

Nasce l'Osservatorio Farmaci Orfani, una "lobby" per combattere le malattie rare

 www.sanitainformazione.it/salute/nasce-osservatorio-farmaci-orfani-sana-lobby-combattere-malattie-rare/

Un centro studi per aumentare la consapevolezza generale e il dibattito sul tema delle malattie rare e dei farmaci orfani. Una «sana lobby», come l'ha definita la senatrice e membro della Commissione "Igiene e Sanità" **Laura Bianconi** (Ap), nel corso della conferenza di presentazione dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), ovvero il primo think-tank interamente dedicato allo sviluppo di policy di incentivo e sostenibilità per il settore delle cure per le malattie rare. «Questo osservatorio – ha spiegato la senatrice – ci permetterà di realizzare due obiettivi fondamentali: avere un occhio attento che seguirà tutto ciò che è nuovo e che favorisce la ricerca; dotarsi di un "braccio armato" che ci permetterà di creare un consenso intorno alle battaglie e relazioni con gli stakeholder del settore».

L'osservatorio, frutto di una iniziativa congiunta del centro di ricerca Crea Sanità (Consorzio per la ricerca economica applicata in sanità) e della testata **Osservatorio Malattie Rare** (Omar), sarà uno strumento utile ad avere una fotografia chiara, ma anche a favorire la messa a punto di politiche innovative e sostenibili per rendere il sistema meglio organizzato.

«Il nostro primo obiettivo – ha sottolineato **Francesco Macchia dell'Ossfor** – sarà colmare una lacuna di conoscenze attraverso nuove informazioni, per poi generare un confronto aperto e diretto tra istituzioni e stakeholder. Vogliamo proporre soluzioni per una gestione ottimale del settore, e contribuire a realizzare un sistema dove l'utilizzo delle terapie orfane sia ottimizzato per massimizzarne il ritorno in termini di salute, prima ancora di minimizzare la spesa annuale, compensando così gli importanti investimenti necessari a sostenerlo. Un sistema di cura nel quale i farmaci orfani abbiano valutazioni severe e continue, ma nel quale i pazienti possano avere rapido accesso alle terapie, limitando così i costi sanitari e umani di una terapia».

«Tropo spesso – ha spiegato **Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità** – le riforme qui in Italia si fanno per urgenze, e quindi di fretta e male. È dunque necessario fare tutto il possibile, nei tempi che servono, per aumentare la conoscenza delle varie parti chiamate in causa nelle decisioni che riguardano tutti. L'Osservatorio farà questo: diffondere conoscenza e informazioni corrette».

«Informare è il nostro primo obiettivo – ha dichiarato la dottoressa **Ilaria Ciancaleoni, direttrice dell'Osservatorio Malattie Rare** –, così come scardinare credenze e convinzioni sbagliate che nascono proprio dalla mancanza di giuste informazioni. Spesso sento dire, ad esempio, che i farmaci orfani costano troppo e che si faccia poca ricerca. In realtà, di ricerca se ne fa molta, anche se per motivi economici non è possibile fare una ricerca "pubblica", ma solo privata, e i farmaci che vengono immessi sul mercato costano molto, ma non troppo. Ciò dipende dalle spese elevate cui i centri di ricerca devono far fronte, con prospettive di vendita che, a causa della natura stessa dei farmaci orfani, non possono essere elevate. L'Osservatorio si farà dunque carico, per quanto possibile, non solo delle criticità relative alla creazione del farmaco (e dunque ricerca, leggi, e così via) ma anche dell'accesso alle terapie, che ancora oggi risulta molto problematico per tantissime persone».