



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

# BIOTECH, IL FUTURO MIGLIORE

Per la nostra salute,  
per il nostro ambiente,  
per l'Italia



QUADERNO 2

**Dal laboratorio al paziente:  
l'innovazione che  
serve alla salute**

## Indice

<b>Nota introduttiva .....</b>	<b>3</b>
<b>Dal laboratorio al paziente: l'innovazione che serve alla salute .....</b>	<b>6</b>
Italia 2027	
To be... Ricerca clinica	
To be... Produzione innovativa	
To be... Governance farmaceutica	
To be... Medicina territoriale	
Proprietà Intellettuale: un cardine che non può essere messo in discussione	
<b>Conclusioni .....</b>	<b>20</b>

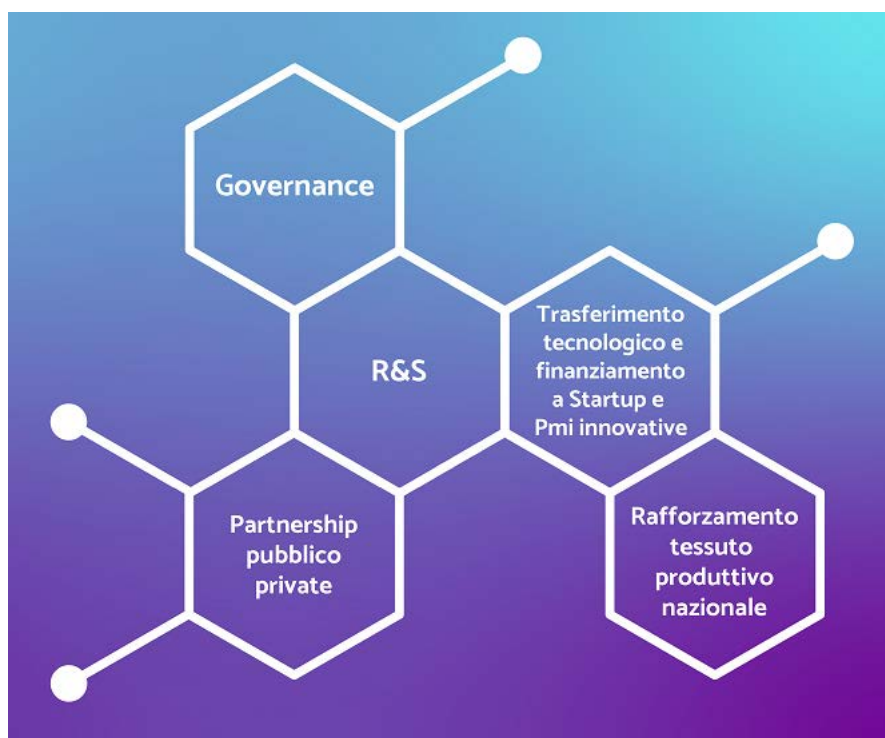
**Tavolo di lavoro del 27 maggio e del 21 giugno 2021**

## NOTA INTRODUTTIVA

Questo nuovo quaderno, che abbiamo intitolato *“Dal laboratorio al paziente: l’innovazione che serve alla salute”*, è il secondo di tre che Federchimica - ASSOBIOTEC presenta, nel corso del 2021, nella cornice del progetto *“Biotech, il futuro migliore. Per la nostra salute, per il nostro ambiente, per l’Italia”*, iniziativa nata lo scorso anno - e con radici molto più profonde nel lavoro che Assobiotec svolge da molti anni – che ha l’obiettivo di **costruire una visione condivisa**, tra imprese biotech che operano in Italia, Istituzioni nazionali e stakeholder, **per delineare proposte operative** per la crescita e lo sviluppo del settore delle biotecnologie in Italia, così come per la Ripresa e la Resilienza del Paese.

Un documento che l’Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie mette oggi a disposizione dei decisori chiamati a guidare il cambiamento e la rinascita italiana e a costruire la prossima legge di Stabilità.

Dopo aver descritto nel primo Quaderno - *“L’importanza dell’ecosistema per il rilancio del Paese”* - le 5 fondamenta sulle quali il settore ritiene prioritario costruire un ecosistema solido e competitivo (qui sotto),



si vuole, con questo secondo Quaderno fare un focus sul settore delle Life Science, presentando le principali priorità di policy per questa verticale che discendono direttamente da quanto già messo in evidenza nel primo paper e che sono a queste strettamente collegate, rappresentandone la specifica declinazione in ambito salute. Lo sviluppo di un ecosistema Paese favorevole all’innovazione rappresenta, infatti, la condizione imprescindibile perché possano realizzarsi le condizioni per lo sviluppo delle Scienze della Vita in Italia.

Il Quaderno *“Dal laboratorio al paziente: l’innovazione che serve alla salute”* riassume, infatti, spunti, riflessioni, ma soprattutto propone azioni, immaginate e approfondite in occasione di due tavoli di lavoro a porte chiuse – il 27 maggio e il 21 giugno – che hanno visto confrontarsi Istituzioni, imprese, start-up, enti

di ricerca, stakeholder del mondo del biotech healthcare su tematiche di grande attualità: ricerca di base e sperimentazione clinica, finanziamento e fiscalità, proprietà intellettuale, produzione biotecnologica innovativa, governance farmaceutica e medicina territoriale. Focus che hanno permesso di affrontare le diverse criticità che si incontrano in Italia in tutte le diverse fasi del viaggio del prodotto biotech - sia esso diagnostico, vaccino, farmaco o terapia avanzata - dal bancone di laboratorio fino al letto del paziente.

