

RASSEGNA STAMPA



Rassegna a cura dell'ufficio stampa dell'Osservatorio Malattie Rare

AGENZIE

VEL, 28/11/2017

(AGV) Agenda di martedì 27 novembre (3)

(AGV) Agenda di martedì 27 novembre (3) (IL VELINO) Roma, 28 Nov -

ROMA (ore 9.30) – Presentazione del 1 Rapporto Annuale OSSFOR "Impatto e governance delle malattie rare e dei farmaci orfani". Partecipano, tra gli altri, Beatrice Lorenzin, ministro della Salute; Mario Melazzini, d.g. Aifa. (Palazzo Wedekind, piazza Colonna). (red) 20171128T073011

Salute: malattie rare "costano" 1,3 mld l'anno a Ssn =

Salute: malattie rare "costano" 1,3 mld l'anno a Ssn =

(AGI) - Roma, 28 nov. -La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti e' di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con duemalattie croniche. I dati provengono dal 1 Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), presentato oggi a Roma a un pubblico di esperti, politici e stakeholder del settore. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni.

Il Rapporto OSSFOR presenta un'analisi dell'impatto economico delle malattie rare sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle malattie rare e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i farmaci orfani. Il testo si articola in quattro parti: la prima analizza gli aspetti regolatori del settore malattie rare e farmaci orfani, la seconda parte e' dedicata all'analisi della "domanda", segue poi l'analisi dell'offerta in termini di tecnologie messe a disposizione ed infine un focus sulla governance del settore. In conclusione, un contributo elaborato da EURORDIS che offre un punto di vista europeo sul tema dell'accesso alle terapie.

Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con malattie rare, nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range e' tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'eta' adolescenziale (10-19 anni) e un altro nellaquinta decade (40-49 anni).

Dall'analisi di OSSFOR emerge che tra i soggetti portatori di malattie rare meritano particolare attenzione per la loro complessita' assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso

su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore OSSFOR - perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di malattie rare, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". (AGI)

Pgi

281309 NOV 17

NNNN

SANITA', MALATTIE RARE COSTANO AL SSN 1,2% SPESA PUBBLICA (1)

SANITA', MALATTIE RARE COSTANO AL SSN 1,2% SPESA PUBBLICA (1)

(9Colonne) Roma, 28 nov - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal primo Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), presentato oggi a Roma. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni. Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con malattie rare, nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). Dall'analisi emerge che tra i portatori di malattie rare meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore OSSFOR - perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di malattie rare, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". (PO / SEGUE)

281317 NOV 17

SANITA', MALATTIE RARE COSTANO AL SSN 1,2% SPESA PUBBLICA (2)

SANITA', MALATTIE RARE COSTANO AL SSN 1,2% SPESA PUBBLICA (2)

(9Colonne) Roma, 28 nov - Inoltre, la complessità è acuita dal fatto che la variabilità nella concentrazione dei soggetti tra le diverse ASL appare estremamente rilevante, arrivando ad una variazione tra quella con prevalenza massima e quella con prevalenza minima dell'ordine del 100% e la variazione tra spesa pro-capite massima e minima è dell'ordine del 220%. L'Italia ha un numero di farmaci orfani rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio più basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per farmaci orfani sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento (5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica). Dall'analisi emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani. A livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016.

(red)

281318 NOV 17

MALATTIE RARE: ASSOCIAZIONE, DA TERAPIA GENICA SPERANZE PER 7 PATOLOGIE =

Roma, 28 nov. (AdnKronos Salute) - La terapia genica sta per diventare realtà per sette malattie. Ad affermarlo Gfb Onlus, che in una nota commenta i risultati sui trattamenti ricevuti da alcuni pazienti in Ohio e pubblicati recentemente. Il progetto, tuttora in corso presso l'Università di Columbus Ohio, riguardano la Sma (atrofia muscolare spinale), la distrofia muscolare di Duchenne e cinque forme diverse di distrofia dei cingoli.

L'équipe, ricorda l'associazione, ha pubblicato uno studio di 2 anni eseguito su bambini da 3 a 6 mesi, utilizzando come trattamento la terapia genica che consiste nell'introduzione di una copia sana del gene affetto in ogni cellula dell'organismo; il gene corretto viene inoculato tramite un virus adeno-associato (Aav9), rilasciato nell'organismo attraverso una singola iniezione intravenosa.

Per questo studio sono stati predisposti due gruppi di pazienti: uno composto da tre pazienti a cui è associata una dose minore di virus, l'altro di 12 pazienti a cui è associata una dose maggiore. Alla data di fine studio tutti i bambini sono rimasti in vita; normalmente, la sopravvivenza del bambino a questo stadio è intorno all'8%. All'età di 20 mesi nessun piccolo presentava complicazioni respiratorie. Inoltre, dei 12 bimbi che hanno ricevuto la dose maggiore, 11 potevano sedersi senza assistenza; 11 potevano deglutire autonomamente e parlare; due, addirittura, sono stati in grado di camminare. Alla Columbus si avvierà presto un progetto di terapia genica per la distrofia muscolare di Duchenne. "Non capita spesso di dire 'salva-vita' - commenta Beatrice Vola, presidente del Gfb Onlus - ma ora possiamo farlo. Questa è una pietra miliare per la comunità Sma e per la terapia genica in generale".

(Com-Bdc/AdnKronos)

ISSN 2465 - 1222

28-NOV-17 13:54

NNNN

Malattie rare costano a Ssn l'1,2% della spesa pubblica

ZCZC4754/SXB

XSP34193_SXB_QBXB

R CRO S0B QBXB

Malattie rare costano a Ssn l'1,2% della spesa pubblica

Malati rari sono piu' donne, patologie ultra-rare vera sfida

(ANSA) - ROMA, 28 NOV - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti e' di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E' quanto emerge dal 1/mo Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), presentato oggi a Roma. I dati contenuti sono stati ottenuti con lavoro sui database amministrativi di Lombardia e Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro.

Emerge anche un 'profilo' delle persone con malattie rare: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne, un picco nell'eta' adolescenziale (10-19 anni) e un altro dai 40 ai 49 anni. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in eta' giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore OssFor - perche' ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti con malattie rare, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". Per quanto riguarda i farmaci orfani, l'Italia ha invece ne ha un numero di rimborsati secondo solo al Regno Unito, come anche il costo annuo di trattamento medio piu' basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per farmaci orfani su quella farmaceutica pubblica e privata totale e' cresciuta tra il 2015 e il 2016: passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento. Nonostante questo, l'equilibrio del settore rimane secondo gli esperti

"fragile". (ANSA).

Y09-NAN

28-NOV-17 14:44 NNNN

MALATTIE RARE: OSSFOR, SSN SPENDE 1,35 MLD EURO, 1,2% TOTALE =

con 2 co-morbilità

Roma, 28 nov. (AdnKronos Salute) - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2% della spesa pubblica totale, con un costo medio pro-capite annuo incluso nel range di 4.217-5.003 euro. Una spesa che, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E' quanto emerge dal 1° Rapporto dell'Osservatorio farmaci orfani (Ossfor) presentato oggi a Roma: un'analisi dell'impatto economico delle malattie rare sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle malattie rare e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i farmaci orfani.

"Il mondo del farmaco orfano e della cura delle malattie rare - ha sottolineato Francesco Macchia, coordinatore Ossfor, illustrando i dati del Rapporto - rappresenta un equilibrio delicatissimo, perché proprio la dispersività tipica dei piccoli numeri genera, a livello imprenditoriale, dei livelli di rischio molto alto, che rendono questo settore fragile in assenza di specifici incentivi e tutele".

I dati del Rapporto sono stati ottenuti attraverso un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia "ma - precisa Ossfor - sono sottostimati, poiché non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver". (segue)

(Red/AdnKronos)

ISSN 2465 - 1222

28-NOV-17 15:56

NNNN

MALATTIE RARE: OSSFOR, SSN SPENDE 1,35 MLD EURO, 1,2% TOTALE (2) =

(AdnKronos Salute) - L'indagine fotografa l'epidemiologia delle persone con malattie rare nel nostro Paese: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5% della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). Le voci predominanti di costo - rileva il Rapporto - sono quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60% del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20% del costo totale). Per i maschi si spendono oltre il 60% del totale delle risorse; per le femmine, pur essendo un numero maggiore, meno del 40%.

Dall'analisi emerge che le condizioni ultra rare meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5% dell'universo dei pazienti con malattie rare, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione. Una epidemiologia che "non è omogenea su tutto il territorio - osserva Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità - Esistono differenze sia di costo sia di numerosità di questi pazienti fra le Asl, che variano anche dal 100 al 200%. Ciò significa che in alcune Asl l'onere e il rischio finanziario è molto più alto. Riteniamo - sottolinea - che si dovrebbe aprire un dibattito per garantire che le risorse siano allocate in modo da avere sempre la copertura per le esigenze dei malati rari".

Per quanto riguarda il numero dei farmaci orfani rimborsati, l'Italia è seconda solo al Regno Unito - precisano da Ossfor - Nel 2017 l'Ema ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per farmaci orfani sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016, passando dal 3,9 al 4,6 % (5,0 e 5,9 % rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica). (segue)

(Red/AdnKronos)

ISSN 2465 - 1222

28-NOV-17 15:56

NNNN

MALATTIE RARE: OSSFOR, SSN SPENDE 1,35 MLD EURO, 1,2% TOTALE (3) =

(AdnKronos Salute) - Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, l'equilibrio rimane comunque 'fragile', perché "da un punto di vista industriale - sostiene Spandonaro - anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti".

