CONVEGNO 21 MARZO 2007
FARMACI INNOVATIVI

Intervento: *Dott. S. Bruni*
(Direttore medico – GENZYME S.r.l.)
In sostituzione del Dott. Riccardo Palmisano
(Vice President e General Manager - GENZYME S.r.l.)

Buongiorno a tutti.

In realtà io non sono il Dott. Palmisano; lo sostituisco indegnamente. Il Dott.Riccardo Palmisano è il Direttore Generale di Genzyme S.r.l. mentre io sono solamente il Direttore Medico.

Questo "scambio di persone" tutto sommato non è neanche un male perché nella mia posizione di medico (tra l'altro da poco giunto in azienda, dopo anni trascorsi presso l'Università Politecnica delle Marche lavorando come Pediatra metabolista e ricercatore, proprio nel settore delle malattie rare) posso spostare la discussione, fino a questo momento condotta su un piano più squisitamente tecnico-politico, ad un livello più medico.

Partirei dunque da una riflessione ed in particolare da quello che ci diceva questa mattina l'On. Fumagalli Carulli a proposito dei farmaci innovativi e delle biotecnologie che definiva come "una realtà ormai ineluttabile per la salute pubblica" e ancora definiva il farmaco biotecnologico come "un valore aggiunto". Io sono ovviamente assolutamente d'accordo, come medico e come rappresentante di un'azienda che lavora nel campo delle biotecnologie, con questo assunto.

Oggi noi possiamo dare effettivamente una risposta ad una serie di malattie estremamente rare, che fino a ieri affliggevano pazienti senza nessuna possibilità di terapia, senza nessuna speranza di vita; pazienti che conducevano un'esistenza molto breve e che, comunque, anche quando un po' più prolungata, era un'esistenza estremamente triste, fatta di continui

ricoveri, di accessi nei dipartimenti di emergenza-urgenza ospedalieri, di cure palliative, spesso molto costose ma sempre, inevitabilmente, inutili.

Genzyme lavora con un interesse particolare nel campo delle malattie da accumulo lisosomiale. Ad oggi abbiamo messo a disposizione dei malati e della comunità scientifica quattro terapie enzimatiche sostitutive che certamente non possono essere definite dei me-too in quanto vanno a colmare un vuoto assoluto che esisteva.

Grazie all'impegno della ricerca Genzyme, oggi e da 15 anni a questa parte, sono trattabili malattie estremamente gravi che voi probabilmente in parte conoscete: la malattia di Gaucher, la malattia di Fabry, la Mucopolisaccaridosi tipo 1 e, recentissimamente, la Glicogenosi tipo 2, meglio conosciuta come malattia di Pompe.

In un prossimo futuro, magari in occasione di una riunione come quella di oggi, speriamo di potervi dire che siamo in grado di trattare anche la malattia di Niemann-Pick.

Stiamo parlando di malattie che hanno un'incidenza variabile da un caso ogni 40 mila la più frequente, la malattia di Gaucher, a un caso su 250 mila, come la malattia di Niemann-Pick o un caso ogni 200 mila come la malattia di Hurler-Scheie, cioè la Mucopolisaccaridosi di tipo 1.

Per darvi un'idea, Genzyme ha in trattamento in Italia circa una ventina di pazienti affetti da Mucopolisaccaridosi di tipo 1. Per questi farmaci Genzyme ha investito in ricerca e sviluppo centinaia di milioni di dollari. Valeva la pena? Io sono sicuro di si. E che Genzyme tutta lo creda, ne è prova il fatto che continua a orientare la sua ricerca nello specifico settore delle malattie rare.

Va dato atto assolutamente all'AIFA, al Dott. Martini, alle istituzioni, di avere posto una notevole attenzione sulle malattie rare. Se è vero, come è vero, che per esempio con AIFA è stato possibile mettere in piedi uno studio clinico in una fase molto delicata della sperimentazione dell'ultimo farmaco per la

terapia enzimatica sostitutiva della glicogenosi di tipo 2. La fase cioè immediatamente pre-registrativa, pre-approvativa all'EMEA.

