

Malattie rare, Iss: terapie sempre più specifiche, sostenibili e basate su costo-valore

33 farmacista33.it/malattie-rare-iss-terapie-sempre-piu-specifiche-sostenibili-e-basate-su-costovalore/politica-e-sanita/news--47888.html

Malattie rare, al convegno dell'Iss viene affrontato il tema dei farmaci orfani tra sostenibilità, accesso alle cure e innovazione

La quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva è salita dal 3,5% del 2002 al 7,2% del 2007. Le ultime stime del rapporto Evaluate Pharma individuano un trend in crescita a livello mondiale nella spesa per farmaci orfani, che raggiungerà l'11% annuo. Questi alcuni dei dati emersi in occasione del convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III edizione", tenutosi presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma.

Oggetto dell'incontro, la sostenibilità economica e il progresso scientifico nell'ambito dei farmaci destinati al trattamento delle patologie rare. I farmaci orfani infatti "si rivolgono a malattie rare con assenza di alternative terapeutiche e per un target di popolazione limitato: il loro costo per paziente in trattamento è mediamente maggiore degli altri farmaci, ma l'impatto complessivo sulla spesa inferiore per effetto del minor numero di pazienti in trattamento", come si legge nella nota dell'evento.

«I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale - spiega **Claudio Jommi**, Professore della Sda Bocconi -. È importante che anche in questo ambito vi sia una corretta valutazione del valore dei farmaci, che tenga conto dell'equilibrio tra valore e costo e della gestione appropriata delle condizioni di accesso, dalla diagnosi per l'identificazione dei pazienti eleggibili al trattamento alla gestione del fondo farmaci innovativi che ha riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse».

«Gli ultimi anni hanno visto l'approvazione o l'inizio di studi clinici di terapie innovative per severe patologie rare di origine genetica, basate su strategie molecolari, cellulari e geniche" - il commento di **Anna Maria De Luca**, Professore Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia e Scienze Del Farmaco all'Università di Bari e Componente del Consiglio Direttivo della [Società Italiana di Farmacologia](#) -. Vari gruppi di farmacologi italiani si occupano di ricerca scientifica su terapie innovative e farmaci orfani per malattie rare di origine genetica. La [Società Italiana di Farmacologia](#) è particolarmente sensibile alla promozione di questi argomenti, dalla ricerca di base e preclinica agli studi clinici. Tra i provvedimenti necessari per il futuro, riteniamo prioritario che vengano destinati incentivi e risorse alla ricerca e una maggiore sensibilizzazione di tutti gli stakeholders per garantire l'accesso dei pazienti rari a terapie efficaci e sicure».

Essenziale poi «sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita», spiega **Pier Luigi Canonico**, Direttore del Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale "A. Avogadro" di Novara. «Tra gli impegni che le istituzioni devono garantire c'è anche l'individuazione di centri di eccellenza per malattie specifiche e la collaborazione tra i decisori politici e le associazioni pazienti. In tal senso è fondamentale il coordinamento centrale dell'Istituto Superiore di Sanità nell'individuazione dell'epidemiologia e dell'incidenza di queste patologie».

Sulle terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale), «le Atmp (Prodotti Medicinali di Terapia

Avanzata) forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico - conclude Canonico -. Poiché molte malattie rare sono su base genetica, l'approccio di una terapia genetica potrà risultare particolarmente vantaggioso in determinate patologie. In breve, abbiamo a disposizione una nuova arma per specifiche patologie».

© RIPRODUZIONE RISERVATA