



MAProvider
MARKET ACCESS PROVIDER

**L'ACCESSO AL MERCATO
DEI FARMACI
PER LE MALATTIE RARE:**
*nuove sfide e priorità per il
Sistema Sanitario Nazionale*

TERZA EDIZIONE

Responsabile scientifico: Pier Luigi Canonico

ROMA, 15 APRILE 2019
AULA POCCHIARI
Istituto Superiore di Sanità
Viale Regina Elena 299

RASSEGNA STAMPA

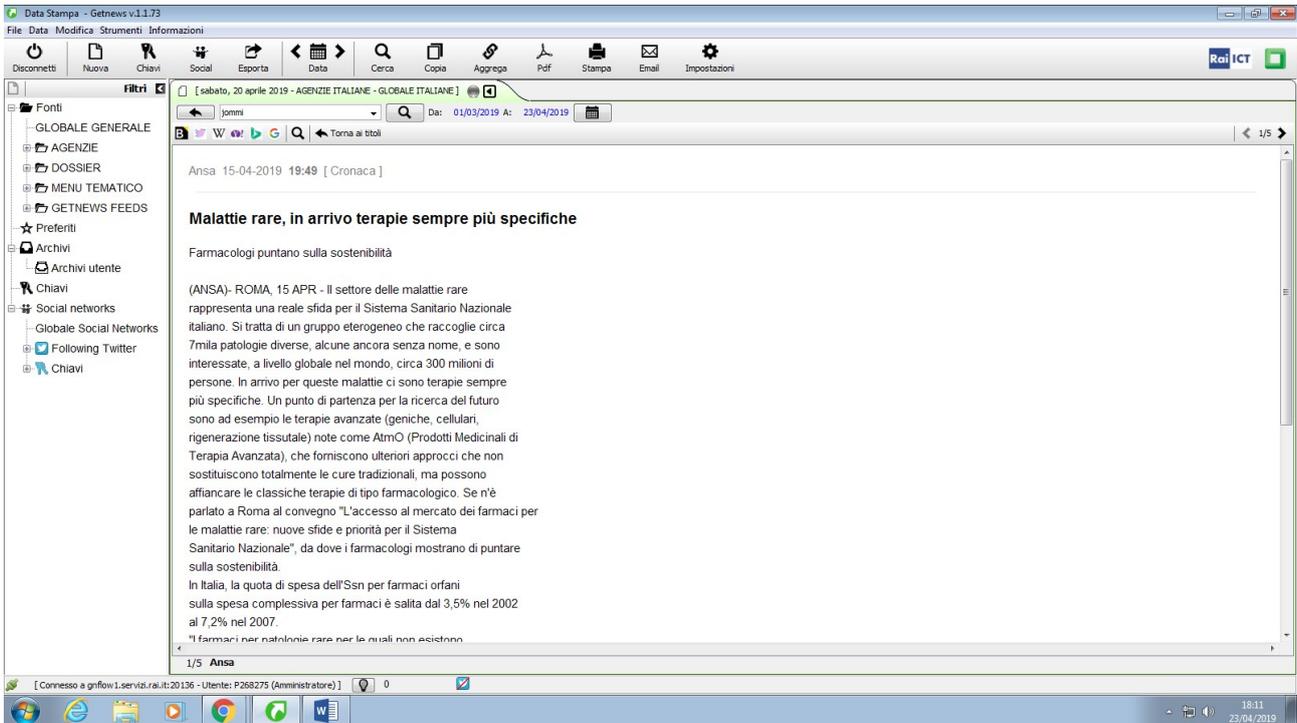
Sommario

TESTATE	DATA
AGENZIE	
ANSA	15 APRILE 2019
ANSA - WEB	15 APRILE 2019
AGI (3)	15 APRILE 2019
DIRE – WEB	15 APRILE 2019
PRIMA PAGINA NEWS	15 APRILE 2019
RADIO E TV	
GRP RAI – INT. JOMMI	22 APRILE 2019
STAMPA NAZIONALE E LOCALE (WEB)	
ALTO ADIGE	15 APRILE 2019
GIORNALE TRENTINO	15 APRILE 2019
LIBERO QUOTIDIANO	20 APRILE 2019
WEB	
SANITA' E INFORMAZIONE	15 APRILE2019
FARMACISTA33	15 APRILE2019
SALUTE LAB	15 APRILE2019
LA BUONA SALUTE	15 APRILE2019
AFFARI ITALIANI	15 APRILE2019
NURSE TIMES	15 APRILE2019
IN SALUTE NEWS	15 APRILE2019

Sommario

TECNO MEDICINA	15 APRILE2019
ROMA DAILY NEWS	15 APRILE2019
LIBERO PORTALE	15 APRILE2019
INTOPIC	15 APRILE2019
DOCTOR33	16 APRILE2019
ALL-ALL SANITY NEWS	16 APRILE2019
PHARMASTAR	20 APRILE 2019
SOCIAL NETWORK	
TWITTER	15 APRILE2019
TOTALE	24

