



www.sindrome-eec.it

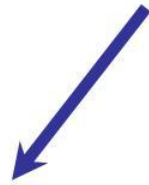
www.csmr-centroservizimalattierare.eu

MALATTIE RARE QUESTE SCONOSCIUTE
«Parliamone insieme»

FARMACI ORFANI

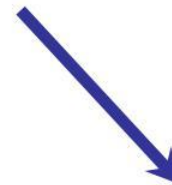
Che cosa è un farmaco?

Farmaco, medicinale, prodotto medicinale



**Principio
attivo**

**componente dei medicinali
da cui dipende la sua
azione curativa, il
medicinale vero e proprio**



Eccipiente

**componenti inattivi del
medicinale, privi di ogni
azione farmacologica.**

Che cosa è un farmaco orfano?

Farmaci non distribuiti dall'industria farmaceutica per ragioni economiche ma che rispondono a un bisogno di salute pubblica.



Processo scoperta-commercializzazione lungo e costoso

In Italia la spesa per farmaci orfani è circa il 5% della spesa farmaceutica e meno dell'1% della spesa sanitaria complessiva.

I Farmaci 'off label'

Frequente utilizzo nel campo delle malattie rare

Indicazioni che sono diverse da quelle ufficialmente approvate ed inserite nel foglietto illustrativo dello stesso medicinale.

Medicinali erogabili, qualora non **esista una valida alternativa terapeutica**, a totale carico del [Servizio sanitario nazionale](#).


I Farmaci 'off label'

Le patologie rare attualmente conosciute sono tra le 7.000 e le 8.000

A dicembre 2018 i farmaci orfani in commercio in Italia erano 94

<http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Lista-farmaci-orfani-31.12.2018.pdf>

Designazione di farmaco orfano



- Il prodotto è destinato ad un'indicazione con una prevalenza non superiore a 5 su 10.000 individui nell'Unione Europea.

- La malattia è mortale, gravemente invalidante o cronica.

- Nessun metodo soddisfacente di diagnosi, prevenzione o trattamento della malattia è già stato autorizzato nell'Unione Europea.

Comitato per i medicinali orfani (COMP)

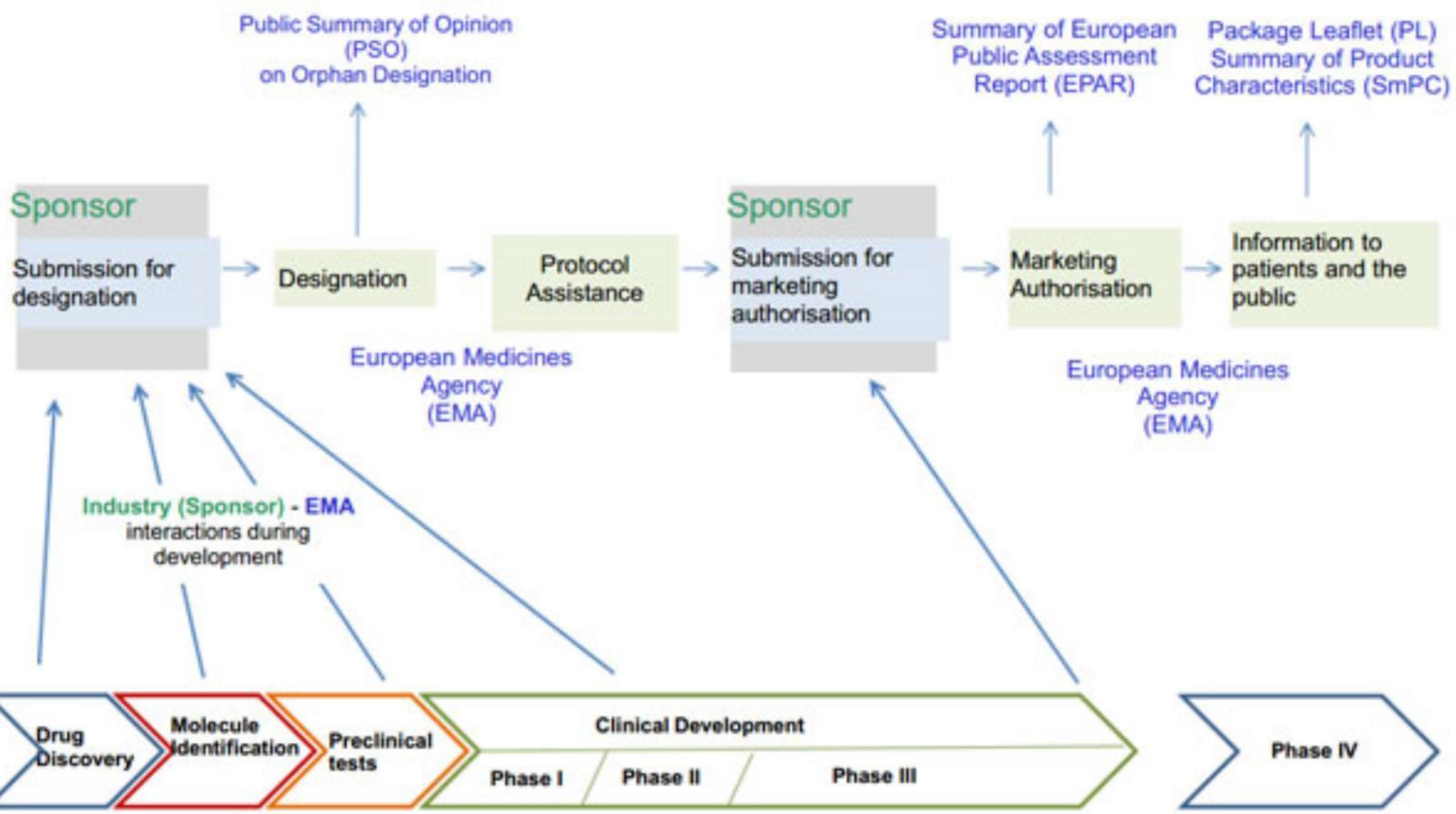
Il coinvolgimento dei rappresentanti dei malati

