Associazione “G. Dossetti: i Valori”

Farmaci orfani e diritti dei cittadini: a che punto siamo?

La giornata d’oggi così densa di spunti, di riflessioni, di dati riguardanti le malattie rare e i farmaci orfani non devono farci dimenticare l’ispirazione ideale che ci ha portato ad organizzarla e a renderla viva grazie all’apporto di uomini di scienza, di cultura e soprattutto, grazie ai malati ci hanno dato i loro suggerimenti e ci hanno riferito i loro problemi.

Giuseppe Dossetti riflettendo sui compiti dello Stato contemporaneo che ha visto il fallimento dello statalismo collettivista e i penosi limiti dell’individualismo neo-liberale, poneva la prospettiva di un nuovo Stato, in cui i valori della persona umana, dei suoi inalienabili diritti potessero trovare un riconoscimento adeguato e totale nelle strutture sociali del Terzo millennio.

Il diritto alla salute di tutti i cittadini così solennemente riconosciuto dalla nostra Costituzione è tra quei valori cui alludeva Dossetti sia quando parlava del “Quinto Stato” sia quando alludeva a quel patriottismo della Costituzione che è presidio di difesa e di legalità, non solo formale, per tutti i cittadini.

Per l’attuazione di questi valori costituzionali abbiamo dato vita più di un anno fa ad un Osservatorio di Tutela Civica che si pone all’ascolto delle richieste dei cittadini, dei loro problemi e cerca, con le istituzioni, la via migliore per promuovere e tutelare la dignità della persona umana.
La nostra Associazione, vuole render vivo l’insegnamento di Dossetti, attraverso l’attualità dei valori fondanti, l’agire umano a cui l’agire politico non può rimanere estraneo: la qualità della vita come priorità d’intenti dell’azione politica è il nostro manifesto culturale che ci caratterizza.

Già la definizione di farmaco orfano urta l’idea di una pari dignità di ogni essere umano, che non dovrebbe essere mai subordinata alle spietate leggi di mercato, laddove si dice, invece,: ” Il farmaco orfano è quel prodotto che potenzialmente è utile per trattare una malattia rara ma non ha un mercato sufficiente per ripagare le spese del suo sviluppo”.

Con la globalizzazione dei mercati e delle merci si è quasi persa di vista la persona, ogni persona, che non può vivere sballottata tra i profitti di mercanti interessati solo ai loro utili economici.Per noi la vita umana vale più di qualsiasi bilancio aziendale e non potremmo mai accettare l’idea che i contabili della salute decidano chi deve salvarsi e chi no, quali malattie studiare e quali no, quali farmaci produrre e quali accantonare, quali speranze dare e quali non dare.

In una recente visita effettuata nel reparto pediatrico del Policlinico di Napoli il Presidente della Repubblica Carlo Azeglio Ciampi rivolgendosi ai genitori di un bambino affetto da morbo di Hurler e in trepida attesa di un farmaco proveniente dagli Stati Uniti ha affermato che è necessario dare attenzione ai più deboli e a coloro che sono duramente colpiti nella salute.

Noi intendiamo ,appunto, dare attenzione a tutti coloro che sono colpiti da patologie gravi per la cui salute soltanto da pochi anni in Europa e in Italia si è decisa una linea di considerazione verso i gravi problemi connessi alle loro infermità.

Due milioni di cittadini italiani sono colpiti da patologie rare e circa 20 milioni in tutta Europa sono i malati che soffrono di malattie ancora, per la gran parte, sconosciute.

L'altissimo numero di questi malati dovrebbe indurre le forze politiche nazionali e locali ad una politica sanitaria che sia messa in condizioni da dare risposte soddisfacenti non soltanto in termini di assistenza ospedaliera e farmacologia ma anche sociale poiché, come vedremo, la percentuale elevata di bambini e di ragazzi affetti da queste patologie, ha ricadute sociali non indifferenti.

