

Lezione 2.10

Biomed Europa:la proposta

Outline

- Che cosa propone la Commissione Europea
- La proposta dello studio per STOA

Che cosa propone la Commissione Europea

- La Commissione Europea nel 2020 ha avanzato diverse proposte per rafforzare la capacità di intervento della UE nel campo della sanità:
 1. Centro europeo per la prevenzione e il controllo delle malattie (European Centre for Disease Control, **ECDC**)
 2. l'Agenzia europea per i medicinali (**EMA**)
 3. Autorità per la preparazione e la risposta alle emergenze sanitarie (Health Emergency Response and Preparedness Authority, **HERA**, istituita come DG CE)
 4. Agenzia esecutiva europea per la salute e il digitale (in inglese Health and Digital Executive Agency, **HaDEA**, già istituita)
 5. Ci sono poi **Horizon Europe: ERC, EIC, EIT** ed altro ancora...

La proposta dello studio STOA

- **Biomed Europa:** creazione di una infrastruttura di R&S biomedica integrata con lo sviluppo dell'intero ciclo della ricerca, dello sviluppo, della produzione e della distribuzione di nuovi farmaci
- vari profili: missione pubblica, risorse tecnologiche ed umane, organizzazione e base giuridica, interazione con altri attori pubblici e privati del sistema, basi finanziarie

1. **Missione pubblica:** costruire in un **orizzonte temporale** di venti o meglio trenta anni un portafoglio di progetti di R&S innovativi nell'area biomedica
 - **selezionare progetti di importanza critica per la salute umana** in base ad un'agenda di priorità stabilite dal consenso della comunità scientifica e dai sistemi sanitari pubblici dei paesi partecipanti, anche attingendo alle linee guida di diverse istituzioni europee e dell'OMS
 - processo periodico di **consultazione dal basso** nello stile tipico delle infrastrutture di ricerca
 - Biomed Europa potrebbe utilmente effettuare alcuni tipi di **studi clinici, che non interessano le imprese farmaceutiche, relativi a farmaci già autorizzati**
 - Bisogno di sperimentazione clinica per farmaci il cui **brevetto è già scaduto** e che sono stati approvati dalle autorità per usi specifici ma che potrebbero essere impiegati per altre patologie
 - **Vaccini** per nuovi patogeni

La proposta

2. Risorse tecnologiche

- complesso funzionalmente integrato di diversi **laboratori**, che comprendano anche strutture di massimo livello di sicurezza per lo studio di patogeni letali
- Le attività a valle della ricerca di base e preclinica potrebbero essere gestite in proprio o con convenzioni con una o più **CRO**
- Alcune **imprese farmaceutiche** o loro consorzi potrebbero essere invitate a co-sviluppare alcuni progetti
- l'innovazione potrebbe essere sia **demand-driven** che **technology driven**
- mix di **strumentazione** e investimenti tecnologici dipende dalla combinazione di traiettorie innovative suggerite dalla comunità scientifica e dalle autorità sanitarie

3. Capitale umano di eccellenza

- comunità delle scienze della vita conta milioni di ricercatori
- Due **sbocchi professionali**: imprese farmaceutiche → stipendi e contratti di lavoro generosi, no priorità salute pubblica, produzione profitti; università → scopo di pubblicare
- l'influenza diretta o indiretta dell'**industria farmaceutica** sulle stesse agende della ricerca universitaria. Per pubblicare ad alto livello in area medica è spesso essenziale avere partecipato alla sperimentazione clinica in “doppio cieco”

La proposta

4. Modello organizzativo e base legale:

- Biomed Europa non solo debba avere **personalità giuridica**, ma debba avere tutti i requisiti necessari per entrare in proprio o tramite una propria organizzazione controllata nelle procedure di **brevetto e autorizzazione** all'immissione sul mercato dei farmaci
- dovrebbe fare propria la lezione delle infrastrutture di ricerca
- personalità giuridica propria come EMBL o anche ESA
- finanziamenti pubblici a Biomed Europa potrebbero essenzialmente riguardare la ricerca
- **non sarebbe un singolo stato a sostenere un 'campione nazionale'**

