

COMUNICATO STAMPA

Malattie rare, OSSFOR presenta “Il riconoscimento dell’innovatività per i farmaci orfani”. I dati del Quaderno dell’Osservatorio Farmaci Orfani, presentato insieme a SIFO, mostrano come le terapie per malattie e tumori rari siano motore fondamentale dell’innovazione farmaceutica

Francesco Macchia, Coordinatore di OSSFOR: “Questa peculiarità è stata riconosciuta anche da AIFA che, nell’applicare il proprio algoritmo di valutazione, tiene conto, per la qualità delle prove, delle limitazioni legate alle ristrette popolazioni di pazienti: una dimostrazione di sensibilità e lungimiranza della nostra Agenzia Regolatoria”

Tra i nodi da sciogliere rimane però l’accesso regionale, che crea disparità tra pazienti, e il problema della sostenibilità di alcune terapie che in alcuni casi possono impattare significativamente sui budget delle aziende sanitarie, temi dei quali si è discusso nel corso della presentazione

Roma, 12 febbraio 2021 – I farmaci orfani, cioè quelli sviluppati appositamente per malattie o tumori rari, che fanno richiesta di innovatività molto spesso vengono riconosciuti tali da parte di AIFA – l’Agenzia Italiana del Farmaco, che concede questa definizione e i relativi benefici – in base ad un rigoroso e stringente algoritmo. Per l’esattezza tra il maggio 2017 e giugno 2020 ad AIFA sono state sottoposte 76 richieste di innovatività: 29 riguardavano farmaci orfani e 47 farmaci non orfani. Nel 72% dei casi in cui è stata fatta richiesta di innovatività per gli orfani c’è stato un esito positivo: hanno avuto innovatività piena (41%) oppure condizionata (31%), mentre solo nel 28% dei casi tale qualifica non è stata concessa. Per quanto riguarda i farmaci non orfani la percentuale di successo è stata inferiore, pari al 62% complessivo, di cui un 32% con innovatività piena e un 30% con innovatività condizionata. Sono questi i primi e più rilevanti dati che emergono dal **Quaderno “[Il riconoscimento dell’innovatività per i Farmaci Orfani](#)”** di **[Osservatorio Farmaci Orfani](#)**, joint venture tra Osservatorio Malattie Rare e CREA Sanità. **Il Quaderno OSSFOR, il 5° prodotto in 4 anni di attività** – presentato oggi insieme a **[SIFO-Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie](#)** – è l’esito di un anno di Tavoli Tecnici che hanno visto la partecipazione di farmacisti ospedalieri ovviamente, ma anche di clinici, associazioni, payers nazionali e regionali.

L’innovatività si stabilisce in funzione di tre elementi: il bisogno terapeutico, il valore terapeutico aggiunto e la qualità delle prove. La regola generale è che potranno essere considerati innovativi i farmaci ai quali siano stati riconosciuti un bisogno terapeutico e un valore terapeutico aggiunto

entrambi di livello “massimo” o “importante” e una qualità delle prove “alta”. **La Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) di AIFA può dare tre giudizi per ciascuna combinazione farmaco-indicazione: innovatività piena, innovatività condizionata e non innovativo**, a cui rispondono benefici e agevolazioni differenti.

L’innovatività è classificata in due categorie: “piena” e “condizionata”. L’innovatività “condizionata”, però, non dà accesso ai benefici economici: accesso ai Fondi e sospensione delle 2 riduzioni -5% e -5% obbligatorie sul prezzo ex-factory. Lo status di innovatività e i benefici ad esso correlati è temporanea (massimo 36 mesi, 18 in caso di innovatività “condizionata”) e comunque rivalutabile (attraverso i registri di monitoraggio) in corso d’opera. Va rimarcato che, ai sensi della Determina AIFA n. 1535/2017, di fatto si passa da una valutazione per molecola ad una per indicazione (sebbene la regola sia stata applicata non sempre in modo rigido) e che i second comers beneficiano dell’innovatività per il tempo residuo rispetto ai 36 mesi concessi al farmaco che per primo ha avuto l’innovatività. Inoltre, tutti i farmaci valutati innovativi vengono inseriti direttamente nei Prontuari Terapeutici Regionali nei termini previsti dalla legge.

