

COMUNICATO STAMPA

**MALATTIE RARE, RAPPORTO OSSFOR:
SI ALLARGANO LE ESENZIONI MA NON I COSTI DEL SSN CHE AMMONTANO A 2 MLD EURO
OVVERO ALL'1,7% DELLA SPESA SANITARIA PUBBLICA.**

**CRESCONO LE OPPORTUNITA' TERAPEUTICHE (SONO ENTRATI 11 NUOVI FARMACI ORFANI) E
INSIEME RALLENTA LA CRESCITA DELLA SPESA (DAL +25% DEL 2017 AL +5,9% NELL'ULTIMO
ANNO)**

Sono i principali dati che emergono dal III Rapporto OSSFOR, presentato oggi al Senato, dal quale emerge anche che i malati rari sono in maggioranza donne, anche se è per gli uomini che si spende di più.

Crescono le sperimentazioni cliniche sulle malattie rare, ma rimangono molte opportunità non colte.

Roma, 12 novembre 2019 – Sulla base di un campione di circa 110.000 malati rari esenti, estratto dai database amministrativi dalle **Regioni Campania, Lombardia, Puglia e Toscana (nuova analisi del 2019)**, che ammontano a circa il 40% della popolazione italiana, si stimano 433.000 persone che in Italia hanno un'esenzione da ticket per malattia rara, lo 0,72% della popolazione; la maggior parte sono donne anche se le risorse assorbite dal genere maschile sono di più, circa il 55% del totale.

Confrontando il dato con le stime dei pazienti con malattia rara di Orphanet, poco più di 1 malato raro su 10 ha una esenzione da ticket.

L'impegno per dare risposta ai malati rari non è uniforme: quelli che hanno una patologia con prevalenza superiore all'1 su 10.000 sono circa il 50% e si distribuiscono in meno di 17 condizioni rare; ma quelli con patologia ultra-rara sono meno del 28% e si distribuiscono su più di 204 diverse condizioni rare oltre ad avere un costo pro-capite mediamente più alto.

Per i malati rari esenti, che sono quelli che incidono economicamente di più, il SSN tra visite, analisi di laboratorio e diagnostica, ricoveri e farmaci spende circa 2 miliardi di euro, pari all'1,7% della spesa sanitaria complessiva.

Malgrado il costo delle tecnologie per le patologie rare, il costo medio per paziente si attesta in media a meno di € 5.000, quanto quello che in media si spende per i pazienti con due patologie croniche.

Sono questi alcuni dei dati contenuti nel **3° Rapporto Annuale di OSSFOR** - l'Osservatorio Farmaci Orfani – www.osservatoriofarmaciorfani.it nato dalla partnership tra C.R.E.A. Sanità e Osservatorio Malattie Rare – presentato oggi al Senato.

“L'ampliamento delle patologie esenti introdotto con i 'nuovi LEA' – ha spiegato Barbara Polistena, C.R.E.A. Sanità/OSSFOR - ha incrementato i malati rari che ne usufruiscono del 3%, ma senza che sia aumentato il costo per il SSN; anche le opportunità terapeutiche sono aumentate, **ad esempio i farmaci orfani sono**

passati dai 95 del 2017 ai 106 del 2018; la crescita del loro costo è però meno rapida che in passato: se la crescita della spesa era stata del +25,0% tra il 2016 e il 2017, in questo ultimo anno l'aumento è stato solo del 5,9%".

In aggiunta **Federico Spandonaro** (Università degli Studi di Roma "Tor Vergata" e C.R.E.A. Sanità), fa notare che "il 44,3% dei farmaci orfani fattura meno di 5 milioni di euro l'anno e il 65,0% meno di 10 milioni, confermando nella stragrande maggioranza dei casi la correttezza degli incentivi riconosciuti, e la necessità di ripensare la norma che li ha levati ad alcune molecole certamente 'orfane' da un punto di vista economico".

"La spesa legata ai malati rari, e quindi in buona parte ai Farmaci Orfani, cresce decisamente meno di quel che si temesse sulla base di alcune proiezioni fatte in passato – **ha detto Francesco Macchia, coordinatore di OSSFOR** - Dopo un quadriennio di forte crescita, normale in un settore nuovo, dove tutte le terapie stavano arrivando insieme sul mercato, **quest'anno, per la prima volta, si assiste ad un "calmierazione" degli impatti e anche il costo per unità tende a ridursi (-3,8% nell'ultimo anno)**. Bisognerebbe prendere atto di questo, e quindi di alcuni ingiustificati allarmismi fatti in passato, e agire di conseguenza, ad esempio velocizzando i tempi di approvazione ancora troppo lunghi: 239 giorni di media, nonostante dal 2012 l'applicazione del Decreto Balduzzi preveda una procedura agevolata entro i 100 giorni per i farmaci orfani"

Tra le altre novità del Rapporto OSSFOR, oltre all'allargamento delle Regioni coinvolte, ricordiamo anche un'analisi specifica fatta sull'impatto dell'**accorpamento delle ASL** sulla sostenibilità della presa in carico dei malati rari.

"Il **processo di accorpamento delle ASL** che negli ultimi anni sta caratterizzando praticamente tutte le Regioni – ha spiegato **Barbara Polistena** - **si dimostra positivo perché** di fatto implica una maggiore suddivisione dei rischi e questo è importante soprattutto quando le aziende sanitarie si trovano a dover assicurare l'assistenza ad un malato raro 'ad alto costo', spesso nei fatti un bambino affetto da malattia ultra rara".

Un intero capitolo del rapporto è poi dedicato al tema della sperimentazione clinica. Un dato estremamente positivo è l'incremento degli studi sulle malattie rare, che arrivano a rappresentare il 64% dell'aumento di tutti gli studi clinici in Italia. L'aumento è sensibile per tutte le Fasi della Sperimentazione.

Malgrado questo, restringendo l'analisi alle sole sperimentazioni dei farmaci orfani in prossima valutazione, emergono chiaramente come ci siano ampi margini per un ulteriore miglioramento del sistema: emerge, infatti, il rischio che per lo sviluppo di queste molecole l'Italia possa rivestire un ruolo marginale, essendo ancora sottoutilizzata per le fasi di studio più innovative, come la fase I.

Ufficio Stampa
Fabio Fantoni
fantoni@rarelab.eu
mob: 339 3235811

M. Cristina Saja
saja@rarelab.eu
mob: 340 7942218