Il Regolamento di Istituzione della Rete Nazionale delle Malattie Rare varato nel 2001, dopo anni di attesa, è stato sicuramente in balzo in avanti per venire incontro ai malati e alle loro famiglie ma va considerato, secondo noi, solo un primo passo normativo verso una tutela dei diritti che deve fare ancora tanta strada. Il Regolamento, infatti, contempla soltanto alcune delle 5000 malattie riconosciute come rare.Ci auspichiamo un allargamento del diritto d'esenzione a quei malati non ancora contemplati nell'elenco delle malattie e dei gruppi di malattie rare.

Le associazioni qui rappresentate avranno modo di dire quali sono i maggiori problemi sul tappeto sia di interesse generale sia di collegamento con particolari situazioni.

Noi , come Osservatorio di Tutela Civica abbiamo riscontrato tra le varie segnalazioni dei cittadini alcuni punti dolenti che rimettiamo alla valutazione delle forze politiche non solo presenti in questa sala ma sensibili,nei luoghi istituzionali, a lavorare per rendere meno faticosa la vita di chi è già duramente provato dalla malattia.

Accesso al farmaco

I genitori di una ragazza di 16 anni , S.C. di Roma, affetta da sindrome adreno-genitale congenita hanno tuttora difficoltà a procurarsi i farmaci nel presidio farmaceutico pubblico di zona poiché, nonostante la documentazione fornita un anno fa dopo vari e dispendiosi viaggi al Centro Sant'Orsola di Bologna ,oggi , secondo gli operatori della ASL , si deve ripetere tutta la documentazione per ottenere quei farmaci somministrati a suo tempo.

Altri dispendiosi viaggi a Bologna,fatica per ottenere una documentazione che sarà sempre la medesima per tutta la vita della ragazza.Ci chiediamo: è proprio necessario allungare così i tempi per una richiesta di farmaci che sarà, comunque, sempre la stessa?

La burocratizzazione del problema si oppone ad un diritto riconosciuto dalla legge ma non adeguatamente reso fruibile da alcuni operatori.

Un altro aspetto riguardante il diritto di accesso al farmaco riguarda quelle medicine che, comunque, possono migliorare la vita del malato oppure ostacolarne la progressione.

Per fare un esempio per la retinite pigmentosa , pur non essendoci un farmaco specifico i farmaci di ausilio sono tutti a totale carico dei malati.

Noi chiediamo che per questi farmaci di aiuto, attualmente collocati nella fascia a totale carico dei malati, siano collocati , previa certificazione medica, nei farmaci di totale esenzione.

Vi sono malattie rare che richiedono indispensabili protesi per una qualità della vita il più possibile accettabile.E' il caso, ad esempio, della displasia ectodermica, che oltre alle protesi richiede per i malati anche delle creme specifiche per la pelle o per gli occhi che oggi sono a totale carico dei malati.

Si impone anche un aggiornamento del personale medico e paramedico e, soprattutto, una collaborazione tra i Centri interregionali di Riferimento e le ASL territoriali.

Nei casi di palesi violazioni dei diritti,come quello che vi ho menzionato sopra ,i centri Interregionali di Riferimento dovrebbero assicurare alle famiglie anche una copertura legale perché è inconcepibile che ad un'eccellenza degli standard qualitativi di un Centro poi corrisponda una scadente rete nel territorio che produce quelle sofferenze inutili così diffuse nel nostro Paese.

Occorrerebbe informare di più i cittadini che incontrassero difficoltà ad accedere al farmaco per qualsiasi motivo istituendo, magari, un numero verde a cui rivolgersi.

Bisogna anche considerare la diversità di standard garantiti da regione e regione.Perché un malato residente in Emilia Romagna può disporre di un farmaco essenziale in minor tempo rispetto ad un pari malato della Calabria?

La Regioni in gran parte non hanno ancora identificato il coordinamento dei presidi di Rete previsto dall'art.2 del Decreto 279.Lì dove il coordinamento è stato identificato non si è proceduto all'organizzazione di mezzi e strutture tali da garantire le finalità previste dalla Legge.

