

Pazienti con malattie rare, spesa di 1,36 miliardi l'anno

"Farmaci orfani a rischio per un emendamento che ritratta sull'esclusione degli orfani dal pagamento del payback. Temevamo un attacco ai farmaci orfani già dall'anno scorso e le peggiori ipotesi si sono concretizzate". A lanciare l'allarme è stata la senatrice Laura Bianconi alla presentazione a Roma dei primi dati del neonato OSSFOR, l'Osservatorio Farmaci Orfani nato dall'alleanza di CREA Sanità e Osservatorio Malattie Rare. "La volontà - spiega Bianconi - è quella di escludere dal pagamento del payback solo i farmaci che non superano i 50 milioni di euro per ogni autorizzazione all'immissione in commercio (Aic) con l'aggravante che le aziende sarebbero chiamate a ripianare il 100% dello sfioramento per la distribuzione diretta. Faremo il possibile per scongiurare questo rischio, ma è evidente che servono dati al settore e proposte di policy. E il lavoro di Ossfor deve rappresentare una opportunità in tal senso".??

"L'Italia riesce ancora a garantire gran parte dei farmaci approvati, ma non sappiamo per quanto ancora sarà così - ha spiegato Ilaria Ciancaleoni Bartoli, direttore dell'Osservatorio Malattie Rare -. Il problema è oggi rappresentato dalla crisi economica, che frena l'accesso alla rimborsabilità dei farmaci innovativi ad alto costo. D'altra parte i farmaci orfani, per definizione, hanno dimensioni di mercato piuttosto ristrette, un investimento in ricerca decisamente oneroso e di conseguenza richiedono una spesa elevata. Purtroppo, si verificano già oggi ritardi legati al timore di spesa eccessiva, a livello centrale quanto territoriale, perché le Regioni sono preoccupate per i tetti imposti. Eppure, la 'Sostenibilità' deve essere una virtù, non tradursi in mancato diritto alle cure e disincentivo a ricerca e innovazione, con perdita di know how e sviluppo economico. Dobbiamo trovare il modo di conciliare sostenibilità e diritto alla cura e OSSFOR nasce per un contributo al superamento positivo di questa sfida".

"L'Agenzia italiana del farmaco è disponibilissima ad ascoltare e a confrontarsi con l'Osservatorio farmaci orfani sui passi con cui si intende gestire i dati e il monitoraggio del settore. E siamo pronti a raccogliere le eventuali criticità che emergeranno e che potranno essere utili per migliorare il nostro percorso nell'autorizzazione di questi medicinali" ha assicurato il presidente dell'Aifa, Mario Melazzini, intervenuto alla presentazione. Melazzini ha ricordato l'impegno di Aifa in tema di malattie rare: "Attualmente abbiamo 16 farmaci orfani nel percorso autorizzativo". E il contenitore del Fondo per i farmaci orfani "è sempre pieno perché le richieste non sono molte", ha aggiunto il presidente dell'ente regolatorio nazionale.

Anche l'industria ha salutato favorevolmente il lavoro dell'Ossfor. "C'è interesse da parte delle aziende a una condivisione di dati attendibili - ha affermato Laura Crippa, vicepresidente del Gruppo biotecnologie di Farindustria -. E' un passo avanti anche per sistematizzare delle informazioni su quanto viene investito in ricerca in questo settore e che fa fatica a essere riconosciuto".

"In questa situazione, creare OSSFOR e quindi supportare lo sviluppo di un sistema di monitoraggio ci è sembrato la cosa più utile da fare per aumentare e diffondere le conoscenze sugli aspetti organizzativi ed economici delle malattie rare - ha sostenuto Federico Spandonaro, Presidente CREA Sanità -. Se non si parte da dati aggiornati e puntuali la presa in carico delle malattie rare e l'utilizzo dei farmaci orfani non potrà mai essere efficiente, con danno tanto per i pazienti quanto per il SSN". Nel corso del primo incontro di Osservatorio Farmaci Orfani è stata presentata l'analisi economica dell'impatto delle malattie rare e criteri di valutazione dei farmaci Orfani. "Il primo dato che emerge - ha spiegato Barbara Polistena Responsabile Farmacoconomia e Statistica Sanitaria di CREA Sanità, Osservatorio Farmaci Orfani - è che i malati rari costano complessivamente 1,36 miliardi l'anno, solo l'1,2% della spesa sanitaria. Ogni paziente raro costa circa 5 mila euro, in media meno di un trapiantato e poco più di un paziente con due cronicità. I malati rari sono circa lo 0,46% della popolazione, cioè meno di 45 malati ogni 10 mila abitanti. Sono più femmine che maschi, con una prevalenza dello 0,53% contro lo 0,36%. Si concentrano principalmente in due fasce d'età: giovanissimi e giovani adulti, dai 40 ai 49 anni. In totale i nostri malati sono circa 270 mila, ma si tratta di una chiara sottostima perché il numero si riferisce solo alle persone esenti, che rappresentano solo una parte di questi malati: in molti non hanno ancora l'esenzione". Perfezionare questi 'numeri' è importante, secondo la ricercatrice, perché "per poter governare il sistema abbiamo bisogno di dati attendibili: nessun sistema può essere gestito in assenza di informazioni".

"La relazione dimostra anche quanto sia importante - continua Spandonaro - ai fini di rendere il mercato italiano dei farmaci orfani ancora sostenibile per il SSN garantendo ai pazienti rari continuità d'accesso alle innovazioni, costruire un nuovo algoritmo per la formulazione del prezzo dei farmaci orfani che costituisca riferimento per le decisioni dell'autorità regolatoria. E questo lo si può fare contenendo l'innovazione (costo-efficacia), dimensioni del mercato (e quindi possibilità di ritorno dagli investimenti) e sostenibilità".