Timely Access to therapies for severe diseases with unmet medical need

28 June 2017

Enrico Bosone
SIAR President

SIAR
SOCIETÀ
ITALIANA
ATTIVITÀ
REGOLATORIE

SIAR Managing Board

- President: Enrico Bosone
- V. Pres. Educational Act.: Cristina Del Corno
- V. Pres. International Act.: Maurizio Giaracca
- V. Pres. Public Act.: Anna Ponzianelli
- Secretary: Elena Trovati
- Treasurer: Patrizia Villa
- Members: Walter Bianchi, Maria Antonietta Compagnone, Viviana Mascilongo, Patrizia Sigillo, Valeria Viola

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

Examples of SIAR activities

INTERNATIONAL SYMPOSIUM

"REGULATORY EUROPE TOWARDS 2000"

UNIVERSITÀ DEGLI STUDI
AULA MAGNA

Pavia, C.so di Strada Nuova 65

30 Maggio 1995

FIRST STEPS AND EXECUTIVE REGULATION OF EMEA — p. 18
F. SAUER

RUOLO DEL CPMP E CVMP — p. 31
R. MARABELLI

ROLES OF NATIONAL AGENCIES IN THE DECENTRALIZED PROCEDURE: MUTUAL RICOGNITION KEY FOR SUCCESS? — p. 42
E. BOSONE

THE EXPERTS OF EMEA THE PIVOTAL ROLE OF THE TRANSPARENCY — p. 47
G. BENZI

STRUTTURA DEL PEFRAS: UTILITA' DI UNA FEDERAZIONE PAN EUROPEA DI REGULATORY AFFAIRS — p. 55
C. FROSIO

IL SISTEMA REGOLATORIO ITALIANO E SUE CORRELAZIONI CON SISTEMI EUROPEI — p. 57
A. CECI

SIAR NEWS VOL. 49

SIAR NEWS VOL. 49

Riassunto introduttivo della Conferenza Internazionale

THOMAS LÖNNGREN
EMEA General Director

"Ten years of EMEA and one year of AIFA: innovative and orphan drugs in the future enlarged European Union".
Rome, 7 October 2005

SIAR International Conference – October 2005
General introduction

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

SIAR
SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

SIF
SOCIETÀ ITALIANA DI FARMACOLOGIA

primo corso di aggiornamento

NOVITÀ IN FARMACOVIGILANZA

Analisi della Direttiva 2010/84/EU e del Regolamento EU n 1235/2010

Giovedì 21 Marzo 2013

Auditorium del Ministero della Salute
Via G. Ribotta, 5 – ROMA EUR

Scopo del corso:

Modulo Cosmetici
A seguito dell'entrata in vigore del Regolamento Europeo 1223/2009 dello scorso 11 luglio 2013, lo scopo del corso è fornire alla funzione regolatoria gli elementi strategici, le soluzioni pragmatiche, le basi legali e le modalità di interazione con le autorità locali coinvolte nelle attività nazionali sui cosmetici.

Modulo Dispositivi Medici
A seguito della pubblicazione della proposta di Nuovo Regolamento sui dispositivi medici sulla Gazzetta Ufficiale dell'Unione Europea in data 26/09/2012 ed in prossimità del II semestre europeo 2014 con Presidenza Italiana, lo scopo del corso è fornire alla funzione regolatoria un aggiornamento sulle attività correnti ed un'anticipazione dei prossimi requesiti richiesti nell'ambito della marcatura CE e successiva commercializzazione dei Dispositivi Medici.

Modulo Farmaci
Scopo del corso è fornire gli elementi di base del regolatorio in campo farmaceutico: la definizione della strategia di registrazione più opportuna, l'ottenimento di un'Autorizzazione all'immissione in Commercio di un farmaco, la preparazione del dossier prezzi, la gestione post autorizzativa delle variazioni, la farmacovigilanza e l'informazione medico scientifica.