Agenzie



The screenshot shows a web browser window with the following content:

- Browser Title:** Data Stampa - Getnews v.1.1.73
- Menu:** File, Data, Modifica, Strumenti, Informazioni
- Toolbar:** Disconnetti, Nuova, Chiavi, Social, Esporta, Data, Cerca, Copia, Aggrega, Pdf, Stampa, Email, Impostazioni
- Navigation:** [sabato, 20 aprile 2019 - AGENZIE ITALIANE - GLOBALE ITALIANE], jommi, 01/03/2019 A: 23/04/2019
- Left Sidebar (Fonti):**
 - GLOBALE GENERALE
 - AGENZIE
 - DOSSIER
 - MENU TEMATICO
 - GETNEWS FEEDS
 - Preferiti
 - Archivi
 - Archivi utente
 - Chiavi
 - Social networks
 - Globale Social Networks
 - Following Twitter
 - Chiavi
- Article Content:**
 - Header:** Ansa 15-04-2019 19:49 [Cronaca]
 - Title:** **Malattie rare, in arrivo terapie sempre più specifiche**
 - Sub-headline:** Farmacologi puntano sulla sostenibilità
 - Text:**

(ANSA) - ROMA, 15 APR - Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Si tratta di un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome, e sono interessate, a livello globale nel mondo, circa 300 milioni di persone. In arrivo per queste malattie ci sono terapie sempre più specifiche. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono ad esempio le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come AtmO (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata), che forniscono ulteriori approcci che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico. Se n'è parlato a Roma al convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale", da dove i farmacologi mostrano di puntare sulla sostenibilità.

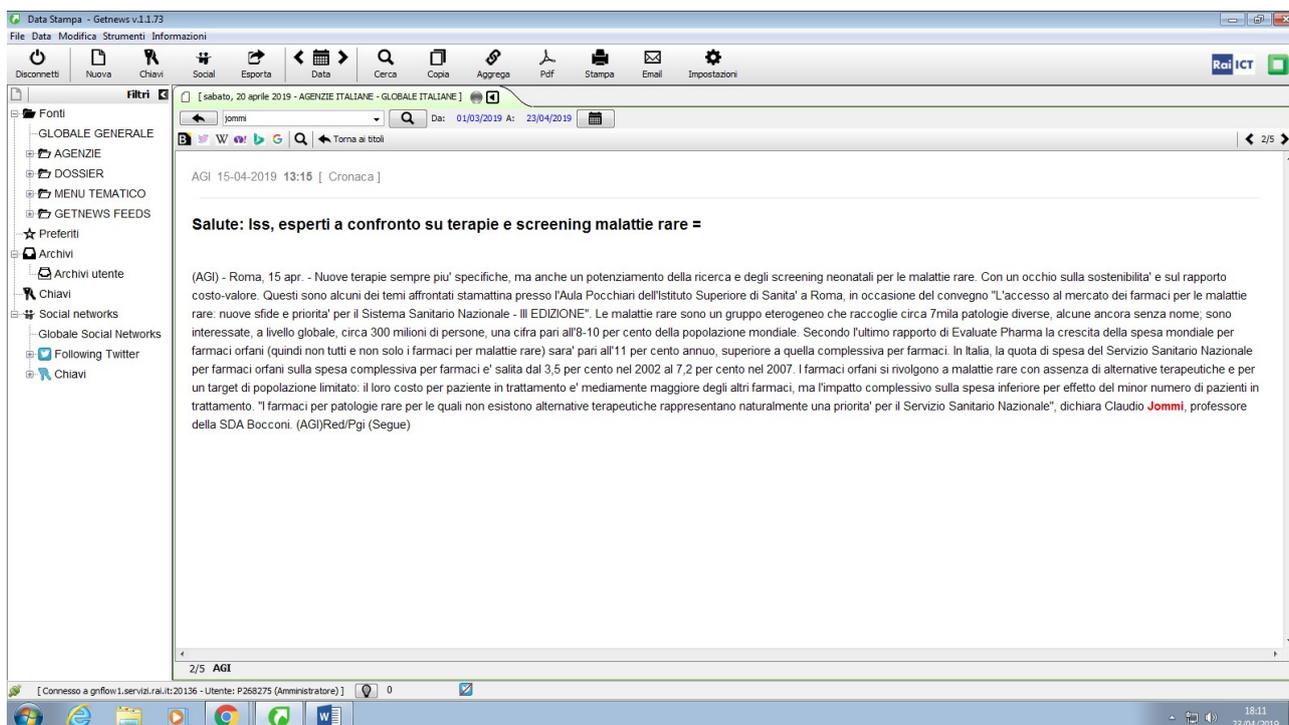
In Italia, la quota di spesa dell'Ssn per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

*I farmaci per patologie rare per le quali non esistono
- Footer:** 1/5 Ansa

Ansa 15-04-2019 19:49 [Cronaca] Malattie rare, in arrivo terapie sempre più specifiche Farmacologi puntano sulla sostenibilità (ANSA)- ROMA, 15 APR - Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Si tratta di un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7 mila patologie diverse, alcune ancora senza nome, e sono interessate, a livello globale nel mondo, circa 300 milioni di persone. In arrivo per queste malattie ci sono terapie sempre più specifiche. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono ad esempio le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come AtmO (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata), che forniscono ulteriori approcci che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico. Se n'è parlato a Roma al convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale", da dove i farmacologi mostrano di puntare sulla sostenibilità.

