

# «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

