

De Gines / Mancetta * fare incontro e risolvere problemi



ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ
Centro Nazionale Malattie Rare

Reparto Farmaci Orfani
Viale Regina Elena, 299
00161 - ROMA
Tel. 06 4990 3067 - Fax 06 4990 4370
farmaciorfani@iss.it

Alla personale attenzione del
Ministro della Salute
Prof. Renato Balduzzi

Roma, 03/04/2012

OGGETTO: il ruolo essenziale dello Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare nella tutela del diritto alla terapia per i soggetti affetti da malattie rare

Negli ultimi anni si sono verificate con sempre maggior frequenza situazioni di emergenza causate dalla indisponibilità improvvisa sul mercato di farmaci essenziali per la cura di patologie rare o poco frequenti. L'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) sono intervenuti, ciascuno nell'ambito delle proprie competenze, per tutelare il diritto alla terapia delle persone affette chiedendo allo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare di Firenze di produrre i farmaci non più disponibili.

Solo la presenza sul territorio italiano di una struttura pubblica, dedicata alla produzione di farmaci e che non risponde esclusivamente alle stringenti logiche d'impresa, ha permesso di risolvere in tempi relativamente brevi queste situazioni critiche, offrendo un'immediata ed efficace risposta alle esigenze dei cittadini.

Valga come caso esemplificativo quello del Mexitil (mexiletina), un antiaritmico di classe Ib prodotto in esclusiva dall'azienda farmaceutica Boehringer Ingelheim che, essendo a conoscenza del solo uso del farmaco come antiaritmico che era in declino e ritenendo che vi fossero valide alternative terapeutiche costituite dagli altri antiaritmici della classe Ib, ha deciso di interrompere la produzione in Italia nel marzo del 2010 e, conseguentemente, di non rinnovare l'AIC (Autorizzazione all'Immissione in Commercio) in scadenza.

Tale farmaco, tuttavia, è stato usato sin dalla metà degli anni '80 sulla base delle osservazioni dei clinici per il trattamento delle miotonie da alterata funzione del canale del cloro o del sodio ed è considerato a tutt'oggi il trattamento più efficace per contrastare il fenomeno miotonico. Tuttavia, data la rarità dei soggetti affetti e l'invasività degli esami richiesti per documentare oggettivamente il fenomeno miotonico, non si sono potute effettuare sperimentazioni cliniche di portata tale da consentire l'inclusione della terapia delle miotonie fra le indicazioni principali del farmaco.

Poiché la casa produttrice Boehringer Ingelheim non era a conoscenza di tale uso fuori indicazione, non è stata effettuata alcuna analisi delle conseguenze della cessata produzione per i pazienti miotonici.

L'improvvisa indisponibilità del farmaco ha compromesso la possibilità per i pazienti di trattare efficacemente la propria patologia con un impatto devastante sulla qualità della vita, spingendoli a protestare con forza presso le istituzioni statali di riferimento.

Questo ha comportato un grosso sforzo da parte delle istituzioni stesse per rendere di nuovo disponibile in tempi ragionevolmente brevi il farmaco affidandone la produzione allo Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare di Firenze che si è rivelata l'unica istituzione in grado di rispondere a questa emergenza di sanità pubblica.

Situazione analoghe, verificatesi con altri farmaci (D-Penicillamina, Colestiramina e Checonazolo), hanno trovato soluzione solo grazie all'intervento della struttura militare. Va anche sottolineato che, per molti farmaci, una preparazione galenica da parte delle singole farmacie ospedaliere o di strutture di livello regionale è spesso estremamente difficile o impossibile per ragioni legate alle risorse umane e tecnologiche

disponibili, che presentano notevole variabilità e discontinuità, o di difficoltà legate alla reperibilità del principio attivo sul mercato internazionale per quantitativi modesti.

Attualmente segnalazioni riguardanti altri farmaci sono giunte all'attenzione del Reparto Farmaci Orfani del Centro Nazionale Malattie Rare dell'ISS e dell'AIFA che, per una soluzione positiva ed efficace, richiederanno necessariamente l'intervento dello Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare.

Da quanto sopra esposto, appare evidente l'essenzialità e l'irrinunciabilità di questa struttura che, nelle condizioni attuali, svolge un ruolo fortemente significativo a supporto delle politiche del farmaco del Servizio Sanitario Nazionale e dei servizi sanitari regionali. Se potenziata e valorizzata, la stessa struttura potrebbe svolgere un ruolo ancora più cruciale nel garantire la disponibilità, a costi ridotti, anche di presidi terapeutici ad alto contenuto tecnologico volti alla terapia di patologie rare e non rare.

Il modello proposto è già applicato in Francia dalla *Agence Générale des Equipements et Produits de Santé* (AGEPS), una struttura pubblica che ha fra i suoi obiettivi prioritari la ricerca, lo sviluppo, la fabbricazione, il controllo e la commercializzazione di farmaci indispensabili che non rivestono interesse per l'industria farmaceutica.

Si veda documento allegato in francese tratto dall'home page dell'Agence Générale des Equipements et Produits de Santé: www.aphp.fr/aphp/lagence-generale-des-equipements-produits-de-sante-ageps.

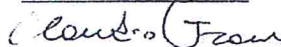
Vi è, dunque, la possibilità di sviluppare un modello di produzione di quei farmaci che non rivestono più interesse commerciale, benché indispensabili per i pazienti; tale modello ha già avuto successo in un altro paese europeo e può costituire un punto di riferimento per tutti gli altri paesi occidentali.

Tenuto conto che la realizzazione di obiettivi di sanità pubblica non rientra tra i principali compiti del Ministero della difesa, si invita il Ministero della salute a considerare quanto sopra evidenziato, con particolare riguardo alla capacità, non altrimenti presente nel nostro Paese, di rispondere in tempi brevi a quelle esigenze sanitarie che le aziende private non coprono efficacemente a causa delle leggi di mercato.

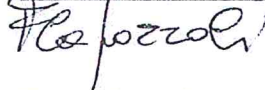
Si ritiene opportuno, pertanto, di individuare, in un quadro di sinergie fra le istituzioni e le strutture pubbliche interessate, le modalità più idonee a garantire il funzionamento della struttura in questione anche in termini di risorse umane e tecnologiche, nonché di un adeguamento del quadro legislativo di riferimento.

A tale scopo, sarebbe auspicabile un incontro tra le parti per approfondire le problematiche brevemente esposte.

Dott. Claudio Frank
Direttore del Reparto Farmaci Orfani
Istituto Superiore di Sanità
claudio.frank@iss.it



Dott. Fiorentino Capozzoli
Ricercatore del Reparto Farmaci
Orfani
Istituto Superiore di Sanità
fiorentino.capozzoli@iss.it



Dr.ssa Paola Torrerì
Ricercatore del Reparto Farmaci
Orfani
Istituto Superiore di Sanità
paola.torreri@iss.it

