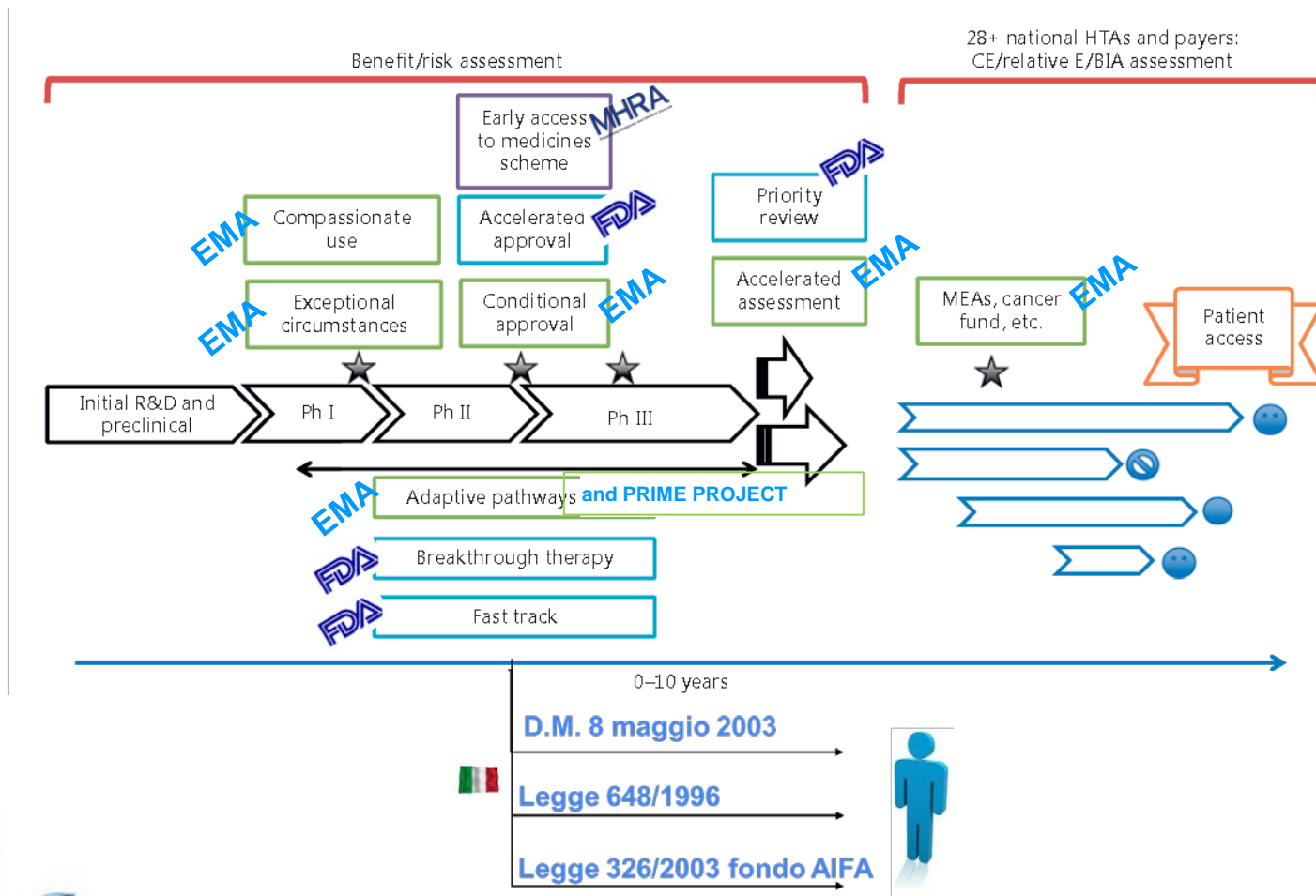
The goal of early patient access in Europe can only be achieved if the national HTA bodies, provide harmonized, transparent, flexible, conditional and adaptive methods that adopt the level of evidence accepted by the medicines agencies.

