

Marketing e Comunicazione Farmaceutica

Roberto Adrower

Farmacista / Life Science Professional in Marketing & Communication

Professore a Contratto di Marketing e Tecniche di Accesso al Mercato del Farmaco Facoltà di Farmacia e
Medicina Corso Scienze farmaceutiche Applicate

Un . La Sapienza Roma

roberto.adrower@uniroma1.it

Market Research 2 parte e Marketing Farmaci Orfani



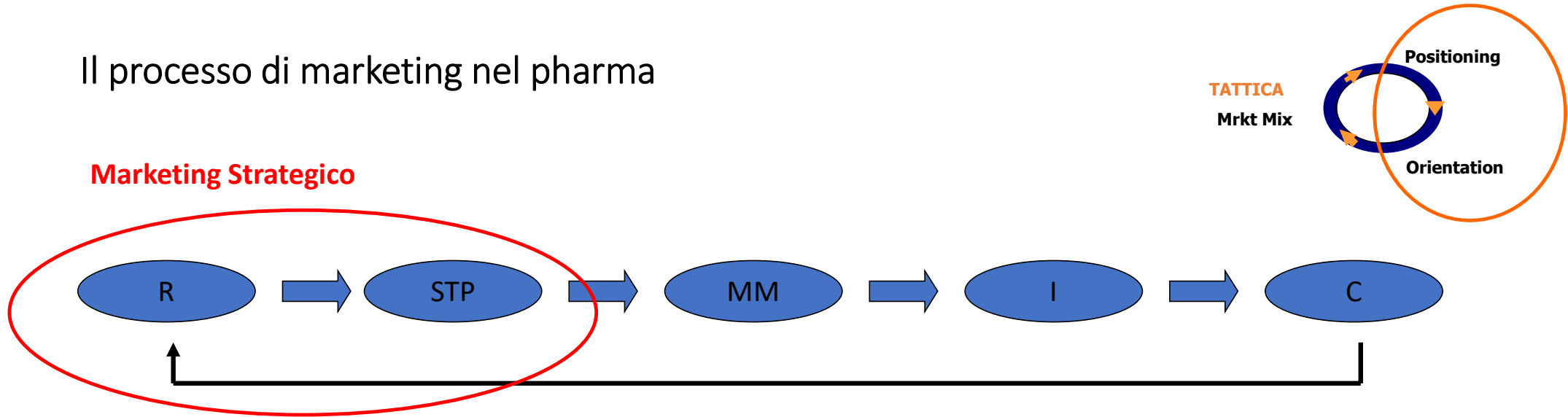
SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA



MARKETING = MARKET RESEARCH ?

Il processo di marketing nel pharma

Marketing Strategico



R= Ricerche di mercato – Analisi

STP= strategie di Segmentazione, Targeting e Posizionamento

MM= tattiche di Marketing Mix

I= Implementazione

C= controllo, valutazione dei risultati, revisione e miglioramento delle STP o del MM



Analisi di mercato

Conoscere l'altro e se stesso, cento battaglie senza rischi

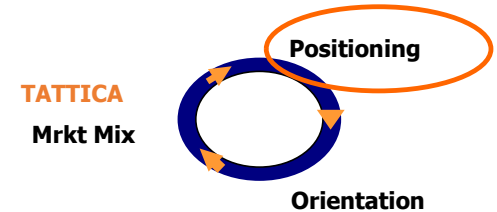
Conoscere se stessi e non conoscere l'altro, a volte vittoria a volte sconfitta

Non conoscere l'altro ne se stessi, ogni battaglia è un rischio totale

Generale SUN TZU

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

Positioning: Tipologia di informazioni



Informazioni qualitative

- Identificazione degli attori principali
- Motivazioni dei prescrittori
- Bisogni insoddisfatti dei prescrittori
- Immagine aziendale
- Immagine di prodotto
- Presenza di competitor e loro attività

Product Image
(*percepita*)

Informazioni quantitative

- Mercato potenziale
- Caratteristiche del mercato
- Vendite
- Up-lift assoluto e %
- Market-share
- N° di prescrizioni
- N° di prescrittori
- Riserva di pazienti

Opinioni, non dati!

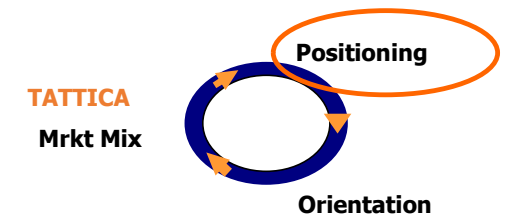
Positioning: Fonti delle informazioni

Informazioni qualitative

- Feed-back dal campo:
 - Dalla rete
 - Dai leader visitati
 - Dai congressi
- Indagini private
- Panel ad-hoc
- Stampa medica e scientifica

Informazioni quantitative

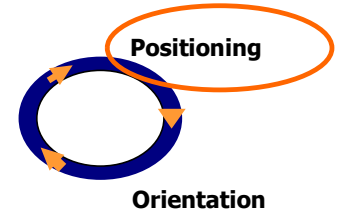
- Vendite ex-factory
 - In assoluto
 - Rispetto agli obiettivi
- Società specializzate (es. IMS)
 - Vendite
 - Prescrizioni (SPM)
- Dati macroeconomici
 - Osmed
 - Dati federfarma



Analisi - DATI QUANTITATIVI

DATI I.M.F. HEALTH

TATTICA
Mrkt Mix



DATI DI VENDITA

- **INTERNAZIONALI, NAZIONALI, LOCALI, PER MICROAREE**
- **SUDDIVISI IN UNITA'E VALORI PER MERCATI E CLASSI TERAPEUTICHE.**

- Elaborazione Classifiche aziende, prodotti, etc
- Elaborazione MS, trend, evoluzione

Dai dati per singola microarea si ricava l'indice di performance dell'I.S.F.

Questo è rappresentato da:
Q.M. I.S.F./Q.M. ITALIA X 100

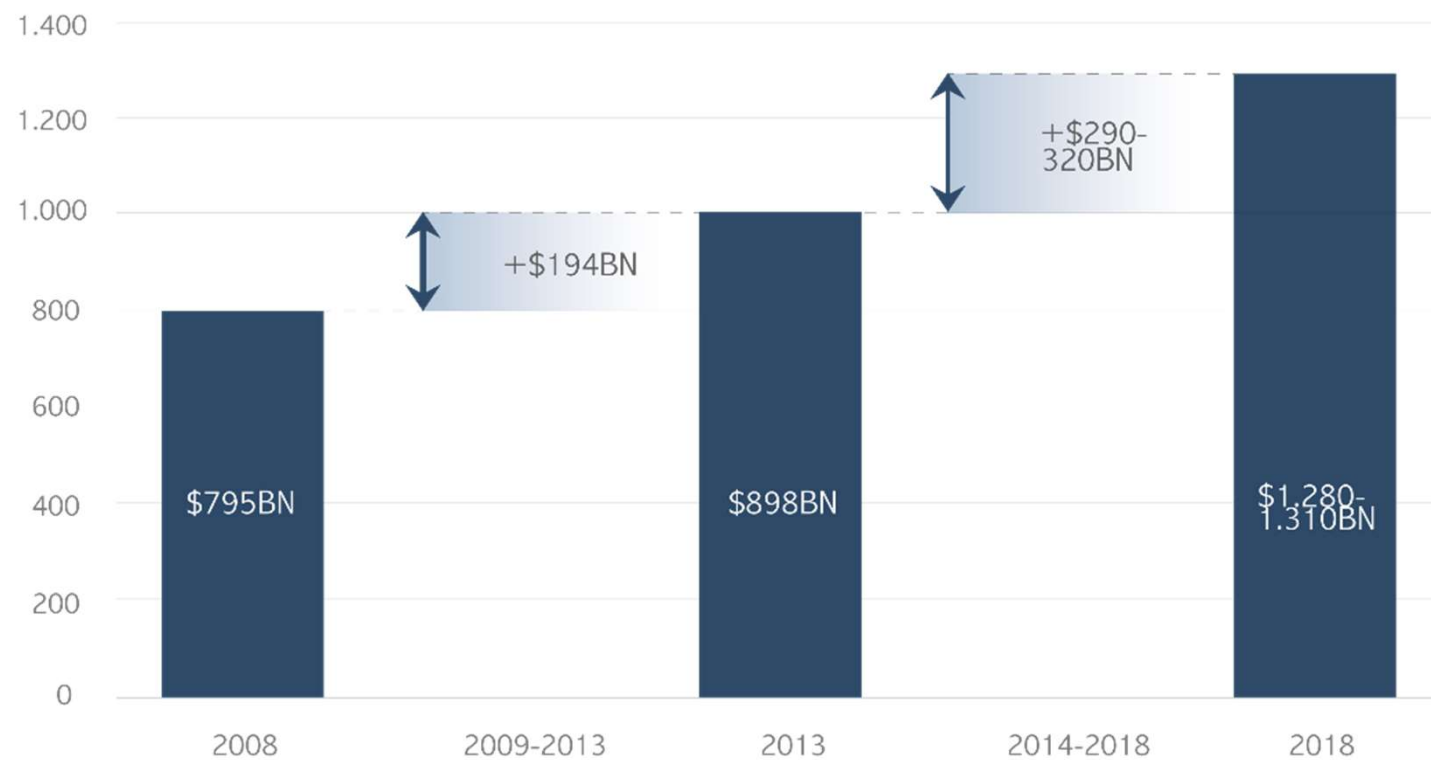


I dati che avremo sempre a disposizione

R.Adrower

SPESA GLOBALE PER FARMACI

\$BN; 2008-2018

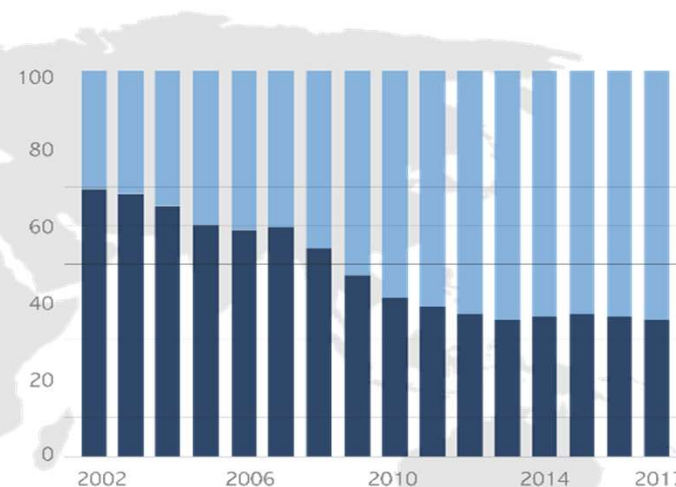


Source: LTEconomy, elaborazione su dati IMS (november 2014)

CRESCITA DEL FATTURATO 2007-2017 (Miliardi di dollari e crescita media annua)



QUOTA DI NUOVI INVESTIMENTI NEL L'INDUSTRIA FARMACEUTICA MONDIALE (% sul totale)



— ECONOMIE AVANZATE — BRIC E RESTO DEL MONDO

Lo spostamento della domanda mondiale determina la **rilocalizzazione** dell'industria a livello globale e fa crescere la concorrenza tra le Economie Avanzate per consolidare gli investimenti e attrarne di nuovi

L'ITALIA NELLA CLASSIFICA INTERNAZIONALE DEL MERCATO FARMACEUTICO

Rank	2005
1	USA
2	Giappone
3	Germania
4	Francia
5	Italia
6	Regno Unito
7	Spagna
8	Canada
9	Cina
10	Messico

Rank	2014
1	USA
2	Giappone
3	Cina
4	Germania
5	Francia
6	Italia
7	Regno unito
8	Brasile
9	Spagna
10	Canada

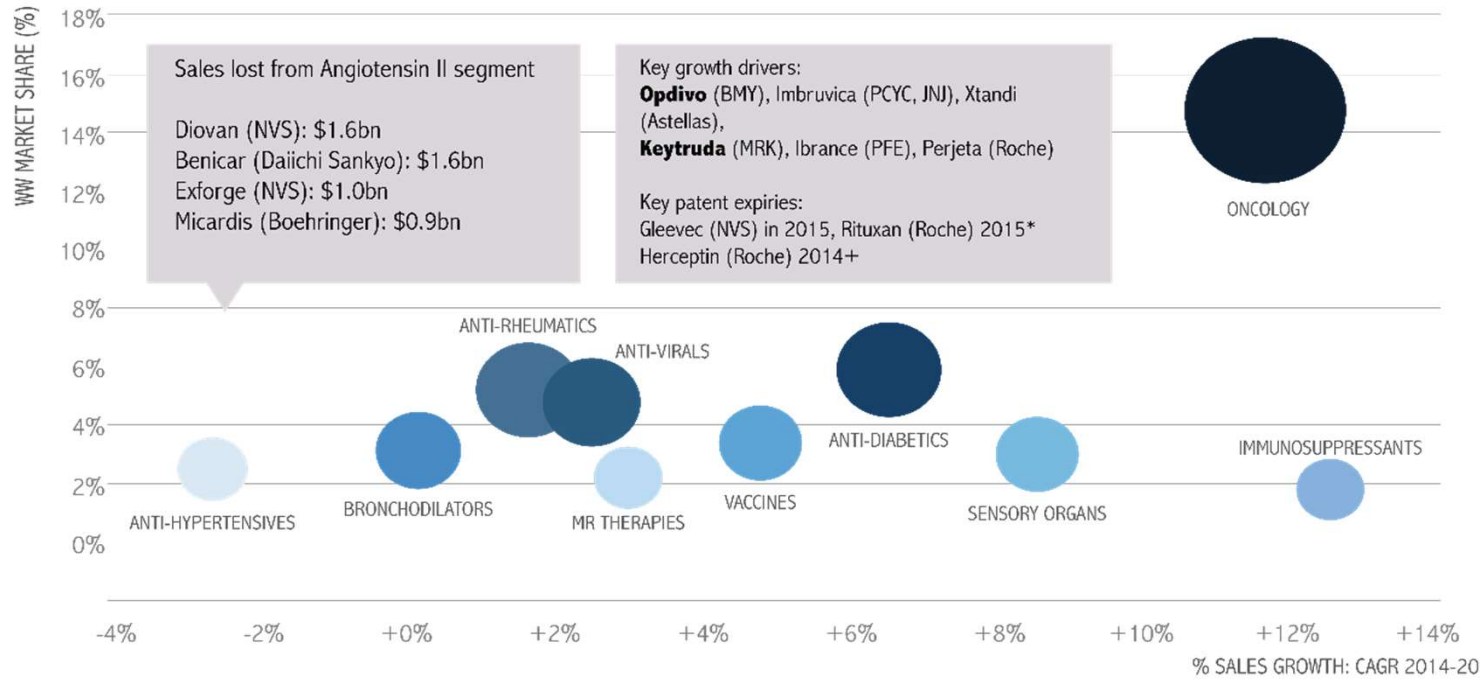
Rank	2018
1	USA
2	Cina
3	Giappone
4	Germania
5	Brasile
6	Francia
7	Regno unito
8	Italia
9	Canada
10	Russia

Crescita demografica e migliori condizioni economiche fanno crescere la [domanda di Salute nei Paesi emergenti](#).
Nelle economie avanzate il mercato rallenta per effetto di manovre di contenimento dei costi.