In Italia, la quota di spesa dell'Ssn per farmaci orfanisulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - evidenzia il professor Claudio Jommi, Professore della Sda Bocconi - è importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore ecosto e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci". "Tra i provvedimenti necessari per il futuro - sottolinea invece la professoressa Anna Maria De Luca, componente del consiglio direttivo della Società Italiana di Farmacologia - riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure". (ANSA).

(ANSA)- ROMA, 15 APR - Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Si tratta di un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome, e sono interessate, a livello globale nel mondo, circa 300 milioni di persone. In arrivo per queste malattie ci sono terapie sempre più specifiche. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono ad esempio le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come AtmO (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata), che forniscono ulteriori approcci che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico. Se n'è parlato a Roma al convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale", da dove i farmacologi mostrano di puntare sulla sostenibilità. In Italia, la quota di spesa dell'Ssn per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - evidenzia il professor Claudio Jommi, Professore della Sda Bocconi - è importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci". "Tra i provvedimenti necessari per il futuro - sottolinea invece la professoressa Anna Maria De Luca, componente del consiglio direttivo della Società Italiana di Farmacologia - riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure". (ANSA).



AGI 15-04-2019 13:15 [Cronaca]

Salute: Iss, esperti a confronto su terapie e screening malattie rare =

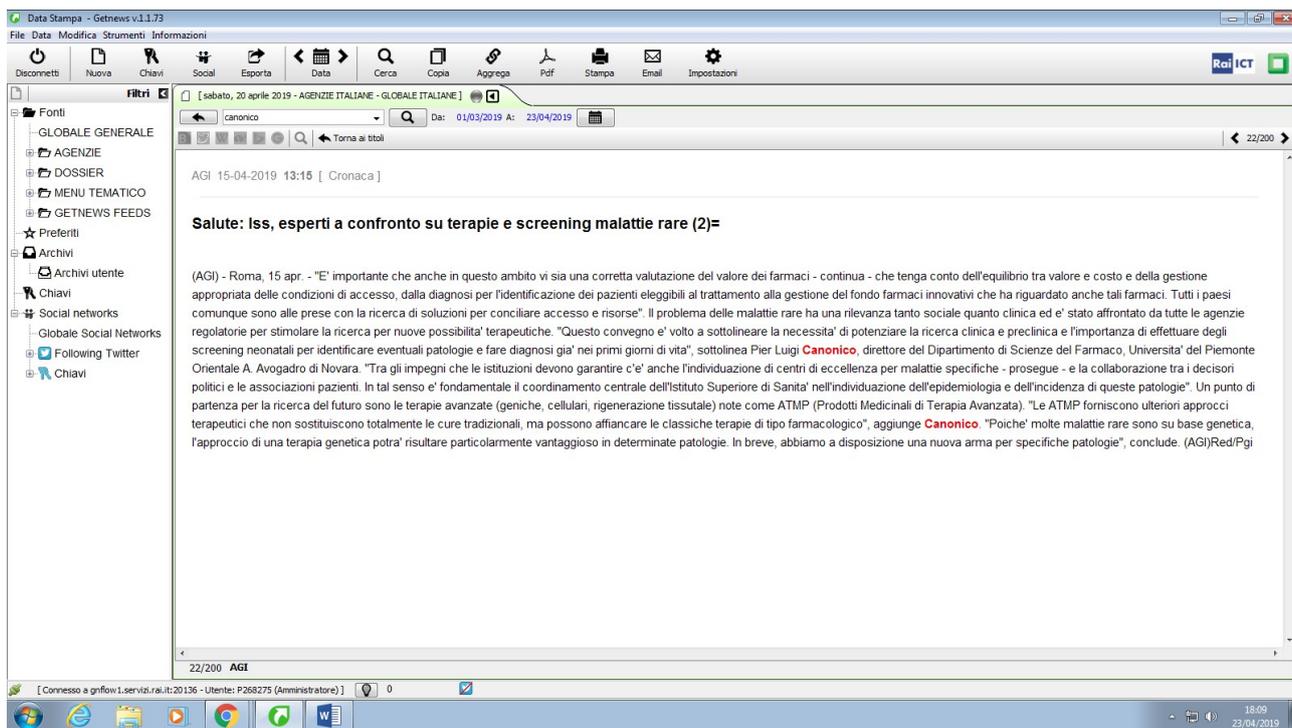
(AGI) - Roma, 15 apr. - Nuove terapie sempre piu' specifiche, ma anche un potenziamento della ricerca e degli screening neonatali per le malattie rare. Con un occhio sulla sostenibilita' e sul rapporto costo-valore. Questi sono alcuni dei temi affrontati stamattina presso l'Aula Pocchiarini dell'Istituto Superiore di Sanita' a Roma, in occasione del convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorita' per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE". Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10 per cento della popolazione mondiale. Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sara' pari all'11 per cento annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci e' salita dal 3,5 per cento nel 2002 al 7,2 per cento nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento e' mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorita' per il Servizio Sanitario Nazionale", dichiara Claudio Jommi, professore della SDA Bocconi. (AGI)Red/Pgi (Segue)

