

Stato dell'assistenza alle persone con malattia rara in Italia: il contributo delle Regioni

Le somministrazioni domiciliari dei farmaci orfani

Giuseppe Secchi, Farmindustria

Roma, 21 aprile 2015

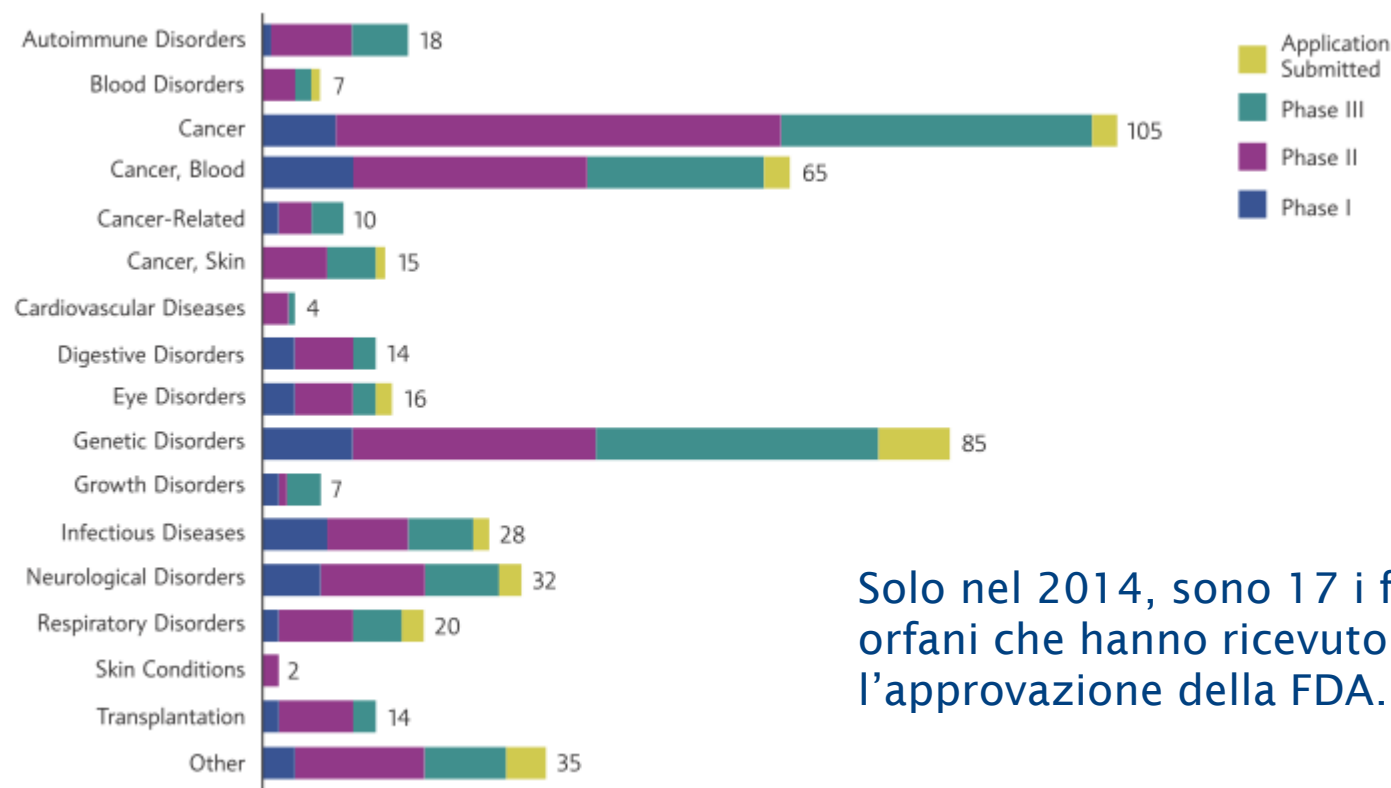


FARMINDUSTRIA

Le imprese farmaceutiche e biotecnologiche mostrano un importante impegno nelle malattie rare



More Than 450 Medicines in Development for Rare Diseases



Solo nel 2014, sono 17 i farmaci orfani che hanno ricevuto l'approvazione della FDA.



