

Memoria dell'Associazione Volontari Italiani Sangue nell'ambito dell'esame delle proposte di legge C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci, recanti *“Norme per il sostegno della ricerca e della produzione di farmaci orfani e della cura delle malattie rare”*

Le Associazioni di donatori di sangue raccolgono in Italia oltre 1.800.000 volontari. Di questi, 1.300.000 sono iscritti ad AVIS e donano in modo periodico, volontario e responsabile, garantendo così l'autosufficienza di sangue intero e globuli rossi su tutto il territorio nazionale.

Uno dei focus su cui AVIS desidera riporre particolare attenzione, con riferimento al tema delle malattie rare e che ci vede sensibili a questa proposta legislativa, è quello relativo alla produzione di farmaci plasmaderivati (i quali si producono/derivano da plasma umano donato da Donatori volontari non remunerati) che rappresentano, in taluni casi, una strategia terapeutica insostituibile, soprattutto grazie anche alla continua ricerca sui farmaci orfani che deve continuare ad essere incentivata.

L'obiettivo di autosufficienza nel nostro Paese: mantenimento dei principi sul dono

Dall'impegno messo in campo dai volontari deriva una raccolta di plasma che copre circa il 70% del fabbisogno nazionale. Tale quantitativo viene raccolto e inviato alle aziende convenzionate con il SSN e che in conto lavorazione mettono in atto il processo di frazionamento industriale e, a seguire, di purificazione del plasma. Questo sistema (disciplinato dalla Legge n. 219/2005) consente di distribuire farmaci plasmaderivati provenienti direttamente dalle donazioni raccolte in Italia per una quota del 70%, mentre il restante 30% è garantito dal mercato con farmaci prodotti da plasma estero e commercializzati nel nostro Paese da tutte le principali aziende del settore.

Il Sistema italiano ha dimostrato di possedere le potenzialità per sostenere una raccolta consistente di plasma da avviare alla plasma-derivazione e per incrementarla progressivamente, in linea con le indicazioni del Programma nazionale plasma e medicinali plasmaderivati per gli anni 2016-2020.

L'obiettivo di raggiungere il 100% - e quindi la piena autosufficienza con circa 1.000.000 di litri l'anno - potrà essere perseguito solamente attraverso la protezione e la promozione di donazioni anonime, periodiche, non remunerate e volontarie. In tale contesto, tra l'altro, l'Italia potrebbe mirare ad un significativo risparmio economico e una migliore autonomia rispetto all'egemonia statunitense sul mercato e alle fluttuazioni di disponibilità di prodotto sullo stesso, garantendo altresì sufficienti quantità di farmaci per i nostri pazienti.

Al fine di raggiungere tale obiettivo, AVIS ha messo in campo una serie di azioni programmatiche tese a: a) consolidare la rete delle UdR per il potenziamento ed efficientamento della plasmateresi; b) avviare campagne per la sensibilizzazione capillare dei donatori finalizzata alla promozione della donazione in aferesi; c) partecipare responsabilmente alla programmazione della raccolta condivisa con le SRC e le strutture trasfusionali regionali ed al monitoraggio dei relativi indicatori.

Produzione dei plasmaderivati

Al fine di valorizzare al massimo il gesto del dono e le sue implicazioni etiche, è fondamentale che da ogni sacca di plasma lavorata venga estratto il massimo numero di prodotti possibili, con adeguata conservazione della pasta di crio e delle provette per due anni. Questa valorizzazione del gesto etico e la disponibilità della materia prima, consente inoltre, previ specifici accordi con le industrie, anche la ricerca e la produzione di prodotti terapeutici innovativi e per le malattie rare.

Con particolare riferimento alle immunoglobuline, a fronte della domanda crescente, appare opportuno che sia garantita dalle aziende una resa pari almeno a 4/gr per kg di plasma.

È auspicabile che il plasma italiano sia sempre lavorato in stabilimenti collocati sul territorio nazionale e in modo separato rispetto alle linee di lavorazione di plasma commerciale proveniente dall'estero, nel rigoroso rispetto della tracciabilità, e delle regole di registrazione ad EMA ed AIFA. Appare poi necessario, sempre nell'ottica di riconoscere alla donazione il proprio reale valore, che su ogni confezione di prodotti plasmaderivati sia correttamente applicato il pittogramma attestante l'origine da plasma italiano, come previsto dal Decreto del Ministero della Salute del 28 giugno 2016.

Attività di programmazione e monitoraggio

Allo scopo di sostenere gli impegni e favorire il raggiungimento degli obiettivi assunti e condivisi, AVIS ritiene assolutamente critica la definizione di un organico supporto organizzativo all'attività di programmazione e monitoraggio. A tale proposito, auspichiamo la costituzione all'interno di SRC di un Gruppo di coordinamento con presenza strutturata di rappresentanti del Volontariato del Sangue, fornitore non remunerato della materia prima plasma, concorrente ai fini istituzionali del SSN anche "attraverso la partecipazione alla programmazione" (Legge n. 219/2005), e la collaborazione al "mantenimento e monitoraggio dei programmi definiti e l'adozione tempestiva delle misure necessarie a presidiare possibili criticità" (Programma di autosufficienza nazionale del 2017, Decreto del Ministero della Salute del 20 luglio 2017).

