

«Farmaci orfani», un sistema in crescita

ALESSIA GUERRIERI

ROMA

È un sistema in crescita, ma ancora molto fragile, quello dei **farmaci orfani**. Fragile tanto quanto i circa 300mila malati rari in Italia che ne beneficiano – il numero oscilla tra 270mila e 322mila, considerando i soli pazienti esenti nel Ssn – che corrisponde allo 0,5% della popolazione, con una prevalenza maggiore nelle donne e un picco nell'età adolescenziale. Un esercito sottostimato, secondo l'osservatorio sui **farmaci orfani (Ossfor)** che ieri a Roma insieme a Crea Sanità ha presentato il primo rapporto sulle **malattie rare**, per cui il servizio sanitario impiega risorse per 1,35 miliardi di euro (1,2% della spesa totale).

Questo significa, insomma, che la spesa per i malati rari non si discosta molto da quella di un cittadino con due cronicità, aggirandosi intorno ai 4.200-5.000 euro (il 60% è il costo per

Il rapporto

Sono i medicinali per i circa 300mila italiani affetti da malattie rare e rappresentano l'1,2% della spesa del Ssn

i farmaci). Il nostro Paese perciò sta finalmente investendo in queste patologie, visto che «la spesa tra il 2015 e il 2016 è cresciuta del 22% e la quantità di farmaci del 16% – sottolinea Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità – soltanto la Gran Bretagna ha più **farmaci orfani** nei prontuari di noi». E l'agenzia del farmaco nel 2017 ha autorizzato 73 nuovi medicinali di cui 10 orfani. A incuriosire, però, è che pur essendo in maggioranza donne i malati ra-

ri, per loro si spende solo il 40% del totale. Tuttavia la sfida del futuro continua ad essere quella dei farmaci ultra-rari, destinati cioè a quei pazienti con patologie che colpiscono una persona su un milione. Queste persone sono circa il 16% dell'universo dei malati rari, «ma frazionati in 215 malattie – ricorda il coordinatore dell'Ossfor Francesco Macchia – con una variabilità di concentrazione nelle Asl altissima e una variazione di spesa pro-capite anche del 220%». Non c'è nulla di più insopportabile per un malato e la sua famiglia sapere che esiste una cura, «ma non è disponibile perché costa troppo». Dunque la proposta lanciata dalla deputata Paola Binetti, presidente dell'Intergruppo parlamentare per le **malattie rare**, «è esportare il modello di regioni come la Lombardia per togliere alibi agli altri territori. Anche perché vanno trovati gli strumenti per rendere davvero esigibile un traguardo sanitario raggiunto».

© RIPRODUZIONE RISERVATA