Un sistema in espansione per volume e per spesa, "ma che rappresenta ancora una parte piccolissima della spesa sanitaria complessiva e che ha bisogno di incentivi e sostegni, e di un contesto normativo e legislativo stabile", aggiunge Macchia, che ricorda comunque come elementi positivi stiano emergendo per quanto concerne l'aspetto regolatorio, con l'intento da parte delle istituzioni sia italiane che europee "di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti".

Anche il processo di accesso al mercato dei farmaci orfani migliora, e a livello nazionale si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata dei tempi: tra autorizzazione Ema e determina di prezzo e rimborso Aifa, si passa da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. "Le tempistiche di accesso migliorano - osserva Ossfor - sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi". Per monitorare questo aspetto, l'Osservatorio farmaci orfani ha costruito una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

(Red/AdnKronos)

ISSN 2465 - 1222

28-NOV-17 15:56

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

(DIRE) Roma, 28 nov. - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti e' di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal 1° Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), presentato oggi a Roma a un pubblico di esperti, politici e stakeholder del settore.

Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni.

Il Rapporto OSSFOR presenta un'analisi dell'impatto economico delle malattie rare sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle malattie rare e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i farmaci orfani. Il testo si articola in quattro parti: la prima analizza gli aspetti regolatori del settore malattie rare e farmaci orfani, la seconda parte e' dedicata all'analisi della "domanda", segue poi l'analisi dell'offerta in termini di tecnologie messe a disposizione ed infine un focus sulla governance del settore. In conclusione, un contributo elaborato da EURORDIS che offre un punto di vista europeo sul tema dell'accesso alle terapie.(SEGUE)

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

-2-

(DIRE) Roma, 28 nov. - Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con malattie rare, nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni).

I dati contenuti nel Rapporto sono stati ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. I dati riportati nel testo sono sottostimati in quanto non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Allo stesso modo, escludono quelli non esenti, ad esempio perché possiedono una esenzione "più forte" come quella per reddito, o abbiano deciso di non chiederla. I dati, quindi, riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver. (SEGUE)

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

-3-

(DIRE) Roma, 28 nov. - Dall'analisi di OSSFOR emerge che tra i soggetti portatori di malattie rare meritano particolare attenzione per la loro complessita' assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare.

Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in eta' giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore OSSFOR - perche' ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di malattie rare, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione".

Inoltre, la complessita' e' acuita dal fatto che la variabilita' nella concentrazione dei soggetti tra le diverse ASL appare estremamente rilevante, arrivando ad una variazione tra quella con prevalenza massima e quella con prevalenza minima dell'ordine del 100% e la variazione tra spesa pro-capite massima e minima e' dell'ordine del 220%.

"Si devono trovare delle soluzioni organizzative e finanziarie che consentano di non escludere dai percorsi e dalle speranze di cura questi pazienti 'marginali', come li definisce il Comitato Nazionale per la Bioetica: - e' questo uno degli obiettivi prioritari dell'Osservatorio Farmaci Orfani", conclude Francesco Macchia.(SEGUE)

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

-4-

(DIRE) Roma, 28 nov. - E ancora:

FARMACI ORFANI, UN SETTORE IN ESPANSIONE - L'Italia ha un numero di farmaci orfani rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio piu' basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per farmaci orfani sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale e' cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento (5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

"La crescita della spesa per i farmaci orfani e' da considerarsi un elemento positivo - commenta Francesco Macchia - a fronte di un incremento delle opportunita' terapeutiche per i pazienti, i pazienti trovano maggiori risposte ai loro bisogni e le aziende, nonostante le difficolta' connesse ai 'piccoli numeri' sembra investano in questo settore".(SEGUE)

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

-5-

(DIRE) Roma, 28 nov. - Anche per quanto concerne l'aspetto regolatorio, ci sono elementi positivi: dall'analisi OSSFOR emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti. In Italia, in particolare la legge n. 95/2012 prima e la legge n. 189/2012 poi, hanno contribuito ad incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani con la concessione agli sponsor della possibilità di presentare domanda di prezzo/rimborso ancor prima del rilascio, da parte della Commissione Europea, dell'autorizzazione all'immissione in commercio. Anche il processo di accesso al mercato dei farmaci orfani migliora.

A livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. Le tempistiche di accesso migliorano, quindi, sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi. Per monitorare la questione, OSSFOR ha effettuato una analisi approfondita dei processi di market access, a livello internazionale e nazionale, costruendo una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.(SEGUE)

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

SANITA'. OSSFOR: MALATTIE RARE COSTANO 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA

-6-

(DIRE) Roma, 28 nov. - E ancora:

UN SISTEMA IN CRESCITA MA ANCORA FRAGILE - Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, spiegabile con i numerosi incentivi messi in campo a livello sia internazionale che nazionale, l'equilibrio del settore rimane "fragile".

"Tale fragilit  - ha dichiarato Federico Spandonaro Presidente di C.R.E.A. Sanita' - e', in primo luogo, spiegata dalla fortissima difformita' delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, cosa che implica e spiega scostamenti rilevanti dal principio di efficienza. In secondo luogo, - prosegue Spandonaro - rimane fragile perche' da un punto di vista industriale, anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilit  di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti."

In conclusione, il Rapporto OSSFOR sottolinea che la vera peculiarita' delle malattie rare e dei farmaci orfani, in termini di politiche sanitarie, rimane la concentrazione di risorse molto elevate su gruppi molto piccoli di popolazione, che puo' provocare, e di fatto provoca, reazioni tendenzialmente contrastanti. La scelta della presa in carico di questi pazienti diventa etica, prima ancora che economica.

Un'indicazione autorevole in questo senso arriva dal Comitato Nazionale per la Bioetica del 25 novembre 2011 "...il criterio di efficienza quale quello basato sul costo/efficacia degli interventi, pur garantendo un'efficace distribuzione delle risorse in vista dell'acquisto della maggior quantita' possibile di salute pubblica, non promette di garantire sufficientemente i diritti individuali e i bisogni dei pazienti 'marginali', sara' necessario individuare strumenti di policy, aggiuntivi o alternativi, in grado di soddisfarli. L'obiettivo (ideale) primario da raggiungere deve essere, infatti, il miglioramento delle condizioni e della qualita' di vita di ogni paziente, senza

discriminazioni basate sulla natura della malattia o sui costi della terapia".

(Com/Pic/Dire)

16:00 28-11-17

NNNN

QUOTIDIANI

«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



La spesa sostenuta complessivamente dal Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi all'1,2% della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal primo Rapporto dell'Osservatorio farmaci orfani (Ossfor), presentato ieri a Roma. Il Ssn sostiene una spesa media procapite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro.



Dalla casa parto alla chemio il volto umano dei reparti

Viaggio negli ospedali al top per qualità delle prestazioni e strumenti ad alta tecnologia



Pagina a cura di **Maria Pirro e Marco Toriello**



Cesare Gridelli
Direttore
del reparto
di oncologia
medica
del Moscati
di Avellino

Oncologia, il primato di Avellino «Grande spazio alla ricerca clinica»

Al Moscati si conferma al top l'oncologia medica diretta da Cesare Gridelli, con alti livelli di attività assistenziale. Solo a ottobre 2017, si contano 1050 chemioterapie in regime di day-hospital. Il reparto ha 14 posti letto riservati a pazienti con complicazioni terapeutiche o vittime di infezioni collaterali conseguenti alla chemioterapia. Nel 2016, la struttura è stata premiata dal Tribunale dei diritti del malato per l'attenzione anche all'assistenza psicologica dei pazienti e dei loro familiari e a forme di socializzazione come la teatroterapia, la cucinoterapia, gli internet point per i pazienti più giovani e l'utilizzo dello «scalp-cooler», la cuffia ipotermica per le donne, in grado di ridurre la perdita di capelli durante le cure. «I nostri elevati livelli di attività ci consentono di non avere liste d'attesa - afferma Gridelli -. Fondamentale è la sperimentazione controllata di farmaci nuovi, che saranno in commercio tra 4 anni. Tutti aspetti che hanno creato una forte attrazione di pazienti da fuori provincia, con un trend crescente da fuori regione».



Eutalia Esposito
Primario
del reparto
di ostetricia
e ginecologia
del San
Leonardo di
Castellammare

Castellammare, stretta sui cesarei «Accoglienza e lavoro di squadra»

Il reparto di ostetricia e ginecologia del San Leonardo di Castellammare di Stabia, con il primario Eutalia Esposito, ha creato una prima «Casa della Donna»: una struttura di ostetricia in grado di ridurre del 13,3 per cento i tagli cesarei nelle prime gravidanze, su 890 parti, ben al di sotto della linea di indirizzo dell'Oms. Di particolare rilevanza il percorso di accoglienza e umanizzazione per tutti i nove mesi della gravidanza, che vede il parto solo come ultimo momento. Coinvolta l'intera équipe: medico, ostetrica e infermiera. «Il parto appartiene alla donna e ogni donna è un caso a sé - sottolinea la Esposito -. Il nostro obiettivo è rispettarne la fisicità e la naturalità, compiendo le scelte giuste per la mamma e per il bambino. Un obiettivo condiviso da tutti coloro che lavorano nel nostro reparto. Un parto può durare anche 24 ore, con turnover di medici, ostetriche e infermieri, dunque il lavoro di squadra è fondamentale, così come l'accoglienza: la donna che sta per partorire non deve sentire di trovarsi in un ospedale».

