MALATTIE RARE E VALORI DELLA VITA

"Il punto di vista dell'industria"

Roma, 3 dicembre 2004

Le malattie rare: un problema da risolvere insieme

I farmaci orfani rappresentano un'area particolarmente delicata e complessa sotto il profilo etico ed economico.

Gli alti costi (800 milioni di euro) e i tempi (dodici anni) necessari per la ricerca e l'immissione in commercio di un farmaco nuovo sul mercato rendono estremamente difficile la ricerca per la cura delle cosiddette malattie rare.

L'industria farmaceutica non può sostenere da sola l'innovazione in questo campo, considerata l'oggettiva impossibilità di recuperare le ingenti risorse impiegate con la commercializzazione di farmaci destinati a un numero esiguo di pazienti.

Ciononostante, le imprese contribuiscono alla soluzione del problema e vengono incontro alle aspettative dei pazienti colpiti da malattie rare, ma tale problema deve essere anche affrontato con uno sforzo comune del pubblico e del privato (con l'introduzione di congrue agevolazioni fiscali, finanziarie, procedurali).

In Italia, la materia è resa ancora più complessa dalla carenza di misure di incentivazione dell'innovazione e della ricerca e da un quadro politico e legislativo che vede il settore farmaceutico sempre e soltanto come una voce di spesa e non come una opportunità di crescita economica e scientifica del Paese. Questo dimostrano gli otto interventi di taglio diretto o indiretto dei prezzi dei medicinali rimborsabili effettuati negli ultimi tre anni (uno ogni tre mesi). Riduzioni che hanno portato i prezzi italiani del 21% sotto la media europea.

I primi segnali positivi dall'Europa

Anche se in forte ritardo rispetto agli Stati Uniti, nel 1999 l'Unione Europea ha adottato un regolamento (UE 141/2000) che consente alle aziende che facciano ricerca nell'area delle malattie rare di avere l'esclusiva del prodotto sul mercato per dieci anni e di essere esonerate in toto o in parte dal pagamento dei diritti all'Agenzia Europea per la registrazione dei farmaci. Il Regolamento rinvia poi ai singoli Stati membri l'onere di varare misure specifiche di incentivazione. L'Italia non

ha purtroppo ancora dato seguito a tale indicazione, anche se sono diversi i progetti di legge presentati in Parlamento da esponenti di forze politiche dei due schieramenti che attendono di essere discussi e approvati.
In Europa il Regolamento UE (meno flessibile e meno ampio di quello USA) ha consentito nei suoi quattro anni di applicazione di ottenere 226 orphan designation e l'approvazione di 16 farmaci orfani, più della metà dei quali sono destinati al trattamento del cancro, di malattie autoimmunitarie e di malattie metaboliche. Più della metà dei 16 farmaci orfani autorizzati a livello UE sono presenti e rimborsati in alcuni Paesi (Francia, Germania, Spagna, Olanda e Svezia).

L'esempio positivo degli USA

Negli Stati Uniti l'introduzione di una normativa ad hoc ha fortemente incentivato l'impegno delle imprese nel campo delle malattie rare (Orphan Drug Act) e risale al 1983.
L'Orphan Drug Act ha fatto sì che oltre 1100 farmaci in sviluppo (ossia 1100 nuove speranze di cura) abbiano ottenuto la qualifica di farmaco orfano e 230 l'approvazione dalla FDA, con un incremento dei medicinali disponibili per il trattamento delle malattie rare mai registrato nel passato. Ora 11 milioni di pazienti possono essere curati e si calcola che 108.000 vite umane sono state salvate da sicura morte (Lichtemberg).

Che cosa fare in Italia a favore della cura delle malattie rare

E' evidente che per affrontare le malattie rare in Italia è necessario cambiare innanzitutto l'approccio generale al settore farmaceutico con una politica nuova che consideri le imprese del farmaco una ricchezza e non un costo.
Nello specifico: snellire le procedure di accesso al mercato per i farmaci orfani; costituire un Fondo per finanziare la ricerca per la lotta alle malattie rare; defiscalizzare gli investimenti in particolare per la ricerca clinica; creare una banca dati nazionale delle persone affette da malattie rare. Oltre che recepire finalmente la Direttiva europea 98/44 sulla tutela brevettuale delle invenzioni biotecnologiche, tenuto conto che molti dei farmaci orfani sono biotec.
Il sostegno alla ricerca in questo settore può costituire un volano di crescita per le PMI, le start-up biotecnologiche e le spin-off accademiche.

Considerato che l'80% delle malattie rare sono su base genetica è proprio l'Area del Biotec che può dare il massimo contributo con la scoperta di nuovi farmaci.
Negli USA, ad esempio, agli inizi degli anni '80, contestualmente allo sviluppo dell'industria biotecnologica, gli incentivi previsti dall'Orphan Drugs Act (in particolare il sostegno alla ricerca clinica attraverso il credito d'imposta) ha consentito la crescita dell'industria del settore e va ricordato che alcuni "colossi" hanno avuto come primo farmaco autorizzato un farmaco orfano.
Anche in Europa delle attuali designazioni i tre quarti sono state ottenute da PMI, in buona parte biotecnologiche.
In Italia il Decreto Bindi del 18 maggio 2001 n. 279 ha istituito la Rete Nazionale per le Malattie Rare e l'esenzione di partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie e quindi di farmaci per alcune patologie inserite in tale elenco.
Per quanto riguarda, invece, i veri e propri farmaci orfani compresi nell'elenco dei 16 approvati dall'EMEA, l'Italia sta recuperando i tempi di blocco o quasi delle AIC dovuto al 9 ter e alla fase di avvio dell'AIFA. Attualmente in Italia sono stati approvati 9 farmaci orfani.

L'impegno di Farmindustria

Farmindustria e le imprese che rappresenta dal canto loro intendono offrire il loro contributo alla cura delle malattie rare. Spetta alle industrie, nell'ambito delle proprie responsabilità sociali d'impresa, testimoniare sempre più di sostenere la ricerca scientifica in settori come quello delle malattie rare.
Ma le imprese chiedono anche che sia accelerata l'introduzione di misure effettivamente incentivanti la ricerca in generale e quella dei farmaci orfani in particolare.
Farmindustria proprio per manifestare il suo impegno etico in questo settore ha promosso, tra l'altro, la pubblicazione e la distribuzione di un libro che rappresenta una mappatura delle Associazioni dei pazienti affetti da Malattie Rare. La Guida è stata realizzata da Orphanet Italia in collaborazione con UNIAMO (Federazione Italiana Malattie Rare Onlus) e diffusa in tremila copie in ambito medico scientifico e del volontariato.
Un piccolo gesto - che sarà seguito da altre iniziative concrete - a favore di quanti soffrono doppiamente, perché malati e di una malattia orfana di farmaci, che intende confermare la volontà delle imprese farmaceutiche ad impegnarsi per aiutare a trovare cure efficaci.