Hanno partecipato ai due tavoli di lavoro Life Science:

- Giovanni Alquati, Gilead Sciences;
- Luigi Aurisicchio, Takis;
- Paolo Barbanti, Pharma & Biotech Advisors;
- Daniela Bellomo, HSR;
- Elena Beltrami, Telethon;
- Leonardo Biondi, IFOM;
- Luigi Boano, Novartis Oncology;
- Fabiola Bologna, Intergruppo Parlamentare Scienza e Salute;
- Paolo Bonaretti, economista dell'innovazione;
- Marcello Cattani, Sanofi;
- Emma Charles, BMS;
- Valeria Corazza, APIAFCO - FONDAZIONE CORAZZA;
- Lucio Da Ros, Evotec;
- Maurizio De Cicco, Roche;
- Davide De Luca, Diatech;
- Raffaella Di Fabio, Ministero degli Affari Esteri e della Cooperazione Internazionale;
- Vincenzo Di Lazzaro, Università Campus Bio-Medico di Roma;
- Ivan Di Schiena, UCB;
- Mario Dieci, Holostem;
- Davide Ederle, Ass. Biotecnologi italiani;
- Annarita Egidi, Takeda Italia;
- Mario Fiorentino, Ministero dello Sviluppo Economico;
- Gabriele Fontana, Università dell'Insubria;
- Ugo Gay, DiaSorin;
- Alfonso Gentile, Takeda Italia;
- Giorgio Ghignoni, DiaSorin;
- Bernardo Giua Marassi, Sanofi;
- Fabrizio Greco, AbbVie;
- Gaetano Guglielmi, Ministero della Salute;
- Angela Ianaro, XIV Commissione Politiche dell'Unione Europea, Intergruppo Parlamentare Scienza e Salute;
- Giorgia Iegiani, Ass. Biotecnologi italiani;
- Elena Paola Lanati, MA Provider;
- Giuseppe Lanzillotta, Alexion;
- Salvatore Leone, Amici ONLUS;
- Francesco Macchia, RARELAB;
- Massimo Magi, FIMMG Nazionale;
- Cecilia Maini, ART-ER S. cons. p. a. Attrattività Ricerca Territorio;
- Ciriaco Maraschiello, Aptuit Verona;
- Barbara Marini, Intercept Pharma;
- Francesco Saverio Mennini, Centre for Economic Evaluation and HTA (EEHTA) CEIS, University of Rome "Tor Vergata", SiHTA;

- Annamaria Merico, Telethon;
- Enrico Mini, Società Italiana di Farmacologia;
- Annapaola Mistretta, BMS;
- Angelo Claudio Molinari, AICE;
- Margherita Morpurgo, Università di Padova;
- Flavio Normando, UCB Pharma;
- Margherita Pacileo, UCB Pharma;
- Giorgio Palù, AIFA;
- Riccardo Palmisano, Assobiotec Federchimica;
- Pierluigi Paracchi, Genenta;
- Gianfranco Pasut, Dept. Pharmaceutical and Pharmacological Sciences, University of Padova;
- Francesca Patarnello, AstraZeneca;
- Sandra Petraglia, AIFA;
- Enrico Piccinini, Chiesi Group;
- Francesco Ricca, UCB Pharma;
- Massimo Riccio, AbbVie;
- Francesco Ripa di Meana, FIASO;
- Paolo, Rizzardi, Altheia Science;
- Lucio Rovati, Rottapharm Biotech;
- Raffaella Sardelli, AIFA;
- Sergio Scaccabarozzi, Fondazione I.R.C.C.S. Policlinico “San Matteo” – Pavia;
- Annalisa Scopinaro, UNIAMO;
- Giuseppe Secchi, Sanofi;
- Elena Sgaravatti, Plantarei Biotech;
- Maria Svelto, Uni BA - Distretto H-BIO Puglia;
- Giovanni Tria, Ministero dello Sviluppo economico;
- Marcella Trombetta, Università Campus Bio-Medico di Roma;
- GIANLUCA VAGO, Università degli Studi di Milano/CNAO;
- Simona Varani, Telethon;
- Gabriele Vittoria, Intercept Pharma.