1,35
Miliardi spesi
per curare
i malati rari

Si stima sia di 1,35 miliardi di euro la spesa a carico del Servizio sanitario nazionale per i malati rari che non pagano il ticket. Il dato, che corrisponde all'1,2 per cento del totale ed è frutto di una proiezione dell'Osservatorio **farmaci orfani (Ossfor)**.

41
La percentuale
di Sos rivolti
a Dottor Google

Trionfa poi il «Dottor Google», quando si tratta di informarsi su sintomi o diagnosi mediche, gli italiani sono tra i più assidui nella ricerca di informazioni online (41%; +9%). Superati soltanto da turchi e indonesiani (42% e 48%).

160.000
Test gratuiti
anti-diabete
in farmacia

Grande successo per il Diaday: oltre 160 mila i test effettuati gratuitamente ai cittadini durante la prima campagna nazionale di prevenzione del diabete alla quale hanno aderito oltre 7600 farmacie. Prevenzione decisiva.

13.519
Casi registrati:
orecchioni
in aumento

Aumentano i casi di orecchioni in Europa. Dopo il calo nel 2014, con 11.632 malati, nel 2015 sono saliti a 13.519, con un tasso di 3,1 per 100 mila abitanti. Bimbi e adolescenti più colpiti. In più dei due quinti dei casi già vaccinati (dati Ecdc).

ONLINE

» PHARMAMARKET Ssn spende 1,35 mld euro per malattie rare, 1,2% totale

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2% della spesa pubblica totale, con un costo medio pro-capite annuo incluso nel range di 4.217-5.003 euro. Una spesa che, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E' quanto emerge dal 1° Rapporto dell'Osservatorio farmaci orfani (Ossfor): un'analisi dell'impatto economico delle malattie rare sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle malattie rare e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i farmaci orfani.



Sanità24

Il Sole 24 ORE

[Home](#) [Analisi](#) [Sanità risponde](#) [Scadenze fiscali](#) [Sanità in borsa](#)


28 nov 2017

SEGNALIBRO ☆

FACEBOOK f

TWITTER t

AZIENDE E REGIONI

1° Rapporto Ossfor: le malattie rare costano al Ssn circa 1,2% della spesa pubblica. In Italia costo dei farmaci tra i più bassi d'Europa

di Osservatorio [farmaci orfani](#) - Ossfor

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa € 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal 1° Rapporto dell'Osservatorio [Farmaci Orfani](#) (OSSFOR), presentato oggi a Roma a un pubblico di esperti, politici e stakeholder del settore. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni.



Il Rapporto OSSFOR presenta un'analisi dell'impatto economico delle [malattie rare](#) sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle [malattie rare](#) e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i [farmaci orfani](#). Il testo si articola in quattro parti: la prima analizza gli aspetti regolatori del settore [malattie rare](#) e [farmaci orfani](#), la seconda parte è dedicata all'analisi della "domanda", segue poi l'analisi dell'offerta in termini di tecnologie messe a disposizione ed infine un focus sulla governance del settore. In conclusione, un contributo elaborato da EURORDIS che offre un punto di vista europeo sul tema dell'accesso alle terapie.

Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con [malattie rare](#), nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni).

I dati contenuti nel Rapporto sono stati ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. I dati riportati nel testo sono sottostimati in quanto non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Allo stesso modo, escludono quelli non esenti, ad esempio perché possiedono una esenzione "più forte" come quella per reddito, o abbiano deciso di non chiederla. I dati, quindi, riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver.

Dall'analisi di **OSSFOR** emerge che tra i soggetti portatori di **malattie rare** meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi – come spiega Francesco Macchia, coordinatore **OSSFOR** – perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". Inoltre, la complessità è acuita dal fatto che la variabilità nella concentrazione dei soggetti tra le diverse ASL appare estremamente rilevante, arrivando ad una variazione tra quella con prevalenza massima e quella con prevalenza minima dell'ordine del 100% e la variazione tra spesa pro-capite massima e minima è dell'ordine del 220%. "Si devono trovare delle soluzioni organizzative e finanziarie che consentano di non escludere dai percorsi e dalle speranze di cura questi pazienti 'marginali', come li definisce il Comitato Nazionale per la Bioetica: - è questo uno degli obiettivi prioritari dell'Osservatorio **Farmaci Orfani**." – conclude Francesco Macchia.

Farmaci orfani, un settore in espansione. L'Italia ha un numero di **farmaci orfani** rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio più basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento (5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

"La crescita della spesa per i **farmaci orfani** è da considerarsi un elemento positivo – commenta Francesco Macchia – a fronte di un incremento delle opportunità terapeutiche per i pazienti, i pazienti trovano maggiori risposte ai loro bisogni e le aziende, nonostante le difficoltà connesse ai 'piccoli numeri' sembra investano in questo settore".

Anche per quanto concerne l'aspetto regolatorio, ci sono elementi positivi: dall'analisi **OSSFOR** emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani**, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti. In Italia, in particolare la legge n. 95/2012 prima e la legge n. 189/2012 poi, hanno contribuito ad incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani** con la concessione agli sponsor della possibilità di presentare domanda di prezzo/rimborso ancor prima del rilascio, da parte della Commissione Europea, dell'autorizzazione all'immissione in commercio. Anche il processo di accesso al mercato dei **farmaci orfani** migliora. A livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. Le tempistiche di accesso migliorano, quindi, sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi. Per monitorare la questione, **OSSFOR** ha effettuato una analisi approfondita dei processi di market access, a livello internazionale e nazionale, costruendo una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

Un sistema in crescita ma ancora fragile. Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, spiegabile con i numerosi incentivi messi in campo a livello sia internazionale che nazionale, l'equilibrio del settore rimane "fragile". «Tale fragilità - ha dichiarato Federico Spandonaro Presidente di C.R.E.A. Sanità - è, in primo luogo, spiegata dalla fortissima difformità delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, cosa che implica e spiega scostamenti rilevanti dal principio di efficienza. In secondo luogo, - prosegue Spandonaro - rimane fragile perché da un punto di vista industriale, anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti».

In conclusione, il Rapporto OSSFOR sottolinea che la vera peculiarità delle **malattie rare** e dei **farmaci orfani**, in termini di politiche sanitarie, rimane la concentrazione di risorse molto elevate su gruppi molto piccoli di popolazione, che può provocare, e di fatto provoca, reazioni tendenzialmente contrastanti. La scelta della presa in carico di questi pazienti diventa etica, prima ancora che economica. Un'indicazione autorevole in questo senso arriva dal Comitato Nazionale per la Bioetica del 25 novembre 2011 «...il criterio di efficienza quale quello basato sul costo/efficacia degli interventi, pur garantendo un'efficace distribuzione delle risorse in vista dell'acquisto della maggior quantità possibile di salute pubblica, non promette di garantire sufficientemente i diritti individuali e i bisogni dei pazienti 'marginali', sarà necessario individuare strumenti di policy, aggiuntivi o alternativi, in grado di soddisfarli. L'obiettivo (ideale) primario da raggiungere deve essere, infatti, il miglioramento delle condizioni e della qualità di vita di ogni paziente, senza discriminazioni basate sulla natura della malattia o sui costi della terapia».

Per consultare il Rapporto completo:

© RIPRODUZIONE RISERVATA

**Hai una pensione adeguata alle tue esigenze?**

Se hai un portafoglio di investimenti di almeno 350.000€, scarica il tuo piano pensionistico in 15 minuti, la guida redatta dalla società di Ken Fisher, famoso gestore finanziario.

FISHER INVESTMENTS ITALIA

Scopri di più

IL RAPPORTO

Povere **malattie rare**: assorbono solo l'1,2% della spesa sanitaria

redazione 28 Novembre 2017 14:15

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa € 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa sanitaria pubblica totale.

Complessivamente, il servizio sanitario spende ogni anno per ciascun malato tra i 4.217 e i 5.003 euro, una cifra non molto diversa da quella di un cittadino con due malattie croniche.

Sono questi alcuni dei dati contenuti nel primo Rapporto dell'Osservatorio **Farmaci Orfani (OSSFOR)**.

Il rapporto, presentato oggi a Roma, presenta un'analisi dell'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle **malattie rare** e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i **farmaci orfani**.

RARI E RARISSIMI

Secondo i dati elaborati nel rapporto, i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (tra 270.027 e 322.763) con una prevalenza maggiore di donne, un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni).

In realtà, questi numeri potrebbero sottostimare il fenomeno: i dati, ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, si riferiscono infatti soltanto ai malati a cui è riconosciuto un codice di esenzione. Vengono esclusi quindi, quelli che godono di un'esenzione "più forte" come quella per reddito, o abbiano deciso di non chiederla.

