

**Audizione informale proposte di legge C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo e C. 1907 Bellucci, recante "Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare".**

Gentile Presidente, Onorevoli Deputati,

Vi ringraziamo per averci concesso l'opportunità di esprimere il nostro punto di vista in merito ai temi trattati nelle proposte di legge oggetto di questa audizione, temi che toccano diversi e importanti aspetti che impattano fortemente sulla vita di circa 2 milioni di malati rari, sulle loro famiglie e su tutti i soggetti che in diverso modo si impegnano per offrire loro una migliore qualità di vita e sempre nuove e migliori opportunità terapeutiche.

Il Gruppo di Lavoro Farmaci Orfani nasce nel 2011 per analizzare l'evoluzione della normativa e della materia regolatoria concernenti il settore dei farmaci orfani e delle malattie rare. L'obiettivo del GLFO è quello di un confronto comune sui temi trattati, al fine di analizzare e discutere delle politiche e della Governance del settore dei farmaci orfani e delle malattie rare, ciò anche al fine di promuovere iniziative di sensibilizzazione degli stakeholders istituzionali e dell'opinione pubblica sulle specifiche problematiche relative a tali farmaci e malattie. Attualmente, le aziende associate al Gruppo sono 11.

### **Analisi proposte di legge.**

In linea generale quello che emerge dall'analisi è che tutte le proposte presentate contengono importanti provvedimenti: è auspicabile che il testo finale raccolga gli elementi in ciascuna di esse al fine di giungere ad un testo che possa avere il più alto e positivo impatto possibile. Nell'analizzare le proposte ci siamo soffermati in particolare su 4 gruppi di tematiche, che sono le seguenti:

#### **ACCESSO ALLE TERAPIE E AIUTI ALLE IMPRESE ED ENTI DI RICERCA**

I pazienti colpiti da malattie rare, gravi, fortemente invalidanti o che possono mettere in pericolo la loro vita, devono essere tutelati garantendo loro un tempestivo accesso ai trattamenti che hanno un'elevata valenza terapeutica e che spesso rappresentano l'unica concreta possibilità di cura.

Inoltre, per dare una speranza di cura ai malati rari e ultrarari per la cui malattia non esiste ancora una terapia, si deve garantire la stabilità normativa che incentivi le aziende operanti in questo settore nello sviluppo e nella ricerca di nuove terapie.

Da ciò emerge la necessità di un **accesso veloce dei pazienti alle terapie**, in considerazione del fatto che spesso i farmaci orfani rappresentano l'unica speranza di cura per i pazienti affetti da malattia rara, e che questi non possono essere utilmente trattati con altre terapie,

#### **Articolo 6, comma 1 A.C. 1317**

In relazione a quanto riportato nell'articolo in oggetto si propone di tenere in considerazione quanto stabilito nell'Accordo sull'accesso ai farmaci innovativi, stipulato in sede di Conferenza

Stato-regioni nel 2010, secondo il quale le Regioni sono tenute a garantire ai pazienti l'immediata disponibilità dei farmaci innovativi, anche senza il loro formale inserimento nei prontuari terapeutici regionali e/o ospedalieri regionali. Tale obbligo è stato successivamente ribadito dal decreto legge 158/2012, stabilendo che l'immediata disponibilità deve essere prevista indipendentemente dall'inserimento dei medicinali nei Prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle autorità regionali e locali.

**L'estensione di tale normativa anche ai farmaci orfani consentirebbe a quei pazienti che non possono essere utilmente trattati con altre terapie, di vedere assicurato il loro diritto alla tutela della salute per come sancito dall'articolo 32 della nostra Carta Costituzionale.**

Inoltre, la formulazione dell'articolo secondo cui *“I farmaci commercializzati in Italia che hanno ottenuto il riconoscimento di farmaco orfano dall'Agenzia europea per i medicinali (EMA) sono forniti gratuitamente ai soggetti affetti dalle malattie a cui la registrazione fa riferimento e sono inseriti nel Prontuario farmaceutico italiano nelle classi esenti dalla compartecipazione alla spesa sanitaria”* sembra non tenere in considerazione che la rimborsabilità per i farmaci orfani è sottoposta alla valutazione effettuata dalla Commissione Tecnico Scientifica e dal Comitato Prezzi e Rimborso dell'Agenzia Italiana del farmaco.