**Ringraziamo tutti per il prezioso contributo**

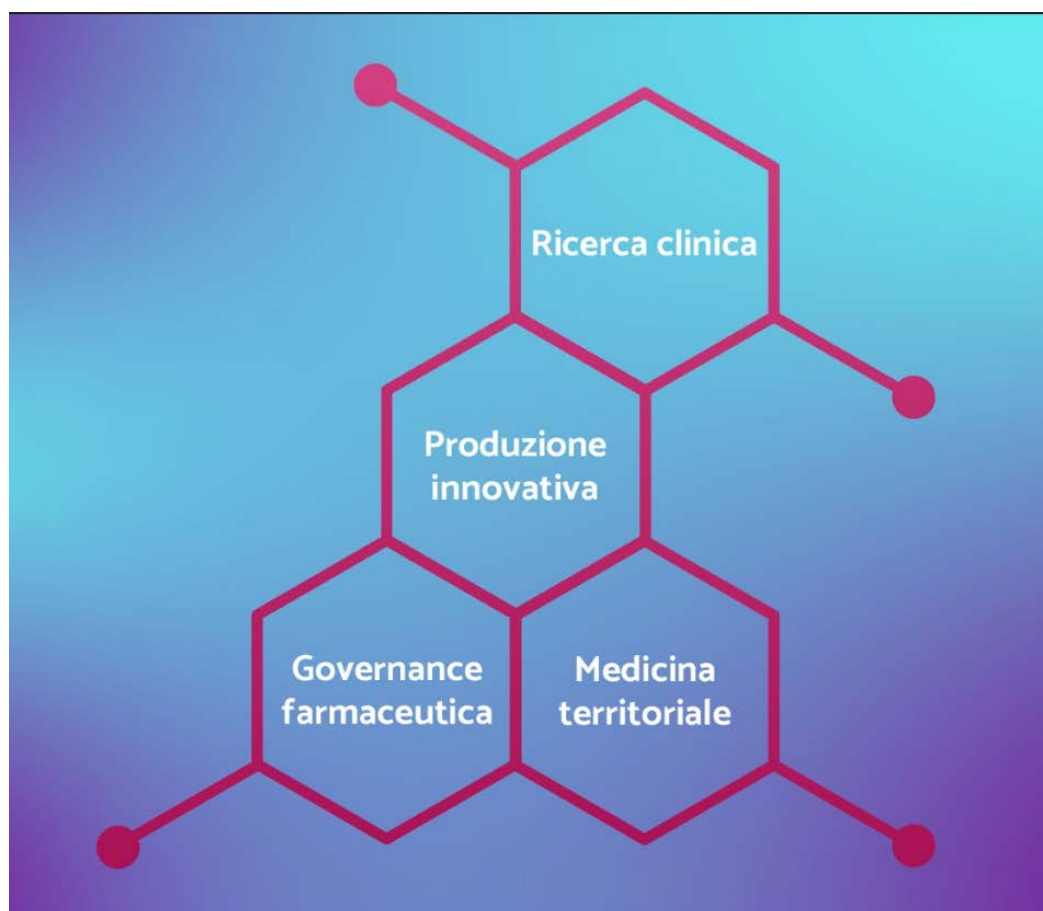
## DAL LABORATORIO AL PAZIENTE, L'INNOVAZIONE CHE SERVE ALLA SALUTE

Un Paese che non investe in ricerca, che non ha strutture produttive innovative all'interno dei propri confini, che manca di visione e politica industriale di largo respiro, che non si rinnova e non punta su futuro e innovazione non solo è un Paese incapace di guidare il cambiamento, ma è anche e soprattutto uno Stato che rischia di perdere uno dei treni fondamentali per la crescita di PIL e occupazione qualificata dei Paesi industrializzati.

Un contesto certamente già evidente al settore nazionale delle biotecnologie, che da tempo chiede riforme e interventi, con una prospettiva temporale di lungo respiro, per permettere investimenti e azioni che puntino realmente al cambiamento e che possano proiettare l'intero Paese verso un futuro migliore.

Partendo dalle priorità individuate nel Quaderno dedicato all'ecosistema, questo secondo documento descrive un'Italia al 2027 nella quale sono finalmente realizzate una serie di riforme nello specifico ambito Life Science, a nostro avviso, necessarie e urgenti.

Riforme inserite all'interno di 4 macro aree: **Ricerca clinica**, **Produzione innovativa**, **Governance Farmaceutica e Medicina Territoriale**.



All'analisi dei temi sopra citati, si aggiunge, in chiusura del Quaderno, una riflessione sul tema della **Proprietà Intellettuale**, analizzata e affrontata a partire dai temi di stringenti attualità legati alla protezione brevettuale dei vaccini sviluppati per il COVID-19 e sul quale riportiamo la posizione di oltre 300 imprese e associazioni del settore biotecnologico, recentemente sintetizzate in un Manifesto nel quale si ribadisce, accanto all'importanza di un accesso allargato a vaccini e trattamenti, il valore della Proprietà Intellettuale.

## IL MOMENTO È UNICO: ALCUNI PROGETTI E FONDI DEL PNRR PER LA SALUTE

<b>Missione 6 Salute Componente 2 Innovazione, ricerca e digitalizzazione del servizio sanitario (11,22mld)</b>	
<b>Progetti</b>	<b>Fondi</b>
Potenziamento ricerca biomedica del SSN	Proof of Concept PoC e progetti di ricerca in materia di malattie rare, tumori rari (0,52 mld)
Riorganizzare la rete degli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCSS)	
<b>Missione 4 Istruzione e ricerca Componente 2 Dalla Ricerca all'impresa (11,4 Mld)</b>	
<b>Progetti</b>	<b>Fondi</b>
Fondo per il Programma Nazionale Ricerca (e progetti di Ricerca di Significativo Interesse Nazionale (PRIN))	Il Fondo è finalizzato a rafforzare le misure di sostegno alla ricerca scientifica indicate nel Programma Nazionale per la Ricerca 2021 2027 e per finanziare i Progetti di Ricerca di rilevante Interesse Nazionale (di durata triennale 1,80 mld)
Finanziamento di progetti presentati da giovani ricercatori (0,60 mld)	Sostegno all'attività di ricerca di un massimo di 2.100 giovani ricercatori al fine di consentire loro di maturare una prima esperienza di responsabilità di ricerca (0,6 Mld)
Partenariati estesi a Università, centri di ricerca, imprese e finanziamento progetti di ricerca di base	Per ogni programma verranno allocate tra gli 80 e i 150 milioni di euro. Il contributo per i singoli progetti è invece stimato tra i 5 e i 20 milioni di euro (1,61 Mld)
Potenziamento strutture di ricerca e creazione di "campioni nazionali" di R&S su Key Enabling Technologies	Finanziamento della creazione di centri di ricerca nazionali in grado di raggiungere una soglia critica di capacità di ricerca e innovazione su alcune tematiche specifiche, tra cui simulazione avanzata e big data, ambiente ed energia, quantum computing, tecnologie per la transizione digitale industriale, mobilità sostenibile. Le risorse saranno suddivise in 110 milioni di euro per le attività di ricerca per le istituzioni e le imprese che non appartengono al centro 80 milioni di euro per le infrastrutture 80 milioni di euro per le attività di ricerca interne 50 milioni di euro per supportare l'istituzione di fondi di investimento, start up e spin off (1,6 Mld)
Creazione e rafforzamento di "ecosistemi dell'innovazione", costruzione di "leader territoriali di R&S	Finanziamento di 12 "campioni territoriali di R&S", volti a promuovere progetti di sostenibilità sociale. Gli ecosistemi dell'innovazione verranno realizzati all'interno di organizzazioni già esistenti nei centri di ricerca e nelle università pubbliche. È comunque atteso un impatto anche sul settore privato (1,3 Mld)
Important Projects of Common European Interest (IPCEI)	Integrazione dell'attuale Fondo IPCEI, con nuovi progetti nati su piattaforme europee e inseriti nelle sei filiere del valore