La strategia della collaborazione per il bene del paziente

“A growing appreciation that cooperation and competition can coexist is transforming the life-sciences innovation landscape. Development was once shrouded in secrecy, but now organizations are coming together”.



Canali di accesso all'innovazione



LEA e BPCO

Art. 53

Persone affette da malattie croniche e invalidanti

Le persone affette dalle malattie croniche e invalidanti individuate dall'allegato 8 al presente decreto hanno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie indicate dal medesimo

BRONCOPNEUMOPATIA CRONICA OSTRUTTIVA (BPCO) NEGLI STADI CLINICI "MODERATA", "GRAVE" E "MOLTO GRAVE"

| PRESTAZIONI | FREQUENZA |
|--|--------------|
| VISITA DI CONTROLLO necessaria al monitoraggio della malattia, delle complicanze più frequenti ed alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti (* NOTA) | ogni 6 mesi |
| 90.25.5 GAMMA GLUTAMIL TRANSPEPTIDASI (gamma GT) | ogni 6 mesi |
| 90.27.1 GLUCOSIO | ogni 6 mesi |
| 90.44.1 UREA | ogni 6 mesi |
| 90.44.3 URINE ESAME COMPLETO. Incluso: sedimento urinario | ogni 6 mesi |
| 90.62.2 EMOCROMO: ESAME CITOMETRICO E CONTEGGIO LEUCOCITARIO DIFFERENZIALE Hb, GR, GB, HCT, PLT, IND. DERIV. Compreso eventuale controllo microscopico | ogni 6 mesi |
| 91.49.2 PRELIEVO DI SANGUE VENOSO | ogni 6 mesi |
| 91.48.5 PRELIEVO DI SANGUE ARTERIOSO | ogni 6 mesi |
| 91.49.1 PRELIEVO DI SANGUE CAPILLARE | ogni 6 mesi |
| 89.37.2 SPIROMETRIA GLOBALE [con tecnica di diluizione, pletismografia o altra metodica] | ogni 6 mesi |
| 89.44.2 TEST DEL CAMMINO CON VALUTAZIONE DELLA SATURAZIONE ARTERIOSA [WALKING TEST] | ogni 6 mesi |
| 87.44.1 RX DEL TORACE. Radiografia standard del torace in 2 proiezioni posteroanteriore e laterolaterale | ogni 12 mesi |

Proposta Nota BPCO

Nei pazienti affetti da BPCO, in cui sono spesso presenti anche altre condizioni patologiche, i livelli di aderenza ai farmaci risultano inferiori ai livelli tipicamente riportati nel trattamento di altre malattie.

Motivi della scarsa aderenza:

- Difficoltà di utilizzo dei dispositivi di somministrazione.
- Condizioni di co-morbidità e di politerapia.
- Scarsa presa di coscienza della malattia.
- Sintomi della patologia che inducono ad adeguare il dosaggio e la modalità di assunzione dei farmaci

PROPOSTA DIAGNOSTICO - TERAPEUTICA per la prescrizione del trattamento farmacologico della **broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO)** (Indirizzata al MMG)

Medico prescrittore _____ Tel. _____ Unità Operativa _____

Paziente (nome e cognome) _____ Sesso: ☐ M ☐ F

Data di Nascita _____ Residenza _____ Codice fiscale _____

Durata (anni) di malattia _____

Lo specialista pneumologo verifica la presenza delle seguenti condizioni:

1 ☐ **diagnosi clinica e spirometrica di broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO)**

FEV₁ / FVC (da esame spirometrico) < 0,70 (70%) _____

Indicare il valore misurato con lo spirometro

2 ☐ FEV₁ < 50%

Identifica uno degli scenari previsti dalle LG con le conseguenti proposte terapeutiche:

☐ FEV₁ ≥ 50% del valore teorico: mancata/insufficiente risposta clinica al LAMA o al LABA usati singolarmente in termini di:
☐ frequenti riacutizzazioni; ☐ persistenza della dispnea.

