



20
15.24

UPDATE DI
ACCESSO ALLE TERAPIE, ANCHE
AVANZATE E INNOVATIVE

ESITI DEI TAVOLI DI LAVORO
UNIAMO - STAKEHOLDER

UPDATE OF
ACCESS TO THERAPIES,
INCLUDING ADVANCED AND
INNOVATIVE ONES

OUTCOMES OF THE UNIAMO - STAKEHOLDER
WORK TABLES

LE EFFEMERIDI DI UNIAMO 15/2024

UNIAMO FEDERAZIONE ITALIANA MALATTIE RARE

Accesso alle terapie, anche avanzate e innovative Tavolo di confronto multi stakeholder (05/12/2019, 12/01/2021, 19/01/2021, 15/09/2021, 28/09/2021, 06/07/2022, 29/09/2022, 30/05/2023, 6/07/2023, 03/10/2023, 20/10/2023).

Versione del 20 ottobre 2023

Il presente quaderno finalizzato in data 20 ottobre 2023, illustra i risultati delle discussioni, promosse da UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare Onlus, all'interno di tavoli di lavoro multistakeholder rispetto alle problematiche di accesso ai farmaci, con uno special focus sulle terapie avanzate e innovative, sperimentate dai pazienti nel loro percorso di cura.

Le opinioni espresse dai partecipanti sono da intendersi a titolo personale e non rappresentative di posizioni ufficiali dei rispettivi enti di appartenenza, pubblici o privati.

Il documento è una sintesi di quanto discusso e vuol essere uno strumento di supporto alle politiche italiane, anche rispetto all'Europa, evidenziando punti di convergenza e anche quanto non ha ancora un parere unanime nei soggetti coinvolti, ma su cui si può lavorare per trovare una concordanza.

La Federazione continuerà a stimolare il dibattito su queste tematiche, coinvolgendo tutti gli attori in gioco e illustrando le posizioni della comunità delle persone con malattia rara, raccolte attraverso processi di confronto interni ed esterni alla Federazione e in collaborazione con Eurordis.

Citare questo documento come segue:
Uniamo F.I.M.R. Accesso alle terapie - Tavolo di confronto multi-stakeholder, 2023.

Per informazioni scrivere a: comunicazione@uniamo.org

UNIAMO THE ITALIAN FEDERATION OF RARE DISEASES

Access to therapies, including advanced and innovative ones
Multi-stakeholder discussion table (05/12/2019, 12/01/2021,
19/01/2021, 15/09/2021,
09/28/2021, 07/06/2022, 09/29/2022, 05/30/2023, 07/6/2023,
03/10/2023, 10/20/2023).

October 20, 2023 version

This notebook finalized on 20 October 2023, illustrates the results of the discussions, promoted by UNIAMO Italian Federation of Rare Diseases Onlus, within multi-stakeholder working tables regarding the problems of access to drugs, with a special focus on advanced and innovative therapies , experienced by patients during their treatment journey.

The opinions expressed by the participants are to be understood as personal and not representative of the official positions of the respective public or private bodies they belong to.

The document is a summary of what was discussed and aims to be a tool to support Italian policies, also with respect to Europe, highlighting points of convergence and also what does not yet have a unanimous opinion among the subjects involved, but on which we can work to find a concordance.

The Federation will continue to stimulate debate on these issues, involving all the actors involved and illustrating the positions of the community of people with rare diseases, collected through comparison processes internal and external to the Federation and in collaboration with Eurordis.

Cite this document as follows:

UNIAMO F.I.M.R. Access to therapies - Multi-stakeholder discussion table, 2023.

For information write to: comunicazione@uniamo.org

This document has been translated using IA: please forgive any mistake!

Indice

Piano Nazionale Malattie Rare	02
L. 175/2021	05
Proposta dell'Integruppo	07
I punti di discussione	10
La discussione in schema	12
I partecipanti al tavolo di lavoro	21
UNIAMO _____	24
Le effemèridi di UNIAMO _____	25
<hr/>	
National Plan for Rare Diseases	02
L. 175/2021	05
Intergroup proposal	07
The talking points	10
The discussion in outline	12
The participants at the working table	21
UNIAMO _____	24
The ephemèrides of UNIAMO _____	25

Piano Nazionale Malattie Rare

30 milioni di europei vivono con una malattia rara, il 72% di tali patologie è di origine genetica.

Trattamenti farmacologici

Obiettivi

1. Favorire l'accesso tempestivo a farmaci eziologici, patogenetici, sintomatici e sostitutivi di dimostrata efficacia nel modificare positivamente la storia naturale della malattia e migliorare la qualità di vita del paziente;
2. Facilitare e semplificare gli accessi a tutte le opzioni terapeutiche previste dai Piani Terapeutici Individuali e redatti dai clinici dei Centri di riferimento per le malattie rare, con garanzia di sistematica e tempestiva disponibilità di quanto previsto dalle determinine di AIFA;
3. Creare un sistema equo di accesso ai trattamenti per le malattie rare abbattendo le disparità tra differenti aree geografiche (Regioni/PPAA e ASL) o sottogruppi di popolazione. In particolare, devono essere dispensati senza oneri per il paziente i farmaci in fascia C, off-label o non in commercio in Italia, di dimostrata efficacia per la patologia in oggetto, quando siano prescritti dallo specialista del Centro di riferimento mediante il Piano terapeutico individuale (compreso nel PDTAP della L. 175/2021), in base a criteri di essenzialità e non sostituibilità riferiti alla condizione del malato ed esplicitamente definiti;
4. Integrare le valutazioni HTA per le strategie terapeutiche nelle malattie rare, con analisi che riguardino il valore terapeutico globale e la ricaduta sulla spesa sostenuta da altri comparti prestazionali, nonché dalle famiglie;
5. Garantire, anche attraverso l'alleanza tra Istituzioni e Associazioni, la generazione e la diffusione di un'informazione corretta sulle evidenze a sostegno delle diverse strategie terapeutiche.

National Plan for Rare Diseases

30 million Europeans live with a rare disease, 72% of these pathologies are of genetic origin.

Pharmacological treatments Objectives

1. Promote timely access to etiological, pathogenetic, symptomatic and substitute drugs with proven effectiveness in positively modifying the natural history of the disease and improving the patient's quality of life;
2. Facilitate and simplify access to all the therapeutic options envisaged by the Individual Therapeutic Plans and drawn up by the clinicians of the Reference Centers for rare diseases, with a guarantee of systematic and timely availability of what is foreseen by the AIFA determinations;
3. Create an equitable system of access to treatments for rare diseases by breaking down disparities between different geographical areas (Regions/PPAA and ASL) or population subgroups. In particular, drugs in band C, off-label or not on the market in Italy, of proven effectiveness for the pathology in question must be dispensed without cost to the patient, when prescribed by the specialist of the reference center through the individual therapeutic plan (included in the PDTAP of Law 175/2021), based on criteria of essentiality and non-substitutability referring to the patient's condition and explicitly defined;
4. Integrate HTA evaluations for therapeutic strategies in rare diseases, with analyzes that concern the global therapeutic value and the impact on the expenditure incurred by other service sectors, as well as by families;
5. Guarantee, also through the alliance between Institutions and Associations, the generation and dissemination of correct information on the evidence supporting the different therapeutic strategies.

Azioni

1. AIFA svolge una valutazione integrata degli strumenti normativi esistenti al fine di ottimizzare il loro utilizzo per le diverse casistiche in modo trasparente e omogeneo tra tutte le Regioni;
2. Istituire un gruppo di lavoro congiunto AIFA e Tavolo tecnico per le malattie rare delle Regioni per predisporre una ricognizione dei farmaci non in fascia A, H o compresi nella 648 e delle altre strategie terapeutiche già garantite nelle varie Regioni/PPAA e per redigere entro 12 mesi dalla pubblicazione del presente piano un elenco unico su base nazionale, annualmente rinnovato. Individuare i percorsi che consentano l'effettiva erogazione di tali farmaci a carico del SSN in modo omogeneo in tutto il Paese.
3. Ricognizione, da parte di un gruppo di lavoro congiunto AIFA, Ministero della Salute e Tavolo tecnico per le malattie rare delle Regioni, delle casistiche di accessi precoci a trattamenti con adeguate evidenze di efficacia non ancora autorizzati o disponibili sul territorio nazionale. Analisi dei possibili strumenti per facilitare l'accesso precoce a tali trattamenti; Il gruppo di lavoro si impegna ad informare e a consultare i soggetti istituzionali e associativi interessati negli specifici argomenti trattati.
4. Definizione delle modalità che consentano il trattamento a carico del SSN del paziente con piano redatto da un Centro di riferimento fuori dalla Regione di residenza, per tutte le terapie/cure che rispettano gli standard stabiliti secondo le indicazioni e le valutazioni dell'AIFA, anche presso la ASL di residenza, garantendo che in tutte le Regioni/PPAA siano rispettati gli stessi standard minimi nella erogazione dei trattamenti per malattie rare;
5. Promozione di attività di formazione e informazione sulla tutela della sicurezza dei pazienti quale principio alla base delle decisioni;
6. Avvio di un percorso di Horizon Scanning e conseguenti valutazioni di impatto economico a breve-medio termine (3-5 anni) e pianificare le strategie nazionali e regionali, al fine di garantire un accesso equo e sostenibile nel tempo;
7. Definizione e implementazione di un percorso per la segnalazione e gestione delle carenze e/o indisponibilità nel territorio nazionale di farmaci per il trattamento delle malattie rare, la cui acquisizione possa beneficiare di interventi centralizzati;
8. Assicurare l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi con indicazioni diverse rispetto all'utilizzo per la malattia rara, per la quale esistono evidenze scientifiche di efficacia e sicurezza, purché compresi nei piani terapeutici redatti dai Centri di riferimento per malattie rare.

