

Sabato 20 Aprile 2019 / 18:50 | Info


 PHARMASTAR  
 Il Giornale on-line sui Farmaci


 12° FORUM  
 Nazionale  
 PHARMA


 RICERCA  
 INNOVAZIONE  
 ACCESSO  
 FARMACOLOGIA


 mercoledì  
 20 maggio  
 giovedì  
 21 maggio  
 venerdì  
 22 maggio  
 31 maggio 2019


 GRAND HOTEL BRISTOL  
 STRESA

 ITALIA  EMA  FDA  CARDIO  DIABETE  DOLORE  GASTRO  NEURO  ONCOLOGIA-EMATOLOGIA

 ORTO-REUMA  PNEUMO  ALTRI STUDI  BUSINESS  VARIE

## Accesso al mercato per i farmaci per le malattie rare: nuove sfide per il Ssn. Incontro presso l'Iss

 Sabato 20 Aprile 2019  Redazione

*Malattie rare, farmaci orfani e loro accesso al mercato. Come agevolarlo ma anche come sostenere una spesa che sta crescendo sensibilmente. Sono questi i temi di cui si è parlato presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno "L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare: nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III edizione".*



“L'incontro di oggi è la terza edizione dell' evento Ecm sull'accesso al mercato per i farmaci delle malattie rare. – spiega **Paola Lanati**, Managing Director di 3P Solution. “Abbiamo organizzato questo evento con la responsabilità scientifica del professor Canonico per affrontare il tema di questo tipo di farmaci perché la loro presenza è aumentata sensibilmente. Attualmente, in Ema, il 60% dei farmaci di cui vengono presentati dossier registrativi sono quelli per malattie rare e il loro peso rispetto alla spesa farmaceutica si prevede che possa raddoppiare nei prossimi 10 anni fino ad arrivare al 20 per cento.”

Sono questi i temi di cui si è parlato presso l'Aula Pocchiari dell'Istituto Superiore di Sanità a Roma il convegno “L'accesso al mercato dei farmaci per le malattie rare:

## ACCESSO AL MERCATO PER I FARMACI PER LE MALATTIE RARE: NUOVE SFIDE PER IL SSN. INCONTRO PRESSO L'ISS [VARIE]

**nuove sfide e priorità per il Sistema Sanitario Nazionale - III edizione”.**

Il settore delle malattie rare rappresenta una reale sfida per il Sistema Sanitario Nazionale italiano. Le malattie rare sono un gruppo eterogeneo che raccoglie circa 7mila patologie diverse, alcune ancora senza nome; sono interessate, a livello globale, circa 300 milioni di persone, una cifra pari all'8-10% della popolazione mondiale. Affrontare questo spinoso tema significa dunque trattare un argomento di grande interesse e attualità.

“E' vero che l'epidemiologia è molto bassa per questi tipi di farmaci – prosegue Lanati- ma è anche vero che abbiamo 2 milioni di malati con malattie rare in Italia e soprattutto il prezzo di questi farmaci è sicuramente molto più elevato, circa 5 volte, rispetto a quello dei farmaci non orfani.”

“Di conseguenza –conclude Lanati- si pone un tema di sostenibilità legati a questi farmaci ma anche di necessità e di metodo per determinare in modo coerente il prezzo degli stessi e a questo proposito vale la pena ricordare quanto presentato dal professor Jommi, un algoritmo scritto da Michael Drummond e pubblicato da poco che potrebbe rappresentare uno strumento molto utile per definire il prezzo di questi farmaci su base oggettiva.”

**SPESA PER I FARMACI A DESIGNAZIONE ORFANA -**

Secondo l'ultimo rapporto di Evaluate Pharma la crescita della spesa mondiale per farmaci orfani (quindi non tutti e non solo i farmaci per malattie rare) sarà pari all'11% annuo, superiore a quella complessiva per farmaci. In Italia, la quota di spesa del Servizio Sanitario Nazionale per farmaci orfani sulla spesa complessiva per farmaci è salita dal 3,5% nel 2002 al 7,2% nel 2007.

I farmaci orfani 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. Una recente revisione degli studi di costo-efficacia sui farmaci a designazione orfana evidenziano un costo medio per anno di vita corretto per la qualità (QALY) di circa 40k per QALY con circa il 50% dei casi al di sotto dei valori soglia stabiliti dal National Institute for Health and Care Excellence inglese.

