

Farmaci Orfani

Luisa Muscolo, Pietro Folino Gallo

Ufficio Coordinamento OsMed e attività HTA

Istituto Superiore di Sanità - 7 luglio 2011



Definizioni

- **Malattia rara:** è una patologia che colpisce un numero ristretto di persone rispetto alla popolazione generale;
 - limite stabilito in Europa: 5 persone affette ogni 10.000;
 - si stimano più di 30 milioni di pazienti in Europa e 2-3 milioni in Italia;
 - variabilità: origine e frequenza spazio-temporale;
- **Farmaco orfano:** è un *“...medicinale destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di una malattia rara che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica...”* *

Le normative

	USA	Giappone	Australia	UE
Quadro legale	Orphan Drug Act (1983)	Regolamento sui farmaci orfani (1993)	Politica sui farmaci orfani (1998)	Regolamento (CE) N°141/2000 (2000)
Autorità amministrative coinvolte	FDA / OOPD (Office of Orphan Products and Development) (Divisione farmaci orfani)	MHLW/OPSR (Ministry of Health, Labour and Welfare) (Orphan Drug Division)	TGA (Therapeutic Good Administration)	EMA / COMP (Comitato per i farmaci orfani)
Prevalenza della malattia (per 10.000 individui), che giustifica la designazione orfana	7,5	4	1,1	5

Quadro normativo europeo per farmaci orfani

- **Regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, concernente i medicinali orfani.**

Criteri per la designazione, procedura per ottenere la designazione; istituzione del COMP, incentivi economici:

- Esclusività di mercato;
- Assistenza per l'elaborazione dei protocolli;
- Accesso diretto alla Procedura centralizzata di registrazione;
- Esenzioni dai diritti;
- Scientific advice gratuito;
- Priorità all'accesso ai programmi di ricerca europei.

- **Regolamento (CE) n. 847/2000 della Commissione del 27 aprile 2000.**

Definizione dei concetti di medicinale «simile» e «cl clinicamente superiore».

- **Raccomandazione del Consiglio dell'8 giugno 2009 su un'azione nel settore delle malattie rare (2009/C 151/02).**

Sviluppo di piani nazionali e strategie per le malattie rare, network europeo sulla valutazione del valore aggiunto clinico dei farmaci orfani, sostegno alla ricerca, coinvolgimento delle associazioni di pazienti.