Actions

1. AIFA carries out an integrated evaluation of the existing regulatory tools in order to optimize their use for the different cases in a transparent and homogeneous way across all the Regions;
2. Establish a joint AIFA working group and technical table for rare diseases of the Regions to prepare a survey of drugs not in band A, H or included in 648 and other therapeutic strategies already guaranteed in the various Regions/PPAA and to draw up within 12 months from the publication of this plan a single list on a national basis, renewed annually. Identify the paths that allow the effective provision of these drugs by the NHS in a homogeneous way throughout the country.
3. Recognition, by a joint AIFA, Ministry of Health and technical table for rare diseases of the Regions, case studies of early access to treatments with adequate evidence of efficacy not yet authorized or available on the national territory. Analysis of possible tools to facilitate early access to these treatments; The working group undertakes to inform and consult the institutional and associative subjects interested in the specific topics covered.
4. Definition of the methods that allow the treatment of the patient by the NHS with a plan drawn up by a reference center outside the region of residence, for all therapies/cures that respect the standards established according to the indications and evaluations of the AIFA, also at the ASL of residence, ensuring that the same minimum standards are respected in all Regions/PPAAs in the provision of treatments for rare diseases;
5. Promotion of training and information activities on the protection of patient safety as a principle underlying decisions;
6. Launch of a Horizon Scanning process and consequent economic impact assessments in the short-medium term (3-5 years) and plan national and regional strategies, in order to guarantee fair and sustainable access over time;
7. Definition and implementation of a path for reporting and managing shortages and/or unavailability in the national territory of drugs for the treatment of rare diseases, the acquisition of which can benefit from centralized interventions;
8. Ensuring the importation of drugs marketed in other countries with indications other than those used for rare diseases, for which there is scientific evidence of efficacy and safety, as long as they are included in the therapeutic plans drawn up by the Reference Centers for rare diseases.

AStrumenti

1. Utilizzare nelle procedure di negoziazione e rinegoziazione dei prezzi le evidenze ottenute dai dati di “real world” disponibili attraverso monitoraggi di popolazione regionali, nazionali ed europei/ internazionali;
2. Gli stessi monitoraggi, con adeguate integrazioni, potranno essere usati anche per valutazione “real life” dell’impatto dei trattamenti nei percorsi assistenziali e nella sfera sociale;
3. Potenziare e valorizzare il ruolo dello Stabilimento chimico farmaceutico militare (SCFM), Unità Produttiva dell’Agenzia Industrie Difesa nell’attuazione dell’azione indicata al punto 7;
4. Avviare progetti di monitoraggio dell’efficacia dei farmaci off-label a livello nazionale e regionale, condivisi da AIFA, ISS e Regioni/PPAA, nell’ottica di razionalizzare gli accessi e garantire una gestione appropriata delle risorse;
5. Definizione di procedure condivise su base nazionale per percorsi accelerati di attivazione di sperimentazioni su farmaci o strategie integrate che comprendano anche l’uso di farmaci particolarmente promettenti;
6. Aggiornare la normativa di riferimento al fine di rendere attuabili le azioni indicate nel presente piano, con particolare riferimento al DM sugli usi terapeutici di medicinali sperimentali 7 settembre 2017 e DM sulla importazione dei medicinali 11 febbraio 1997.

Tools

1. Use the evidence obtained from "real world" data available through regional, national and European/international population monitoring in price negotiation and renegotiation procedures;
2. The same monitoring, with adequate integrations, can also be used for "real life" evaluation of the impact of treatments on care pathways and in the social sphere;
3. Strengthen and enhance the role of the Military Chemical Pharmaceutical Plant (SCFM), Production Unit of the Defense Industries Agency in implementing the action indicated in point 7;
4. Launch projects to monitor the effectiveness of off-label drugs at national and regional level, shared by AIFA, ISS and Regions/PPAA, with a view to rationalizing access and ensuring appropriate management of resources;
5. Definition of shared procedures on a national basis for accelerated paths for the activation of trials on drugs or integrated strategies which also include the use of particularly promising drugs;
6. Update the relevant legislation in order to make the actions indicated in this plan feasible, with particular reference to the Ministerial Decree on the therapeutic uses of experimental medicines of 7 September 2017 and the Ministerial Decree on the importation of medicines of 11 February 1997.

Legge 175/2021

Art. 4, comma 2

2. Sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale i trattamenti sanitari, già previsti dai LEA o qualificati salvavita, compresi nel piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e indicati come essenziali, appartenenti alle seguenti categorie:

a);

b);

c) le terapie farmacologiche, anche innovative, di fascia A o H, i medicinali da erogare ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, i prodotti dietetici e le formulazioni galeniche e magistrali preparate presso le farmacie ospedaliere e le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, per quanto riguarda queste ultime nel rispetto di specifici protocolli adottati dalle regioni;

Art. 5

Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani

1. I farmaci di fascia A o H prescritti per l'assistenza dei pazienti affetti da una malattia rara sono erogati dai seguenti soggetti:

a) le farmacie dei presidi sanitari, anche nel caso di somministrazione ambulatoriale del farmaco;

b) le aziende sanitarie territoriali di appartenenza del paziente, anche qualora la malattia rara sia stata diagnosticata in una regione diversa da quella di residenza;

c) le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, nel rispetto di quanto prevedono gli accordi regionali stipulati ai sensi dell'articolo 8, comma 1, lettera a), del decreto-legge 18 settembre 2001, n. 347, convertito, con modificazioni, dalla legge 16 novembre 2001, n. 405.

2. In deroga alle disposizioni in materia di prescrizioni farmaceutiche di cui all'articolo 9 della legge 23 dicembre 1994, n. 724, per le prescrizioni relative a una malattia rara il numero di pezzi prescrivibili per ricetta può essere superiore a tre quando previsto dal piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge.

Law 175/2021

Article 4, paragraph 2

2. The National Health Service is responsible for health treatments, already foreseen by the LEAs or qualified as life-saving, included in the personalized diagnostic-therapeutic care plan and indicated as essential, belonging to the following categories:

t);

b);

c) pharmacological therapies, including innovative, class A or H, medicines to be provided pursuant to article 1, paragraph 4, of the legislative decree of 21 October 1996, n. 536, converted by law 23 December 1996, n. 648, dietary products and galenic and master formulations prepared in hospital pharmacies and public and private pharmacies affiliated with the National Health Service, as regards the latter in compliance with specific protocols adopted by the regions;

Art. 5 Pharmaceutical assistance and provisions to ensure the immediate availability of orphan drugs

1. Class A or H drugs prescribed for the care of patients suffering from a rare disease are dispensed by the following subjects:

a) the pharmacies of healthcare facilities, even in the case of outpatient administration of the drug;

b) the local health authorities to which the patient belongs, even if the rare disease has been diagnosed in a region other than that of residence;

c) public and private pharmacies affiliated with the National Health Service, in compliance with the provisions of the regional agreements stipulated pursuant to article 8, paragraph 1, letter a), of the legislative decree of 18 September 2001, n. 347, converted, with amendments, by law 16 November 2001, n. 405.

2. In derogation of the provisions regarding pharmaceutical prescriptions referred to in article 9 of law 23 December 1994, n. 724, for prescriptions relating to a rare disease the number of pieces that can be prescribed per prescription may be greater than three when provided for by the personalized diagnostic therapeutic care plan referred to in article 4, paragraph 1, of this law.

3. Nelle more dei periodici aggiornamenti per il loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali ai sensi dell'articolo 10, comma 5, del decreto-legge 15 settembre 2012, n. 158, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189, i farmaci di cui al comma 1 del presente articolo sono resi comunque disponibili dalle regioni.

