



Malattie rare, accesso ai farmaci: Esplorare evidenzia 3 asset principali

Descrizione

(Adnkronos) Si rafforza il percorso di Esplorare, iniziativa avviata nel 2022 da Cencora Italy e Ispor Italy Rome Chapter per analizzare e migliorare i meccanismi di accesso ai farmaci per le malattie rare in Italia. L'iniziativa, diventata un punto di riferimento nel dibattito nazionale sulle politiche del farmaco in ambito malattie rare, nell'edizione 4.0 si concentra su 3 principali asset. Nel tempo, Esplorare si è evoluto progressivamente spiega Fulvio Luccini, Senior Director Market Access Cencora e membro del Direttivo di Esplorare ampliando il proprio perimetro di analisi, approfondendo dimensioni cliniche, economiche e organizzative attraverso un approccio strutturato e soprattutto capace di integrare dati, metodologie e proposte operative a supporto dei processi decisionali.

La nuova edizione informa una nota si inserisce in un contesto normativo segnato dall'evoluzione dei framework valutativi europei e nazionali, dall'attuazione della Legge 175/2021 e del Piano nazionale malattie rare 2023-2026 e dai recenti aggiornamenti dei criteri di innovatività. Quest'anno il progetto si articola in tre ambiti di lavoro principali, strettamente interconnessi. Il primo ha analizzato gli studi clinici pivotali a supporto dei farmaci per malattie rare, evidenziando come, pur in presenza di disegni adattati ai vincoli strutturali della rarità, la metodologia adottata risulti nella maggior parte dei casi sostanzialmente corretta. Emergono inoltre approcci alternativi alla randomizzazione classica, come l'utilizzo di controlli esterni, che rappresentano strumenti utili per ridurre l'incertezza decisionale nei contesti a bassa prevalenza. Alle persone con malattia rara va garantito un sostegno concreto per accedere alle migliori cure disponibili, come previsto dal nostro ordinamento sottolinea Annalisa Scopinaro, presidente Uniamo-Federazione italiana malattie rare. Iniziative come Esplorare puntano a rendere più trasparenti i complessi meccanismi di accesso alle terapie e a promuovere il coinvolgimento precoce dei pazienti nella ricerca, per identificare con precisione i bisogni clinici e assistenziali. È altresì necessario valutare in che misura l'introduzione di nuove opzioni terapeutiche possa contribuire a ridurre o azzerare i costi indiretti, generando benefici tangibili sia per le famiglie sia per il sistema.

Le valutazioni costo-efficacia sono state invece il topic del secondo tavolo di lavoro. Dall'analisi emerge una marcata variabilità dei rapporti incrementali di costo-efficacia (Icer), che risultano di frequente ampiamente al di sopra delle soglie di disponibilità a pagare. I risultati evidenziano la

necessità di modelli valutativi più flessibili, capaci di considerare le specificità delle malattie rare, come la gravità, l'unmet need e il valore sociale delle terapie. Come ultimo focus sono state proseguite la nota sono stati analizzati i processi regionali legati ai centri prescrittori, dai quali sono emerse differenze territoriali che possono influenzare i tempi e l'equità di accesso. L'analisi sottolinea il ruolo strategico di strumenti come Horizon Scanning per anticipare i bisogni organizzativi e la necessità di rafforzare il coordinamento tra livello centrale e regionale.

L'innovazione terapeutica, in particolare nell'ambito delle malattie rare, rappresenta una leva strategica per trasformare il nostro sistema sanitario e dare risposta ai bisogni ancora insoddisfatti di molti pazienti, anche nella nostra regione», commenta Emanuele Monti, presidente IX Commissione permanente Sostenibilità sociale, casa e famiglia del Consiglio Regionale Lombardia e Executive Board member Agenzia italiana del farmaco (Aifa). «La sfida oggi continua a garantire un accesso sempre più precoce ed equo alle nuove cure, valorizzando strumenti fondamentali come Health Technology Assessment e il Fondo per i farmaci innovativi. In questo scenario, Regione Lombardia intende confermarsi come apripista, promuovendo investimenti, collaborazione e modelli organizzativi innovativi. Progetti come Explorare 4.0 possono offrire alcuni importanti strumenti di valutazione che aiutano a migliorare la governance e contribuire a dimostrare il reale valore dell'innovazione per i pazienti affetti da malattie rare».

Nel corso delle sue 4 edizioni, questo progetto ha compiuto un percorso di crescita significativo, evolvendo da momento di analisi e confronto a piattaforma strutturata di produzione di evidenze e raccomandazioni operative», osserva Pier Luigi Canonico, professore emerito di Farmacologia presso l'Università del Piemonte Orientale Amedeo Avogadro, dipartimento di Scienze del Farmaco, Past President di Ispor Italy-Rome Chapter e membro del Direttivo di Explorare. «Oggi aggiunge Explorare rappresenta un punto di riferimento nel panorama nazionale per l'approfondimento dei temi legati all'accesso ai farmaci per le malattie rare, grazie alla capacità di integrare prospettive cliniche, economiche e organizzative. Questo percorso precisa dimostra quanto sia fondamentale un approccio multidisciplinare e collaborativo per affrontare la complessità delle decisioni in ambito sanitario e contribuire in modo concreto al miglioramento dell'equità di accesso alle cure e della sostenibilità del sistema».

Il progetto conclude la nota realizzata con il supporto non condizionante di Amgen, Csl, Ipsen., Sobi, Alexion, AstraZeneca Rare Disease, Alnylam, Astellas, Blueprint Medicines e Neuraxpharm. Il Report Explorare 4.0 è disponibile su explorare-rare.it/.

»

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Giugno 30, 2026

Autore

redazione

default watermark