☐ FEV₁ < 50% del valore teorico: ☐ frequenti riacutizzazioni; ☐ persistenza della dispnea, ☐ controindicazioni/intolleranza a _____

☐ mancata/insufficiente risposta clinica al LABA/LAMA o LABA/ICS a prescindere dal valore di FEV₁ in termini di:
☐ frequenti riacutizzazioni; ☐ persistenza della dispnea.

Indicazione terapeutica

☐ LABA + ICS ☐ LABA + LAMA ☐ (LABA + ICS) + LAMA

Principali punti della Nota

- ✓ AIFA: Nota, in condivisione con gli specialisti e con i MMG, al fine di intervenire sul percorso diagnostico-terapeutico.
- ✓ L'obiettivo è quello di assicurare l'appropriatezza diagnostico-terapeutica.
- ✓ Individuazione dei pazienti con BPCO candidati ad una terapia inalatoria di mantenimento (LABA/LAMA/ICS e relative associazioni precostituite (LABA/ICS, LABA/LAMA).
- ✓ Le prove di efficacia disponibili derivate da studi di confronto fra le diverse classi e fra le diverse associazioni di farmaci non consentono conclusioni definitive circa differenze nel rallentamento della progressione della malattia, nelle riduzione della mortalità totale e respiratoria.
- ✓ I risultati degli studi disponibili non consentono di affermare la superiorità di un principio attivo rispetto all'altro o di una associazione rispetto all'altra. La scelta del principio attivo o dell'associazione dovrà considerare la disponibilità, le preferenze, la *compliance* del paziente ed i costi.

Asma: nuove frontiere terapeutiche

Tailored therapy for severe asthma

Menzella *et al.* *Multidisciplinary Respiratory Medicine* 2015, 10:1

Molecularly targeted therapies for asthma: Current development, challenges and potential clinical translation

I. Sulaiman *et al.* / *Pulmonary Pharmacology & Therapeutics* 40 (2016) 52–68

Kinases as Novel Therapeutic Targets in Asthma and Chronic Obstructive Pulmonary Disease

Peter J. Barnes

Clive Page, ASSOCIATE EDITOR

Pharmacological Reviews July 2016, 68 (3) 788-815;



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

**Pneumology/
Allergology**

Recenti autorizzazioni EMA

Mepolizumab e Reslizumab

(AbM su IL-5)



... Aerivio Spiromax
Airexar Spiromax
Cinquaero
... Granpidam

Studi clinici per ATC e fase (2015)

| Classificazione terapeutica ATC 1° livello | SC 2015 | % | Fase I | | Fase II | | Fase III | | Fase IV | | Bioeq / Biod | |
|---|------------|------|--------|------|---------|------|----------|------|---------|------|--------------|-----|
| | | | SC | % | SC | % | SC | % | SC | % | SC | % |
| L Antineoplastici e immunomodulatori | 283 | 47,6 | 49 | 17,3 | 110 | 38,9 | 109 | 38,5 | 15 | 5,3 | 0 | 0,0 |
| J Antimicrobici generali per uso sistemico | 51 | 8,6 | 2 | 3,9 | 13 | 25,5 | 25 | 49,0 | 9 | 17,6 | 2 | 3,9 |
| A Apparato gastrointestinale e metabolismo | 46 | 7,7 | 1 | 2,2 | 16 | 34,8 | 20 | 43,5 | 8 | 17,4 | 1 | 2,2 |
| N Sistema nervoso | 36 | 6,1 | 2 | 5,6 | 10 | 27,8 | 20 | 55,6 | 4 | 11,1 | 0 | 0,0 |
| B Sangue e organi emopoietici | 34 | 5,7 | 6 | 17,6 | 9 | 26,5 | 14 | 41,2 | 5 | 14,7 | 0 | 0,0 |
| C Sistema cardiovascolare | 27 | 4,5 | 1 | 3,7 | 9 | 33,3 | 16 | 59,3 | 1 | 3,7 | 0 | 0,0 |
| M Sistema muscolo-scheletrico | 24 | 4,0 | 5 | 20,8 | 3 | 12,5 | 12 | 50,0 | 3 | 12,5 | 1 | 4,2 |
| V Vari | 24 | 4,0 | 0 | 0,0 | 8 | 33,3 | 11 | 45,8 | 5 | 20,8 | 0 | 0,0 |
| H Preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali | 20 | 3,4 | 3 | 15,0 | 8 | 40,0 | 6 | 30,0 | 3 | 15,0 | 0 | 0,0 |
| R Sistema respiratorio | 18 | 3,0 | 1 | 5,6 | 3 | 16,7 | 11 | 61,1 | 3 | 16,7 | 0 | 0,0 |