Source: farmindustria IMS



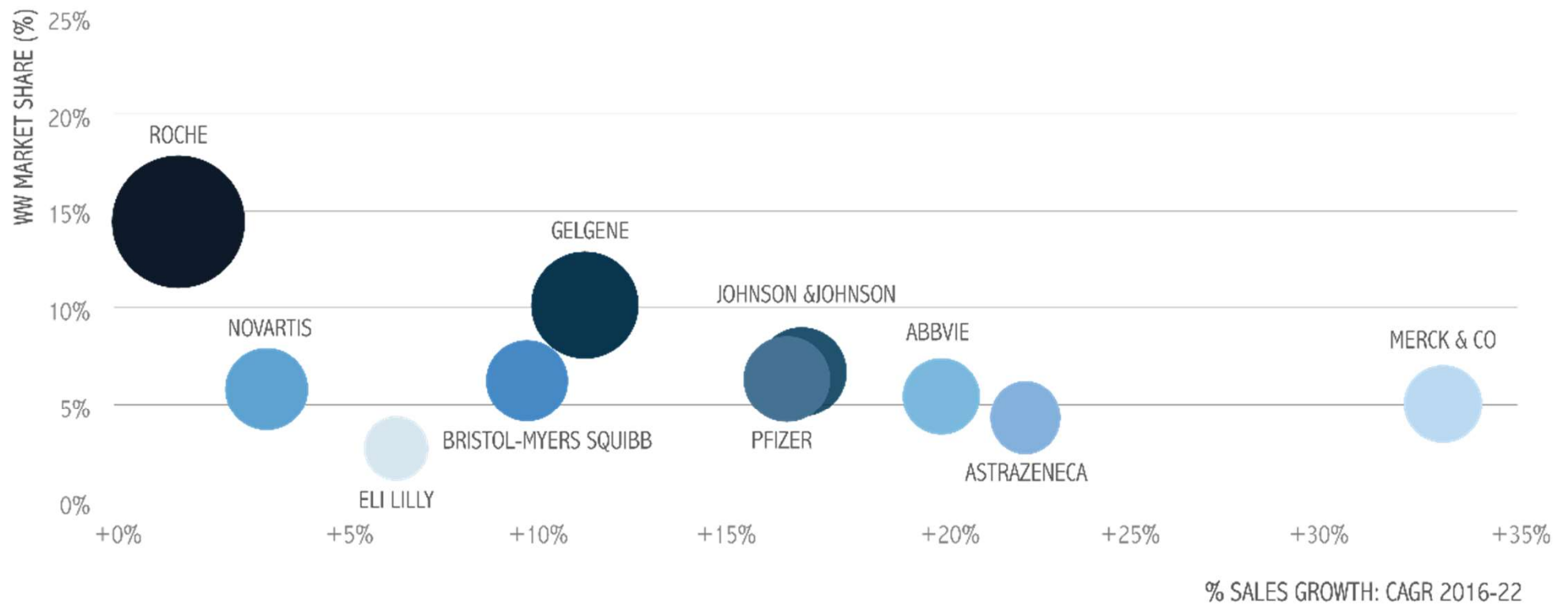
TOP 10 THERAPY AREAS IN 2020, MARKET SHARE & SALES GROWTH



Source: EvaluatePharma 22 may



WORLDWIDE SALES, MARKET SHARE & SALES GROWTH (2016-2022)



Source: Evaluate, may 2017

ASTRAZENECA: DURVALUMAB

BISTROL-MYERS SQUIBB: YERVOY

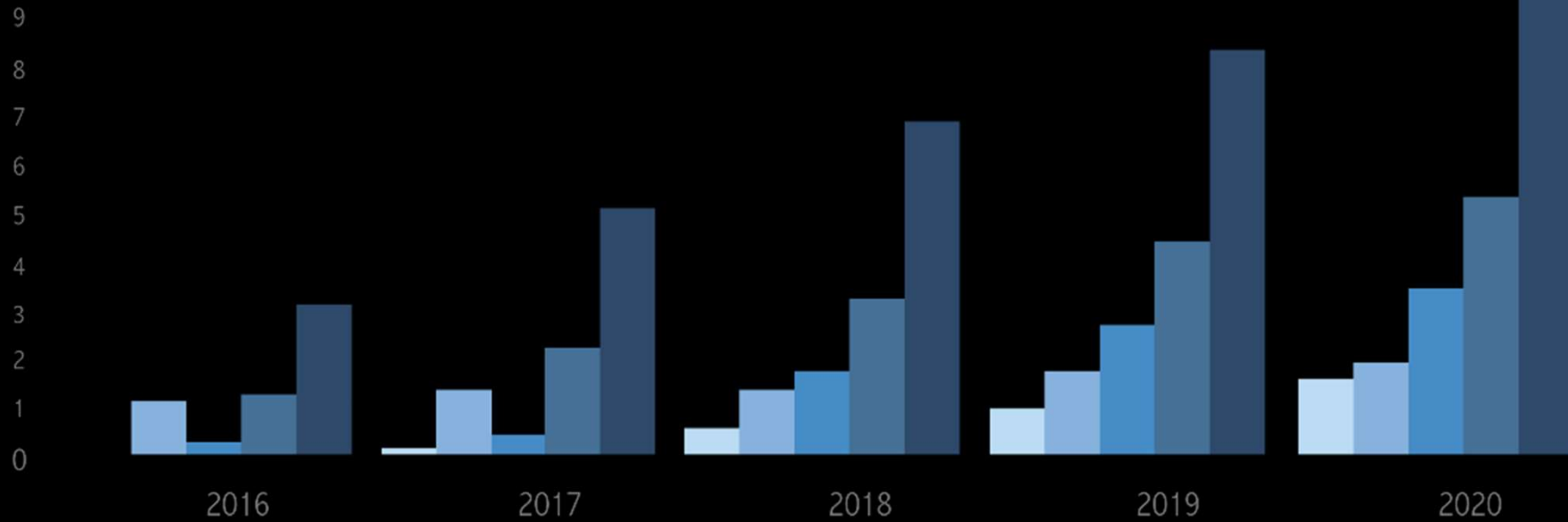
ROCHE: TECENTRIQ

BISTROL-MYERS SQUIBB: OPVIDO

MERCK: KEYTRUDA

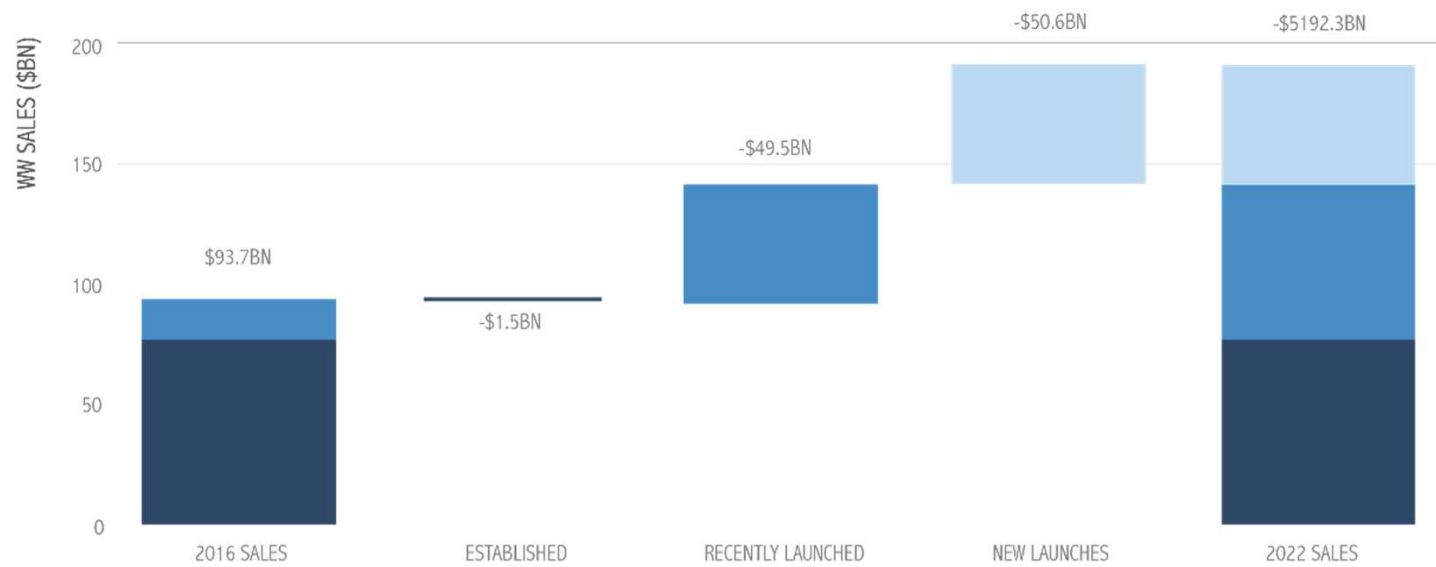
\$ 10 billion

Materiali utilizzabili citando l'autore Roberto Adrower



Source: Bloomberg

PRODUCT SEGMENT CONTRIBUTION TO SALES IN 2022



Source: Evaluate, may 2017

Note: Established: launched prior to 2014 Recently launched: 2014 to 2016 inclusive New launches: launch expected after 2016 2016 and 2022 sales reflect the sum of these

SPESA SANITARIA 2015-2018				
Fonte: Def 2019				
	2015	2016	2017	2018
Spesa Sanitaria	111.224	112.504	113.611	115.410
In % di PIL	6,7%	6,7%	6,6%	6,6%
Tasso di variazione in %		1,2%	1,0%	1,6%

PREVISIONE DELLA SPESA SANITARIA 2019-2022				
Fonte: Def 2019				
	2019	2020	2021	2022
Spesa sanitaria	118.061	119.953	121.358	123.052
In % di PIL	6,6%	6,6%	6,5%	6,4%
Tasso di variazione in %	2,3%	1,6%	1,2%	1,4%

PRODOTTO X

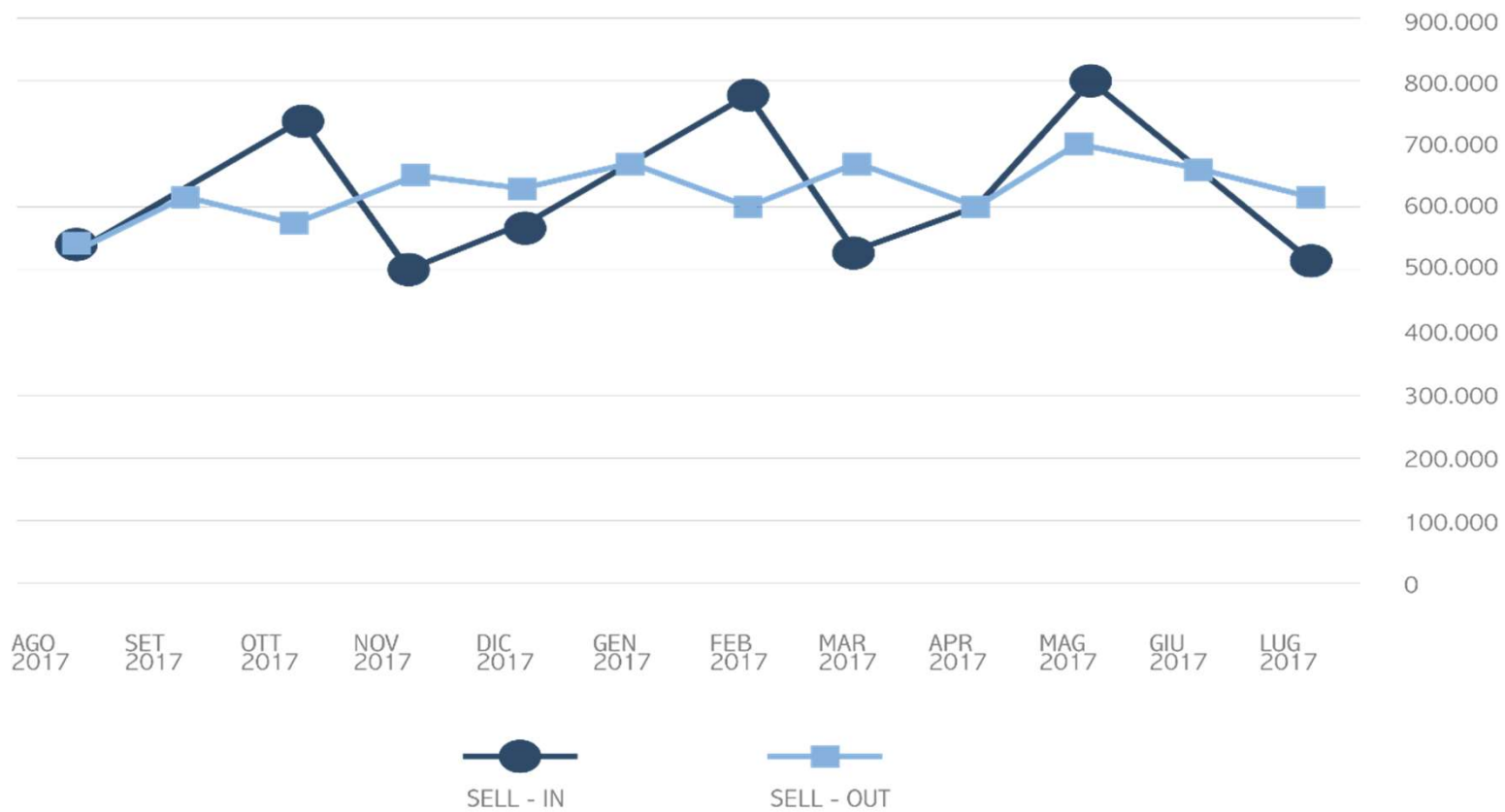
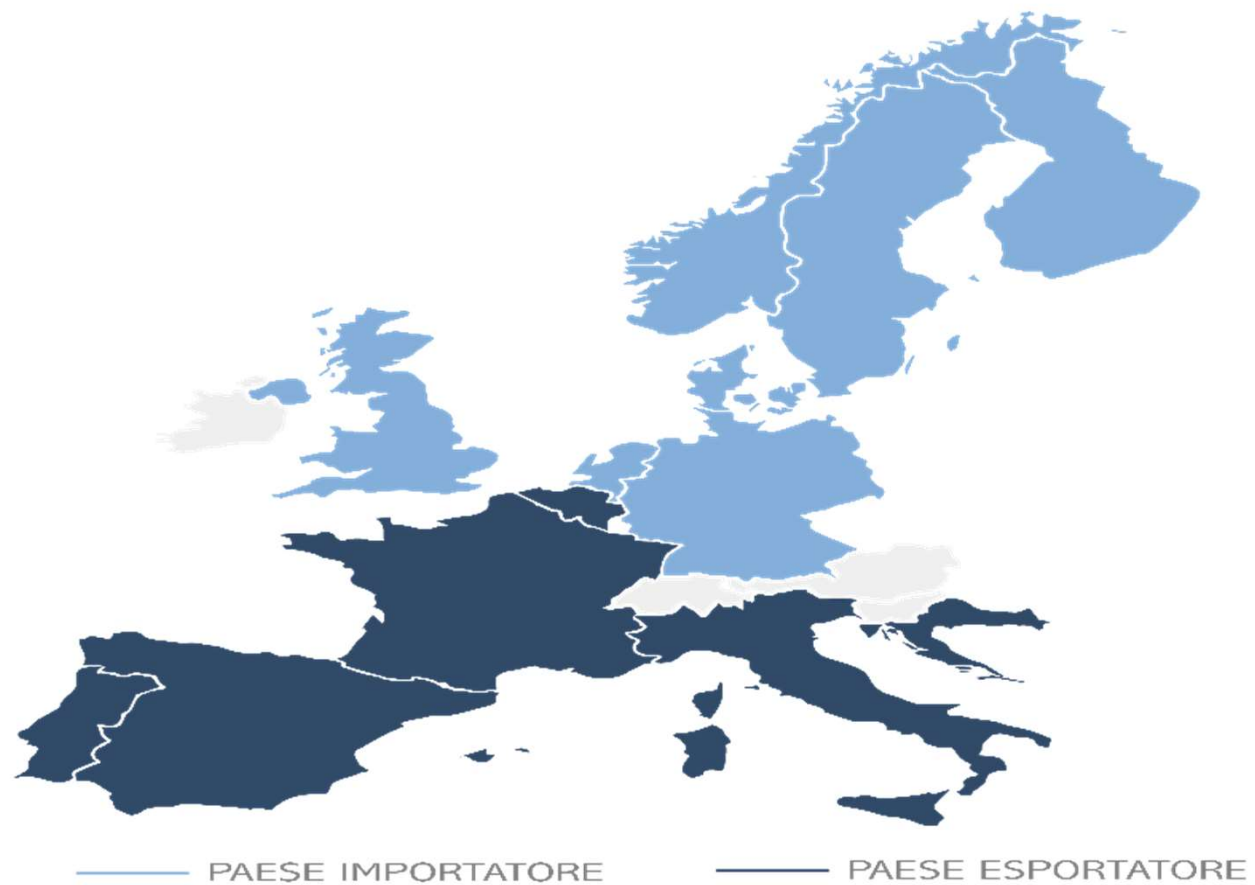
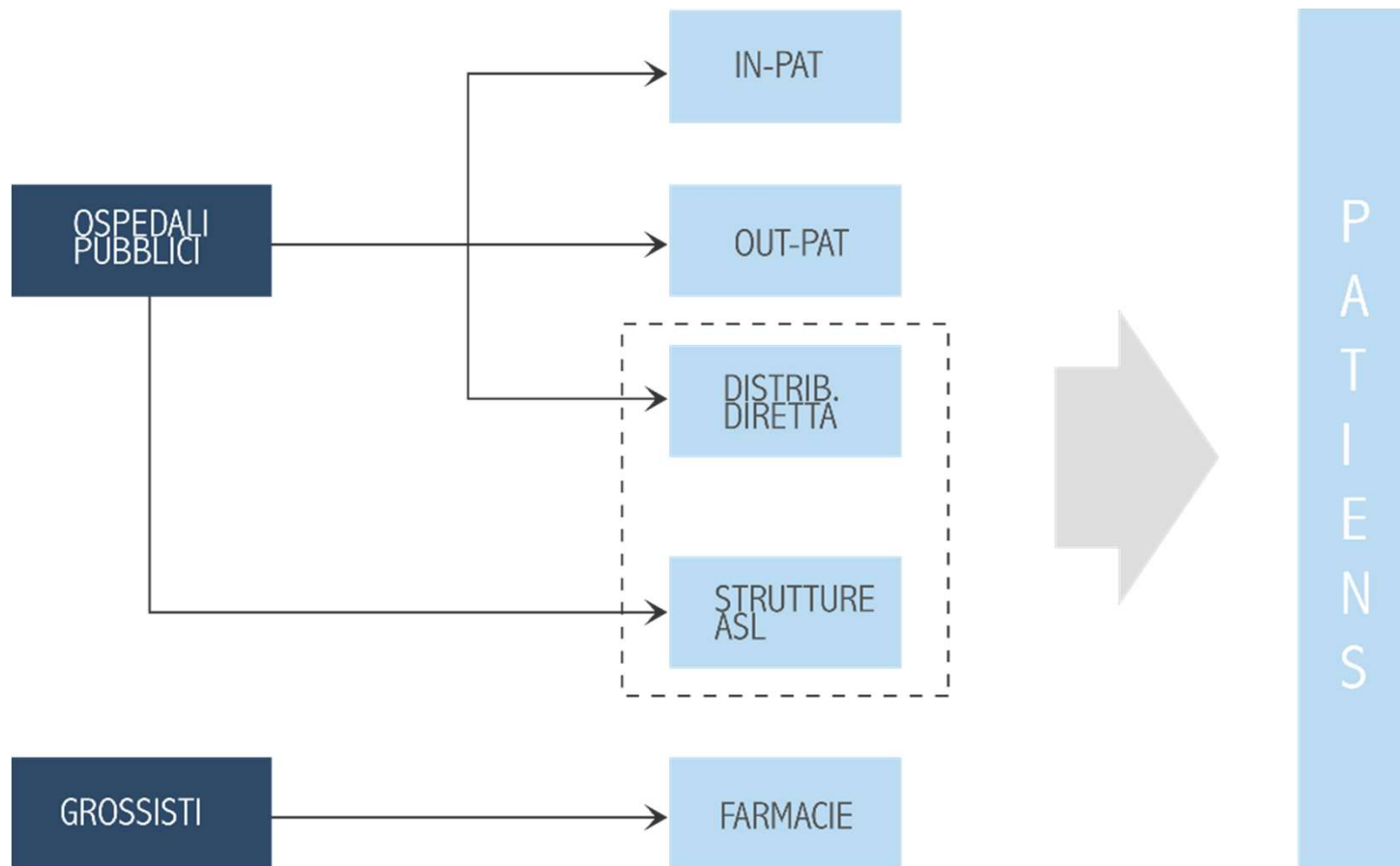