4. In deroga a quanto previsto dal decreto del Ministro della sanità 11 febbraio 1997, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 72 del 27 marzo 1997, e' consentita l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi anche per usi non autorizzati nei Paesi di provenienza, purché compresi nei piani di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge, nonché nell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648. I farmaci di cui al presente comma devono essere richiesti da una struttura ospedaliera, anche se utilizzati per assistenze domiciliari, e sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale.

3. Pending periodic updates for their inclusion in hospital therapeutic handbooks or other similar lists prepared by the competent regional or local authorities pursuant to article 10, paragraph 5, of the legislative decree of 13 September 2012, n. 158, converted, with amendments, by law 8 November 2012, n. 189, the drugs referred to in paragraph 1 of this article are in any case made available by the regions.

4. In derogation of the provisions of the decree of the Minister of Health of 11 February 1997, published in the Official Gazette no. 72 of 27 March 1997, the importation of drugs on the market in other countries is permitted, even for uses not authorized in the countries of origin, provided they are included in the plans referred to in article 4, paragraph 1, of this law, as well as in the list referred to in article 1, paragraph 4, of the legislative decree of 21 October 1996, n. 536, converted by law 23 December 1996, n. 648. The drugs referred to in this paragraph must be requested from a hospital facility, even if used for home care, and are paid for by the National Health Service.

La proposta dell'intergruppo parlamentare Innovazione sostenibile in Sanità

Provare di introdurre nella Legge di Bilancio un Fondo sperimentale che cominci ad interpretare l'investimento sul farmaco delle terapie avanzate come un investimento, non come una spesa di cassa.

Intervento di Daniele Manca

Co-Presidente Intergruppo Innovazione sostenibile in Sanità

Senato della Repubblica

alla Convention MonitoRare, Roma 11 luglio 2023

Buongiorno a tutti e a tutte, intanto vorrei ribadire un concetto; noi fin dalla XVIII Legislatura abbiamo scelto di affrontare il tema della sostenibilità economica, che è la più grande questione che abbiamo di fronte oggi, cioè rendere sostenibile quello che è un investimento straordinario che la ricerca, l'innovazione, ha già prodotto, perché le Terapie Avanzate rappresentano a nostro avviso uno dei più grandi cambiamenti, una delle più grandi trasformazioni in atto nelle dinamiche economiche nel nostro Paese. Tuttavia noi non abbiamo una cornice normativa adeguata a rendere queste grandi trasformazioni universali, che il mondo della ricerca, il mondo farmaceutico ha già attivato.

La prima questione che quindi dobbiamo affrontare è certamente questa, la Presidente giustamente mi chiedeva concretezza. Io continuo a pensare, lo abbiamo fatto fin dalla XVIII Legislatura nella trasversalità delle forze politiche, abbiamo costruito un intergruppo, è noto che ci sia bisogno non solo di saldare le politiche sanitarie con le politiche sociali, ma che queste siano da saldare con le dinamiche economiche di questo Paese. Perché il Ministero dell'Economia e delle Finanze rappresenta l'elemento fondamentale dal quale partire, perché abbiamo visto che è indispensabile operare una riclassificazione della spesa farmaceutica. Noi non andiamo da nessuna parte se continuiamo ad avere una politica di acquisto del farmaco che tratta allo stesso modo le Terapie Avanzate dall'acquisto di un'aspirina.

The proposal of the parliamentary intergroup Sustainable Innovation in Healthcare

Try to introduce an experimental fund into the Budget Law that begins to interpret the investment in advanced therapy drugs as an investment, not as a cash expense.

Speech by Daniele Manca

Co-President Intergroup Sustainable Innovation in Healthcare

Senate of the Republic at the MonitoRare Convention, Rome 11 July 2023

Good morning everyone, first of all I would like to reiterate a concept; since the XVIII Legislature we have chosen to address the issue of economic sustainability, which is the biggest issue we face today, that is, making sustainable what is an extraordinary investment that research, innovation, has already produced, because the In our opinion, Advanced Therapies represent one of the biggest changes, one of the biggest transformations underway in the economic dynamics in our country. However, we do not have an adequate regulatory framework to make these great transformations universal, which the world of research and the pharmaceutical world has already activated.

The first question that we must therefore address is certainly this, the President rightly asked me for concreteness. I continue to think, we have done this since the XVIII Legislature in the transversality of political forces, we have built an intergroup, it is known that there is a need not only to weld health policies with social policies, but that these must be welded with the dynamics economies of this country. Because the Ministry of Economy and Finance represents the fundamental element from which to start, because we have seen that it is essential to carry out a reclassification of pharmaceutical spending. We are not going anywhere if we continue to have a drug purchasing policy that treats Advanced Therapies the same way as purchasing an aspirin.

Qui siamo di fronte a trasformazioni che richiedono una nuova cornice legislativa. Se vogliamo avere come obiettivo l'universalità di accesso, le Terapie Avanzate oggi non hanno una cornice economica-finanziaria che garantisca l'universalità di accesso; abbiamo visto tutti i dati, soprattutto in prospettiva, quando via via aumenteranno le persone che potranno accedere a questi percorsi, noi avremo il problema di come trattiamo un investimento, perché non è una spesa di cassa; l'acquisto di una terapia avanzata per lo Stato italiano non può rappresentare una spesa corrente, perché abbiamo visto che qui si tratta di curare una malattia non il sintomo, si tratta di restituire alle persone quella dignità che le malattie rare hanno sottratto. L'acquisto di una terapia avanzata produce risparmi di spesa sanitaria, perché se interveniamo correttamente e facciamo il monitoraggio delle modalità con le quali questi interventi si determinano anche a livello regionale, noi avremo finalmente la condizione di considerare questo come uno dei primi grandi investimenti sulle politiche farmaceutiche, e in modo particolare sulle dinamiche economiche di questo Paese. Quindi il primo impegno concreto, provare di introdurre nella Legge di Bilancio un Fondo sperimentale che cominci ad interpretare l'investimento sul farmaco delle terapie avanzate come un investimento, non come una spesa di cassa. Questa è la più grande priorità che abbiamo di fronte oggi se vogliamo avere come obiettivo quello di coniugare la sostenibilità economica; continuo a considerare necessario finanziare adeguatamente il Fondo Sanitario Nazionale, su questo non c'è alcun dubbio, servono le risorse anche per chiudere la stagione del Covid; tuttavia continuo pensare che non bastano le risorse, se non interpretiamo queste trasformazioni come un'occasione per riformare la spesa pubblica, le modalità con le quali la spesa pubblica agisce nel sistema della finanza locale, e nel sistema del bilancio dello Stato italiano, quindi è evidente che, abbiamo costituito non solo un intergruppo.

Ringrazio UNIAMO anche per il training del 17 maggio perché c'è anche bisogno di formare anche il Parlamento, perché siamo dentro straordinarie dinamiche di cambiamento, della ricerca, dei sistemi economici, sociali, delle dinamiche delle famiglie, tuttavia è evidente che questo cambiamento ha bisogno di nuove riforme. Noi continueremo a lavorare perché la sostenibilità economica debba avere nella Legge di bilancio una prima risposta concreta. Fare in modo che nella Legge di Bilancio si determini quella sperimentazione su un Fondo effettivo per le Terapie Avanzate, che giri nel Bilancio dello Stato come un investimento, che avvii la strada anche per una riforma di carattere europeo, perché noi abbiamo bisogno di inserire questa discussione dentro la riforma del Patto di Stabilità europeo, che oggi è sospeso ma che entrerà in vigore dal prossimo anno.

Here we are faced with transformations that require a new legislative framework. If we want to have universal access as our objective, Advanced Therapies today do not have an economic-financial framework that guarantees universal access; we have seen all the data, especially in perspective, when the people who will be able to access these paths gradually increase, we will have the problem of how we treat an investment, because it is not a cash expense; the purchase of an advanced therapy for the Italian State cannot represent a current expense, because we have seen that here it is a question of treating a disease not the symptom, it is a question of restoring to people the dignity that rare diseases have taken away. The purchase of an advanced therapy produces savings in healthcare spending, because if we intervene correctly and monitor the ways in which these interventions are determined also at a regional level, we will finally be able to consider this as one of the first major investments in pharmaceutical policies, and in particular on the economic dynamics of this country. So the first concrete commitment is to try to introduce an experimental fund into the Budget Law that begins to interpret the investment in advanced therapy drugs as an investment, not as a cash expense. This is the biggest priority we face today if we want to aim to combine economic sustainability; I continue to consider it necessary to adequately finance the National Health Fund, there is no doubt about this, resources are also needed to close the Covid season; However, I continue to think that resources are not enough, if we do not interpret these transformations as an opportunity to reform public spending, the ways in which public spending acts in the local finance system, and in the Italian state budget system, then it is clear that we have constituted not just an intergroup.

