MALATTIE RARE E FARMACI ORFANI

Le singole malattie "rare" colpiscono fortunatamente solo poche persone, ma riguardano circa il 10% della patologia se consideriamo che nel loro insieme sono circa 5000. Esistono infatti malattie rare del sistema nervoso, cardiovascolare, polmonare, endocrino e così via. A scopo puramente amministrativo – secondo una direttiva dell'Unione Europea – si definiscono rare quelle malattie gravi che colpiscono 5 persone ogni 10.000. Malattie con questa frequenza hanno scarse probabilità di suscitare attività di ricerca terapeutica perché la spesa per sviluppare nuovi farmaci non permette di realizzare adeguati profitti anzi in molti casi non può che determinare perdite significative.
Le malattie rare si possono perciò definire malattie antieconomiche, mentre i farmaci che le curano vengono chiamati farmaci orfani.
Basti ricordare in questo senso che per sviluppare un nuovo farmaco, se tutto va bene, si devono avere a disposizione almeno 200 miliardi di lire da impiegare in un periodo di circa 10 anni. Chi mai si imbarcherà in un progetto del genere? Non certo l'industria farmaceutica che, non essendo un ente di beneficenza, orienta la sua ricerca verso il profitto.
Dopo molti decenni, in cui tutta l'attività di ricerca è stata delegata all'industria farmaceutica (spesso con ottimi risultati), ci si accorge con un certo stupore che ciò non è sufficiente. Viene infatti a mancare una parte della ricerca di interesse pubblico.
Già nel 1983 negli Stati Uniti è stata approvata una legge sui farmaci orfani che stimola questa ricerca attraverso incentivi: l'esclusività della vendita per sette anni anche se il farmaco è già al di fuori del brevetto, la disponibilità di fondi per la ricerca, la detassazione. Leggi analoghe sono già state emanate anche in Australia, in Giappone e Singapore. Solo alla fine del 1999 è stata approvata anche in Europa una legge che aiuta lo sviluppo di farmaci orfani; tuttavia si tratta solo di un primo passo perché l'unico effettivo incentivo proposto è l'esclusività della vendita per dieci anni.
E' necessario quindi integrarla in più direzioni.

1. Deve essere creato un fondo europeo ad hoc, indipendente dall'industria, che sia disponibile a sostenere ricerche di università, fondazioni, associazioni di ammalati, industrie, ecc. che presenti progetti con una validità scientifica.
2. E' necessario predisporre a livello dei singoli Stati dell'Unione Europea adeguati incentivi fiscali per chi si occupa di malattie rare e di farmaci orfani.
3. Occorre cambiare la politica dei brevetti. Chi detiene un brevetto che può essere applicato per un farmaco orfano deve obbligatoriamente cederlo, nel caso in cui non lo utilizzi. Se la ditta non vuole più produrre il farmaco deve essere obbligata a cedere ad altri la possibilità di fabbricarlo.
4. I farmaci orfani devono essere necessariamente a carico del Servizio Sanitario Nazionale.

Non è una strada facile da percorrere, tuttavia è tempo che ci si occupi anche dei pazienti più sfortunati.

Silvio Garattini