AGI 15-04-2019 13:15 [Cronaca] Salute: Iss, esperti a confronto su terapie e screening malattie rare = (AGI) - Roma, 15 apr. - Nuove terapie sempre piu' specifiche, ma anche un potenziamento della ricerca e degli screening neonatali per le malattie rare. Con un occhio sulla sostenibilita' e sul rapporto costo-valore. Questi sono alcuni dei temi affrontati stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanita' a Roma, in occasione del convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e prioritari per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE". Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10 per cento della popolazione mondiale.

Secondo l'ultimo rapporto di EvaluatePharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11 per cento annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5 per cento nel 2002 al 7,2 per cento nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale", dichiara Claudio Jommi, professore della SDA Bocconi. (AGI)Red/Pgi (Segue)

AGI 15-04-2019 13:15 [Cronaca] Salute: Iss, esperti a confronto su terapie e screening malattie rare = (AGI) - Roma, 15 apr. - Nuove terapie sempre piu' specifiche, ma anche un potenziamento della ricerca e degli screening neonatali per le malattie rare. Con un occhio sulla sostenibilita' e sul rapporto costo-valore. Questi sono alcuni dei temi affrontati stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanita' a Roma, in occasione del convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e prioritari per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE". Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10 per cento della popolazione mondiale.

Secondo l'ultimo rapporto di EvaluatePharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11 per cento annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5 per cento nel 2002 al 7,2 per cento nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale", dichiara Claudio Jommi, professore della SDA Bocconi. (AGI) Red/Pgi (Segue) 151314 APR 19



The screenshot shows a web browser window with the following content:

- Browser Title:** Data Stampa - Getnews v.1.1.73
- Address Bar:** [sabato, 20 aprile 2019 - AGENZIE ITALIANE - GLOBALE ITALIANE]
- Search Bar:** canonic
- Page Content:**

AGI 15-04-2019 13:15 [Cronaca]

Salute: Iss, esperti a confronto su terapie e screening malattie rare (2)=

(AGI) - Roma, 15 apr. - "E' importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci - continua - che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse". Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed e' stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilita' terapeutiche. "Questo convegno e' volto a sottolineare la necessita' di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi gia' nei primi giorni di vita", sottolinea Pier Luigi **Canonic**, direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Universita' del Piemonte Orientale A. Avogadro di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'e' anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche - prosegue - e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso e' fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanita' nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie". Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico", aggiunge **Canonic**. "Poiche' molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potra' risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie", conclude. (AGI)Red/Pgi
- Footer:** 22/200 AGI

AGI 15-04-2019 13:15 [Cronaca] Salute: Iss, esperti a confronto su terapie e screening malattie rare (2)= (AGI) - Roma, 15 apr. - "E' importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci - continua - che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse". Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed e' stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilita' terapeutiche. "Questo convegno e' volto a sottolineare la necessita' di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi gia' nei primi giorni di vita", sottolinea Pier Luigi Canonico, direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Universita' del Piemonte Orientale A. Avogadro di Novara.

"Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche - prosegue - e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie". Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico", aggiunge Canonico. "Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie", conclude. (AGI)Red/Pgi

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

📍 Redazione 📅 15/04/2019 🏥 Sanità

All'ISS i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul rapporto costo-valore

ROMA - Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE".

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

“I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale” dichiara il Prof. **Claudio Jommi**, Professore della SDA Bocconi. “È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell’equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l’identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse”.

LA POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA

“Gli ultimi anni hanno visto l’approvazione o l’inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche” ha sottolineato la **Professoressa Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia - Scienze Del Farmaco all’Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. “Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l’accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure”.

L'APPELLO ALLE ISTITUZIONI

Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. "Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita" sottolinea il Prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico" aggiunge il Prof. Canonico. "Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale.

(Prima Pagina News) | Lunedì 15 Aprile 2019

Condividi questo articolo [f](#) [t](#) [r](#) [in](#) [g+](#) [✉](#)



♥ Roma - 15 apr 2019 (Prima Pagina News)

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale.