Quote di Iscrizione

Titolo Modulo	Soci SIAR	NON Soci
Cosmetici	€ 100	€ 150
Dispositivi Medici	€ 100	€ 150
Farmaci	€ 350	€ 550
Iscrizione a tutti i moduli (prezzi IVA esclusa)	€ 500	€ 800

COMITATO ORGANIZZATORE
Dr.ssa Viviana Mascilongo (Siar)
Dr.ssa Emanuela Negri (Siar)

SEGRETERIA SCIENTIFICA
SIAR
SIAR Società Italiana Attività Regolatorie
Corso Mazzini, 13
27100 Pavia
www.siar.it

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA

SIAR
SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

8° Corso Didattico
Giornate di studio dedicate alle attività regolatorie

27-28-29 NOVEMBRE 2013
presso la sede dell'Ordine dei Farmacisti

SIAR
SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

Convegno

Medicinali e Medical device: compliance nella gestione di rapporti con operatori sanitari, società scientifiche, enti e pazienti

Best Western Hotel Milton,
Via Enrico Annibale Butti, 9
20158 Milano

Milano, 14 Marzo 2013

SIAR
SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

WORKSHOP

Dispositivi medici: *Le criticità regolatorie*

Roma **4 febbraio 2013**

Auditorium del Ministero della Salute
Via G. Ribotta 5 - Roma

9.30 - 10.00: Registrazione
10.00 - 10.15: Apertura e presentazione programma
Dr.ssa M.A. Compagnone, Dr.ssa M. Marletta, Dr.ssa L. Gramiccioni.

10.15 - 13.15: Moderatori:
Dr.ssa M.A. Compagnone, Dr.ssa V. Mascilongo
10.15 - 10.45: *Farmaco e dispositivo medico, correlazione tra 2 differenti approcci normativi*
Dr.ssa M.G. Leone
10.45 - 11.00: Coffe Break
11.00 - 11.45: *Approccio pratico per conseguimento marcatura CE , Eur. Dir. 93/42/EC*
Dr.ssa R. Marcoaldi, Ing. C. Romanelli
11.45 - 12.15: *La validazione clinica pre e post-mkt di un DM*
Dr.ssa A. Fasola
12.15 - 13.00: Discussione

13.00 - 14.00: Pausa Pranzo

14.00 - 17.00: Moderatori:
Dr.ssa M.A. Compagnone, Dr.ssa V. Mascilongo

14.00 - 15.30: *Il sistema di vigilanza*

Comitato Organizzatore:

Dr.ssa Luciana Gramiccioni	Istituto Superiore di Sanità
Dr.ssa Marcella Marletta	Ministero della Salute
Dr.ssa Maria Antonietta Compagnone	Siar
Dr.ssa Lia di Paolo	Siar
Dr.ssa Anna Fasola	Siar
Dr.ssa Viviana Mascilongo	Siar