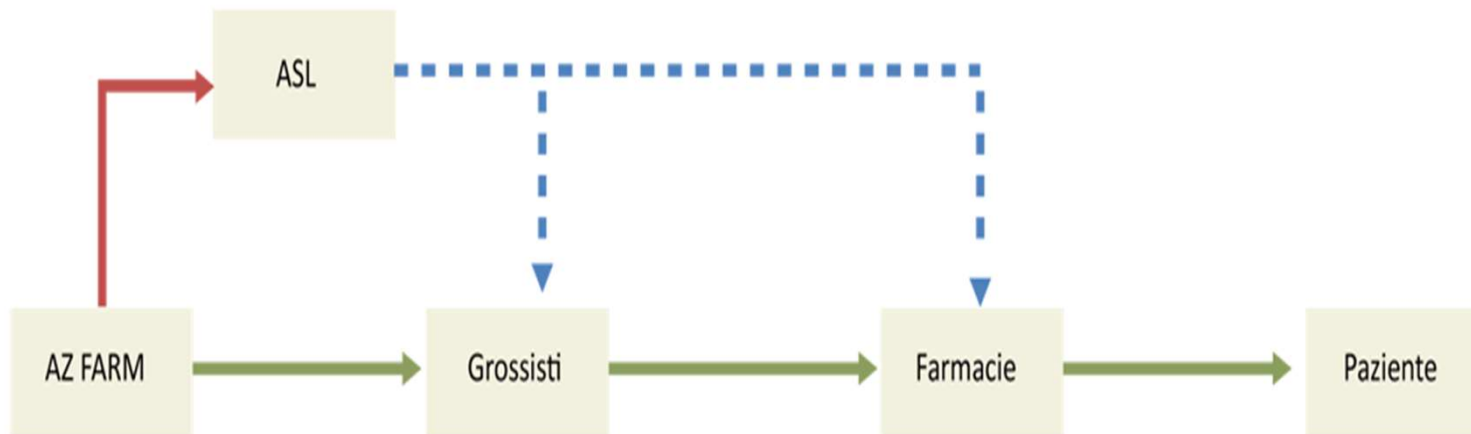
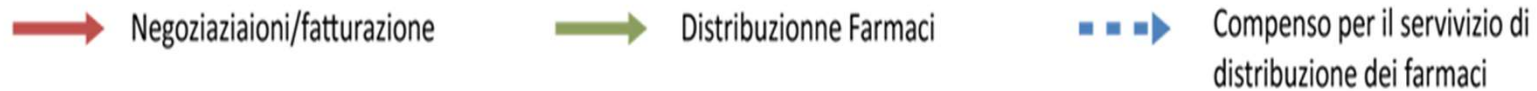
FIGURA 2: MAPPA DEI PRINCIPALI PAESI PER IL PARALLEL TRADE DEI FARMACI



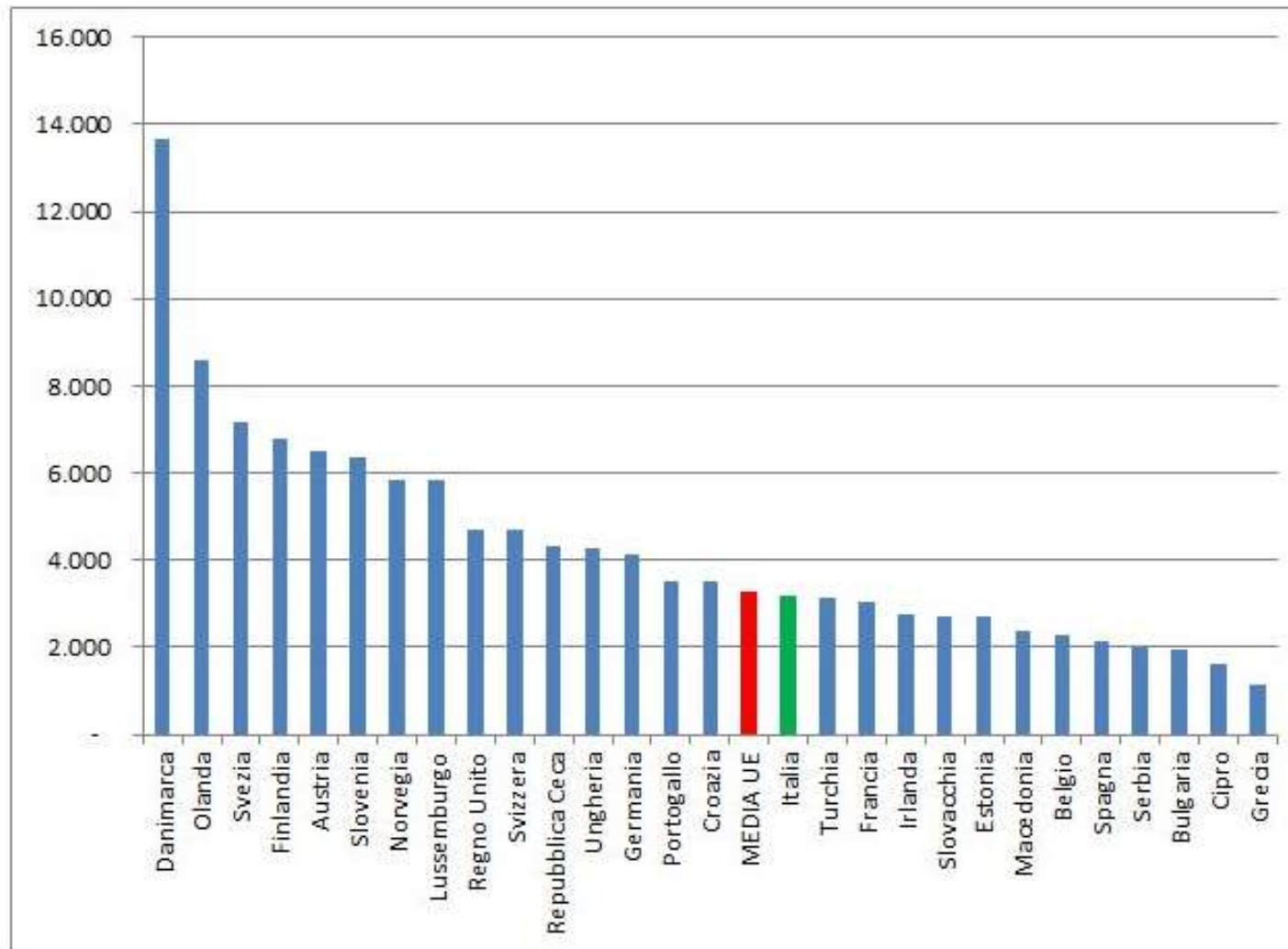
Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



ATTORI E FLUSSI INTERESSATI NELLA DISTRIBUZIONE



Fonte: GPUE per il numero delle farmacie; Eurostat per il numero degli abitanti



Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

DISTRIBUZIONE PER CONTO

Andamento della spesa DPC negli anni 2012 e 2013

Geografia	SPESA* 2012	SPESA* 2013	Diff % vs 2012
ITALIA	1.056.723.073	1.196.520.149	13,2%
BASILICATA	16.829.651	17.283.323	2,7%
CALABRIA	60.960.830	75.607.232	24,0%
CAMPANIA	97.646.843	123.220.855	26,2%
EMILIA ROMAGNA	31.979.600	38.221.702	19,5%
FRIULI V. G.	9.249.601	19.191.622	107,5%
LAZIO	212.588.876	220.390.088	3,7%
LIGURIA	28.001.248	28.291.960	1,0%
LOMBARDIA	110.435.127	132.779.301	20,2%
MARCHE	45.264.654	45.806.340	1,2%
MOLISE	11.724.231	12.476.301	6,4%
PIEMONTE	88.976.262	98.232.732	10,4%
PUGLIA	117.851.141	128.059.052	8,7%
SARDEGNA	21.402.564	38.452.688	79,7%
TOSCANA	109.150.426	114.563.505	5,0%
TRENTINO A. A.	15.205.850	17.564.148	15,5%
UMBRIA	19.904.462	21.830.683	9,7%
VALLE D'AOSTA	2.583.970	2.759.524	6,8%
VENETO	56.967.741	61.789.096	8,5%

*Il consumo dei farmaci in DPC è valorizzato al 50% del prezzo al pubblico senza IVA o al prezzo concordato pubblicato in Gazzetta Ufficiale per i farmaci classificati come Mutuo riconoscimento.

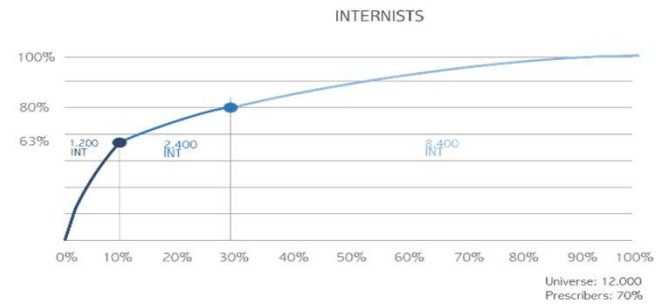
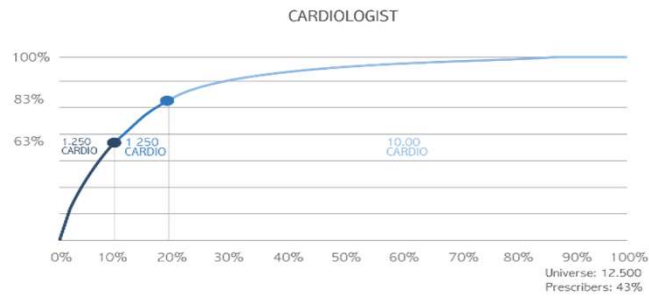
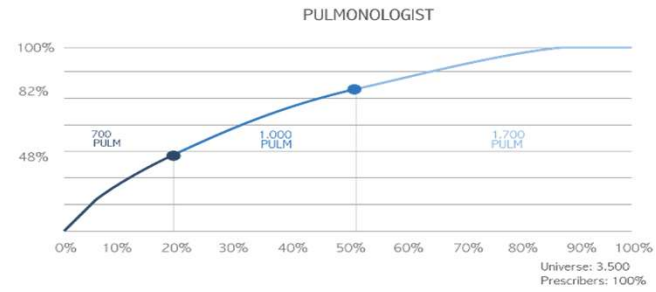
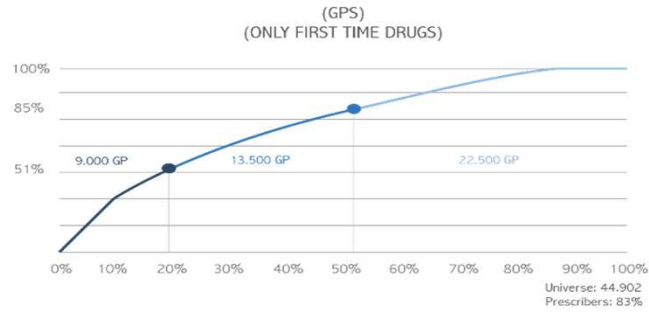
NB: Nei valori non sono compresi i costi logistici relativi alla distribuzione (grossisti e farmacie)

imshealth

AUTONOMOUS PRESCRIPTIONS CONCENTRATION CURVES ALL MARKET

X AXIS: CUMULATIVE PERCENTAGE OF PHYSICIANS


Y AXIS: CUMULATIVE PERCENTAGE OF PRESCRIPTIONS



CARDIOLOGIST CURVE IS THE MOST CONCENTRATED: 2,500 CONSTITUTE MORE THAN 80% OF MARKET POTENTIAL

Source: Pulmonologist, Cradiologist and GP Sample of physicians; Benchmark for internists; MATH092013

