



## Open AIFA: l'Agencia incontra le associazioni dei pazienti

Nuovo appuntamento con **Open AIFA**, lo spazio di incontro con cui l'Agencia Italiana del Farmaco promuove il contatto diretto e l'interazione con i pazienti, le associazioni e il mondo accademico e della ricerca, con l'obiettivo di favorirne il coinvolgimento nel percorso regolatorio, nell'ottica di un dialogo aperto e ispirato alla trasparenza. Si è tenuto oggi presso la sede dell'AIFA e ha visto la partecipazione di sette stakeholder.

L'Agencia ha ascoltato i rappresentanti di **APMAR Onlus, Associazione Nazionale Persone con Malattie Reumatologiche e Rare**, che punta a migliorare la qualità dell'assistenza e della vita dei pazienti e ad accrescere le informazioni su queste patologie che, se non diagnosticate in tempo, diventano altamente invalidanti. L'incontro si è incentrato sull'utilizzo dei medicinali biologici e biosimilari per l'artrite reumatoide dell'adulto, l'artrite idiopatica giovanile e le spondiloartriti, farmaci che permettono di raggiungere la remissione della malattia e un notevole miglioramento della qualità della vita dei pazienti. L'Associazione ha portato all'attenzione dell'AIFA l'importanza di assicurare la continuità terapeutica del singolo paziente, ipotizzando anche l'istituzione di un registro e l'avviamento di studi specifici.

Dopo aver sottolineato la necessità di utilizzare al meglio l'evidenza scientifica a beneficio dei pazienti per ottenere più salute possibile con le risorse a disposizione, l'Agencia ha espresso l'intenzione di realizzare, con i Fondi di Farmacovigilanza Attiva, uno studio osservazionale nazionale di due anni a cui saranno invitate a partecipare tutte le Regioni, al fine di raccogliere dati sull'uso dei farmaci per il trattamento di queste patologie.

A seguire, è stato il turno di **AISM, Associazione Italiana Sclerosi Multipla**, con cui si è discusso della situazione relativa all'accesso ai farmaci per questa patologia e dell'importanza di garantire la continuità terapeutica a tutti i pazienti. In particolare, l'AISM ha sottolineato come i farmaci sintomatici prescritti non siano tutti rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e ha chiesto l'ammissione alla rimborsabilità per quelli che trattano i sintomi a maggiore impatto sulla qualità della vita dei pazienti.

I rappresentanti dell'Associazione hanno inoltre illustrato il progetto di ricerca Registro Italiano Sclerosi Multipla, che raccoglie i dati clinici attuali e pregressi dei pazienti attraverso la collaborazione con 140 centri italiani specializzati, inserito fra i 5 registri europei per la Sclerosi Multipla ed entrato a far parte anche degli studi PASS (studi di sicurezza post-autorizzazione) lanciati dall'Agencia Europea dei Medicinali

(EMA). L'AIFA ha riconosciuto l'importanza dei dati raccolti e si è dichiarata disponibile a trovare il modo per metterli a fattor comune, a beneficio dei pazienti.

L'Agenzia ha poi ascoltato i rappresentanti di **EpaC Onlus**, l'Associazione che riunisce i pazienti affetti da epatite e da malattie del fegato e che ha portato all'attenzione dell'Agenzia lo stato di avanzamento del piano di eradicazione dell'epatite C e gli ostacoli che ancora oggi i pazienti incontrano sul proprio percorso. All'incontro hanno partecipato anche rappresentanti del Ministero della Salute, la dott.ssa D'Alberto (Direzione Generale della Prevenzione Sanitaria) e la dott.ssa Vinci (Segreteria Tecnica del Ministro).

L'AIFA, convenendo sulla necessità di approfondire eventuali distorsioni in termini di accesso alla terapia, si è impegnata a lavorare di concerto con il Ministero della Salute per individuare soluzioni concrete, alla luce delle preoccupazioni espresse da EpaC Onlus in merito all'ipotesi che i farmaci per la cura dell'epatite C escano dal cosiddetto fondo per gli innovativi. Altro punto di particolare rilievo è stato rappresentato dall'ipotesi che l'Associazione possa accedere ai dati restituiti dai registri di monitoraggio per tarare meglio i propri interventi sui territori. In considerazione della proposta di piano che sarà presto sottoposta al Ministro della Salute, l'Agenzia si è resa disponibile a individuare gli strumenti migliori per rafforzare il proprio ruolo e facilitare il raggiungimento di questo obiettivo. L'Associazione ha infine illustrato le proprie proposte perché l'Italia possa pienamente aderire alla strategia globale dell'Organizzazione Mondiale della Sanità ed eliminare completamente la patologia.

L'incontro è proseguito con **WALCE, Women Against Lung Cancer** in Europe, un'associazione che si propone di sensibilizzare la popolazione femminile rispetto al tumore al polmone e di informare e supportare le persone che ne sono affette e i loro familiari. Sono state illustrate le campagne di sensibilizzazione e i progetti messi in atto per supportare i pazienti, sottolineando l'importanza della pratica della Mindfulness nella patologia oncologica.

Tra le associazioni partecipanti anche **AMEGEP, Associazione Malattie Metaboliche e Genetiche Puglia**, che ha posto la questione delle problematiche relative all'erogazione di prestazioni extra LEA nelle Regioni soggette ai piani di rientro e all'accesso ai farmaci inseriti in classe C per i malati affetti da patologie rare, evidenziando come per molti di questi pazienti gli integratori rappresentino un salvavita.

L'AIFA, che considera le malattie rare una sua priorità, ha informato che a breve, con la nomina e l'insediamento della nuova Commissione di monitoraggio dei LEA, le associazioni dei pazienti potranno comunicare le proprie esigenze e proporre l'introduzione di determinati prodotti nei LEA, come confermato anche dalla dott.ssa Vinci (Segreteria Tecnica del Ministro della Salute), presente all'incontro.

È stata infine la volta dei rappresentanti dell'**Associazione Famiglie SMA e Avexis**, che hanno portato all'attenzione dell'Agenzia le prospettive per il futuro dei pazienti affetti da Atrofia Muscolare Spinale

(SMA), malattia genetica rara che ha un'incidenza di circa 1 neonato ogni 10.000 e che - nella sua forma più grave (SMA di tipo 1) - costituisce la più comune causa genetica di morte infantile.

È stata evidenziata l'importanza degli screening neonatali per identificare i bambini affetti dalla malattia nel più breve tempo possibile e sono state discusse le grandi speranze che la ricerca ha inaspettatamente reso possibili. Una nuova terapia genica sperimentale per il trattamento dell'Atrofia Muscolare Spinale di tipo 1, attualmente in valutazione da parte della Food and Drug Administration (FDA) e del Comitato per i Medicinali ad Uso Umano dell'EMA, potrebbe infatti aumentare la sopravvivenza e migliorare la vita dei bambini affetti da SMA, garantendo un'opzione terapeutica di fondamentale importanza per cambiare la storia naturale della malattia.