



Prada M.^{1,2}, Sansone C^{1,2}. e Mantovani M.^{1,2}

1. Intexo, Roma; 2. Medvance, Milano

L'accesso ai medicinali per le malattie rare in Italia: il ruolo degli "early access" negli ultimi tre anni

Background e obiettivi: Lo studio mira ad analizzare l'impatto dei principali strumenti di *early access* (L648, L326 e programmi di uso compassionevole) sull'accesso ai farmaci orfani (ODs) in Italia in termini di tempistica e disponibilità.

Materiali/metodi: il panel è stato costruito individuando (fonte sito EMA) gli ODs approvati dal CHMP da Gen 2016 a Dic 2018. Le informazioni su L648, L326 e compassionevole sono state raccolte da sito AIFA, Rapporti Osmed e Gazzetta Ufficiale.

Risultati: Da Gen 2016 a Dic 2018, il CHMP di EMA ha raccomandato l'approvazione di 56 ODs, di cui 39 nuovi principi attivi. 26/56 ODs (46%) risultano attualmente in commercio (13/26 (50%) classificati in H, 5/26 (19%) in A, 5/26 (19%) in C e 3/26 (12%) in Cnn). 10/26 (38%) ODs attualmente commercializzati hanno avuto accesso al mercato italiano attraverso un *early access* (compassionevole 5/10 (50%), L648 3/10 (30%) e L326 2/10 (20%)), consentendo ai pazienti con malattia rara di accedere a queste cure mediamente circa un anno prima rispetto al tradizionale iter autorizzativo. Dei 30 farmaci ad oggi non ancora regolarmente commercializzati in Italia, 12/30 (40%) sono disponibili via *early access* (compassionevole 7/12 (58%), L326 3/12 (25%) e L648 2/1 (17%)). Dei 18/56 (32%) ODs non ancora disponibili, 7/18 (39%) risultano ad oggi in negoziazione, 2/18 (11%) sono classificati in C ma non commercializzati (clormetina e nonacog beta pegol), 1/18 (5%) è classificato in H ma non commercializzato (linfociti T allogenici, geneticamente modificati con vettore retrovirale), mentre sui restanti 8/18 (44%) non risultano ad oggi informazioni circa l'accesso (indicazioni: vescica dolorosa, esofagite eosinofila, diabete neonatale, von Willebrand, mucopolisaccaridosi VII, CTCL, policitemia vera e angioedema ereditario). Interessante notare come tutti gli ODs ad oggi rimborsati e commercializzati, che avevano avuto accesso al mercato italiano con un programma di uso compassionevole (5, ovvero venetoclax, daratumumab, dinutuximab beta, avelumab e niraparib) hanno avuto il riconoscimento dello status di farmaco innovativo da AIFA. Secondo i dati più recenti disponibili, l'accesso al Fondo AIFA 5% (L326) nel 2016 ha interessato 20 pazienti (per una spesa di ca 7,4 MIO di Euro) e nel 2017 60 (e ca 12,9 MIO di Euro); i dati 2018 saranno disponibili a breve.

Conclusioni: La nostra analisi ha evidenziato l'impatto positivo dei diversi strumenti di *early access* sulla disponibilità dei farmaci orfani e sulla riduzione dei tempi di accesso alla cura per le persone con malattie rare in Italia.

Bibliografia:

<http://www.agenziafarmaco.gov.it>

<https://www.ema.europa.eu/en>

<http://www.aifa.gov.it/content/rapporti-osmed-luso-dei-farmaci-italia>

<https://www.gazzettaufficiale.it>

<http://pamonitor.it/LoginNew.aspx?ReturnUrl=%2fFarmaList.aspx>