FARMINDUSTRIA

Roma, 28 novembre 2006

Malattie rare e disabilità - "Siamo rari... ma tanti..." - Sinergie, Salute, Famiglia, Scuola. (Roma, 1° dicembre 2006)

Ricerca e Sviluppo: non solo competitività ma speranza
Sergio Dompé, Presidente Farmindustria

L'allungamento della vita media non è stato mai così intenso come nell'ultimo secolo: dal secondo dopoguerra, ogni quattro mesi, se ne è guadagnato uno di vita in più. Se, all'inizio degli anni '50, l'aspettativa di vita era di 65 anni, oggi è, infatti, di 80. Un risultato che è certamente frutto del progresso economico, sociale e sanitario ma che, altrettanto certamente, dipende in buona parte dai nuovi medicinali messi a disposizione dalla ricerca. E' anche grazie ai farmaci se oggi la mortalità infantile in Italia è del 5 per mille, l'80% in meno rispetto agli anni '70 e se nei Paesi in via di sviluppo si è quasi dimezzata.

Le conquiste della ricerca sono speranze che diventano opportunità in grado di modificare il modo di vivere, consentendo una vita migliore e più lunga, trattamenti meno invasivi e, quindi, sofferenze minori per i malati e per quanti sono loro accanto.

La ricerca farmaceutica è un processo lungo, complesso e costoso. Un processo che richiede molti anni e diverse fasi di sperimentazione clinica, tutte regolate da specifiche norme e linee guida internazionali che garantiscono l'attendibilità dei dati, la tutela dei diritti, della sicurezza e del benessere dei soggetti che partecipano agli studi.

Per rendere fruibile un nuovo farmaco sono necessari 12-13 anni di impegno e di ingenti investimenti che possono arrivare a diverse centinaia di milioni di euro. Solo una sostanza ogni 5-10 mila supera con successo i molti test necessari per essere approvata come medicinale e solo 3 farmaci su 10 consentono di ammortizzare i costi di ricerca e sviluppo. Le imprese sostengono oltre il 90% della ricerca farmaceutica e promuovono il 75% delle sperimentazioni cliniche.

Una sfida ancora più complessa per i farmaci orfani a causa di una maggiore difficoltà nel descrivere la storia naturale delle singole patologie, caratterizzate da molteplici varianti e nell'identificare percorsi diagnostico-terapeutici, complicati dall'esiguo numero di strutture e operatori sanitari (spesso non omogeneamente distribuiti sul territorio) in grado di fornire risposte soddisfacenti per la salute dei pazienti.

Associazione delle imprese del farmaco
Sede: 00187 Roma Largo del Nazareno 3/8
Tel +39 06 675801 Fax +39 06 6786494
C.F. 80400040582

Ufficio di Milano: 20149 Milano Via Giovanni da Procida 11
Tel - Fax +39 02 33105583
www.farmindustria.it
Aderente a Confindustria

Negli Stati Uniti una normativa ad hoc (l'Orphan Drug Act del 1983) ha fortemente incentivato l'impegno delle imprese per le malattie rare: si è passato dai 10 farmaci approvati per malattie orfane negli anni '70 ai 108 prodotti autorizzati tra gli anni 1984-1994 e agli oltre 160 farmaci approvati negli anni 1995-2005.

L'Unione Europea, nel 1999, ha adottato un regolamento che agevola le aziende che sostengono la ricerca nell'area delle malattie rare. Dal 2001 ad oggi, a fronte di 458 domande di assegnazione della qualifica di farmaco orfano, 22 prodotti hanno già ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio sul mercato europeo e 268, già designati orfani, sono attualmente in fase di sperimentazione clinica.

Il regolamento UE prevede anche la possibilità di accedere ad appositi incentivi, siano essi messi a disposizione dalla Comunità o dai singoli Stati membri, i quali dovrebbero, attraverso questo meccanismo, stimolare una competizione ed una partecipazione delle singole imprese operanti nel proprio territorio.

Purtroppo, fino ad oggi, in Italia, si è ancora in attesa dell'introduzione di norme e di iniziative specifiche di incentivazione rivolte a facilitare piani di ricerca e sviluppo per prodotti medicinali orfani.

A fronte della mancanza di definizione di alcuni strumenti operativi previsti dalla legge comunitaria, come ha, intanto, risposto il nostro Paese? In Italia non mancano certamente le potenzialità per la sfida: 30 farmaci di origine biotecnologica sono, attualmente, in avanzata fase di sviluppo clinico e 29 in fase preclinica; l'impegno dei grandi gruppi è sempre più evidente; brillanti ricercatori, con crescenti doti manageriali, si adoperano per dare vita ad imprese piccole ma innovative, quali, solo per citare alcuni esempi, Philogen, Newron, Nicox, Gentium, Bioxell, Molmed, Layline Genomics, Z-Cube. Vale, poi, la pena di ricordare il caso della Gentium, nata nel 2001 e già quotata al Nasdaq, che ha saputo esprimere un "primato tutto italiano" collocando la sua fondatrice Laura Ferro tra le prime dieci "women to watch" in Europa secondo il Wall Street Journal.

E', inoltre, di fondamentale importanza la volontà di mantenere e sviluppare sempre più un dialogo costruttivo tra tutti gli operatori della salute (Istituzioni, medici, pazienti, imprese). Il Ministero della Salute ha già operato positivamente su questo fronte realizzando, tra l'altro, la rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia di queste malattie, il registro nazionale presso l'Istituto Superiore di Sanità, l'elenco delle malattie per le quali è riconosciuto il diritto all'esenzione alla partecipazione al costo per le prestazioni correlate di assistenza sanitaria, le modalità di erogazione e di prescrizione delle prestazioni.

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), infine, anche per il 2006, ha pubblicato un bando finalizzato alla promozione delle ricerche sui farmaci orfani per malattie rare o farmaci per sottogruppi di pazienti non responders.

Le imprese del farmaco sono pronte a sostenere un approccio nuovo che sappia coinvolgere pubblico e privato in una logica di solidarietà e con risorse, anche finanziarie, adeguate alla sfida. E' necessario, in definitiva, sviluppare sinergie, incentivi coerenti, agevolazioni fiscali, finanziarie e procedurali, oltrechè norme di tutela brevettuale che promuovano le biotecnologie dalle quali può venire la risposta alla maggior parte delle malattie rare.