I also thank UNIAMO for the training on 17 May because there is also a need to train Parliament, because we are in extraordinary dynamics of change, of research, of economic and social systems, of family dynamics, however it is clear that this change has need for new reforms. We will continue to work so that economic sustainability must have an initial concrete response in the Budget Law. Ensure that the Budget Law determines that experimentation on an effective Fund for Advanced Therapies, which is included in the State Budget as an investment, which also starts the path for a European reform, because we need to include this discussion within the reform of the European Stability Pact, which is currently suspended but which will come into force next year.

Tornerà ad essere un problema soprattutto per un Paese con alto debito pubblico, ad essere quello l'ostacolo allo sviluppo delle terapie avanzate verso l'universalità, a me piacerebbe che questo Paese dicesse alle famiglie colpite da queste dinamiche che non è più necessario all'Estero, non è più necessario una carta di credito capiente per vedere garantito un diritto fondamentale, l'accesso universale a queste terapie.

Ecco questo è il primo elemento di concretezza che noi dobbiamo provare a mettere insieme nella Legge di Bilancio, è l'unica strada che abbiamo per coniugare il pareggio di Bilancio, cioè la sostenibilità economica, con l'universalità di accesso. La non soluzione di questo tema rischia di mettere in contrapposizione due pilastri della nostra Costituzione, quindi facciamo presto. Il Governo ha attivato un Tavolo interministeriale anche su nostra sollecitazione tra il Ministero della Salute e quello dell'Economia, mi auguro che venga insediato presto, perché l'insediamento di questo tavolo è l'elemento preliminare per poter avere nella Legge di Bilancio una prima risposta, anche sperimentale, però qui parliamo di un investimento. Vorrei evitare che questo Paese continui a considerare un investimento l'acquisto di un drone e una spesa di cassa l'acquisto una terapia avanzata decisiva per trasformare una malattia e riconsegnare qualità della vita ai cittadini e alle persone che purtroppo sono state meno fortunate di noi. Questa per me è la battaglia fondamentale: la politica, a prescindere dal senso di appartenenza, deve avere come obiettivo, anche sfidando il Governo, a far sì che con rapidità si possa avviare una fase sperimentale indispensabile per attrarre investimenti, valorizzare la ricerca e far sì che questo enorme cambiamento in atto abbia anche una cornice normativa e giuridica adeguata a garantire l'universalità di accesso a queste terapie.

It will become a problem again, especially for a country with high public debt, that will be the obstacle to the development of advanced therapies towards universality, I would like this country to tell the families affected by these dynamics that it is no longer necessary to Abroad, you no longer need a large credit card to be guaranteed a fundamental right, universal access to these therapies.

This is the first element of concreteness that we must try to put together in the Budget Law, it is the only way we have to combine budget balance, i.e. economic sustainability, with universal access. Failure to resolve this issue risks putting two pillars of our Constitution in opposition, so let's hurry. The Government has activated an inter-ministerial table also at our request between the Ministry of Health and that of the Economy, I hope that it will be established soon, because the establishment of this table is the preliminary element to be able to have in the Budget Law a first response, even experimental, but here we are talking about an investment. I would like to prevent this country from continuing to consider the purchase of a drone and a cash expense the purchase of an advanced therapy that is decisive for transforming an illness and restoring quality of life to citizens and people who have unfortunately been less fortunate than us. . This for me is the fundamental battle: politics, regardless of the sense of belonging, must have as its objective, even challenging the Government, to ensure that an essential experimental phase can be started quickly to attract investments, enhance research and make so that this enormous change underway also has an adequate regulatory and legal framework to guarantee universal access to these therapies.

I punti di discussione

Parlare di accessibilità e distribuzione equa di trattamenti farmacologici significa affrontare un mondo molto ampio, che porta con sé una serie di sfaccettature che hanno bisogno, ciascuna, di approfondimenti specifici.

Nell'ambito del percorso di sviluppo e commercializzazione di un farmaco, si parte dalla **ricerca**, che deve essere opportunamente indirizzata anche attraverso il confronto e la partecipazione, fin dalle prime fasi dell'ideazione, dei rappresentanti dei pazienti e con i pazienti stessi. Una buona ricerca, con fasi di **sperimentazione** successive ben strutturate e indirizzate, che raccolgano tutti i dati necessari, sono le premesse fondamentali per la compilazione di un **dossier** che possa non incontrare ostacoli lungo il cammino.

A seguire, sono necessari **confronti fra gli enti regolatori e le aziende farmaceutiche**, che possano chiarire tutti i dubbi previ, concomitanti e successivi.

Un confronto sarebbe opportuno anche fra **AIFA e Regioni**, che attraverso i **registri** possono contribuire a implementare la conoscenza del numero di pazienti potenzialmente interessati alla terapia, pur con i limiti derivanti dalle **mancate diagnosi**. Spesso infatti all'arrivo di una terapia sul mercato le diagnosi aumentano in maniera a volte sostanziosa.

Dall'agenzia regolatoria il passaggio successivo è all'**effettiva disponibilità a livello regionale**, nei centri di somministrazione, passando a volte dalle **Centrali di acquisto** e facendo anche i conti con i bilanci **aziendali** e le previsioni fatte nell'anno precedente. Sentita quindi l'esigenza di una qualche forma di **horizon scanning** che possa semplificare questi passaggi e portarli in programmazione invece che in gestione emergenziale.

The talking points

Talking about accessibility and fair distribution of pharmacological treatments means addressing a very broad world, which brings with it a series of facets that each need specific in-depth analysis.

As part of the development and marketing process of a drug, we start with research, which must also be appropriately directed through discussion and participation, from the early stages of conception, of patient representatives and with the patients themselves. Good research, with well-structured and directed subsequent phases of experimentation, which collect all the necessary data, are the fundamental premises for compiling a dossier that may not encounter obstacles along the way.

Next, discussions are needed between regulatory bodies and pharmaceutical companies, which can clarify all prior, concurrent and subsequent doubts.

A comparison would also be appropriate between AIFA and the Regions, which through the registers can contribute to implementing knowledge of the number of patients potentially interested in therapy, despite the limitations resulting from missed diagnoses. In fact, often when a therapy arrives on the market, diagnoses increase in a sometimes substantial manner.

From the regulatory agency, the next step is to actual availability at a regional level, in the administration centers, sometimes passing through the purchasing centers and also taking into account the company budgets and the forecasts made in the previous year. The need was therefore felt for some form of horizon scanning that could simplify these steps and bring them into planning rather than emergency management.

Nel percorso post approvativo non mancano ulteriori ostacoli: i centri di prescrizione possono essere anche fuori Regione: le prescrizioni devono essere verificate anche nella Regione di residenza, con ulteriori step di attesa; eventuali carenze e indisponibilità rendono difficile l'approvvigionamento (pensiamo per esempio alla carenza cronica di immunoglobuline). Nella gestione delle carenze rientra anche l'importazione dall'estero, che oggi ha procedure collaudate ma time-consuming.

A volte i farmaci sono commercializzati per patologie diverse da quella per cui vengono usati: l'off-label e il repurposing sono da valutare attentamente e le procedure di "riconversione" facilitate.

In tutto questo, alcuni grandi temi:

- la sostenibilità economica, sia a livello dei singoli paesi che a livello di aziende sanitarie, che molte terapie ad alto costo pongono come sfida ai sistemi sanitari;
- la necessità che l'accesso a livello europeo sia equo e possibilmente contemporaneo
- i trattamenti per le patologie ultra rare e la loro gestione complessiva: le negoziazioni di prezzo per ogni singolo Stato sono altamente impattanti per le aziende farmaceutiche più piccole
- l'abbandono di alcune terapie da parte dell'industria farmaceutica, per ragioni economiche, e la conseguente necessità di renderle comunque disponibili per i pazienti, se unica possibilità di trattamento e cura, con analisi anche delle cause dell'abbandono per capire se qualcosa nel sistema deve essere cambiato
- la mancanza di trattamenti realmente trasformativi per la maggior parte delle malattie rare che indicano la necessità di maggiori incentivi alla ricerca finalizzati

La necessità che tutti questi percorsi e processi siano partecipati dai pazienti e i loro rappresentanti è ormai assodata: si recupera in efficacia ed efficienza di tutto il sistema.

In the post-approval process, there are no shortage of further obstacles: the prescription centers can also be outside the Region: the prescriptions must also be verified in the Region of residence, with further waiting steps; any shortages and unavailability make supply difficult (think for example of the chronic shortage of immunoglobulins). The management of shortages also includes imports from abroad, which today have tested but time-consuming procedures.

Sometimes drugs are marketed for pathologies other than the one for which they are used: off-label and repurposing must be carefully evaluated and "reconversion" procedures facilitated.