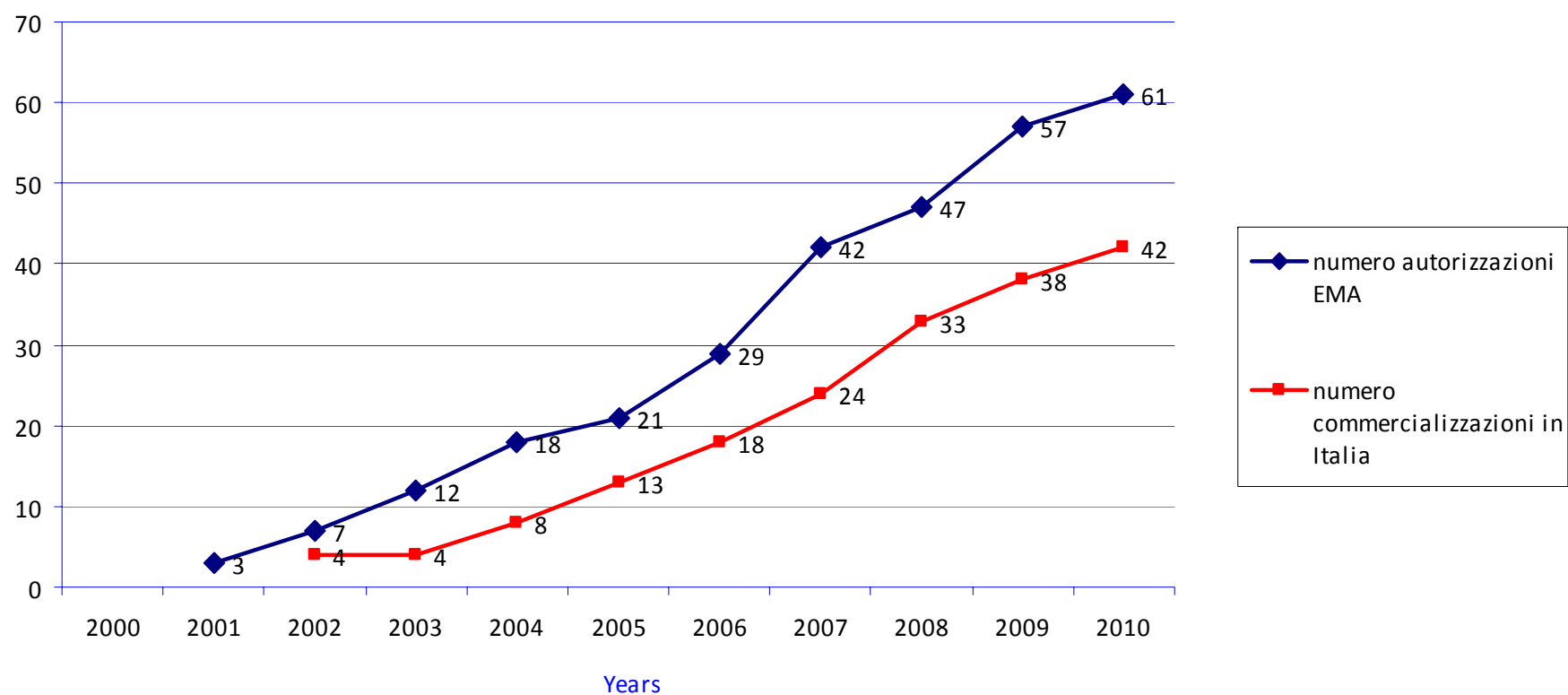


Le modalità di accesso alla cura di una malattia rara in Italia

- **Procedura autorizzativa centralizzata:**
 - standard;
 - condizionata:
 - il richiedente dovrà fornire in seguito i dati clinici completi;
 - il medicinale deve rispondere a esigenze mediche insoddisfatte;
 - i benefici per la salute pubblica derivanti dalla disponibilità immediata sul mercato del medicinale in questione superano i rischi inerenti al fatto che occorranò ancora dati supplementari.
- **Legge 648 del 1996;**
- **D.M. 8 maggio 2003** “Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica” (Uso compassionevole).



