

Diritto

Procedure

Quasi sette mesi per l'autorizzazione dell'agenzia Ue



ccorrono fino a 210 giorni effettivi dalla richiesta di autorizzazione all'immissione in commercio di un farmaco innovativo, presentata all'Agenzia europea dei medicinali, fino al pronunciamento dell'Ema, ma il conteggio viene sospeso ogni volta che l'Agenzia chiede chiarimenti all'azienda farmaceutica e fino a quando non sono forniti — riferisce Stefano Mazzariol, vicepresidente di Parent Project e

paziente esperto Eupati, progetto dell'Accademia europea dei pazienti per la formazione sull'innovazione terapeutica — . I tempi dell'autorizzazione spesso non coincidono con l'avanzamento di una patologia invalidante. Pur nel rispetto del percorso regolatore che deve accertare l'efficacia e la sicurezza del farmaco — conclude Mazzariol — sarebbero auspicabili procedure più snelle per ridurre i tempi».

M.G.F.

L'odissea di un padre per un farmaco orfano

In casi specifici, i medicinali non in commercio per le malattie rare possono essere richiesti ma l'iter da seguire resta ancora troppo lungo

Open Aifa

Le associazioni dei pazienti possono incontrare gli esperti dell'Agenzia italiana del farmaco, nell'ambito degli «Open Aifa», per avere indicazioni sul percorso da seguire per l'accesso precoce a farmaci innovativi. La richiesta di partecipazione agli incontri va inviata a openaifa@aifa.gov.it. Può essere fatta anche da rappresentanti del mondo accademico e della ricerca, aziende farmaceutiche e ogni altro soggetto interessato.

Luca (nome di fantasia) soffre di distrofia muscolare di Duchenne, malattia genetica rara che esordisce nei primi anni di vita e causa una progressiva degenerazione dei muscoli, con una perdita della deambulazione in media intorno ai 12-13 anni. Racconta il papà, Costantino: «A settembre 2016 negli Stati Uniti è stato autorizzato da Fda (Food and drug administration) l'impiego del primo farmaco, eteplirsen, compatibile con la mutazione genetica di mio figlio, che allora avevo otto anni.

«Il medicinale non fa miracoli ma può rallentare il decorso della malattia, quindi può fargli guadagnare altri anni di autonomia. Mai avrei immaginato che dopo due anni e mezzo avrei dovuto ancora combattere per ottenerlo, nonostante le leggi italiane sull'accesso precoce alle terapie innovative siano a nostro favore, almeno sulla carta. Questi anni di mancato trattamento, persi a causa di intoppi senza senso, chi li restituirà a mio figlio?».

In Europa il farmaco non è disponibile poiché non ancora approvato dall'Agenzia europea dei medicinali (Ema).

In assenza dell'autorizzazione per l'immissione in commercio, però, per le persone che soffrono di patologie gravi e altamente invalidanti senza alternative terapeutiche c'è un'altra possibilità di avere in tempi rapidi un farmaco sperimentale o non ancora in commercio nel nostro Paese, attraverso diverse procedure indicate dall'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) in una recente «informativa sui farmaci orfani»: la legge n. 648/1996, che consente l'utilizzo del medicinale inserito in una lista su base nazionale e altre norme che disciplinano la prescrizione del farmaco per il singolo paziente su base nominale, ovvero la legge n. 326/2003 (fondo Aifa del 5 per cento), la legge n. 94/1998 (accesso a medicinali regolarmente in commercio per un uso off label, cioè al di fuori delle condizioni di registrazione) e le norme sull'uso compassionevole» (si veda il grafico e l'articolo in basso).

«Conoscevo la legge 648, ma ignoravo le altre — ricorda Costantino —. Così ho iniziato a informarmi, a studiare, a tentare varie strade, ma invano. Intanto, il bambino cominciava a perdere la funzionalità motoria dopo tre anni di condizioni stabili. Quando tuo figlio ti chiede "papà, quando arriva la punturina dall'America che fa stare meglio le mie gambe?" o ti dice "papà, non voglio finire sulla sedia a rotelle", provi un senso di impotenza ma anche di rabbia sapendo che esiste una terapia che può migliorare le sue condizioni ma non riesci ad averla. Il bambino oggi ha dieci anni e ancora cammina, ma per quanto tempo?».

Distrarsi tra leggi e procedure burocratiche non è facile per i genitori, spesso nemmeno per i clinici. Per questo Parent Project onlus, l'associazione di pazienti e genitori di bambini e ragazzi affetti da distrofia muscolare di Duchenne e Becker, ha dedicato agli aspetti che regolano l'accesso precoce ai farmaci sperimentali un'apposita sessione della conferenza internazionale sulla distrofia muscolare di Duchenne e Becker, svoltasi di recente a Roma.

«Fino a una decina di anni fa quasi non esistevano sperimentazioni cliniche per la distrofia muscolare di Duchenne, oggi ce ne sono diverse e cominciano ad arrivare farmaci innovativi in uno stadio avanzato di sviluppo che stanno dimostrando di allungare o migliorare la vita dei nostri figli — spiega Stefano Mazzariol, vicepresidente di Parent Project onlus —. Ma, oltre alle procedure tecniche per l'accesso anticipato, ci siamo trovati di fronte anche ad altri problemi di carattere più burocratico ed economico. Come associazione, abbiamo partecipato agli «open Aifa», promossi dall'Agenzia, per capire quale fosse la procedura di accesso anticipato più adatta da seguire per ogni singolo farmaco. Riguardo a eteplirsen (il me-

dicinale che serve a Luca e ad altri bambini con la stessa mutazione genetica, ndr) ci hanno indicato la strada della legge 326. C'è, però, anche un problema economico poiché i farmaci orfani per patologie rare sono costosi — sottolinea Mazzariol —. La richiesta per accedere al Fondo Aifa del 5 per cento va fatta dai centri di riferimento per patologia rara, mentre la spesa per il medicinale deve essere anticipata dagli assessorati alla Sanità delle relative Regioni, che solo successivamente riceveranno il rimborso dall'Agenzia.