Dall'analisi di **OSSFOR** emerge che tra i soggetti portatori di **malattie rare** meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario, le malattie "ultra rare", cioè quelle che colpiscono meno di 1 persona su 1.000.000. Queste, dice il coordinatore **OSSFOR** Francesco Macchia, «rappresentano la vera sfida in termini organizzativi perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono

all'esenzione».

«Si devono trovare delle soluzioni organizzative e finanziarie che consentano di non escludere dai percorsi e dalle speranze di cura questi pazienti "marginali", come li definisce il Comitato Nazionale per la Bioetica», aggiunge Macchia.

FARMACI ORFANI: VA MEGLIO

L'Italia ha un numero di **farmaci orfani** rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio più basso fra i Paesi considerati.

Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana.

La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento della spesa farmaceutica pubblica.

Anche per quanto concerne l'aspetto regolatorio, ci sono elementi positivi: dall'analisi **OSSFOR** emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani**, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti.

Per esempio, a livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo di approvazione: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi nel triennio 2011/2013 a 13 mesi nel triennio 2014/2016.

UN SETTORE FRAGILE

Nonostante i progressi e il maggiore interesse industriale per le **malattie rare** e i **farmaci orfani**, l'equilibrio del settore rimane "fragile".

«Questa fragilità è, in primo luogo, spiegata dalla fortissima difformità delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, cosa che implica e spiega scostamenti rilevanti dal principio di efficienza», dice il presidente di C.R.E.A. Sanità Federico Spandonaro. «In secondo luogo rimane fragile perché da un punto di vista industriale, anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti.».

Non perderti le nostre notizie

Ricevi gratuitamente gli aggiornamenti di HealthDesk sul tuo computer
o sullo smartphone

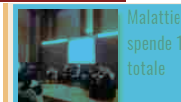
Questo sito utilizza cookie di profilazione, propri o di altri siti, per inviare messaggi pubblicitari mirati. Se vuoi saperne di più o negare il consenso a tutti o ad alcuni cookie [clicca qui](#). Se accedi a un qualunque elemento sottostante questo banner acconsenti all'uso dei cookie

Ok

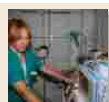
LA SICILIA

Home | Cronaca | Politica | Economia | Sport | Spettacoli | Lavoro | Tech | Gallery |

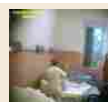
Altre sezioni



Malattie rare: Ossfor, Ssn spende 1,35 mld euro, 1,2% totale



Tumori: medici umani premiati nel nome di Veronesi, 4 su 5 sono donne



Sanità: anziani maltrattati, Codacons chiede più controlli

● ● ● ●



LE TUE EMOZIONI IN UN'IMMAGINE

Scatta una fotografia che rappresenti il tuo territorio. Tutte le immagini saranno pubblicate sul nostro sito e sul

CALENDARIO 2018

per info e regolamento clicca qui

sei in » Salute

Malattie rare: Ossfor, Ssn spende 1,35 mld euro, 1,2% totale

28/11/2017 - 17:00

Il Rapporto, il malato raro esente costa come un malato cronico con 2 co-morbilità



A A A

Roma, 28 nov. (AdnKronos Salute) - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2% della spesa pubblica totale, con un costo medio pro-capite annuo incluso nel range di 4.217-5.003 euro. Una spesa che, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E' quanto emerge dal 1° Rapporto dell'Osservatorio **farmaci orfani (Ossfor)** presentato oggi a Roma: un'analisi dell'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle **malattie rare** e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i **farmaci orfani**.

Il mondo del farmaco orfano e della cura delle **malattie rare** - ha sottolineato Francesco Macchia, coordinatore **Ossfor**, illustrando i dati del Rapporto - rappresenta un equilibrio delicatissimo, perché proprio la dispersività tipica dei piccoli numeri genera, a livello imprenditoriale, dei livelli di rischio molto alto, che rendono questo settore fragile in assenza di specifici incentivi e tutele".

I dati del Rapporto sono stati ottenuti attraverso un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia "ma - precisa **Ossfor** - sono sottostimati, poiché non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza

IL GIORNALE DI OGGI



Sfoglia

Abbonati



Sfoglia l'archivio dal 1945

I TITOLI del GIORNO



I VIDEO



Processo morte Loris, udienza appello per Veronica Panarello: parla avvocato Villardita

● ● ●

residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver".

L'indagine fotografa l'epidemiologia delle persone con **malattie rare** nel nostro Paese: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5% della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). Le voci predominanti di costo - rileva il Rapporto - sono quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60% del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20% del costo totale). Per i maschi si spendono oltre il 60% del totale delle risorse; per le femmine, pur essendo un numero maggiore, meno del 40%.

Dall'analisi emerge che le condizioni ultra rare meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5% dell'universo dei pazienti con **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione. Una epidemiologia che "non è omogenea su tutto il territorio - osserva Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità - Esistono differenze sia di costo sia di numerosità di questi pazienti fra le Asl, che variano anche dal 100 al 200%. Ciò significa che in alcune Asl l'onere e il rischio finanziario è molto più alto. Riteniamo - sottolinea - che si dovrebbe aprire un dibattito per garantire che le risorse siano allocate in modo da avere sempre la copertura per le esigenze dei malati rari".

Per quanto riguarda il numero dei **farmaci orfani** rimborsati, l'Italia è seconda solo al Regno Unito - precisano da Ossfor - Nel 2017 l'Ema ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016, passando dal 3,9 al 4,6 % (5,0 e 5,9 % rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, l'equilibrio rimane comunque 'fragile', perché "da un punto di vista industriale - sostiene Spandonaro - anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti".

Un sistema in espansione per volume e per spesa, "ma che rappresenta ancora una parte piccolissima della spesa sanitaria complessiva e che ha bisogno di incentivi e sostegni, e di un contesto normativo e legislativo stabile", aggiunge Macchia, che ricorda comunque come elementi positivi stiano emergendo per quanto concerne l'aspetto regolatorio, con l'intento da parte delle istituzioni sia italiane che europee "di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani**, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti".

Anche il processo di accesso al mercato dei **farmaci orfani** migliora, e a livello nazionale si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata dei tempi: tra autorizzazione Ema e determina di prezzo e rimborso Aifa, si passa da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. "Le tempistiche di accesso migliorano - osserva Ossfor - sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi". Per monitorare questo aspetto, l'Osservatorio **farmaci orfani** ha costruito una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

COPYRIGHT LASICILIA.IT © RIPRODUZIONE RISERVATA

LASCIA IL TUO COMMENTO

Testo

► Operazione Gorgone
su gestione illecita
rifiuti: le intercettazioni



► Arresti a Catania
per gestione illegale
dei rifiuti in tre comuni
hinterland: la conferenza
stampa



► Casa di riposo degli
orrori a
Castellammare del Golfo:
4 arresti



LODICO A LASICILIA



► Catania, panchina rossa per
vittime femminicidio in piazza
Gandolfo



CHI SIAMO CONTATTI SHOP LAVORA CON NOI LOGIN REGISTRA



Abbonati alla rivista

Archivio arretrati

ABOUTPHARMA PUBLISHING EDUCATION & EVENTS HTA JOB IN PHARMA BOOK PHARMA BIOSIMILARI FIGHTINGPAIN DIGITAL AWARDS

ABOUTPHARMA^{ONLINE}

Ricerca

SANITÀ E POLITICA

LEGAL & REGULATORY

REGIONI

PERSONE E PROFESSIONI

AZIENDE

MEDICINA SCIENZA E RICERCA

In&Out - Epatite C - Brexit - Governance

Sanità e Politica

Farmaci orfani, spesa in aumento e attese più brevi

Presentato oggi a Roma il primo rapporto annuale di Ossfor, il centro studi nato dalla collaborazione tra il consorzio Crea Sanità dell'Università di Tor Vergata e l'Osservatorio malattie rare (Omar)

di Marcello Longo

28 novembre 2017



La spesa per i farmaci dedicati alle malattie rare è in crescita nel nostro Paese, mentre i tempi per l'accesso al mercato si stanno riducendo. L'assistenza farmaceutica vale quasi due terzi dei costi sostenuti dal Servizio sanitario nazionale (Ssn) per ogni paziente, ma in Italia il costo delle terapie è tra i più bassi in Europa. E ancora: considerando anche le altre voci di spesa, la sanità italiana impegna l'1,2%

delle risorse per assistere i malati rari, cioè 1,35 miliardi di euro all'anno. Sono questi alcuni dei dati principali contenuti nel primo rapporto annuale presentato oggi a Roma dall'Osservatorio farmaci orfani (Ossfor), il centro studi nato dalla singergia tra il consorzio Crea Sanità dell'Università di Tor Vergata e l'Osservatorio malattie rare (Omar).

Spesa per i farmaci orfani

Fra il 2015 e il 2016 la spesa per i farmaci orfani in Italia - secondo i dati raccolti da Ossfor, relativi a 74 farmaci su 86 presenti sul mercato - è aumentata di 224 milioni di euro, registrando balzo in avanti del 22 per cento. Con un incremento inferiore, ma sempre a doppia cifra (+16%), sono cresciute anche le quantità vendute, misurate in unità minime frazionabili (Umf): da 22,4 milioni nel 2015 a 25,8 milioni nel 2016. Secondo Francesco Macchia, coordinatore di Ossfor, la crescita della spesa per i farmaci orfani va considerata come un fatto positivo: "Significa che a fronte di un incremento delle opportunità terapeutiche per i pazienti, i pazienti trovano maggiori risposte ai loro bisogni. E le aziende, nonostante le difficoltà connesse ai 'piccoli numeri', sembra investano in questo settore".

