

SENATO DELLA REPUBBLICA

————— XIV LEGISLATURA —————

N. 1147

DISEGNO DI LEGGE

**d’iniziativa dei senatori PEDRINI, DETTORI, ROTONDO,
GAGLIONE, VERALDI, FRAU, GUBETTI, MONTICONE, BEDIN,
GUBERT, PROVERA, MONCADA LO GIUDICE DI MONFORTE
e SALZANO**

COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 14 FEBBRAIO 2002

Disciplina della ricerca e della produzione di «farmaci orfani»

ONOREVOLI SENATORI. - I «farmaci orfani» sono medicinali utili a curare «malattie rare», quelle malattie, cioè, che si manifestano in un numero di pazienti così ridotto da non consentire ai produttori di medicinali di realizzare, con le vendite ricavi, in misura tale da permettere il recupero dei costi sostenuti per la produzione.

La conseguenza di questa situazione è che i «farmaci orfani» soffrono di una ridotta commercializzazione, in quanto le imprese farmaceutiche non possono avere interesse a produzioni i cui ricavi non coprono i costi, se non per una quota insignificante.

In sostanza, i «farmaci orfani» rivestono notevole importanza in campo medico-scientifico, ma il loro scarso interesse economico non consiglia alle imprese farmaceutiche una produzione continuativa. Ancor peggio, l'inesistente remuneratività della loro produzione disincentiva l'attività di ricerca.

Lo scarso interesse economico dei farmaci orfani è accompagnato, inoltre, da una limitata informazione degli «addetti al mestiere». I medici spesso non riconoscono l'appartenenza dei sintomi a determinate patologie rare, con la conseguenza di una mancata diagnosi e relativa prescrizione dei farmaci orfani.

Quindi, se da una parte le vendite del farmaco sono limitate per la ridotta diffusione della patologia, dall'altra la scarsa informazione rallenta ancora di più il mercato di questi medicinali.

Fino allo scorso anno, nè lo Stato italiano, nè l'Unione europea erano intervenuti, con norme specifiche, sui farmaci orfani. Nel 2000, il Regolamento (CE) n. 141/2000, del Parlamento e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, ha individuato puntualmente, i farmaci potenzialmente utili a curare patologie rare,

quando, a base annua, si richiede il loro impiego in 5 casi ogni 10.000 individui, ed ha stabilito le garanzie commerciali e gli incentivi alla ricerca e allo sviluppo.

Si pone ora il problema di colmare la lacuna esistente nella nostra legislazione nazionale.

Al riguardo, l'opinione pubblica è oggi assai più avvertita e sensibile che non nel passato. Si ricordi soltanto l'interesse suscitato, di recente, dal caso dei tre bambini siciliani affetti da una malattia assai inconsueta. Questi bambini sono stati costretti, più volte, ad interrompere la terapia per l'impossibilità a reperire i farmaci.

La volontà di dare maggiore supporto alle famiglie coinvolte nelle malattie rare si è manifestata, in particolare, con l'intesa siglata, nel maggio 2001, fra Farindustria (Associazione nazionale delle industrie farmaceutiche) e UNIAMO (Federazione italiana malattie rare). Le due associazioni si sono dette concordi nel perseguire l'obiettivo di incentivare la ricerca e lo sviluppo di questi farmaci e di sollecitare finanziamenti pubblici. Ma è evidente che tali pur lodevoli intenti sono da soli incapaci di imprimere un effettivo progresso alla ricerca e allo sviluppo dei farmaci orfani.

Occorre tenere presente che i tempi di sviluppo di un nuovo farmaco, dall'individuazione del principio attivo alla sua commercializzazione, richiedono dai 10 ai 14 anni, con un costo medio di oltre 250 milioni di dollari. Ciascun progetto di ricerca e di sviluppo di «farmaci orfani» richiama un investimento di oltre 18 milioni di euro l'anno. Le case farmaceutiche non possono certamente sopportare da sole questi costi.

Nel nostro paese, inoltre mancano istituti di ricerca di carattere pubblico dedicati ai

farmaci orfani. La loro sperimentazione e il loro sviluppo ne risulta fortemente rallentato. D'altro canto, il nostro è il paese dove per la ricerca si spende soltanto l'1,05 per cento del PIL.

Il risultato di questa situazione è che la collaborazione tra le imprese e gli enti preposti alla ricerca farmaceutica non è minimamente incentivata e che manca una rete nazionale di informazione scientifica sulle patologie definite rare con conseguenti difficoltà dei medici nel formulare le diagnosi.

A livello internazionale, la normativa in materia di farmaci orfani adottata, nel 1983, dagli Stati Uniti d'America, *Orphan Drug, Act*, ha rappresentato un punto di riferimento preciso per le successive legislazioni degli altri paesi. Tale normativa si pone l'obiettivo di incentivare la ricerca e lo sviluppo di «farmaci orfani», consentendo, in tal modo alle imprese farmaceutiche la loro produzione e la loro commercializzazione, secondo un parametro di costi e ricavi corretto dal punto di vista imprenditoriale. A tali fini, la legge nord-americana prevede sussidi diretti alla ricerca e finanziamenti indiretti, come crediti d'imposta pari al 50 per cento delle spese sostenute, per la ricerca.