Ebbene questo studio ha permesso in Italia di trattare, in un tempo precedente rispetto a quello che sarebbe stato possibile in attesa dell'approvazione del farmaco da parte dell'EMEA, un certo numero di pazienti affetti dalla forma giovanile di questa gravissima malattia ed ha permesso all'AIFA di verificare l'efficacia di questo farmaco.

Il Dott. Martini diceva che i farmaci innovativi sono tali "se effettivamente apportano un beneficio per il paziente"; ebbene questo studio ha rappresentato la possibilità per AIFA di verificare immediatamente che questo era vero. Ciò ha portato successivamente ad un vero *fast track* per l'approvazione di questo farmaco e anche di questo bisogna dare atto all'AIFA.

Vorrei attenermi a quello che è stato chiesto, cioè di non discutere di politica economica e quindi lo farò molto poco. Tuttavia credo che in realtà non sia completamente vero che il tema degli sprechi in sanità non c'entra niente con questa riunione di oggi. Infatti è assolutamente vero che l'Italia è lunga e stretta, come suole dirsi, e che purtroppo non in tutte le Regioni l'accesso al farmaco innovativo, al farmaco orfano è ugualmente facile; e ciò ovviamente è dovuto a motivi meramente economici. Vi posso assicurare che anche per un farmaco salvavita come quello per la glicogenosi di tipo 2, i pazienti hanno più che qualche problema a farsi trattare in alcune Regioni d'Italia e la motivazione che sottostà a tale atteggiamento è quella che il farmaco costa troppo.

Ora, per ricollegarmi ad una cosa che diceva molto velocemente il Dott. Giustozzi questa mattina, la spesa sanitaria in Italia sicuramente è elevatissima. Avete però anche potuto vedere come il peso per l'assistenza è molto maggiore di quello per i farmaci. Ciononostante i tagli sono fatti soprattutto sui farmaci e forse molto meno evidentemente sull'assistenza.

Per aver lavorato per anni in un ospedale so bene quante giornate di ricovero non necessarie si sprecano perché non si riesce a far fare nei tempi programmati una risonanza magnetica, una TAC o un qualsiasi esame anche molto più banale a un paziente che ne avrebbe bisogno. Questo è solo uno dei tanti esempi che potrebbero essere fatti di sprechi eliminabili; basterebbe dare un pochino più di efficienza al nostro sistema.

In questo senso mi pare di notare una contraddizione nel vedere che l'AIFA e il Ministero della salute da un lato sponsorizzano la ricerca di farmaci innovativi (e lo fanno non solo moralmente ma anche concretamente, visto che sono stati stanziati in finanziaria dei fondi a disposizione per la ricerca in questo settore) e contemporaneamente tagliano del 5 + 5% il prezzo di un farmaco messo in commercio nel 2007 a motivo della necessità di ripianare lo sforamento della spesa sanitaria dei due anni precedenti, quando il farmaco non esisteva.

Ecco credo che questo forse valga la pena di ricordarlo. Credo che oggi però la cosa più importante per tutti sia dire che quella fotografia che vi faceva vedere il Dott. Giustozzi alla fine della sua relazione che mostra una cagnetta con i suoi cuccioli, già oggi potrebbe tranquillamente essere sostituita con la fotografia di una mamma che tiene in braccio il figlio che ha messo al mondo. Una immagine di questo tipo testimonierebbe già di per se stessa un miracolo, quello della nascita di una nuova vita. Ma a maggior ragione di un miracolo si dovrebbe parlare se si considerasse che quella mamma è una mamma affetta da malattia di Gaucher che non sarebbe mai potuta arrivare in età fertile e mettere al mondo un bambino e che grazie alla terapia enzimatica sostitutiva oggi invece ha questa gioia. E la stessa cosa vale per una mamma che soffre di una delle altre malattie rare che già oggi sono curabili grazie a farmaci biotecnologici innovativi.

Vi ringrazio.