Segnalazioni ci giungono anche per la complessità dell'iter burocratico soprattutto quando un farmaco specifico deve giungere dall'estero.Spesso la corrispondenza tra il Centro e il referente straniero si perde inutilmente lungo procedure assolutamente inadeguate alla gravità delle patologie.Su questo punto ci auguriamo che presto si possa giungere ad uno snellimento procedurale nell'interesse del malato.

Vi è poi il problema della prescrizione dei farmaci rari.Oggi un medico generico non può prescrivere questo tipo di farmaco. Abbiamo, però, numerosi casi in cui per la rapidità della somministrazione sarebbe necessaria una prescrizione anche ad opera del medico di famiglia.Si pensi, ad esempio, a farmaci tenuti a bassa temperatura in frigorifero e al caso frequente di un'interruzione di energia elettrica che in poche ore rende inservibili medicinali acquistati per mesi di terapia.Oppure al trasferimento in località di villeggiatura ove occorresse al malato una prescrizione rapida di un farmaco magari dimenticato a casa.Su questo alcune associazioni di malati rari hanno già richiesto da tempo un cambiamento di normativa che possa rendere meno complesso l'accesso al farmaco.

La figura del medico di base, secondo noi, dovrebbe essere molto più rivalutata sia per una diagnostica quanto più tempestiva sia per il monitoraggio sugli effetti collaterali dei farmaci che è indispensabile quando viene usato un medicamento non diffuso e poco studiato in letteratura.
Il diritto di accesso al farmaco rende, quindi, necessario un cambiamento nel dispositivo che dalla richiesta possa giungere rapidamente al destinatario senza ulteriori tempi morti d'attesa.

Le farmacie pubbliche, private e ospedaliere dovrebbero avere un collegamento in rete con le ASL e i Centri di riferimento per un migliore percorso del farmaco raro in tutte le sue fasi.

Il disegno di legge .n1040 presentato di recente al Senato con il titolo"Disciplina della ricerca e della produzione di farmaci orfani" ha, tra i vari obiettivi, quello di snellire la pesantezza burocratica e di attivare una rete di servizi sociali di cui oggi veramente si sente un urgente bisogno come vedremo successivamente.

Diritto alla ricerca scientifica

Dal 1983 negli Stati Uniti con l'approvazione della legge federale Orphan Drugs Act l'industria chimica farmaceutica che investe sui farmaci orfani viene incentivata con una serie di misure che rendono appetibile, in termini economici, la produzione di specialità medicinali di questo tipo. Si prevede, ad esempio, uno sgravio fiscale pari al 50% delle spese sostenute per la ricerca e viene prolungato il periodo di esclusiva per la commercializzazione dei prodotti.

Nel 1993 una legge simile è stata promulgata in Giappone. Queste leggi hanno permesso in pochi anni di mettere in commercio più di 800 farmaci per altrettante patologie rare.

In Europa soltanto nel 2000 con il regolamento n.141 si è arrivati a prevedere sostegni per l'industria farmaceutica che investe nella ricerca e nella produzione di farmaci orfani.

Il Regolamento afferma che "…i pazienti colpiti da tali affezioni hanno diritto a ricevere medicinali che presentino la stessa qualità, sicurezza ed efficacia garantite agli altri pazienti".

E' da notare che negli USA la ricerca viene svolta per il 90% da piccoli laboratori, con pochi ricercatori che vi lavorano.Il rimanente 10% la ricerca viene affidata alla grande industria.

Le concentrazioni di enormi gruppi industriali in Europa non ha favorito la ricerca poiché è stato più conveniente acquistare i brevetti all'estero che investire nella ricerca scientifica.

Con il Regolamento 141 sarà invece favorita proprio la piccola e media industria farmaceutica italiana già protagonista di scoperte farmacologiche di grande significato in campo scientifico.

Afferma l'art.9 del Regolamento "I medicinali qualificati come orfani possono beneficiare di incentivi messi a disposizione dalla Comunità e dagli Stati membri allo scopo di promuovere la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei medicinali orfani e in particolare delle misure di aiuto alla ricerca a favore delle piccole e medie imprese previste dai programmi quadro di ricerca e sviluppo tecnologico".