Numero di molecole orfane autorizzate dall'EMA e commercializzate in Italia

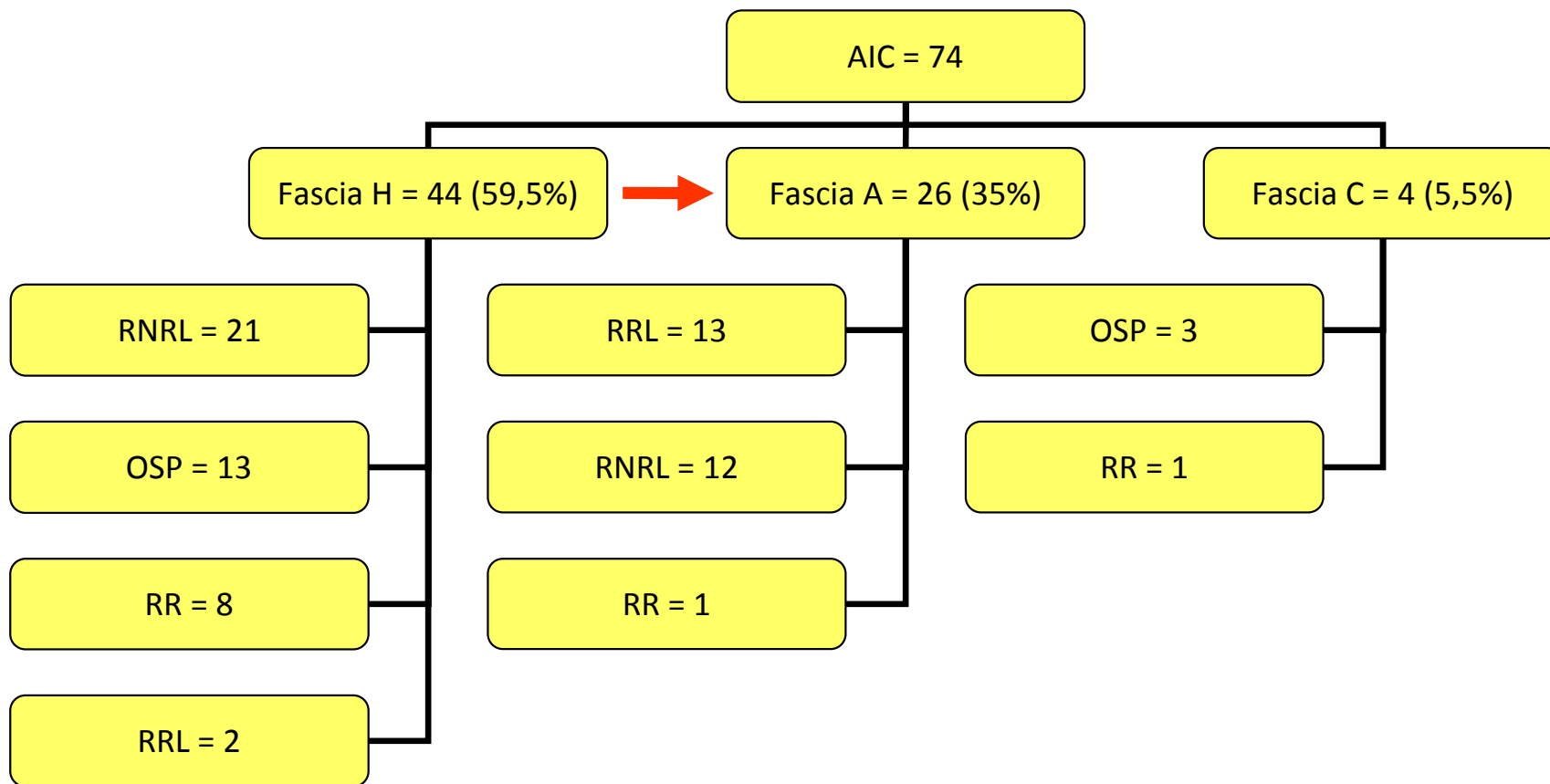


Farmaci orfani disponibili e non in Italia, anno 2010

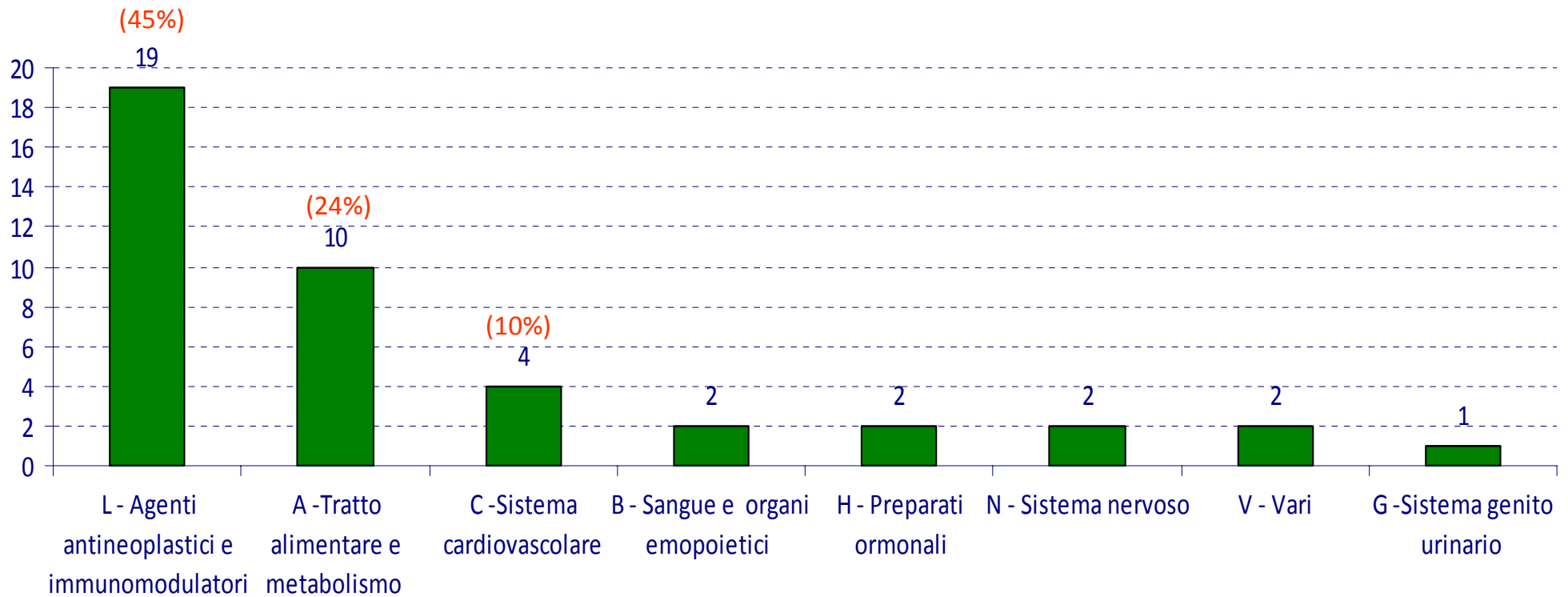