In all this, some big themes:

economic sustainability, both at the level of individual countries and at the level of healthcare companies, which many high-cost therapies pose as a challenge to healthcare systems;

the need for access at European level to be fair and possibly contemporary treatments for ultra-rare diseases and their overall management: price negotiations for each individual state are highly impactful for smaller pharmaceutical companies

the abandonment of some therapies by the pharmaceutical industry, for economic reasons, and the consequent need to make them available to patients, if the only possibility of treatment and cure, with analysis also of the causes of abandonment to understand if something in the system needs to be changed

the lack of truly transformative treatments for most rare diseases indicating the need for greater incentives for targeted research

The need for all these paths and processes to be participated by patients and their representatives is now well established: the effectiveness and efficiency of the entire system is recovered.

Le discussioni in schema

ATMP: Accelerazione processo di approvazione della terapia

Armonica distribuzione dei centri di erogazione nelle Regioni

- Investire nella formazione e nell'infrastruttura su alcuni centri per evitare gli spostamenti dei pazienti

CHI:

Le singole Regioni; il Ministero per un coordinamento Regionale

ATMP

Sostenibilità economica

- Creazione di un fondo specifico

CHI

Parlamento

STRUMENTI

Legge di Bilancio

DOCUMENTAZIONE/LEGGI

Vedi proposta Intergruppo Parlamentare innovazione in Sanità - Atti della Convention MonitoRare

- Imputazione a costi pluriennali (investimento)

CHI

Comunità Europea

Per le patologie ultrarare, commissione centrale di determinazione del prezzo evitando il costo della sottomissione dei dossier in ogni singolo stato membro

CHI

Comunità Europea e Stati Membri

LETTERATURA/LEGISLAZIONE

Effemeride di UNIAMO 6/2022

The discussions in outline

ATMP: Acceleration of therapy approval process

Harmonious distribution of delivery centers in the Regions

-Invest in training and infrastructure in some centers to avoid patient movements

WHO:

The individual Regions; the Ministry for regional coordination

ATMP

Economic sustainability

-Creation of a specific fund

WHO

Parliament

TOOLS Budget Law

DOCUMENTATION/LAWS

See proposal Parliamentary Intergroup innovation in Healthcare -
Proceedings of the MonitoRare Convention

-Allocation to multi-year costs (investment)

WHO

European Community

For ultra-rare pathologies, central price determination commission avoiding the cost of submitting dossiers in each individual member state

WHO

European Community and Member States

LITERATURE/LEGISLATION

UNIAMO ephemeris 6/2022

ATMP: Accelerazione processo di approvazione della terapia

Sottomissione di dossier migliori ad AIFA, attraverso:

- **early dialogue fra Pharma e AIFA anche prima della sottomissione del dossier**

CHI: AIFA

- **compilazione di un dossier migliore, con migliori evidenze scientifiche, impostando fin dall'inizio quanto necessario**

CHI:

PHARMA; centri di sperimentazione; Associazioni dei pazienti e loro rappresentanti.

STRUMENTI:

- ricorso a formazione sviluppata durante il progetto ERICA - WP4 per i centri che sviluppano i trials;

- ricorso a modelli per la statistica sui piccoli numeri

- supporto dell'Advisory Board europeo (cfr Annamaria De Luca) al momento dell'inizio delle sperimentazioni.

- **arricchire il dossier con proms e prems e altri dati**

CHI

Pharma, Associazioni dei pazienti, Istituzioni

STRUMENTI

- indagini specifiche, quali e quantitative; raccolta sistematizzata dei dati
LEGISLAZIONE

- PNMR Trattamenti farmacologici ob. 4

- Proposta di legge Loizzo, Panizzut, Lazzarini, Matone

- **utilizzare maggiormente anche i dati pre-clinici, con particolare riguardo a quelli riguardanti l'efficacia e non solo la sicurezza**

CHI

Pharma, Università, centri di ricerca, Associazioni dei pazienti, Istituzioni

STRUMENTI

- strumenti di raccolta dati e impostazione specifica

LEGISLAZIONE

PNMR Ricerca ob. 8

ATMP: Acceleration of therapy approval process

Submission of better dossiers to AIFA, through:

early dialogue between Pharma and AIFA even before the submission of the dossier

WHO:

AIFA

compilation of a better dossier, with better scientific evidence, setting the necessary from the beginning

WHO:

PHARMA; testing centers; Patient associations and their representatives.

INSTRUMENTS:

- use of training developed during the ERICA - WP4 project for the centers developing the trials;
- use of models for statistics on small numbers
- support from the European Advisory Board (see Annamaria De Luca) at the start of the trials.

enrich the dossier with proms and prems and other data

WHO

Pharma, Patient Associations, Institutions

TOOLS

- specific, qualitative and quantitative investigations; systematized collection of data

LEGISLATION

- PNMR Pharmacological treatments ob. 4
- Proposal of law Loizzo, Panizzut, Lazzarini, Matone

make greater use of pre-clinical data, with particular attention to those concerning efficacy and not just safety

WHO

Pharma, Universities, research centres, patient associations, institutions

TOOLS

- data collection tools and specific setup

LEGISLATION

PNMR Research ob. 8

- rendere più efficaci i processi di approvazione AIFA, attraverso una maggior trasparenza degli elementi di valutazione

CHI: AIFA

STRUMENTI:

- procedure consultabili sul sito, incontri tipo “open AIFA” di confronto
- parallel assessment a livello europeo

LEGISLAZIONE

- Legge Balduzzi (100 giorni)

- utilizzare il joint assessment europeo anche nei singoli Stati membri

CHI

Parlamento, AIFA

STRUMENTI

- indagini specifiche, quali e quantitative; raccolta sistematizzata dei dati

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

- Effemeride UNIAMO 6/2022 - Accesso alle terapie

- individuazione più precisa del numero di persone potenzialmente interessate alla terapia

CHI

AIFA, Regioni, Associazioni dei pazienti

STRUMENTI

- registri aggiornati e completi con possibilità di individuazione anche dei sottogruppi;

- screening neonatali ove possibile

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

- Effemeride di Uniamo 6/2022 - Accesso alle terapie

- adozione di accordi di condivisione del rischio al momento della fissazione del prezzo rimborso

CHI

AIFA, Pharma, Parlamento

STRUMENTI

- indagini specifiche, quali e quantitative; raccolta sistematizzata dei dati

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

- modello francese e/o tedesco

make AIFA approval processes more effective, through greater transparency of the evaluation elements

WHO:

AIFA

TOOLS:

- procedures available on the website, "open AIFA" type meetings for discussion
- parallel assessment at European level

LEGISLATION

- Balduzzi Law (100 days)

use the European joint assessment also in the individual member states

WHO

Parliament, AIFA

TOOLS

- specific, qualitative and quantitative investigations; systematized collection of data

LEGISLATION/LITERATURE

- Effemeride UNIAMO 6/2022 - Access to therapies

more precise identification of the number of people potentially interested in the therapy

WHO

AIFA, Regions, Patient Associations

TOOLS

- updated and complete registers with the possibility of identifying subgroups;
- neonatal screening where possible

LEGISLATION/LITERATURE

- Uniamo Ephemeris 6/2022 - Access to therapies

- adoption of risk sharing agreements when setting the reimbursement price

WHO

AIFA, Pharma, Parliament

TOOLS

- specific, qualitative and quantitative investigations; systematized collection of data

LEGISLATION/LITERATURE

- French and/or German model

Impostare la ricerca in maniera corretta

- aumentare le interazioni fra ricerca accademica e ricerca farmaceutica

CHI:

Pharma, Università, centri di ricerca

- ascoltare le richieste dei pazienti rispetto ai risultati attesi, coinvolgendoli fin dall'inizio della progettazione della ricerca

CHI

Pharma, Università, centri di ricerca, Associazioni dei pazienti

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

Effemeride di UNIAMO 6/2022 - Accesso alle Terapie

PNMR Ricerca ob. 8



Set up the search correctly

increase interactions between academic research and pharmaceutical research

WHO:

Pharma, Universities, research centres

listen to patients' requests regarding the expected results, involving them from the beginning of the research planning

WHO

Pharma, Universities, research centers, patient associations

LEGISLATION/LITERATURE

UNIAMO Ephemeris 6/2022 - Access to Therapies

PNMR Research ob. 8



ATMP e Farmaci Orfani

Accelerazione della messa a disposizione della terapia al paziente

- attivazione di procedure di horizon scanning che consentano alle Regioni di poter preparare gli atti amministrativi necessari alla pronta disponibilità della terapia

CHI:

Regioni, AIFA,

STRUMENTI:

- sito specifico sulle sperimentazioni cliniche attive
- creazione di una task force specifica in ogni Regione, con un confronto nazionale ove necessario

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

PNMR Trattamenti Farmacologici obiettivo 6

Buona prassi di Regione Veneto

- programmazione aziendale conseguentemente adeguata nei budget, rispetto al numero dei pazienti seguiti con la patologia