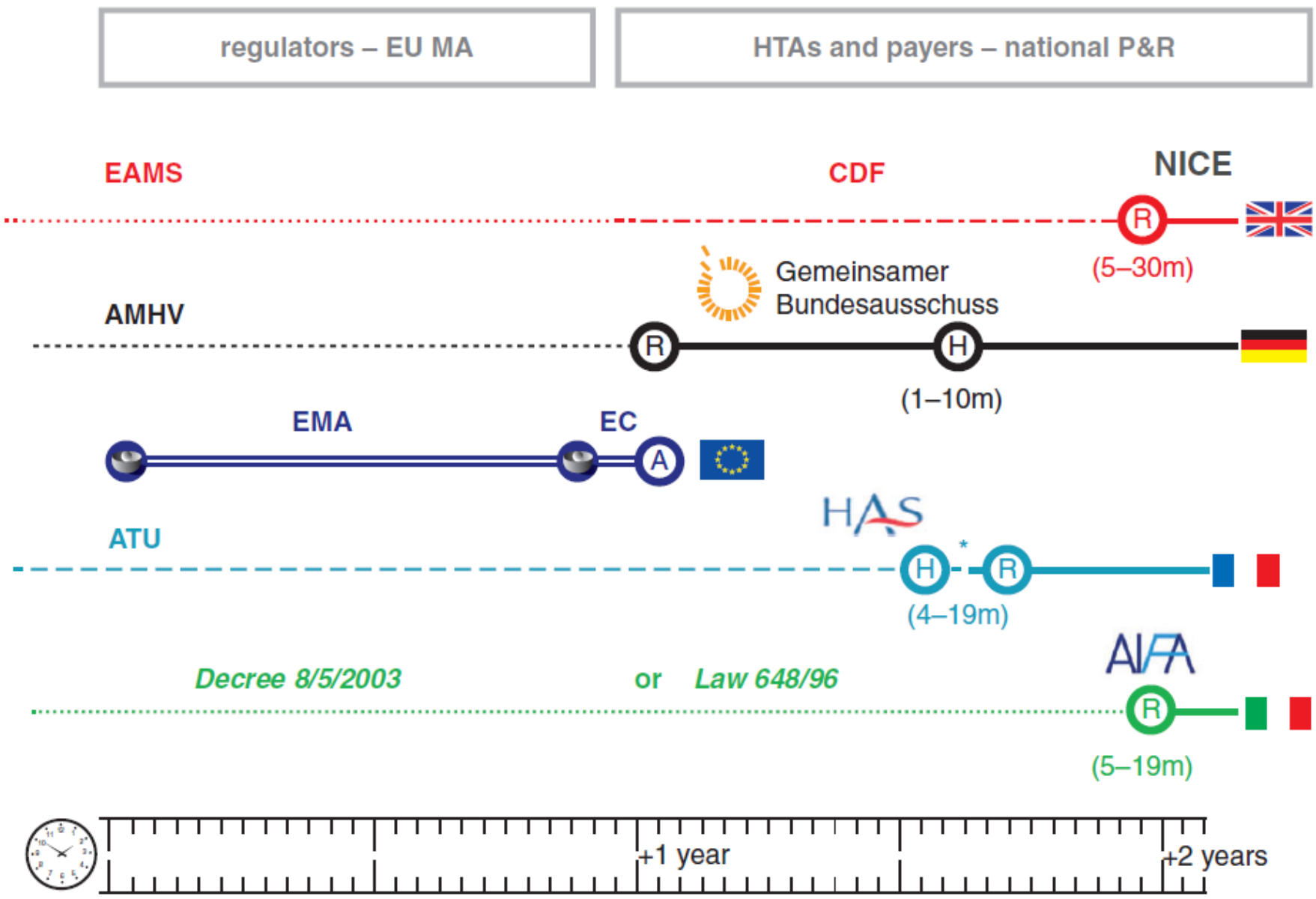
Elenco Moderatori e Relatori:

Dr.ssa Sara Angelone	Ministero della Salute
Dr.ssa Maria Antonietta Compagnone	Siar
Dr.ssa Lia di Paolo	Siar
Dr.ssa Anna Fasola	Siar
Ing. Mauro Grigioni	Istituto Superiore di Sanità
Dr.ssa Maria Grazia Leone	Ministero della Salute
Dr.ssa Roberta Marcoaldi	Istituto Superiore di Sanità
Dr.ssa Viviana Mascilongo	Siar
Ing. Cristina Romanelli	Istituto Superiore di Sanità

SIAR

SIAR - Società Italiana Attività Regolatorie
Corso Mazzini, 13 - 27100 Pavia
Tel. 0382 23312 Fax 0382 306798
WWW.SIAR.IT