3 rappresentanti dei malati rari e la posizione del vice-presidente nel COMP

I rappresentanti dei malati nei comitati scientifici dell'EMA sono membri permanenti e hanno pieno diritto di voto.

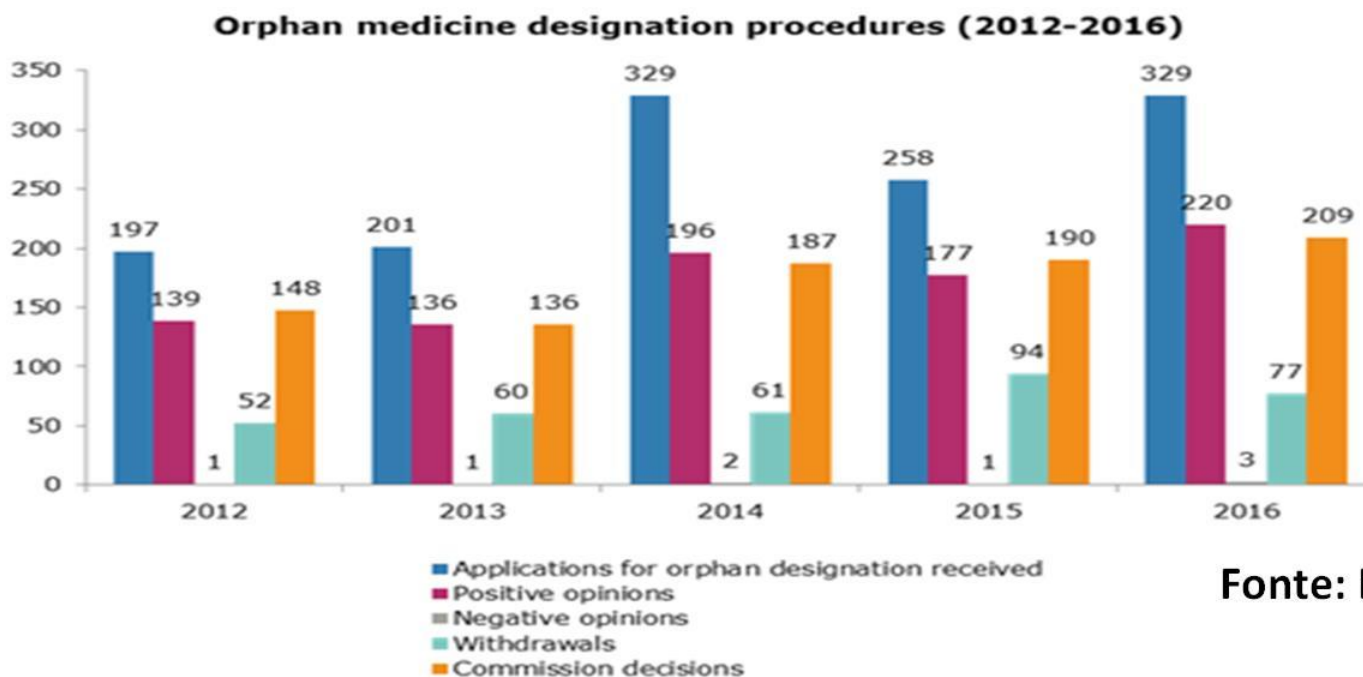
- Promuovere lo sviluppo dei farmaci
- Garantire informazioni chiare ai pazienti
- Cercare di ottenere parità di accesso ai trattamenti, sia a livello europeo che nazionale