Pur rappresentando una piccola parte, anche il peso della spesa per i farmaci orfani sul totale della spesa farmaceutica (pubblica e privata) è cresciuto nel biennio considerato, passando dal 3,9 al 4,6 per cento. Considerato solo la parte pubblica, l'incidenza è cresciuta dal 5% al 5,9%, quasi un punto percentuale in più. Secondo la letteratura più recente, passata in rassegna dal report Ossfor, in Italia il costo annuo di trattamento con farmaci orfani - confrontato con quello di Paesi del calibro di Francia, Germania e Regno Unito - è tra i più bassi in Europa.

I tempi di attesa

Al segno "più" dei trend di spesa si contrappone il segno "meno" che accompagna la durata dei processi regolatori per l'arrivo dei farmaci sul mercato. Il rapporto Ossfor segnala, infatti, tempi più brevi rispetto al passato. Nel triennio 2011-2013 passavano in media 29 mesi tra l'autorizzazione dell'Agenzia europea dei medicinali (Ema) e la determina di prezzo e rimborso dell'Aifa. Un tempo che si è ridotto a 13 mesi tra il 2014 e il 2016.

NEL MENSILE DI NOVEMBRE

- ▼ Cdmo farmaceutico in Italia: i numeri della leadership in Ue
- ▼ Neo presidente di Assobiomedica: "Coltiviamo la diversity"
- ▼ Codice degli appalti per gli ospedali privati? Deciderà la Corte Ue
- ▼ Attenti al fast track prezzi alti e vantaggi dubbi per pazienti e sistemi sanitari
- ▼ I sindacati del farmaceutico: "Servono formazione e chance per gli isf"
- ▼ AboutPharma Digital Awards 2017: tutti i

slide precedente IN PRIMO PIANO

slide successiva



RASSEGNA STAMPA

ABOUTPHARMA^{PRESS}

SANITÀ E POLITICA

Farmaci orfani, spesa in aumento e attese più brevi
Aumentano i sieropositivi di Hiv nel Vecchio continente
Il dopo Ema, Milano in gioco per il Tribunale unificato dei brevetti

IDEE E OPINIONI

Ddl Concorrenza: la lettera di Annarosa Racca alle farmacie di Milano e provincia (Annarosa Racca presidente Federfarma Milano e Giampiero Toselli segretario Federfarma Milano)
Equivalenti: percezione, cultura e spesa sanitaria regionale. Considerazioni dopo lo statement Gimbe (Massimo Versace - General Manager Aurobindo Pharma Italia)
Il valore del "less is more" nella razionalizzazione dei trattamenti terapeutici

Un mercato fragile

Anche se l'accesso al mercato migliora e in questi anni si è cercato di incentivare (a livello nazionale ed europeo) lo sviluppo di **farmaci orfani**, resta la sensazione di un fragile equilibrio del settore. Le ragioni risiedono nelle peculiarità di un campo di ricerca in cui serve una grande concentrazione di risorse per rispondere ai bisogni di salute di piccoli, a volte piccolissimi, gruppi di popolazione. "La fortissima difformità delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, implica scostamenti rilevanti dal principio di efficienza", commenta Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità. "Da un punto di vista industriale - spiega l'economista - anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti".

I numeri delle malattie rare

Il rapporto Ossfor offre anche una fotografia aggiornata sui numeri principali delle **malattie rare** in Italia, sia in termini epidemiologici che di costi assistenziali. I dati derivano da un lavoro condotto sui database amministrativi di Puglia e Lombardia e riguardano infatti i malati a cui è riconosciuto un codice di esenzione. Per questa ragione, gli autori del report avvertono che si tratta di dati sottostimati.

I malati rari esenti in Italia sono circa lo 0,5% della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella fascia 40-49 anni. Le malattie ultra rare (meno di un caso su un milione) si concentrano maggiormente in età giovanile e rappresentano una quota compresa tra il 15,9% e il 16,5% dei pazienti portatori di **malattie rare**.

Per quanto riguarda i costi, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua che oscilla tra i quattro e i cinquemila euro. Un totale che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni. Ma non contempla l'assistenza domiciliare né (ovviamente) i costi sostenuti direttamente da pazienti e caregiver. La spesa per un malato raro con esenzione, spiegano da Ossfor, non si discosta tanto da quella per un paziente con due malattie croniche.

IL RAPPORTO

TAGS: Crea Sanità - **Farmaci Orfani** - Malattie Rare - Omar - Ossfor

SHARE: Tweet Condividi Salva Share 27 Like Share Sign Up to see what your friends like.

TI POTREBBE INTERESSARE ANCHE...



Malattie rare, l'eccellenza italiana al top in Europa. Ma sul territorio troppe disparità



Malattie autoimmuni del fegato: quattro patologie rare, ma solo una è riconosciuta



Malattie rare, aumentano i **farmaci orfani** ma ancora troppi anni per arrivare alla diagnosi



Malattie rare, assistenza a macchia di leopardo: ancora forti disparità fra Regioni

(Mario Melazzini e Luca Pani, presidente e dg Aifa)

FOLLOW US



Cerca un **Farmaco** su **Pharmawizard**

Inserisci nome farmaco...

Cerca

WORLD NEWS

Powered by



Global Blood Testing Market 2017-2021 - Thriving Demand for...

Elsevier and WiserCare Team up to Offer Patients Personalized...

Global Depression Market and Competitive Landscape Report...

FOTO



AboutPharma Digital Awards 2017



Vincitori AboutPharma Digital Awards 2016



Dispositivi Medici e Supply Chain Milano 26 novembre...

VIDEO



Non solo UPneumoDATE 2017: le videointerviste



Cosmofarma 2017



XXI Congresso nazionale Associazione Medici Diabetologi (Amd)...

MOST POPULAR

Sorry. No data so far.



SCIENZA MEDICINA

Quanto costano le malattie rare al Sistema sanitario nazionale

Il primo Rapporto dell'Osservatorio farmaci Orfani chiarisce che in Italia un paziente affetto da malattia rara costa allo Stato circa 5000 euro all'anno



di Sara Moraca

Giornalista e Science writer

29 NOV, 2017



VIDEO



La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'**1,2 per cento della spesa pubblica totale**. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di **un cittadino con due malattie croniche**. I dati provengono dal primo Rapporto dell'**Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR)**, presentato ieri a Roma. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Sistema sanitario nazionale sostiene una **spesa media pro-capite** annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni. Le voci predominanti di costo sono quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60 per cento del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20 per cento del costo totale).



I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.

027-322.763 malati rari), con

una **prevalenza maggiore di donne** (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni).

I dati contenuti nel rapporto sono stati ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia.

Un'analisi delle politiche sanitarie e delle terapie per le **malattie rare**

Rapporto dell'Osservatorio **Farmaci Orfani** (OSSFOR)

■ ■ ■ Presentato negli scorsi giorni a Roma il primo Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), frutto della collaborazione tra il Consorzio per la Ricerca Economica Applicata in Sanità (Crea Sanità) dell'università di Tor Vergata e l'Osservatorio **Malattie Rare**. Il documento offre una fotografia chiara ed esaustiva di uno scenario complesso, quello dei farmaci destinati alla cura delle **malattie rare** - detti appunto 'orfani' a causa del loro non agevole percorso di sviluppo e commercializzazione - analizzando l'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario nazionale (Ssn) e monitorando l'evoluzione delle politiche sanitarie e delle tecnologie per esse sviluppate. La peculiarità di questo settore è la concentrazione di risorse molto elevate su gruppi molto piccoli di popolazione, operazione che tende a provocare reazioni contrastanti. La scelta della presa in carico di questi pazienti diventa etica, prima ancora che economica. L'Italia ha un numero di **farmaci orfani** rimborsati secondo solo al Regno Unito e il costo annuo di trattamento medio più basso fra i paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali (Ema) ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento, 5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica. «La crescita della spesa per i **farmaci orfani** è da considerarsi un elemento positivo - commenta Francesco Macchia, coordinatore **OSSFOR** - accompagnato da un incremento delle opportunità terapeutiche per i pazienti». (M. SCU.)

Redazione: salute@liberoquotidiano.it



MALATTIE RARE, OSSFOR: SSN SPENDE 1,35 MLD DI EURO, 1,2% DELLA SPESA PUBBLICA TOTALE

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2% della spesa pubblica totale, con un costo medio pro-capite annuo incluso nel range di 4.217-5.003 euro. Una spesa che, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E'quanto emerge dal 1° Rapporto dell'Osservatorio **farmaci orfani** (**Ossfor**) presentato oggi a Roma: un'analisi dell'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle **malattie rare** e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i **farmaci orfani**. "Il mondo del farmaco orfano e della cura delle **malattie rare** - ha sottolineato Francesco Macchia, coordinatore **Ossfor**, illustrando i dati del Rapporto - rappresenta un equilibrio delicatissimo, perché proprio la dispersività tipica dei piccoli numeri genera, a livello imprenditoriale, dei livelli di rischio molto alto, che rendono questo settore fragile in assenza di specifici incentivi e tutele". I dati del Rapporto sono stati ottenuti attraverso un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia "ma - precisa **Ossfor** - sono sottostimati, poiché non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver".