CHI

Regioni, Direttori Sanitari, Centrali di Acquisto

STRUMENTI

- attivazione di una modalità di comunicazione dalla Task Force alle singole aziende sanitarie
- registri per l'individuazione dei pazienti, con la specifica del centro di cura

ATMP and Orphan Drugs

Acceleration of making therapy available to the patient

activation of horizon scanning procedures that allow the Regions to prepare the administrative documents necessary for the prompt availability of therapy

CHI:

Regions, AIFA,

TOOLS:

- specific site on active clinical trials
- creation of a specific task force in each Region, with a national comparison where necessary

LEGISLATION/LITERATURE PNMR Pharmacological Treatments objective 6 Good practice of the Veneto Region

corporate planning consequently adequate in budgets, compared to the number of patients followed with the pathology

WHO

Regions, Health Directors, Purchasing Centers

TOOLS

- activation of a communication method from the Task Force to individual healthcare companies
- registers for identifying patients, with the specification of the treatment center

Farmaci Orfani

Gestione delle carenze

- **verificare la possibilità di produzione da parte dello Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare**

CHI:

Istituzioni, IFM, Parlamento

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

Registro AIFA

PNMR Trattamenti farmacologico ob. 7

- **verificare la possibilità di formulazioni galeniche**

CHI

Istituzioni, Farmacisti Ospedalieri

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

-Legge 175/2021

Indisponibilità

- **monitoraggio delle situazioni di indisponibilità, con verifica delle situazioni di emergenza specifiche e copertura con trasferimenti fra ospedali.**

CHI:

AIFA, Farmacisti Ospedalieri, Regioni

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

PNMR Trattamenti farmacologico ob. 7

DruGhost sviluppato con PI AIFA-SIFO

- **importazione dall'estero (vedi sotto)**

vedi altro paragrafo

Orphan Drugs

Deficiency management

verify the possibility of production by the Military Chemical Pharmaceutical Plant

WHO:

Institutions, IFM, Parliament

LEGISLATION/LITERATURE

AIFA register

PNMR Pharmacological treatments ob. 7

verify the possibility of galenic formulations

WHO

Institutions, Hospital Pharmacists

LEGISLATION/LITERATURE

-Law 175/2021

Unavailability

monitoring of situations of unavailability, with verification of specific emergency situations and coverage with transfers between hospitals

WHO:

AIFA, Hospital Pharmacists, Regions

LEGISLATION/LITERATURE

PNMR Pharmacological treatments ob. 7

DruGhost developed with PI AIFA-SIFO

import from abroad

see another paragraph

Tempi lunghi e molta burocrazia per l'Importazione dall'estero; pratiche ripetute per ogni singolo paziente

- le procedure per l'importazione dall'estero potrebbero essere accentrate nell'IFM evitando la duplicazione delle procedure per ogni farmacia ospedaliera e per ogni paziente

CHI:

Parlamento, IFM, AIFA, Farmacisti Ospedalieri e Direzioni Sanitarie

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

Importazione accentrata fatta da IFM recentemente

DM 1997

PNMR Trattamenti farmacologici azioni punto 8 e Strumenti n. 3 e 6

Farmaci in repurposing

Procedure e modelli da sviluppare

- Sviluppare una piattaforma utile per i centri di ricerca che vogliono provare a testare farmaci in repurposing

CHI:

Istituzioni, Regioni, ERN, AIFA ecc

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

- progetto europeo Remedy4All

- PNMR Trattamenti Farmacologici Azioni punto 8

Costi

- le Pharma non dovrebbero aumentare a dismisura i costi per un repurposing su trattamenti già in uso da anni

CHI:

Pharma, Parlamento

Long times and a lot of bureaucracy for importing from abroad; repeated practices for each individual patient

the procedures for importing from abroad could be centralized in the IFM avoiding the duplication of procedures for each hospital pharmacy and for each patient

WHO:

Parliament, IFM, AIFA, Hospital Pharmacists and Health Directorates

LEGISLATION/LITERATURE

Centralized import made by IFM recently

Ministerial Decree 1997

PNMR Pharmacological treatments actions point 8 and Tools n. 3 and 6

Farmaci in repurposing

Procedures and models to be developed

Develop a useful platform for research centers that want to try to test drugs in repurposing

WHO:

Institutions, Regions, ERN, AIFA etc.

LEGISLATION/LITERATURE

European project Remedy4All

PNMR Pharmacological Treatments Actions point 8

Costs

Pharma companies should not dramatically increase costs for repurposing treatments that have already been in use for years.

WHO:

Pharma, Parliament

Tempi di riconversione

- i tempi di riconversione dei farmaci sono comunque molto lunghi; sarebbero opportune semplificazioni rispetto ad alcune procedure già effettuate per la prima collocazione sul mercato del farmaco in oggetto (sviluppo di pathway specifici)

CHI:

Parlamento, UE

ATMP e farmaci orfani

Equità

- incentivare la ricerca in modo speciale nelle patologie che non hanno mai avuto un trattamento

-incentivare e sostenere la ricerca per trattamenti trasformativi

- rendere disponibili i i trattamenti almeno in tutti gli stati membri

- studiare modelli per la disponibilità dei trattamenti per le patologie ultrarare

CHI:

Parlamento Europeo attraverso la revisione della strategia farmaceutica;

Min Sal Italia

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

Art. 168 del trattato (garantire a tutti i cittadini UE un adeguato livello sanitario)

Reconversion times

the reconversion times of the drugs are however very long; simplifications would be appropriate with respect to some procedures already carried out for the first placement on the market of the drug in question (development of specific pathways)

WHO:

Parliament, EU

ATMP and orphan drugs

Equity

-encourage research especially in pathologies that have never had a treatment

- incentivize and support research for transformative treatments

- make treatments available at least in all member states

- study models for the availability of treatments for ultra-rare diseases

WHO:

European Parliament through the review of the pharmaceutical strategy;

Min Sal Italy

LEGISLATION/LITERATURE

Art. 168 of the treaty (guaranteeing an adequate level of health for all EU citizens)

Farmaci di fascia C, off label

Disponibilità in maniera omogenea in tutte le Regioni Italiane;

- **istituzione di uno specifico gruppo di lavoro AIFA - TT MR Regioni / PPAA per la ricognizione dei farmaci e redazione di un elenco unico su base nazionale**

CHI:

AIFA - Regioni - Rappresentanti dei Pazienti

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

PNMR Trattamenti Farmacologici, Obiettivo 2

Farmaci non in commercio in Italia

possibilità di importazione con procedure semplificate

- **Aggiornare la normativa di riferimento DM 7 settembre 2017 e DM 11 febbraio 1997**

CHI:

AIFA - Regioni - Rappresentanti dei Pazienti Parlamento
tutti gli stakeholders

LEGISLAZIONE/LETTERATURA

DM 11/2/97

DM 7/9/2017

PNMR Trattamenti farmacologici strumento 6

Class C drugs, off label

Uniform availability in all Italian regions;

establishment of a specific AIFA - TT MR Regions / PPAA working group for the recognition of drugs and drafting of a single list on a national basis

WHO:

AIFA - Regions - Patient Representatives

LEGISLATION/LITERATURE

PNMR Pharmacological Treatments, Objective 2

Medicines not on the market in Italy

possibility of import with simplified procedures

Update the reference legislation DM 7 September 2017 and DM 11 February 1997

WHO:

AIFA - Regions - Patient RepresentativesParliament all stakeholders

LEGISLATION/LITERATURE

Ministerial Decree 11/2/97

Ministerial Decree 7/9/2017

PNMR Pharmacological treatments instrument 6

I partecipanti ai lavori dei Tavoli

I partecipanti ai tavoli sono stati scelti per la loro competenza sugli argomenti trattati, cercando di dare una rappresentazione globale dei principali stakeholders di sistema, dalle istituzioni europee a quelle italiane all'industria farmaceutica.

Simona Aliprandi - Pipeline Partner, Roche

Anna Ambrosini - Delegata AriSLA

Giacomo Baruchello - Vice President and General Manager Region Europe South · Blueprint Medicines

Simona Bellagambi - Delegata EURORDIS, Rappresentante estero UNIAMO

Stefano Benvenuti - Head of Public Affairs Telethon

Barbara Bonamassa - Committee for Advanced Therapies (CAT) alternate member Italian Medicines Agency (AIFA) - Innovation and Pharmaceutical Strategy Division (Ex European Assessment Unit)

Simone Boselli - Public Affairs Director - EURORDIS Rare Diseases Europe

Loris Brunetta - Presidente Associazione Talassemici Liguri

Agnese Cangini - Economista sanitario - Member of the Executive Board presso EunetHTA - AIFA

Francesca Caprari - Market Access Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Rita Cataldo - Delegata ASSOBIOTEC FEDERCHIMICA

Americo Cicchetti - Direttore dell'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari

Maria Elena Congiu - MinSal - DG Programmazione sanitaria

Chiara Cordova - Conferenza dei Consigli Regionali

Filippo Cristoferi - Chief of Staff & External Affairs AIP

Erica Daina - Coordinamento Malattie Rare Regione Lombardia

Francesco De Lorenzo - Presidente F.A.V.O.