Orphan Drug Regulatory process in EU



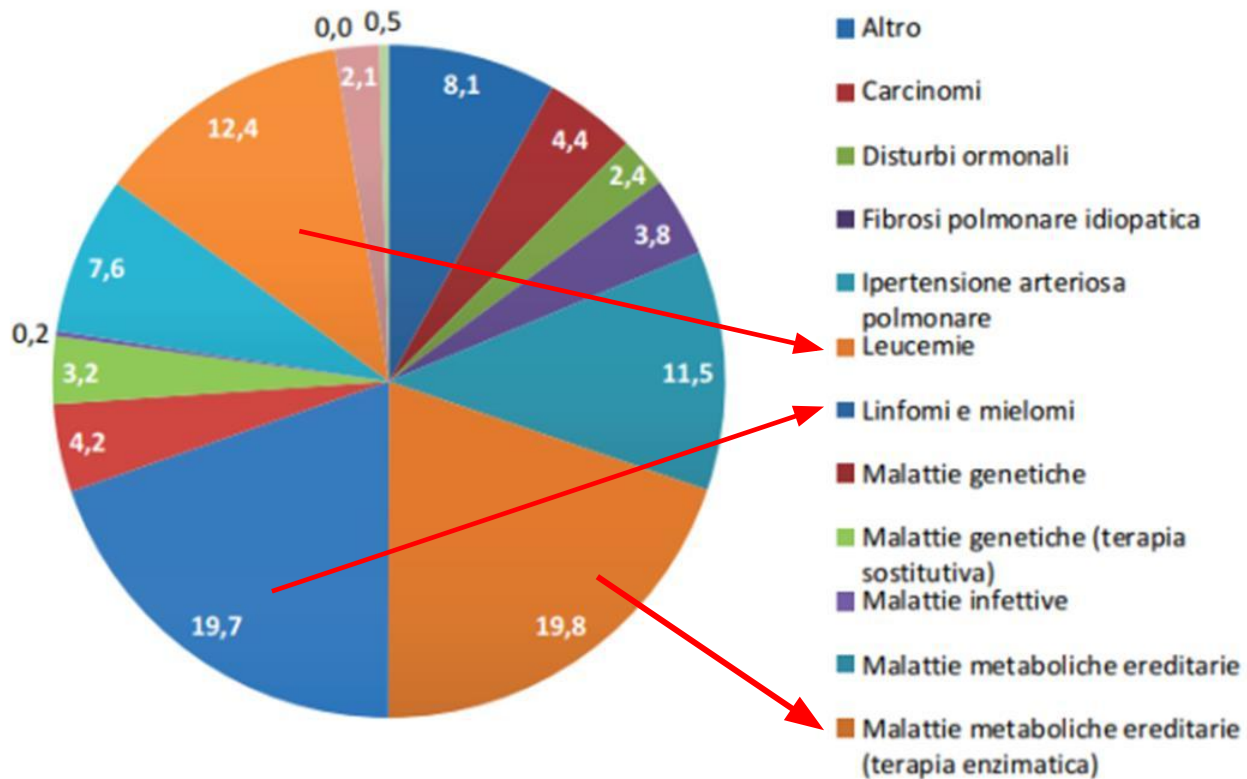
I farmaci per le malattie rare

- 1825 designazioni di farmaco orfano (209/anno)
- 129 farmaci autorizzati in Europa
- 71 farmaci autorizzati in Italia
- 68 farmaci rimborsati in Italia
- **560 farmaci in sperimentazione**



Fonte: EMA

Figura 1 - Spesa e consumo di farmaci orfani in Italia per I livello ATC (Fonte Osmed 2017)



Accessibilità ai Farmaci Orfani

E' possibile accedere al farmaco sulla base della seguente normativa:

Legge 648 del 1996

Permette in Italia di erogare a carico del SSN diverse categorie di medicinali per indicazioni non ancora autorizzate:

- ✓ Farmaci innovativi per i quali è autorizzata la vendita all'estero, ma non in Italia.
- ✓ Farmaci che non sono autorizzati ma sono sottoposti a sperimentazione clinica.
- ✓ Farmaci da utilizzare al di fuori delle indicazioni autorizzate (*off-label*).