- **prevalente interesse pubblico sul tema della salute**
- La **governance** del progetto dovrebbe prevedere meccanismi adeguati di consultazione dei vari attori del sistema
- la costruzione di una **coalizione** sufficientemente forte da convincere le stesse imprese farmaceutiche che gli elementi di **complementarità fra settore pubblico e privato** potrebbero essere prevalenti rispetto a quelli di concorrenza
- **Risorse finanziarie:** riferimento alla quota di ricerca in house del bilancio di NIH cui si aggiungerebbero i costi per le attività a valle di sperimentazione clinica, fino alle fasi finali del ciclo del farmaco e delle altre innovazioni

La proposta

- vi sono pochi dubbi sulla possibile **ricorrenza delle pandemie** e sulla impreparazione ad affrontarle
- la **contrazione globale del Pil** nel 2020 potrebbe essere del 5,2 per cento, e del 7 per cento nelle economie avanzate (di circa il 9% per l'Italia nel 2020)
- Se gli scienziati hanno ragione, **ogni dieci anni** potrebbe esserci con alta probabilità una pandemia

- Pre-Covid (2019) il Pil annuale dell'Unione Europea è all'incirca di 14000 miliardi di Euro nominali. Quindi un investimento annuo di 7 miliardi di Euro, lo **0,5 per mille** del Pil della **UE**, in una infrastruttura come quella proposta sarebbe recuperabile come una sorta di assicurazione sociale per rischi sanitati che valgano un punto di pil ogni dieci anni
- il bilancio 2020 di NIH negli **Stati Uniti** è 41 miliardi di dollari, a fronte di un Pil di circa 22000 miliardi di dollari, per cui la spesa pubblica del governo federale di quel paese per la propria infrastruttura per ogni tipo di patologie, non solo per le malattie infettive, è nell'ordine **dell'1,9 per mille del PIL**

- nel caso degli USA la maggior parte di quel bilancio è speso in **grant**, che dovrebbero essere una voce minore nel progetto qui proposto
- I grant sono un modo **discutibile** di sussidiare la ricerca sul farmaco, che da un lato si disperde in decine di migliaia di rivoli nei laboratori delle università e di singoli gruppi, dall'altro finisce per concentrarsi a valle nelle imprese con la loro agenda selettiva sulla base di criteri di profitto

- Si potrebbe risparmiare molto avendo un sistema di selezione dei **progetti in house**, con il supporto della comunità scientifica internazionale
- una infrastruttura come Biomed Europa con 7 miliardi all'anno di spesa potrebbe lanciare e sostenere «**cento**» **progetti di innovazione** in un **ventennio**, compresa le fasi che includono sperimentazione clinica, deposito di brevetti, approvazioni dalle agenzie del farmaco, monitoraggio, studi comparativi a lungo termine

The STOA study at glance, Dec. 16 21

- **The misalignment of priorities between the public health agenda and the pharmaceutical companies' R&D is a structural issue that cannot be effectively and efficiently corrected by government subsidies to the industry**
- **The EU has large but fragmented capacities for pharmaceutical research: a critical mass is needed to deal with future threats to health in fields underinvested by the industry**
- **A new European player with a public mission in pharmaceutical R&D and innovation is needed**
- **The EU is lagging behind others. The US has strongly reinforced their health federal agencies in terms of budget and scope**
- **A European Infrastructure for Medicines can become the top player in the world. The EU can take advantage of the highly successful model of large-scale research infrastructure, which has proven to be an original solution to the fragmentation of R&D in several fields, from physics (e.g. CERN) to space (e.g. ESA) and biology (e.g. EMBL)**

Content overview

Study objectives



Data & methods



Results



Policy options



Conclusions



1. Objectives of the study

- The business model of the pharmaceutical sector: innovations and **market failures**
- The need of a **large-scale European R&D and innovation infrastructure for medicines**
- **Policy options for a structural change**

