

# Farmaci orfani ipercostosi

Curarsi con il Soliris, prodotto da Alexion Pharmaceuticals, costa 409.500 dollari all'anno. Il farmaco contiene l'anticorpo che combatte una malattia (PNH, paroxysmal nocturnal hemoglobinuria) a causa della quale una reazione del sistema immunitario distrugge i globuli rossi durante la notte. Ne sono affetti 8 mila americani, poco più dello 0,002% della popolazione. Le vendite di Soliris, nel 2009, hanno raggiunto 295 milioni di dollari.

E da quando la casa farmaceutica ha cominciato a vendere il farmaco, un paio di anni fa, le sue azioni sono cresciute del 130%. Un plusvalore enorme, che ha fatto scattare in America la domanda: ma perché un farmaco deve costare tanto? E così si è scoperto che non è il solo. Costi sproporzionati, ma una ricerca di base altrettanto onerosa.

È un mondo coperto da riserbo quasi totale: non c'è marketing, perché praticamente non c'è concorrenza. È il pianeta sommerso dei cosiddetti "farmaci orfani", destinati alle malattie rare. I pazienti sono pochissimi (al massimo 5 su 10.000, secondo la normativa italiana), ma il business delle case farmaceutiche raggiunge cifre con molti zeri. Il problema è il rischio: che la ricerca non produca frutti, e allora di enorme ci sarebbe lo spreco di risorse. Sono sofisticati prodotti biotech, che trattano malattie di origine genetica, tumori senza nome, disturbi anomali del metabolismo. E le grandi imprese sembrano trovarvi una qualche prospettiva per bilanciare il declino nelle vendite dei farmaci tradizionali, quelli per le malattie di massa.

Negli Stati Uniti per la verità se ne discute da tempo. Già dal 1983 il Congresso ha approvato l'Orphan Drug Act, per promuovere la ricerca e la diffusione delle medicine, allora pressoché inesistenti. L'Europa si è data delle regole dal 2000: si stabilisce che i produttori di tali farmaci, destinati a una percentuale microscopica della popolazione, possono beneficiare dell'esclusività sul mercato per 10 anni. Alle imprese farmaceutiche viene anche riconosciuta l'esenzione dal pagamento dei diritti percepiti dall'Agenzia Europea di Valutazione dei Medicinali per l'autorizzazione al commercio.

Un'occhiata ai casi più eclatanti lascia sbalorditi. E può irritare una considerazione: le aziende che operano in questo settore, praticamente in regime di monopolio, possono fare il prezzo che vogliono. Si tratta indubbiamente dei farmaci più costosi in assoluto. Del primo posto si è detto, al secondo c'è l'Elaprase, di Shire Pharmaceuticals, che ha un costo medio di 375.000 dollari annui (non per singola somministrazione). Tratta un tipo rarissimo di disordine del metabolismo, la sindrome di Hunter. Soltanto 500 persone, negli Stati Uniti, soffrono di questa grave malattia, che causa infezioni, problemi alla respirazione e danni al cervello. Il farmaco ha fatturato l'anno scorso 353 milioni di dollari. Costa poco meno, 365.000 dollari all'anno, Naglazyme, della BioMarin Pharmaceuticals, che tratta un altro disordine metabolico. Cinryze, della Viropharma, ha un prezzo ogni 12 mesi di 350.000 dollari. Cura una patologia che provoca un grave rigonfiamento del viso. Fattura 350 milioni di dollari all'anno.

I meno cari, si fa per dire, sono il Myozyme e il Cerezyme, entrambi dell'azienda Genzyme. Da noi sono distribuiti dalla filiale italiana e sono disponibili esclusivamente nelle strutture ospedaliere. Il primo costa 300.000 dollari annui e si utilizza per il trattamento della malattia di Pompe (dal nome dello scienziato che l'ha diagnosticata), che causa il progressivo indebolimento della muscolatura e della respirazione. Il secondo farmaco, Cerezyme, ha un prezzo all'anno di 200.000 dollari (con un fatturato complessivo da 1 miliardo); tratta la malattia di Gaucher, che provoca alterazioni alla milza, al fegato e al midollo osseo. Ma chi paga tutti questi soldi? Nessun privato, o quasi, potrebbe sostenere simili spese, che spesso si protraggono per tutta la vita. Negli Usa le assicurazioni sanitarie

coprono, in genere, tali cifre. Ma il problema è la diagnosi. Talvolta passano anni prima che sintomi estenuanti vengano ricondotti a una malattia riconosciuta dalla comunità scientifica, che abbia almeno un nome. Tale riconoscimento è imprescindibile ai fini del finanziamento delle cure: nessuna assicurazione paga per una malattia che non esiste nella letteratura medica.

Stesso problema in Italia. Nel maggio 2001 è stato emanato il decreto ministeriale 279/2001. L'articolo 3 predispone il Registro nazionale delle malattie rare, presso l'Istituto superiore di sanità. Nell'elenco figurano 583 patologie, le cui cure sono passate dal sistema sanitario nazionale. Soltanto un paziente a cui sia diagnosticata una malattia riconosciuta dal Registro può ricevere in ospedale il trattamento gratuito. E gli altri? Considerando che queste malattie sommerse sono circa 6.000, non è infrequente il caso di pazienti condannati a morte dalla burocrazia. E i medici denunciano comunque la carenza di farmaci: quelli che hanno ricevuto l'approvazione sono soltanto una cinquantina. Assai pochi, dunque, rispetto alle malattie già catalogate.

Fonte: [La Repubblica - Affari e Finanza](#)

[farmaci orfani, costo](#)

From:

<http://www.pkuinfo.it/> - **PKUInfo**

Permanent link:

[http://www.pkuinfo.it/news/farmaci\\_orfani\\_ipercostosi](http://www.pkuinfo.it/news/farmaci_orfani_ipercostosi)

Last update: **2014/02/18 12:16**

