

Farmaci orfani, l'Aifa cambia le regole

«Non si tratta di costi, ma investimenti»

Nello stabilire i prezzi delle terapie risolutive dedicate alle malattie rare, si devono considerare anche i benefici e le esternalità positive. L'Aifa ha finanziato 19 studi indipendenti per 17,5 mln di euro

■ **Cesare Giraldi**

C'è una parola che al primo Summit Nazionale sulle Politiche per le Malattie Rare è tornata con insistenza programmatica: la salute come investimento e non spesa o non voce di bilancio. È il filo che attraversa la «Carta di Roma sulle Malattie Rare 2026», il documento di indirizzo presentato al termine dei due giorni di lavori all'Auditorium Biagio d'Alba del Ministero della Salute che il governo intende portare a Bruxelles come contributo italiano alla revisione del regolamento europeo sui farmaci orfani, quelli destinati alle malattie rare.

Su circa 2 milioni di italiani con una malattia rara, solo il 5% ha accesso a una terapia risolutiva. Gli altri si muovono in un sistema fatto di diagnosi tardive, percorsi frammentati e assenza di alternative terapeutiche riconosciute. È su questo terreno che si misura la distanza tra il paradigma del contenimento della spesa e quello dell'investimento in salute.

L'Italia vanta una infrastruttura regolatoria che è un'eccellenza europea: la piattaforma dei registri di monitoraggio, che consente di gestire accordi economici basati sull'effettiva efficacia del trattamento. Il meccanismo è noto come *payment by results*, cioè si rimborsa solo quando il farmaco funziona davvero sul singolo paziente. Per le malattie rare, dove i grandi trial randomizzati sono spesso impossibili dato il numero esiguo di casi, i dati diventano l'unica base regolatoria disponibile. «Assumere decisioni sulla

base di dati porta sicuramente a decisioni più sostenibili e soprattutto più corrette», ha detto il direttore tecnico-scientifico Pierluigi Russo, sottolineando come il registro AIFA consenta di «pagare soltanto quando il medicinale sta effettivamente funzionando» si tratta di uno strumento che Russo ha definito «certamente un'eccellenza nel contesto europeo».

È su questo impianto che il presidente dell'AIFA Nisticò ha fissato la posizione dell'agenzia sul nodo del prezzo: «Non bisogna solo guardare al costo, ma considerare l'investimento più generale». Gli effetti economici di lungo periodo su ricoveri evitati, progressioni bloccate, carico assistenziale ridotto, entrano formalmente nel meccanismo di formazione del prezzo. «Questi elementi sono molto rilevanti nella valutazione da parte della Commissione e dell'Agenzia specialmente quando andiamo a definire il prezzo del medicinale», ha aggiunto. Non contabilizzarli significa prendere decisioni distorte. A margine del summit, l'AIFA ha annunciato il finanziamento di 19 studi indipendenti per 17,5 milioni di euro, selezionati tra oltre 100 domande pervenute. Lavori in gran parte di fase 2, che coprono anche terapie in stadio preclinico, con una presenza significativa di proposte nel campo delle terapie geniche.

Il documento è stato prodotto a partire del lavoro congiunto di oltre 90 esperti tra istituzioni, associazioni di pazienti, società scientifiche e rappresentanti dell'industria farmaceutica; si articola in otto assi: coor-

dinamento e governance, diagnosi, ricerca, trattamenti, dati sanitari, formazione, presa in carico, transizione assistenziale. La proposta centrale è l'istituzione di un organismo nazionale di raccordo delle strutture afferenti alle Reti di riferimento europee (ERN), oggi prive di una regia interna.

Sul fronte della produzione, la Carta indica lo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare di Firenze come leva strategica per l'autonomia terapeutica nazionale. Un ruolo che il suo comandante, Arcangelo Moro, ha descritto con precisione: «Le grandi aziende farmaceutiche non producono alcuni farmaci. Quando questo non avviene entra in campo il chimico farmaceutico, al quale attraverso AIFA è dato il compito di produrre medicinali che diventano in alcuni casi salvavita». Lo stabilimento ha recentemente potenziato il reparto di infialamento in asepsi, che consentirà a breve di produrre molecole altrimenti irrimediabili sul mercato. «Trovare nuove applicazioni per le malattie rare - ha aggiunto Moro - vuol dire trovare soluzioni per le patologie di maggior rischio».

La Carta programmatica, il risultato di questa due giorni, sarà portata all'attenzione delle istituzioni europee. Timing non casuale: la revisione del regolamento UE sui farmaci orfani è aperta, e l'Italia, forte di un sistema di registri e accordi economici, vuole sedersi al tavolo con qualcosa di concreto in mano.



Peso: 42%

Nella foto
Robert Giovanni Nisticò



Peso: 42%

Il presente documento non è riproducibile, è ad uso esclusivo del committente e non è divulgabile a terzi.

471-001-001