Radio e TV

L'ITALIA CHE VA - Tutti i podcast

Visualizzazioni: 18220

 commenti  correlati  mail to



L'ITALIA CHE VA

L'ITALIA CHE VA del 22/04/2019 - RICERCA POLITICA SANITARIA E
Scarica il programma

00:00:00  00:45:46

<http://www.grp.rai.it/dl/portaleRadio/media/ContentItem-dbedd1a8-5b53-4b5e-8486-bccbd36f3309.html>

INTERVISTA PROF. CLAUDIO JOMMI

Stampa nazionale e locale (web)

Malattie rare, in arrivo terapie sempre più specifiche

15 aprile 2019 | A- | A+ |   

(ANSA)- ROMA, 15 APR - Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Si tratta di un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome, e sono interessate, a livello globale nel mondo, circa 300 milioni di persone. In arrivo per queste malattie ci sono terapie sempre più specifiche. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono ad esempio le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come AtmO (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata), che forniscono ulteriori approcci che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico. Se n'è parlato a Roma al convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale", da dove i farmacologi mostrano di puntare sulla sostenibilità. In Italia, la quota di spesa dell'Ssn per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - evidenzia il professor Claudio Jommi, Professore della Sda Bocconi - è importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci". "Tra i provvedimenti necessari per il futuro - sottolinea invece la professoressa Anna Maria De Luca, componente del consiglio direttivo della Società Italiana di Farmacologia - riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure". (ANSA).

Malattie rare, in arrivo terapie sempre più specifiche

15 aprile 2019 | A- | A+ |  |  | 

(ANSA)- ROMA, 15 APR - Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Si tratta di un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome, e sono interessate, a livello globale nel mondo, circa 300 milioni di persone. In arrivo per queste malattie ci sono terapie sempre più specifiche. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono ad esempio le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come AtmO (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata), che forniscono ulteriori approcci che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico. Se n'è parlato a Roma al convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale", da dove i farmacologi mostrano di puntare sulla sostenibilità. In Italia, la quota di spesa dell'Ssn per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - evidenzia il professor Claudio Jommi, Professore della Sda Bocconi - è importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci". "Tra i provvedimenti necessari per il futuro - sottolinea invece la professoressa Anna Maria De Luca, componente del consiglio direttivo della Società Italiana di Farmacologia - riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure". (ANSA).

TERAPIA AVANZATA - ATMP

Convegno all'Iss sulle malattie rare: in arrivo cure sempre più specifiche

Secondo gli esperti "è ormai chiara la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita"

20 Aprile 2019

aaa

Importante meeting all'Istituto Superiore di Sanità a Roma per la 3^a edizione dell'evento dal titolo 'L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Servizio sanitario nazionale'. Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Servizio sanitario nazionale (Ssn) italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10 per cento della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità: "Fondamentale la necessaria collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti" ha sottolineato il professor **Pier Luigi Canonico**, Università del Piemonte Orientale 'A. Avogadro' di Novara.

La spesa per i farmaci a designazione orfana. Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11 per cento annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Ssn per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5 per cento nel 2002 al 7,2 per cento nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50 per cento dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Ssn - ha dichiarato il professor **Claudio Jommi** della SDA Bocconi - È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

La posizione della società di farmacologia. “Gli ultimi anni hanno visto l’approvazione o l’inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche” ha sottolineato la professoressa **Anna Maria De Luca**, ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia, Scienze Del Farmaco all’Università di Bari e componente del Consiglio Direttivo della Società italiana di farmacologia (Sif) - Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Sif è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholder per garantire l’accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure”.

L’appello alle istituzioni. Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. “Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l’importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita - sottolinea il professor Pier Luigi Canonico - Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c’è anche l’individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell’Istituto Superiore di Sanità nell’individuazione dell’epidemiologia e dell’incidenza di queste patologie”.

Le Atmp: terapie di un futuro che è già presente. Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come Prodotti medicinali di terapia avanzata (Atmp). “Le Atmp forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico - conclude il professore - Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l’approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie”. (FABRIZIA MASELLI)



Web

OMCEO, ENTI E TERRITORI | 15 Aprile 2019

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche. All'ISS i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul rapporto costo-valore

I farmaci per le malattie rare. Si è svolto di recente, presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma, il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE". Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale [...]



di Redazione

I farmaci per le malattie rare

Si è svolto di recente, presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma, il convegno "**L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE**".

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

La spesa per i farmaci a designazione orfana

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

«I farmaci per **patologie rare** per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale – ha dichiarato il Professor **Claudio Jommi**, Professore della SDA Bocconi – . È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse».

La posizione della Società di Farmacologia

«Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche – ha sottolineato la **Professoressa Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia, Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia – . Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure».

L'appello alle istituzioni

Il problema delle **malattie rare** ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. «Questo convegno ha sottolineato la necessità di potenziare **la ricerca clinica e preclinica** e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita – ha spiegato il Professor **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara – . Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie».

Le ATMP: terapie di un futuro che è già presente

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). «Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico – ha concluso il Professor Canonico – . Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie».

apr
15
2019

Malattie rare, Iss: terapie sempre più specifiche, sostenibili e basate su costo-valore

TAGS: MALATTIE RARE, ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ, FARMACI ORFANI, CLAUDIO JOMMI, COSTO DEI FARMACI, SOSTENIBILITÀ



Malattie rare, al convegno dell'Iss viene affrontato il tema dei farmaci orfani tra sostenibilità, accesso alle cure e innovazione

La quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva è salita dal 3,5% del 2002 al 7,2% del 2007. Le ultime stime del rapporto Evaluate Pharma individuano un trend in crescita a livello mondiale nella spesa per farmaci orfani, che raggiungerà l'11% annuo. Questi alcuni dei dati emersi in occasione del convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III

edizione", tenutosi presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma.

