



IL CONSUMO E LA SPESA PER FARMACI ORFANI IN ITALIA

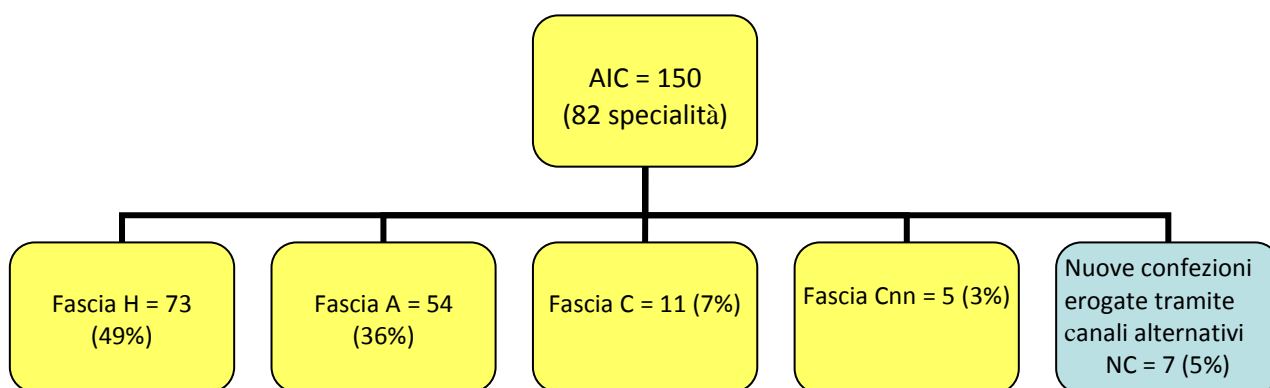
Il 2015 si è riconfermato un anno significativo per l'Agenzia Europea, quanto a farmaci ad uso umano autorizzati: 93, di cui ben 21 per il trattamento di malattie rare. Nell'ambito della ricerca e sviluppo dei farmaci orfani, le aree terapeutiche maggiormente esplorate riguardano in primis quella oncologica, la metabolica, che comprende le terapie enzimatiche sostitutive e a seguire l'area inerente il sistema nervoso centrale.

In particolare, su un totale di 87 farmaci orfani autorizzati dall'EMA (dato cumulato relativo al periodo 2002-2015), 66 di questi (inclusendo i 13 prodotti classificati con la fascia di rimborsabilità C-nn) risultano commercializzati in Italia al 31 dicembre 2015. Dei 21 medicinali rimanenti, 11 prodotti sono in attesa della attribuzione della fascia C-nn, mentre per 2 medicinali, le rispettive aziende farmaceutiche non hanno presentate le relative domande di negoziazione della rimborsabilità e del prezzo. Infine, 8 medicinali sono accessibili sul territorio nazionale tramite i canali di erogazione alternativi al percorso autorizzativo standard che l'Agenzia Italiana del Farmaco mette a disposizione dei pazienti (Legge 648 e Art. 8 della Legge 326/2003).

	N.	Inc %
Medicinali orfani autorizzati EMA		
Medicinali orfani autorizzati AIFA	66	76%
Medicinali in domanda	11	13%
Medicinali distribuiti con altri canali (L.648, Fondo 5%)	8	9%
Nessuna domanda di P&R	2	2%
Totale	87	100%

L'analisi effettuata valutando le fasce di rimborsabilità evidenzia come il totale delle confezioni (AIC) di prodotti farmaceutici orfani, al 31 dicembre 2015, ammonti complessivamente a 150. Tale valore comprende i medicinali orfani della lista dei approvata dal Consiglio di Amministrazione (CdA) dell'AIFA (delibera n. 10 del 27 febbraio 2014), i farmaci orfani non rimborsati dal SSN, in particolare quelli di fascia C, quelli di fascia C-nn e quelli definiti NC (nuova confezione). Questi ultimi sono prodotti erogati sul territorio nazionale attraverso i canali alternativi a quello standard, configurati dalla Legge 648, dall'Art.48 della Legge 326 del 2003 e dal D.M. 1 febbraio 1997, che disciplina la modalità per l'importazione di specialità medicinali registrate all'estero e non autorizzate all'immissione in commercio sul territorio nazionale.