	europee (1,5 Mld)
Partenariati Horizon Europe	Sostegno a progetti di ricerca, sviluppo e innovazione, individuati con specifici bandi per la partecipazione ai partenariati per la ricerca e l'innovazione (0,2 Mld)
Potenziamento ed estensione tematica e territoriale dei centri di trasferimento tecnologico per segmenti di industria	Rafforzamento delle condizioni abilitanti allo sviluppo delle attività di ricerca e innovazione, agendo su dotazione infrastrutturale, sviluppo di competenze e strumenti finanziari destinati a sostenere gli investimenti in ricerca e innovazione delle PMI (0,35 Mld)
Fondo per la costruzione di un sistema integrato di infrastrutture di ricerca e innovazione	Il Fondo è dedicato allo sviluppo di macchinari e tecnologie in diversi settori, tra cui Life Sciences L'investimento pubblico medio previsto per ogni progetto è di 50 milioni di euro. Se progetto prevede partnership pubblico privato la quota parte pubblica sarà superiore al 50 (1,58 Mld)
Finanziamento delle start up	La misura è volta a supportare, tramite CDP, gli investimenti in start up e PMI innovative, nonché dei fondi di investimento (0,30 Mld)
Dottorati innovativi che rispondano ai bisogni di innovazione delle imprese e promuovano l'assunzione di ricercatori da parte delle imprese	La misura prevede l'istituzione di programmi di dottorato in collaborazione tra imprese e università, e agevolazioni per l'assunzione da parte delle imprese di giovani ricercatori 30.000 in sei anni) (0,6 Mld)

## Italia 2027

Riportiamo in questo capitolo le proposte di riforma attese per le 4 macro aree: **Ricerca clinica, Produzione innovativa, Governance Farmaceutica e Medicina Territoriale** e per ciascuna di esse abbiamo fotografato l'Italia che vorremmo e la strada per permettere il raggiungimento di questo risultato che passa attraverso specifici interventi legislativi e/o attraverso il PNRR.

### TO BE... RICERCA CLINICA AL 2027<sup>1</sup>

Risolto il problema dei tempi troppo lunghi che non permettevano un pieno sviluppo di un'attività strategica per pazienti, SSN e per il Paese:

- a. Concluso il processo di riordino dei Comitati Etici
- b. Adottate regole trasparenti nella gestione del conflitto di interessi
- c. Garantiti semplicità e tempi congrui delle procedure amministrative, in linea con quanto previsto dal Regolamento Europeo per gli studi clinici

### Proposte di intervento per il raggiungimento di questo risultato

<b>Interventi legislativi</b>	<b>Le proposte</b>
Implementazione del regolamento UE 536/2014 e della legge 3/2018 (c.d. Lorenzin) sulla sperimentazione clinica	<p><b>#RIORDINO DEI COMITATI ETICI</b></p> <p>Si auspica una revisione che porti a un maggiore coordinamento e uniformità di tempi e modi.</p> <p>Necessario uniformare modalità e procedure (avere un modello per il consenso informato, un modello per l'assicurazione, tempi definiti per l'approvazione, in caso di studio multicentrico, approvazione in capo solo a CE del centro coordinatore dello studio).</p> <p>Si auspica, inoltre, che le norme che regolano le tempistiche di approvazione di AIFA e dei CE siano rispettate e sottoposte ad audit valutativo costante da parte del Centro di Coordinamento Nazionale dei CE territoriali.</p> <p><b>#ADOZIONE DI REGOLE TRASPARENTI NELLA GESTIONE DEL CONFLITTO DI INTERESSI</b></p> <p>Si propone la gestione trasparente di tutto quanto possa generare un conflitto di interessi, attraverso una modulistica semplice che permetta di dichiarare i rapporti di collaborazione, un registro online accessibile al pubblico dove rendere disponibile le predette dichiarazioni, utilizzando una tassonomia predefinita per poter classificare e confrontare adeguatamente le dichiarazioni – come avviene per esempio con la Policy 0044 di EMA, con la policy dell'OMS e di AIFA.</p> <p><b>#ALLINEAMENTO AL REGOLAMENTO EUROPEO N.</b></p>

<sup>1</sup> Per l'analisi delle richieste di policy nel macro-ambito R&S, trasversale a tutti i settori delle biotecnologie, si veda il Quaderno 1 "[L'importanza dell'ecosistema per il rilancio del Paese](#)".

	<p><b>536/2014 PER GLI STUDI CLINICI CON I FARMACI</b></p> <p>È urgente semplificare l'attuale normativa e le procedure di autorizzazione allineandole a quanto previsto dal regolamento europeo di prossima attuazione (che in ogni caso quando sarà reso operativo potrà già dirsi superato!). Solo i Paesi che avranno dimostrato di voler e saper investire in competenze, risorse, deburocratizzazione e velocità vedranno crescere la propria presenza nelle sperimentazioni cliniche internazionali.</p> <p>Il tema dell'allineamento ai regolamenti comunitari è di particolare rilievo anche per la ricerca pre-clinica che in linea con quanto definito dalla Direttiva 2010/63/UE deve al più presto consentire la sperimentazione sugli animali ogni qual volta non sia possibile ricorrere a metodi alternativi.</p>
--	---

### LE CRITICITÀ GIÀ SEGNALATE NEL PAPER BIOTECH 2020

Di fatto, il quadro normativo attuale resta ancora poco favorevole, nonostante gli evidenti vantaggi nel facilitare gli investimenti nella ricerca clinica - fra i quali la possibilità di accedere anticipatamente a farmaci innovativi con possibile rilevante beneficio per i pazienti -, la crescita costante nell'eccellenza degli specialisti coinvolti, i risparmi che raccoglie il SSN.

### QUALCOSA È STATO FATTO

Il Decreto Rilancio (19 maggio 2020) che modifica il decreto legislativo n. 52 del 14 maggio 2019 ha in parte mitigato la disciplina del conflitto di interessi e, seppure esclusivamente "al fine di promuovere in Italia le sperimentazioni cliniche essenziali per fare fronte all'emergenza epidemiologica da Covid-19 e ad eventuali altre emergenze epidemiologiche future", ha di fatto implicitamente riconosciuto come la richiesta di una totale assenza di qualsiasi potenziale situazione di conflitto di interessi possa risultare dannosa per tutte le parti coinvolte nelle sperimentazioni cliniche.

