FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE:

MALATTIE RARE E SVILUPPO ECONOMICO

Martedì, 18 settembre 2012 ore 9.30 – 13.00
AUDITORIUM MINISTERO DELLA SALUTE
Lungotevere Ripa, 1 - Roma

Prof.ssa Adriana Ceci

Fondazione per la Ricerca Farmacologica Gianni Benzi Onlus
Via Abate Eustasio, 30 - 70010 Valenzano (Ba) – C.F. 93347800729 - P.IVA 06780820723
Tel 080-9643146 - Fax 080-9643144 - info@fondazionebenzi.org - www.fondazionebenzi.org
Iscritta in data 19/11/08 al n° 47/P del Registro delle Persone Giuridiche della Prefettura di Bari

Quanto costano in Italia le Malattie Rare?

Considerate tutte insieme la Malattie Rare non sono Rare e possono rappresentare un importante burden per i governi.

Le risorse rese disponibili sono però molto spesso utilizzate male per

- **errori o ritardi delle diagnosi**
- **dispersione e carenza territoriale dei servizi**
- **poche Lineeguida o Protocolli condivisi**

per il trattamento ottimale

- **scarsi presidi diagnostici e terapeutici disponibili**

(farmaci orfani) con ricorso a trattamenti non validati

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

Quanto costano in Italia le Malattie Rare?

Presidenza del Consiglio dei Ministri , 2011

il 57,9% dei pazienti è costretto a sostenere personalmente le spese della terapia con una spesa annua che va da un minimo di 800 euro a un massimo di 7.000

1 paziente su 4 rinuncia alle cure. Il 37% per ostacoli burocratici
Il 20% ricorre a prestiti finanziari
Il 32% è sotto la soglia della povertà

per molti genitori far fronte ai bisogni assistenziali significa peggiorare la propria condizione lavorativa, se non interromperla

CNB COMITATO NAZIONALE PER LA BIOETICA

Studio Pilota ISFOL, 2008

Tribunale dei diritti del malato, 2008

http://www.eurordis.org. 2009

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

MALATTIE RARE E SVILUPPO ECONOMICO

Le risorse disponibili sono però spesso utilizzate male

services have been shown to save money

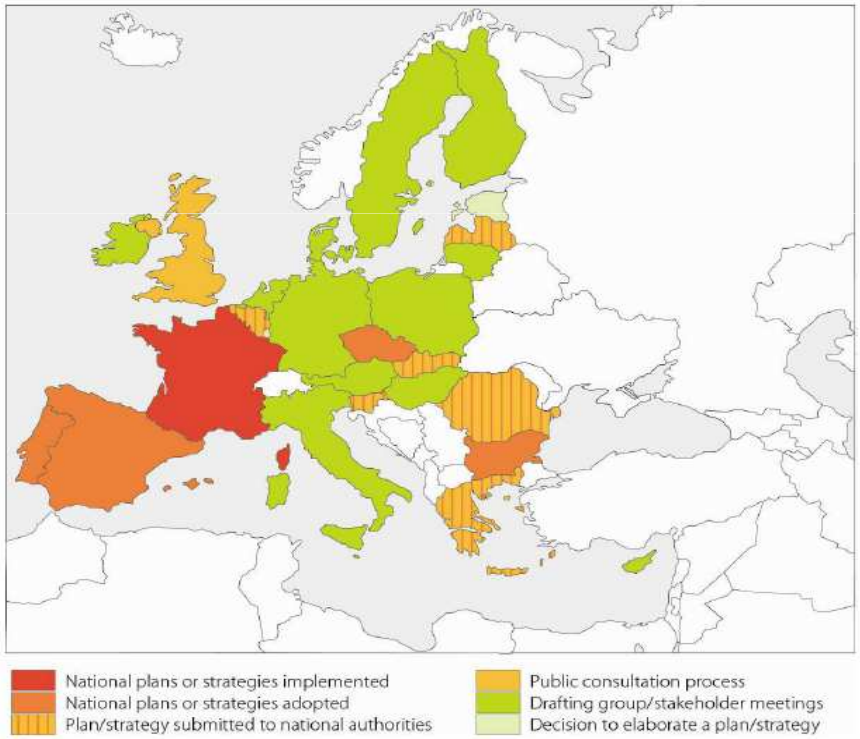


Figure 2a: Current stages of development of national plans or strategies for rare diseases in EU MS (in December 2011)[55]

Raccomandazione del 2009 del Consiglio dell'UE

I tre obiettivi del Piano Nazionale della Francia

Improve the quality of care for rare disease patients;
Develop research on rare diseases;
Amplify European and international cooperation in th

Le azioni del Piano Nazionale della Francia

- Quality assessment and networking of the French Reference Centres;
- Improvement of access to biological and genetic diagnosis;
- Development of neonatal screening of rare diseases;
- Proper use and facilitated access to drugs, orphan medicinal products necessary to patients;
- Information and training of health professionals;
- Information for patients;
- Strengthening of research.

FONDAZIONE
PER LA RICERCA FARMACOLOGICA
GIANNI BENZI
ONLUS

MALATTIE RARE E SVILUPPO ECONOMICO

Quanto costano in Italia i Farmaci Orfani?

Il problema non sembra essere il costo dei pochi farmaci esistenti ma il 'burden' della malattia in funzione della mancanza di servizi adeguati e di FARMACI EFFICACI!!

AIFA, 2010

il consumo di farmaci Orfani nel 2010 è stato pari a 6.839.423 DDD (dosi giornaliere) per una spesa di **661.709.750** euro.

DATI ORPHANET

il costo dei farmaci orfani oggi varia da 1.251 a 407mila euro all'anno, con una media di 32-70 mila euro di spesa in dodici mesi

Non è previsto un incremento ulteriore nei prossimi 10 anni.