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

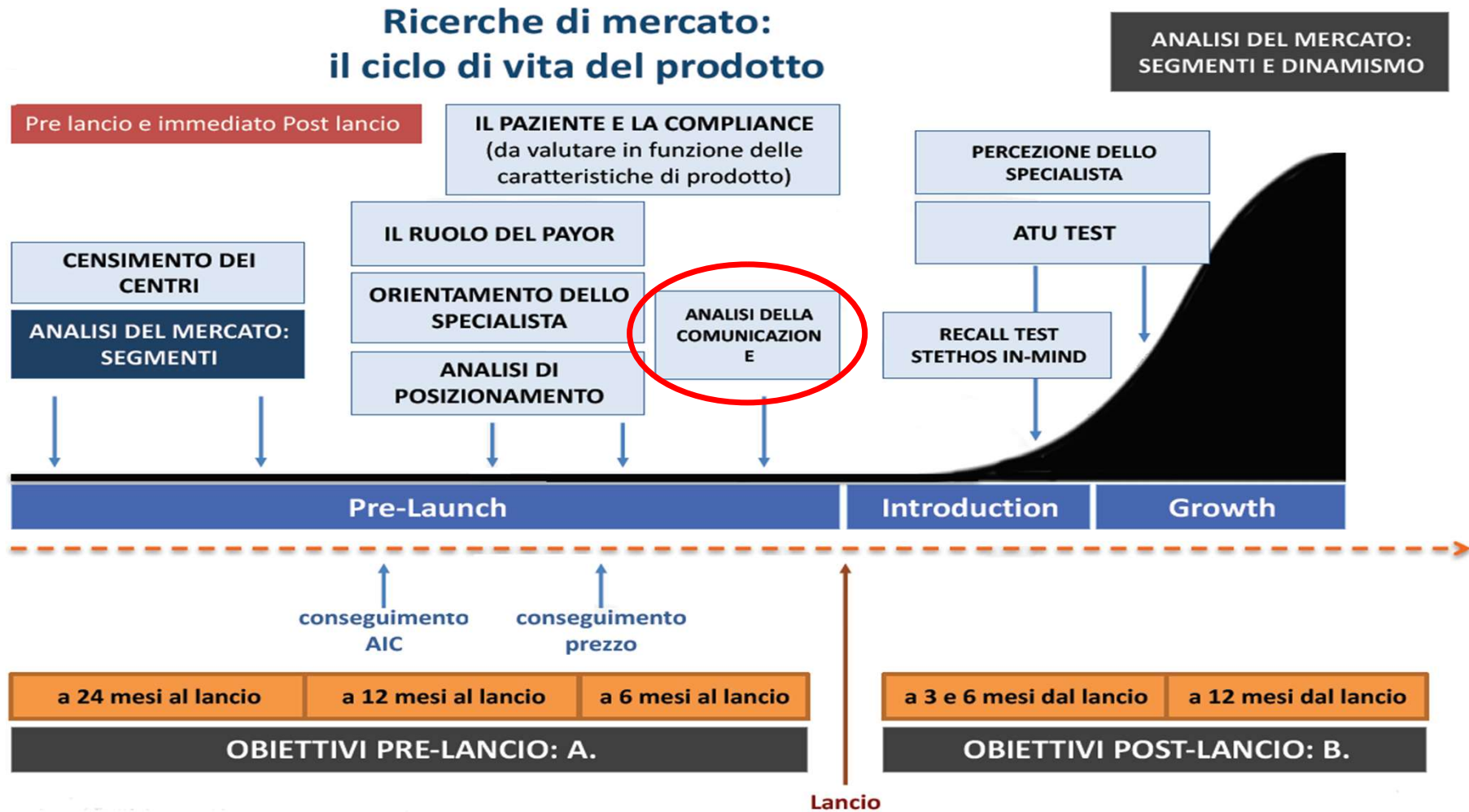


Quando è necessaria una Market Research ?

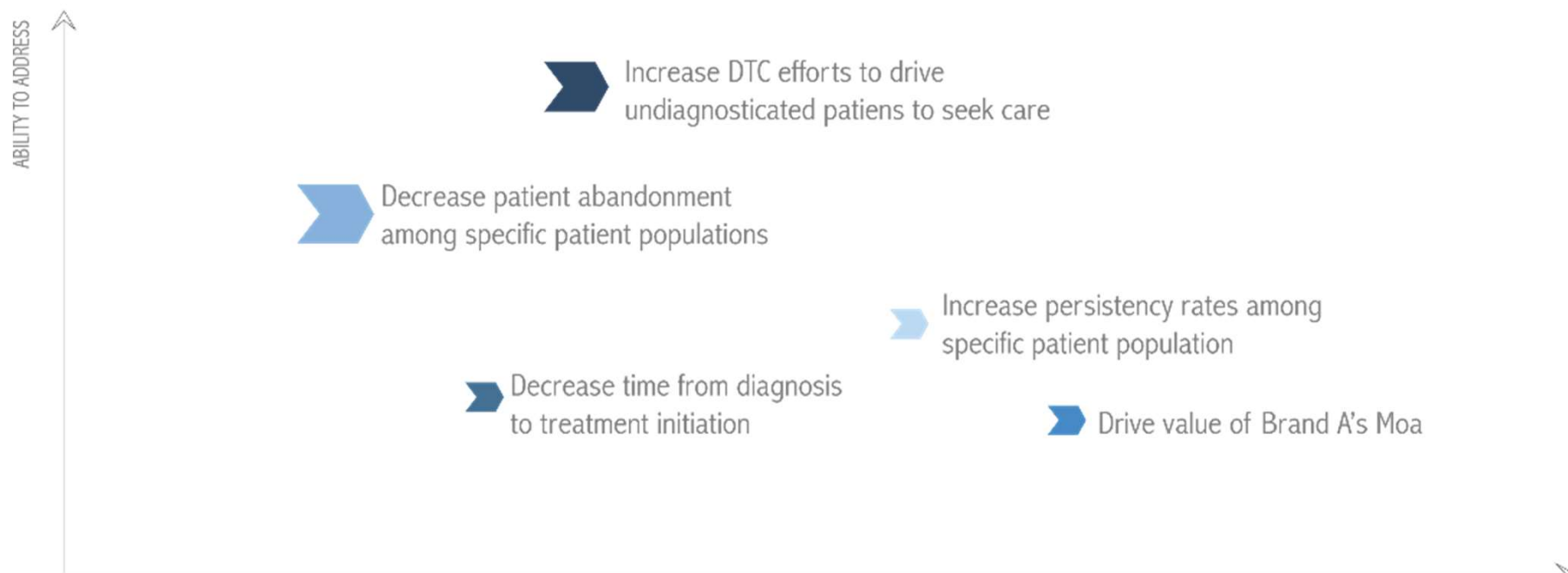
Roberto Adrower

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

QUANDO FARE UNA MARKET RESEARCH?

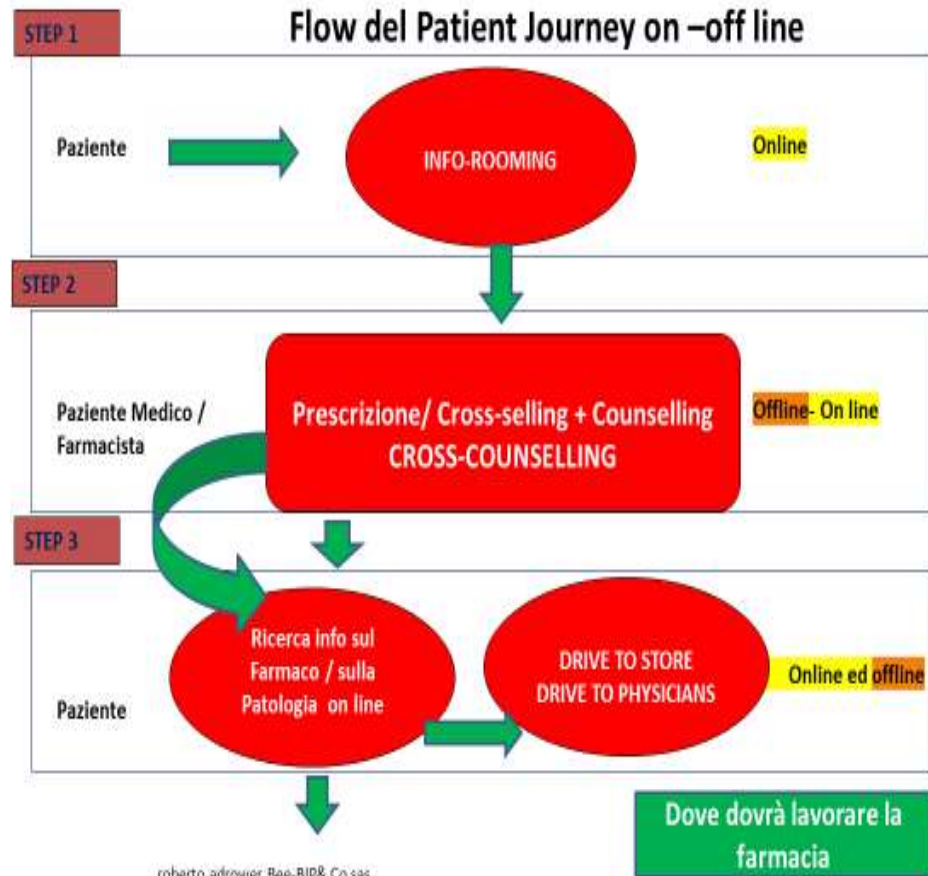


PRIORITIZATION OF OPPORTUNITIES

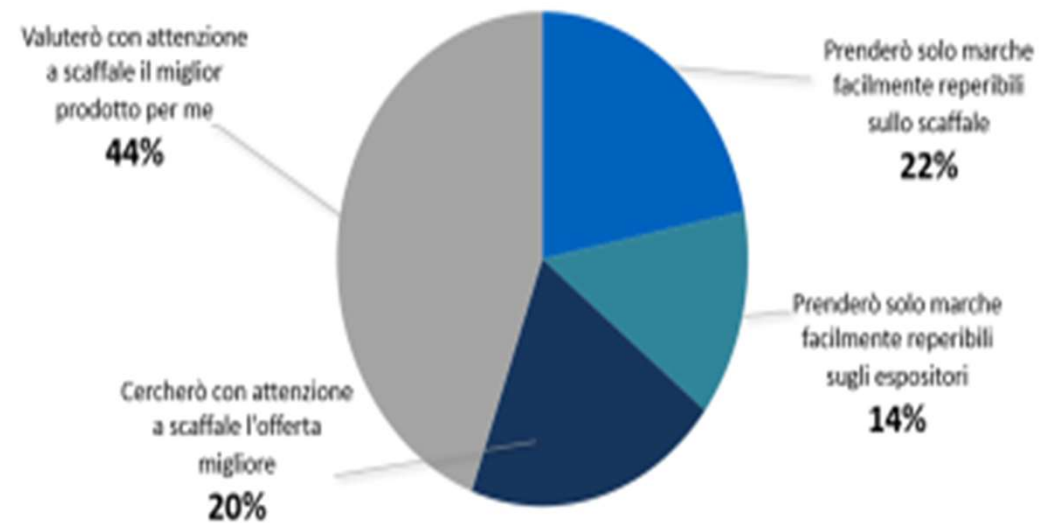


Farmacia Retail in tempi di pandemia : Cosa fare ?

Flow del Patient Journey on -off line



Come cambia il layout della farmacia



Fonte: TradeLab- Tracking Demand Side 2020

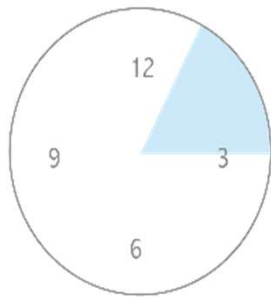
La comunicazione in farmacia ai tempi del Covid-19

Gestire il Customer Journey



Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

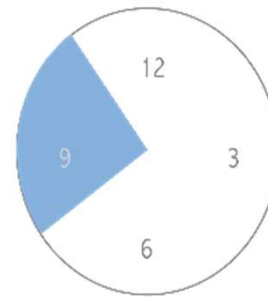
FACEBOOK



THURSDAY & FRIDAY
1:00-3:00 PM

The closer the weekend comes about the more people check out and check in to Facebook

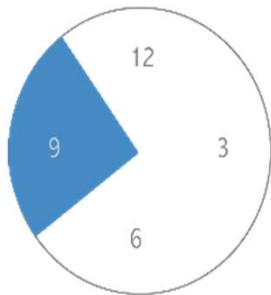
LINKEDIN



THUESDAY -WEDNESDAY- THURSDAY
7-8 AM; 12PM; 5-6 PM

People have more time to check their professional account before and after work as well as their break

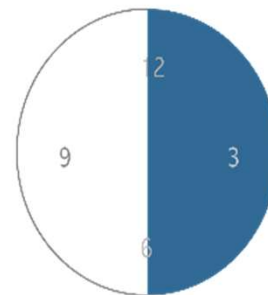
INSTAGRAM



EVERY DAY
8:00 AM AND 5:00 PM

People check their Instagram during their commute to work and to relax after work

TWITTER



MONDAY-FRIDAY
12:00-6:00 PM

click through rates and higher during weekdays and work hours

LA MAPPA DELLA CUSTOMER EXPERIENCE ATTRAVERSO FACEBOOK



Source: Bee-Bip&Co Sas Roberto Adrower-Retail Institute

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

ESEMPIO CONCEPT TEST PRODOTTO X

FLUSSO: 1° PUNTO

Importanza del trattamento continuativo con ASA nella prevenzione CV

CONCEPT #1

Il trattamento continuativo con ASA previene mortalità e morbidità CV

Esempio concept test prodotto X

Concept # 1 Il trattamento continuativo con ASA previene mortalità e morbidità CV

- La terapia antiaggregante riduce il rischio di eventi vascolari gravi (infarto miocardico (IM) non fatale, ictus non fatale, mortalità vascolare) di circa **1/4 (25%)** non solo tra i pazienti con angina instabile, IM, ictus e TIA ma anche nei pazienti con coronaropatia, arteriopatia periferica e in quelli ad alto rischio di embolismo ⁽¹⁾
- Nelle terapie di lungo termine, l'ASA a basse dosi è un regime antiaggregante efficace ⁽¹⁾

Prevenzione degli eventi vascolari gravi della terapia antiaggregante nei pazienti ad alto rischio ⁽¹⁾

Infarto miocardico e ictus non fatali e mortalità vascolare

Infarto miocardico non fatale **1/3** Ictus non fatale **1/4** Mortalità vascolare **1/6**

Elaborazione grafica da testo, Rif. 1.

Metanalisi di 287 studi clinici in 135.000 pazienti in terapia antiaggregante vs controllo e in 77.000 in cui si confrontavano regimi antiaggreganti differenti.

1. Antithrombotic Trialists' Collaboration. BMJ. 2002;324:71-86.

Concept # 1 Il trattamento continuativo con ASA previene mortalità e morbidità CV

- Nella prevenzione secondaria delle malattie vascolari, la terapia antiaggregante con ASA a basse dosi determina una superiore riduzione assoluta degli eventi vascolari gravi ⁽¹⁾
- La terapia di lungo termine con ASA a basse dosi ha effetti significativi sugli eventi fatali e non fatali nei pazienti con progressiva malattia vascolare di natura occlusiva ⁽¹⁾

Eventi vascolari gravi (infarto miocardico non fatale, ictus non fatale e mortalità vascolare) in prevenzione secondaria ⁽¹⁾

Incidenza annua

Treatment	Annual Incidence (%)
Placebo	8,2*
ASA basse dosi	6,7* p<0,0001

riduzione di 1/5 dell'ictus totale ⁽¹⁾ **20%** p=0,002 vs placebo

riduzione di 1/5 degli eventi coronarici ⁽¹⁾ **20%** p=0,0001 vs placebo

riduzione del 10% della mortalità totale ⁽¹⁾ **10%** p=0,02 vs placebo

Elaborazione grafica da testo, Rif. 1.

Metanalisi di 16 studi clinici in prevenzione secondaria in 17.000 pazienti con progressiva infarto miocardico, ictus o TIA e che sviluppavano, complessivamente, 3,306 eventi vascolari.