## QUALCHE DATO DI CONTESTO SULLA RICERCA CLINICA NEL NOSTRO PAESE

- Se guardiamo **al numero di sperimentazioni autorizzate dall'AIFA**, riportate nel 19° Rapporto Nazionale 2020, sono aumentate dal 2000 a oggi con un **tasso di crescita pari al 21%**.
- Secondo quanto riportato dal 'Rapporto Sperimentazione Clinica AIFA', **il nostro Paese è rappresentato in almeno un quinto di tutte le sperimentazioni europee**.
- Secondo il rapporto di Alliance for Regenerative Medicine 2019, il numero di domande sollevate dalle autorità di regolamentazione nazionale prima dell'approvazione è una tra le maggiori cause di ritardo.
- Secondo il Report sul Valore delle Sperimentazioni Cliniche 2020, condotto dal Laboratorio sul Management delle Sperimentazioni Cliniche dell'Università Cattolica Sacro Cuore, **gli investimenti economici complessivi dei soggetti pubblici e privati, corrispondono a oltre 750M di euro all'anno**. E il 92% di questi proviene da finanziamenti di aziende farmaceutiche per studi profit.
- **Gli investimenti in ricerca clinica hanno un effetto moltiplicatore a favore del Sistema Sanitario Nazionale**. Per l'Italia, la ricerca condotta da MSC Lab-Università Cattolica del Sacro Cuore **ha rilevato che ogni euro investito dall'industria in ricerca clinica corrisponde a 2,77 € a favore del Servizio Sanitario Nazionale**.
- Per gli arruolamenti, **l'Italia è la penultima di dieci paesi europei nella classifica del numero di pazienti coinvolti in sperimentazioni cliniche** per milione di abitanti. E l'ultima fra i Big5.
- Un altro aspetto che salta all'occhio nella nostra modalità di sperimentazione è che mancano completamente i volontari sani, che rappresentano meno del 2% delle persone che si sottopongono ai trials clinici.

## TO BE... PRODUZIONE INNOVATIVA AL 2027<sup>2</sup>

1. Un'industria farmaceutica nazionale riposizionata sulla frontiera dell'innovazione
2. Attratti nel Paese nuovi siti industriali bio-farmaceutici

### Proposte di intervento per il raggiungimento di questo risultato

<b>Interventi legislativi</b>	<b>Le proposte</b>
Norme ad hoc anche nella cornice del PNRR/Legge di Bilancio	<p><b>#RIPOSIZIONAMENTO DELL'INDUSTRIA FARMACEUTICA NAZIONALE SULLA FRONTIERA DELL'INNOVAZIONE</b></p> <p>Attraverso una migliore collaborazione pubblico-privato che permetta di condividere, fra le parti, i rischi nelle diverse fasi di sviluppo di un farmaco lungo l'intera filiera; Con misure fiscali per incentivare investimenti in innovazione e produzione;</p> <p>Favorendo la digitalizzazione, l'innovazione dei poli e dei processi produttivi;</p> <p>Applicando senza restrizioni le norme europee per le autorizzazioni agli stabilimenti produttivi, a partire dalle facility GMP.</p> <p><b>#ATTRAZIONE NUOVI SITI INDUSTRIALI</b></p> <p>Attraverso la costruzione di un ecosistema Paese che garantisca prevedibilità delle norme, snellimento della burocrazia, accelerazione dei processi decisionali, regolamentazione competitiva rispetto agli altri Paesi europei. Necessario un quadro normativo più chiaro, semplice e competitivo per le autorizzazioni a tutti i livelli, dalla sperimentazione all'accesso all'innovazione che si fa prodotto, passando per gli impianti produttivi.</p>

### LE CRITICITÀ GIÀ SEGNALATE NEL PAPER BIOTECH 2020

La produzione nazionale avviene oggi per lo più in stabilimenti datati, anche se in gran parte ammodernati. Inoltre, i processi decisionali, per ottenere le autorizzazioni necessarie per l'apertura di nuovi stabilimenti produttivi o per aumentarne la capacità, per la creazione di nuove linee di produzione e per lo sviluppo e utilizzo di nuovi farmaci, sono spesso duplicati a livello regionale e locale.

La produzione nazionale attuale è, inoltre, fortemente incentrata su principi attivi di sintesi chimica e su farmaci off patent, ovvero medicinali che hanno perso la copertura brevettuale.

Questi elementi rappresentano un fattore di rischio in termini sia di volumi che di valori nel medio-lungo termine.

Bisognerebbe muoversi per tempo nella direzione che ci indica l'evoluzione dello scenario mondiale: produzione biotecnologica, anticorpi monoclonali, proteine ricombinanti, vaccini, terapie avanzate, ingegneria genetica, tecnologie CAR-T e CRISPR, gene editing, etc. Quando le produzioni più tradizionali e

<sup>2</sup> Per l'analisi delle richieste di policy nel macro-ambito produzione, trasversale a tutti i settori delle biotecnologie, si veda il Quaderno 1 "[L'importanza dell'ecosistema per il rilancio del Paese](#)".

con margini meno remunerativi si sposteranno verso Paesi a più basso costo del lavoro, l'Italia deve trovarsi pronta ad affrontare le nuove sfide, facendo leva sulle eccellenze delle proprie maestranze e sull'esistenza di un tessuto e di una cultura produttivi di primo livello.

Per poter produrre farmaci innovativi ci vogliono "macchine" diverse e vanno impiantati processi produttivi diversi da quelli standard. Per essere pronti ad accogliere e mantenere queste produzioni in Italia occorre prima investire in tecnologia e creare le condizioni di incentivi che spingano le aziende ad investire in innovazione. E bisogna, parallelamente investire sulle competenze degli addetti spingendo verso una evoluzione delle competenze attraverso accordi con le Università e centri di ricerca e facendo crescere i profili tecnici nuovi necessari a controllare i processi digitali.

