

CAMERA DEI DEPUTATI

XII COMMISSIONE AFFARI SOCIALI

AUDIZIONE INFORMALE NELL'AMBITO DELL'ESAME DELLE PROPOSTE DI LEGGE C. 164 PAOLO RUSSO, C. 1317 BOLOGNA, C. 1666 DE FILIPPO E C. 1907 BELLUCCI, RECANTI "NORME PER IL SOSTEGNO DELLA RICERCA E DELLA PRODUZIONE DEI FARMACI ORFANI E DELLA CURA DELLE MALATTIE RARE".

AUDIZIONE FARMINDUSTRIA - ROMA, 5 NOVEMBRE 2019

Onorevole Presidente, Onorevoli Componenti della Commissione, desidero innanzitutto esprimere un sentito ringraziamento per averci coinvolto su questo tema di grande rilevanza sociale, scientifica e industriale.

I farmaci orfani rappresentano il 45% di quelli che saranno autorizzati nel Mondo tra il 2019 e il 2023. L'impegno nella Ricerca vede coinvolto anche il nostro Paese: in Italia il numero di studi clinici su malattie rare è cresciuto da 66 nel 2010 (il 10% del totale) a 210 nel 2018 (il 31,5%), prendendo a riferimento i dati Aifa.

Farmindustria è pienamente convinta che la ricerca nelle malattie rare sia di fondamentale importanza per migliorare le conoscenze scientifiche e incrementare le opportunità di terapie per malattie che sono ancora in attesa di una risposta. Ritiene inoltre che ogni forma di collaborazione e alleanza tra Istituzioni, Pazienti, mondo scientifico, enti di ricerca e aziende sia da apprezzare e da implementare nel rispetto dei diversi ruoli e delle specifiche competenze.

La ricerca nelle malattie rare, che vede le aziende farmaceutiche direttamente impegnate, al centro di un network di eccellenza con istituti di Ricerca pubblici e privati ed enti no profit, si contraddistingue per:

- lo scarso numero di pazienti, che richiede la promozione di studi collaborativi di respiro internazionale e di disegni sperimentali clinici alternativi;
- la peculiarità clinica delle malattie rare – eterogenee e dalla storia naturale poco, o affatto, nota – che porta a limiti di conoscenza, aumentando tempi e prospettive di fallimento della ricerca di base e clinica.

Risulta quindi ancora più importante prevedere in un testo normativo una disciplina dedicata alla ricerca e alla produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare, per offrire ai Pazienti sempre maggiori opportunità terapeutiche.

Si tratta di un campo molto complesso che non può prescindere dalla collaborazione e dal dialogo tra tutti gli *stakeholder*.

In linea generale, accogliamo con favore le proposte di legge all'esame della Commissione Affari Sociali della Camera, che riteniamo favorevoli per il benessere dei Pazienti e la Ricerca.

Farindustria apprezza che i provvedimenti in esame prevedano diverse misure per garantire a tutti i pazienti un migliore accesso alle terapie, in particolare:

- inclusione automatica delle malattie rare nei Livelli Essenziali di Assistenza;
- tempi certi per l'aggiornamento dell'elenco del Registro nazionale delle malattie rare;
- rapidità di accesso alle terapie e omogeneità su tutto il territorio nazionale, anche in considerazione del fatto che i farmaci orfani spesso rappresentano l'unica speranza di cura per i Pazienti.

In particolare per questo ultimo punto si sottolinea l'importanza di dare concretezza alla legge sui 100 giorni (decreto legge 158/2012), di mantenere gli strumenti di accesso precoce (ad esempio legge 648/46) di e prevedere anche per i farmaci orfani l'inserimento automatico nei PTOR/PTO, analogamente a quanto già in vigore per i farmaci innovativi.

Desideriamo poi formulare alcune riflessioni più specifiche.

- È importante adottare la definizione di malattia rara prevista nel Regolamento (CE) n. 141/2000, che si basa su un parametro oggettivo, per assicurare un allineamento tra la normativa italiana e quella europea.
- La ricerca rappresenta la principale fonte di innovazione in ambito farmaceutico per offrire nuove terapie destinate al trattamento delle malattie rare. È cambiato negli ultimi anni il modo di fare ricerca e di sviluppare nuovi farmaci, un processo caratterizzato da una crescente complessità e da un aumento dei costi. Pertanto è importante valutare, come fatto da tutte le proposte di legge, la possibilità di istituire Fondi aggiuntivi per la ricerca sulle malattie rare, così come lavorare per un miglioramento dell'utilizzo dei Fondi esistenti (ad esempio il "Fondo 5%", istituito con Legge 326/2003).
- La ricerca consente di raggiungere importanti risultati, ma ci sono ancora malattie in attesa di una risposta. Farindustria apprezza gli incentivi fiscali previsti nelle proposte di legge (in particolare articolo 11 dell'A.C. 1317 e articolo 12 dell'A.C. 1666) e ne auspica una rapida definizione ed attuazione.
- Gli screening neonatali sono fondamentali per intervenire tempestivamente su alcune malattie rare, con trattamenti efficaci e in grado di evitarne la degenerazione. La Legge di Bilancio 2019 (n. 145/2018) ha ampliato il numero degli screening neonatali, in particolare per la prevenzione di malattie neuromuscolari genetiche, immunodeficienze congenite severe e malattie da accumulo lisosomiale.

In linea con lo spirito dell'intervento normativo, è fondamentale che si dia piena attuazione, aggiornando periodicamente (almeno ogni due anni) il panel delle patologie oggetto di screening neonatale alla luce delle più recenti evidenze scientifiche e valorizzando le esperienze che a livello regionale già si stanno attivando in questi mesi.

- È di grande importanza stabilire per i Pazienti percorsi diagnostico-terapeutici definiti nelle linee generali per essere poi adattati ed integrati a ciascuna patologia rara, anche con la presenza o l'estensione di reti sul territorio nazionale
- La norma introdotta nella scorsa legge di bilancio, che ha limitato l'esenzione dal payback ai soli farmaci orfani inclusi nella lista EMA, ha determinato alcune criticità la cui soluzione, per la grande rilevanza del tema e i suoi molteplici risvolti, non può che essere individuata nell'ambito della più generale discussione della *governance* farmaceutica.