Nel dettaglio, l'85% dei prodotti orfani è a carico del Servizio Sanitario Nazionale (classe di rimborsabilità A e H), mentre il residuale 15%, seppur classificato in fascia di non rimborsabilità (C, C-nn), viene comunque erogato ai pazienti a carico del SSN, poiché erogato attraverso il canale delle Strutture sanitarie pubbliche, sia in regime di ricovero ospedaliero, che attraverso il canale della Distribuzione Diretta.



La spesa per i farmaci orfani, comprensiva della quota relativa all'acquisto da parte delle strutture sanitarie pubbliche e all'erogazione in regime di assistenza convenzionata, è stata nell'anno 2015 di oltre 1,2 miliardi di euro, corrispondente al 5,5% della spesa farmaceutica. In particolare, l'impatto della spesa per i farmaci orfani, classificati nella fascia di non rimborsabilità SSN, rispetto alla spesa totale per questa categoria è dello 0,85% (0,11% nel 2014). Per quanto riguarda il consumo, nel 2015 sono state utilizzate 10,3 milioni di dosi di farmaci orfani, vale a dire appena lo 0,04% del consumo farmaceutico totale. Come analizzato per la spesa, l'incidenza del consumo dei farmaci orfani non rimborsati dal SSN sul consumo totale di questa categorie ammonta all'1,5%, dato in notevole aumento rispetto all'anno precedente (0,0007%).

Inoltre, entrando nel merito delle categorie terapeutiche, le prime tre in termini di spesa sono rappresentate dagli agenti antineoplastici e immuno-modulatori (ATC L), dai farmaci per l'apparato gastro-intestinale e metabolismo (ATC A) e dai medicinali per il sistema cardiovascolare (ATC C), che sono responsabili, rispettivamente, del 49%, 20% e 11% della spesa farmaceutica. Parallelamente, sul versante dei consumi, il 41% è dovuto, come negli anni precedenti, al consumo di agenti antineoplastici e immuno-modulatori, il 13% è attribuibile ai farmaci per il sistema cardiovascolare e l'11% ai farmaci del sistema nervoso (ATC N).

Per concludere, si sottolinea la sensibilità istituzionale che l'Italia, a differenza di altri Paesi europei, ha sviluppato nel corso degli anni, consentendo l'accesso al trattamento farmacologico da parte di un paziente affetto da malattia rara, non soltanto attraverso l'autorizzazione centralizzata, ma anche fornendo strumenti legislativi adeguati (e.g. Legge 648). In particolare, il problema dell'assistenza ai pazienti affetti da malattia rara è stato sempre considerato un argomento rilevante per l'AIFA, che ha garantito il pieno accesso alle persone affette da malattie rare a terapie con farmaci orfani e ha suggerito nel mandato tecnico di consulenza al Governo di porre particolare attenzione alle aziende produttrici di questi farmaci.

Infatti, è opportuno ricordare le norme emanate nel corso degli anni volte a favorire l'accesso ai farmaci orfani attraverso meccanismi di tutela di tipo economico per i titolari di questa tipologia di farmaci. In particolare, si ricorda come, in caso di superamento del tetto nazionale per la spesa farmaceutica ospedaliera, l'AIFA, nel procedere al ripiano a carico delle aziende farmaceutiche, escluda quelle titolari di medicinali orfani e attribuisca tale onere a tutte le altre aziende. A tal proposito, il CdA dell'AIFA ha deliberato l'istituzione di un elenco dei medicinali orfani (Delibera n. 10 del 27 febbraio 2014) e i criteri utilizzati per la sua definizione in attuazione della Legge di Stabilità 2014.

Infine, in osservanza al "Decreto Del Fare" l'AIFA valuta in via prioritaria, rispetto agli altri procedimenti pendenti, tutti i farmaci orfani e quei medicinali di eccezionale rilevanza terapeutica ai fini del prezzo e della rimborsabilità, riducendo il termine per la valutazione da 180 a 100 giorni.