#### QUALCHE DATO DI CONTESTO SULLA PRODUZIONE FARMACEUTICA NEL NOSTRO PAESE

- I **nuovi dati EFPIA** confermano che il Paese ha perso la propria posizione di leadership nella produzione farmaceutica in Europa (guadagnata nel 2017). L'Italia è ora al terzo posto dopo Francia e Germania (dati 2019)
- Sempre i **dati EFPIA** indicano il Bel Paese con una forte produzione conto terzi (2,07 miliardi di euro vs 1,95 miliardi della Germania e 1,72 miliardi della Francia)
- Con riferimento all'export nei primi 9 mesi del 2020, **dati del Sistema Informativo ExportPlanning**, mostrano che il settore farmaceutico ha registrato un aumento tendenziale delle esportazioni a livello italiano prossimo al +10% nei valori in euro (in linea con la dinamica media della domanda mondiale del settore).
- A consuntivo d'anno, **dati AIFA sul monitoraggio della spesa farmaceutica**, stimano il raggiungimento di un nuovo punto di massimo (32,4 miliardi di euro) dell'export settoriale italiano, con ottime previsioni future (+11% medio annuo nel quadriennio 2021-2024).

#### TO BE... GOVERNANCE FARMACEUTICA AL 2027<sup>3</sup>

1. Garantito un finanziamento della spesa farmaceutica pubblica adeguato alla domanda di salute, oltre che il pieno utilizzo delle risorse dedicate e la loro equa allocazione.
2. Tutelato il valore dell'innovazione farmaceutica (farmaci orfani, terapie avanzate e companion diagnostic), riconosciuto in termini socioeconomici e garantito attraverso un adeguato finanziamento
3. Individuati innovativi modelli di finanziamento e pagamento delle terapie avanzate

#### Proposte di intervento per il raggiungimento di questo risultato

<b>Interventi legislativi</b>	<b>Le proposte</b>
Legge di Bilancio	<b># FINANZIAMENTO ADEGUATO ALLA DOMANDA DI SALUTE, PIENO UTILIZZO DELLE RISORSE DEDICATE E LA LORO EQUA ALLOCAZIONE</b> Attraverso un adeguamento del finanziamento al livello

<sup>3</sup> Per l'analisi delle richieste di policy nel macro-ambito governance, trasversale a tutti i settori delle biotecnologie, si veda il Quaderno 1 "[L'importanza dell'ecosistema per il rilancio del Paese](#)".

	<p>della spesa media degli ultimi due anni, con la rimodulazione dei tetti di spesa per farmaci (spesa convenzionata e spesa per acquisti diretti) secondo il criterio della coerenza fra risorse stanziata e risorse effettivamente spese per ciascuno di essi e in modo tale che lo sfioramento del tetto per gli acquisti diretti sia compensato dall'avanzo sulla spesa convenzionata.</p> <p><b>#TUTELA DEL VALORE DELL'INNOVAZIONE FARMACEUTICA</b>  Attraverso la previsione di risorse aggiuntive dedicate – fondo innovativi e un'adeguata copertura brevettuale – compromessa da obblighi di ripiano e impropria applicazione del concetto di equivalenza terapeutica.</p> <p><b>#NUOVI MODELLI DI FINANZIAMENTO E PAGAMENTO DELLE TERAPIE AVANZATE</b>  Adeguati alle caratteristiche intrinseche delle stesse e che ne garantiscano un equo accesso a tutti i pazienti potenzialmente eleggibili</p>
--	--

### LE CRITICITÀ GIÀ SEGNALATE NEL PAPER BIOTECH 2020

Un sistema sottofinanziato nella sua componente ospedaliera – dove di fatto l'utilizzo dei farmaci è strettamente monitorato e dove vengono inseriti la maggior parte dei farmaci innovativi – può finire per limitare l'accesso alle terapie appropriate da parte dei pazienti. L'innovazione è un valore che va tutelato in quanto tale. Di qui l'importanza del riconoscimento del valore dell'innovazione farmaceutica, operato attraverso la previsione di risorse aggiuntive dedicate ai farmaci innovativi.

### QUALCOSA È STATO FATTO

La legge di bilancio per il 2021, ferma restando la percentuale del 14,85% per la spesa farmaceutica rispetto al fondo sanitario indistinto, ha rimodulato i tetti di spesa farmaceutica a favore della spesa per acquisti diretti, riducendo il tetto della spesa convenzionata dal 7,96% al 7,00% e aumentando il tetto per gli acquisti diretti al 7,85% dal 6,89%.

### QUALCHE DATO DI CONTESTO SULLA GOVERNANCE FARMACEUTICA NEL NOSTRO PAESE

- Negli ultimi 8 anni la spesa ospedaliera, dove arriva l'innovazione, è stata in media di 1 miliardo e 300 milioni più alta rispetto allo stanziamento previsto.
- Negli ultimi 8 anni c'è stato uno sfondamento medio di 1 miliardo e 800
- Secondo gli ultimi dati Aifa, nel 2019 l'avanzo sulla convenzionata è stato superiore a 900 milioni di euro, mentre lo sfondamento del tetto sugli acquisti è stato pari a circa 2,7 miliardi di euro. Neanche la compensazione dei tetti sarebbe quindi sufficiente a garantire la copertura dell'intero capitolo di spesa.

- Entro il 2030, si stima che saranno lanciate fino a 60 nuove terapie avanzate a livello globale, capaci di curare oltre 350.000 pazienti.

### **TO BE... MEDICINA DEL TERRITORIO AL 2027**

1. Rafforzata la diagnosi e la prevenzione, soprattutto per i tumori e per quelle malattie dove la diagnosi precoce gioca un ruolo fondamentale, comprese le Malattie Rare;
2. Garantita la continuità terapeutica anche attraverso la distribuzione per conto e l'home delivery;
3. Modificati i percorsi terapeutici nell'ottica di una de-ospedalizzazione di quei momenti a bassa e/o media intensità di cura utilizzando l'assistenza domiciliare anche attraverso partenariati pubblico/privato
4. Personale selezionato e formato, con particolare riferimento ai medici di base;
5. Sistemi informatizzati e disponibilità di dati per gli addetti ai lavori.