2. Data & methods



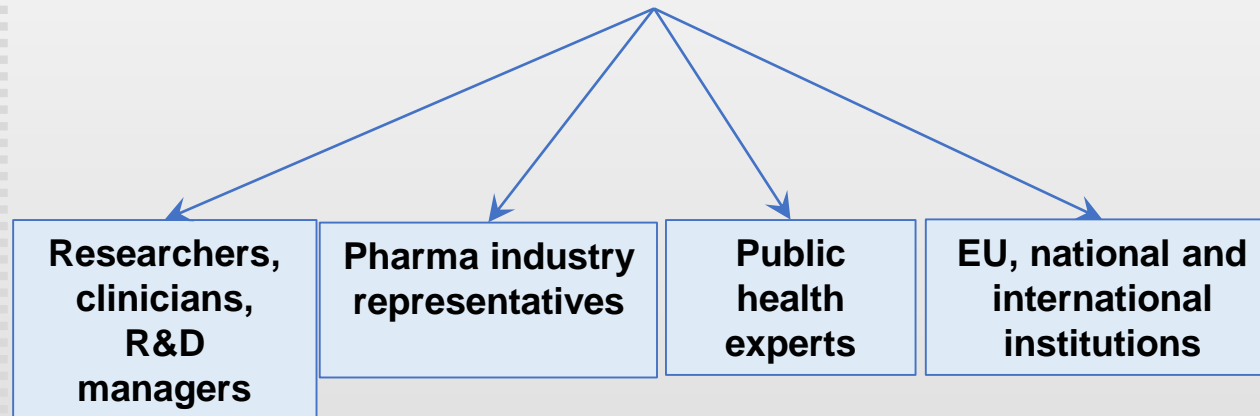
Literature review

- 128 academic papers
- 75 reports
- 26 books
- statistical sources



Interviews to expert stakeholders

- **56 participants from 48 different organisations**



Report drafting

- Evidence triangulation
- Critical reviewers
- Policy options design
- Interactions with Scientific Foresight Unit (STOA)

3. Results

MARKET AND POLICY FAILURES IN A NUTSHELL

1. Disconnection between corporate R&D and health priorities

- **Risky areas** for industry
- **High priorities** for public health
- Governments **subsidies** to corporate R&D: not efficient and effective

2. Mismatch between open science and patents

- Universities and not-for-profit R&D: **open science**
- Pharmaceutical industry: **legal monopoly** for 20 years and more

3. High returns for financial investors in the pharma industry

- **Direct and indirect subsidies** to R&D of new medicines: probably 50% of cost
- **Return on capital** higher than in most industries

3. Results

MARKET AND POLICY FAILURES IN A NUTSHELL

4. Oligopolistic market power

- **Limited competition** and **high prices** of new medicines
- **Affordability** problems for patients and **sustainability** of health care systems

5. Inadequate optimisation studies

- No incentive to perform post-authorisation **comparative clinical trials**
- Unsystematic studies by regulators

6. Information asymmetries

- Pharma companies do not share information on the **R&D, production, distribution cost of medicines**
- Few **independent benefit-cost studies**

4. Policy options

ASSESSMENT OF THE PROPOSALS BY THE EC

- The EC proposal of **European Health Emergency Preparedness and Response Authority HERA**: progress compared to the pre-COVID-19 situation
- Market failures, however, are not adequately addressed by **HERA** (and by the reinforced role of EMA and ECDC)
- HERA apparently will not have the responsibility, resources, and capacities to directly implement its own **pharmaceutical R&D projects**
- HERA would need to mostly rely on the **current pharma players**
- As such, HERA will not have the **critical mass** for a **structural change**



4. Policy options

WHY A EUROPEAN MEDICINES INFRASTRUCTURE?

Research infrastructures are facilities that provide resources and services for the research communities to conduct research and foster innovation in their fields. **Technology Infrastructures** [...] develop, test and upscale technology to advance from validation in a laboratory up to higher technology readiness levels prior to competitive market entry. They can have public, semi-public or private status (European Commission 2021)*



The **research infrastructure paradigm** points to a new avenue in the governance of knowledge-based organizations beyond science, based on collective intelligence and intrinsic motivation, with implications also for mission-oriented innovation policies (Florio 2019)*



*EC, Horizon Europe, Work Programme 2020–2021, 2021. Available at: https://ec.europa.eu/info/funding-tenders/opportunities/docs/2021-2027/horizon/wp-call/2021-2022/wp-3-research-infrastructures_horizon-2021-2022_en.pdf

*Florio, M., Investing in Science: Social Cost-Benefit Analysis of Research Infrastructures, MIT Press, 2019.