Medicines in Europe: delays and inhomogeneities

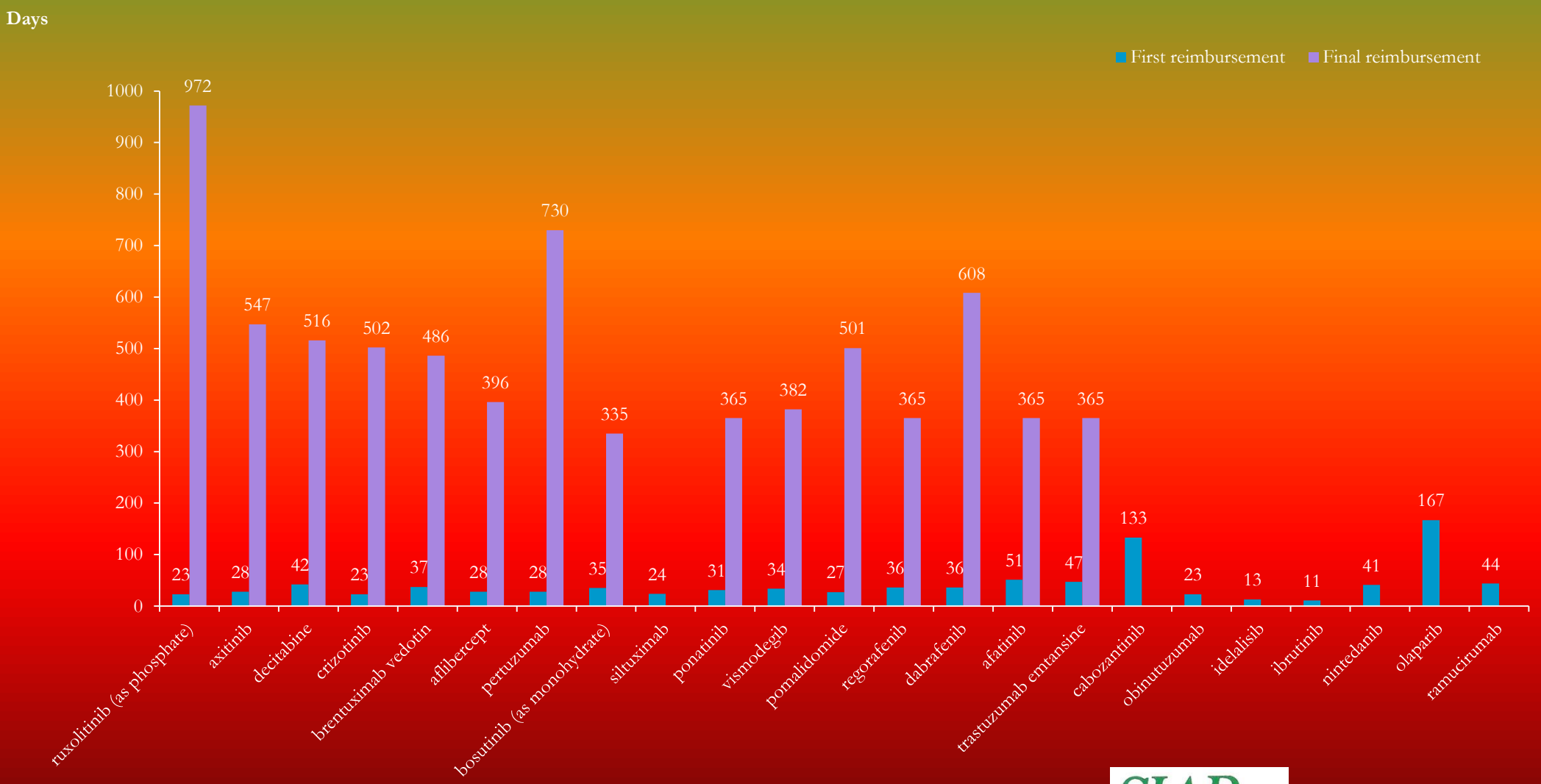


Early market access of cancer drugs in the EU

J. Martinalbo[1], D. Bowen[1], J. Camarero[2], M. Chapelin[1], P. Démolis[3], P. Foggi[4], B. Jonsson[5], J. Llinares[1], A. Moreau[3], D. O'Connor[6], J. Oliveira[7], S. Vamvakas[1] & F. Pignatti[1*]

Current real availability in Germany: examples 2012 – 2014 (SIAR NEWS 69)

Time from EU MAA and national reimbursement



SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

When the democratic availability is really urgent ?