Annamaria De Luca - Dipartimento di Farmacia, Scienze del Farmaco, Università degli Studi di Bari Aldo Moro

Giulia Di Blasio - Public Affairs Specialist - Rare diseases · Sanofi

Paola Facchin - Coordinatore Tavolo tecnico interregionale Malattie Rare

Michela Gabaldo - Head Alliance Management & Regulatory Affairs - Fondazione Telethon

Maria Galdo - Farmacista Dirigente resp. f.f. UOSD Gestione Clinica del Farmaco, Azienda Ospedaliera "Ospedali dei Colli"

The participants in the work of the Tables

The participants at the tables were chosen for their expertise on the topics covered, trying to give a global representation of the main system stakeholders, from European to Italian institutions to the pharmaceutical industry.

Simona Aliprandi - Pipeline Partner, Roche Anna Ambrosini - AriSLA Delegate Giacomo Baruchello - Vice President and General Manager Region Europe South · Blueprint Medicines Simona Bellagambi - EURORDIS Delegate, UNIAMO Foreign Representative Stefano Benvenuti - Head of Public Affairs Telethon Barbara Bonamassa - Committee for Advanced Therapies (CAT) alternate member Italian Medicines Agency (AIFA) - Innovation and Pharmaceutical Strategy Division (Ex European Assessment Unit) Simone Boselli - Public Affairs Director - EURORDIS Rare Diseases Europe Loris Brunetta - President of the Talassemici Liguri Association Agnese Cangini - Health economist - Member of the Executive Board at EunetHTA - AIFA Francesca Caprari - Market Access Alexion, AstraZeneca Rare Disease Rita Cataldo - Delegate ASSOBIOFARM FEDERCHIMICA Americo Cicchetti - Director of the High School of Economics and Management of Health Systems Maria Elena Congiu - MinSal - DG Health Planning Chiara Cordova - Conference of the Regional Councils Filippo Cristoferi - Chief of Staff & External Affairs AIP Erica Daina - Coordination of Rare Diseases Lombardy Region Francesco De Lorenzo - President F.A.V.O.

Annamaria De Luca - Department of Pharmacy, Pharmaceutical Sciences, University of Bari Aldo Moro Giulia Di Blasio - Public Affairs Specialist - Rare diseases · Sanofi Paola Facchin - Coordinator of the interregional technical table on Rare Diseases Michela Gabaldo - Head Alliance Management & Regulatory Affairs - Telethon Foundation Maria Galdo - Pharmacist Manager resp. f.f. UOSD Clinical Drug Management, "Ospedali dei Colli" Hospital

Nicola Gianfelice - General Manager Italy & Greece · Amryt Pharma
Vincenzo Giustozzi - Market Access Lead - Medac Farma
Angela Ianaro - Membro della XII Commissione Affari Sociali
Tommasina Iorno - Delegata Fondazione Giambrone
Roberta Joppi - Commissione Tecnica Regionale sui Farmaci , Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi Medici, Regione Veneto
Yllka Kodra - Dirigente Medico - Ufficio 5 - Livelli essenziali di assistenza, assistenza territoriale e sociosanitaria - DG Programmazione sanitaria - Ministero della Salute
Elena Paola Lanati - Direttore ATMP Forum
Beppe Lanzillotta - Director Government Affairs Italy & International Government Affairs and Policy presso Alexion Pharmaceuticals
Giovanni Leonardi - Direttore Generale Innovazione e ricerca in sanità - Ministero della Salute
Armando Magrelli - Vice Chair Comitato per i Farmaci Orfani (COMP), Agenzia Europea dei Medicinali, Londra
Cristiana Marchese - Delegata ASS. RETINA
Marco Marchetti - Dirigente Unità Operativa di Health Technology Assessment, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari
Lorenzo Margheri, Ten. Col. Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare
Sarah Marktél - Ematologa Ospedale San Raffaele
Massimo Marra - Presidente CIDP Italia
Antonio Medica - Direttore Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare
Francesco Saverio Mennini - Presidente Società Italiana Health Technology Assessment
Cristiano Niccolini - Segretariato di supporto - Area Pre-Autorizzazione - AIFA
Immacolata Pagano - Dirigente delle professionalità sanitarie - Area Pre-Autorizzazione - AIFA
Anita Pallara - Presidente FAMIGLIE SMA
Riccardo Palmisano - Presidente Assobiotec Federchimica
Francesca Pasinelli - Direttore Generale - Fondazione Telethon
Sandra Petraglia - Dirigente Area Pre-Autorizzazione - AIFA
Paolo Pietrangelo - Conferenza dei Consigli Regionali
Lara Pippo - Head of Market Access & Government Affairs - CSL Behring
Cesare Pisacane - Regional Access Manager - CSL Behring
Michela Policella - Membro del Direttivo - ASAMSI
Elena Pompeo - Patient Partnership Manager, Medical Affairs and Clinical Operations Department · Roche Italia
Concetta Quintarelli European Medicines Agency (EMA). Scientific Committee members and experts

Nicola Gianfelice - General Manager Italy & Greece · Amryt Pharma
Vincenzo Giustozzi - Market Access Lead - Medac Farma Angela Ianaro -
Member of the XII Social Affairs Commission Tommasina Iorno - Delegate
of the Ciambrone Foundation Roberta Joppi - Regional Technical
Commission on Medicines, Pharmaceutical-Prosthetics-Devices
Directorate Doctors, Veneto Region Yilka Kodra - Medical Director - Office
5 - Essential levels of assistance, territorial and socio-health assistance -
DG Health Planning - Ministry of Health Elena Paola Lanati - Director
ATMP Forum Beppe Lanzillotta - Director Government Affairs Italy &
International Government Affairs and Policy at Alexion Pharmaceuticals
Giovanni Leonardi - General Director of Innovation and Research in
Healthcare - Ministry of Health Armando Magrelli - Vice Chair of the
Committee for Orphan Drugs (COMP). European Medicines Agency,
London Cristiana Marchese - ASS Delegate. RETINA Marco Marchetti -
Director of the Health Technology Assessment Operational Unit, National
Agency for Health Services Lorenzo Margheri, Lt. Col. Military Chemical
Pharmaceutical Plant Sarah Marktél - Hematologist San Raffaele Hospital
Massimo Marra - President CIDP Italy Antonio Medica - Director of Military
Chemical Pharmaceutical Plant Francesco Saverio Mennini - President of
the Italian Society of Health Technology Assessment Cristiano Niccolini -
Support Secretariat - Pre-Authorisation Area - AIFA Immacolata Pagano -
Manager of healthcare professionals - Pre-Authorisation Area - AIFA Anita
Pallara - President of SMA FAMILIES Riccardo Palmisano - President of
Assobiotec Federchimica Francesca Pasinelli - General Director - Telethon
Foundation Sandra Petraglia - Pre-Authorization Area Manager - AIFA
Paolo Pietrangelo - Conference of Regional Councils Lara Pippo - Head of
Market Access & Government Affairs - CSL Behring Cesare Pisacane -
Regional Access Manager - CSL Behring Michela Policella - Member of the
Board of Directors - ASAMSI Elena Pompeo - Patient Partnership
Manager, Medical Affairs and Clinical Operations Department · Roche
Italia Concetta Quintarelli European Medicines Agency (EMA). Scientific
Committee members and experts

Angelo Ricci - Presidente FIAGOP

Claudia Russo Caia - Patient Value & Access Head Takeda Italia S.p.A.

Zeno Righetti - Product Manager - Roche

Antonella Ronchi - Professore Associato - Università degli Studi di Milano-Bicocca, Dip. Biotecnologie e Bioscienze

Anna Chiara Rossi - VP& General Manager Italy · Alexion, AstraZeneca Rare Disease, delegata Assobiotec Federchimica

Massimo Scaccabarozzi - Presidente Farindustria

Annalisa Scopinaro - Presidente UNIAMO

Giovanna Scroccaro - Presidente Comitato Prezzi e Rimborso, AIFA

Rossana Sovani - Head of Legal Public Affairs · LS CUBE Studio Legale, delegata VYTA

Luisa Strani - Patient Advocacy Lead Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Paola Torreri - Istituto Superiore di Sanità

Filippo Urso - Segretario Regionale SIFO



Angelo Ricci - President FIAGOP
Claudia Russo Caia - Patient Value & Access Head Takeda Italia S.p.A.
Zeno Righetti - Product Manager - Roche
Antonella Ronchi - Associate Professor - University of Milan-Bicocca, Dept. of Biotechnology and Biosciences
Anna Chiara Rossi - VP& General Manager Italy - Alexion, AstraZeneca Rare Disease, delegate Assobiotec Federchimica
Massimo Scaccabarozzi - President Farmindustria
Annalisa Scopinaro - President of UNIAMO
Giovanna Scroccaro - President of the Prices and Reimbursement Committee, AIFA
Rossana Sovani - Head of Legal Public Affairs - LS CUBE Law Firm, VYTA delegate
Luisa Strani - Patient Advocacy Lead Alexion, AstraZeneca Rare Disease
Paola Torreri - Istituto Superiore di Sanità
Filippo Urso - SIFO Regional Secretary



UNIAMO

Federazione Italiana Malattie Rare

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare è l'ente di rappresentanza della comunità delle persone con malattia rara.