Anno 2010

n. molecole non disponibili in Italia	19	
nessuna richiesta P&R	5	26%
concluso iter autorizzativo, ma non in commercio	5	26%
procedura on-going	8	42%
sospeso accordo	1	5%

Regime di rimborsabilità e fornitura dei farmaci orfani, anno 2010



Numero di farmaci orfani commercializzati in Italia per classe ATC I livello, anno 2010



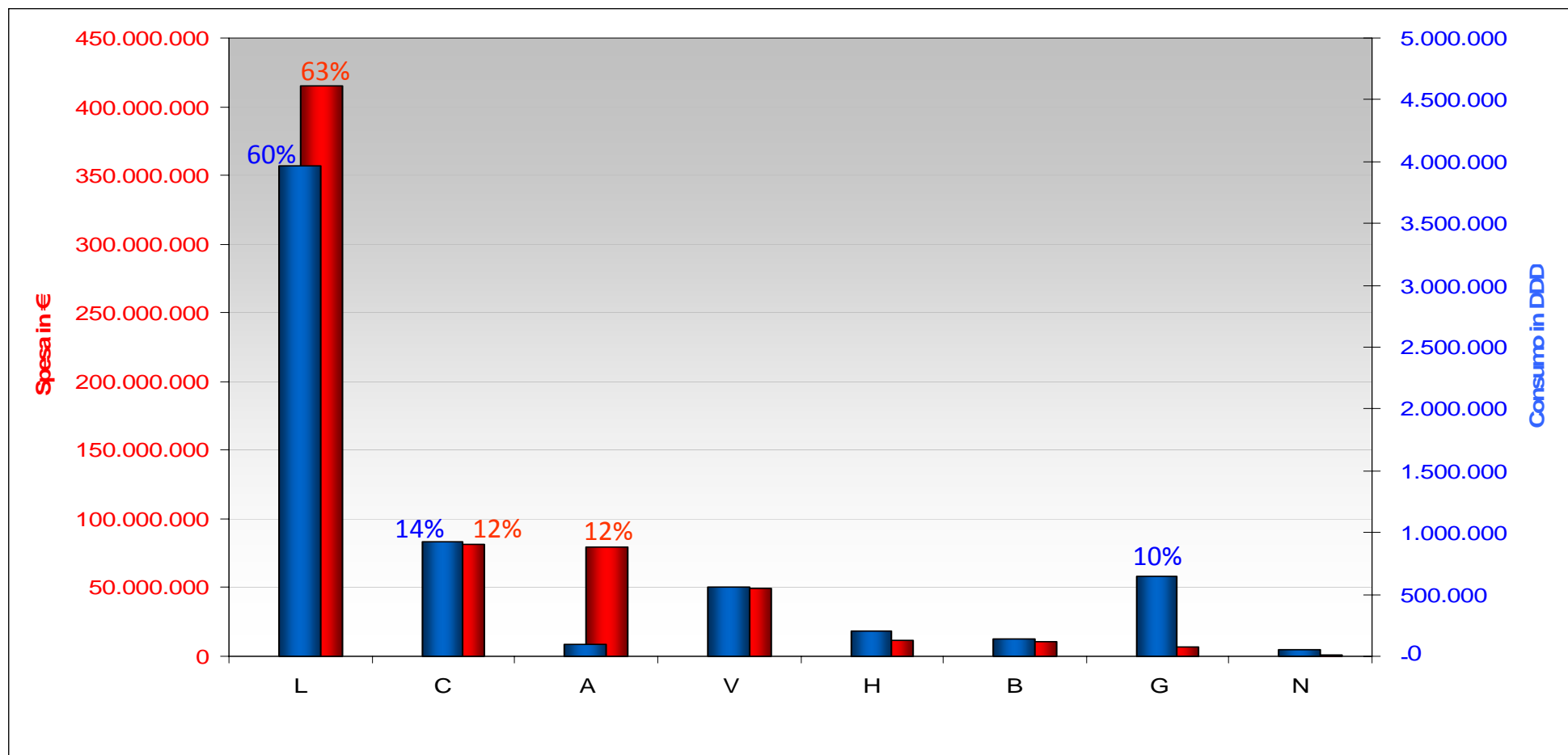
Spesa e consumo dei farmaci orfani, anni 2007-2010