Dal 1984 ad oggi, la *Orphan Drug, Act* ha permesso il riconoscimento di 1.044 farmaci orfani. 209 di questi hanno ottenuto l'autorizzazione per l'immissione in commercio (AIC). Nei paesi dell'Unione europea, a tutt'oggi sono stati riconosciuti soltanto 43 «farmaci orfani».

La normativa statunitense rappresenta, pertanto, un modello da adottare anche in Italia, per dare vita ad un'efficace politica di incentivazione della ricerca, dello sviluppo e della commercializzazione dei «farmaci orfani».

A tali fini appare indispensabile, innanzi tutto, stabilire una maggiore responsabilizzazione del Ministero della salute. I farmaci orfani, infatti, non possono non essere considerati che alla stregua di uno dei problemi della salute pubblica. A ciascun cittadino, la Costituzione della Repubblica, all'articolo

32, riconosce il *diritto ad essere curato*, quale che sia l'affezione di cui soffre. Per rendere effettivo tale diritto, più volte, in passato, si è ipotizzato l'utilizzo di strutture già esistenti o si è pensato di creare nuove strutture pubbliche, indirizzate e finalizzate alla ricerca e allo sviluppo di questi farmaci. Recentemente, ad esempio, la Commissione difesa della Camera dei deputati ha proposto l'attivazione dello stabilimento chimico militare di Firenze per la produzione dei «farmaci orfani».

Ma l'esigenza che, prioritariamente, si impone è quella di dar vita ad un centro di ricerca di «farmaci orfani» a carattere pubblico, ma anche in collaborazione con le imprese farmaceutiche e sotto il coordinamento del Ministero della salute.

In Italia operano diversi istituti di ricerca di fama internazionale, come quelli, per esempio di Genova, città che ha sviluppato una forte vocazione nelle strutture sanitarie di eccellenza.

In secondo luogo, appare indispensabile promuovere l'attività di ricerca, sviluppo e commercializzazione dei «farmaci orfani» nella forma di finanziamenti diretti e indiretti e attraverso agevolazioni fiscali.

Infine, appare indispensabile attivare la Commissione europea e il Parlamento europeo per incentivare iniziative di cooperazione internazionale, in particolare fra le istituzioni comunitarie e le organizzazioni mondiali operanti in campo scientifico, in particolare la *World Health Organization* (Organizzazione Mondiale della Sanità).

A tali fini, il disegno di legge che sotto poniamo al vostro esame consta di 2 articoli.

Con il comma 1 dell'articolo 1, si impegna il Ministero della salute, in base al citato Regolamento (CE) n. 141/2000, a predisporre un programma nazionale sui «farmaci orfani».

Con il comma 2 dell'articolo 1, si fissano i criteri degli incentivi da prevedere nel programma nazionale sui «farmaci orfani».

Con il comma 3 dell'articolo 1, si impegna il Ministero della salute ad individuare un istituto di ricerca pubblico, al quale intestare la ricerca sui farmaci orfani.

L'articolo 2, commi 1 e 2, stanziava la somma di 18 milioni di euro per ciascuno degli anni 2002, 2003, 2004 e ne prevede la copertura a carico del bilancio dello Stato.

DISEGNO DI LEGGE

Art. 1.

1. Per la cura delle cosiddette «malattie rare», il Ministero della salute, entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, predispone un programma nazionale per promuovere e agevolare la ricerca, la produzione e la commercializzazione dei cosiddetti «farmaci orfani». Nella predisposizione di tale programma, il Ministero applica le disposizioni e le misure previste dal Regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999.

2. Nella predisposizione del programma di cui al comma 1, il Ministero della salute, di concerto con il Ministero dell'economia e delle finanze, tiene conto dei seguenti obiettivi:

a) concessione di incentivi contributivi o di agevolazioni fiscali a favore di aziende farmaceutiche o istituti di ricerca privati che si impegnano a realizzare programmi di ricerca relativa ai «farmaci orfani»;

b) concessione di incentivi contributivi a favore di ricercatori e istituti universitari che partecipano ai progetti finalizzati in materia di «farmaci orfani»;

c) concessione di agevolazioni fiscali ad aziende operanti nel campo della ricerca, sviluppo e commercializzazione di «farmaci orfani».

3. Il Ministero della salute provvede, altresì, ad affidare ad un istituto pubblico di rilevanza nazionale compiti di orientamento e coordinamento scientifico nel campo della ricerca, produzione e commercializzazione dei «farmaci orfani».

4. L'istituto di cui al comma 3 sviluppa e produce i «farmaci orfani» ottenuti con la ricerca mediante la concessione di:

a) licenze gratuite per la commercializzazione dei «farmaci orfani» a favore di aziende farmaceutiche che partecipino a realizzare programmi di ricerca presso l'istituto;

b) brevetti la cui titolarità è condivisa fra le aziende che hanno partecipato e partecipano ai programmi di ricerca di «farmaci orfani» presso l'istituto di cui al comma 3.

Art. 2.

1. All'onere derivante dalla realizzazione del programma di cui all'articolo 1, comma 1, pari a 18 milioni di euro per ciascuno degli anni 2002, 2003 e 2004 si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento iscritto, ai fini del bilancio triennale 2002-2004, nell'ambito dell'unità previsionale di base di parte corrente «Fondo speciale» dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2002, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al Ministero della salute.