**La Sperimentazione Clinica
dei Medicinali in Italia**

15° Rapporto nazionale
2016

Pneumologia: studi clinici in Italia (2016/2017)

BPCO: 4 studi (Fasi: IIa, III, IIIb IV)

Asma: 4 studi (Fasi: III, III, IIIb, IV)

Fibrosi cistica: 5 studi (Fasi: II, II, III, III, IV)

Fibrosi Idiopatica Polmonare: 2 studi (Fasi: IIa, III)

Bronchiectasia Non da Fibrosi Cistica: 1 studio (Fase: II)

L'impegno di AIFA per le malattie rare

Sperimentazioni in malattie rare per Promotore profit / no profit, nazionali e internazionali

SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 167 (24,9%) in malattie rare

| Tipo Promotore | Nazionali | | Internazionali | | Totale | |
|----------------|-----------|-------------|----------------|-------------|------------|--------------|
| | SC | % | SC | % | SC | % |
| Profit | 1 | 4,8 | 138 | 94,5 | 139 | 83,2 |
| No profit | 20 | 95,2 | 8 | 5,5 | 28 | 16,8 |
| Totale | 21 | 12,6 | 146 | 87,4 | 167 | 100,0 |

Sperimentazioni in malattie rare per fase

SC autorizzate nel 2015: 672 di cui 167 (24,9%) in malattie rare

| Fase | 2015 | | |
|---------------|------------|--------------------------|------------------------------|
| | SC | % su SC in malattie rare | % su SC autorizzate per fase |
| Fase III | 73 | 43,7 | 23,9 |
| Fase II | 69 | 41,3 | 30,8 |
| Fase I | 20 | 12,0 | 29,0 |
| Fase IV | 5 | 3,0 | 7,4 |
| Totale | 167 | 100,0 | |



Malattie rare polmonari: la fibrosi cistica

| Name | Active substance | Therapeutic area | Date of authorisation / refusal | | O | C | E | | Status |
|----------|------------------------|------------------|---------------------------------|---|---|---|---|--|------------|
| Kalydeco | ivacaftor | Cystic Fibrosis | 23/07/2012 | ▼ | O | | | | Authorised |
| Orkambi | lumacaftor / ivacaftor | Cystic Fibrosis | 19/11/2015 | ▼ | | | | | Authorised |

Kalydeco

Determina di autorizzazione pubblicata in GU.

Orkambi

In fase di definizione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilità.

Ricerca Indipendente: Bando AIFA 2016

Bando AIFA 2016 Ricerca Indipendente

Il Bando AIFA 2016 per la Ricerca Indipendente è stato pubblicato in data 20 ottobre 2016 in Gazzetta Ufficiale.

Il programma di ricerca indipendente AIFA è rivolto a tutti i ricercatori italiani di istituzioni pubbliche e no profit. Saranno accettate esclusivamente le domande di partecipazione presentate secondo le modalità e linee guida definite dal bando e relativi allegati. Nell'ambito del Bando AIFA 2016 sono identificate tre aree tematiche, su cui è possibile presentare progetti di studio interventistico o osservazionale: malattie rare, popolazioni fragili e medicina di genere.