1. Antithrombotic Trialists' Collaboration. Lancet. 2009;373:1849-60.

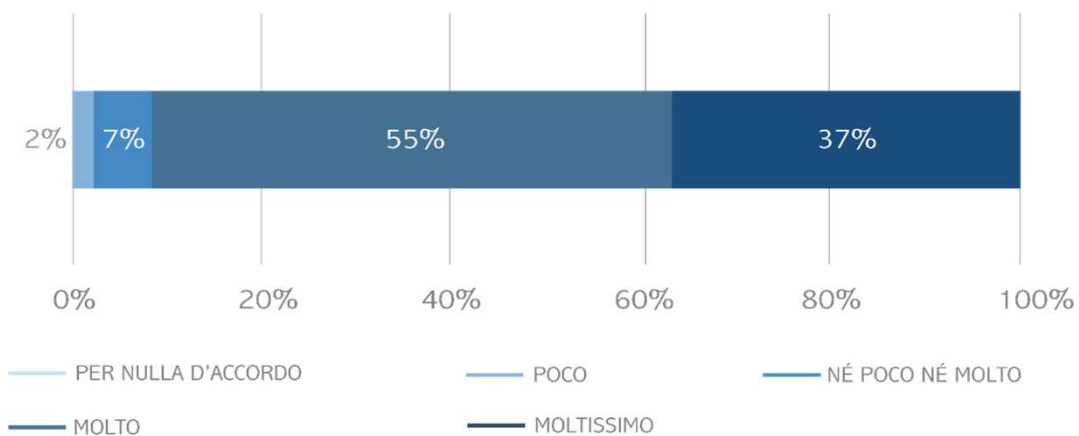
RISULTATI CONCEPT TEST PRODOTTO X

FLUSSO: 1° PUNTO

Importanza del trattamento continuativo con ASA nella prevenzione CV

ADERENZA AI CONCETTI DELLO STORY FLOW

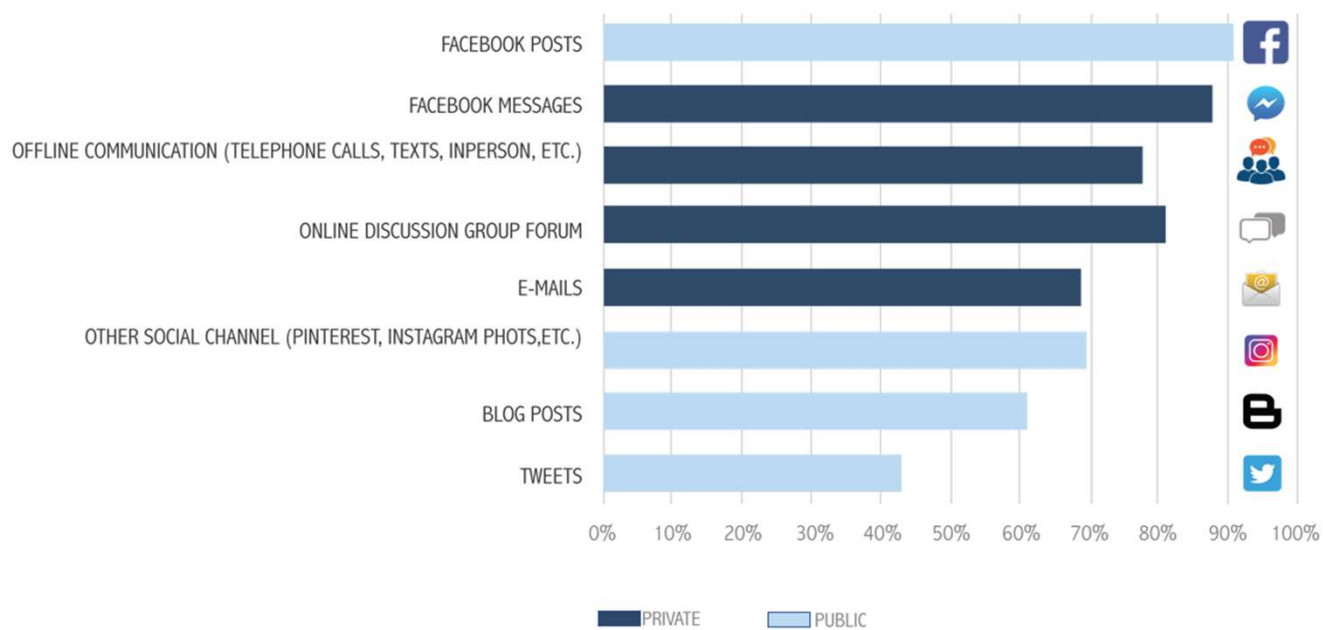
Valutare proposte alternative di sviluppo dei concept di comunicazione



Il trattamento continuativo con ASA previene mortalità e morbilità cardiovascolare

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

RHEUMATOID ARTHRITIS

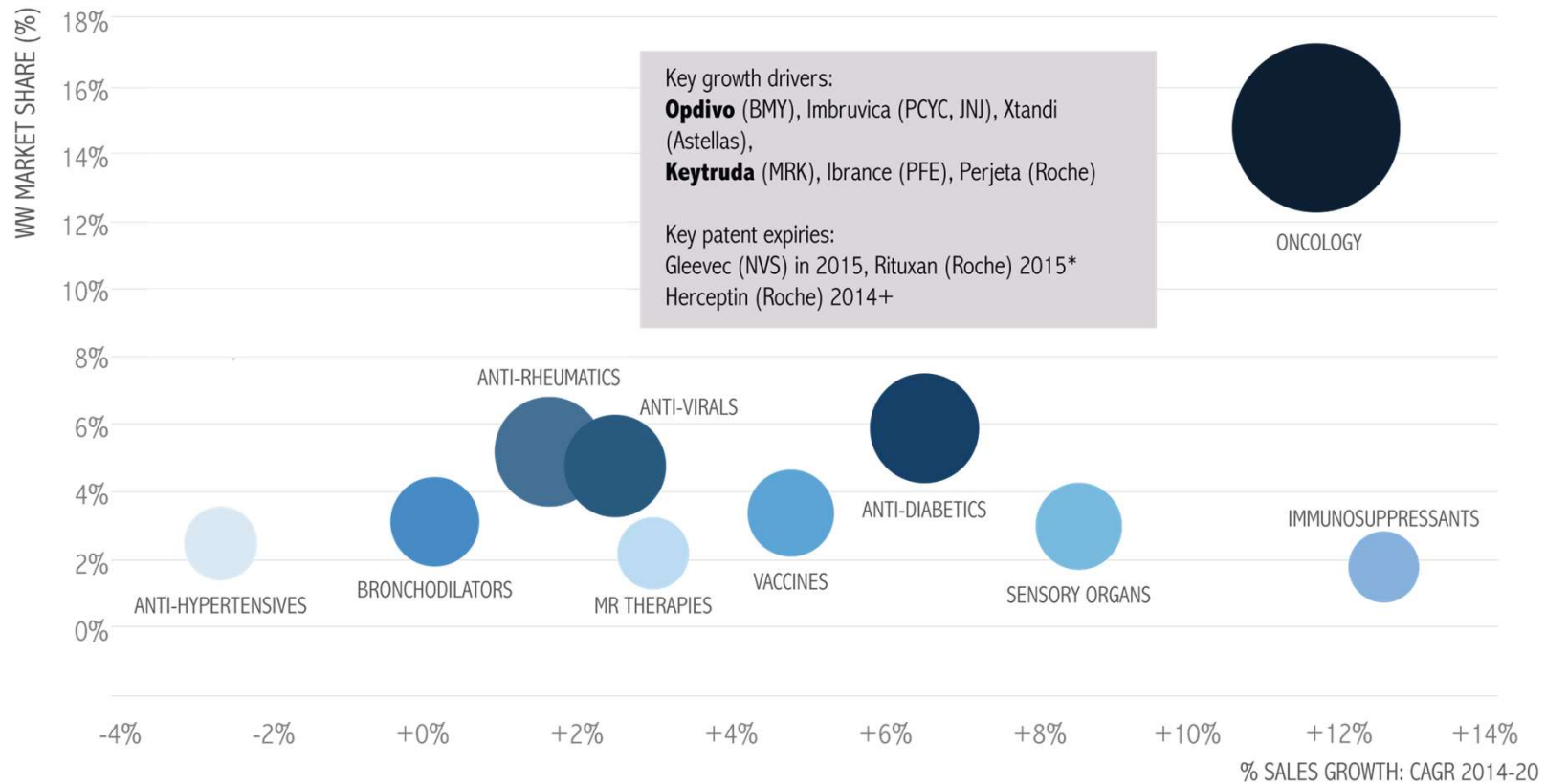


Source: WEGOHEALTH

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

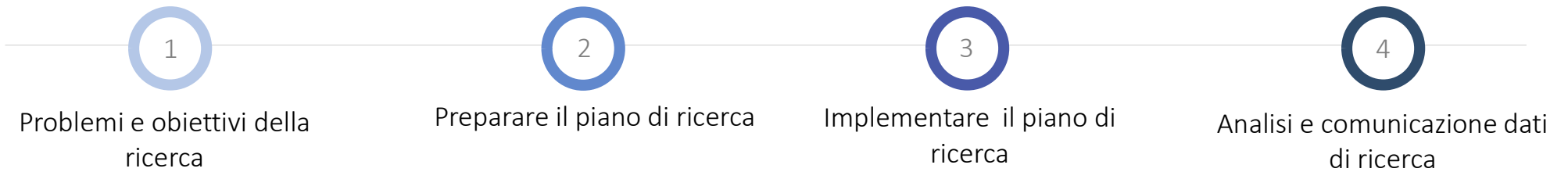
MARKET SHARE E SALES GROWTH

Top 10 aree terapeutiche nel 2020, market share e sales growth



Source: EvaluatePharma 22 may

IL PROCESSO DI RICERCA



METODOLOGIE

QUALITATIVE

- Interviste face to face
- Focus group
- Gruppi di creatività → Gamification
- Discussioni web forum

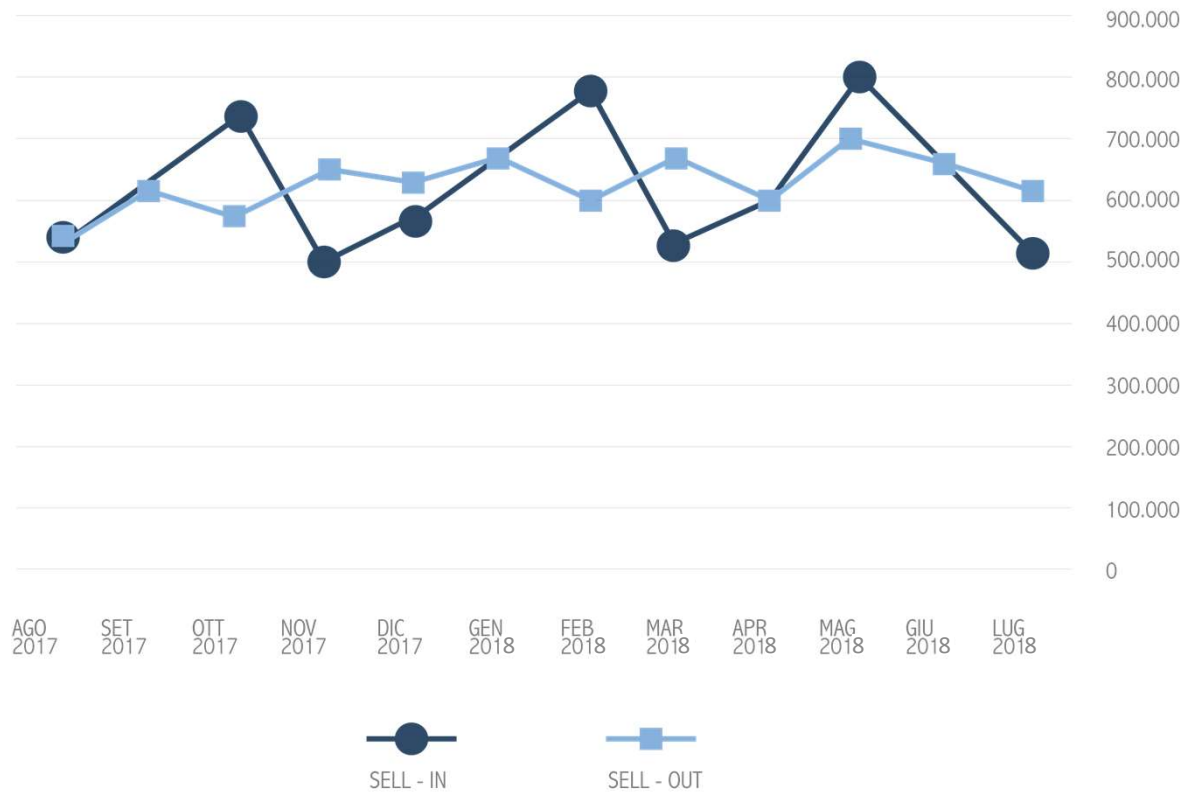
QUANTITATIVE

- CATI: Computer Assisted Telephonic Interview
- CAWI: Computer Assisted Web Interview
- Diari paziente
- ATU : Awareness, Trial & Usage

METODOLOGIE QUANTITATIVE

Analisi dei dati SELL-IN e SELL-OUT

PRODOTTO X

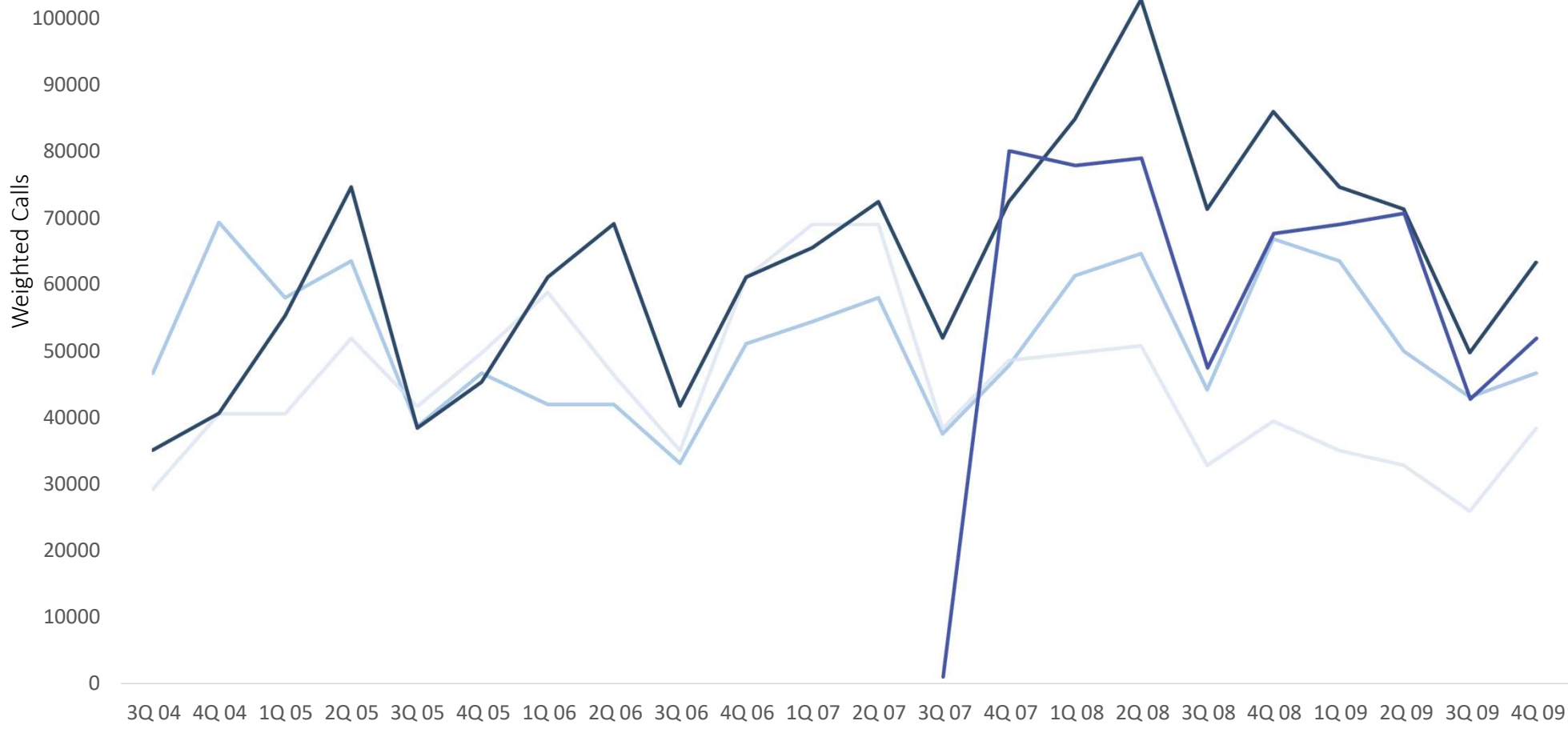


PRINCIPALI METRICHE UTILIZZATE PER LE ANALISI

- Unità (UN)
- CountingUnits (CU) $\rightarrow CU = \text{Unità} \times \text{CU Factor}$
- Standard Units(SU) $\rightarrow SU = \text{Unità} \times \text{CU Factor} / \text{SU Factor}$
- Valori

