

Su iniziativa della Senatrice Paola Binetti in collaborazione con Osservatorio Farmaci Orfani

"Programmi Di Accesso Anticipato: Un Modello Vincente Da Implementare Pienamente In Favore Dei Pazienti Con Malattie Rare." Palazzo Madama, 24 settembre 2018.

DAI MIGLIORAMENTI DELLA LEGGE 648/96 AL DIALOGO TRA AIFA E AZIENDE: LE PROPOSTE DI OSSFOR PER AGEVOLARE L'ACCESSO AI FARMACI DESTINATI AI MALATI RARI.

Roma, 24 settembre 2018 – Individuare possibili **margini di miglioramento** nell'applicazione dei **programmi di accesso anticipato** (EAPs) ai **farmaci orfani** (i farmaci destinati ai malati rari), al fine di consentire al paziente di **ottenere le terapie in tempi più brevi**. È questo, in sintesi, l'obiettivo del primo **Position Paper** (<http://www.osservatoriofarmaciorfani.it/pubblicazioni/position-paper-ossfor/>)

dell'**Osservatorio Farmaci Orfani** (OSSFOR) presentato a Palazzo Madama, su iniziativa della Senatrice Paola Binetti. La posizione ufficiale di OSSFOR è frutto del lavoro svolto con i rappresentanti di EMA (Agenzia Europea del Farmaco); AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco); Conferenza Stato – Regioni; Accademia Europea dei pazienti Eupati; Uniما Federazione Italiana Malattie rare Onlus; Eurordis Rare Disease Europe e Farmindustria nel corso di tre tavoli tecnici annuali, secondo il modello di think tank anglosassone. “Ancora oggi, molte malattie rare non dispongono di terapie farmacologiche specifiche – ha dichiarato la **Sen. Paola Binetti** - Per questa ragione, gli Early Access Programmes rappresentano una risorsa necessaria proprio perché consentono ai pazienti affetti da malattie rare, gravi e altamente invalidanti, di poter ricorrere a cure in fase di sperimentazione o non ancora autorizzate dallo Stato italiano” ha concluso la Senatrice.

Cosa sono i programmi di accesso anticipato (EAPs)

L'utilizzo degli EAPs è rivolto, principalmente, a pazienti affetti da gravi malattie per cui non sono disponibili validi trattamenti terapeutici; a tali pazienti viene concessa la possibilità di accedere ad una terapia al di fuori della sperimentazione clinica e prima del lancio commerciale del farmaco stesso. In molti casi, l'impiego di un farmaco sperimentale rappresenta, per i malati affetti da patologie gravi ed altamente invalidanti, l'unico strumento in grado di salvarne la vita o anche solo di migliorarne la qualità della stessa.

Il Position Paper

Il documento analizza i programmi di accesso anticipato ai **farmaci orfani** e individua possibili soluzioni di miglioramento nell'applicazione della normativa esistente.

“Dallo studio della normativa è emerso che **l'Italia, più di altri Paesi Europei, dedica particolare attenzione alle esigenze di accesso anticipato dei pazienti** a farmaci non ancora autorizzati. – ha dichiarato **Francesco Macchia, coordinatore OSSFOR** – Nel confronto tra gli stakeholder sono emersi **due principali criticità** connesse, in modi diversi, a tutte le norme prese in considerazione. In particolare, si fa riferimento alla necessità di un **early dialog** tra i soggetti chiamati ad intervenire nei procedimenti descritti e disciplinati dalle norme e, alla **maggior condivisione di**

informazioni che, se attuata mediante sistemi generalmente condivisibili, potrebbe comportare una riduzione dei tempi legati al procedimento e, di conseguenza, consentire al paziente di ottenere le terapie in tempi brevi” ha concluso Macchia.

Le proposte di soluzioni di OSSFOR

Le proposte contenute nel Position Paper partono dall’analisi delle principali norme vigenti sugli EAPs, che sono state oggetto di approfondimento del quaderno OSSFOR, in particolare la **legge n.648/1996 e la legge n. 326/2003**. Le ipotesi di soluzioni si delineano su **tre livelli di intervento**, tenendo conto della difficoltà di avviare delle riforme legislative, secondo l’arco temporale che va da breve, a medio e a lungo termine. Tra le proposte a breve termine, emerge la necessità di una **maggior comunicazione** tra i soggetti che intervengono nel processo di erogazione del farmaco. Per facilitare lo scambio di informazioni tra gli attori coinvolti si dovrebbe individuare un modo per consentire il **confronto tra AIFA e le aziende produttrici**, non finalizzato alla richiesta di inserimento di un farmaco nella lista 648, ma per la verifica della sussistenza dei presupposti per l’erogazione del farmaco stesso. Le altre due proposte a breve termine consistono nell’**istituzione di un registro delle autorizzazioni all’accesso al fondo AIFA**, con l’inserimento sul sito di AIFA un elenco dei farmaci erogati tramite il fondo e delle relative patologie, e nel ripristino del rimborso diretto di AIFA alle aziende, senza passare per le regioni o per le ASL.

Nel medio periodo, per consentire il monitoraggio dei dati economici e clinici dei farmaci, si potrebbe **predisporre un registro ad hoc per il monitoraggio dei dati del farmaco**. Inoltre, per ridurre i tempi di accesso per i pazienti si potrebbe diffondere (mediante pubblicazione) il procedimento seguito da AIFA per l’autorizzazione e dai soggetti esterni coinvolti previsto l’erogazione del farmaco. La risoluzione delle criticità connesse all’importazione di un prodotto posso essere superate con indicazioni specifiche e linee guida, punto sul quale AIFA è già attualmente al lavoro.

Nel lungo periodo, il Position Paper di OSSFOR propone l’**intervento sul piano normativo**, della Legge 648/96, attraverso il coinvolgimento delle aziende in fase di richiesta di inserimento nella lista; la predisposizione di un fondo di riferimento aggiornato annualmente e la disciplina per i prodotti a cui viene negato il rimborso e la riduzione dell’incertezza sui tempi della negoziazione.

Al fine di dare concreta applicazione alle soluzioni prospettate, OSSFOR suggerisce di approfondire ulteriormente, magari mediante incontri bilaterali, alcuni specifici temi emersi dal Position Paper.

L’Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) è il primo centro studi e think-tank interamente dedicato allo sviluppo di policy innovative di incentivo e sostenibilità per il settore delle cure per le malattie rare (MR). Nasce da una iniziativa congiunta del centro di ricerca C.R.E.A. Sanità (Consorzio per la Ricerca Economica Applicata in Sanità) e della testata Osservatorio Malattie Rare (OMAR) per favorire una sinergia tra il mondo istituzionale, politico, accademico ed imprenditoriale attraverso un libero confronto utile ad identificare le strategie da mettere in atto. La base di questo confronto è dato dall’analisi economica dell’impatto delle MR e la valutazione dei farmaci orfani e dalle informazioni che l’Osservatorio si impegna a generare con continuità.