Ciò peraltro già avviene a livello nazionale per la condivisione, tra CNS ed SRC, in accordo con le Associazioni e Federazioni dei donatori, delle linee di programmazione quantitativa dell'autosufficienza (per Globuli Rossi e plasma da avviare alla produzione di MPD, v. Programma di autosufficienza nazionale del 2017) e la creazione di una "relazionalità di tutti gli attori, non episodica ma continua e strutturata, a partire da una visione complessiva e generale che guardi il sistema nella sua interezza e complessità" (Programma nazionale plasma e medicinali plasmaderivati, anni 2016-2020, Decreto del Ministero della Salute del 2 dicembre 2016).

Osservazioni alle proposte di legge in esame

AVIS ha accolto con grande favore la presentazione delle proposte di legge su questi temi e l'avvio del loro esame congiunto da parte della Commissione Affari Sociali. Con la presente memoria desidera tuttavia sottolineare i seguenti punti:

1. **Accesso alle cure:** garantire accesso alle cure in modo gratuito ai pazienti, in particolare a coloro che sono affetti da malattie rare, sostenendo altresì i caregiver e le famiglie. Grazie al nostro sistema, in Italia, chi è affetto da

malattie rare può essere curato gratuitamente all'interno dell'attuale organizzazione del SSN.

2. **Malattie Rare e Rarissime:** cosa significa “malattia rara”? Una malattia si definisce rara quando la sua prevalenza, intesa come il numero di casi presenti su una data popolazione, non supera una soglia stabilita. In UE la soglia è fissata a **5 casi su 10.000 persone**. Le malattie ultra-rare, sono quelle che interessano **meno di una persona su 1 milione**. Quali sono le malattie rare più conosciute e curate sistematicamente oggi? Per esempio, per citarne di note, fibrosi cistica, talassemia, immunodeficienze, emofilia, etc: alcune di esse sono trattate con farmaci plasmaderivati con piani terapeutici cronici. Inoltre, i farmaci plasmaderivati vengono utilizzati in ospedale anche per i pazienti in condizioni critiche, per pazienti acuti e per talune emergenze.
Molte sono le malattie rare e rarissime, spesso comunemente dette Orfane in quanto prive di efficaci trattamenti disponibili sul mercato, e alcune di esse possono essere trattate con i farmaci plasma derivati. Gli studi clinici per tali malattie sono da incoraggiare anche attraverso lo snellimento delle procedure burocratiche, poiché proprio a causa della rarità di tali malattie c'è un limitatissimo numero di soggetti che si possono includere negli studi clinici.
3. **Farmaci orfani:** nell'attesa della registrazione di questi nuovi farmaci, un importante contributo può venire, per quei farmaci che abbiano almeno delle evidenze di sicurezza ed efficacia, dalla concessione dell'utilizzo di essi per uso compassionevole. L'immissione in commercio, infatti, ne garantirebbe la disponibilità per quei pazienti che ricevono la diagnosi ma è difficile avere accesso ad essi prima di questo passaggio. Si tenga conto che molti pazienti sono bambini. È questo, ad esempio, il caso della malattia chiamata congiuntivite lignea che può rendere ciechi a causa della carenza di una specifica proteina plasmatica, il plasminogeno, nel sangue del malato. Un farmaco plasmaderivato è stato studiato e testato con risultati eccellenti nella prevenzione della recidiva di malattia nei piccoli pazienti a cui è stato somministrato. Avis ed un gruppo di ospedali pediatrici, fra cui il Meyer di Firenze ed il Bambin Gesù di Roma, hanno sottoscritto la richiesta secondo la Legge n. 648/96 per rendere fruibile questo farmaco anche ai pochi piccoli pazienti italiani affetti da questa patologia invalidante e ad oggi ancora in lista d'attesa. Sarebbe necessario facilitare i percorsi di autorizzazione all'utilizzo e incentivare le industrie di plasmaderivati, che si impegnano nella ricerca di questi farmaci, attraverso sgravi fiscali, contributi economici e progetti di collaborazione nella ricerca, anche attraverso l'Università, gli istituti di ricerca e le società scientifiche.
4. **Garanzia dei livelli di autosufficienza del sangue e dei suoi prodotti:** si ritiene necessario che le regioni e le province autonome promuovano con forza le attività di donazione di sangue e di plasma, in coordinamento con il Centro Nazionale sangue e con il supporto delle Associazioni e Federazioni di donatori di sangue, al fine di assicurare la copertura del fabbisogno in primis a livello regionale.



Per quanto riguarda AVIS e il contributo che possiamo offrire al tema delle malattie rare, in stretta collaborazione con le Istituzioni, le società scientifiche e gli istituti di ricerca e le associazioni dei pazienti, sollecitiamo attenzione ai nuovi farmaci, alla ricerca, alla raccolta e disponibilità di plasma da poter indirizzare a tale precipuo fine e, per l'eccellenza e garanzia di cure che possiamo offrire a tutti i nostri pazienti, sia utile ribadire le potenzialità ed eccellenza del nostro Sistema Nazionale che vogliamo difendere nella sua strutturazione e organizzazione. Sia insieme occasione per rendere evidenza alla Legge 219, che regola il nostro sistema e che vogliamo mantenere intatta contro ogni possibile tentazione di modifica che offuschi l'eticità dell'intero percorso: dal donatore al paziente, per i globuli rossi e i plasmaderivati.