L'indagine fotografa l'epidemiologia delle persone con **malattie rare** nel nostro Paese: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5% della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). Le voci predominanti di costo - rileva il Rapporto - sono quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60% del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20% del costo totale). Per i maschi si spendono oltre il 60% del totale delle risorse; per le femmine, pur essendo un numero maggiore, meno del 40%.

Dall'analisi emerge che le condizioni ultra rare meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5% dell'universo dei pazienti con **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione. Una epidemiologia che "non è omogenea su tutto il territorio - osserva Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità - Esistono differenze sia di costo sia di numerosità di questi pazienti fra le Asl, che variano anche dal 100 al 200%. Ciò significa che in alcune Asl l'onere e il rischio finanziario è molto più alto. Riteniamo - sottolinea - che si dovrebbe aprire un dibattito per garantire che le risorse siano allocate in modo da avere sempre la copertura per le esigenze dei malati rari".

Per quanto riguarda il numero dei **farmaci orfani** rimborsati, l'Italia è seconda solo al Regno Unito - precisano da **Ossfor** - Nel 2017 l'Ema ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016, passando dal 3,9 al 4,6 % (5,0 e 5,9 % rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, l'equilibrio rimane comunque 'fragile', perché "da un punto di vista industriale - sostiene Spandonaro - anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con

numeri rilevanti di pazienti". Un sistema in espansione per volume e per spesa, "ma che rappresenta ancora una parte piccolissima della spesa sanitaria complessiva e che ha bisogno di incentivi e sostegni, e di un contesto normativo e legislativo stabile", aggiunge Macchia, che ricorda comunque come elementi positivi stiano emergendo per quanto concerne l'aspetto regolatorio, con l'intento da parte delle istituzioni sia italiane che europee "di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani**, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti". Anche il processo di accesso al mercato dei **farmaci orfani** migliora, e a livello nazionale si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata dei tempi : tra autorizzazione Ema e determina di prezzo e rimborso Aifa, si passa da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. "Le tempistiche di accesso migliorano - osserva **Ossfor** - sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi". Per monitorare questo aspetto, l'Osservatorio **farmaci orfani** ha costruito una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

space play / pause q unload |
stop f fullscreen shift + ? ? slower / faster ? ? volume m mute ? ? seek. seek to previous 1 2
... 6 seek to 10%, 20% ... 60%



federfarma.it
federazione nazionale unitaria titolari di farmacia

HOME

CHI SIAMO

EDICOLA

FARMACI E FARMACIE

TICKET REGIONALI

SPESA FARMACEUTICA

RISERVATO

Edicola > FiloDiretto

Malattie rare costano a Ssn l'1,2% della spesa pubblica

28/11/2017 15:09:00



La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie

croniche. E' quanto emerge dal 1/mo Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) presentato a Roma. I dati contenuti sono stati ottenuti con lavoro sui database amministrativi di Lombardia e Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro. Emerge anche un "profilo" delle persone con **malattie rare**: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne, un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro dai 40 ai 49 anni. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, «rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore OssFor - perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti con **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione». (ANSA)

Notizie correlate

27/02/2017

Malattie rare sono 7000-8000, 30% "senza nome"

Sono tra le 7mila e le 8mila le **malattie rare** secondo l'Oms, l'Organizzazione mondiale della Sanità. L'80% ha origine genetica, mentre il 20% è dovuto ad altri fattori, come quelli ambientali. Il 30% di queste malattie è senza diagnosi, "senza nome". Anche per questo si è scelto di investire...

24/01/2017

Algoritmo simile a riconoscimento volti trova nuove cure

Un algoritmo simile a quello che si usa per il riconoscimento facciale da parte dei computer può servire a identificare nuovi trattamenti per le **malattie rare**. Lo dimostra, riporta la rivista del Mit Technology Review, il caso della Recursion Pharmaceuticals, una start up che sta per iniziare...

26/07/2016

Fino a 670mila malati rari in Italia, triplica numero farmaci

Crescono l'utilizzo e la spesa per i **farmaci orfani** destinati alle **malattie rare**, aumentano gli studi clinici su terapie per la loro cura, ma solo dieci regioni hanno recepito il Piano Nazionale specifico, approvato nel 2014 dalla Conferenza Stato-Regioni. E' il quadro che emerge dal secondo...

29/02/2016

In Italia raddoppiata spesa farmaci per cura malattie rare

Negli ultimi anni la ricerca ha prodotto importanti risultati nel trattamento di **malattie rare**, tanto che «dal 2012 al 2015 l'EMA (Agenzia Europea dei Medicinali) ha approvato 57 nuovi **farmaci orfani**». Mentre in Italia «dal 2010 ad oggi la spesa per i medicinali orfani è più che raddoppiata...

03/11/2015

Malattie rare, in Italia 2 mln pazienti, assistenza varia

Per gli oltre due milioni di italiani che hanno una malattia rara, il 70% dei quali bambini, l'assistenza è molto diversa a seconda della regione di nascita. Il dato è emerso alla presentazione del rapporto sulle "Reti

FILODIRETTO

- Ultimo Filodiretto
- Archivio
- Iscrizione Filodiretto

I più letti

DiaDay, ultimi due giorni e Federfarma "chiama" al rush finale

Studi di settore, farmacie tra le attività più ligie verso il Fisco

DiaDay, il bilancio e il grazie di Federfarma

Farmamagazine, presentata a Roma l'edizione nazionale

Sostenibilità Ssn, a Bari tavola rotonda su sinergie pubblico-privato

Multimedia



27 novembre 2017
Marco Cossolo sulla vittoria di Amsterdam per EMA



29 settembre 2017
Disfunzione erettile, Cossolo ospite di Tutta Salute



14 luglio 2017
Marco Cossolo sul disegno di legge all'esame del Senato



22 giugno 2017
Vittorio Contarina commenta il tavolo per la revisione della Tariffa nazionale



15 giugno 2017
Il presidente di Federfarma Caltanissetta sul progetto di farmacia sociale



9 giugno 2017
Silvia Pagliacci: il nuovo corso al Sunifar



5 giugno 2017
Marco Cossolo sulle elezioni nazionali del 30 maggio 2017



23 maggio 2017
Riccardo Froli sulla distribuzione diretta in Toscana

MALATTIE RARE: OSSFOR, SSN SPENDE 1,35 MLD EURO, 1,2% TOTALE

Roma, 28 nov. (AdnKronos Salute) - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario nazionale per i malati rari esenti è di circa 1,35 miliardi di euro, pari all'1,2% della spesa pubblica totale, con un costo medio pro-capite annuo incluso nel range di 4.217-5.003 euro. Una spesa che, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. E' quanto emerge dal 1° Rapporto dell'Osservatorio **farmaci orfani (Ossfor)** presentato oggi a Roma: un'analisi dell'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle **malattie rare** e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i **farmaci orfani**.

Il mondo del farmaco orfano e della cura delle **malattie rare** - ha sottolineato Francesco Macchia, coordinatore **Ossfor**, illustrando i dati del Rapporto - rappresenta un equilibrio delicatissimo, perché proprio la dispersività tipica dei piccoli numeri genera, a livello imprenditoriale, dei livelli di rischio molto alto, che rendono questo settore fragile in assenza di specifici incentivi e tutele".

I dati del Rapporto sono stati ottenuti attraverso un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia "ma - precisa **Ossfor** - sono sottostimati, poiché non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver".

L'indagine fotografa l'epidemiologia delle persone con **malattie rare** nel nostro Paese: i malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5% della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). Le voci predominanti di costo - rileva il Rapporto - sono quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60% del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20% del costo totale). Per i maschi si spendono oltre il 60% del totale delle risorse; per le femmine, pur essendo un numero maggiore, meno del 40%.

Dall'analisi emerge che le condizioni ultra rare meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5% dell'universo dei pazienti con **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione. Una epidemiologia che "non è omogenea su tutto il territorio - osserva Federico Spandonaro, presidente di Crea Sanità - Esistono differenze sia di costo sia di numerosità di questi pazienti fra le Asl, che variano anche dal 100 al 200%. Ciò significa che in alcune Asl l'onere e il rischio finanziario è molto più alto. Riteniamo - sottolinea - che si dovrebbe aprire un dibattito per garantire che le risorse siano allocate in modo da avere sempre la copertura per le esigenze dei malati rari".

Per quanto riguarda il numero dei **farmaci orfani** rimborsati, l'Italia è seconda solo al Regno Unito - precisano da **Ossfor** - Nel 2017 l'Ema ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016, passando dal 3,9 al 4,6 % (5,0 e 5,9 % rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, l'equilibrio rimane comunque 'fragile', perché "da un punto di vista industriale - sostiene

Spandonaro - anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti".

Un sistema in espansione per volume e per spesa, "ma che rappresenta ancora una parte piccolissima della spesa sanitaria complessiva e che ha bisogno di incentivi e sostegni, e di un contesto normativo e legislativo stabile", aggiunge Macchia, che ricorda comunque come elementi positivi stiano emergendo per quanto concerne l'aspetto regolatorio, con l'intento da parte delle istituzioni sia italiane che europee "di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani**, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti".