SHARE OF VOICE
Promozione competitiva in un'area/classe terapeutica

SOV RESPIRATORIO



Source: IQVIA

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower ■ ALIFLUS ■ FOSTER ■ SPIRIVA ■ SERETIDE

INDAGINE : LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

Analisi quantitativa di tipo CAWI tramite l'utilizzo di Google Forms

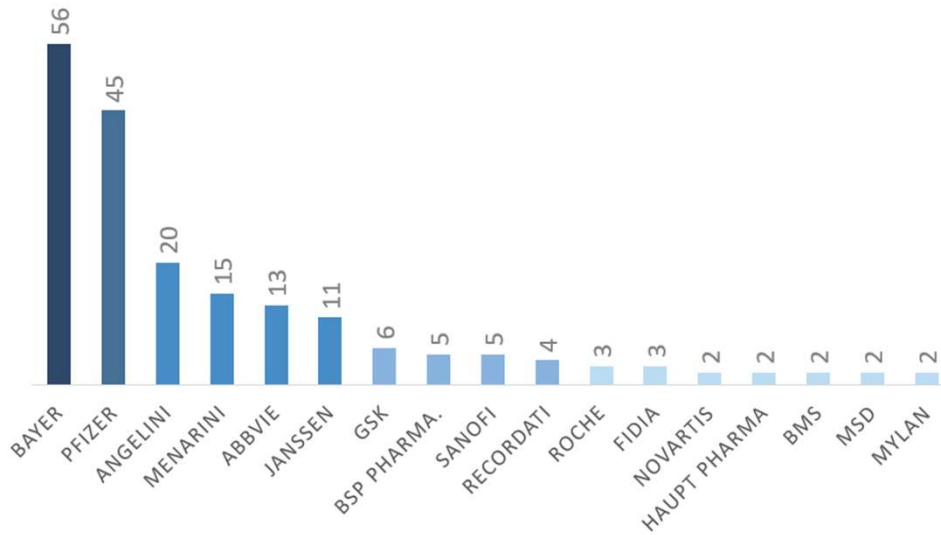
1. Campione di 200 intervistati
2. Timing di 2 settimane
3. Domande a risposta chiusa e semi-aperta

The screenshot shows a Google Forms interface for a survey titled "Ricerche di mercato tra format tradizionali e non". The survey is in edit mode, as indicated by the "INVIATA" button in the top right corner. The URL in the browser's address bar is https://docs.google.com/forms/d/1RruKHdKByQ6o1UbU7EKzK8_sa9H_ak7IocdCu9ehulw/edit. The survey has 200 responses, as shown in the "RISPOSTE" tab. The survey is titled "Ricerche di mercato tra format tradizionali e non" and is by "Di Mugno Gian Marco". The survey includes two multiple-choice questions: "Fascia di età" with options "Under 27" and "Over 27", and "Ha una formazione in ambito:" with options "Farmaceutico" and "Altro". The survey is titled "RICERCHE DI MERCATO" and has a "Descrizione (facoltativa)" field.

INDAGINE : LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

Brand equity e motivazione dell'intervistato

MI INDICHI IL NOME DELLA PRIMA AZIENDA FARMACEUTICA CHE LE VIENE IN MENTE



L'HA SCELTA PERCHÉ È UN AZIENDA:

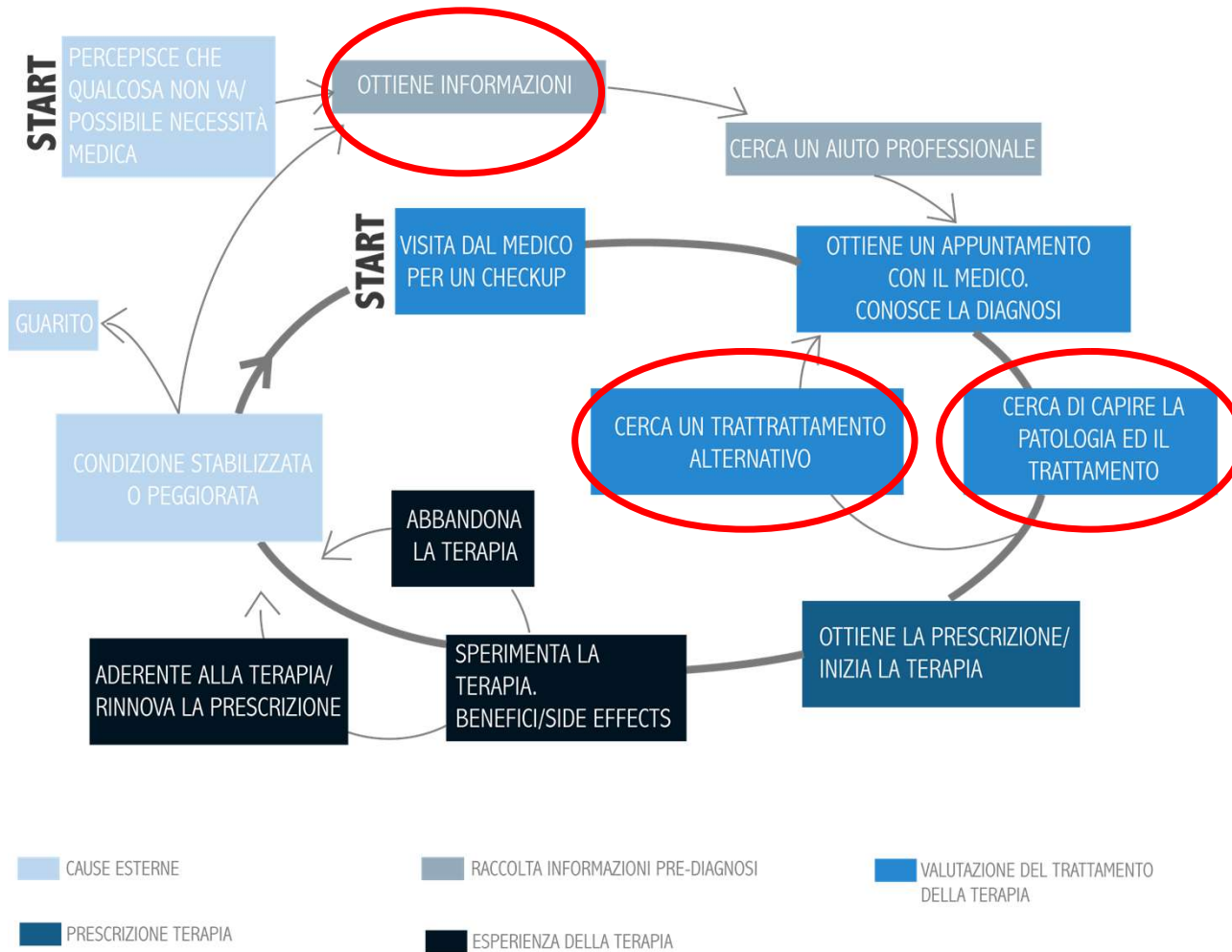
SCEGLIERE UNA O PIÙ MOTIVAZIONI



SOLO 14 PERSONE SU 200 L'HANNO SCELTA PERCHÉ ATTENTA AL PAZIENTE.

PATIENT USER JOURNEY

Punti decisionali del paziente lungo il CARE FLOW

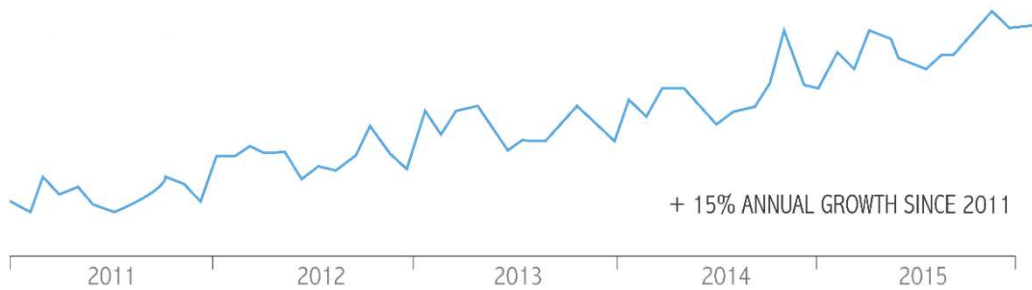


IL PHARMA, A CHE LIVELLO POTREBBE AGIRE PER SODDISFARE MAGGIORMENTE I BISOGNI DEL PAZIENTE?



INCREMENTO DELLA RICERCA DI INFORMAZIONI SULLA SALUTE SU GOOGLE (2011-2015)

Grazie alla diffusione di **strumenti elettronici** (laptop, tablet, cellulare) le persone hanno cambiato il loro **modo di documentarsi** sul mondo «**salute**».



1 RICERCA SU 20 SU GOOGLE È SULLA SALUTE



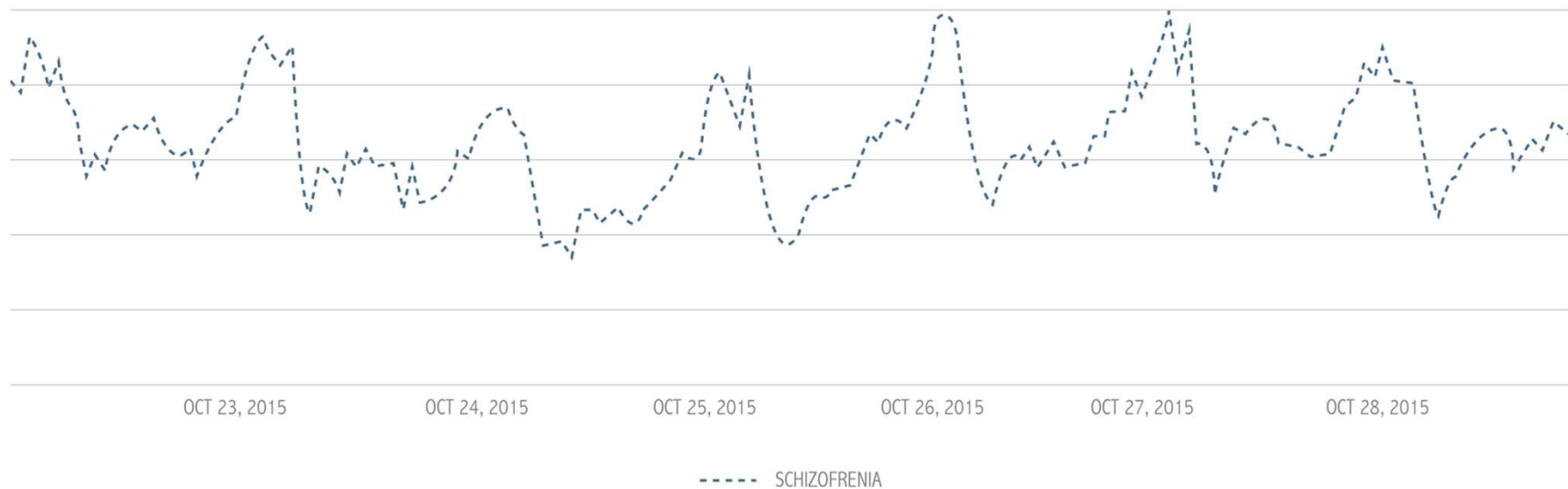
MOBILE IN AUMENTO: RICERCA DAL DESKTOP "ALLA MANO DEL PAZIENTE"

SE SIAMO SEMPRE CONNESSI, LASCIAMO TRACCE!

BIG DATA E GOOGLE ANALYTICS

«Il potere predittivo dei Big Data e la capacità di integrare dati clinici, con dati contestuali e reali, forniscono la possibilità per un'analisi di alta qualità, atta a produrre delle informazioni sanitarie affidabili e valide»

UE COMMISSION

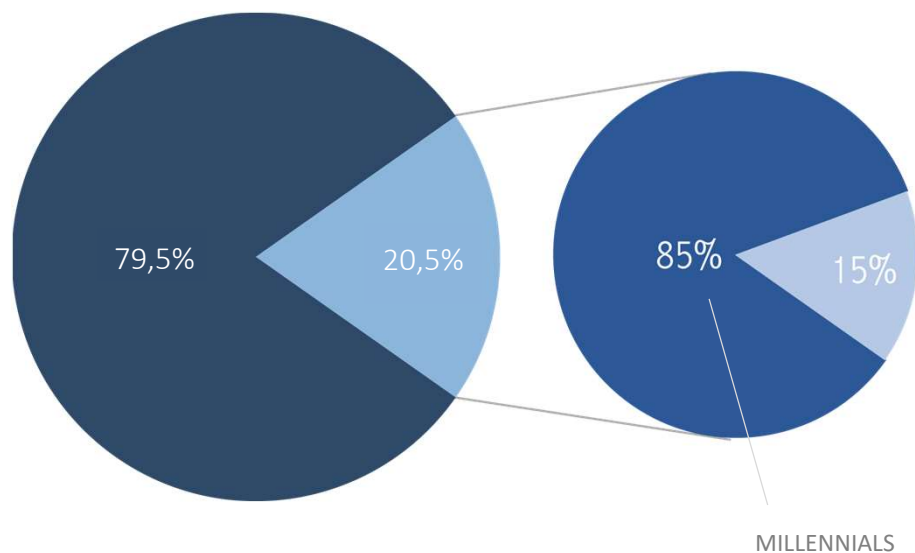


Source: Google analytics

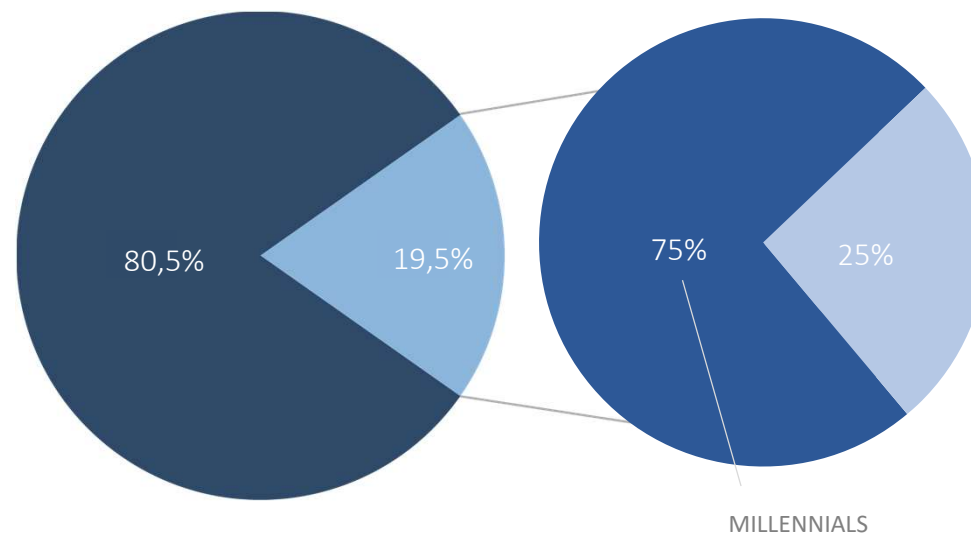
INDAGINE : LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