Oggetto dell'incontro, la sostenibilità economica e il progresso scientifico nell'ambito dei farmaci destinati al trattamento delle patologie rare. I farmaci orfani infatti "si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento", come si legge nella nota dell'evento.

«I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - spiega **Claudio Jommi**, Professore della Sda Bocconi -. È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse».

«Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" - il commento di **Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia e Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia -. Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e preclinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure».

Essenziale poi «sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita», spiega **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. «Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie».

Sulle terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale), «le Atmp (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata) forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico - conclude Canonico -. Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie».

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

All'Istituto Superiore di Sanità convegno sulle malattie rare. Un bilancio tra ricerca scientifica e sostenibilità economica sulle opportunità offerte dal progresso scientifico e sulle sfide future delle ATMP.

Di **SaluteLab** - Aprile 15, 2019

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno **"L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale – III EDIZIONE"**.

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA – Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

*"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. **Claudio Jommi**, Professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".*

LA POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA – *“Gli ultimi anni hanno visto l’approvazione o l’inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche”* ha sottolineato la **Professoressa Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia – Scienze Del Farmaco all’Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. *“Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l’accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure”*.

L’APPELLO ALLE ISTITUZIONI – Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. *“Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l’importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita”* sottolinea il Prof. **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale “A. Avogadro” di Novara. *“Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c’è anche l’individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell’Istituto Superiore di Sanità nell’individuazione dell’epidemiologia e dell’incidenza di queste patologie”*.

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE – Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). *“Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico”* aggiunge il Prof. Canonico. *“Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l’approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie”*.

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

ALL'ISS I FARMACOLOGI PUNTANO SULLA SOSTENIBILITÀ E SUL RAPPORTO COSTO-VALORE

© 15 Aprile 2019 • Redazione • Informativa Sociale, Malattie rare

All'Istituto Superiore di Sanità si tiene oggi il convegno sulle malattie rare. Un bilancio tra ricerca scientifica e sostenibilità economica sulle opportunità offerte dal progresso scientifico e sulle sfide future delle ATMP.

"Emergono chiaramente la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita. Fondamentale la necessaria collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti" sottolinea il prof. Pier Luigi Canonico, Università del Piemonte Orientale. Il problema dei farmaci orfani sul tema costo-valore.



ROMA - Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE".

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso

tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA - Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

*"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. **Claudio Jommi**, Professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".*

LA POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA - *"Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la **Professoressa Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia - Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. "Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".*

L'APPELLO ALLE ISTITUZIONI - Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. *"Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita" sottolinea il Prof. **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".*

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE - Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). *"Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico" aggiunge il Prof. Canonico. "Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".*

Lunedì, 15 aprile 2019 - 21:51:00

Malattie rare: in arrivo nuove terapie, sempre più mirate

A Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE"



Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche. All'ISS i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul rapporto costo-valore.

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE".

Il settore delle **malattie rare** rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono

interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale.

Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per **farmaci orfani** (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per **farmaci orfani** sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. **I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato:** il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese. "I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. Claudio Jommi, Professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

LA POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA

"Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la Professoressa Anna Maria De Luca, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia - Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. "Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su **terapie innovative e farmaci orfani** per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".

L'APPELLO ALLE ISTITUZIONI

Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. "Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita", sottolinea il Prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di **centri di eccellenza per malattie specifiche** e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico" aggiunge il Prof. Canonico. "Poiché **molte malattie rare sono su base genetica**, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".

Malattie rare: in arrivo terapie sempre più specifiche

REDAZIONE NURSE TIMES - 15/04/2019

All'Iss i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul rapporto costo-valore.

I FARMACI PER LE MALATTIE RARE – Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto superiore di sanità, a Roma, il convegno dal titolo *L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema sanitario nazionale* (terza edizione).

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema sanitario nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa **7mila patologie diverse**, alcune ancora senza nome. Sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA – Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma, la crescita della **spesa mondiale per farmaci orfani** (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia la quota di spesa del Servizio sanitario nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con **assenza di alternative terapeutiche** e per un **target di popolazione limitato**: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa è inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenzia un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY, con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

*"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio sanitario nazionale – dichiara **Claudio Jommi**, professore della SDA Bocconi –. È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i Paesi, comunque, sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".*

LA POSIZIONE DELLA SOCIETÀ DI FARMACOLOGIA – *“Gli ultimi anni hanno visto l’approvazione o l’inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche – ha sottolineato Anna Maria De Luca, professore ordinario di Farmacologia presso il dipartimento di Farmacia – Scienze del farmaco all’Università di Bari, e componente del consiglio direttivo della Società italiana di farmacologia –. Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società italiana di farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro riteniamo prioritario che siano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l’accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure”.*