Anche il processo di accesso al mercato dei **farmaci orfani** migliora, e a livello nazionale si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata dei tempi: tra autorizzazione Ema e determina di prezzo e rimborso Aifa, si passa da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. "Le tempistiche di accesso migliorano - osserva **Ossfor** - sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi". Per monitorare questo aspetto, l'Osservatorio **farmaci orfani** ha costruito una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

Servizio di aggiornamento in collaborazione con:



Network

Redattore sociale

RS Agenzia

Guida

Giornalisti

Blog

...altri siti

LOGIN



Salute

Newsletter Seguici su

NOTIZIARIO

Società

Disabilità

Salute

Economia

Famiglia

Giustizia

Immigrazione

Non Profit

Cultura

Punti di Vista

In Evidenza

Multimedia

Speciali

Banche Dati

Calendario

Annunci

NOTIZIARIO

Salute

Aids

Alcolismo

Anoressia - Bulimia

Droghe

Gioco d'azzardo

Psichiatria



Malattie rare, più colpite le donne: circa 1,35 miliardi la spesa

Rapporto dell'Osservatorio **Farmaci Orfani**: la spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti e' di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. In Italia il costo annuo dei farmaci è tra i più bassi d'Europa

28 novembre 2017

Roma - La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti e' di circa 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal 1° Rapporto dell'Osservatorio **Farmaci Orfani (Ossfor)**, presentato oggi a Roma a un pubblico di esperti, politici e stakeholder del settore. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni.

Il Rapporto **Ossfor** presenta un'analisi dell'impatto economico delle malattie rare sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle malattie rare e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i farmaci orfani. Il testo si articola in quattro parti: la prima analizza gli aspetti regolatori del settore malattie rare e farmaci orfani, la seconda parte e' dedicata all'analisi della "domanda", segue poi l'analisi dell'offerta in termini di tecnologie messe a disposizione ed infine un focus sulla governance del settore. In conclusione, un contributo elaborato da Eurordis che offre un punto di vista europeo sul tema dell'accesso alle terapie.

Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con malattie rare, nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range e' tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni). I dati contenuti nel Rapporto sono stati ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. I dati riportati nel testo sono sottostimati in quanto non includono i malati rari ai quali non e' riconosciuto un codice di esenzione. Allo stesso modo, escludono quelli non esenti, ad esempio perché possiedono una esenzione "piu' forte" come quella per reddito, o abbiano deciso di non chiederla. I dati, quindi, riguardano i pazienti ai quali e' stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non e' considerata l'assistenza residenziale e domiciliare

RS L'AGENZIA di REDATTORE SOCIALE



Il numero medio di figli per donna scende a 1,34 (negli anni Venti era di 2,5)

Lette in questo momento

Mutilazioni genitali, al via crowdfunding per combattere la tradizione in Niger



Malattie rare, più colpite le donne: circa 1,35 miliardi la spesa



Toscana, presto il tavolo permanente sulla disabilità

» Notiziario



Calendario

In primo piano:

Il mio giardino - XXIII Seminario per giornalisti Redattore Sociale

01/12/2017

« Novembre 2017 »						
L	M	M	G	V	S	D
		1	2	3	4	5

per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver. Dall'analisi di Ossfor emerge che tra i soggetti portatori di **malattie rare** meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi - come spiega Francesco Macchia, coordinatore Ossfor - perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". Inoltre, la complessità è acuita dal fatto che la variabilità nella concentrazione dei soggetti tra le diverse ASL appare estremamente rilevante, arrivando ad una variazione tra quella con prevalenza massima e quella con prevalenza minima dell'ordine del 100% e la variazione tra spesa pro-capite massima e minima è dell'ordine del 220%. "Si devono trovare delle soluzioni organizzative e finanziarie che consentano di non escludere dai percorsi e dalle speranze di cura questi pazienti 'marginali', come li definisce il Comitato Nazionale per la Bioetica: - è questo uno degli obiettivi prioritari dell'Osservatorio **Farmaci Orfani**", conclude Francesco Macchia.

Farmaci orfani, un settore in espansione - L'Italia ha un numero di **farmaci orfani** rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio più basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per **farmaci orfani** sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento (5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica). "La crescita della spesa per i **farmaci orfani** è da considerarsi un elemento positivo - commenta Francesco Macchia - a fronte di un incremento delle opportunità terapeutiche per i pazienti, i pazienti trovano maggiori risposte ai loro bisogni e le aziende, nonostante le difficoltà connesse ai 'piccoli numeri' sembra investano in questo settore".

Anche per quanto concerne l'aspetto regolatorio, ci sono elementi positivi: dall'analisi Ossfor emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani** al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti. In Italia, in particolare la legge n. 95/2012 prima e la legge n. 189/2012 poi, hanno contribuito ad incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei **farmaci orfani** con la concessione agli sponsor della possibilità di presentare domanda di prezzo/rimborso ancor prima del rilascio, da parte della Commissione Europea, dell'autorizzazione all'immissione in commercio. Anche il processo di accesso al mercato dei **farmaci orfani** migliora. A livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. Le tempistiche di accesso migliorano, quindi, sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi. Per monitorare la questione, Ossfor ha effettuato una analisi approfondita dei processi di market access, a livello internazionale e nazionale, costruendo una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

Un sistema in crescita ma ancora fragile - Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, spiegabile con i numerosi incentivi messi in campo a livello sia internazionale che nazionale, l'equilibrio del settore rimane "fragile". "Tale fragilità" - ha dichiarato Federico Spandonaro Presidente di C.R.E.A. Sanita' - è, in primo luogo, spiegata dalla fortissima difformità delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, cosa che implica e spiega scostamenti rilevanti dal principio di efficienza. In secondo luogo, - prosegue Spandonaro - rimane fragile perché da un punto di vista industriale, anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti."

In conclusione, il Rapporto Ossfor sottolinea che la vera peculiarità delle **malattie rare e dei farmaci orfani**, in termini di politiche sanitarie, rimane la concentrazione di risorse molto elevate su gruppi molto piccoli di popolazione, che può provocare, e di fatto provoca, reazioni tendenzialmente contrastanti. La scelta della presa in carico di questi pazienti diventa etica, prima ancora che economica. Un'indicazione autorevole in

6	7	8	9	10	11	12
13	14	15	16	17	18	19
20	21	22	23	24	25	26
27	28	29	30			

questo senso arriva dal Comitato Nazionale per la Bioetica del 25 novembre 2011 "...il criterio di efficienza quale quello basato sul costo/efficacia degli interventi, pur garantendo un'efficace distribuzione delle risorse in vista dell'acquisto della maggior quantità possibile di salute pubblica, non promette di garantire sufficientemente i diritti individuali e i bisogni dei pazienti 'marginali', sarà necessario individuare strumenti di policy, aggiuntivi o alternativi, in grado di soddisfarli. L'obiettivo (ideale) primario da raggiungere deve essere, infatti, il miglioramento delle condizioni e della qualità di vita di ogni paziente, senza discriminazioni basate sulla natura della malattia o sui costi della terapia". (DIRE)

© Copyright Redattore Sociale

TAG: [MALATTIE RARE](#)

Ti potrebbe interessare anche...



[Malattie rare](#), primo giorno di scuola: insieme per #andarelontano
Notiziario

Impatto e governance delle [malattie rare](#) e dei [farmaci orfani](#) - I Rapporto annuale dell'Ossfor
Calendario



Chi siamo

Redazione

in collaborazione con **agenzia**

Editrice della testata: Redattore Sociale srl
Autorizzazione del Tribunale di Fermo: n. 1 del 2 gennaio 2001.

Per offrire una migliore esperienza di navigazione questo sito utilizza cookie anche di terze parti. Chiudendo questo banner o cliccando al di fuori di esso, esprimerai il consenso all'uso dei cookie.

Per saperne di più puoi consultare la nostra [privacy policy](#).

COLITE ULCEROSA:
impatto clinico,
monitoraggio
e ottimizzazione della cura

65 PAGINE
8 ARTICOLI
6 INTERVISTE

PDF
↓
**SCARICA
IL PDF**

Martedì 28 Novembre 2017 / 14:56

Info



FOTOGALLERY

VIDEO

LE MALATTIE RARE IN ITALIA
FOCUS SU EMOFILIA B

32 PAGINE
11 ARTICOLI
12 INTERVISTE

PDF
↓
**SCARICA
IL PDF**

ITALIA EMA FDA CARDIO DIABETE DOLORE GASTRO NEURO ONCOEMATO ORTO-REUMA PNEUMO ALTRI STUDI

BUSINESS ALTRE NEWS

Malattie rare incidono per 1,2% della spesa pubblica, costo tra i più bassi d'Europa

Martedì 28 Novembre 2017 Redazione

Like 0 Share

Pin it G+

Share

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa € 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche. I dati provengono dal 1° Rapporto dell'Osservatorio **Farmaci Orfani (OSSFOR)**, presentato oggi a Roma.



Ritaglio stampa ad uso esclusivo del destinatario, non riproducibile.

La spesa sostenuta complessivamente dal nostro Servizio sanitario per i malati rari esenti è di circa € 1,35 miliardi di euro, pari quindi a 1,2 per cento della spesa pubblica totale. La spesa per malato raro, in media, non si discosta di molto da quella di un cittadino con due malattie croniche.

