

---

## Le malattie rare e i “farmaci orfani”

**Autore:** Javier Rubio

**Fonte:** Città Nuova

**Si tratta di quelle medicine che curano le malattie rare. Costano e sono difficili da trovare. Un’inchiesta mostra i ritardi in tanti Paesi europei. Ma la ricerca va avanti.**

Avagovomab, Becatecarin, Ecopipam, Ketoconazolo, Nelarabina, Tacrolimus, Zanolimumab. Non sono personaggi di una saga di fantascienza, tanto comuni oggi nei vari canali privati di distribuzione filmica. Sono in realtà alcune delle “designazioni” registrate per certe sostanze e **farmaci detti “orfani”, cioè, quelli che servono per il trattamento di malattie rare.** Un elenco lunghissimo si può consultare nel [“Portale delle malattie rare e dei farmaci orfani”](#), in cinque diverse lingue, e include alcune designazioni che certo potrebbero stimolare l’immaginazione agli autori dei film intergalattici: 225Ac-Lintuzumab. **Un farmaco orfano è sviluppato per essere amministrato specificamente nei casi de malattie rare, dette anche “orfane”** perché la loro scarsa incidenza sulla popolazione non suscita nei laboratori farmacologici un interesse sufficiente per investire nella ricerca di nuove medicine che potrebbero combattere tali malattie. È vero che l’industria farmaceutica riceve determinati incentivi per incoraggiare il produttore a investire nello sviluppo di certe medicine, ma ciò sembra insufficiente. **Un’inchiesta**, iniziata due anni fa e pubblicata di recente, realizzata da un gruppo di studiosi **dell’Università della Finlandia orientale** conclude che, sui **24 Paesi europei** che hanno contribuito con le loro risposte allo studio, **solo Malta, Olanda e Polonia meritano l’approvazione.** L’inchiesta voleva rilevare quale accesso reale hanno ai farmaci orfani le persone che patiscono una malattia rara. Perciò si è usato **come indicatore dieci dei tanti farmaci registrati**, e solo nei tre Paesi citati sono disponibili sul mercato, mentre in altri Paesi sono disponibili solo tra 5 e 9 di quei farmaci. Gli autori dello studio avvertono che **il più delle volte le cause che limitano l’accesso a un farmaco orfano bisogna trovarle nel ritardo nell’autorizzazione in ciascun mercato e nell’onere finanziario che implica.** Si chiedono, appunto, se ogni Paese ha implementato politiche specifiche per regolare il processo decisionale sul prezzo e il rimborso dei farmaci orfani, e affermano che molto spesso non ci sono politiche specifiche; anzi, seguono gli stessi meccanismi usati per introdurre nel mercato qualsiasi farmaco. In pochi casi, però, la bolletta dei farmaci orfani viene calcolata in un budget separato dalla spesa farmaceutica generale (Russia e Lettonia), in altri ci sono condizioni speciali per il rimborso dei farmaci (Lituania, Ungheria, Spagna). Nell’ultimo Congresso Internazionale sui farmaci orfani e le malattie rare, tenutosi a Siviglia nel febbraio scorso, è stato fatto notare che **la metà dei farmaci approvati nel 2018 in Europa era diretta al trattamento delle malattie rare.** Ciò da speranza a chi vive sotto il peso di una patologia rara, così come il fatto che circa **il 16% delle sperimentazioni cliniche promosse tra il 2015 e il 2018 da aziende farmaceutiche in Spagna, ad esempio, corrisponde già a farmaci designati orfani.**