L’APPELLO ALLE ISTITUZIONI – Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. *“Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e pre-clinica, nonché l’importanza di effettuare screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita – sottolinea Pier Luigi Canonico, direttore del dipartimento di Scienze del farmaco, Università del Piemonte Orientale “A. Avogadro” di Novara –. Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c’è anche l’individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell’Istituto superiore di sanità nell’individuazione dell’epidemiologia e dell’incidenza di queste patologie”.*

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE – Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale), note come ATMP (prodotti medicinali di terapia avanzata). *“Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici, che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico – aggiunge Canonico –. Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l’approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie”.*

Redazione Nurse Times

Malattie rare, nuove terapie sempre più specifiche. I farmacologi dell'ISS puntano sulla sostenibilità

DI INSALUTENEWS.IT - 15 APRILE 2019

"Emergono chiaramente la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita. Fondamentale la necessaria collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti" sottolinea il prof. Pier Luigi Canonico, Università del Piemonte Orientale. Il problema dei farmaci orfani sul tema costo-valore. All'Istituto Superiore di Sanità si tiene oggi il convegno sulle malattie rare. Un bilancio tra ricerca scientifica e sostenibilità economica sulle opportunità offerte dal progresso scientifico e sulle sfide future delle ATMP

I farmaci per le malattie rare

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale – III Edizione".

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

La spesa per i farmaci a designazione orfana

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento.

Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale – dichiara il prof. Claudio Jommi, Professore della SDA Bocconi – È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

La posizione della Società di Farmacologia

"Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la prof.ssa Anna Maria De Luca, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia – Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia.

"Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure", prosegue De Luca.

L'appello alle Istituzioni

Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche.

"Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita – sottolinea il prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara – Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

Le ATMP: terapie di un futuro che è già presente

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata).

"Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico – aggiunge il prof. Canonico – Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".

Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

Redazione | 15 Aprile 2019 | Medicina e chirurgia

Si è aperto presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale – III EDIZIONE".

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. Claudio Jommi, Professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

"Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la Professoressa Anna Maria De Luca, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia – Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. "Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".

Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. "Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita" sottolinea il Prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate note come ATMP. "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico" aggiunge il Prof. Canonico. "Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".

Malattie rare, in arrivo nuove terapie sempre più specifiche: il convegno oggi all'Istituto Superiore di Sanità

di Maria Romana Barraco - 15 Aprile 2019 -
18:22

[Commenta](#) [Stampa](#) [Invia notizia](#)

Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno **"L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III EDIZIONE"**. Un bilancio tra ricerca scientifica e sostenibilità economica sulle opportunità offerte dal progresso scientifico e sulle sfide future delle ATMP.

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie **circa 7mila patologie diverse**, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

La spesa per i farmaci a designazione orfana

Secondo l'ultimo rapporto di *Evaluate Pharma* la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007. I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

*"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. **Claudio Jommi**, Professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".*

La posizione della società di farmacologia

*"Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la **Professoressa Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia – Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. "Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".*

L'appello alle istituzioni

Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. *"Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita"* sottolinea il Prof. **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. *"Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie"*.

Le ATMP: terapie di un futuro che è già presente

Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). *"Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico"* aggiunge il Prof. Canonico. *"Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie"*.



Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

Dire | 15-4-2019

Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare ...

[Leggi la notizia](#)

Persone: [professore](#) [professoressa](#)

Organizzazioni: [farmacologia](#) [atmp](#)

Luoghi: [roma](#) [italia](#)

Tags: [malattie](#) [terapie](#)



Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche

Lunedì, 15 Aprile 2019 FonteCred



Malattie rare: in arrivo nuove terapie sempre più specifiche Redazione
15/04/2019 Sanità All'ISS i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul
rapporto costo-valore Condividi su facebook Condividi su...
[Articolo completo »](#) [Commenti »](#)

Facebook

apr
16
2019

Malattie rare. Iss: terapie sempre più specifiche, sostenibili e basate su costo-valore

La quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva è salita dal 3,5% del 2002 al 7,2% del 2007. Le ultime stime del rapporto Evaluate Pharma individuano un trend in crescita a livello mondiale nella spesa...

TAGS: MALATTIE RARE, ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ, EVALUATEPHARMA



ARTICOLI CORRELATI

12-04-2019 | Diossine e PCB in latte materno, Iss: a Taranto percentuali significative

01-04-2019 | Dalla replicazione del DNA arriva una base per nuove terapie antitumorali. Lo studio Iss

medkey



Per accedere è necessaria l'iscrizione a Medikey

ACCEDI

REGISTRATI

La gestione del riconoscimento dell'operatore della salute e la trasmissione e archiviazione delle relative chiavi d'accesso e dei dati personali del professionista della salute avviene mediante la piattaforma Medikey® nel rispetto dei requisiti richiesti da Il Ministero della Salute (Circolare Min. San. - Dipartimento Valutazione Farmaci e Farmacovigilanza n° 800.l/15/1267 del 22 marzo 2000) Codice della Privacy (D.Lgs 30/06/2003 n. 196) sulla tutela dei dati personali



Malattie rare: in arrivo terapie sempre più specifiche

by Dott.ssa Maria Grimaldi | Apr 16, 2019 | News |

All'Iss i farmacologi puntano sulla sostenibilità e sul rapporto costo-valore.