I dati provengono dal 1° **Rapporto dell'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR)**, presentato oggi a Roma a un pubblico di esperti, politici e stakeholder del settore. Secondo quanto emerge dal rapporto, il Ssn sostiene una spesa media pro-capite annua inclusa nel range di 4.217-5.003 euro, che comprende farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, analisi di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e diurni.

Il Rapporto **OSSFOR** presenta un'analisi dell'impatto economico delle **malattie rare** sul Servizio sanitario e un monitoraggio dell'evoluzione delle politiche sanitarie, della regolazione e gestione delle **malattie rare** e delle tecnologie per esse sviluppate, in primis i **farmaci orfani**. Il testo si articola in quattro parti: la prima analizza gli aspetti regolatori del settore **malattie rare** e **farmaci orfani**, la seconda parte è dedicata all'analisi della "domanda", segue poi l'analisi dell'offerta in termini di tecnologie messe a disposizione ed infine un focus sulla governance del settore. In conclusione, un contributo elaborato da EURORDIS che offre un punto di vista europeo sul tema dell'accesso alle terapie.

Il Rapporto, inoltre, fotografa l'epidemiologia delle persone con **malattie rare**, nel nostro Paese. I malati rari esenti, in Italia, sono circa lo 0,5 per cento della popolazione (il range è tra il 0,46%-0,53% che equivale a circa 270.027-322.763 malati rari), con una prevalenza maggiore di donne (0,53%-0,55% per le femmine e 0,39%-0,51% per i maschi), un picco nell'età adolescenziale (10-19 anni) e un altro nella quinta decade (40-49 anni).

I dati contenuti nel Rapporto sono stati ottenuti grazie a un lavoro condotto sui database amministrativi della Regione Lombardia e della Regione Puglia, due regioni popolate e rappresentative del Nord e del Sud d'Italia. I dati riportati nel testo sono sottostimati in quanto non includono i malati rari ai quali non è riconosciuto un codice di esenzione. Allo stesso modo, escludono quelli non esenti, ad esempio perché possiedono una esenzione "più forte" come quella per reddito, o abbiano deciso di non chiederla. I dati, quindi, riguardano i pazienti ai quali è stata riconosciuta l'esenzione dal Ssn, per i quali non è considerata l'assistenza residenziale e domiciliare per carenza di informazioni. Rimane però escluso l'importante onere sostenuto direttamente da pazienti e caregiver.

Dall'analisi di **OSSFOR** emerge che tra i soggetti portatori di **malattie rare** meritano particolare attenzione per la loro complessità assistenziale e l'impatto finanziario, le condizioni ultra rare. Le malattie ultra rare (meno di 1 caso su 1.000.000) che si concentrano maggiormente in età giovanile, "rappresentano la vera sfida in termini organizzativi – come spiega **Francesco Macchia**, coordinatore **OSSFOR** - perché ammontano ad una quota compresa tra il 15,9 e il 16,5 per cento dell'universo dei pazienti portatori di **malattie rare**, ma sono frazionati in oltre 215 malattie o gruppi che accedono all'esenzione". Inoltre, la complessità è acuita dal fatto che la variabilità nella concentrazione dei soggetti tra le diverse ASL appare estremamente rilevante, arrivando ad una variazione tra quella con prevalenza massima e quella con prevalenza minima dell'ordine del 100% e la variazione tra spesa pro-capite

massima e minima è dell'ordine del 220%. "Si devono trovare delle soluzioni organizzative e finanziarie che consentano di non escludere dai percorsi e dalle speranze di cura questi pazienti 'marginali', come li definisce il Comitato Nazionale per la Bioetica: - è questo uno degli obiettivi prioritari dell'Osservatorio Farmaci Orfani." – conclude Francesco Macchia.

Farmaci orfani, un settore in espansione

L'Italia ha un numero di farmaci orfani rimborsati secondo solo al Regno Unito come anche il costo annuo di trattamento medio più basso fra i Paesi considerati. Nel 2017 l'Agenzia Europea per i Medicinali ha autorizzato, complessivamente, 73 nuovi farmaci di cui 10 con designazione orfana. La spesa per farmaci orfani sulla spesa farmaceutica pubblica e privata totale è cresciuta in modo significativo tra il 2015 e il 2016: in termini percentuali passa, infatti, dal 3,9 al 4,6 per cento (5,0 e 5,9 per cento rispettivamente considerando la sola spesa farmaceutica pubblica).

"La crescita della spesa per i farmaci orfani è da considerarsi un elemento positivo – commenta Francesco Macchia – a fronte di un incremento delle opportunità terapeutiche per i pazienti, i pazienti trovano maggiori risposte ai loro bisogni e le aziende, nonostante le difficoltà connesse ai 'piccoli numeri' sembra investano in questo settore".

Anche per quanto concerne l'aspetto regolatorio, ci sono elementi positivi: dall'analisi OSSFOR emerge l'intento da parte delle Istituzioni sia italiane che europee di incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani, al fine di dare risposta ad una serie di bisogni di salute non ancora soddisfatti. In Italia, in particolare la legge n. 95/2012 prima e la legge n. 189/2012 poi, hanno contribuito ad incoraggiare lo sviluppo e la produzione dei farmaci orfani con la concessione agli sponsor della possibilità di presentare domanda di prezzo/rimborso ancor prima del rilascio, da parte della Commissione Europea, dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Anche il processo di accesso al mercato dei farmaci orfani migliora. A livello nazionale, si registra negli ultimi anni una tendenza alla riduzione della durata del processo: tra autorizzazione EMA e determina di prezzo e rimborso AIFA, si passa, infatti, da 29 mesi (valore mediano 26) nel triennio 2011/2013 a 13 mesi (valore mediano 12) nel triennio 2014/2016. Le tempistiche di accesso migliorano, quindi, sebbene i processi di market access ancora richiedano tempi significativi. Per monitorare la questione, OSSFOR ha effettuato una analisi approfondita dei processi di market access, a livello internazionale e nazionale, costruendo una propria banca dati, che verrà aggiornata annualmente.

Un sistema in crescita ma ancora fragile

Malgrado negli ultimi anni si osservi un crescente interesse industriale per il settore, spiegabile con i numerosi incentivi messi in campo a livello sia internazionale che nazionale, l'equilibrio del settore rimane "fragile".

"Tale fragilità - ha dichiarato Federico Spandonaro Presidente di C.R.E.A. Sanità - è, in primo luogo, spiegata dalla fortissima difformità delle prevalenze, che sono davvero minime per alcune patologie, cosa che implica e spiega scostamenti rilevanti dal principio di efficienza. In secondo luogo, - prosegue Spandonaro - rimane fragile perché da un punto di vista industriale, anche a fronte di variazioni di prezzo/costo di trattamento enormi, paradossalmente le tecnologie per patologie

ultra-rare possono rimanere lontane da livelli di profittabilità di molte tecnologie comuni e anche di quelle per patologie rare ma con numeri rilevanti di pazienti.”

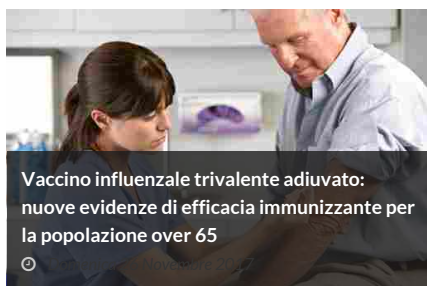
In conclusione, il Rapporto **OSSFOR** sottolinea che la vera peculiarità delle **malattie rare** e dei **farmaci orfani**, in termini di politiche sanitarie, rimane la concentrazione di risorse molto elevate su gruppi molto piccoli di popolazione, che può provocare, e di fatto provoca, reazioni tendenzialmente contrastanti. La scelta della presa in carico di questi pazienti diventa etica, prima ancora che economica. Un'indicazione autorevole in questo senso arriva dal Comitato Nazionale per la Bioetica del 25 novembre 2011 “...il criterio di efficienza quale quello basato sul costo/efficacia degli interventi, pur garantendo un'efficace distribuzione delle risorse in vista dell'acquisto della maggior quantità possibile di salute pubblica, non promette di garantire sufficientemente i diritti individuali e i bisogni dei pazienti 'marginali', sarà necessario individuare strumenti di policy, aggiuntivi o alternativi, in grado di soddisfarli. L'obiettivo (ideale) primario da raggiungere deve essere, infatti, il miglioramento delle condizioni e della qualità di vita di ogni paziente, senza discriminazioni basate sulla natura della malattia o sui costi della terapia”.

Like 0 Share

Share 0 G+

Share

ALTRI ARTICOLI DELLA SEZIONE ALTRE NEWS



Vaccino influenzale trivalente adiuvato:
nuove evidenze di efficacia immunizzante per
la popolazione over 65



**Precision medicine, immunoterapia e
robotica: ruolo chiave del farmacista
ospedaliero in oncologia**

🕒 Domenica 26 Novembre 2017

ULTIME 6 NOTIZIE PUBBLICATE SUL SITO



**Amgen Italia: Marco Forestiere a capo della
nuova business unit biosimilari**

🕒 Lunedì 27 Novembre 2017



**Assegnate da IBDO Foundation le "Galileo
Galilei Medal" 2017**

🕒 Lunedì 27 Novembre 2017