Il contributo delle imprese per fornire nuove risposte terapeutiche

Dall'aprile 2000 ad oggi:

- **2.176** domande presentate all'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) per la designazione di farmaco orfano
- **1.486** designazioni
- **103** autorizzazioni all'immissione in commercio rilasciate dall'EMA

Il 2014 è stato un anno record, oltre che per FDA, anche per EMA nell'approvazione di farmaci per il trattamento di malattie rare con 17 autorizzazioni.



Le sperimentazioni cliniche con farmaco orfano in Italia

Dal 2009 sono **quasi raddoppiate** le sperimentazioni cliniche con farmaco orfano in Italia.

In particolare, nel 13° Rapporto nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei medicinali dell'Aifa, risultano autorizzate nel 2013 **117 sperimentazioni cliniche** (pari al 20,1% del totale), di cui circa il 40% in Fase 3.



Dalla Ricerca nuove opportunità per i Pazienti

Grazie alla Ricerca, le imprese hanno offerto **nuove opportunità di trattamento**, finora non disponibili, e farmaci che consentono una **migliore qualità della vita e una maggiore sopravvivenza**. Ad esempio, i pazienti affetti dalla malattia di Pompe (patologia lisosomiale neuromuscolare rara, cronica e fortemente invalidante) hanno ora a disposizione una terapia enzimatica sostitutiva.

O ancora, nel caso della fibrosi polmonare idiopatica (caratterizzata dalla formazione di tessuto cicatriziale all'interno dei polmoni) una nuova molecola ha ottenuto la designazione orfana e l'autorizzazione per l'immissione in commercio.

Un'**innovazione**, che riguarda anche le **modalità di somministrazione** di alcuni farmaci (come ad esempio per la malattia di Gaucher di tipo I), consentendo di semplificare sensibilmente la quotidianità dei malati e delle loro famiglie.



Le somministrazioni a domicilio di farmaci orfani

Ma c'è di più. Oltre che nella Ricerca per le malattie rare, le Aziende sono disponibili ad impegnarsi in progetti che prevedono la somministrazione a domicilio di farmaci orfani, così come accade tra l'altro anche per altri farmaci.

Il malato raro ha una serie di problematiche assistenziali complesse, tra cui quelle legate alla modalità di somministrazione dei farmaci prescritti. Si tratta molto spesso di trattamenti prolungati nel tempo e che si effettuano presso le strutture sanitarie pubbliche. Problematiche che gravano sulle famiglie del paziente.

In questi progetti, le Aziende si farebbero carico di tutte le fasi per la somministrazione domiciliare di terapie per alcune malattie rare (dal ritiro del farmaco presso la farmacia all'erogazione stessa al paziente) attraverso operatori specializzati, senza mai entrare in contatto diretto con il paziente.



I vantaggi delle somministrazioni domiciliari dei farmaci orfani

- comfort per il malato raro che può effettuare il trattamento in orari flessibili e nel proprio ambiente domestico, con conseguente miglioramento della sua qualità di vita
- eliminazione del tempo impiegato per gli spostamenti per raggiungere il centro clinico, a vantaggio anche dei familiari che possono ridurre il numero di assenze dal lavoro
- garanzia della continuità assistenziale e monitoraggio costante dello stato di salute del paziente
- risparmi per il SSN grazie alla riduzione del numero degli accessi in ospedale per le terapie (e dei relativi costi di ospedalizzazione). Inoltre sarebbero le Aziende a farsi carico dei costi legati alle somministrazioni domiciliari



Conclusioni

Negli ultimi anni sono stati compiuti passi importanti nelle malattie rare, ma è possibile fare di più.

In un campo così complesso è auspicabile che gli *stakeholder* sostengano i malati rari e le loro famiglie con tutti gli strumenti a disposizione.

E le Aziende fanno la loro parte!