I FARMACI PER LE MALATTIE RARE – Si è aperto stamattina presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto superiore di sanità, a Roma, il convegno dal titolo L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema sanitario nazionale (terza edizione).

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema sanitario nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome. Sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

LA SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA – Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma, la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia la quota di spesa del Servizio sanitario nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa è inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenzia un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY, con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio sanitario nazionale – dichiara Claudio Jommi, professore della SDA Bocconi –. È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i Paesi, comunque, sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

LA POSIZIONE DELLA SOCIETÀ DI FARMACOLOGIA – "Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche – ha sottolineato Anna Maria De Luca, professore ordinario di Farmacologia presso il dipartimento di Farmacia – Scienze del farmaco all'Università di Bari, e componente del consiglio direttivo della Società italiana di farmacologia –. Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società italiana di farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro riteniamo prioritario che siano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".

L'APPELLO ALLE ISTITUZIONI – Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. "Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e pre-clinica, nonché l'importanza di effettuare screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita – sottolinea Pier Luigi Canonico, direttore del dipartimento di Scienze del farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara –. Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto superiore di sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

LE ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE – Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale), note come ATMP (prodotti medicinali di terapia avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici, che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico – aggiunge Canonico –. Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".

Accesso al mercato per i farmaci per le malattie rare: nuove sfide per il Ssn. Incontro presso l'Iss

🕒 Sabato 20 Aprile 2019 ✍️ Redazione

Malattie rare, farmaci orfani e loro accesso al mercato. Come agevolarlo ma anche come sostenere una spesa che sta crescendo sensibilmente. Sono questo i temi di cui si è parlato presso l'Aula Pocchiarri dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III edizione".



“L'incontro di oggi è la terza edizione dell' evento Ecm sull'accesso al mercato per i farmaci delle malattie rare. – spiega Paola Lanati, Managing Director di 3P Solution. “Abbiamo organizzato questo evento con la responsabilità scientifica del professor Canonico per affrontare il tema di questo tipo di farmaci perché la loro presenza è aumentata sensibilmente. Attualmente, in Ema, il 60% dei farmaci di cui vengono presentati dossier regolativi sono quelli per malattie rare e il loro peso rispetto alla spesa farmaceutica si prevede che possa raddoppiare nei prossimi 10 anni fino ad arrivare al 20 per cento.”

Sono questi i temi di cui si è parlato presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno “L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III edizione”.

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

“E' vero che l'epidemiologia è molto bassa per questi tipi di farmaci – prosegue Lanati- ma è anche vero che abbiamo 2 milioni di malati con malattie rare in Italia e soprattutto il prezzo di questi farmaci è sicuramente molto più elevato, circa 5 volte, rispetto a quello dei farmaci non orfani.”

“Di conseguenza –conclude Lanati- si pone un tema di sostenibilità legati a questi farmaci ma anche di necessità e di metodo per determinare in modo coerente il prezzo degli stessi e a questo proposito vale la pena ricordare quanto presentato dal professor Jommi, un algoritmo scritto da Michael Drummond e pubblicato da poco che potrebbe rappresentare uno strumento molto utile per definire il prezzo di questi farmaci su base oggettiva.”

SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA - Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

I farmaci orfani si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

"I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale" dichiara il Prof. Claudio Jommi, professore della SDA Bocconi. "È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse".

POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA - "Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" ha sottolineato la prof.ssa Anna Maria De Luca, Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia - Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della Società Italiana di Farmacologia. "Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La Società Italiana di Farmacologia è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e pre-clinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure".

APPELLO ALLE ISTITUZIONI - Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. "Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita" sottolinea il prof. Pier Luigi Canonico, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. "Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie".

ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE - Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). "Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico" aggiunge Canonico. "Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie".



Social Network

3PSolution @3PSolution · 6 h

Analisi dei sistemi di #rimborso dei #farmaci per le #malattie rare in #Europa, Claudio Jommi @sdabocconi evidenzia le differenze nei tempi di accesso dei #farmaciOrfani da 2/3 mesi della #Germania ai 15 mesi dell' #Italia #Roma, @istsupsan



3PSolution @3PSolution · 8 h

Paola Torreri delinea un primo quadro sulle **#malattierare**: tra 27 e 36 mln di malati in europa, 250 milioni nel mondo. Si tratta di **#malattie** molto eterogenee, spesso croniche, con esordio variabile e disabilità gravi
#ISS



ISS



MAProvider
MARKET ACCESS PROVIDER

MA Provider

Via V. Monti, 3
20123 - MILANO

Piazza San Salvatore in Lauro, 10
00186 - ROMA