“Il fatto che nel 72% dei casi sia stata concessa l’innovatività per gli orfani significa che di fatto sono state superate le problematiche connesse alla valutazione della ridotta qualità delle evidenze strettamente connessa ai piccoli numeri delle malattie rare – ha spiegato la **Dott.ssa Barbara Polistena di CREA Sanità, Università degli Studi di Roma “Tor Vergata”** nell’illustrare i dati – Proprio la qualità delle prove poteva infatti essere un elemento critico per gli orfani. Va però dato atto che, in modo lungimirante, la Determina AIFA n. 1535/2017 ha previsto delle deroghe al criterio generale nel caso particolare di farmaci con indicazione per malattie rare, o comunque con tassi di prevalenza ad esse assimilabili. Si è riconosciuta l’esistenza di elementi di criticità, come l’oggettiva difficoltà di condurre studi clinici di adeguata potenza. Per i farmaci orfani la Determina prevede, quindi, che l’innovatività possa essere riconosciuta anche se le prove presentate a supporto siano state giudicate di livello basso, purché sia stato evidenziato un elevato bisogno terapeutico ed esistano forti indicazioni di un beneficio terapeutico aggiuntivo”.

Senza questa specifica previsione di AIFA forse alcuni farmaci orfani che hanno ottenuto il beneficio dell’innovatività e che, di conseguenza, sono stati più velocemente accessibili ai pazienti in modo uniforme su tutto il territorio, avrebbero potuto avere una sorte peggiore a causa di un limite intrinseco legato alla piccola popolazione di pazienti. “Ciò non significa, però, che i farmaci orfani siano meno innovativi degli altri – ha commentato **Francesco Macchia, Coordinatore di OSSFOR** – L’algoritmo di AIFA è molto severo e se questi farmaci non portassero davvero delle ‘rivoluzioni terapeutiche’ non avrebbero mai ottenuto parere positivo. In realtà, e lo abbiamo visto anche nella ricerca recente sui vaccini, molti meccanismi messi a punto proprio sui malati rari e attraverso farmaci orfani hanno rappresentato dei salti in avanti nella ricerca farmacologica: la ricerca sulle malattie rare è senza dubbio un importante motore di innovazione per tutto il settore”.

“È quanto mai importante oggi parlare di farmaci innovativi, soprattutto in riferimento alle malattie rare, perché in questo ambito si deve mostrare con coraggio e chiarezza la capacità di dare risposte di salute a persone con bisogni irrisolti – ha sottolineato **Arturo Cavaliere**,

Presidente della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera-SIFO – Questo approccio conferma la responsabilità etica con cui tutto il sistema si prende carico di fasce di popolazione che, pur essendo numericamente ridotte, esprimono richieste che non possono essere ignorate o nascoste. Il farmacista ospedaliero assume in questo scenario un ruolo essenziale: da un lato quello di completo conoscitore del farmaco orfano, e dall'altro di supporto determinante nel governo del percorso complessivo del percorso terapeutico del paziente con malattia rara”.

Il 5° Quaderno OSSFOR [“Il riconoscimento dell’innovatività per i Farmaci Orfani”](#) è stato realizzato grazie al contributo non condizionato di Alexion Pharmaceuticals, Amicus Therapeutics, Biomarin Pharmaceutical, Chiesi Farmaceutici, Kyowa Kirin, PTC Therapeutics, Roche, Sanofi Genzyme, Sobi, Takeda e Vertex Pharmaceuticals.

Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) è nato nel 2016 da un’iniziativa congiunta del Centro di Ricerca CREA Sanità (Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità) e della testata Osservatorio Malattie Rare (OMaR), con l’obiettivo di supportare le politiche sanitarie che riguardano le malattie rare (MR) e, in particolare, le tecnologie per esse specificatamente sviluppate, quali i farmaci orfani (FO). La mission di OSSFOR è promuovere la definizione di una efficace ed efficiente governance del settore, orientata a garantire insieme l’accesso dei pazienti alle terapie e la sostenibilità del sistema. OSSFOR sviluppa attività di ricerca, sistematizzando le informazioni disponibili sulla gestione dei pazienti portatori di MR, nel campo dell’epidemiologia, dell’economia, del diritto; inoltre, promuove occasioni di incontro tra le istituzioni e i principali stakeholder del sistema.

UFFICIO STAMPA OSSERVATORIO MALATTIE RARE (OMaR)

Ilaria Ciancaleoni Bartoli: +39 331 4120469; direttore@osservatoriomalattierare.it

Rossella Melchionna: +39 334 3450475; melchionna@rarelab.eu