ANNO	2007	2008	2009	2010	Delta % 2010 vs 2007
Consumo (DDD) farmaci orfani	2.737.340	3.950.037	5.271.295	6.595.432	141
Consumo farmaceutico ospedaliero	2.548.400.755	2.494.420.263	2.501.361.033	2.826.736.163	11
Incidenza farmaci orfani su consumo farmaceutico ospedaliero	0,11%	0,16%	0,21%	0,23%	

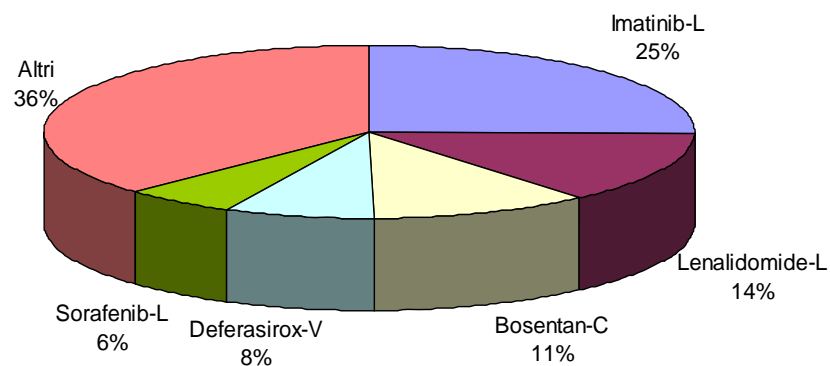
ANNO	2007	2008	2009	2010	Delta % 2010 vs 2007
Spesa (€) farmaci orfani	263.421.013	381.575.880	506.678.965	656.650.964	149
Spesa farmaceutica ospedaliera	4.819.748.089	5.612.177.227	6.010.484.505	6.539.965.380	36
Incidenza farmaci orfani su spesa farmaceutica ospedaliera	5,47%	6,80%	8,43%	10,04%	



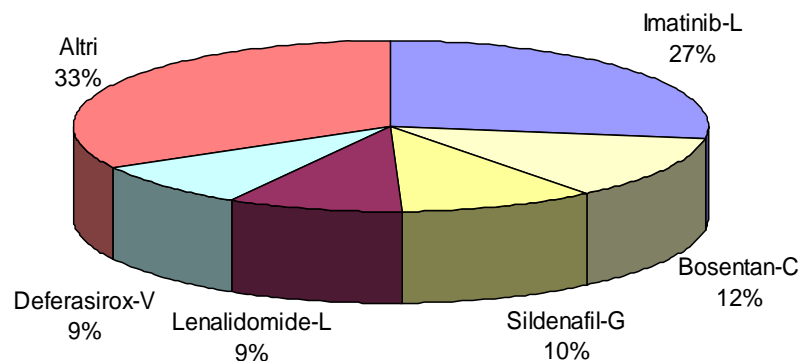
Spesa (€) e consumo (DDD) per farmaci orfani I livello ATC, anno 2010



