

VI RAPPORTO OSSFOR

# Farmaci orfani. Italia seconda solo a Germania per accesso ma ancora troppe le disparità regionali

21 Febbraio 2023

 Giovanna Pasqualin Traversa

In Europa sono 130 i farmaci orfani autorizzati dall'Ema per malattie e tumori rari, di questi 122 già disponibili in Italia. In termini di accesso siamo secondi solo alla Germania ma permangono ancora troppe disparità regionali. Presentato nei giorni scorsi a Roma il VI Rapporto annuale dell'Ossfor. Approvazione del Decreto tariffe, approvazione, finanziamento e piena attuazione del Piano nazionale malattie rare; accelerazione dei tempi di diagnosi le principali richieste delle associazioni dei malati



foto SIR/Marco Calvarese

In Europa sono 130 i farmaci orfani autorizzati dalla [European Medicines Agency](#) (Ema) per malattie e tumori rari, di questi 122 già disponibili in Italia; l'80% è rimborsato dal Ssn e il restante 20% è in fascia C o in attesa di negoziazione. In termini di accesso, dunque, il nostro Paese è secondo solo alla Germania. È quanto emerge dal [6° Rapporto annuale dell'Osservatorio farmaci orfani](#) – Ossfor, presentato il 31 gennaio a Roma presso la Sala Zuccari del Senato della Repubblica, una fotografia a livello nazionale e regionale del mercato dei farmaci orfani nel nostro Paese al 31 dicembre 2021. Due le direttrici del documento: nella prima i dati e la loro analisi, nella seconda alcune proposte.

Il 6° Rapporto "vede l'avvio della collaborazione dell'Osservatorio con Aifa – ha spiegato **Francesco Macchia**, coordinatore Ossfor -. Un importante riconoscimento che rafforza il percorso di trasformazione di Ossfor da Centro studi a Piattaforma multistakeholder su farmaci orfani e malattie rare". Secondo il documento

**L'Italia "si conferma Paese con un ampio accesso alle opportunità terapeutiche".**

**Equità regionale ancora lontana.** Osservando i dati regionali, prosegue tuttavia Macchia, "emerge che l'equità, intesa come possibilità di uniformi condizioni di accesso dei pazienti con malattia rara alle terapie farmacologiche, e anche di incidenza economica sui bilanci familiari, è un obiettivo non del tutto raggiunto e certamente dovrebbe rappresentare uno dei principali punti di attenzione delle politiche sanitarie nel settore, tenendo presente l'importante opportunità rappresentata dal Pnrr".

**Spesa sostenuta dal Ssn per i farmaci orfani.**

[Preferenze Cookie](#)

Nel 2021 è stata pari a 1,53 miliardi di euro, assorbendo circa l'8% della spesa farmaceutica pubblica complessiva.

La Regione in cui è massima la spesa per DDD (Dose definita die, ndr) è la Lombardia con 203,50 euro, seguita da Emilia Romagna (199,43) e Umbria (193,03); fanalino di coda il Friuli Venezia Giulia (159,68) preceduto da Provincia autonoma di Trento (160,90) e Abruzzo (166,50).

**Tempi di accesso.** Sul fronte delle procedure autorizzative emerge un'importante differenza tra l'andamento europeo e quello italiano. Se a livello europeo si registra un allungamento dei tempi di queste procedure, dovuto in parte alla crescente precocità della presentazione della richiesta di designazione e dunque al maggior tempo che intercorre tra questa presentazione e la richiesta di autorizzazione, a livello nazionale negli ultimi anni si registra una tendenza alla riduzione della durata dell'iter autorizzativo. Tra autorizzazione da parte di Ema e determina del prezzo e rimborso (P&R) da parte di Aifa, si osserva infatti una riduzione dai 24 mesi del periodo 2012/2014 a 20 mesi del triennio 2018/2021.

*"Un trend positivo, anche se il processo rimane certamente lontano dai tempi indicati dalla legge 98/2013 che indica in 100 giorni il tempo per la conclusione della procedura negoziale, calcolati dalla data di presentazione della domanda",*

ha osservato **Barbara Polistena**, responsabile scientifico di Crea Sanità, secondo la quale questa riduzione "sottolinea tuttavia l'impegno di Aifa per abbreviare le tempistiche e la sensibilità nei confronti delle malattie rare e dei farmaci orfani". Lo studio, ha sottolineato **Isabella Cecchini**, responsabile [Centro studi Iovvia](#) – "evidenzia quanto l'Italia sia fra i Paesi che garantiscono maggiormente l'accesso ai farmaci orfani innovativi, anche se emerge l'opportunità di lavorare per accelerare i processi per l'immissione nelle liste di rimborsabilità a livello nazionale e nelle singole Regioni".

**Ricerca clinica.** Dall'analisi sulle sperimentazioni cliniche emerge come la metà dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione, in attesa di parere Ema, siano farmaci orfani (29 su 58).

*Un'analisi sulla ricerca in corso rileva un aumento dei trial clinici sui farmaci orfani: 29 molecole che interessano 13 aree terapeutiche e 27 patologie di riferimento. Coinvolti quasi 24mila pazienti nel mondo. I centri italiani sono complessivamente coinvolti in 21 sperimentazioni cliniche.*

**Le richieste dei malati.** "L'approvazione del Decreto tariffe; l'approvazione e la piena attuazione, compreso il finanziamento, del Piano nazionale malattie rare; la declinazione in progetti utili per il settore dei fondi del Pnrr e la messa a terra del Testo unico malattie rare attraverso decreti e regolamenti attuativi, così da chiarire sia le questioni legate all'accesso, anche ai farmaci di fascia C, che le questioni relative al Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato (Pdtap) il cui percorso di costruzione e approvazione non è del tutto chiaro". Sono le richieste dell'[Alleanza malattie rare](#) (Amr – 350 associazioni di malati rari) per voce di **Sandra Frateiacchi**, presidente Associazione liberi dall'asma, dalle malattie allergiche, atopiche, respiratorie e rare (Aps – Alama). Ma non basta: occorre inoltre

[premere l'acceleratore sul fronte della diagnosi,](#)

sia implementando la lista delle malattie rare da ricercare con screening neonatale sia inserendo le indagini di scienze omiche nei Lea e, non ultimo, puntando sulla formazione dei medici a partire da quelli di medicina generale e dei pediatri di libera scelta, senza trascurare la formazione del personale delle professioni sanitarie non mediche.



**SIR NEWS**  
Rimani sempre aggiornato, seguici su Telegram



Seguici su facebook