4. Policy options

EUROPEAN MEDICINES INFRASTRUCTURE

An organisation pursuing a public health overarching mission, conducting research and innovation, and delivering pharmaceutical and related biomedical innovations through dedicated facilities, resources, and services available to the scientific community, enjoying long-term budgetary autonomy

1

GOAL

Fulfilling European citizens' interest by developing and offering safe, effective, innovative, affordable **medicines in areas affected by market failures**

2

STRATEGY

Comprehensive, forward-looking, **long-term portfolio strategy** and dedicated leadership and governance supported by the consensus of scientific health communities and health authorities

3

INTELLECTUAL PROPERTY

Owning the results on the undertaken R&D projects, and managing intellectual property rights **exclusively in the public interest**

4

PARTNERSHIPS

Open to collaborations, in partnership with third-party research centres at national or European level and with pharmaceutical companies based on **transparent contractual arrangements**

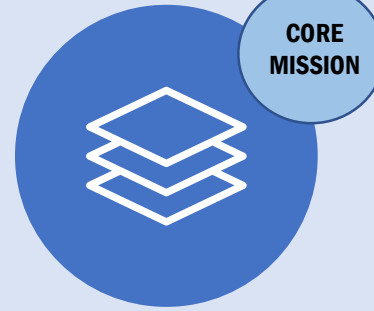
4. Policy options

MISSIONS FOR A EUROPEAN MEDICINES INFRASTRUCTURE



COMPLEMENTARY
MISSION

Treatment optimisation
studies



CORE
MISSION

To build a portfolio of innovative
pharmaceutical R&D projects

Focus on clinical areas:

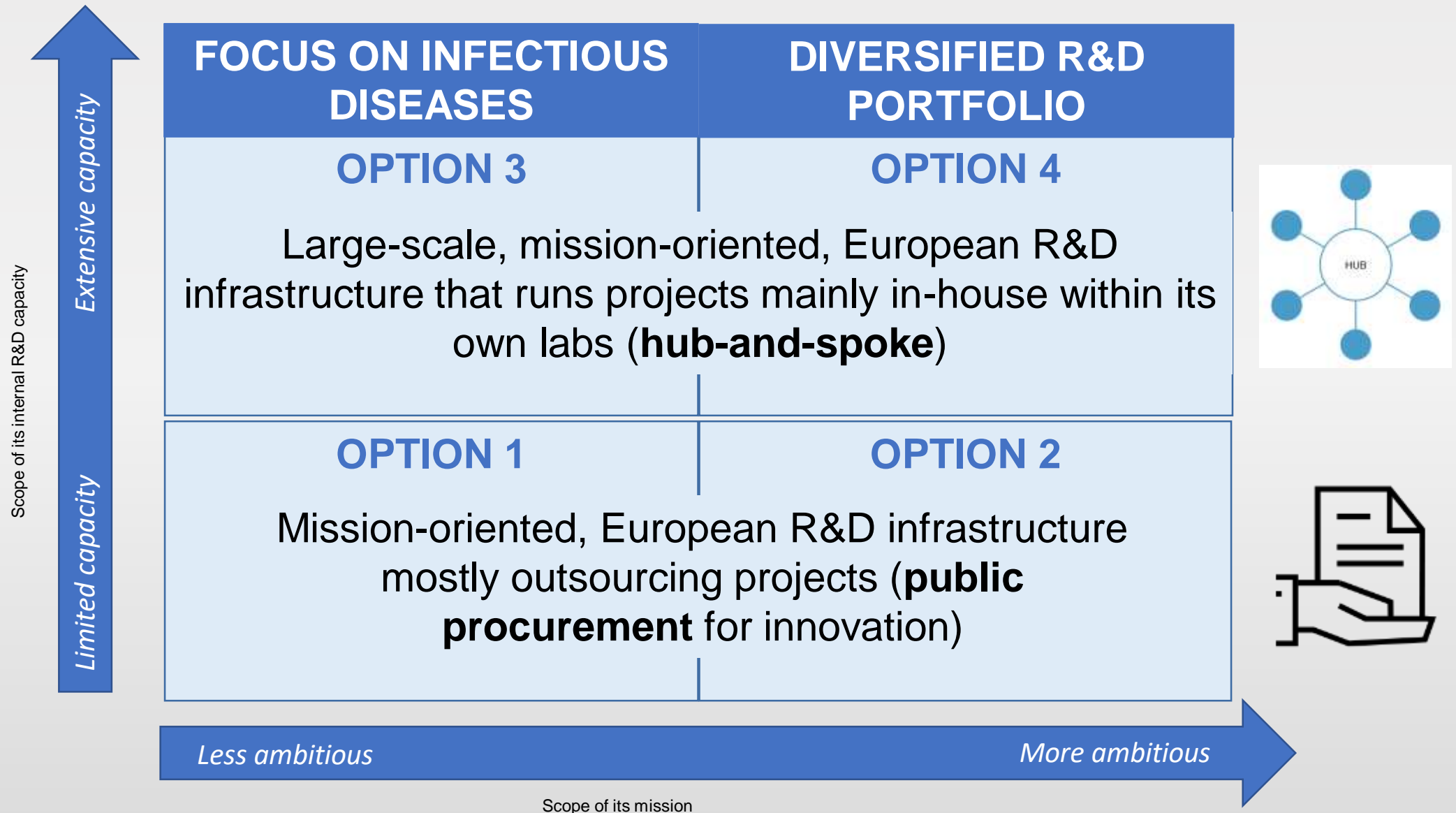
- **Under-invested by the industry and subject to market failures**
- **where there are affordability and equity concerns**
- **where there are shortages**