Misure Speciali in Italia per i Farmaci Orfani

- Legge 648 del 1996: rimborso per farmaci:
  - Non ancora autorizzati in Italia
  - In sperimentazione clinica ma ancora senza AIC
  - Per indicazioni diverse dall'AIC
  - Uso consolidato (20.1.2010)
- Decreto 11.2.1997: importazione farmaci senza AIC in Italia
- Legge 94(Di Bella) del 1998 : usi off label
- Decreto 8 Maggio 2003: protocolli di accesso allargato
- Dlegs219/2006: conferma 11.2.97 e 8.5.2003.

Misure Speciali in Italia per i Farmaci Orfani: le novità del decreto Balduzzi

le Regioni e le Province autonome sono tenute ad

assicurare l'immediata disponibilità - a carico del SSN- dei medicinali **che a giudizio della CTS dell'AIFA** possiedono il requisito della innovatività terapeutica.

aggiornare semestralmente **i Prontuari terapeutici** ospedalieri che saranno monitorati da un Tavolo Tecnico presso l'AIFA

Possibili vantaggi: maggiore tempestività-maggiore omogeneità

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

Misure Speciali in Italia per i Farmaci Orfani: le novità del decreto Balduzzi

Revisione straordinaria del Prontuario farmaceutico nazionale ed altre disposizioni dirette a favorire l'impiego razionale ed economicamente compatibile

collocazione in classe C) dei farmaci terapeuticamente superati e di quelli la cui **efficacia non risulti sufficientemente dimostrata**

Una deroga per farmaci che curano malattie rare dovrebbe essere prevista: spesso si tratta di farmaci non innovative e/o che non hanno prove di efficacia nella specifica malattia.

Misure Speciali in Italia per i Farmaci Orfani: le novità del decreto Balduzzi

Revisione straordinaria del Prontuario farmaceutico

richiesta di rimborsabilità può essere presentata solo successivamente al rilascio dell'AIC
Collocazione in un'apposita sezione della classe C, dedicata ai farmaci non ancora valutati

Non si applica ai farmaci orfani o di particolare interesse terapeutico

Misure Speciali in Italia per i Farmaci Orfani: le novità del decreto Balduzzi

Revisione straordinaria del Prontuario farmaceutico

modifiche alla Legge 648/96,: se è disponibile un'alternativa terapeutica , la presenza nell'elenco della 648/96 di un farmaco non autorizzato è ammessa unicamente nel caso in cui – a giudizio della CTS di AIFA – **esso possieda un profilo di sicurezza**, non inferiore a quello del farmaco autorizzato **e quest'ultimo sia eccessivamente oneroso** per il SSN

alternativa terapeutica va definita. (stessa indicazion/condizione, stesso gruppo di età, studi nella specifica condizione)
Se è in 648 probabilmente non ha ancora un profilo di sicurezza completo.
Da valutare caso per caso

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE

LA LEGGE 648/96:
MODELLO EUROPEO DI SANITÀ PUBBLICA DA PERFEZIONARE

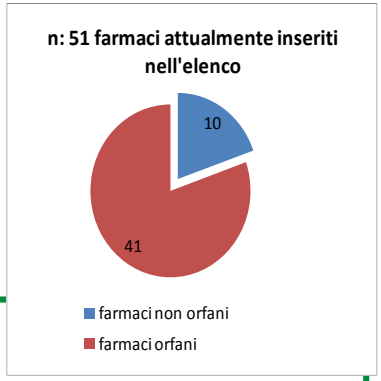
Giovedì, 10 maggio 2012 ore 8.30 – 14.30

CONCLUSIONI

La 648 è un 'valore' italiano ed ha influenzato la norma europea

La 648 ha coperto anche gli usi off-label

La 648 si è dimostrato un valido strumento per rispondere ai bisogni dei pazienti



- I FARMACI ORFANI SONO ANCORA POCHI
- LE IMPRESE E I RICERCATORI HANNO DIFFICOLTA' A SVILUPPARLI
- I COSTI SONO ELEVATI MA 'SOCIALMENTE' UTILI
- LA DISTRIBUZIONE SUL TERRITORIO E' DISOMOGENEA E DISEGUALE

FONDAZIONE PER LA RICERCA FARMACOLOGICA GIANNI BENZI ONLUS

STATI GENERALI DELLE MALATTIE RARE

LA LEGGE 648/96:
MODELLO EUROPEO DI SANITÀ PUBBLICA DA PERFEZIONARE

Giovedì, 10 maggio 2012 ore 8.30 – 14.30

CONCLUSIONI

L'assemblea chiede
che venga rivista e sistematizzata tutta la materia relativa all'Uso Temporaneo di farmaci per portatori di Malattie Rare dando attuazione all'art.158, punto 10 del D. L. n.219/2006 che prevede la definizione dei criteri e delle modalità 'per l'uso di medicinali privi di AIC in Italia, e/o off-label e l'uso compassionevole di medicinali non ancora registrati'

- Mantenimento delle procedure per accesso all'uso temporaneo già previste dalla Legge 648 incluso i farmaci di uso consolidato utilizzati off-label;
- Accesso preferenziale all'ATU per i farmaci destinati ai portatori di Malattie Rare anche se non elencate nell'allegato 1 del regolamento n.279/2001:
- Obbligatorietà di inserimento con tempi certi nei prontuari regionali e ospedalieri;
- Creazione di una Commissione AIFA per la valutazione degli ATU
- Esclusione dei farmaci orfani dall'applicazione della Legge 111(spesa ospedaliera)
- Defiscalizzazione delle spese sostenute in Italia per la ricerca clinica e pre-clinica per farmaci orfani e malattie rare.