- The timely **REAL** availability of a new treatment is really very urgent when:
  - It is for a **severe disease**
  - It is for an **unmet medical need (**no available treatments or when the new one has a significant benefit or a major contribution to patient care)

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

European incentives for medicines when the real availability is urgent

- **Many incentives at European level for medicines addressing an unmet need in severe diseases :**
  - Orphan Medicinal Products: Regulation 141/2000
  - Extension of indication with one additional year of protection: Article 14(11) Regulation 726/2004
  - Conditional MA: Regulation 507/2006
  - Accelerated procedures: Regulation 726/2004
  - PRIME procedure

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

OMP: Regulation 141/2000

1. A medicinal product shall be designated as an orphan medicinal product if its sponsor can establish:

(a) that it is intended for the diagnosis, prevention or treatment of a life-threatening or chronically debilitating condition affecting not more than five in 10 thousand persons in

that there exists no satisfactory method of diagnosis, prevention or treatment of the condition in question that has been authorised in the Community or, if such method exists, that the medicinal product will be of significant benefit to those affected by that condition.

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

Significat benefit for OMPs (Regulation 847/2000 Art 3)

2. For the purposes of the implementation of Article 3 of Regulation (EC) No 141/2000 on orphan medicinal products, the following definition shall apply:

— 'significant benefit' means a clinically relevant advantage or a major contribution to patient care.

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

European Assessment about severity and unmet need during MA evaluation

- For OMPs : by COMP, updated at the MA
- For extension of indication: by CHMP at the time of the approval of the new indication
- For Conditional MA: by CHMP
- For accelerated procedure: by SAWP/CHMP
- For PRIME: by SAWP/CHMP

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

EuMA status at 31 Dec 2015

- Total European MAs 878
- OMPs 92 (10.5%)
- Extensions with SB 17 (1.9%)
- Conditional MAs no OMP 6 (0.7%)
- Accelerated no OMP/CMA 18 (2.1%)
- Total "priorities" 133 (15.2%)

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

BUT

- The European Marketing Authorization is not sufficient for the **TIMELY** real democratic availability also for «primary» Medicines

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

SIAR proposal for timely access to therapies for severe diseases with unmet medical need (1)

- Additional administrative timely national procedures for therapies recently (less than 6 months) evaluated by CHMP/COMP, being for severe diseases without alternatives (or with a clinically relevant advantage or a major contribution to patient care)
- Provided that : MA by consensus
- Proposal : Immediate reimbursement by the NHS at the European MA time
- Proposal : Initial price established by the sponsor, equal to the lowest price in EU
- In addition to the usual national negotiation

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

SIAR proposal for timely access to therapies for severe diseases with unmet medical need (2)

- Proposal: Possible 100% pay back of the difference between temporary and final price
- National Register , if requested
- Maximum turnover in the first year : 0.5% of expenditure for all the reimbursed medicines ?
- Country by country rules in case of failure (for example class C in Italy with a partial pay back)
- Rational: take advantage of the work already done by EMA and European Commission

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

Preliminary Impact Calculation

Country	Annual steady Expenditure (Million USD)	Impact for the first year
Belgium	4,5	38%
France	36	32%
Italy	24	68%
Spain	11,1	31%
NL	8,2	26%
UK	12,7	63%

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

How to contribute to the European debate

- Show and discuss our proposal with :
  - Patient Associations
  - Scientific Associations
  - Institutions
  - Other stakeholders

SIAR SOCIETÀ ITALIANA ATTIVITÀ REGOLATORIE

Thank for your attention

SIAR
SOCIETÀ
ITALIANA
ATTIVITÀ
REGOLATORIE