Noi ci chiediamo se l'Italia stia applicando e in che misura un dispositivo che, comunque, potrebbe favorire la ricerca e la produzione di farmaci orfani.

Sarebbe interessante conoscere l'ammontare delle somme pubbliche che il nostro Paese ha elargito nell'ultimo anno alle imprese che operano nel campo della ricerca scientifica: imprese pubbliche, imprese private grandi e piccole.

Noi riteniamo che le associazioni dei malati rari debbano essere non solo coinvolte nella battaglia per agevolare in tutti i modi la ricerca scientifica ma anche sul monitoraggio permanente circa l'uso delle risorse che già vengono assegnate a questo scopo.

Vorremmo sapere, ad esempio, come vengono gestiti o non gestiti i finanziamenti destinati all'Istituto Farmaceutico Militare di Firenze: credo che i malati abbiano bene il diritto ad ogni trasparenza in proposito.

Diritto all'istruzione
Parlando di malattie rare e di farmaci orfani non possiamo fare a meno di riaffermare un diritto, quello all'istruzione, visto che gran parte sono malattie genetiche che colpiscono fin dalla prima infanzia.

Nonostante vi siano stati numerosi progressi in questo campo dobbiamo registrare che rimane ancora molto da fare.

Il nostro Osservatorio di Tutela Civica ha raccolto molte segnalazioni che vanno dalla mancanza di mezzi di trasporto da casa a scuola alle difficoltà di somministrazione dei farmaci in orario scolastico, dalla ancora inefficiente rete informatica negli ospedali per consentire ad alunni colpiti da patologie rare di seguire le lezioni per via telematica al mancato aggiornamento dei docenti per alunni portatori di tali patologie.

B.F. alunno romano di scuola superiore affetto da una rara malattia intestinale non poteva collegarsi con il computer alla sua scuola poiché nella stanza dell'ospedale pediatrico in cui era ricoverato non c'era nessuna presa telefonica.

E' questo solo un esempio di come le malattie rare comportino problemi non solo risolvibili mediante farmaci ma anche con più attenzione dal punto di vista sociale.

Un altro problema è quello degli assegni scolastici versati dall'INPS alle famiglie di alunni con gravi patologie che frequentano le scuole medie e superiori.

A Roma molte famiglie sono in attesa da anni di ricevere assegni scolastici per anni scolastici già trascorsi poiché gli uffici competenti, invalidi civili ed INPS, non si mettono d'accordo sull'invio della documentazione.

Tutto questo produce un danno non soltanto economico ma soprattutto morale per quelle famiglie che devono lottare già duramente con le malattie i loro effetti.

Vorremmo che l'art.34 della Costituzione fosse applicato verso le migliaia di ragazzi e di giovani costretti a lunghe assenze dai banchi di scuola a causa di ricoveri, viaggi nei Centri clinici, terapie domiciliari e quanto altro.La legislazione scolastica vigente dovrebbe introdurre il principio della scuola a domicilio per i malati che hanno il diritto, comunque, alla scuola, al tempo e al loro futuro.

Diritto alla qualità della vita
Molto spesso i farmaci non bastano a garantire uno standard di vita qualitativamente accettabile per molti malati affetti da patologie rare.

Le recenti cronache hanno dato risalto alle condizioni sociali in cui vive un bambino romano di due anni affetto da leucodistrofia, costretto a vivere in un locale abusivo di 40 metri quadri, senza finestre, poiché i suoi genitori non possono permettersi di più.

I servizi sanitari devono integrarsi con i servizi sociali: se questo è vero per tutte le malattie invalidanti lo è ancora di più per le malattie rare, di cui spesso gli operatori sociali non conoscono nulla in termini di problemi concreti che le famiglie devono affrontare ogni giorno, superando ostacoli immensi anche riguardo alla comunicazione di ciò che hanno i loro congiunti.

Noi crediamo che i servizi domiciliari, il sostegno economico,l'attenzione dei medici e degli assistenti se messi in rete possono consentire una migliore qualità della vita non come concessione

estrema ma come un vero e proprio diritto rivendicato in base ai nostri principi costituzionali e confermato dalla nascente legislazione europea.