“I farmaci per patologie rare per le quali non esistono alternative terapeutiche rappresentano naturalmente una priorità per il Servizio Sanitario Nazionale” dichiara il Prof. **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

## ACCESSO AL MERCATO PER I FARMACI PER LE MALATTIE RARE: NUOVE SFIDE PER IL SSN. INCONTRO PRESSO L'ISS [VARIE]

riguardato anche tali farmaci. Tutti i paesi comunque sono alle prese con la ricerca di soluzioni per conciliare accesso e risorse”.

**POSIZIONE DELLA SOCIETA' DI FARMACOLOGIA** - “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” ha sottolineato la prof.ssa **Anna Maria De Luca**, Ordinario di Farmacologia presso il Dipartimento di Farmacia - 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 pre-clinica 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”.

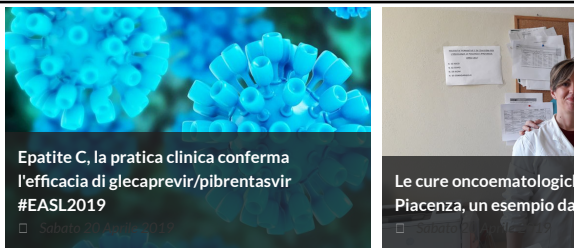
**APPELLO ALLE ISTITUZIONI** - Il problema delle malattie rare ha una rilevanza tanto sociale quanto clinica ed è stato affrontato da tutte le agenzie regolatorie per stimolare la ricerca per nuove possibilità terapeutiche. “Questo convegno è volto a sottolineare la necessità di potenziare la ricerca clinica e preclinica e l'importanza di effettuare degli screening neonatali per identificare eventuali patologie e fare diagnosi già nei primi giorni di vita” sottolinea il prof. **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”.

**ATMP: TERAPIE DI UN FUTURO CHE È GIÀ PRESENTE** - Un punto di partenza per la ricerca del futuro sono le terapie avanzate (geniche, cellulari, rigenerazione tissutale) note come ATMP (Prodotti Medicinali di Terapia Avanzata). “Le ATMP forniscono ulteriori approcci terapeutici che non sostituiscono totalmente le cure tradizionali, ma possono affiancare le classiche terapie di tipo farmacologico” aggiunge 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”.

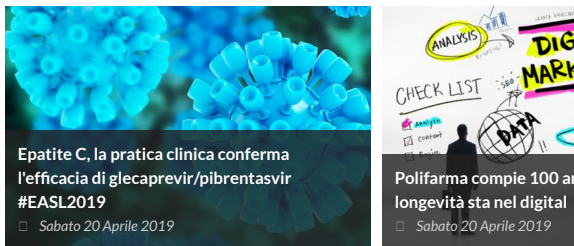
**ALTRI ARTICOLI DELLA SEZIONE VARIE**



ACCESSO AL MERCATO PER I FARMACI PER LE MALATTIE RARE: NUOVE SFIDE PER IL SSN. INCONTRO PRESSO L'ISS [VARIE]



ULTIME 6 NOTIZIE PUBBLICATE SUL SITO



Vai su AppStore o GooglePlay e cerca 'PharmaStar' per scaricare la nostra applicazione gratuita.



PHARMASTAR

Giornale on-line dedicato al mondo del Farmaco  
 Registrazione al Tribunale di Milano  
 n° 516 del 6 settembre 2007  
 Direttore Responsabile: Danilo Magliano  
 Copyright © MedicalStar™  
 via San Gregorio, 12 20124 Milano  
[info@medicalstar.it](mailto:info@medicalstar.it)

P.Iva: 09529020019



CATEGORIE

Italia	2295	Ema	1631
Fda	1207	Cardio	2439
Diabete	717	Dolore	1354
Gastro	1321	Neuro	1380
oncologia-ematologia	3579	Orto-Reuma	1726
Pneumo	1183	Altri Studi	2559

[Apri il link](#)

ACCESSO AL MERCATO PER I FARMACI PER LE MALATTIE RARE: NUOVE SFIDE PER IL SSN. INCONTRO PRESSO L'ISS [VARIE]

Business

2406 Varie

2715

©2019 MedicalStar™