A tal proposito, appare opportuno sottoporre alla Vostra attenzione che tale procedura di valutazione dei farmaci orfani, secondo quanto previsto dall'articolo 12 comma 5 bis D.L. n. 158/2012, convertito in L. n. 189/2012, con il quale è stata istituita la C.D. Procedura dei cento giorni, prevede che ai fini della classificazione e della rimborsabilità da parte del Servizio Sanitario Nazionale per i farmaci orfani, per i farmaci di eccezionale rilevanza terapeutica e per i farmaci ospedalieri è previsto un procedimento negoziale accelerato, in base al quale tali farmaci vengono autorizzati in via prioritaria, dando agli stessi precedenza rispetto ai procedimenti pendenti alla data di presentazione della domanda di classificazione. La valutazione in questione, secondo la norma, dovrebbe concludersi entro cento giorni, tuttavia stando a quanto riscontrato dall'analisi riportata nel Rapporto Annuale di OSSFOR, il tempo medio impiegato da AIFA è di circa 218 giorni.

## **FONDI PER LA RICERCA SU MALATTIE RARE.**

**Articolo 9 A.C. 1317, articolo 11 A.C. 1666, articolo 16 A.C. 164, articolo 3 A.C. 1907.**

Le normative suindicate prevedono l'istituzione di un Fondo per la ricerca sulle malattie rare, finanziato attraverso il 20% delle quote versate dalle aziende per la registrazione/variazione di prodotti medicinali. Il Fondo sarà destinato a studi preclinici e clinici, studi osservazionali e registri di uso compassionevole di farmaci non ancora commercializzati e programmi di somministrazione controllata di farmaci non compresi in classe A/H o dispositivi per il monitoraggio domiciliare delle terapie.

Tale fondo per molti versi, richiama molto quello istituito con legge 326/2003 secondo la quale le aziende farmaceutiche sono tenute a versare, in un apposito fondo istituito presso AIFA, un contributo pari al 5% delle spese annuali per attività di promozione delle aziende farmaceutiche destinate ai medici, come seminari, workshop, ecc. Il 50% di queste destinato all'acquisto di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione e per particolari e gravi patologie.

La costituzione di due distinti fondi, con impiego simile, comporterebbe a nostro avviso, confusione nelle richieste di accesso da parte dei clinici in favore dei pazienti. Per questo motivo, potrebbe essere opportuno destinare le risorse previste dagli articoli in oggetto all'incremento del Fondo già costituito presso l'Agenzia Italiana del Farmaco estendendo le indicazioni d'uso dello stesso anche a *“programmi di somministrazione controllata di farmaci non compresi nelle classi A o H del prontuario terapeutico nazionale e dei prontuari terapeutici regionali, nonché dispositivi per il monitoraggio domiciliare delle terapie, tramite la predisposizione e l'aggiornamento dell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto – legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648”*.

## **INCENTIVI ALLE IMPRESE**

### **Articolo 11 A.C. 1317, articolo 12 A.C. 1666, articolo 17 A.C. 164.**

Si riconosce l'assoluta validità ed importanza di quanto riportato negli articoli in oggetto, secondo i quali i soggetti pubblici e privati che si occupano di attività di ricerca/ investono in ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani sono destinatari di incentivi fiscali.

A tal proposito però, appare opportuno un riferimento al processo di revisione della governance farmaceutica dei farmaci orfani attuato con la Legge di Bilancio 2019, che è andato, invece, nella direzione opposta modificando le tutele per questo delicato settore.

In particolare, con la legge di Bilancio 2019 è stato modificato il sistema di calcolo del ripiano del payback a carico delle aziende farmaceutiche per lo sfondamento del tetto della spesa ospedaliera (ora Acquisti diretti). Tale modifica ha previsto che partecipano al ripiano del payback anche le aziende titolari di AIC di farmaci orfani la cui esclusività di mercato sia venuta meno - ma che continuano pienamente a soddisfare i criteri previsti dal regolamento Europeo - e gli “orphan like” (ovvero quei farmaci con caratteristiche di farmaco orfano ma approvati prima del Regolamento (CE) n. 141/2000).

Allo stesso modo, sempre nella Legge di Bilancio 2019, rispetto ai farmaci innovativi, con il comma 584 si prevede che l'eccedenza della spesa rispetto alla dotazione del fondo innovativi ad essi dedicato, sia ripianato da ciascuna azienda titolare di AIC, rispettivamente, di farmaci innovativi e di farmaci oncologici innovativi, in proporzione alla rispettiva quota di mercato. Il medesimo comma prevede inoltre che i farmaci inseriti nel registro dei medicinali orfani per uso umano dell'Unione Europea, che presentano anche caratteristica di innovatività, siano considerati come innovativi, per cui partecipano al ripiano del payback. Di conseguenza, in caso del verificarsi di tale eccedenza di spesa, un farmaco orfano che è anche innovativo si troverebbe a dover partecipare al ripiano del payback, penalizzando di fatto, l'elemento di innovatività definito quale valore terapeutico aggiunto rispetto alle altre terapie disponibili nel trattamento di una patologia grave.