Opera dal 1999 per la tutela e la difesa dei diritti delle persone con malattia rara e delle loro famiglie, ha oltre 160 associazioni affiliate in continua crescita.

Sviluppa un dialogo costante con gli esponenti delle Istituzioni (Ministeri, AIFA, Istituto Superiore di Sanità, Agenas, Regioni, centri clinici di riferimenti, rete ERN, MMG e PLS, società scientifiche ecc), ricercatori, player privati rappresentando le istanze delle persone con malattia rara e le possibili soluzioni.

Dà voce a tutte le persone che si trovano ad impattare con una malattia rara o ultrarara, oltre che a quelli che sono ancora in cerca di una diagnosi.

Il senso di disorientamento, incertezza, solitudine, il dolore che si prova quando si riceve una diagnosi di malattia rara sono alleviati dalla consapevolezza che la Federazione, insieme a tutte le Associazioni, compie ogni sforzo possibile per migliorare la qualità di vita della persona e dei suoi familiari e caregiver.

Il sostegno concreto è dato con il servizio SAIO (servizio di ascolto, informazione e orientamento) – rivolto ai singoli individui e alle Associazioni –, con altri progetti di supporto e con l'azione di sensibilizzazione, promozione e tutela dei diritti, advocacy in tutti i settori, dalla ricerca alla bioetica, dagli approcci sanitari ai sostegni sociali.

Puoi sostenere la nostra azione in molti modi:

- mettendo a disposizione la tua professionalità
- offrendoci dei servizi pro-bono
- con il tuo 5x1000 (codice fiscale 92067090495)
- con un contributo deducibile/detraibile in sede di dichiarazione fiscale:
IBAN IT53M0306909606100000010339
Paypal donazioni@uniamo.org

UNIAMO Italian Federation of Rare Diseases

UNIAMO Italian Federation of Rare Diseases is the body representing the community of people with rare diseases.

It has been operating since 1999 for the protection and defense of the rights of people with rare diseases and their families, and has over 160 affiliated associations which are constantly growing.

Develop a constant dialogue with representatives of the institutions (Ministries, AIFA, Istituto Superiore di Sanità, Agenas, Regions, clinical reference centres, ERN network, GPs and PLS, scientific societies, etc.), researchers, private players representing the requests of people with rare disease and possible solutions.

It gives a voice to all the people who find themselves affected by a rare or ultra-rare disease, as well as those who are still looking for a diagnosis.

The sense of disorientation, uncertainty, loneliness, the pain felt when receiving a diagnosis of a rare disease are alleviated by the awareness that the Federation, together with all the Associations, makes every possible effort to improve the quality of life of the person and their his family members and caregivers.

Concrete support is given with the SAIO service (listening, information and orientation service) - aimed at individuals and associations - , with other support projects and with awareness-raising, promotion and protection of rights, advocacy in all the sectors, from research to bioethics, from health approaches to social supports.

You can support our action in many ways:

- making your professionalism available
- offering us pro-bono services
- with your 5x1000 (tax code 92067090495)
- with a deductible/deductible contribution in the tax return:

IBAN IT53M0306909606100000010339 Paypal Donations@uniamo.org

Le Effemèridi di UNIAMO

L'idea di una collana editoriale di Uniamo non è nuova. Dovevano però verificarsi una serie di condizioni perché potesse diventare realtà.

Nella ricerca di un nome che caratterizzasse le nostre pubblicazioni ci siamo imbattuti in quello di "effemèride".

Il vocabolario Treccani riporta la seguente definizione:

effemèride (o efemèride) s. f. [dal lat. ephemeris -idis, gr. ἐφημερίς -ιδος «diario», comp. di ἐπί «sopra» e ἡμέρα «giorno»]. –

1. a. Anticam., erano detti effemeridi i libri in cui si registravano gli atti del re, dapprima giorno per giorno (di qui il nome), poi secondo un più ampio schema cronologico. b. Per estens., diario, cronaca giornaliera degli avvenimenti: ma che più mi stendo io in farvi una e. della mia vita? (D. Bartoli).

2. In tempi più recenti, il termine è stato usato come titolo di pubblicazioni periodiche, soprattutto di carattere letterario o scientifico (mai di giornali politici); per es., le Efemeridi letterarie, che si stamparono in Roma dal 1772 al 1795 e contenevano recensioni dei libri nuovi; le Effemeridi scientifiche e letterarie per la Sicilia, che si pubblicarono dal 1832 al 1840.

3. Tavola o gruppo di tavole numeriche, dette e. astronomiche (o anche nautiche, in quanto servono principalmente alle esigenze della navigazione), che forniscono le coordinate degli astri (o altri dati astronomici variabili col tempo) a intervalli prefissati ed uguali fra loro, per es. di giorno in giorno oppure di ora in ora. Per estens., anche i libri, generalmente pubblicati con frequenza annuale, che contengono tali raccolte.

Ciascuna delle tre definizioni contiene un elemento che abbiamo sentito vicino: la registrazione quotidiana degli atti, che ci richiama ad un ideale viaggio nella patologia; la pubblicazione periodica, che risponde ai nostri desiderata; la tavola che fornisce le coordinate, nostra aspirazione e intento nella pubblicazione di questi opuscoli.

La relativa rarità dell'uso di questo termine, la sua connotazione al femminile, la sua originalità dato che l'ultimo soggetto che l'ha utilizzato risale al 1840 per pubblicazioni a carattere letterario o scientifico ci hanno convinti ulteriormente che eravamo fatte l'una per l'altra: Federazione e effemèride, comunità di persone con malattia rara e pubblicazione periodica che racconta un viaggio e prova a guidarne la rotta.

Ecco quindi l'inizio di una collana che seguirà l'attività federativa dando un rendiconto degli incontri e dei gruppi di lavoro costituiti su tematiche specifiche, e del frutto del loro lavoro.

Ad maiora, semper.

Il Consiglio Direttivo

The Ephemèrides of UNIAMO

The idea of a Uniamo editorial series is not new. However, a series of conditions had to be met for it to become reality.

In the search for a name that would characterize our publications we came across "effemèride".

The Treccani dictionary reports the following definition:

effemèride (or efemèride) s. f. [from lat. *ephemēris* -īdis, gr. *ἐφημερίς* -ίδος «diary», comp. of *ἐπί* «above» and *ἡμέρα* «day»]. -

1. a. Anticam., the books in which the king's actions were recorded were called ephemerides, first day by day (hence the name), then according to a broader chronological scheme. b. In full, diary, daily chronicle of events: but what more do I spend in giving you an e. of my life? (D. Bartoli).

2. In more recent times, the term has been used as the title of periodical publications, especially of a literary or scientific nature (never of political newspapers); for example, the literary Ephemèrides, which were printed in Rome from 1772 to 1795 and contained reviews of new books; the scientific and literary Ephemèrides for Sicily, which were published from 1832 to 1840.

3. Table or group of numerical tables, called e. astronomical (or even nautical, as they mainly serve the needs of navigation), which provide the coordinates of the stars (or other astronomical data variable over time) at pre-established and equal intervals, for example. from day to day or from hour to hour. By extension, also the books, generally published annually, which contain such collections.

Each of the three definitions contains an element that we felt close to us: the daily recording of documents, which reminds us of an ideal journey into pathology; the periodic publication, which responds to our wishes; the table that provides the coordinates, our aspiration and intent in the publication of these brochures.

The relative rarity of the use of this term, its feminine connotation, its originality given that the last person who used it dates back to 1840 for literary or scientific publications, further convinced us that we were made for each other for the other: Federation and effemèride, community of people with rare diseases and periodic publication that recounts a journey and tries to guide its route.

Here is therefore the beginning of a series that will follow the federation's activity by giving an account of the meetings and working groups set up on specific themes, and the fruit of their work.

Most of the time, always.

The Board of Directors





Ü

ÜNIAMO
Rari, mai soli

Via Nomentana 133, 00161 Roma
Tel. 064404773
segreteria@uniamo.org
www.uniamo.org

    @uniamomalattierare

 @uniamofimronlus

 @uniamofimr