«Si tratta di somme spesso ingenti poiché i pazienti con malattie rare afferiscono a pochi centri sul territorio nazionale, quindi la spesa può gravare su alcune Regioni, seppure temporaneamente. Fino a pochi anni fa, invece, — ricorda il vicepresidente di Parent Project — era l'Aifa a pagare direttamente il farmaco all'azienda produttrice. Sarebbe auspicabile il ritorno a questo sistema, anche per evitare disparità di trattamento a seconda della Regione in cui viene seguito il paziente».

Lo scorso dicembre, Costantino ha chiesto al centro che cura suo figlio di attivare la procedura della legge 326 per avere il farmaco. «La richiesta è stata approvata dal comitato

Che cosa sono

I farmaci orfani sono medicinali utilizzati per la diagnosi, la prevenzione ed il trattamento delle malattie rare



Disponibilità

Proprio perché spesso destinati a pochissimi pazienti, sono poco remunerativi per i produttori. Per questo motivo i costi sono altissimi e non è facile ottenerli

In Italia si possono comunque reperire attraverso modalità specifiche

Se il farmaco orfano è già in commercio, attraverso autorizzazione centralizzata (standard o condizionata)

Chi paga | Servizio Sanitario Nazionale

Se il farmaco orfano non è in commercio, attraverso queste procedure

Erogazione per rispondere rapidamente a condizioni patologiche gravi	Fondo Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) per farmaci non ancora autorizzati, ma che rappresentano una speranza di cura per patologie gravi (Legge 326, 2003)	Uso compassionevole del farmaco sottoposto a sperimentazione clinica (D.M. 8 maggio 2003)	Uso di un farmaco al di fuori delle indicazioni per cui è registrato, dietro prescrizione medica (Legge 94/98)
Chi paga	Aifa	Fornitura gratuita da parte dell'azienda farmaceutica	Il cittadino, tranne in caso di ricovero

Fonte: adattato da Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa), Rapporto OsMed 2017

La storia

Il figlio, malato di distrofia muscolare, aspetta un nullaosta da due anni e mezzo

etico ora è al vaglio dell'ufficio del bilancio — dice —. Successivamente, dopo l'approvazione, dovrà essere esaminata dall'Aifa. Spero di avere il medicinale entro l'estate, ma non voglio illudermi. Vorrei che in futuro non accadesse più che debba essere un padre a cercare le possibili soluzioni, per due anni e mezzo, per accedere in tempi rapidi a farmaci destinati a malattie rare».

Maria Giovanna Faiella

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Cesare Pavese



* Collana composta da 19 uscite. Ogni uscita a €7,90 oltre il prezzo del quotidiano.



La luna e i falò è in edicola*.

CORRIERE DELLA SERA PRESENTA LE OPERE DI CESARE PAVESE

Per la prima volta in edicola, raccolte in una collana, le opere di uno degli autori più emblematici del Novecento italiano: dai romanzi alle poesie, dai saggi alle pagine più intime. Un'occasione per riscoprire i capolavori di uno scrittore amatissimo, uno degli intellettuali più sagaci e innovatori che il mondo culturale italiano abbia conosciuto, un simbolo per intere generazioni, dai giovani appena usciti dalla guerra agli uomini e alle donne che hanno costruito le fondamenta della nostra Repubblica.

ACQUISTA ONLINE LA COLLANA CORRIERE STORE

1A EDICOLA

Prenota la tua copia su PrimaEdicola.it e ritira in edicola!

Il documento

Le quattro «vie» che è possibile percorrere nel nostro Paese

Come avere una terapia innovativa se non è ancora disponibile nel nostro Paese? Le diverse procedure per l'accesso precoce sono descritte in un rapporto sui farmaci orfani dell'Agenzia italiana del farmaco. La legge 648/1996 stabilisce che alcuni farmaci orfani non ancora in commercio, o in commercio per un'indicazione terapeutica diversa, possano essere inseriti in un'apposita lista ed erogati, a carico del Servizio sanitario nazionale, a tutti i pazienti affetti da quella particolare patologia (con determinati criteri). La richiesta di inclusione nella lista può essere fatta anche da associazioni dei malati. Un'altra procedura di accesso anticipato al farmaco può essere avviata con la legge 326/2003 (Fondo Aifa). In questo caso, però, la richiesta va fatta su base nominale, per il singolo paziente, da parte del suo centro di riferimento. Un altro percorso possibile è previsto dalle norme sull'uso compassionevole: la richiesta all'Aifa per l'accesso va fatta dal medico di riferimento, previa disponibilità della ditta farmaceutica alla fornitura gratuita del medicinale.



Per saperne di più
sull'argomento
www.aifa.gov.it/content/rep
ort-aifa-sui-farmaci-orfani
www.parentproject.it

CORRIERE DELLA SERA

La libertà delle idee