#### Proposte di intervento per il raggiungimento di questi risultati

<b>Interventi legislativi</b>	<b>Le proposte</b>
Legge di Bilancio e Piano Nazionale Cronicità	<p><b>#RAFFORZARE DIAGNOSI E PREVENZIONE</b></p> <p><b>#GARANTIRE CONTINUITA' TERAPEUTICA</b></p> <p><b>#DECENTRALIZZAZIONE DEL PERCORSO DI PRESA IN CARICO DEI PAZIENTI CRONICI, IN UNA LOGICA DI SANITA' DI PROSSIMITA'</b></p> <p>Applicando anche ad altre patologie, ad esempio a quelle neurologiche, il modello del progetto pilota S.M.A.R.T. Care (Soluzioni e Metodi Avanzati di Riorganizzazione Territoriale in sanità) avviato in ambito oncologico. Il progetto prevede, nello specifico, di ottimizzare la qualità dell'assistenza, l'appropriatezza organizzativa e la sostenibilità attraverso:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• l'identificazione del best setting model, che prevede la stratificazione della popolazione oncologica assistita in base al livello di intensità di cura (basso/medio/alto) e la conseguente decentralizzazione dei servizi a basso impegno assistenziale in prossimità o al domicilio del paziente, sotto controllo specialistico in sinergia con i medici di medicina generale;</li> <li>• la creazione di micro-reti di coordinamento, volte a connettere tutti gli operatori sanitari coinvolti e facilitate da momenti formativi come anche dall'interconnessione dei sistemi informativi, in una logica di visione integrata del percorso di presa in carico e cura;</li> <li>• la valutazione dell'opportunità di introdurre figure professionali nuove, quale ad esempio il Case Manager, che eserciti un ruolo attivo di coordinamento nell'ambito delle micro-reti e che si focalizzi sul paziente, accompagnandolo durante tutto</li> </ul>



	<p>il percorso, sia in ospedale che sul territorio o presso il domicilio;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• l'aggiornamento dei PDTA e delle correlate raccomandazioni, comprensivo delle specifiche relative alla sede di erogazione delle singole prestazioni e della definizione dei piani di evidenze necessari per la valutazione di qualità, appropriatezza, esito e sostenibilità dell'assistenza erogata.</li> </ul> <p><b>#PERSONALE SELEZIONATO E FORMATO</b></p> <p><b>#SISTEMI INFORMATIZZATI E DISPONIBILITA' DI DATI</b>  Attraverso un rafforzamento dei sistemi informativi, e in particolare del Fascicolo Sanitario Elettronico, e la definizione di una efficace Health Data Governance, per abilitare l'utilizzo secondario dei dati sanitari a fini di cura, ricerca e programmazione.</p> <p>Per proseguire in questa direzione, è necessario lavorare - attraverso specifiche progettualità che andranno opportunamente definite - su tre direttrici principali:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Definizione di una chiara governance per l'utilizzo secondario dei dati sanitari, a beneficio di una visione completa dei percorsi di cura;</li> <li>• Rafforzamento dei sistemi informativi, in termini di contenuto (dati strutturati, aggiornati, completi e accurati), ma anche di interconnessione, interoperabilità e conseguentemente di efficace raccordo fra i diversi presidi assistenziali;</li> <li>• Creazione/consolidamento di competenze nuove, abilitanti di un utilizzo efficace e metodologicamente rigoroso dei dati e della capacità di prendere decisioni informate dai dati.</li> </ul>
--	--

#### QUALCHE DATO DI CONTESTO SULLA MEDICINA DEL TERRITORIO

- Nel complesso, dei 16 miliardi in totale assegnati alla Missione Salute del PNRR, circa 10 miliardi saranno dedicati alla prossimità, al digitale e alle relative competenze.
- I dati dell'ultimo Studio Censis-Janssen "I cantieri della sanità del futuro 2021" indica che in Italia:
  - nel 2040 ci saranno oltre 19 milioni di anziani e 28 milioni di cronici, con incrementi rispettivamente del 38,5% (+ 5,4 milioni di anziani) e del 12% (+ 3 milioni di cronici);
  - a questo va aggiunta l'emergenza della Sanità sospesa: 46 milioni di visite specialistiche e accertamenti diagnostici e 3 milioni di screening oncologici in meno nel 2020 rispetto all'anno precedente che tornerà presto a impegnare significativamente il SSN.

## PROPRIETÀ INTELLETTUALE: UN CARDINE CHE NON PUÒ ESSERE MESSO IN DISCUSSIONE

Al centro del primo tavolo di lavoro dello scorso 21 maggio si è parlato anche di Proprietà Intellettuale, tema certamente di grande attualità, riconosciuta da tutti i partecipanti al confronto come elemento fondamentale e imprescindibile per garantire stimolo a innovazione e ricerca.

Sull'argomento riportiamo i principali messaggi del "Manifesto sull'accesso allargato a vaccini e trattamenti contro il COVID e sul ruolo della Proprietà Intellettuale" firmato da 300 imprese e associazioni del settore biotecnologico in tutto il mondo, dagli Usa al Regno Unito, da Israele all'Italia, che ribadisce il valore della proprietà intellettuale.

### A DECLARATION FROM MEMBERS OF THE WORLD'S BIOTECHNOLOGY SECTOR ON GLOBAL ACCESS TO COVID VACCINES & TREATMENTS AND THE ROLE OF INTELLECTUAL PROPERTY

*"Il nostro settore deve continuare a svolgere un ruolo costruttivo e proattivo nella ricerca e sviluppo di soluzioni per contrastare la pandemia e nella capacità di produrre queste stesse soluzioni", si legge nella dichiarazione.*

Ala base di questo impegno intenso sta il valore della proprietà intellettuale.