Il sistema di presentazione delle domande sarà attivo a partire dal 31/10/2016 fino alle ore 18.00 del 5/12/2016 tramite l'indirizzo di accesso al sistema: <http://aifa.cbim.it>

Per richieste relative al bando ed alle modalità di presentazione delle domande, sono attivi, rispettivamente, i seguenti recapiti per argomenti di natura scientifico- regolatoria o tecnica:

Supporto regolatorio e scientifico:

Agenzia Italiana del Farmaco

Tel. 0039 06 5978 4222 (dal lunedì al venerdì 10:00 – 16:00)

e-mail: ricercaindipendente@aifa.gov.it

Supporto tecnico:

Consortium Of Bioengineering and Medical Informatics (CBIM)








Tel. 0039 0382 528759 (dal lunedì al venerdì 9:00 - 18:00)

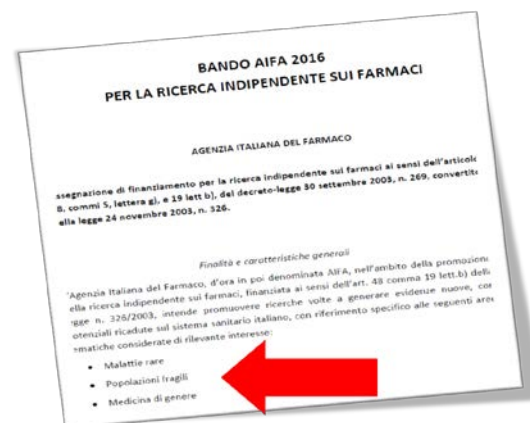
e-mail: aifa@cbim.it

Il testo del Bando con i relativi allegati e le linee guida per la presentazione delle domande sono consultabili ai seguenti link:

1. *Bando AIFA 2016 per la Ricerca Indipendente*
2. *Allegato 1: Linee Guida per la redazione e presentazione del protocollo*
3. *Appendice A: Study Classification*
4. *Appendice B: Linee Guida per la distribuzione delle spese del budget*
5. *Allegato 2: Linee Guida per la valutazione dei protocolli di Ricerca Indipendente*
6. *Fac-simile contratto Studi sperimentali*
7. *Fac-simile contratto Studi osservazionali*

Allegati

-  Bando AIFA 2016 per la Ricerca Indipendente
-  Allegato 1: Linee Guida per la redazione e presentazione del protocollo
-  Appendice A: Study Classification
-  Appendice B: Linee Guida per la distribuzione delle spese del budget
-  Allegato 2: Linee Guida per la valutazione dei protocolli di Ricerca Indipendente
-  Fac-simile contratto Studi sperimentali
-  Fac-simile contratto Studi osservazionali



- **Malattie rare: 135 progetti**
- **Popolazioni fragili: 160 progetti**
- **Medicina di genere: 48 progetti**

Le priorità per il nostro SSN

- Governare al meglio l'innovazione farmaceutica e tradurla in valore aggiunto in termini di salute è la condizione fondamentale per garantire ai cittadini anche in futuro un **accesso equo e sostenibile** alle nuove terapie.
- La questione dell'interrelazione tra innovazione, accesso alle cure e sostenibilità, ha una **portata globale** e non può essere affrontata esclusivamente all'interno dei confini nazionali.
- Occorre una **condivisione** ampia di politiche, strategie e leggi in grado di far fronte a una realtà che è profondamente mutata negli ultimi anni e che promette di non arrestare il suo processo di metamorfosi.



Il futuro: garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti

"Ricordatevi di guardare le stelle e non i vostri piedi...Per quanto difficile possa essere la vita, c'è sempre qualcosa che è possibile fare, e in cui si può riuscire."

Stephen Hawking

