

## COMUNICATO STAMPA

---

### **MALATTIE RARE, RAPPORTO OSSFOR. DIMEZZATI I TEMPI DI ACCESSO DEI FARMACI ORFANI AL MERCATO MA I PAZIENTI CONTINUANO AD ATTENDERE MOLTO PIU' DEL NECESSARIO.**

*AIFA è riuscita a ridurre i tempi di negoziazione, ma ci sono almeno 4 mesi e mezzo di ritardo sulla procedura detta dei '100 giorni', a cui poi si aggiungono i tempi, tutti diversi, dei prontuari regionali.*

**Francesco Macchia (OSSFOR): “Per eliminare la discriminazione territoriale, usare per i farmaci orfani la stessa procedura di accesso degli innovativi”**

*Roma, 12 novembre 2019 – Le terapie a disposizione dei malati rari crescono e solo nel 2018 ne sono state messe in commercio 11 in più. A questa buona notizia si aggiunge anche una riduzione dei tempi medi di immissione in commercio, calcolati a partire dall'autorizzazione EMA alla Determina di prezzo e rimborso in Italia.*

Se nel triennio 2009/2011 si registrava infatti un tempo medio di 23 mesi, **tra il 2015/2018 il tempo medio di approvazione dei farmaci orfani è sceso a 12 mesi, quasi la metà..** Secondo i dati sintetizzati nel **III Rapporto OSSFOR – Osservatorio Farmaci Orfani – [www.osservatoriofarmaciorfani.it](http://www.osservatoriofarmaciorfani.it)** - presentato oggi in Senato, infatti, l'unico tempo medio che si è allungato rispetto al passato è quello che intercorre tra la designazione orfana e la richiesta di autorizzazione a EMA. Si sono invece ridotti i tempi in cui EMA concede l'autorizzazione al commercio e, soprattutto, **sono più veloci i tempi impiegati da Aifa** nel processo che prevede il passaggio per la Commissione Tecnico Scientifica (CTS) e per la Commissione prezzo e rimborso (CPR) fino alla pubblicazione della Determina in Gazzetta Ufficiale: **239 giorni nell'ultimo triennio contro i 256 giorni del triennio precedente.**

**A fronte di un trend positivo rimane comunque il fatto che si è ancora lontani dal rispetto della 'procedura dei 100 giorni'** istituita nel 2013 con la legge n. 189/12 (Decreto Balduzzi) ai fini di diminuire - grazie a un procedimento negoziale accelerato - i tempi necessari alla classificazione e alla rimborsabilità da parte del SSN per i farmaci orfani (1) destinati alla cura delle malattie rare, per i farmaci di eccezionale rilevanza terapeutica e farmaci ospedalieri.

Secondo questo provvedimento, Aifa avrebbe dovuto impiegare un massimo di 100 giorni, **il dato attuale parla di un ritardo di 139 giorni, più del doppio rispetto a quanto previsto.**

Secondo il III Rapporto Ossfor solo per il 44% dei farmaci analizzati, il regime di prezzo e rimborso viene definito entro il primo anno dall'approvazione europea, per il 77% entro i 2 anni e per il 90% entro 3 anni dalla autorizzazione EMA.

Un discorso a parte potrebbe essere fatto per i farmaci inseriti nell'elenco della L. 648/96 e per quelli che vengono inseriti Classe Cnn (cioè 'non negoziata'): per questi le tempistiche di negoziazione complessive sono decisamente più lunghe. Se si calcolano i tempi medi escludendo questi due particolari gruppi ne emerge un quadro più positivo: sono il 51% i farmaci che riescono a concludere l'iter in un anno, di questi il 15% addirittura in 6 mesi.

“Ad oggi, circa il 90% delle malattie rare non ha ancora terapia – ha detto **Francesco Macchia, coordinatore di OSSFOR** commentando i dati di accesso – ogni giorno di ritardo è un giorno senza cura, una sofferenza aggravata dalla paura che la terapia non arrivi in tempo per motivi burocratici, dopo che la scienza ha già fatto tanta strada. Purtroppo il ritardo medio di oltre 4 mesi non è l'unico, perché se la procedura dei 100 giorni è una contrattazione su base nazionale, bisogna tener presente che su questa s'innestano poi le procedure di approvazione regionali, spesso non uniformi nei tempi e fonte di disuguaglianze nel diritto all'accesso. La soluzione a questi ritardi, probabilmente strutturali per il gravoso lavoro delle Commissioni AIFA, ci sarebbe – conclude Macchia – **E sarebbe quella di adottare per i farmaci orfani la stessa procedura in vigore per i farmaci innovativi**”.

*(1) Secondo il Regolamento europeo (CE) N. 141/2000, si definiscono farmaci orfani quei farmaci “destinati alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di una affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di 5 individui su 10.000 nella Comunità; oltre i quali non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o terapia autorizzati nella Comunità oppure che, se tali metodi esistono, il medicinale in questione avrà effetti benefici significativi per le persone colpite da tale affezione”.*

Ufficio Stampa  
Fabio Fantoni  
[fantoni@rarelab.eu](mailto:fantoni@rarelab.eu)  
mob: 339 3235811

M. Cristina Saja  
[saja@rarelab.eu](mailto:saja@rarelab.eu)  
mob: 340 7942218