

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

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Si rafforza il percorso di Explorare, iniziativa avviata nel 2022 da Cencora Italy e Ispor Italy â?? Rome Chapter per analizzare e migliorare i meccanismi di accesso ai farmaci per le malattie rare in Italia. Lâ??iniziativa, diventata un punto di riferimento nel dibattito nazionale sulle politiche del farmaco in ambito malattie rare, nellâ??edizione 4.0 si Ã¨ concentrata su 3 principali assset. â??Nel tempo, Explorare si Ã¨ evoluto progressivamente â?? spiega Fulvio Luccini, Senior Director Market Access Cencora e membro del Direttivo di Explorare â?? ampliando il proprio perimetro di analisi, approfondendo dimensioni cliniche, economiche e organizzative attraverso un approccio piÃ¹ strutturato e soprattutto capace di integrare dati, metodologie e proposte operative a supporto dei processi decisionaliâ?•.

La nuova edizione â?? informa una nota â?? si inserisce in un contesto normativo segnato dallâ??evoluzione dei framework valutativi europei e nazionali, dallâ??attuazione della Legge 175/2021 e del Piano nazionale malattie rare 2023â??2026 e dai piÃ¹ recenti aggiornamenti dei criteri di innovativitÃ . Questâ??anno il progetto si Ã¨ articolato 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 raritÃ , la metodologia adottata risulti nella maggior parte dei casi sostanzialmente corretta. Emergono inoltre approcci alternativi alla randomizzazione classica, come lâ??utilizzo di controlli esterni, che rappresentano strumenti utili per ridurre lâ??incertezza decisionale nei contesti a bassa prevalenza. â??Alle persone con malattia rara va garantito un sostegno concreto per accedere alle migliori cure disponibili, come previsto dal nostro ordinamento â?? sottolinea Annalisa Scopinaro, presidente Uniamo-Federazione italiana malattie rare â?? Iniziative come Explorare puntano a rendere piÃ¹ 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. Ã? altresÃ¬ necessario valutare in che misura lâ??introduzione di nuove opzioni terapeutiche possa contribuire a ridurre o azzerare i costi indiretti, generando benefici tangibili sia per le famiglie sia per il sistemaâ?•.

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

necessitÃ di modelli valutativi piÃ¹ flessibili, capaci di considerare le specificitÃ delle malattie rare, come la gravitÃ , lâ??unmet need e il valore sociale delle terapie. Come ultimo focus â?? prosegue la nota â?? sono stati analizzati i processi regionali legati ai centri prescrittori, dai quali sono emerse differenze territoriali che possono influenzare i tempi e lâ??equitÃ di accesso. Lâ??analisi sottolinea il ruolo strategico di strumenti come lâ??Horizon Scanning per anticipare i bisogni organizzativi e la necessitÃ di rafforzare il coordinamento tra livello centrale e regionale.

â??Lâ??innovazione terapeutica, in particolare nellâ??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 regioneâ?•, commenta Emanuele Monti, presidente IX Commissione permanente â?? SostenibilitÃ sociale, casa e famiglia del Consiglio Regionale Lombardia e Executive Board member Agenzia italiana del farmaco (Aifa). â??La sfida oggi â?? continua â?? Ã¨ garantire un accesso sempre piÃ¹ precoce ed equo alle nuove cure, valorizzando strumenti fondamentali come lâ??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 dellâ??innovazione per i pazienti affetti da malattie rareâ?•.

default watermark

Nel corso delle sue 4 edizioni, â??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 operativeâ?•, osserva Pier Luigi Canonico, professore emerito di Farmacologia presso lâ??UniversitÃ del Piemonte Orientale â??Amedeo Avogadroâ??, dipartimento di Scienze del Farmaco, Past President di Ispor Italy-Rome Chapter e membro del Direttivo di Explorare. â??Oggi â?? aggiunge â?? Explorare rappresenta un punto di riferimento nel panorama nazionale per lâ??approfondimento dei temi legati allâ??accesso ai farmaci per le malattie rare, grazie alla capacitÃ di integrare prospettive cliniche, economiche e organizzative. Questo percorso â?? precisa â?? dimostra quanto sia fondamentale un approccio multidisciplinare e collaborativo per affrontare la complessitÃ delle decisioni in ambito sanitario e contribuire in modo concreto al miglioramento dellâ??equitÃ di accesso alle cure e della sostenibilitÃ del sistemaâ?•.

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

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Giugno 30, 2026
Autore
redazione

default watermark