Accessibilità ai Farmaci Orfani

Legge 94 del 1998 (c.d. Legge di Bella)

- ✓ Disciplina l'uso *off-label* di medicinali regolarmente in commercio.

Decreto Ministeriale 8 Maggio 2003 (Abrogato)

- ✓ Disciplina l'accesso a terapie farmacologiche sottoposte a studi di fase II o di fase III (le ultime due fasi di sperimentazione di un farmaco prima dell'autorizzazione all'immissione in commercio).

Accessibilità ai Farmaci Orfani

Legge 326 del 2003 (Fondo AIFA)

- ✓ Ha istituito presso l'Agencia Italiana del Farmaco (AIFA) un fondo alimentato dalle aziende farmaceutiche pari al 5% delle spese annuali per le attività di promozione destinate ai medici.

Decreto Ministeriale 7 settembre 2017

- ✓ Stabilisce i criteri e le modalità per l'uso compassionevole di medicinali. Possibilità di usare a scopo terapeutico medicinali non ancora autorizzati sottoposti a sperimentazione clinica.

Accessibilità ai Farmaci Orfani

La procedura di acquisto dei farmaci orfani può essere richiesta

- **Regioni**
- **Centri di riferimento**
- **Strutture specialistiche individuate dalle Regioni**

con la definizione della **diagnosi** e del **piano terapeutico**.

Accessibilità ai Farmaci Orfani

- Il 24% dei pazienti con malattie rare ha dichiarato durante gli ultimi 12 mesi, non ha avuto modo di ottenere il trattamento medico necessario in quanto **non disponibile** nel proprio Paese.
- Il 15% dei pazienti con malattie rare ha dichiarato di non aver ottenuto il trattamento necessario, nell'arco degli ultimi 12 mesi, perché **non in grado di sostenerne il costo**.
- Il 19% dei pazienti affetti da malattie rare ha dichiarato di non aver potuto disporre del trattamento perché **le liste di attesa erano troppo lunghe**.

Un esempio.... CANNABIS TERAPEUTICA

Dal 2006 in Italia i medici possono prescrivere preparazioni magistrali da allestire da parte del farmacista in farmacia.
(importata)

Il [Ministero della Salute](#) con Decreto del 9 Novembre 2015, ha provveduto a disciplinare le modalità per la produzione nazionale di cannabis a fini terapeutici.

Ha individuato quale unico sito produttivo dedicato alla coltivazione e produzione dei preparati a base di cannabis in Italia, lo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare di Firenze.

Attualmente è disponibile un solo prodotto di produzione nazionale, Cannabis FM-2.

I pazienti riscontrano...

- Problematica nell'approvvigionamento
- Costosa se non rientra nelle categorie rimborsabili
- La legge esiste ma non viene applicata.
- Problemi culturali, politici e burocratici che non favoriscono l'accesso alla cura.

Per quali indicazioni è rimborsata in Regione Veneto?

- a) analgesia nel dolore cronico correlato a spasticità in pazienti con **sclerosi multipla**;
- b) analgesia nel dolore cronico in pazienti con **lesione del midollo spinale**;
- c) analgesia nel **dolore neuropatico cronico** non adeguatamente controllato dalle migliori terapie analgesiche farmacologiche a base di oppioidi
- d) analgesia nel **paziente oncologico** sintomatico non adeguatamente controllato dalle migliori terapie analgesiche farmacologiche a base di oppioidi.

E tutti gli altri casi? Il medico può prescrivere una preparazione magistrale galenica con ricetta bianca non ripetibile, il cui costo però è a totale carico del richiedente.

Conclusioni

La scelta della presa in carico dei pazienti rari deve essere etica e non economica.

Il criterio di efficienza basato sul costo/efficacia degli interventi, pur garantendo un'efficace distribuzione delle risorse, non promette di garantire sufficientemente **i diritti individuali e i bisogni dei pazienti 'marginali'**

*«L'obiettivo ideale primario da raggiungere deve essere il **miglioramento delle condizioni e della qualità di vita di ogni paziente, senza discriminazioni basate sulla natura della malattia o sui costi della terapia**».*

GRAZIE PER L'ATTENZIONE