Non vorremmo che accadesse mai più quanto successo a Filippo S. di Firenze che per rimediare medicine molto costose per il figlioletto affetto da una rara patologia congenita ha effettuato un anno fa alcune rapine in banca finendo in carcere con una lunga condanna.

Se manca il sostegno sociale , psicologico e soprattutto umano anche i diritti fondamentali della persona finiscono per essere rari.

Ci capita di assistere sempre più di frequente a tragedie determinate proprio dalla solitudine in cui le famiglie devono gestire situazioni di dolore troppo grandi per essere assorbite senza traumi talvolta devastanti.

Il 28 settembre scorso un'insegnante di Parma si è ucciso assieme al figlioletto di nove anni affetto da atrofia muscolare spinale ed in coma da tre anni.Spesso è necessario un supporto psicologico costante ed immediato che , purtroppo, è raro da ottenere dalle strutture pubbliche.

Non sempre il dispositivo della legge 104/92 sui permessi ai familiari dei disabili trova le dovuta applicazioni nei casi in cui la patologia è diagnosticata come rara. Anche in questi casi la lunghezza burocratica che va dalla presentazione di una domanda per un permesso all'ottenimento dello stesso passa attraverso un lungo e penoso iter burocratico non sempre rispettoso delle sofferenze di chi sta male.

Ho presentato solo alcuni aspetti a latere del problema farmacologico poiché, come è facilmente comprensibile, il trattamento di una malattia rara è solo in parte risolto dall'assunzione di un farmaco.

L'Associazione "Giuseppe Dossetti" ritiene che il convegno di oggi debba costituire un punto di non ritorno perché il tema delle malattie rare e dei farmaci orfani non solo venga dibattuto ed approfondito ma anche messo nel giusto risalto nell'agenda sanitaria e socio-assistenziale.

Per questo motivo abbiamo attivato il Dipartimento Malattie Rare all'interno della nostra associazione e in cartella troverete il sito ed una casella di posta elettronica a cui si potranno rivolgere i cittadini che vogliono non soltanto segnalare disfunzioni e ritardi ma anche proporre rimedi e suggerimenti che, partendo dal vissuto e dal quotidiano, offrano l'occasione di entrate nel merito delle problematiche aperte.

In questi giorni in cui si parla di tagli alle spese sociali e sanitarie non vorremmo che la scure si abbattesse proprio sulle fasce particolari dei portatori delle Malattie Rare.Per questo associamo la nostra voce a quanti, nelle associazioni dei malati di queste patologie, esprimono preoccupazione per il mantenimento dell'assistenza farmaceutica che dovrebbe essere intoccabile in un Paese i cui la salute è dichiarata un diritto costituzionale.

Noi abbiamo visto in questi giorni annunciare dal Ministero della Salute alcuni progetti di ricerca co-finanziati con capitali pubblici e privati.Grandi gruppi farmaceutici potranno contare su finanziamenti pubblici per importanti ricerche nel campo degli anziani, delle infezioni e dell'AIDS.

Ci auguriamo che presto analoghi accordi vengano sanciti per le Malattie Rare ancora una volta ignorate non solo dal mercato ma dalla stessa valutazione ministeriale nella decisione delle patologie da partnerschip.

Anche se servisse a salvare una sola vita umana, il cui valore è incommensurabile, il capitale investito avrebbe una resa sicura nell'aumentare il grado di civiltà di una società che non valuterebbe le quantità e le percentuali ma la qualità di ogni vita umana da tutelare e da difendere.

Recentemente una ricerca americana ha dimostrato che "L'olio di S.Lorenzo" contribuisce notevolmente a ritardare i sintomi nei bambini geneticamente predisposti alla adrenoleucodistrofia.

Grazie alla caparbietà di alcuni genitori eroici la sfida lanciata ha avuto un insperato successo nell'ambito scientifico.

Vogliamo augurarci che la sfida lanciata oggi contribuisca un domani a lenire le malattie rare per una vita vivibile e dignitosa