

Farmaci orfani, eccellenza «made in Italy»

A Roma il convegno sulle terapie utilizzate nelle malattie rare. Presentati quattro casi esemplari, frutto della ricerca italiana all'avanguardia

Le malattie rare possono contare sulla buona ricerca e, nel caso di quella farmaceutica, si tratta di un prodotto di eccellenza italiano, che va valorizzato. Quattro casi esemplari sono stati presentati ieri mattina a Roma nella prima edizione di «Orphan drug day», evento organizzato dall'Osservatorio malattie rare e dedicato al tema «Farmaci orfani, ricerca & sviluppo "Made in Italy": il punto su progressi e ostacoli», realizzato grazie al contributo non condizionato di Alexion, Biomarin, Celgene, Genzyme, Orphan

Europe e Shire. Il convegno ha sfatato il mito che non ci sia ricerca sulle malattie rare e sulle terapie a esse connesse (appunto, i farmaci cosiddetti «orfani»), ma anzi, è un campo che ci vede all'avanguardia. «L'Italia in questo settore è molto attiva – ha chiarito Ilaria Ciancaleoni, direttore di Osservatorio malattie rare –, il 20% della sperimentazione clinica nel nostro Paese è effettuata con farmaci orfani». Il problema di fondo, è stato rilevato, non è tanto in termini di ricerca, quanto di sostegno e conoscenza. «Quando si parla di malattie rare e farmaci orfani la platea di italiani che sanno di cosa si stia parlando è decisamente ristretta – ha sottolineato Pierpaolo Vargiu, presidente della Commissione affari Sociali della Camera dei deputati –, però chi è affetto da una malattia rara non si vive come raro, ma come malato e chiede

solo un farmaco efficace per curarsi». «Quella che manca, è una cultura diffusa su questo tema – ha spiegato Emilio Clementi, direttore dell'Unità di farmacologia clinica dell'azienda ospedaliera Sacco di Milano – e soprattutto uno sviluppo concreto di partnership tra accademia, industria, fondazioni di ricerca e associazioni di pazienti che siano strutturate e durature».

Non è nemmeno una questione di costi: stando ai dati del 2013 l'impatto dell'intera classe dei farmaci orfani sulla spesa sanitaria è stato solo del 4,65%, mentre l'industria del farmaco prevede in questo settore massicci investimenti per il futuro. «Le malattie rare cambiano il modo di fare medicina – ha confermato la senatrice Laura Bianconi, della Commissione igiene e sanità del Senato – e noi

abbiamo il dovere di dare risposte a questi malati». A testimonianza dell'impegno e dell'attenzione sul tema, la presenza istituzionale era ad altissimo livello: c'erano infatti Vito de Filippo, sottosegretario del ministero della Salute con delega alle malattie rare; Paolo Bonaretti, coordinatore dei Tavoli sulla sanità (ministero Sviluppo economico); Giovanni Leonardi, direttore generale Ricerca e innovazione (ministero della Salute); Stefano de Lillo, consigliere di amministrazione di Agenas; Sandra Petraglia, coordinatore Area pre-autorizzazione e direttore Ufficio ricerca e sperimentazione clinica dell'Aifa; Paola Binetti, membro della Commissione Affari sociali (Camera dei deputati); Domenico Taruscio, direttore del Cnmr (Istituto superiore di sanità).

Manuela Vinai
 © RIPRODUZIONE RISERVATA