*"La proprietà intellettuale è responsabile della creazione della rete biotecnologica globale che ha risposto così rapidamente alla crisi generata dal COVID. È ciò che dà agli investitori la fiducia necessaria per finanziare società con orizzonti temporali lunghi e rischi elevati. E ha contribuito a garantire la cooperazione e le partnership globali che stanno spingendo aziende, paesi e produttori ad aumentare rapidamente la produzione".*

Le imprese supportano l'obiettivo di allargare l'accesso ai vaccini e ai trattamenti in maniera equa in tutto il mondo, come già avallato dal G-20, superando disparità e squilibri. *"Perché questo obiettivo vada a buon fine sarà necessario che i Governi nazionali allentino le restrizioni legali o contrattuali che possono ostacolare gli sforzi di esportazione verso le popolazioni bisognose, specialmente nei paesi a basso e medio reddito".*

Prosegue il manifesto: *"I colli di bottiglia e le carenze nelle catene di approvvigionamento globale per la produzione di vaccini devono essere affrontati con urgenza. E i sistemi sanitari dei paesi a basso e medio reddito hanno bisogno di un sostegno significativo per garantire che i vaccini arrivino alle persone".*

La *"rinuncia" ai diritti di proprietà intellettuale non è la soluzione, anzi è una opzione inefficace e controproducente per affrontare questa crisi. "I diritti di proprietà intellettuale non sono responsabili dello squilibrio nelle forniture di vaccini COVID tra paesi a reddito più alto e più basso".*

Il sistema farmaceutico in generale e quello biotech nel caso specifico, si basano sul sistema dei brevetti, sulla certezza che questi proteggano l'invenzione e il suo sfruttamento, permettendo così di ricevere quegli investimenti da soggetti privati, che consentano di sviluppare terapie innovative e generare quei ritorni che possano (anche) essere re-investiti nelle medesime attività di innovazione.

*"La "rinuncia" ai diritti di proprietà intellettuale invierebbe un segnale forte al settore biotech e agli investitori che porterebbe a evitare di correre rischi nel provare a sviluppare soluzioni nel caso di future emergenze di salute pubblica".*

Non dimentichiamo poi che, oltre al brevetto, servono impianti, personale specializzato e know-how. I vaccini devono poter essere somministrati, affrontando le difficoltà logistiche che anche i paesi più industrializzati hanno dovuto fronteggiare.

Le stime attuali dicono che i produttori globali di vaccini esistenti produrranno più di 11 miliardi di dosi di vaccini COVID nel 2021 e significativamente di più nella prima parte del 2022.

*"Ci impegniamo a lavorare con altre parti interessate a livello internazionale per fare in modo che queste dosi raggiungano coloro che più ne hanno bisogno, ovunque si trovino", si chiude così il documento di imprese e associazioni biotech nel mondo.*

Giugno 2021

## CONCLUSIONI

Qualcosa di positivo sta decisamente accadendo.

Oggi siamo a un bivio cruciale ed è il momento, come sistema Paese, di scegliere di seguire finalmente la strada dell'innovazione. Abbiamo grazie al Next Generation EU e al PNRR, risorse mai viste prima e un'attenzione delle Istituzioni e dell'opinione pubblica su diverse priorità sulle quali da anni chiediamo interventi di policy.

Sono tanti i segnali incoraggianti per lo sviluppo del settore, come già segnalato nel primo Quaderno "L'importanza dell'ecosistema per il rilancio del Paese": l'innalzamento del credito d'imposta da 4 a 20 milioni, la detassazione del capital gain per chi investe in startup e PMI innovative, solo per citarne alcuni.

Riscontriamo grande attenzione e allineamento da parte del Governo e delle Commissioni Parlamentari su temi che l'Associazione porta avanti da anni: la necessità di rilanciare la ricerca italiana, il finanziamento dell'intera filiera dell'industria farmaceutica innovativa - dalla ricerca di base alla sperimentazione clinica, fino alla produzione e all'accesso al mercato -, l'importanza di avere un'industria forte e competitiva regole più semplici e stabili, procedure snelle e prevedibili, l'urgenza di creare un ambiente istituzionale ed economico in grado di attrarre gli investitori esteri, l'improcrastinabile bisogno di avere regole scritte bene e uffici forti capaci di garantire risposte celeri ed efficaci. Sono tutti temi dei quali oggi l'agenda politica sembra aver preso finalmente coscienza.

Segnali incoraggianti, che fanno ben sperare e che ci fanno dire, con un pizzico di orgoglio, che alcuni dei semi che in questi anni abbiamo gettato, hanno finalmente la possibilità di germogliare.

Rimane forte comunque l'impegno dell'associazione su queste e su una serie di altre tematiche altrettanto strategiche e urgenti quali: lo sviluppo di partnership pubblico-private, la definizione di un nuovo modello di trasferimento tecnologico, il finanziamento delle startup e delle Pmi innovative, la semplificazione burocratica che frenano ancora pesantemente il settore biotecnologico italiano.

\* \* \*

Assobiotec resta a completa disposizione per ogni eventuale chiarimento oltre che per fornire qualsiasi attività di supporto utile ai fini dell'implementazione delle su esposte proposte finalizzate alla crescita economica, competitiva e occupazionale non solo delle aziende del biotech, ma dell'intero sistema Paese. Ricordiamo che, accanto al Quaderno 2 sulle Life Science, è possibile scaricare [qui](#) il Quaderno 1 con le priorità per l'ecosistema e [qui](#) il Quaderno 3 con le priorità sulla Bioeconomia.

Il progetto "Biotech, Il futuro migliore" è realizzato da Federchimica Assobiotec, Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie, con il supporto di StartupItalia e grazie al sostegno di Abbvie, AGC Biologics, Alexion, Astrazeneca, Bayer, BMS, Chiesi, DiaSorin, Genenta Science, Genextra, Gilead, IRBM, Novamont, Novartis, Qiagen, Roche, Rottapharm Biotech, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Vertex.