Metodi di ottenimento informazioni ed acquisto prodotti salutistici online

Ha mai **comprato** un prodotto salutistico affidandosi completamente **alle informazioni ottenute su internet?**



Ha mai **comprato** un prodotto salutistico affidandosi completamente ad **inserzioni e banner pubblicitari?**



■ NO
■ SI

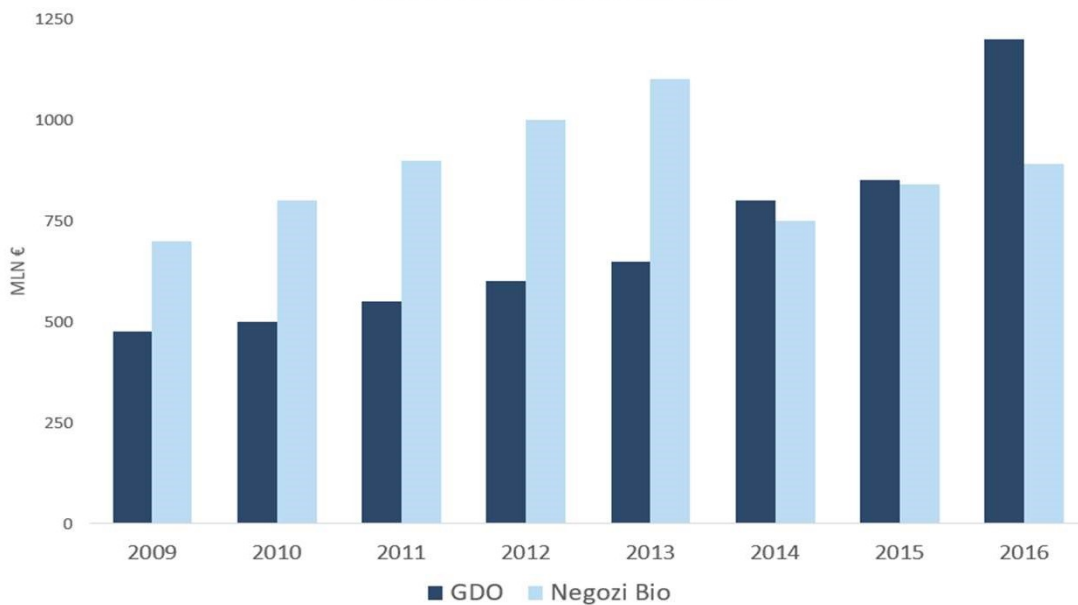
Campione = 200 intervistati

■ NO
■ SI

IL MODELLO BIO E LE CATENE DI FARMACIE

Nell'ambito delle opportunità che nascono dalle ricerche di mercato una attenzione diretta andrebbe valutata nell'utilizzare le farmacie, sempre più organizzate in catene

Vendite BIO tra GDO e negozi BIO



Source: Focus Bio Bank – Supermercati & Specializzati

1. Se per i negozi BIO il competitor principale è la GDO
2. Per le farmacie sarà AMAZON

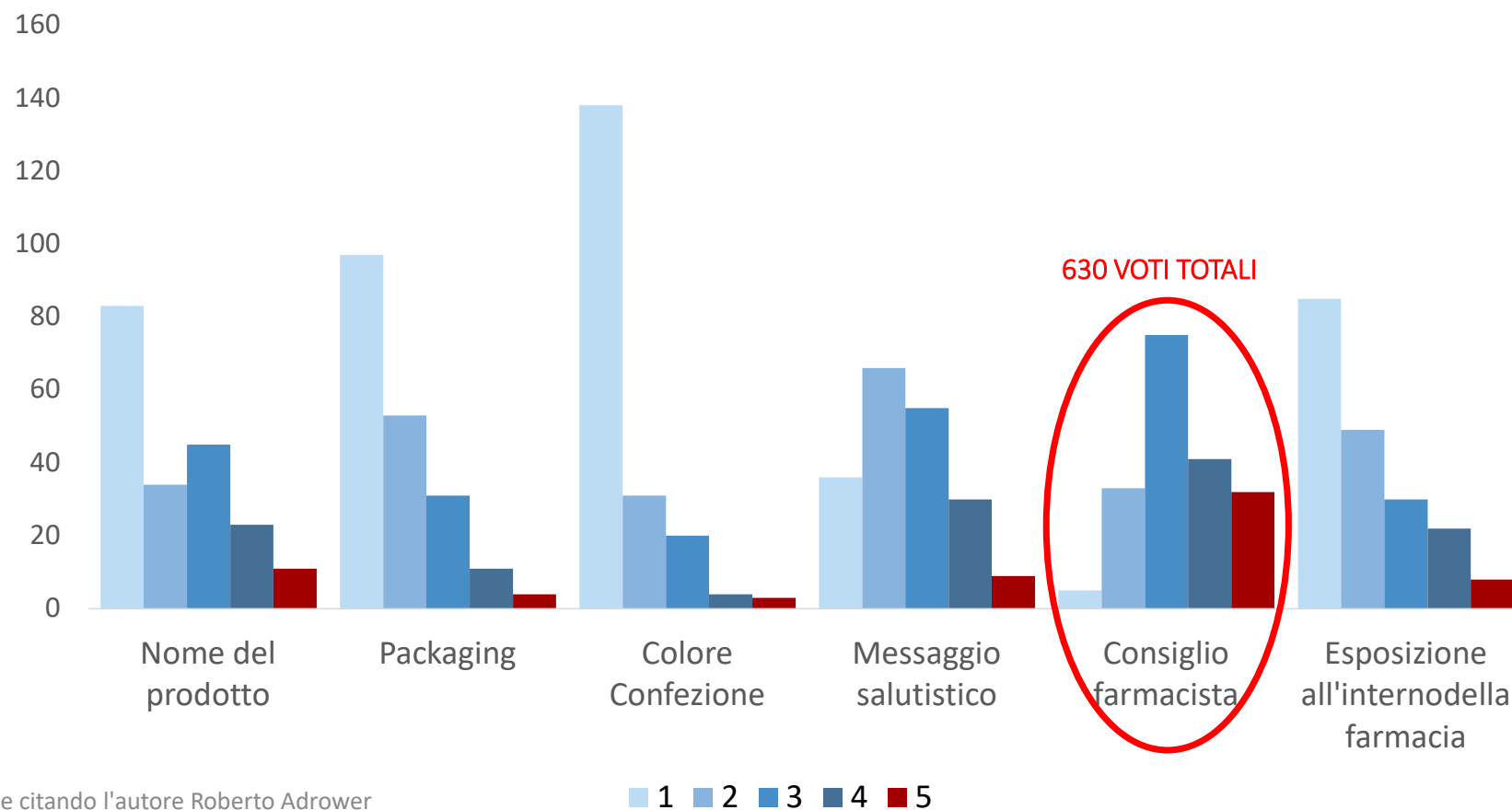


**UNIRE LE FARMACIE IN CATENE
POTREBBE ESSERE UNA RISORSA?**

INDAGINE : LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

Peso delle accortezze per l'acquisto di un prodotto in farmacia

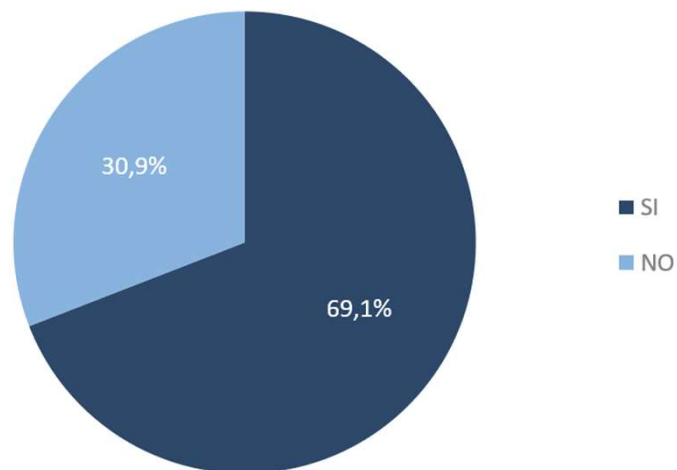
Indichi con un numero da 1a 5 quanto le seguenti accortezze la inducono a comprare o meno un prodotto in farmacia



INDAGINE : LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

Analisi di ricerca della fidelizzazione del cliente e Personalizzazione del servizio

SAREBBE DISPOSTO A DEVOLVERE IL 3 PER MILLE ALLE FARMACIE PER...



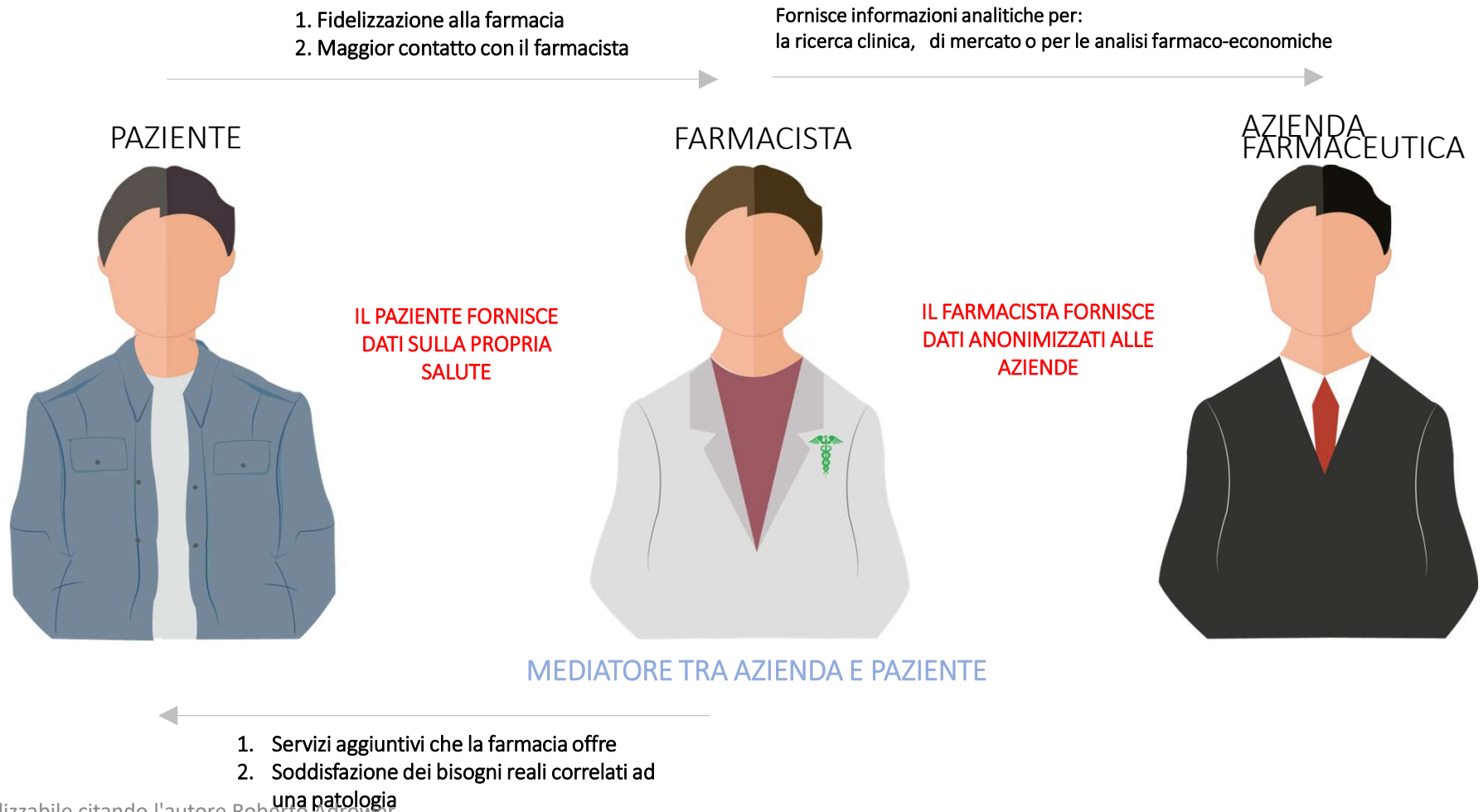
3 PER MILLE

1. PROGRAMMI DI EDUCAZIONE SANITARIA
INFORMAZIONE, PARTECIPAZIONE A SCREENING DI MASSA

2. SERVIZIO DI **CONSEGNA** DEI FARMACI A
DOMICILIO

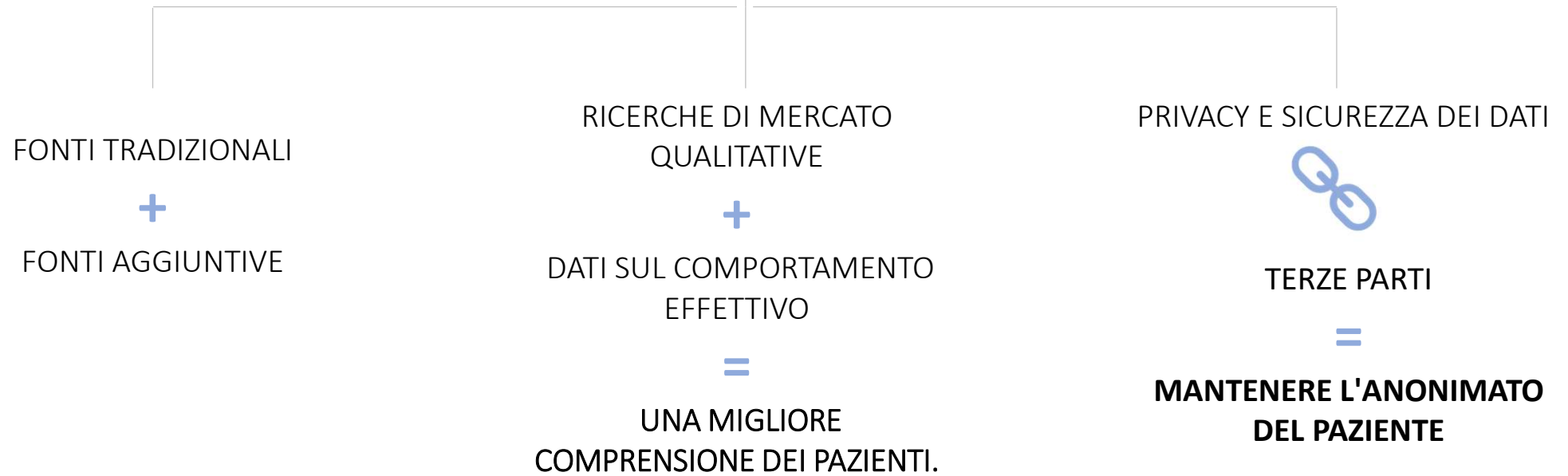
3. **ANALISI PIÙ COMUNI** (EMOGLOBINA, COLESTEROLO, GLICEMIA,
TRIGLICERIDI, BPCO ECC.) COME ELETTROCARDIOGRAMMA, HOLTER
CARDIACO E PRESSORIO

A CHI GIOVA IL 3 PER MILLE?



CONCLUSIONI

PHARMA



LE RICERCHE DI MERCATO TRA FORMAT TRADIZIONALI E NON

MIGLIORARE L'ACCESSO AL FARMACO

UNA MIGLIORE COMPRESIONE
DEL PATIENT JOURNEY

MANTENERE L'ANONIMATO DEL
PAZIENTE

COME FARE ?