% di spesa (€) e consumo (DDD) per molecole orfane, anno 2010

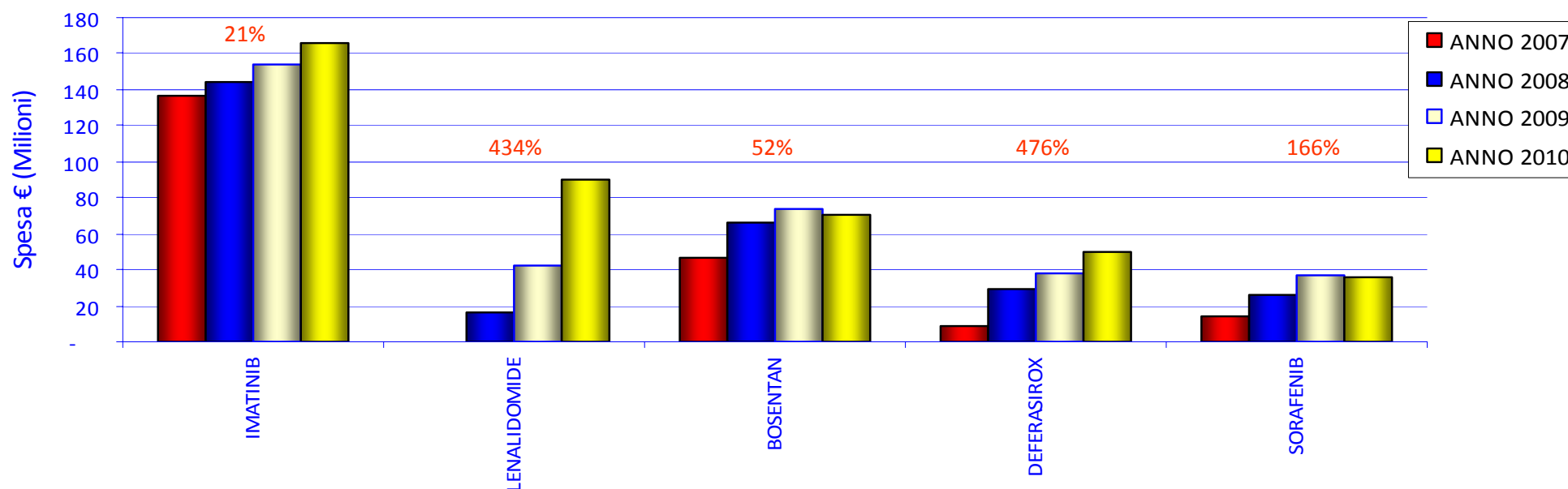


Spesa Farmaci Orfani:
€ 656.650.964

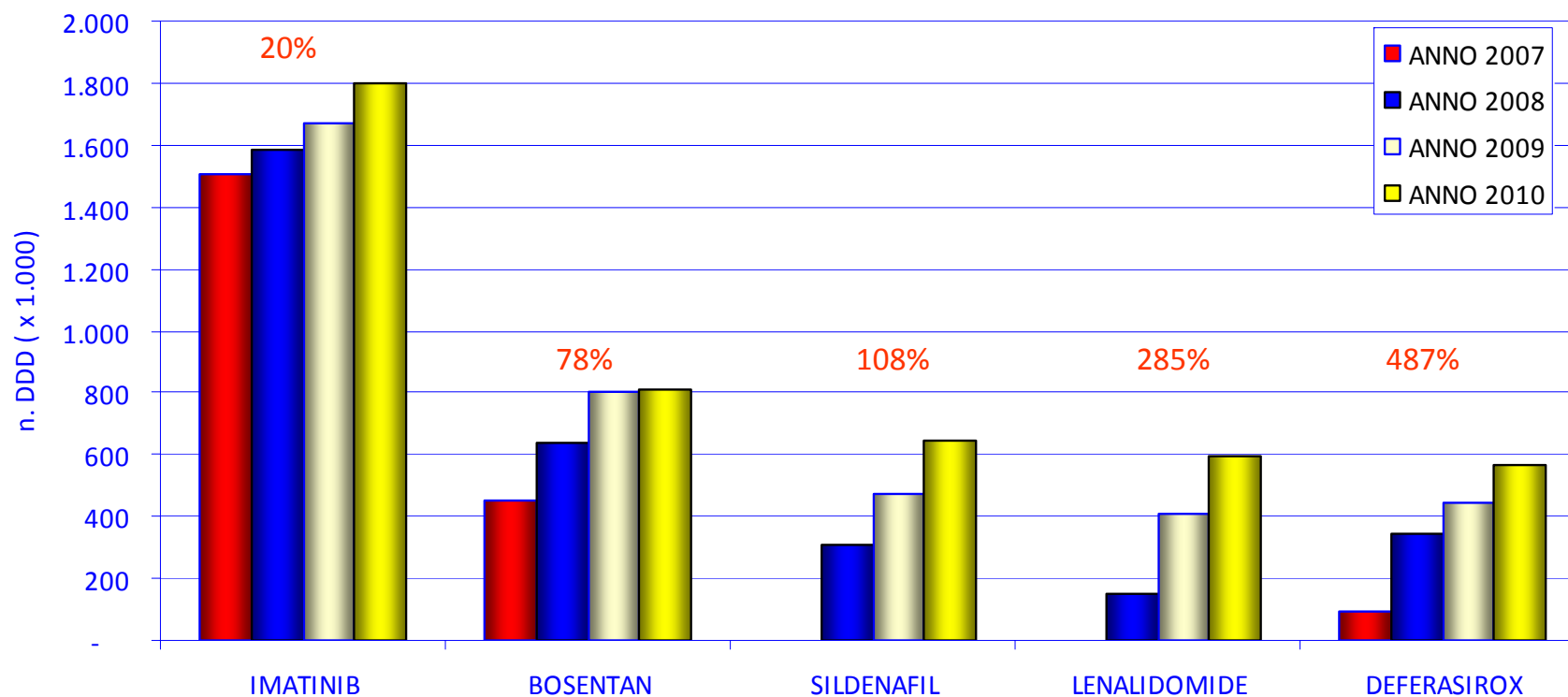


Consumo Farmaci Orfani:
6.595.432 DDD

Spesa (milioni €) delle 5 molecole orfane più vendute nel 2010. Anni 2007-2010



Consumo (DDD) delle 5 molecole orfane più utilizzate nell'anno 2010. Anni 2007-2010



Incremento % della
spesa (€) e del
consumo (DDD) per
Regione.

