



DISEGNO DI LEGGE

d'iniziativa del senatore ASTORE

COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 5 GIUGNO 2008

Disciplina della ricerca e della produzione di «farmaci orfani»

ONOREVOLI SENATORI. - Il presente disegno di legge è stato presentato dall'onorevole Egidio Pedrini sia nella XIV legislatura al Senato (atto Senato n. 1147) sia nella XV legislatura alla Camera (atto Camera n. 295) e si è ritenuto opportuno ripresentarlo considerata l'importanza dell'argomento. 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. Ancora 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 all'anno 2001, né lo Stato italiano, né 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 come «farmaci orfani» quei farmaci potenzialmente utili a curare patologie rare, quando, a base annua, si richiede il loro impiego in cinque casi ogni 10.000 individui, e ha stabilito le garanzie e gli incentivi alla ricerca e allo sviluppo.

A livello di normativa nazionale, oltre a disposizioni in prevalenza del Ministero della salute, non si sono avuti interventi risolutivi, tranne il disposto dell'articolo 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, che attribuisce all'Agenzia italiana del farmaco il compito di valutare il rapporto costo-benefici anche per i «farmaci orfani» e destina quote del fondo istituito presso la medesima Agenzia alla costituzione di un apposito fondo per l'impiego di tali farmaci e per la ricerca su di essi. Ma tali norme sono rimaste, ancora in parte, inattuata e comunque si ritiene ormai indispensabile approvare una legge specifica in materia, colmando 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 all'epoca (anno 2001) e ancora vivo nel ricordo di molti, dal caso dei tre bambini siciliani affetti da una malattia assai inconsueta. Questi bambini erano stati costretti, più volte, a interrompere la terapia per l'impossibilità di reperire i farmaci.

La volontà di dare maggiore supporto alle famiglie coinvolte nelle malattie rare si era

manifestata, in particolare, con l'intesa siglata, nel maggio 2001, fra Farindustria (Associazione nazionale delle industrie farmaceutiche) e UNIAMO FIRM (Federazione italiana malattie rare). Le due associazioni si erano 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 dieci ai quattordici 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 risultano fortemente rallentati. D'altro canto, il nostro è il Paese dove per la ricerca si spende soltanto poco più dell'1 per cento del prodotto interno lordo.

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 tale modo alle imprese farmaceutiche la loro produzione e la loro commercializza-

zione, secondo un parametro di costi e di 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 all'inizio del 2002, 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 poco più di 40 «farmaci orfani».

La normativa statunitense rappresenta, pertanto, un modello da adottare anche in Italia, per dare vita a 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 del lavoro, della salute e delle politiche sociali. 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. Nel 2001, ad esempio, la Commissione difesa della Camera dei deputati aveva 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 dare 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 del lavoro, della salute e delle politiche sociali.

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 sottoposto al vostro esame consta di due articoli.

Con il comma 1 dell'articolo 1 si impegna il Ministero del lavoro, della salute e delle politiche sociali, di intesa con l'Agenzia italiana del farmaco, 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 del lavoro, della salute e delle politiche sociali a individuare un istituto di ricerca pubblico al quale affidare la ricerca sui «farmaci orfani».

L'articolo 2 stanziava la somma di 18 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010 e ne prevede la copertura a carico del bilancio dello Stato.

DISEGNO DI LEGGE

Art. 1.

1. Per la cura delle «malattie rare», il Ministero del lavoro, della salute e delle politiche sociali, di intesa con l'Agenzia italiana del farmaco, entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, predisporre un programma nazionale per promuovere e agevolare la ricerca, la produzione e la commercializzazione dei «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 del lavoro, della salute e delle politiche sociali, di concerto con il Ministero dell'economia e delle finanze e di intesa con l'Agenzia italiana del farmaco, tenuto altresì conto delle risorse del fondo destinate ai «farmaci orfani» di cui all'articolo 48, comma 19, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, tiene conto dei seguenti obiettivi:

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

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

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

3. Il Ministero del lavoro, della salute e delle politiche sociali provvede, altresì, ad affidare a un istituto di ricerca pubblico di rilevanza nazionale compiti di orientamento e di coordinamento scientifici nei campi della ricerca, della 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 partecipano alla realizzazione di programmi di ricerca sui medesimi farmaci presso l'istituto;

b) brevetti la cui titolarità è condivisa fra le aziende che hanno partecipato e partecipano ai programmi di ricerca sui «farmaci orfani» di cui alla lettera *a*).

Art. 2.

1. Per la realizzazione degli interventi inclusi nel programma di cui all'articolo 1 è autorizzata la spesa di 18 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010.

2. All'onere derivante dall'attuazione della presente legge, pari a 18 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010, si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento iscritto, ai fini del bilancio triennale 2008-2010, nell'ambito del fondo speciale di parte corrente dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2008, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al Ministero della salute.

3. Il Ministro dell'economia e delle finanze è autorizzato ad apportare, con propri decreti, le occorrenti variazioni di bilancio.