1. Ripensare a d.lgs 219/2006 (codice del farmaco)
Comunicazione Azienda- Paziente
2. Monitorare il **Pt Journey** attraverso le farmacie
3. Formare nelle Facoltà di Farmacia e Medicina , un “capitale umano” capace di leggere ed interpretare i “big data sanitari “ per le Aziende e per il SSN

Source : R. Adrower 12 Luglio 2018 “ Quali progetti possibili di Empowerment, commitmente strategico condiviso tra operatori della salute



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Corso di laurea Farmacia e Medicina
Scienze farmaceutiche applicate

**Tesi di Laurea in Marketing e Tecniche di
accesso al mercato farmaceutico**

**Farmaci orfani : il marketing sociale
dalla filiera del farmaco al paziente**

Anno accademico 2019/2020

Relatore :

Roberto Adrower

Candidato :

Roberta Di Pietro

Matricola : 1321389

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower

26 Maggio 2021 ore 11-13,00
lezione magistrale



- **Gioacchino D'Alò**
Senior Director
Medico
Regulatory
Oncologia
Advocacy Manager

L' healthcare è:

L'uso delle informazioni e delle comunicazioni tecnologiche ITC

- nei prodotti, servizi e processi sanitari
- sviluppo di nuove competenze
- erogazione dei servizi sanitari in modo diverso

l'interazione tra i pazienti e chi offre i servizi sanitari

Il ruolo dell'healthcare in concomitanza con il SSN è di tutelare lo stato di salute,ciò è in conflitto con:

Diritto dello stato di salute

Posizione del mercato farmaceutico

L'healthcare e dimensione delle malattie rare



- **Bassa incidenza nella popolazione
5 casi ogni 10.000 abitanti**

Ref: OMS
Materiale di utilizzo citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Farmaci orfani: definizione

farmaci che sono destinati alla cura di malattie rare, la cui realizzazione da parte delle aziende farmaceutiche non consente di ottenere ricavi economici in grado di recuperare i costi sostenuti durante il lungo iter di processi di ricerca e sviluppo



Ref: AIFA

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Malattie rare come fare un bilanciamento tra Healthcare e mercato ?



Emanazioni di leggi specificatamente orientate a sostenere lo sviluppo di farmaci e alla pianificazione di interventi a carattere assistenziale mirati alle malattie rare



Supporto tecnico e sociale



Rispondere alle richieste di revisione e dei reclami negati ai pazienti



Collaborazione con le strutture sanitarie e con le istituzioni all'interno dei tavoli decisionali

Survey

A. domande inerenti ai farmaci orfani:

Linee di Ricerca e sviluppo

Normative

Tendenze del mercato

B. Malattie rare:

incidenza

Aree terapeutiche interessate

Attenzione riservata



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Dssa . P. Gomma Farmacista ospedaliera osp.
S.Maria Goretti (LT)

Dott. Francesco Macchia Presidente ISPE
Sanità e membro di OSSFOR

Medici di medicina generale:2

Questionari
rivolti a:

Pazienti affetti da malattia rara:2

Dott. Sandro Imbesi Direttore affari
regolatori Bristol Myers Squibb

Professore Robert Nistico
European Medicines Agency (EMA), United Kingdom Valutazione
scientifica e regolatoria dei dossier per i farmaci orfani. Membro
del Comitato per i Medicinali Orfani (COMP) European Medicines
Agency (EMA), United Kingdom

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA



**Key points emersi durante
l'intervista:**

**Dott. Sandro Imbesi
Azienda farmaceutica
Bristol Meyers Squibb :**

**Non sono in corso al momento trial
Clinici su farmaci orfani
poiché non c'è richiesta in BMS**

**L'immissione di un nuovo farmaco
orfano per una stessa patologia
fa decadere la denominazione
di orphan drug del precedente**

**Legge Balduzzi:
Azienda farmaceutica con AIC Richiesta
prezzo e rimborso AIFA Dopo parere positivo
CHMP
Tempi di valutazione 100 giorni
Protezione dati per 10 anni**

Ref: legge Balduzzi 2012

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

**Key points emersi
durante l'intervista:**

**Dott. Francesco
Macchia Presidente
ISPE Sanità:**

**Il mercato dei farmaci orfani
È in espansione grazie a
Normative europee**

**Dati relativi ai malati rari
Incompleti o poco rilevanti:
nascita OSSFOR 2016**

**Sviluppo di politiche di sostenibilità
Tenendo conto delle risorse limitate
Del SSN**

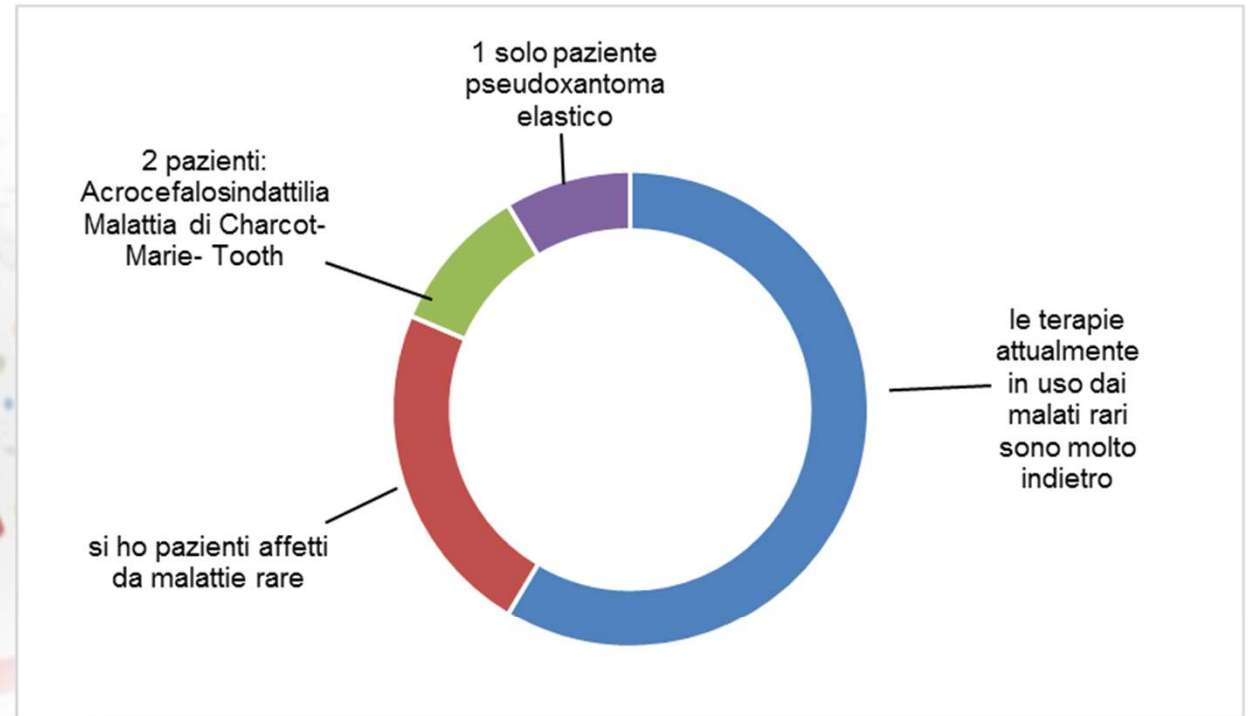
**Legge n. 141 del 2000
110 farmaci orfani in 20 anni**

Key point emersi durante le interviste:

2 Medici MMG:



Pazienti affetti da patologie rare per cui la terapia attualmente rivolta non è soddisfacente o lo è solo per brevi periodi



Acrocefalosindattilia
Malattia Charcot-Marie-Tooth



Pseudoxantoma elastico

Pazienti affetti da malattie rare

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

**Key points emersi
durante l'intervista:**

**Farmacista ospedaliera P.
Gomma; presso
l'ospedale di S. Maria
Goretti Latina**

Procedura

- Richiesta e modulo per patologia rara
- Apertura di una scheda identificativa del paziente e fornitura del codice di esenzione

**Normativa
blockchain**

- Lista specifica per Regione dei Farmaci orfani erogabili dal SSN
- Screening neonatale al fine Diagnostico preventivo

Budget

- Maggiore prevenzione su larga scala
- tutela economica

Key points emersi durante l'intervista:

Prof. Robert Nistico in qualità di ricercatore: (membro del COMP)

Ricerca in avanzamento, studi su nuove molecole

Studi epidemiologici ed Affinamento delle tecniche e delle conoscenze

Approcci diagnostici

Studi di beneficio e prevalenza

Studi con plausibilità medica

Studi preclinici e clinici

Categorie diagnostiche interessate neoplasie, leucemie ecc..

Strumenti d'indagine che costituiscono un'alternativa più rapida ed economica

Drug repositioning

Analisi di riposizionamento del farmaco

Key points emersi:

2 Pazienti:

patologie

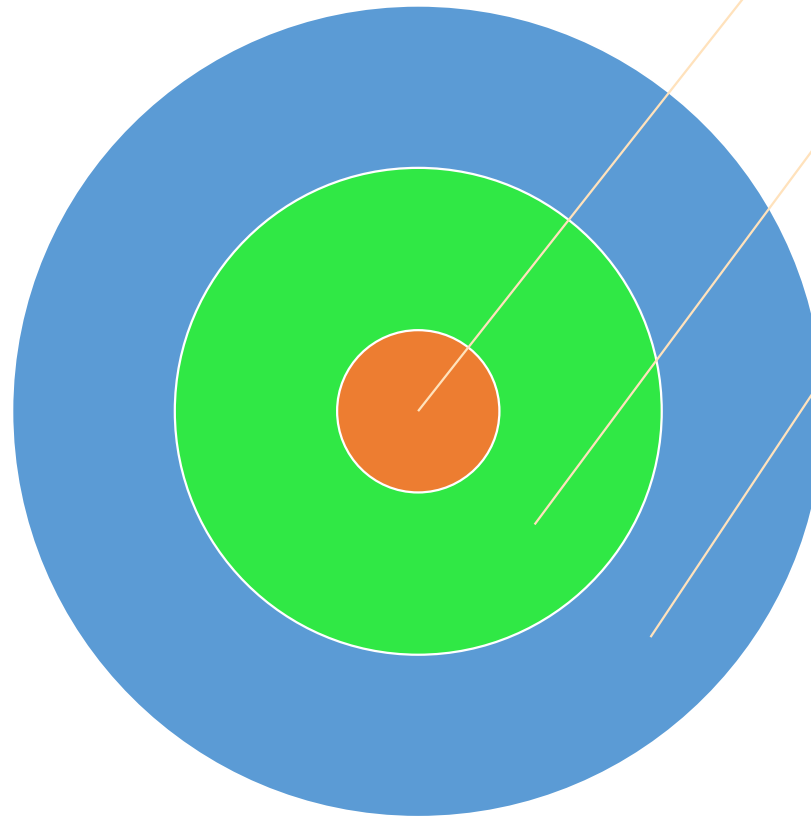


Tricoleucemia

Sarcoma di
Langherans
Leucemia
linfoide
cronica

Obiettivi da raggiungere

- Minor danni collaterali
- Maggiore assistenza domiciliare
- Tempi terapeutici più brevi



Patologia scoperta per caso, a seguito di decorso invalidante

Patologie dei pazienti in oggetto a carico del S. Immunitario

Trattamento terapeutico attraverso chemioterapia

Per Leucemia linfoide cronica, la terapia in uso è rappresentata dal farmaco orfano Imbrutinib

Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

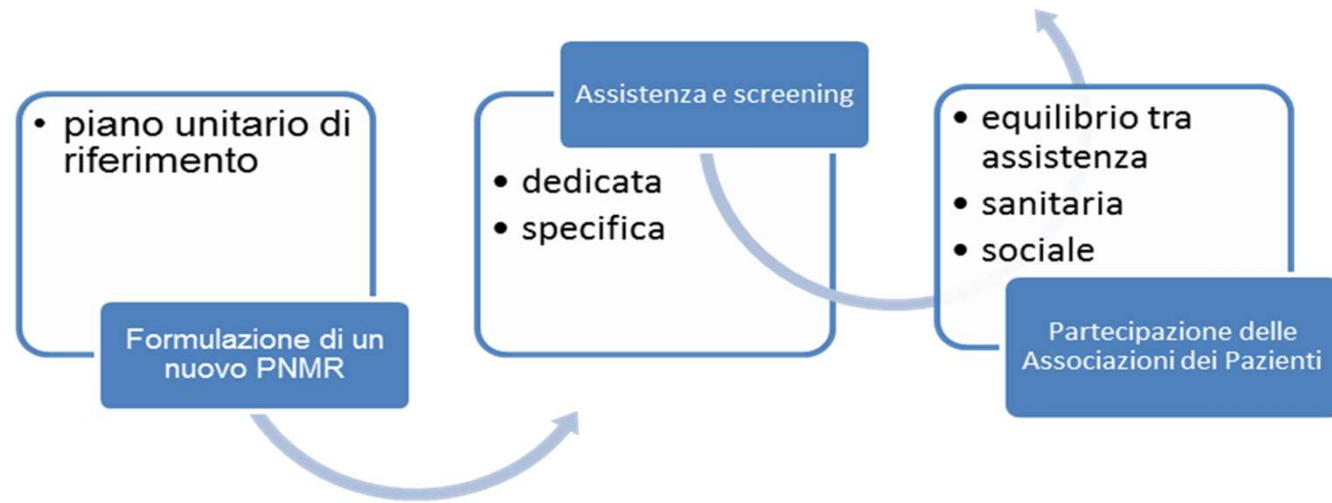
Possibili strategie



Creazione tavoli di confronto; Patient advocacy e Aziende farmaceutiche



Materiale utilizzabile citando l'autore Roberto Adrower



Formulazione PNMR



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

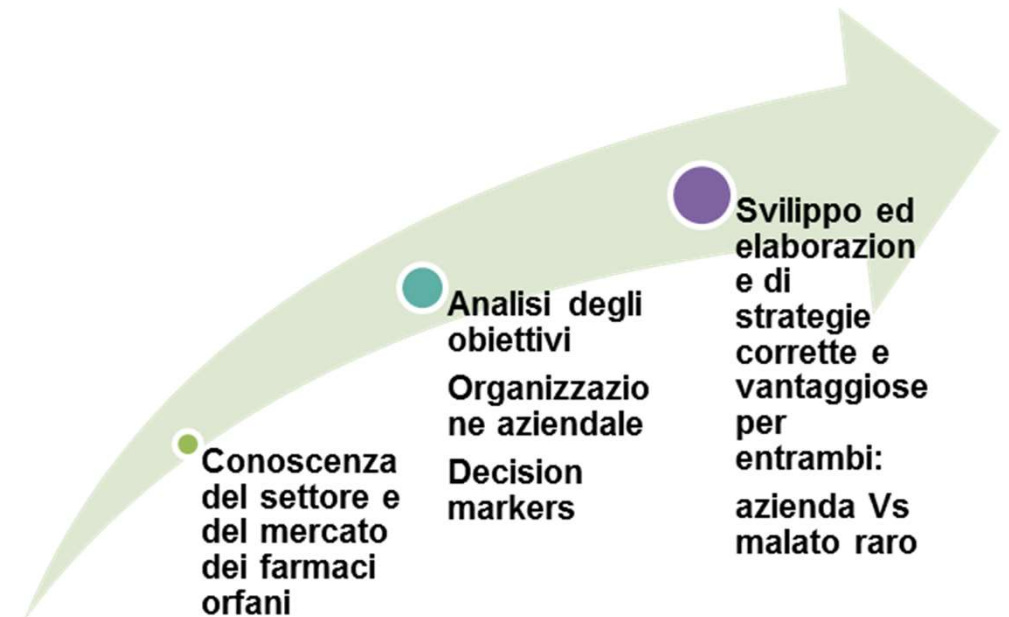
Empowerment delle figure interne alla filiera

Medico di prodotto



Sviluppo di nuove strategie di comunicazione scientifica

Key account manager



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

Conclusioni

- **Creazione di un piano unico di riferimento Piano Nazionale Malattie Rare**
- **Creazione di collaborazioni tra varie parti del settore, come Associazioni dei pazienti o Istituti di Ricovero e Cura a carattere scientifico e aziende farmaceutiche**
- **Implementazione delle figure che ruotano intorno al farmaco orfano**