COMPLEMENTARY
MISSION

Improving generics and ingredients safety and security of supplies

4. Policy options



4. Policy options

EXPECTED OUTCOMES AND BUDGET OVER 30 YEARS

FOCUS ON INFECTIOUS DISEASES	DIVERSIFIED R&D PORTFOLIO
<p data-bbox="448 454 721 504">OPTION 3</p> <ul data-bbox="287 532 805 558" style="list-style-type: none">• New antibiotics, vaccines, other medicines <p data-bbox="563 672 1360 803">Budget: EUR 6.5 billion per year* (size similar to ESA for 2021)</p>	<p data-bbox="1212 454 1485 504">OPTION 4</p> <ul data-bbox="1052 532 1523 558" style="list-style-type: none">• Wider range of biomedical innovations
<p data-bbox="448 858 721 908">OPTION 1</p> <ul data-bbox="287 936 805 962" style="list-style-type: none">• New antibiotics, vaccines, other medicines <p data-bbox="333 1079 1589 1210">Budget: EUR 3.5 billion per year* (size similar to the NIH Intramural Research Program)</p>	<p data-bbox="1212 858 1485 908">OPTION 2</p> <ul data-bbox="1052 936 1523 962" style="list-style-type: none">• Wider range of biomedical innovations



*Given the yearly budgets, taking into account overheads and capital cost, and taking as a benchmark the R&D cost per drug of about EUR 1 billion

5. Conclusions

- The industry is a key player for pharmaceutical **R&D and innovation**
- However, overwhelming evidence of a **structural disconnection of priorities** between corporate strategies and public health priorities
- **Market failures: high financial returns** for private investors because of public subsidies, legal and de facto monopoly power
- **Policy failures:** inefficient subsidies and regulations unable to shift the industry business model, leading to **affordability and sustainability** concerns

5. Conclusions

- **Public research is privatized:**

Patents on the last mile of R&D do not adequately protect public investments



- High consensus of interviewed experts agree on concept of a **European pharmaceutical R&D infrastructure**: a new approach to public-private partnership
- **Four policy options: focus on infectious diseases vs wider portfolio, hub-and-spoke model vs public procurement for innovation model**
- Potentially Europe can host the most important **global player for pharmaceutical innovation** over 30 years of investment