Anno: 2010 vs 2007

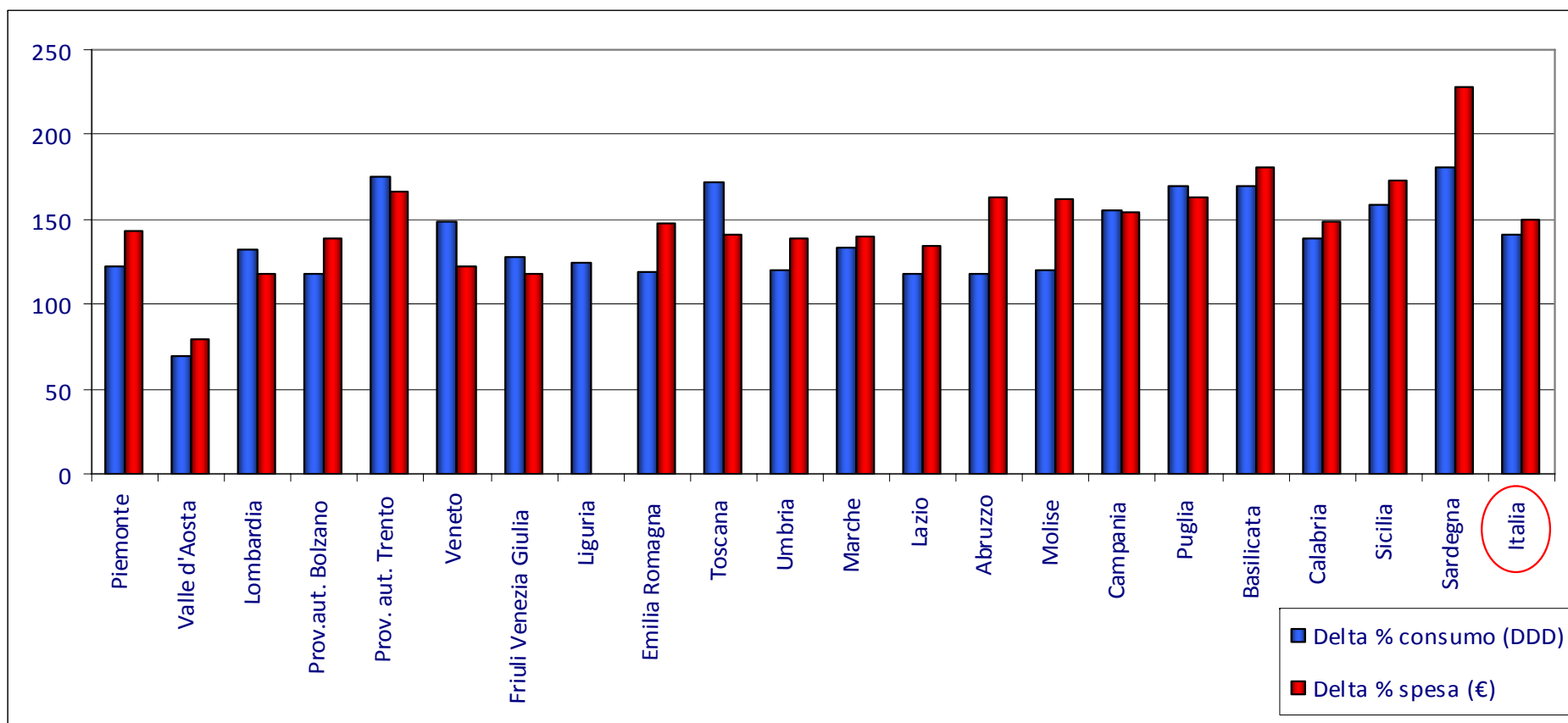
Regione	Delta % consumo (DDD)	Delta % spesa (€)
Piemonte	121,9	142,7
Valle d'Aosta	69,2	78,8
Lombardia	132,7	118,3
Prov.aut. Bolzano	117,9	139,1
Prov. aut. Trento	174,8	166,7
Veneto	149,2	122,3
Friuli Venezia Giulia	127,3	118,3
Liguria	124,4	N.D.
Emilia Romagna	119,2	147,3
Toscana	172,3	141,1
Umbria	119,6	138,5
Marche	133,7	140,0
Lazio	117,5	134,6
Abruzzo	117,9	162,9
Molise	120,4	161,7
Campania	155,3	154,6
Puglia	169,5	162,8
Basilicata	169,6	181,1
Calabria	138,8	148,7
Sicilia	158,8	172,6
Sardegna	180,3	227,6
Italia	140,9	149,3



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Incremento percentuale della spesa (€) e dei consumi (DDD) per Regione. Anno: 2010 vs 2007



Conclusioni

- Esistono varie modalità di accesso alle terapie per malattie rare;
- la maggior parte dei farmaci per malattie rare sono a carico del SSN;
- la spesa (€) e il consumo (DDD) sono aumentati rispettivamente del 149% e 141% nel 2010 rispetto al 2007;
- l'incidenza di spesa e consumo di farmaci orfani rispetto alla spesa e consumo farmaceutico ospedaliero è raddoppiato (spesa 10%, consumo 0.23%) nel 2010 rispetto al 2007;
- la categoria terapeutica più rappresentata in termini di spesa e consumo è quella degli agenti antineoplastici e immunomodulatori (63%, 60%), seguita dai farmaci del Sistema cardiovascolare (12%, 14%);
- nel 2010 rispetto al 2007 gli incrementi di spesa e consumo di specifiche molecole hanno raggiunto quasi il 500%.



GRAZIE PER L'ATTENZIONE



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Fonte: Vincent Van Gogh (1890)