

## OSSERVATORIO FARMACI ORFANI OSSFOR

L'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), è nato nel 2016, da una iniziativa congiunta del Centro di ricerca C.R.E.A. Sanità (Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità) e della testata Osservatorio Malattie Rare (O.Ma.R.), 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 istituzioni e i principali *stakeholder* del sistema.

Uno degli obiettivi dell'Osservatorio Farmaci Orfani è quello di giungere alla proposizione di soluzioni organizzative ed iniziative normative o legislative finalizzati alla ottimizzazione della gestione del settore dei farmaci orfani e delle malattie rare.

## TRE ANNI DI OSSFOR

Nell'ambito delle attività istituzionali di OSSFOR c'è l'elaborazione del **Rapporto Annuale OSSFOR** realizzato dai ricercatori di C.R.E.A. Sanità e di Osservatorio Malattie Rare. Il Rapporto è pubblicato annualmente e si focalizza sulla raccolta di dati originali sull'impatto epidemiologico ed economico delle malattie rare, sulle problematiche di accesso al mercato e, in generale, sulla regolamentazione del sistema. Inoltre, analizza, grazie alla banca dati appositamente sviluppata da OSSFOR, l'andamento delle traiettorie di accesso al mercato dei FO e le dimensioni del relativo consumo e spesa.

Il 1° Rapporto, *"Impatto e governance delle malattie rare e dei farmaci orfani"* pubblicato nel mese di Novembre 2017, contiene l'analisi dei dati messi a disposizione dalle Regioni Lombardia e Puglia.

Il 2° Rapporto, *"Valutazione e accesso al mercato: l'evoluzione nel campo delle malattie rare"*, pubblicato nel mese di Novembre 2018, contiene l'analisi dei dati della Regione Campania.

Il 3° Rapporto, *"La presa in carico dei pazienti con MR: l'impatto dei nuovi LEA e dell'accorpamento delle ASL"*, pubblicato nel mese di Novembre 2019, raccoglie l'analisi dei dati della Regione Toscana.

OSSFOR organizza i **Tavoli Tecnici OSSFOR** dedicati ad alcune tematiche scelte ad inizio anno a seguito di un confronto con diversi stakeholders. Frutto di tale attività è stata la produzione periodica de **I Quaderni OSSFOR** che trattano, con approfondimenti monotematici, tematiche utili a fornire un quadro più organico del mondo delle malattie rare e dei farmaci orfani.

Il 1° *Quaderno*, dal titolo *"La regolamentazione delle malattie rare e dei farmaci orfani"*, pubblicato nel mese di Giugno 2017, è una raccolta di tutte le normative che regolano il settore, accompagnate da alcune informazioni che consentono di fornire una più ampia panoramica del settore.

Il 2° *Quaderno*, dal titolo *"Gli Early Acces Programmes (EAPs)"*, pubblicato nel mese di Settembre 2017, è una raccolta dei programmi che garantiscono meccanismi etici, conformi e controllati di accesso ai farmaci sperimentali, al di fuori dello spazio di sperimentazione clinica e prima del lancio commerciale del farmaco, a pazienti con gravi malattie per cui non sono disponibili altre opzioni di trattamento.

Il 3° *Quaderno* *"L'HTA dei piccoli numeri"*, pubblicato nel mese di Novembre 2018, è un'analisi dell'adattamento dei criteri di HTA alle tecnologie per le malattie rare a partire da una revisione della letteratura scientifica nel periodo compreso fra gennaio 1990 e maggio 2018. In particolare, si concentra su alcune delle dimensioni dell'HTA previste nel Core Model dal network europeo per l'HTA (EUnetHTA).

Il 4° Quaderno “Proposte per la strutturazione dei Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali delle Malattie Rare”, pubblicato nel mese di Novembre 2019, nasce con la finalità di suggerire linee di indirizzo a quanti sono impegnati nella progettazione e attuazione di Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA) a livello regionale e locale per le malattie rare (MR).

La finalità ultima, della sistematizzazione dei dati e delle informazioni raccolte durante i Tavoli Tecnici, è quella di racchiudere in un **Position Paper** le raccomandazioni OSSFOR per il settore al fine di indicare una base di riferimento certa e il quanto più chiara possibile.

Il 1° Position Paper “Gli Early Acces Programmes (EAPs). Le nostre proposte di miglioramento nell’applicazione della normativa”. è stato pubblicato nel mese di Febbraio 2018.

Il 2° Position Paper “HTA dei piccoli numeri” è stato pubblicato nel mese di Maggio 2019.

## ALLEANZA MALATTIE RARE

Tra le iniziative di maggior rilievo, c’è la nascita dell’**Alleanza Malattie Rare** (AMR) promossa dalla Senatrice Paola Binetti, presidente dell’Intergruppo Parlamentare per le malattie rare. Composta da Associazioni di pazienti, ricercatori, tecnici e rappresentanti del mondo istituzionale, l’Alleanza ha come obiettivo quello di favorire la collaborazione tra la Società civile ed il mondo politico istituzionale, con il fine ultimo di perseguire una migliore organizzazione dell’intero settore delle malattie rare e dei farmaci orfani, garantendo il rispetto dei principi di uguaglianza, parità fra generi, reciprocità e mutuo beneficio.

Le pubblicazioni di OSSFOR - Rapporti, quaderni, analisi, documenti preparatori, proposte organizzative e normative ed ogni altro documento elaborato - sono resi pubblici attraverso la pubblicazione sul sito [www.osservatoriofarmaciorfani.it](http://www.osservatoriofarmaciorfani.it)

L’Osservatorio si finanzia attraverso un contributo annuale ed incondizionato del maggior numero possibile di aziende impegnate nella ricerca e nello sviluppo di farmaci orfani. L’estrema «parcellizzazione» dei finanziatori è massima garanzia di indipendenza e terzietà rispetto ai finanziatori stessi e nei confronti delle istituzioni.

Le attività di OSSFOR sono realizzate grazie al contributo non condizionato di:

