

## Assistenza farmaceutica territoriale

Negli ultimi decenni sia a livello europeo sia a livello globale si è verificata un'espansione dei consumi farmaceutici e della relativa spesa, dovuta in parte all'aumento delle terapie disponibili ed all'introduzione di farmaci innovativi più costosi, ed in parte al generale invecchiamento della popolazione. I sistemi sanitari sono, pertanto, impegnati ad assicurare la sostenibilità del sistema farmaceutico pubblico.

Il farmaco costituisce, infatti, uno strumento terapeutico utile per curare malattie, alleviare sintomi e prevenire e rallentare l'insorgenza di alcune condizioni morbose, contribuendo ad aumentare e migliorare le aspettative di vita. Tuttavia un uso eccessivo e non appropriato può essere anche causa di rischi per la salute e dell'insorgenza di malattie. Un uso inappropriato dei farmaci può costituire, inoltre, un dispendio inutile di risorse.

In Italia, il Sistema Sanitario Nazionale (SSN), attraverso l'assistenza farmaceutica territoriale, garantisce a tutti i cittadini una copertura gratuita (in alcune regioni con pagamento di ticket) per l'erogazione di farmaci per le più importanti condizioni patologiche. Nel panorama europeo il sistema farmaceutico italiano assicura una copertura gratuita molto elevata. Infatti il SSN copre il 96% della spesa per i farmaci rimborsabili, quota inferiore solo all'Olanda (99%) e superiore a quella di numerosi altri Stati Membri UE, quali Regno Unito (94%), Germania (93%) Spagna (92%), Francia (75%) e di tutti i paesi scandinavi.

L'assistenza farmaceutica italiana presenta tuttavia anche alcuni punti di debolezza e criticità, costituiti sopra tutto dall'ampia variabilità di utilizzo e consumo tra le regioni italiane.

In questo capitolo vengono descritti i consumi e la spesa farmaceutica per regione (con disaggregazione per ASL) e, successivamente, l'utilizzo delle opzioni previste dalla legge 405/2001 per il rispetto del tetto per la spesa farmaceutica territoriale fissato al 13% della spesa sanitaria complessiva. I dati presentati sono ottenuti da uno specifico sistema informativo che effettua un monitoraggio costante dei dati di dispensazione delle farmacie, producendo informazioni aggiornate su utilizzo e spesa dei farmaci con possibilità di disaggregare i dati dalle varie classi terapeutiche alle singole confezioni e, geograficamente, dal livello nazionale a quello regionale fino alla singola ASL. Il sistema di monitoraggio, attivo dall'anno 2000, pone l'Italia tra i più avanzati Paesi Europei, capaci di monitorare in maniera analitica e in tempo reale l'andamento dei consumi e della spesa farmaceutica.

Nel capitolo sono presentati anche indicatori relativi all'uso di farmaci, che a parità di efficacia e sicurezza, presentano il miglior profilo di costo (farmaci a brevetto scaduto o equivalenti) e l'introduzione di forme di compartecipazione alla spesa da parte dei cittadini.

## Consumo territoriale di farmaci a carico del Servizio Sanitario Nazionale

**Significato.** In accordo con le raccomandazioni dell'Organizzazione Mondiale della Sanità, i consumi di farmaci vengono misurati secondo valori di riferimento standard, indicati come Dosi Definite Giornaliere (DDD), che rappresentano "la dose media giornaliera, di mantenimento per un farmaco, nella sua indicazione principale in pazienti adulti" (1).

Il consumo in DDD è generalmente espresso come "DDD/1000 abitanti die" e cioè come numero medio di dosi di farmaco consumate giornalmente ogni 1.000 abitanti.

### Consumo farmaceutico territoriale a carico del SSN

$$\frac{\text{Numeratore} \quad \text{Consumo di farmaci in Dosi Definite Giornaliere}}{\text{Denominatore} \quad \text{Popolazione (pesata per età) x 365}} \times 1.000$$

**Validità e limiti.** Il consumo territoriale di farmaci si riferisce all'assistenza farmaceutica convenzionata con esclusione, quindi, dei consumi ospedalieri e della distribuzione diretta, cioè la distribuzione di farmaci da parte di strutture sanitarie pubbliche alternative a quelle convenzionali.

La variabilità dei consumi è strettamente dipendente dalle caratteristiche delle popolazioni a confronto (età, sesso, epidemiologia degli stati morbosi). Al fine di minimizzare le differenze dipendenti da tali fattori e rendere maggiormente confrontabili i dati regionali, i consumi vengono pesati utilizzando il sistema di pesi predisposto dal Ministero della Salute costituito da 7 fasce di età con una ulteriore suddivisione fra uomini e donne per la classe di età 15-44 anni. Dettagli sulla necessità di pesare i dati di consumo e sui metodi di pesatura sono disponibili nei riferimenti bibliografici 2, 3.

**Valore di riferimento/Benchmark.** In considerazione della particolare natura dell'indicatore non è possibile suggerire un valore di riferimento definito. Valori di riferimento più bassi potrebbero indicare una razionalizzazione dei consumi, ma potrebbero anche essere indice di forme di razionamento.

### Descrizione dei risultati

In Italia nel 2006 il consumo totale di farmaci rimborsati dal SSN è stato di 857 DDD ogni 1.000 abitanti al

L'indicatore consente di:

- sommare e confrontare i consumi di tutti i farmaci, indipendentemente dalla classe e categoria farmaceutica, in quanto depura le differenze legate alle confezioni ed alla posologia;
- valutare il consumo di farmaci in una specifica area geografica (nazione, regione, ASL);
- realizzare confronti fra realtà territoriali diverse, nazionali ed internazionali;
- condurre confronti nel tempo.

giorno, con un aumento del 6,2% rispetto al 2005 e del 27,2% rispetto al 2001.

Similmente agli anni precedenti, il Lazio e le regioni meridionali, in particolare Sicilia, Calabria e Campania, confermano consumi maggiori rispetto alla media nazionale. Anche nel 2006 i consumi farmaceutici più elevati si registrano nel Lazio. Le Province Autonome di Trento e Bolzano mostrano i consumi più bassi, seguite da Piemonte e Lombardia. Le regioni con il maggior incremento di consumi nel periodo 2001-2006 sono il Lazio (40,3%), il Molise (35,4%) e la Basilicata (33,5%), mentre Lombardia (20,8%), Piemonte (22,3%) e Liguria (23,2%) hanno presentato l'incremento di minore entità.

Tra il 2005 ed il 2006 il Molise ha avuto un incremento nei consumi del 15,5%, quasi tre volte più grande dell'incremento medio nazionale (6,2%) e nettamente superiore a quello di tutte le altre regioni, ad eccezione della Provincia Autonoma di Trento che, pur mostrando consumi inferiori rispetto alla media nazionale, presenta un aumento dei consumi dell'11%, quasi doppio rispetto all'incremento nazionale.

I consumi in DDD pro capite per ASL confermano in parte la variabilità regionale: le prime sei ASL a maggior valore di consumo sono infatti quelle del Lazio, mentre quelle a minor consumo sono localizzate nelle Province Autonome di Bolzano e Trento, in Toscana e in Piemonte.

**Tabella 1** - Consumo farmaceutico territoriale (DDD/1.000 ab die) pesato per età a carico del SSN per regione - Anni 2001-2006

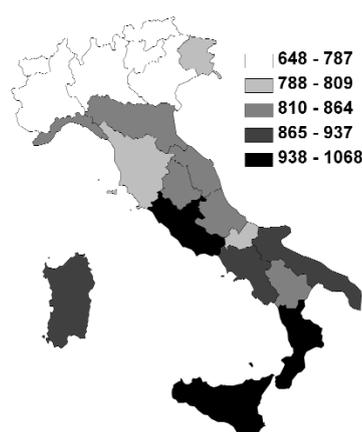
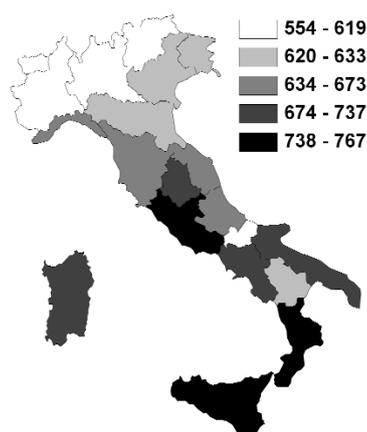
Regioni	2001	2002	2003	2004	2005	2006	Δ% 2001-2006	Δ% 2005-2006
Piemonte	611	629	639	686	705	747	22,3	6,0
Valle d'Aosta	615	654	695	761	758	786	27,8	3,7
Lombardia	619	668	652	708	723	748	20,8	3,5
Bolzano-Bozen*	554	590	614	659	675	648	N.A.	-4,0
Trento*	554	590	614	659	638	709	N.A.	11,1
Veneto	632	676	679	736	750	787	24,5	4,9
Friuli-Venezia Giulia	622	667	684	741	755	801	28,8	6,1
Liguria	672	680	701	763	791	828	23,2	4,7
Emilia-Romagna	633	692	724	778	791	828	30,8	4,7
Toscana	647	688	698	753	768	809	25,0	5,3
Umbria	684	721	736	786	810	864	26,3	6,7
Marche	649	702	694	746	776	811	25,0	4,5
Lazio	761	791	852	947	979	1.068	40,3	9,1
Abruzzo	673	715	726	767	786	860	27,8	9,4
Molise	596	652	667	723	699	807	35,4	15,5
Campania	737	771	792	866	889	937	27,1	5,4
Puglia	704	691	706	779	826	907	28,8	9,8
Basilicata	632	688	705	769	778	844	33,5	8,5
Calabria	749	742	746	793	876	951	27,0	8,6
Sicilia	767	799	782	883	913	992	29,3	8,7
Sardegna	705	701	778	824	850	887	25,8	4,4
<b>Italia</b>	<b>674</b>	<b>707</b>	<b>720</b>	<b>783</b>	<b>807</b>	<b>857</b>	<b>27,2</b>	<b>6,2</b>

\*I dati relativi alle Province Autonome di Bolzano e Trento non sono disponibili per il periodo 2001-2004, il dato riportato in tabella per tali anni va, quindi, inteso come dato aggregato della regione Trentino-Alto Adige.  
N.A. = non applicabile.

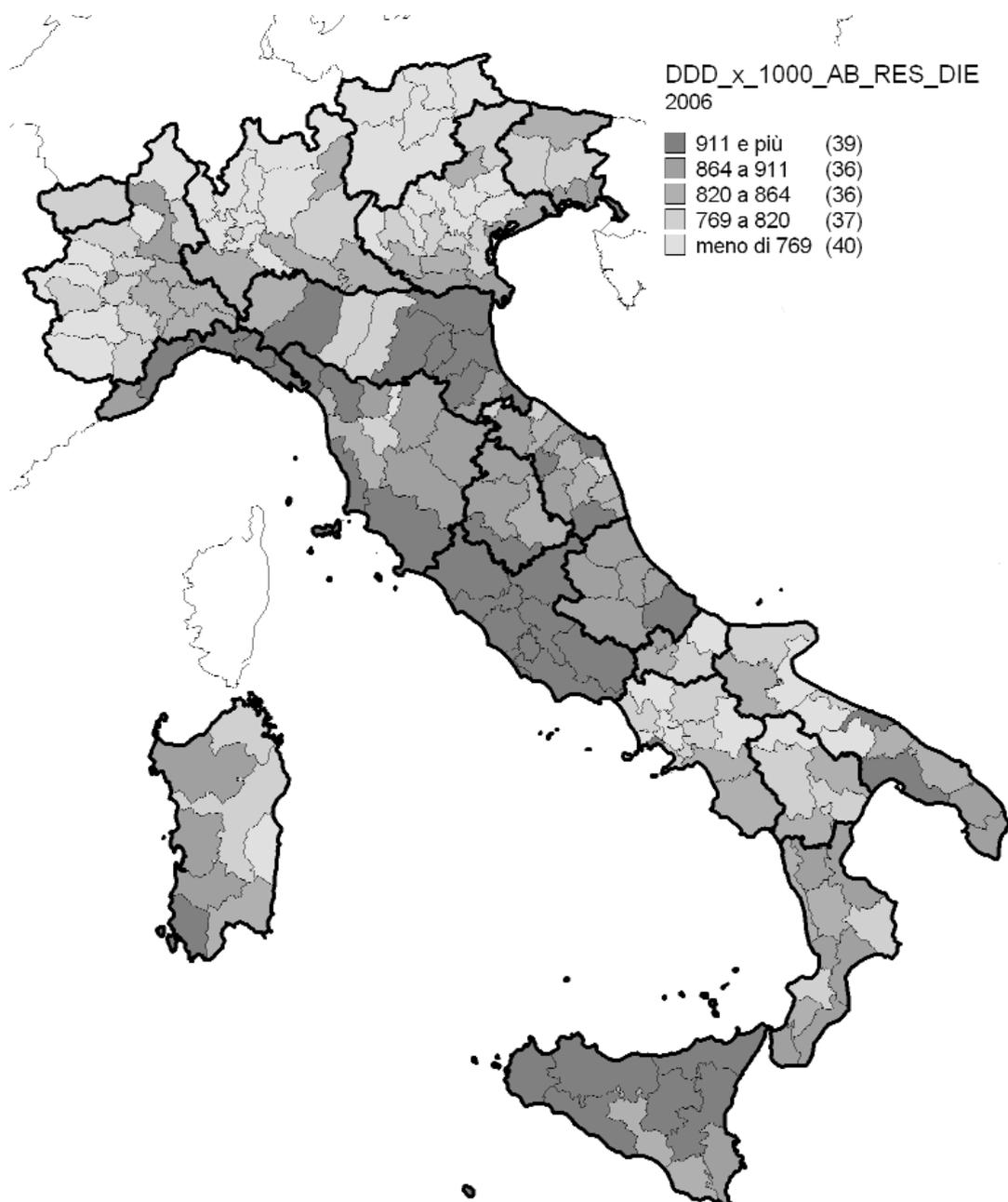
**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto Nazionale. Anni 2001-2006.

**Consumo farmaceutico territoriale (DDD/1.000 ab die) pesato per età a carico del SSN per regione. Anno 2001**

**Consumo farmaceutico territoriale (DDD/1.000 ab die) pesato per età a carico del SSN per regione. Anno 2006**



## Consumo territoriale di farmaci a carico del SSN per ASL. Anno 2006



Fonte dei dati: AIFA. Progetto Sfera.

### Raccomandazioni di Osservasalute

In Italia esiste ancora una notevole variabilità geografica nel consumo di farmaci, anche dopo aggiustamento dei consumi per età.

Le regioni con consumi più elevati dovrebbero attentamente monitorare l'utilizzo di farmaci nel proprio territorio. È, inoltre, necessario sviluppare strumenti di valutazione e di indagine per valutare i consumi in termini di appropriatezza e di impatto sulla salute pubblica.

### Riferimenti bibliografici

- (1) Guidelines for ATC classification and DDD assignment. WHO Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology. Oslo 2004.
- (2) I consumi dei farmaci: dati grezzi e pesati. In Osservatorio nazionale sull'impiego dei medicinali. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto nazionale anno 2006.
- (3) L'assistenza farmaceutica territoriale. Rapporto Osservasalute 2003. Casa editrice Vita e Pensiero. Milano 2003.

## Spesa farmaceutica territoriale lorda pro capite a carico del Servizio Sanitario Nazionale

**Significato.** La spesa farmaceutica lorda pro capite comprende la spesa per i farmaci distribuiti dalle far-

macie pubbliche o private a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

### Spesa farmaceutica lorda pro capite

Numeratore	Spesa farmaceutica SSN
Denominatore	Popolazione regionale pesata per età

**Validità e limiti.** I dati presentati non includono la spesa farmaceutica derivante dalla cosiddetta “distribuzione diretta”, cioè la distribuzione di farmaci da parte di strutture sanitarie pubbliche alternative a quelle convenzionali (erogazione del primo ciclo di terapia in occasione della dimissione ospedaliera o di visita ambulatoriale oppure direttamente da parte delle farmacie ospedaliere).

L'indicatore permette di effettuare un confronto corretto dei dati di spesa delle diverse regioni in quanto tiene conto del peso della popolazione sul territorio. Per i motivi illustrati nella sezione “Consumo totale di farmaci a carico del SSN” la spesa viene pesata in rapporto alla distribuzione della popolazione per fasce di età (1, 2).

**Valore di riferimento/Benchmark.** In considerazione della particolare natura dell'indicatore non è possibile indicare un valore di riferimento definito. Valori di riferimento più bassi potrebbero indicare una razionalizzazione dei consumi, ma potrebbero anche essere indice di una qualche forma di razionamento.

### Descrizione dei risultati

La spesa farmaceutica territoriale pro capite SSN nel 2006 è stata di 228,80 € con un aumento del 9,0% rispetto al 2001 ed una riduzione del 1,2% rispetto al 2005.

Il Lazio e le regioni meridionali, in particolare Sicilia, Calabria, Puglia e Campania, tendono ad avere una spesa pro capite nettamente superiore al valore medio nazionale. Sicilia e Lazio sono state le regioni con la spesa più elevata. Le Province Autonome di Bolzano

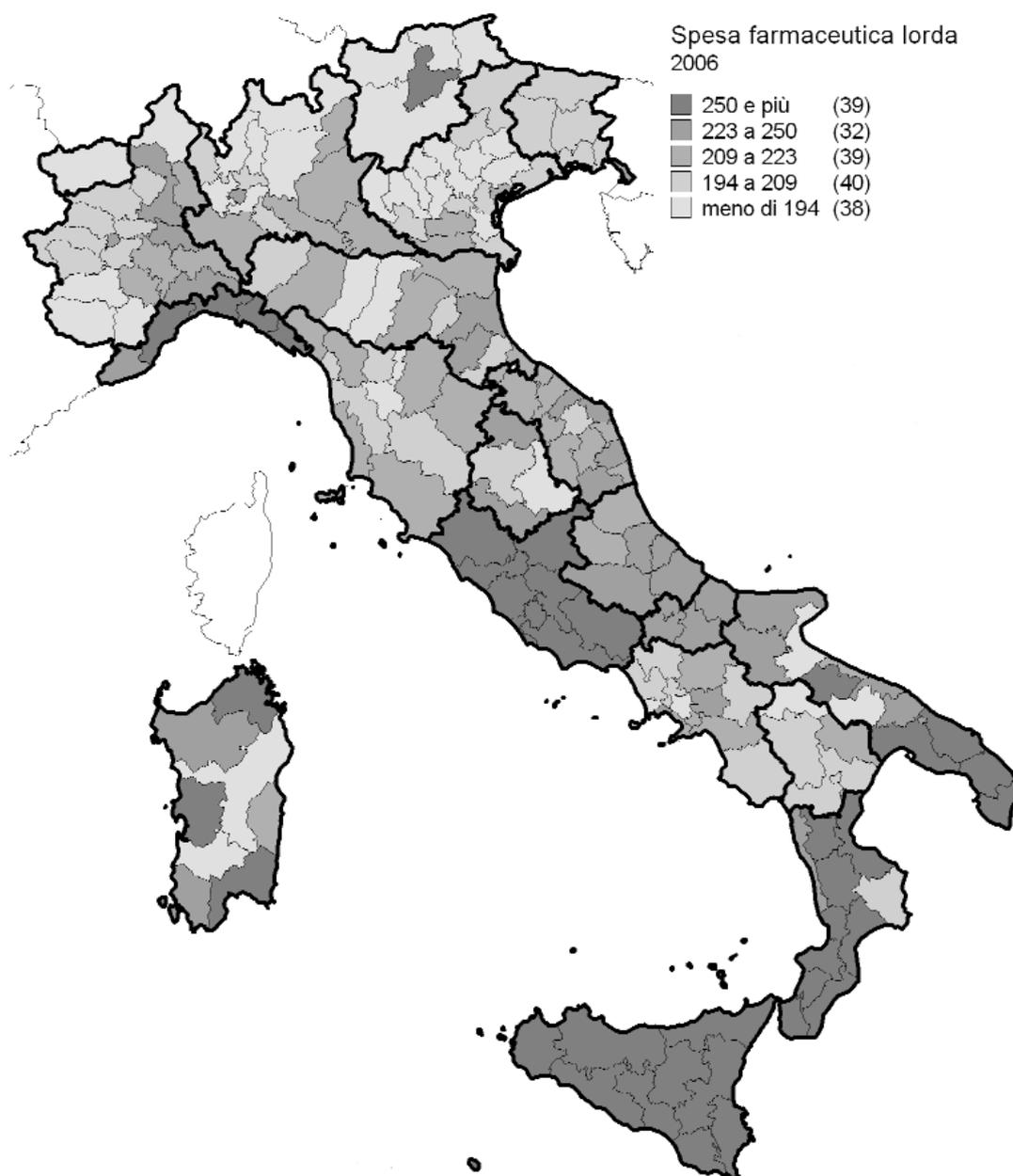
**Tabella 1 - Spesa farmaceutica territoriale lorda pro capite (in milioni di €) pesata per età a carico del SSN - Anni 2001-2006**

Regioni	2001	2002	2003	2004	2005	2006	Δ% 2001-2006	Δ% 2005-2006
Piemonte	183,20	187,50	183,00	195,60	195,90	195,90	6,9	0,0
Valle d'Aosta	176,50	186,20	181,20	200,70	188,60	185,70	5,2	-1,5
Lombardia	187,10	202,20	196,80	213,50	207,30	203,40	8,7	-1,9
Bolzano-Bozen*	160,40	172,30	171,80	185,80	183,30	160,10	N.A.	-12,7
Trento*	160,40	172,30	171,80	185,80	168,80	172,30	N.A.	2,1
Veneto	179,30	188,40	182,00	200,00	194,50	191,60	6,9	-1,5
Friuli-Venezia Giulia	170,20	181,50	179,50	196,50	191,60	195,20	14,7	1,9
Liguria	213,40	220,70	228,40	246,90	225,00	220,30	3,2	-2,1
Emilia-Romagna	176,00	187,70	186,30	198,10	192,20	187,60	6,6	-2,4
Toscana	181,60	184,10	175,60	189,50	186,20	182,50	0,5	-2,0
Umbria	186,00	190,30	183,70	194,50	195,50	194,60	4,6	-0,5
Marche	194,40	206,70	193,80	207,10	203,40	200,00	2,9	-1,7
Lazio	249,70	259,50	274,30	307,40	306,60	306,90	22,9	0,1
Abruzzo	221,60	232,10	224,10	225,80	225,00	227,70	2,8	1,2
Molise	196,50	218,50	224,10	238,80	217,90	221,20	12,6	1,5
Campania	257,80	253,30	244,90	265,30	258,10	249,80	-3,1	-3,2
Puglia	235,10	240,60	243,60	266,50	274,70	265,30	12,8	-3,4
Basilicata	210,40	228,20	226,90	226,00	209,70	213,20	1,3	1,7
Calabria	237,70	248,00	249,20	265,40	277,10	284,90	19,9	2,8
Sicilia	260,30	273,80	271,20	303,00	299,50	301,30	15,8	0,6
Sardegna	219,90	226,00	245,40	260,20	254,70	248,00	12,8	-2,6
<b>Italia</b>	<b>209,90</b>	<b>218,60</b>	<b>216,80</b>	<b>235,40</b>	<b>231,60</b>	<b>228,80</b>	<b>9,0</b>	<b>-1,2</b>

\*I dati relativi alle due Province Autonome non sono disponibili per il periodo 2001-2004, il dato riportato in tabella per tali anni va, quindi, inteso come dato aggregato della regione Trentino-Alto Adige.  
N.A. = non applicabile.

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. Rapporto Nazionale. Anni 2001-2006.

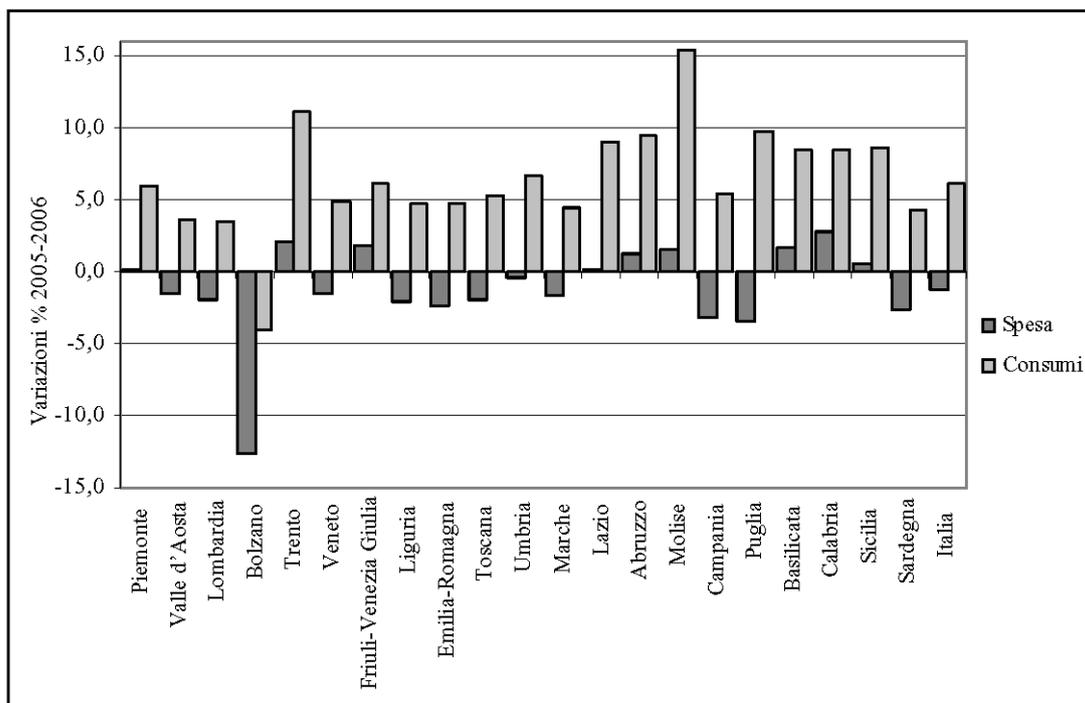
Spesa farmaceutica territoriale lorda pro capite (in milioni di €) a carico del SSN disaggregata per ASL. Anno 2006



Fonte dei dati: AIFA. Progetto Sfera.

e Trento, la Toscana, la Valle d'Aosta e l'Emilia-Romagna hanno presentato la spesa più bassa. Dal confronto tra gli anni 2001 e 2006 i maggiori incrementi di spesa si sono verificati nel Lazio (23%) ed in Calabria (20%). Le variazioni minori si registrano in Toscana (0,5%) ed in Campania (-3,1%) unica regione dove si osserva una riduzione. Il confronto delle variazioni percentuali dei consumi e della spesa (grafico 1) rispetto al 2005 dimostra un comportamento delle regioni variegato. Le regioni del Nord e la Campania, la Puglia e la Sardegna mostrano una riduzione della spesa superiore al decremento nazionale (-1,2%) a fronte di aumenti dei

consumi registrati in tutte le regioni. La sola eccezione è costituita dalla Provincia Autonoma di Bolzano dove si osserva l'unico decremento dei consumi (-4,0%) accompagnato anche da una decremento della spesa (-12,7%). L'analisi dei dati della spesa farmaceutica territoriale, disaggregati per ASL, mostra analogamente a quanto osservato per i consumi, una parziale conferma dei dati regionali: le cinque ASL a maggior spesa sono quelle della Calabria, mentre quelle a minore spesa sono localizzate nella Provincia Autonoma di Bolzano, in Toscana e Veneto.

**Grafico 1** - *Variazione percentuale dei consumi e della spesa farmaceutica territoriale - Anni 2005-2006*

Fonte dei dati e anno di riferimento: OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. Rapporto Nazionale. Anno 2006.

### **Raccomandazioni di Osservasalute**

Le regioni devono porsi l'obiettivo di limitare la spesa farmaceutica entro il limite del tetto programmato del 13% della spesa sanitaria complessiva, fissato dall'art. 5 della Legge 405/2001. Questo obiettivo va perseguito attraverso meccanismi di razionalizzazione ed aumenti di efficienza dei Sistemi Sanitari Regionali.

### **Riferimenti bibliografici**

- (1) I consumi dei farmaci: dati grezzi e pesati. In Osservatorio nazionale sull'impiego dei medicinali. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto nazionale anno 2006.
- (2) L'assistenza farmaceutica territoriale. Rapporto Osservasalute 2003. Casa editrice Vita e Pensiero. Milano 2003.

## Consumo e spesa dei farmaci a brevetto scaduto

**Significato.** I farmaci godono di un sistema di copertura brevettuale che ha, attualmente, una durata di venti anni negli altri Paesi UE e di circa 38 in Italia. Dopo la scadenza del brevetto possono essere autorizzati dei farmaci copia (detti generici o equivalenti), che hanno prezzi più bassi di almeno il 20%. Il prezzo più basso dei far-

maci equivalenti determina riduzioni, anche notevoli, nel prezzo delle specialità originatrici.

Il consumo e la spesa dei farmaci a brevetto scaduto rappresentano, pertanto, un indicatore di efficienza della spesa farmaceutica pubblica.

### Consumo di farmaci a brevetto scaduto

Numeratore      Consumo di farmaci a brevetto scaduto in Dosi Definite Giornaliere  
 Denominatore      Consumo totale di farmaci SSN in Dosi Definite Giornaliere  
 x 100

### Spesa di farmaci a brevetto scaduto

Numeratore      Spesa netta dei farmaci a brevetto scaduto  
 Denominatore      Spesa netta totale dei farmaci SSN  
 x 100

**Validità e limiti.** I dati raccolti e le analisi condotte sui farmaci a brevetto scaduto sono effettuate sulla base delle Liste di Trasparenza adottate dalle singole regioni. A tale proposito va precisato che queste liste annoverano al loro interno sia i farmaci generici in senso stretto sia le specialità medicinali originatrici a brevetto scaduto. I risultati si riferiscono, quindi, al consumo e alla spesa del mercato dei farmaci a brevetto scaduto e includono, pertanto, la quota di mercato e di spesa assorbita dal farmaco generico puro. I dati vengono presentati a partire dall'anno 2002 poiché quelli relativi all'anno 2001 sono

costituiti da una raccolta parziale non confrontabile con gli anni successivi.

**Valore di riferimento/Benchmark.** Come valori di riferimento si indicano i valori più elevati (Toscana rispettivamente pari al 28,2% di utilizzo e al 17,4% della spesa farmaceutica).

### Descrizione dei risultati

In Italia il consumo percentuale di farmaci a brevetto scaduto è quasi raddoppiato dal 2002 al 2006, passan-

**Tabella 1 - Consumo (per 100) di farmaci a brevetto scaduto per regione - Anni 2002-2006**

Regioni	2002	2003	2004	2005	2006	Δ assoluta 2002-2006	Δ assoluta 2005-2006
Piemonte	13,5	21,7	22,1	25,9	27,2	13,7	1,3
Valle d'Aosta	10,3	20,1	20,7	24,0	25,7	15,4	1,7
Lombardia	12,7	22,5	23,1	26,6	27,4	14,7	0,8
Trentino-Alto Adige	10,9	18,8	20,9	24,1	24,1	13,2	0,0
Veneto	15,3	21,5	22,0	25,1	25,9	10,6	0,8
Friuli-Venezia Giulia	16,9	21,8	22,6	25,8	25,9	9,0	0,1
Liguria	17,1	19,9	19,9	23,3	24,5	7,4	1,2
Emilia-Romagna	18,4	22,3	22,9	25,5	26,2	7,8	0,7
Toscana	9,0	17,1	25,2	26,4	28,2	19,2	1,8
Umbria	17,9	22,8	23,1	25,1	26,9	9,0	1,8
Marche	16,6	22,3	22,7	23,9	24,9	8,3	1,0
Lazio	10,5	20,2	19,8	22,1	23,4	12,9	1,3
Abruzzo	7,9	18,8	20,0	22,6	24,2	16,3	1,6
Molise	16,5	20,1	20,4	23,5	23,9	7,4	0,4
Campania	17,1	21,7	21,4	22,7	24,3	7,2	1,6
Puglia	15,6	21,0	21,2	22,8	24,0	8,4	1,2
Basilicata	14,9	20,1	22,7	24,4	25,3	10,4	0,9
Calabria	12,3	19,4	20,1	21,7	23,4	11,1	1,7
Sicilia	14,5	18,4	19,5	21,7	23,3	8,8	1,6
Sardegna	11,9	19,4	19,8	22,0	23,3	11,4	1,3
<b>Italia</b>	<b>14,0</b>	<b>20,8</b>	<b>21,7</b>	<b>24,1</b>	<b>25,3</b>	<b>11,3</b>	<b>1,2</b>

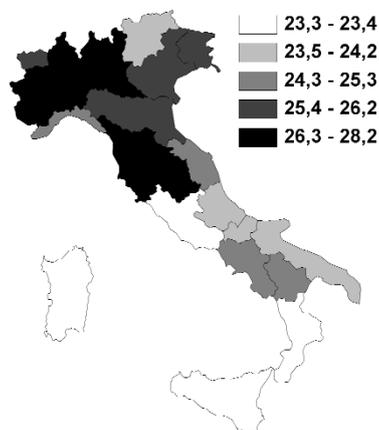
**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

**Tabella 2** - Spesa (per 100) di farmaci a brevetto scaduto - Anni 2002-2006

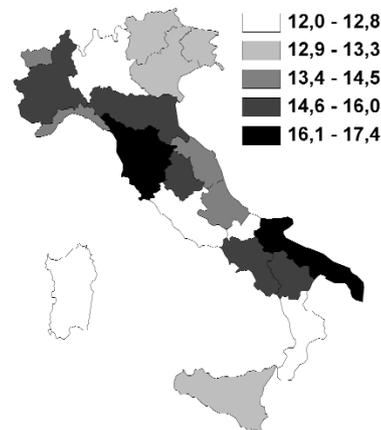
Regioni	2002	2003	2004	2005	2006	$\Delta$ assoluta 2002-2006	$\Delta$ assoluta 2005-2006
Piemonte	5,9	9,5	9,5	13,4	14,7	8,8	1,3
Valle d'Aosta	5,3	10,2	10,1	13,2	14,3	9,0	1,1
Lombardia	6,3	9,3	9,3	12,5	12,4	6,1	-0,1
Trentino-Alto Adige	5,0	9,0	9,3	12,5	13,3	8,3	0,8
Veneto	7,4	10,1	9,7	12,7	12,9	5,5	0,2
Friuli-Venezia Giulia	8,3	10,9	10,9	13,7	13,3	5,0	-0,4
Liguria	7,5	8,5	8,3	13,1	13,5	6,0	0,4
Emilia-Romagna	10,1	12,3	12,0	14,9	16,0	5,9	1,1
Toscana	5,7	10,2	15,0	17,1	17,4	11,7	0,3
Umbria	9,7	12,6	12,4	14,8	16,0	6,3	1,2
Marche	8,4	11,4	11,3	14,3	14,5	6,1	0,2
Lazio	5,3	9,6	9,3	11,6	12,0	6,7	0,4
Abruzzo	4,2	9,5	10,2	13,4	14,5	10,3	1,1
Molise	7,7	8,8	9,1	12,7	12,3	4,6	-0,4
Campania	9,0	11,4	11,2	14,1	15,2	6,2	1,1
Puglia	7,1	8,6	8,7	11,5	16,6	9,5	5,1
Basilicata	7,6	10,1	12,1	16,0	16,0	8,4	0,0
Calabria	6,1	9,0	9,3	12,5	12,8	6,7	0,3
Sicilia	7,4	8,5	9,4	12,2	13,1	5,7	0,9
Sardegna	5,4	8,7	9,0	11,7	12,3	6,9	0,6
<b>Italia</b>	<b>7,0</b>	<b>9,8</b>	<b>10,1</b>	<b>13,1</b>	<b>13,7</b>	<b>6,7</b>	<b>0,6</b>

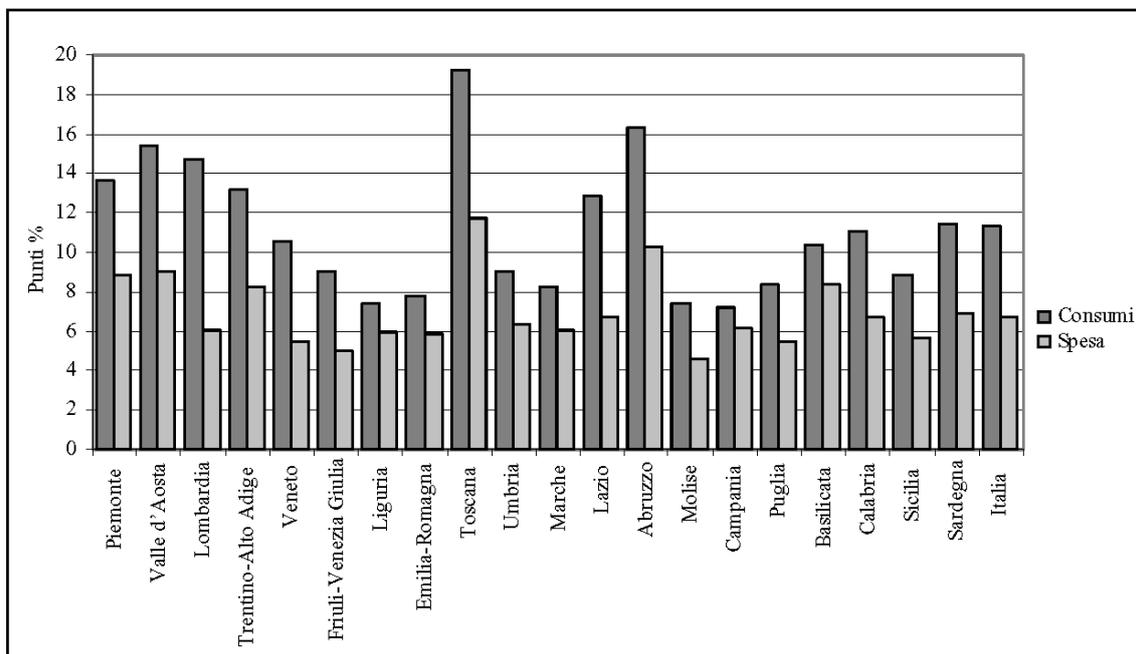
Fonte dei dati e anno di riferimento: OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

Consumo (per 100) di farmaci a brevetto scaduto per regione.  
Anno 2006



Spesa (per 100) di farmaci a brevetto scaduto per regione. Anno 2006



**Grafico 1 -** *Variazione percentuale di consumo e di spesa per farmaci a brevetto scaduto - Anni 2002-2006*

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Agenzia Italiana del Farmaco. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

do dal 14 al 25,3%. Un trend simile è dimostrato dalla quota di spesa per i farmaci a brevetto scaduto che è passata dal 7% al 13,7% della spesa farmaceutica. Toscana ed Abruzzo sono le regioni che, nel periodo 2002-2006, hanno avuto i maggiori incrementi sia nell'uso che nella spesa di farmaci a brevetto scaduto. Toscana, Lombardia e Piemonte presentano nel 2006 i valori più elevati in termini di percentuale di utilizzo sul totale delle DDD prescritte, pari al 28,2%, 27,4% e 27,2%. Le regioni a minore percentuale di utilizzo sono la Sicilia e la Sardegna, entrambe con un valore di 23,3% del totale delle DDD prescritte, e il Lazio e la Calabria con un valore pari al 23,4%. Le regioni con la percentuale minore di spesa di farmaci a brevetto scaduto sono, invece, il Lazio con

valori pari al 12,0% e il Molise e la Sardegna ambedue con valore pari a 12,3%.

#### **Raccomandazioni di Osservasalute**

Nell'ambito del limite di spesa posto dall'art. 5 della Legge 405/2001 (tetto programmato al 13%) le regioni dovrebbero considerare le politiche di incentivo all'uso dei farmaci a brevetto scaduto e dei farmaci equivalenti quale valida opportunità per impiegare con efficienza le risorse disponibili. I farmaci equivalenti offrono, infatti, il vantaggio di erogare terapie consolidate a prezzi competitivi, generando al contempo la liberazione di quote di risorse utilizzabili per l'accesso dei cittadini a terapie innovative.

## Spesa pro capite per ticket e compartecipazione

**Significato.** Il ticket farmaceutico è costituito dall'importo (in genere di 1 o 2 Ä) che i cittadini debbono pagare per ogni ricetta o per ogni confezione per avere accesso ai farmaci a carico del SSN. Il ticket sui farmaci è stato abolito nel 2001 dal governo centrale, ma reintrodotta, a partire dal 2002, in tredici regioni. Nel 2006 il ticket era in vigore, con varie forme di esenzione per reddito e/o patologia, in otto regioni. La quota di compartecipazione è, invece, rappresentata dalla quota pagata dal cittadino corrispondente alla differenza tra il prezzo del farmaco ed il prezzo rimborsato dal SSN (il prezzo rimborsato dal SSN corrisponde al prezzo più basso del farmaco a brevetto scaduto all'interno di categorie di farmaci equiparabili).

L'indicatore esprime, dunque, la spesa che il cittadino deve sostenere per accedere all'assistenza farmaceutica erogata dal Servizio Sanitario Pubblico. Questa spesa da parte del cittadino serve a renderlo consapevole di quanto il SSN spenda per l'assistenza farmaceutica e dovrebbe anche servire a limitare gli sprechi. Tuttavia, sebbene alcune regioni abbiano introdotto delle esenzioni per reddito o patologia (invalidi civili, persone con malattie croniche, invalidanti o rare, ultra sessantacinquenni con pensione al minimo o assegno sociale e nuclei familiari a basso reddito), il sistema potrebbe influire su un accesso equo all'assistenza farmaceutica penalizzando i soggetti a più basso reddito.

### Spesa pro capite per ticket e compartecipazione

Numeratore Spesa per ticket e compartecipazione

Denominatore Popolazione regionale pesata per età

**Validità e limiti.** L'indicatore può presentare dei limiti dovuti al fatto che alcune regioni hanno variato, in corso d'anno, l'applicazione del ticket sia in termini di introduzione sia di modalità di applicazione.

**Valore di riferimento/Benchmark.** I valori più bassi (1,20 Ä; 0,7%) possono essere considerati un utile termine di riferimento.

**Tabella 1 - Spesa pro capite pesata per ticket e compartecipazione (in Ä) ed in percentuale della spesa farmaceutica pubblica lorda pro capite (pesata) SSN - Anni 2002-2006**

Regioni	2002		2003		2004		2005		2006	
	Ä	% lorda	Ä	% lorda	Ä	% lorda	Ä	% lorda	Ä	% lorda
Piemonte <sup>δ#</sup>	13,10	7,0	17,00	9,3	17,40	8,9	15,50	7,9	13,50	6,9
Valle d'Aosta	0,80	0,4	1,20	0,7	1,30	0,7	1,40	0,7	1,40	0,7
Lombardia <sup>δ#</sup>	2,10	1,0	18,60	9,4	18,30	8,6	14,80	7,1	14,50	7,1
Bolzano-Bozen* <sup>δ#</sup>	3,90	2,2	5,70	3,3	5,60	3,0	9,80	5,3	9,70	6,1
Trento * <sup>δ</sup>	3,90	2,2	5,70	3,3	5,60	3,0	1,30	0,8	1,20	0,7
Veneto <sup>δ#</sup>	8,00	4,3	13,20	7,2	13,40	6,7	12,50	6,4	12,50	6,5
Friuli-Venezia Giulia	1,20	0,6	1,40	0,8	1,40	0,7	1,50	0,8	1,50	0,7
Liguria <sup>δ#</sup>	18,50	8,4	22,50	9,8	22,20	9,0	4,70	2,1	4,70	2,1
Emilia-Romagna	1,00	0,5	1,60	0,9	1,60	0,8	1,70	0,9	1,70	0,9
Toscana	0,90	0,5	1,40	0,8	1,50	0,8	1,70	0,9	1,70	0,9
Umbria	1,00	0,5	1,60	0,9	1,60	0,8	1,80	0,9	1,80	0,9
Marche	1,50	0,7	1,60	0,8	1,70	0,8	1,90	0,9	1,80	0,9
Lazio <sup>δ</sup>	8,20	3,1	9,30	3,4	9,60	3,1	9,40	3,1	2,20	0,7
Abruzzo <sup>δ</sup>	4,10	1,8	1,70	0,8	1,70	0,8	2,00	0,9	2,00	0,9
Molise <sup>δ#</sup>	5,20	2,4	10,20	4,6	10,70	4,5	10,40	4,8	10,60	4,8
Campania	2,70	1,1	3,00	1,2	2,80	1,0	2,90	1,1	2,70	1,1
Puglia <sup>δ#</sup>	7,90	3,3	18,90	7,7	17,80	6,7	15,20	5,5	7,30	2,8
Basilicata	1,60	0,7	2,20	1,0	2,10	0,9	2,20	1,0	2,00	0,9
Calabria <sup>δ</sup>	9,70	3,9	15,50	6,2	15,00	5,6	10,10	3,6	2,40	0,8
Sicilia <sup>δ#</sup>	10,40	3,8	20,10	7,4	12,60	4,2	13,80	4,6	11,00	3,6
Sardegna <sup>δ</sup>	4,70	2,1	6,70	2,7	2,60	1,0	1,90	0,7	1,80	0,7
<b>Italia</b>	<b>5,80</b>	<b>2,7</b>	<b>11,30</b>	<b>5,2</b>	<b>10,50</b>	<b>4,4</b>	<b>8,90</b>	<b>3,8</b>	<b>7,00</b>	<b>3,1</b>

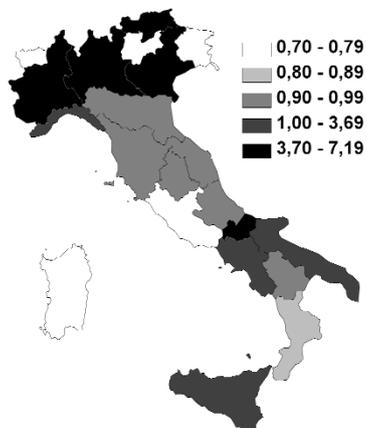
\*I dati relativi alle due Province Autonome non sono disponibili per il periodo 2002-2004, il dato riportato in tabella per tali anni va, quindi, inteso come dato aggregato del Trentino-Alto Adige.

<sup>δ</sup>Regioni che hanno introdotto i ticket nel corso del 2002.

<sup>#</sup>Regioni che nel 2006 hanno utilizzato il ticket.

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** Elaborazione su dati ASSR/Assessorati regionali. OsMed. Agenzia Italiana del Farmaco. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

Spesa pro capite pesata per ticket e compartecipazione (per 100) della spesa farmaceutica pubblica lorda pro capite a carico del SSN. Anno 2006



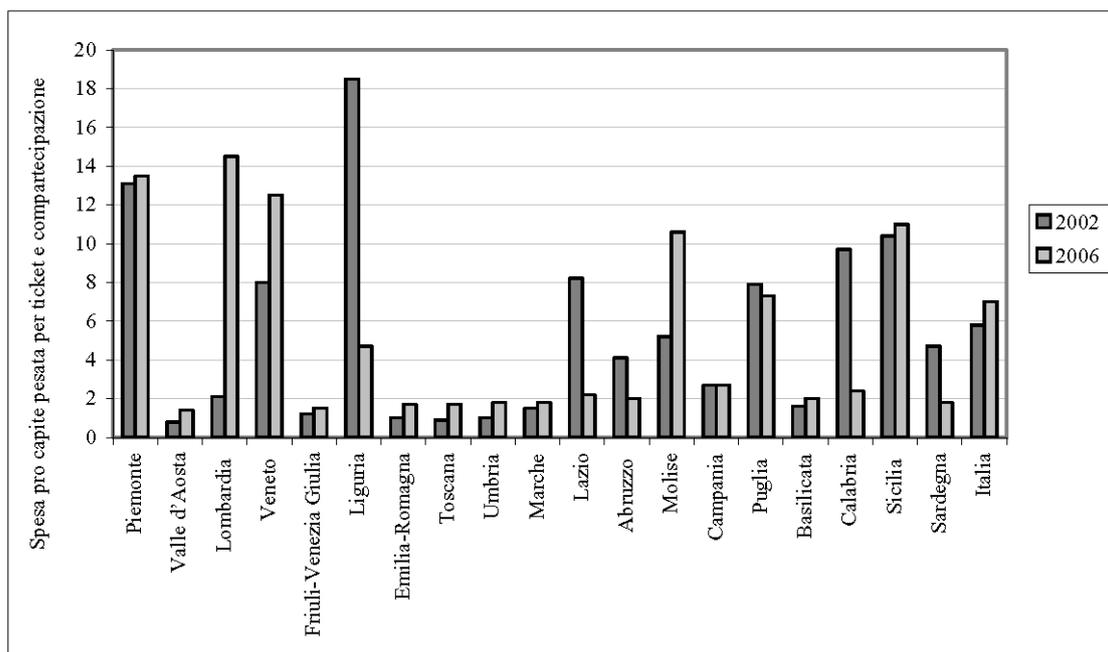
### Descrizione dei risultati

Nel 2006 (tabella 1) il totale della compartecipazione richiesta ai cittadini è stato pari a 414 milioni di euro, corrispondente al 3,1% della spesa lorda complessiva, in riduzione rispetto a ciascun anno del periodo 2003-2006. L'incidenza del ticket sulla spesa lorda è maggiore in Lombardia (14,50 € pro capite corrispondenti al 7,1% della spesa farmaceutica pro capite), Piemonte (13,50 €; 6,9%) e Veneto (12,50 €; 6,5%).

Tra le regioni in cui nel 2006 era in vigore il ticket le quote più basse richieste ai cittadini sono osservabili in Liguria (4,70 €; 2,1%) e Puglia (7,30 €; 2,8%).

Nelle regioni in cui non è stato applicato il ticket le quote a carico dei cittadini sono molto più ridotte, con un valore minimo dello 0,7%-0,8% nelle regioni a statuto speciale ed un valore dello 0,9% in Emilia-Romagna, Toscana, Umbria, Marche, Abruzzo e Basilicata.

Grafico 1 - Spesa pro capite (pesata e in €) per ticket e compartecipazione - Anni 2002, 2006



\*I dati relativi alle due Province Autonome non sono disponibili per il periodo 2002-2004.

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** Elaborazione su dati ASSR/Assessorati regionali. OsMed. Agenzia Italiana del Farmaco. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

### Raccomandazioni di Osservasalute

Il ticket farmaceutico può contribuire alla riduzione della spesa farmaceutica, ma non è il solo e più efficace strumento di controllo della spesa poiché regioni che hanno adottato il ticket hanno una spesa farmaceutica superiore alla media nazionale e regioni senza

ticket possono avere una spesa farmaceutica più bassa del valore medio nazionale.

Accurati sistemi di monitoraggio della spesa e della qualità della prescrizione sono probabilmente più efficaci e presentano minori problematiche di equità.

## Spesa farmaceutica privata pro capite pesata

**Significato.** La spesa farmaceutica privata comprende la spesa sostenuta privatamente dal cittadino per i farmaci rimborsati dal SSN (farmaci di fascia A) ma acquistati privatamente e per i farmaci non rimborsati dal SSN (farmaci di fascia C). I farmaci non rimborsati dal SSN comprendono alcuni farmaci soggetti a prescrizione medica (ad esempio ipnotici) e i farmaci

senza obbligo di ricetta medica (farmaci di automedicazione (Otc) e farmaci senza obbligo di prescrizione (SOP).

L'indicatore esprime la percentuale di spesa farmaceutica privata (sostenuta direttamente dal cittadino) ed è influenzato da due fattori principali: il reddito e la copertura di farmaci da parte del SSN.

### Percentuale della spesa farmaceutica privata

$$\frac{\text{Numeratore}}{\text{Denominatore}} \times 100$$

Spesa farmaceutica privata pro capite pesata  
Spesa farmaceutica totale pro capite (pubblica e privata) pesata per età

**Validità e limiti.** Le analisi sulla spesa farmaceutica privata sono eseguite dall'OsMed utilizzando i dati di *sell-in* forniti da IMS Health all'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). I dati di *sell-in* coprono il flusso di farmaci dai grossisti alle farmacie e possono, pertanto, presentare, soprattutto nel breve periodo, dei disallineamenti rispetto all'effettivo consumo e spesa.

**Valore di riferimento/Benchmark.** Il valore nazionale (30,19% nel 2006) può costituire un utile valore di riferimento.

### Descrizione dei risultati

L'Italia è uno dei Paesi Europei che garantisce la più elevata copertura di farmaci (circa il 70% della spesa farmaceutica è a carico del SSN), uguale o superiore

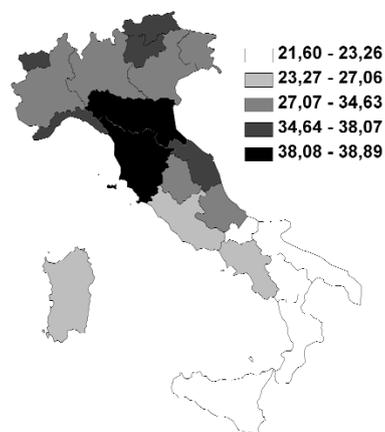
**Tabella 1 - Spesa farmaceutica totale lorda pro capite (in Ä e pesata per età) e spesa farmaceutica privata pro capite (in percentuale della spesa farmaceutica totale) per regione - Anni 2002-2006**

Regioni	2002		2003		2004		2005		2006	
	Spesa lorda pro capite totale in Ä	Spesa privata (%) della spesa totale	Spesa lorda pro capite totale in Ä	Spesa privata (%) della spesa totale	Spesa lorda pro capite totale in Ä	Spesa privata (%) della spesa totale	Spesa lorda pro capite totale in Ä	Spesa privata (%) della spesa totale	Spesa lorda pro capite totale in Ä	Spesa privata (%) della spesa totale
Piemonte	277,80	32,51	288,80	36,63	299,80	34,76	307,10	36,21	299,70	34,63
Valle d'Aosta	285,20	34,71	297,50	39,09	309,00	35,05	304,80	38,12	300,00	38,07
Lombardia	305,10	33,73	310,50	36,62	323,30	33,96	320,80	35,38	310,80	34,56
Bolzano-Bozen*	262,80	34,44	275,50	37,64	284,60	34,43	277,60	33,97	247,40	35,29
Trento*	262,80	34,44	275,50	37,64	279,10	39,52	279,10	39,52	274,00	37,15
Veneto	278,30	32,30	285,60	36,27	299,70	33,27	299,20	34,99	291,20	34,20
Friuli-Venezia Giulia	266,10	31,79	274,80	34,68	289,00	32,01	289,20	33,75	286,80	31,90
Liguria	328,10	32,73	354,90	35,64	370,20	33,31	354,50	36,53	343,90	35,94
Emilia-Romagna	298,50	37,12	305,50	39,02	314,10	36,93	313,50	38,69	303,50	38,19
Toscana	286,80	35,81	293,40	40,15	304,70	37,81	306,60	39,27	298,50	38,89
Umbria	269,50	29,39	278,50	34,04	289,10	32,72	295,30	33,80	288,60	32,54
Marche	291,80	29,16	292,40	33,72	304,50	31,99	307,00	33,75	302,20	35,47
Lazio	350,30	25,92	380,60	27,93	411,50	25,30	417,40	26,55	409,70	25,09
Abruzzo	315,10	26,34	319,50	29,86	317,60	28,90	320,70	29,84	318,10	28,42
Molise	271,70	19,58	288,70	22,38	303,90	21,42	293,40	25,73	288,10	23,22
Campania	325,20	22,11	331,70	26,17	346,90	23,52	347,80	25,79	334,90	25,41
Puglia	314,10	23,40	329,40	26,05	348,70	23,57	361,50	24,01	345,70	23,26
Basilicata	280,20	18,56	292,30	22,37	287,90	21,50	272,60	23,07	275,20	22,57
Calabria	313,40	20,87	330,10	24,51	346,50	23,41	358,90	22,79	366,50	22,26
Sicilia	348,50	21,43	363,00	25,29	388,90	22,09	390,10	23,22	384,30	21,60
Sardegna	311,30	27,40	336,70	27,12	354,00	26,50	350,20	27,27	340,00	27,06
<b>Italia</b>	<b>307,60</b>	<b>28,93</b>	<b>319,30</b>	<b>32,10</b>	<b>334,70</b>	<b>29,67</b>	<b>336,10</b>	<b>31,09</b>	<b>327,60</b>	<b>30,19</b>

\*I dati relativi alle due Province Autonome non sono disponibili per il periodo 2002-2004, il dato riportato in tabella per tali anni va, quindi, inteso come dato aggregato del Trentino-Alto Adige.

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

**Spesa farmaceutica privata (per 100) della spesa farmaceutica totale. Anno 2006**

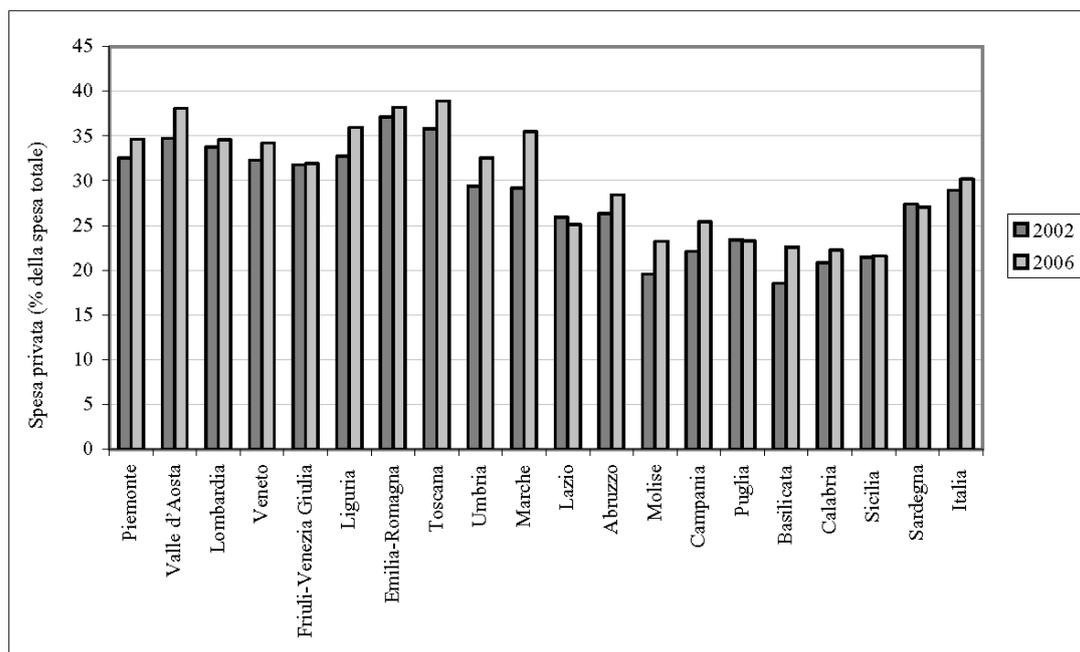


ad altri paesi con consolidati sistemi di welfare quali i Paesi Scandinavi.

Nel periodo 2002-2006 la spesa privata si è mantenuta sostanzialmente stabile, oscillando intorno al 30% della spesa farmaceutica totale. Il trend temporale mostra alcune differenze regionali con un aumento di sei punti percentuali nelle Marche e di circa quattro punti percentuali in Basilicata, Molise e Valle d'Aosta e fino ad incrementi più modesti in altre regioni e ad un decremento inferiore ad un punto percentuale in Puglia, Sardegna e Lazio.

Nel 2006 i valori più elevati di spesa privata sono osservabili in Toscana (38,89%), in Emilia-Romagna (38,19%) ed in Valle d'Aosta (38,07%). Tutte le regioni settentrionali hanno valori superiori alla media nazionale del 30% e tutte le regioni meridionali valori inferiori con un minimo di 21,60% in Sicilia, che è anche una delle regioni con la spesa pubblica al di sopra della media nazionale.

**Grafico 1 - Spesa farmaceutica privata pro capite (pesata) come percentuale della spesa totale - Anni 2002, 2006**



\*I dati relativi alle due Province Autonome non sono disponibili per il periodo 2002-2004.

**Fonte dei dati e anno di riferimento:** OsMed. Osservatorio sui Medicinali. Ministero della Salute. L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto Nazionale. Anni 2002-2006.

**Raccomandazioni di Osservasalute**

La spesa farmaceutica privata oscilla in Italia intorno al 30% della spesa farmaceutica totale, valore che può essere considerato fisiologico. In alcune regioni esiste

una crescita più veloce della spesa farmaceutica privata che necessita un attento monitoraggio sia in termini di equità che di appropriatezza.

## Tracciabilità del farmaco

Dott.ssa Claudia Biffoli, Dott.ssa Daniela Settesoldi

Il progetto di “Tracciabilità del farmaco” ha previsto l’istituzione di una banca dati centrale per la raccolta e la registrazione dei movimenti di ogni prodotto farmaceutico commercializzato in Italia. Il progetto è nato dall’obbligo comunitario derivante dalla Direttiva 2001/83 /CE rispetto al quale l’Italia è stata uno dei primi paesi ad avviare questa attività. L’obiettivo del progetto è di monitorare il percorso di ogni singola confezione fra i vari soggetti della filiera, dal produttore fino al singolo utilizzatore e conoscere in ogni stadio del ciclo di vita del farmaco tutte le informazioni partendo dai dati di produzione e fornitura dei bollini numerati dei medicinali.

Gli scopi e le finalità derivanti dalla realizzazione del progetto della Tracciabilità sono:

- prevenire e reprimere eventuali attività illegali (contraffazione) a danno della salute pubblica;
- monitorare le confezioni per permettere di contrastare le possibili frodi a danno del Servizio Sanitario Nazionale (SSN);
- contribuire alla verifica dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA);
- rendere più efficace l’attività di Farmacovigilanza;
- contribuire alla riduzione degli eventi avversi in ambito ospedaliero, dove la tracciabilità è uno strumento utile per garantire il ciclo di approvvigionamento ed assicurare che al paziente venga somministrato il medicinale giusto nella dose corretta.

La realizzazione del progetto offre, tra l’altro numerosi vantaggi, quali:

- possibilità di tradurre il monitoraggio in informazioni di tipo epidemiologico sull’utilizzo dei farmaci in ambito territoriale ed ospedaliero e del loro impatto sulla salute;
- analisi dell’appropriatezza delle prescrizioni e dei consumi mediante dati di elevata qualità;
- monitoraggio puntuale e stima preventiva della spesa farmaceutica a livello nazionale e regionale in relazione al tetto di spesa programmato;
- disponibilità di informazioni più precise a sostegno delle decisioni d’investimento.

Il Decreto del Ministro della Salute del 15 luglio 2004 ha previsto l’istituzione presso l’AIFA della banca dati finalizzata al monitoraggio delle confezioni dei medicinali all’interno del sistema distributivo.

Il progetto è stato strutturato per fasi successive:

- nella Fase 1, iniziata nel 2005 sono stati registrati i dati relativi ai movimenti in uscita dei produttori, distributori e grossisti;
- nella Fase 2, iniziata nel 2006, saranno, invece, registrati tutti i movimenti in entrata e in uscita fra i vari attori della filiera, compresi ospedali e farmacie.

I vari soggetti coinvolti devono trasmettere, per ogni movimentazione delle confezioni di medicinale, tutte le informazioni necessarie ad identificarne la provenienza, in particolare:

- il codice di Autorizzazione all’Immissione in Commercio (AIC) ed il titolare della stessa;
- il codice identificativo della confezione recante la numerazione progressiva riportato sul bollino;
- il numero progressivo iniziale e finale per ogni codice AIC utilizzato per quel lotto;
- l’identificativo del mittente e del destinatario;
- il lotto di produzione e la data di scadenza;
- il prezzo di aggiudicazione delle forniture dei medicinali alle strutture del Servizio Sanitario Nazionale o private accreditate;
- numero di bollini ricevuti e di bollini che andranno distrutti.

Nella Banca Dati Centrale sulla tracciabilità confluiranno, pertanto, tutti i dati relativi a:

- fornitura dei bollini autoadesivi numerati che dovranno essere presenti sulle confezioni di medicinali;
- movimenti delle singole confezioni;
- dati relativi al valore, per categoria terapeutica omogenea, delle forniture dei medicinali distribuiti alle strutture del SSN;
- consumi espressi in Dosi Definite Giornaliere (DDD).

Il flusso informativo prevede anche la raccolta delle prestazioni farmaceutiche effettuate in:

- distribuzione diretta dei farmaci, ovvero la dispensazione di medicinali agli assistiti per la somministrazione al proprio domicilio, per il tramite delle strutture ospedaliere e dei presidi delle aziende sanitarie locali;
- distribuzione per conto, cioè la distribuzione ai cittadini di farmaci acquistati dal SSN tramite le farmacie territoriali, pubbliche e private.

La trasmissione dei dati è effettuata esclusivamente in formato elettronico con cadenza trimestrale; i dati relativi ad un trimestre devono essere comunque trasmessi entro la fine del mese successivo al trimestre di riferimento.

## Commento ai dati della Provincia Autonoma di Trento

Dott. Riccardo Roni

Nel corso del 2006, la Provincia Autonoma di Trento ha presentato consumi pari a 709 DDD/1000 ab/die, inferiori rispetto alla media nazionale (857 DDD/1000 ab die), corrispondenti ad un aumento dell'11% rispetto al 2005. L'incremento dei consumi è imputabile principalmente alle seguenti categorie terapeutiche: Antiulcera - A02B (+21%); Ipolipemizzanti - C10 (+15%) e Antidepressivi - N06A (+11%).

L'aumento del 2,1% rispetto al 2005 della spesa farmaceutica convenzionata lorda è in controtendenza con la media nazionale, che ha invece presentato un decremento del -1,2%. Tali variazioni andrebbero comunque più opportunamente commentate considerando congiuntamente anche la spesa relativa al canale complementare dalla distribuzione diretta o per conto, che nel 2006 è diminuita. Comunque, la spesa lorda farmaceutica convenzionata pro capite nel 2006 è stata di 172,30 €, un valore nettamente inferiore alla media nazionale (228,80 € pro capite).

L'incremento di spesa rilevato non è correlato a quello dei consumi. La maggior crescita dei consumi rispetto alla spesa può essere letta positivamente: maggiore assistenza farmaceutica e costo/DDD medio inferiore all'anno precedente (complessivamente, un effetto mix negativo). Nella PA di Trento, tra l'altro, la quota relativa a farmaci equivalenti sul totale dei farmaci rimborsati è superiore alla media nazionale, sia in termini di consumi (28,9% delle DDD vs 25,3%) che di spesa (17,7% vs 13,7%), valori analoghi nel 2006 si riscontrano, secondo il rapporto OsMed, solamente in Toscana.

Il 2006 è stato per la PA di Trento l'anno di transizione fra il vecchio e il nuovo Accordo con le farmacie per la distribuzione per conto (DPC), ai sensi della L. 405/2001. Pertanto, alcuni farmaci del Prontuario della Distribuzione Diretta per la continuità assistenziale ospedale (H) territorio (T) ad alto costo (epoetine, GH, fattori di crescita, granulociti, IFN, etc.) destinati a pazienti con frequente ricorso alla struttura ospedaliera (oncologici, nefropatici, trapiantati, etc.) sono stati erogati temporaneamente sul canale dell'assistenza farmaceutica convenzionata, in attesa di essere distribuiti direttamente, a partire da novembre 2006, dalle strutture ospedaliere.

I dati della PA di Trento sull'andamento della assistenza farmaceutica convenzionata nel 2006 possono essere, pertanto, valutati positivamente. Rispetto alla media nazionale, gli scostamenti rilevati sono infatti i seguenti: -17,3% in termini di DDD, -9% in termini di costo medio delle DDD, -24,7% per la spesa lorda pro capite, rango di spesa fra le 21 regioni pari a 20.

## Accesso ai farmaci ad alto costo: le modalità della regione Veneto

Dott.ssa Roberta Joppi, Dott. Luigi Mezzalana

La regione Veneto ha una popolazione di 4.527.694 abitanti, è suddivisa in 21 aziende sanitarie locali (Unità Locali Socio Sanitarie - ULSS), ha sul proprio territorio due aziende ospedaliere (Padova e Verona), due IRCSS (Istituto Oncologico Veneto - Padova e Ospedale S. Camillo - Venezia) e 8 ospedali classificati.

La spesa farmaceutica regionale complessiva per l'anno 2006 è risultata pari a € 1.170.000.000, di cui € 800.000.000 rappresentano la spesa farmaceutica convenzionata e € 370.000.000 quella ospedaliera (di cui il 54% utilizzata per farmaci destinati a pazienti territoriali).

### *Il contesto ospedaliero*

La regione Veneto si è dotata di un Prontuario Terapeutico Ospedaliero regionale (PTORV) che rappresenta una lista di farmaci all'interno della quale le diverse strutture ospedaliere possono selezionare le molecole da impiegare in regime di ricovero e ambulatoriale, secondo le indicazioni di registrazione. Per alcuni farmaci la Commissione per il PTORV, all'atto del loro inserimento in Prontuario, ha previsto la distribuzione per singolo paziente e la compilazione, con successivo invio al Servizio Farmaceutico, di una scheda di registrazione di un set di informazioni che ne consentano il monitoraggio. Attualmente tale monitoraggio viene condotto per 12 molecole ([http://www.uvef.it/pag/areaist/progetti\\_reg.php](http://www.uvef.it/pag/areaist/progetti_reg.php)). Le diverse ASL possono comunque decidere di estendere la sorveglianza anche ad altri farmaci.

La Deliberazione regionale n. 734 del 20/03/2007 ha introdotto alcune novità per quanto riguarda l'erogazione e il monitoraggio di 12 principi attivi oncologici ad alto costo (Rituximab, Trastuzumab, Cetuximab, Bevacizumab, Pemetrexed, Oxaliplatino, Docetaxel, Paclitaxel, Irinotecan, Bortezomib, Alentuzumab, Fulvestrant). Tali medicinali vengono erogati in regime ambulatoriale e il loro costo è addebitato nella misura del 50% all'azienda ULSS di residenza del paziente mediante il flusso della mobilità farmaceutica (File "F"); il restante 50% rimane a carico dell'erogante, al fine di una sua maggiore responsabilizzazione sul corretto utilizzo di tali farmaci. Questi ultimi vengono, inoltre, sottoposti a monitoraggio mediante utilizzo di apposite schede, in linea con quanto già stabilito dall'Agenzia Italiana del Farmaco, al fine di valutarne i rapporti costo/efficacia e rischio/beneficio.

L'obiettivo finale di questo progetto è arrivare a proporre un modello di gestione centralizzata dei farmaci ad alto costo che prevede dei protocolli per il loro appropriato utilizzo e un fondo regionale dedicato, ottenuto scorpendo dalla quota capitolaria, da assegnare a ciascuna Azienda Sanitaria, il budget necessario a finanziarlo.

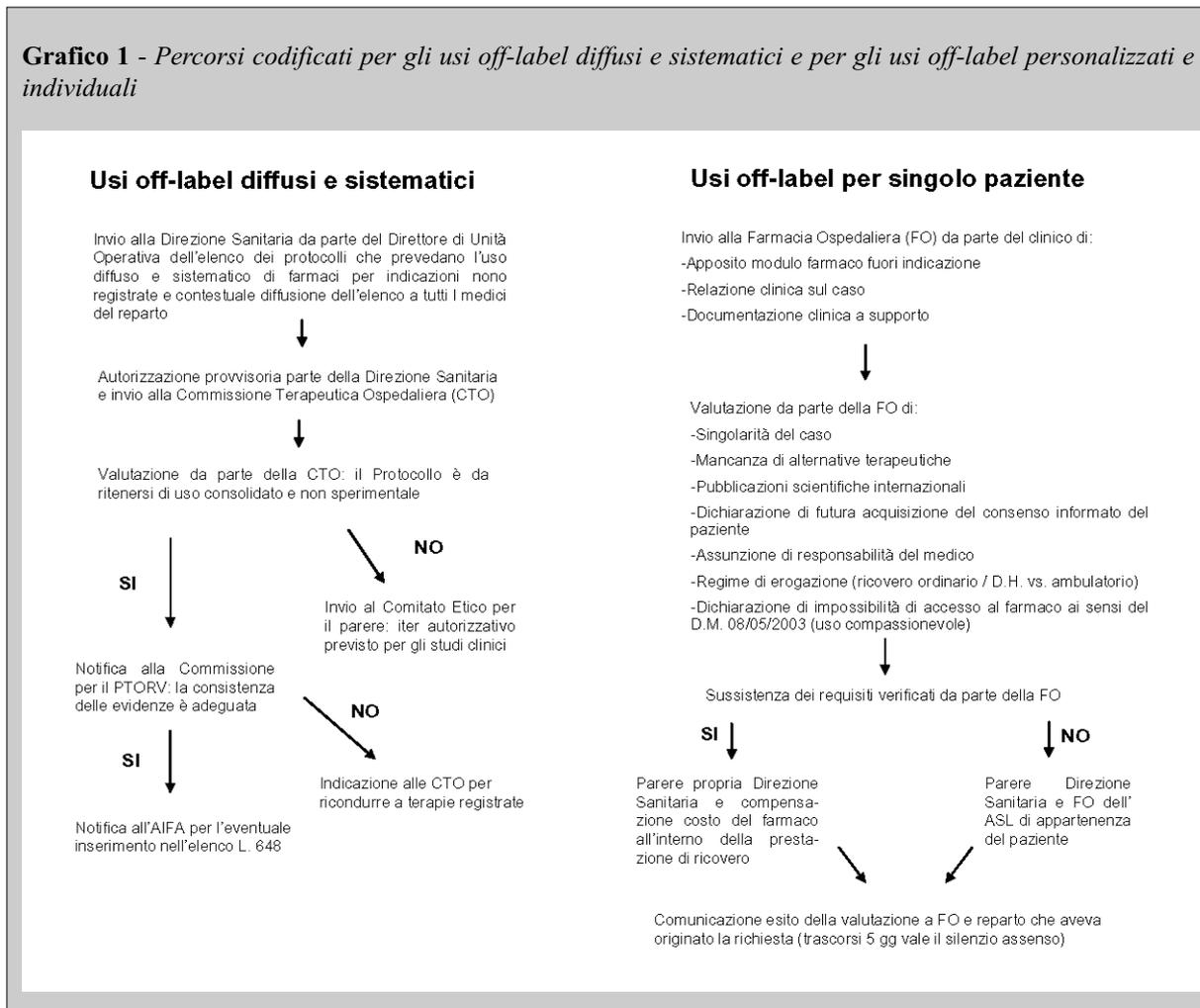
Infine, la Deliberazione regionale n. 449 del 27/02/2007 ha disciplinato le modalità applicative della normativa nazionale, relativa ai medicinali utilizzati a carico del SSN per indicazioni diverse da quelle autorizzate in scheda tecnica, individuando due diversi ambiti: usi diffusi e sistematici e usi personalizzati e individuali. I percorsi codificati per le due diverse fattispecie sono riportati nel grafico 1.

### *Il contesto territoriale*

A livello territoriale i farmaci ad alto costo sono riconducibili a quelli elencati nel PHT, il Prontuario della Distribuzione Diretta per la presa in carico e la continuità assistenziale H (ospedale) – T (territorio). In Veneto la loro erogazione può avvenire attraverso il canale ospedaliero (distribuzione diretta) che consente di consegnare ai pazienti 2 mesi di terapia, tramite i distretti di appartenenza degli assistibili, dove il personale infermieristico effettua la somministrazione dei farmaci iniettabili, oppure attraverso le farmacie aperte al pubblico, utilizzando la modalità della Distribuzione per Conto (DpC). Quest'ultima risulta molto onerosa dal punto di vista organizzativo.

Nella regione Veneto, nell'anno 2006, la spesa per i farmaci compresi nel PHT è stata pari a € 160.000.000 (valore calcolato utilizzando il prezzo al pubblico), equamente ripartita tra il canale ospedale/distretti e quello della DpC.

**Grafico 1 - Percorsi codificati per gli usi off-label diffusi e sistematici e per gli usi off-label personalizzati e individuali**



## **EURORDIS *Rare Diseases in Europe***

Dott. Michele Lipucci di Paola

L'EURORDIS (Organizzazione Europea Malattie Rare) è un'organizzazione non-governativa, non a scopo di lucro con una rigorosa politica di trasparenza finanziaria e buone pratiche di gestione, di associazioni di pazienti e di persone attive nell'area delle malattie rare, è guidata da pazienti ed è dedicata a migliorare la qualità di vita di tutte le persone affette da malattie rare in Europa.

Fondata nel 1997 EURORDIS è sostenuta dai suoi membri, dall'Associazione Francese Distrofia Muscolare (AFM), dalla Commissione Europea, da Fondazioni private e dall'Industria sanitaria.

L'organizzazione raggruppa oltre 290 associazioni di malattie rare in 33 paesi (26 UE-SM), che coprono oltre 1.000 patologie. Pertanto EURORDIS rappresenta la voce di 30 milioni di pazienti affetti da malattie rare in Europa.

Si definisce malattia rara una malattia che colpisce meno di un 1 individuo su 2.000 nella popolazione (in Europa).

La missione di EURORDIS è quella di costruire una forte comunità Pan-Europea di associazioni di pazienti e persone che vivono con le malattie rare, essere la voce a livello europeo e lottare contro l'impatto delle malattie rare sulla loro vita.

Le Aree prioritarie di lavoro sono:

- costruire la comunità: stabilire una rete di associazioni di pazienti e sostenerle;
- dar voce ai pazienti: sostegno e maggiore consapevolezza;
- salute pubblica e politica sanitaria, sviluppo terapeutico e ricerca;
- finanziamenti e organizzazione.

EURORDIS è presente nelle istituzioni e piattaforme europee:

- Comitato per i Prodotti Medicinali Orfani presso l'EMEA (COMP);
- Gruppi di lavoro dell'EMEA/CHMP con le associazioni di pazienti;
- *Task Force* presso la DG SANCO;
- Forum Europeo della DG SANCO;
- Forum Europeo dei Pazienti (EPF);
- Forum Europeo sulle Buone Pratiche Cliniche (EFGCP);
- Piattaforma Europea per le Associazioni di Pazienti, Scienza e Industria (EPPOSI);
- Alleanza Internazionale delle Associazioni dei Pazienti (IAPO);
- Alleanza Pan-Europea Sicurezza Sangue (PBSA).

### **Risultati**

#### *Lavoro in rete e scambio di informazioni*

- Oltre 290 membri in 33 paesi (26 UE-SM).
- Sito-web in 6 lingue.
- Notiziario elettronico mensile in sei lingue.
- Oltre 450 associazioni di pazienti e 120 volontari attivi.
- Organizzazione Conferenza Europea Malattie Rare (Danimarca 2001, Francia 2003, Lussemburgo 2005, Portogallo 2007).
- Creazione di una rete di 11 Alleanze Nazionali.
- Organizzazione Assemblea Generale dei Soci (Spagna 2002, Belgio 2003, Irlanda 2004, Italia 2005, Germania 2006, Francia 2007).

#### *Accesso all'informazione, diagnosi, trattamento e cura*

- Linee Guida per sostenere la creazione e la gestione delle associazioni di pazienti affetti da malattie rare e i servizi di Informazione.
- Sondaggi scientifici sull'accesso alle cure (16 malattie rare, 150 associazioni, 23 paesi, 17 lingue) e sull'accesso e il ritardo nella diagnosi (8 malattie rare, 70 associazioni, 17 paesi, 6.000 risposte).
- Sessioni di formazione sui protocolli delle sperimentazioni cliniche (12 sessioni, 170 persone, 137 associazioni) e sulla ricerca di informazioni via Internet (18 sessioni, 100 persone, 58 associazioni).
- Sondaggio sull'accesso ai farmaci da parte dei pazienti in Europa.
- Pianificazione dei profili e delle attività delle associazioni dei pazienti in Europa.

*Difesa dei diritti dei pazienti e sviluppo politico*

- Partecipazione all'adozione Programma di Azione Malattie Rare DG SANCO 1999.
- Partecipazione all'adozione del Regolamento Europeo sui Farmaci Orfani 1999.
- Partecipazione all'adozione del Regolamento Europeo Uso Pediatrico dei Farmaci 2006.
- Partecipazione all'adozione del Regolamento Europeo Terapie Avanzate 2007.
- Contributo alla promozione e difesa delle Malattie Rare come priorità di salute pubblica in Europa.
- Contributo alla promozione e difesa delle Malattie Rare come priorità nell'ambito del Programma Quadro Europeo per la Ricerca.

*Sviluppo Terapeutico e Ricerca*

- Contributo alla designazione di oltre 500 farmaci orfani tramite la partecipazione al COMP.
- Contributo alla trasparenza e alla qualità dell'informazione sui farmaci per i pazienti tramite la partecipazione al Gruppo di lavoro dell'Agenzia Europea del Farmaco (EMA) con le associazioni di pazienti.
- 30 Industrie farmaceutiche sostengono la creazione della Tavola Rotonda delle Imprese.
- Incontri: "Accesso del paziente all'uso compassionevole"; "Metodologie alternative nelle sperimentazioni cliniche"; "Rapporti tra gli sponsor e le associazioni nelle sperimentazioni cliniche".

[www.eurordis.org](http://www.eurordis.org).

## Registro Nazionale Malattie Rare

Dott.ssa Domenica Taruscio, Dott.ssa Elvira Agazio, Sig. Gianluca Ferrari, Dott.ssa Yllka Kodra, Dott.ssa Daniela Pierannunzio, Dott. Paolo Salerno

Le malattie rare sono un ampio gruppo di affezioni (5-6 mila), definite dalla bassa prevalenza nella popolazione. A livello europeo, si definisce rara una malattia che colpisce non più di 5 pazienti su 10.000 abitanti. Le malattie rare presentano alcune criticità quali:

- difficoltà per i pazienti ad ottenere una diagnosi appropriata e tempestiva;
- patogenesi non definita e, quindi, generale carenza di terapie;
- andamento cronico della malattia ed esiti invalidanti;
- onerosità del trattamento farmacologico.

Inoltre, la maggior parte delle malattie rare sono di natura genetica.

Le strategie per le malattie rare hanno origine negli Stati Uniti, dove nel 1983 è stata emanata la prima regolamentazione sui medicinali orfani (Orphan Drugs Act) per promuoverne lo sviluppo e la commercializzazione.

Nell'Unione Europea le misure sono state adottate nell'aprile del 1999 nell'ambito del programma di azione comunitaria sulle malattie rare 1999-2003 (Decisione n. 1295/1999/CE del Parlamento Europeo e del Consiglio), individuando come priorità:

- il miglioramento delle conoscenze sulle malattie rare;
- la formazione e l'aggiornamento degli operatori sanitari;
- il rafforzamento della collaborazione internazionale;
- il sostegno del monitoraggio delle malattie rare negli Stati membri.

Anche il successivo programma di azione comunitaria per la Sanità Pubblica (2003-2008), ha incluso le malattie rare come obiettivo. Nel 2000 è stato inoltre pubblicato il Regolamento n. 141/2000 del Parlamento Europeo e del Consiglio concernente i medicinali orfani con l'istituzione della procedura comunitaria per l'assegnazione della qualifica di medicinale orfano. In Italia, i Piani Sanitari Nazionali (PSN) 1998-2000, 2003-2005 e 2006-2008 hanno indicato fra le proprie priorità la tutela dei soggetti affetti da malattie rare e tra gli interventi prioritari la realizzazione di una rete nazionale delle malattie rare. Parallelamente sono state sviluppate e sostenute azioni a carattere sovra-regionale anche mediante gli accordi in conferenza Stato-Regioni dell'11 luglio 2002 e 10 maggio 2007. Attualmente la normativa nazionale di riferimento per le direttive inerenti le malattie rare è rappresentata dal Decreto del Ministero della Salute del 18 maggio 2001, n. 279 "Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie, ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124" attraverso il quale vengono individuate le modalità di esenzione dalla partecipazione al costo delle malattie rare e definite le forme di tutela per i soggetti affetti dalle suddette malattie. Il D.M. n.279/2001 dispone inoltre:

- l'istituzione della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare al fine di assicurare specifiche forme di tutela ai soggetti affetti da malattie rare. La Rete è costituita da presidi accreditati, appositamente individuati dalle regioni mediante Delibere Regionali. A tali scopi, alcune regioni hanno individuato Centri di Coordinamento Regionali per l'organizzazione ed il funzionamento delle reti regionali delle malattie rare (elenco disponibile sul sito del Centro Nazionale Malattie Rare, [www.iss.it/cnmr](http://www.iss.it/cnmr), nella Sezione "Presidi accreditati dalle regioni");
- l'istituzione presso l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) del Registro Nazionale Malattie Rare (RNMR) al fine di consentire la programmazione nazionale e regionale degli interventi per i soggetti affetti da malattie rare e al fine di effettuare la sorveglianza delle stesse.

Il Registro Nazionale Malattie Rare mira ad ottenere informazioni epidemiologiche (numero di casi della specifica malattia rara e relativa distribuzione sul territorio nazionale) con lo scopo di definire la prevalenza/incidenza delle malattie rare, identificare i possibili fattori di rischio, supportare la ricerca clinica e promuovere il confronto tra operatori sanitari per la definizione di criteri diagnostici. Nel 2006 al fine di aumentare la copertura e l'efficienza della raccolta dei dati epidemiologici, il RNMR, ha adottato una nuova modalità di raccolta dati tramite software gratuito, sviluppato su piattaforma web e realizzato rispettando gli standard di sicurezza e di riservatezza per il trattamento dei dati sensibili. Tramite il software utilizzabile sia dai Centri di Coordinamento Regionale (modalità di trasmissione massiva, concordata con le regioni Lombardia, Piemonte, Toscana e Veneto, già in possesso di un proprio Registro Regionale), sia dai singoli presidi/centri abilitati alla diagnosi e al trattamento dei pazienti affetti da malattie rare (modalità di trasmissione puntiforme), i dati epidemiologici vengono raccolti nel RNMR. Il data set minimo di dati da inviare al RNMR, condiviso e concordato con tutte le regioni, prevede la compilazione di campi obbligatori sia per la parte anagrafica di arruolamento del paziente sia per la parte relativa alla patologia (grafico 1).

Grafico 1 - Data set minimo

## Dati del Paziente

Codice Fiscale	<input type="text"/>	<b>Codice fiscale, cognome e nome del paziente vengono criptati e resi non più visibili</b>
Cognome	<input type="text"/>	
Nome	<input type="text"/>	
Iniziali Cognome e Nome	<input type="text"/> <input type="text"/>	
Anno di nascita (aaaa)	<input type="text"/>	
Provincia di Residenza	--- Selezionare una Provincia ▼	
Comune di residenza	--- Selezionare un Comune ▼	
Titolo di studio	--- Seleziona un Titolo di Studio ▼	
Professione	--- Seleziona una Professione ▼	

## Scheda di Patologia

Codice Paziente : FEG1174	
<b>Ricerca parziale della patologia</b>	
<input type="text"/>	<input type="button" value="Cerca"/>
<b>Patologia</b>	
---Selezionare una Patologia ▼	
<b>Ulteriore Classificazione della Patologia</b>	
<input type="text"/>	
<b>Regione in cui e' situato l'Ente che ha effettuato la diagnosi</b>	
--- Tutte le Regioni ▼	
<b>Ente che ha effettuato la diagnosi</b>	
--- Selezionare un Ente o un Reparto ▼	
<b>Stato Estero in cui è situato l'ente che ha effettuato la diagnosi</b>	
--- Nessuno ▼	
<b>Ente Estero che ha effettuato la diagnosi</b>	
<input type="text"/>	
<b>Data Esordio</b>	
Giorno ▼	Mese ▼ Anno ▼
<b>Data prima Diagnosi</b>	
Giorno ▼	Mese ▼ Anno ▼
<b>Il paziente è in trattamento con Farmaci Orfani</b> <input type="radio"/> NO <input type="radio"/> SI (Specificare quali) <input type="text"/>	

*Dati disponibili nel Registro Nazionale Malattie Rare*

Nel maggio 2007 erano presenti nel RNMR n. 2099 schede, frutto dei primi tre mesi di attività del nuovo RNMR ovvero:

- individuazione e collegamento con tutti i Referenti Regionali;
- mappatura completa dei presidi/centri abilitati alla diagnosi e alla cura delle malattie rare per le regioni Calabria, Marche, Valle d'Aosta e per la Provincia Autonoma di Trento;
- abilitazione all'inserimento dei dati di 26 presidi/centri di cui 22 in Calabria, 1 nelle Marche, 2 nella Provincia Autonoma di Trento e 1 in Valle d'Aosta;
- invio "massivo" dei dati sulle malattie rare presenti nel proprio Registro Regionale delle Malattie Rare da parte della regione Piemonte.

*Attività di formazione e di disseminazione delle informazioni*

In considerazione dell'importanza della sorveglianza delle malattie rare, il Centro Nazionale Malattie Rare, mirando a coinvolgere attivamente esperti, Referenti Regionali e Referenti dei Centri ospedalieri organizza giornate di informazione e formazione sul RNMR e sulle attività epidemiologiche connesse. Inoltre nel sito del Centro Nazionale Malattie Rare è presente un'area dedicata al RNMR ([www.iss.it/cnmr](http://www.iss.it/cnmr)).

## Registro Nazionale Farmaci Orfani

Dott.ssa Domenica Taruscio, Dott.ssa Daniela Pierannunzio, Dott.ssa Annalisa Trama, Sig. Gianluca Ferrari, Dott.ssa Claudia Giannelli, Dott. Felice Giordano

Il farmaco orfano è quel prodotto che potenzialmente è utile per trattare una malattia rara, ma non ha un mercato sufficiente per ripagare le spese del suo sviluppo. Si definisce, quindi, "orfano" perché manca l'interesse da parte delle industrie farmaceutiche ad investire su un farmaco destinato a pochi pazienti.

La ricerca e lo sviluppo dei farmaci orfani, deve dunque essere stimolata ed incentivata da leggi specifiche. Le prime esperienze a tal proposito si sono avute negli Stati Uniti che, nel 1983 emanando l'Orphan Drug Act, prevedevano una serie di incentivi economici tra cui l'esclusività di mercato per sette anni. A seguire, un provvedimento simile è stato emanato in Giappone, in Australia e, nel 2000 l'Europa ha emanato il Regolamento CE n. 141/2000 del Parlamento Europeo e del Consiglio d'Europa. Scopo del Regolamento è di istituire una procedura comunitaria per l'assegnazione della qualifica di medicinali orfani e di offrire incentivi per la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio di tali medicinali.

Tale Regolamento istituisce, in seno all'Agenzia Europea di Valutazione dei Medicinali (EMA), il Comitato per i medicinali orfani (COMP) con il compito di esaminare le domande di assegnazione della qualifica di medicinale orfano presentate dagli sponsor (persona fisica o giuridica, che richieda oppure abbia ottenuto la qualifica di medicinale orfano). Il COMP è composto da un rappresentante di ciascuno Stato membro, tre rappresentanti delle organizzazioni dei pazienti e tre membri nominati dalla Commissione in base alle raccomandazioni dell'EMA.

Dall'aprile 2000, sono state presentate 650 domande per l'assegnazione di qualifica di farmaco orfano, più di 420 prodotti hanno ricevuto la designazione di farmaco orfano, 34 prodotti hanno ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio.

Dal 2002 ad oggi in Italia sono stati messi in commercio 24 "farmaci orfani" dei 34 autorizzati dall'EMA secondo procedure centralizzate.

Dei 24 farmaci, 6 (Zavesca, Ventavis, Aldurazyme, Carbaglu, Somavert, Myozyme) hanno una determinazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco che specifica tra le condizioni e modalità di impiego "l'inserimento dei pazienti nel registro nazionale dell'ISS con raccolta dei dati diagnostici e di *follow-up* secondo modalità definite tra ISS e regioni".

In questo contesto, nel 2004 l'ISS ha attivato il Registro Nazionale Farmaci Orfani (RNFO). Il RNFO è stato istituito con l'idea di fornire uno strumento per gli studi a lungo termine e per studi di patologie con presentazione clinica eterogenea per cui i trials clinici sono più difficili da effettuare e per cui è più difficile identificare *end points* clinici di efficacia. Obiettivo primario del RNFO è quello di attivare un sistema di sorveglianza per i farmaci orfani autorizzati a livello centralizzato dall'EMA e rimborsati dal Sistema Sanitario Nazionale. Il Registro, inoltre, si propone di promuovere la collaborazione tra i diversi centri di riferimento esistenti in Italia al fine di incoraggiare un miglior coordinamento dei Centri per lo studio di specifici farmaci orfani e relativa malattia rara.

Il RNFO raccoglie dati di diagnosi e *follow-up* dei pazienti in trattamento con i seguenti obiettivi:

- 1) valutare l'efficacia dei farmaci;
- 2) registrare gli effetti avversi;
- 3) definire il profilo rischio-beneficio;
- 4) valutare l'appropriatezza terapeutica.

Il RNFO predispone le schede di rilevazione di dati di diagnosi e *follow-up* per ogni farmaco orfano e relativa patologia rara. Le schede vengono elaborate in base alle evidenze scientifiche disponibili e condivise con un gruppo di esperti clinici individuati sul territorio nazionale. Le schede vengono compilate dai Centri regionali autorizzati all'erogazione dei farmaci orfani con una procedura di compilazione on line. Tali Centri vengono identificati e comunicati all'ISS dai Referenti Regionali dei Servizi Farmaceutici di ogni regione e, ad ogni centro, vengono assegnate le credenziali di accesso per accedere all'area riservata all'inserimento dei dati.

Il RNFO si prefigge di avere una copertura totale del territorio nazionale ovvero di riferirsi a tutti Centri in Italia abilitati all'erogazione e alla prescrizione dei farmaci orfani.

Il Centro Nazionale Malattie Rare ha predisposto e messo on line le schede di diagnosi e *follow-up* dei seguenti farmaci orfani:

- Ventavis per il trattamento di: Ipertensione Arteriosa Polmonare (IAP) - forma I e forme II specificate;
- Revatio, Thelin e Tracleer per il trattamento di: Ipertensione arteriosa polmonare e ipertensione tromboembolica cronica polmonare;

- Fabrazyme e Replagal per il trattamento di: Malattia di Fabry.

Saranno a breve disponibili anche le schede per i seguenti farmaci orfani:

- Aldurazyme per il trattamento di: Mucopolisaccaridosi tipo I;

- Somavert per il trattamento di: Acromegalia.

Ad oggi, tutti i Referenti Regionali sono stati contattati e, 7 regioni hanno completato la mappatura dei presidi abilitati alla erogazione dei farmaci orfani. Tali regioni sono:

- Basilicata;

- Campania;

- Molise;

- Piemonte;

- Sicilia;

- Umbria;

- Valle d'Aosta.

Complessivamente sono stati abilitati per l'inserimento dei dati 92 presidi: 24 per il trattamento con Fabrazyme e Replagal di pazienti con Malattia di Fabry e 68 per il trattamento con Revatio, Thelin, Tracleer e Ventavis di pazienti con IAP.

Attualmente sono presenti nel RNFO 88 schede di pazienti con IAP e 21 schede di pazienti con Malattia di Fabry in trattamento con i farmaci orfani relativi. Tali numeri sono incoraggianti considerando che la raccolta dati è iniziata a marzo 2007.

L'importanza di attivare un sistema di sorveglianza in grado di raccogliere informazioni sui farmaci orfani commercializzati in Italia è necessario poiché i farmaci orfani sono:

- farmaci con costi elevati di cui è quindi importante monitorare l'appropriatezza d'uso;

- farmaci che spesso ricevono l'autorizzazione alla messa in commercio *under exceptional circumstances* a causa delle limitate informazioni disponibili su efficacia e sicurezza;

- farmaci le cui aziende farmaceutiche che ne ottengono la registrazione non sempre hanno interesse a supportare adeguatamente studi che ne confermino l'efficacia.

Vista l'importanza della sorveglianza di tali farmaci, il Centro Nazionale Malattie Rare (<http://www.iss.it/cnmr/>) mira a coinvolgere attivamente esperti, Referenti Regionali e Referenti dei Centri ospedalieri organizzando giornate di informazione e formazione sul RNFO e sulle modalità di compilazione della scheda per la raccolta dei dati.

**Tabella 1** - Farmaci orfani e principi attivi autorizzati a livello centralizzato dall'EMA secondo l'indicazione per la designazione, la data di autorizzazione dell'EMA e la Gazzetta Ufficiale per l'immissione in commercio in Italia

Farmaco Orfano	Principio attivo	Indicazione per la designazione di farmaco orfano	Data di autorizzazione EMEA	Gazzetta Ufficiale
Aldurazyme	Laronidasi	Mucopolisaccaridosi di tipo I	10/06/03	G. U. n. 277 25/11/2004
Busilvex	Busulfan	Trattamento di condizionamento precedente al convenzionale trapianto di cellule emopoietiche progenitrici - HPCT	09/07/03	G.U. n. 145 24/6/2005
Carbaglu	Acido carglumico	Iperammonemia dovuta alla deficienza di N-acetilglutamato sintasi	24/01/03	G.U. n. 278 26/11/2004
Diacomit	Stiripentolo	Epilessia mioclonica severa dell'infanzia	04/01/07	
Evoltra	Clofarabina	Leucemia linfoblastica acuta	29/05/06	G.U. n. 67 21/3/2007
Exjade	Deferasirox	Trattamento del sovraccarico cronico di ferro in pazienti con beta talassemia major	28/08/06	In via di autorizzazione
Fabrazyme	Agalsidasi beta	Malattia di Fabry	04/05/01	G.U. n. 27 1/2/2002
Glivec	Imatinib	Leucemia mieloide cronica	27/08/01	G. U. n. 3 4/1/2002
Inovelon	Rufinamide	Sindrome di Lennox-Gastaut	16/01/07	
Litak	Cladribina	Leucemia a cellule capellute	14/04/04	
Lysodren	Mitotano	Carcinoma corticosurrenalico (corticosurrenale)	28/04/04	G. U. n. 46 25/2/2005
Myozyme	Alglucosidasi alfa	Malattia di Pompe (deficit di glucosidasi acida)	29/03/06	G.U. n. 273 23/11/2006
Naglazyme	Galsulfase	Mucopolisaccaridosi di tipo VI	24/01/06	G.U. n. 46 24/2/ 2007
Nexavar	Sorafenib isolato	Carcinoma a cellule renali	19/07/06	G.U. n. 272 2/11/2006
Onsenal	Celecoxib	Poliposi adenomatosa familiare	17/10/03	
Orfadin	Nitisinone	Tirosinemia ereditaria di tipo 1	21/02/05	
Pedea	Ibuprofene	Dotto arterioso pervio	29/07/04	G.U. n. 277 25/11/ 2004
Photobarr	Porfimer sodico	Ablazione della displasia grave nei pazienti affetti da esofago di Barrett	25/03/04	
Prialt	Ziconotide	Dolore cronico in pazienti che richiedono analgesia intratecale	21/02/05	G.U. n. 114 18/5/ 2007
Replagal	Algasidase alfa	Malattia di Fabry	04/05/01	G.U. n. 28 2/2/2004
Revatio	Sildenafil	Iperensione arteriosa polmonare	28/10/05	G. U. n. 176 31/7/2006
Savene	Dexraroxano	Extravasazione dell'antraciclina	28/07/06	
Somavert	Pegvisomant	Acromegalia	13/11/02	G. U. n 276 24/11/ 2004
Sprycel	Dasatinib	Leucemia mieloide cronica	20/11/06	G.U. n. 120 25/5/2007
Sutent	Sunitinib malato	Tumori stromali del tratto gastrointestinale	19/07/06	G.U. n. 272 22/11/2006
Thelin	Sitaxentan sodico	Iperensione arteriosa polmonare	10/08/06	
Tracleer	Bosentan	Iperensione arteriosa polmonare	15/05/02	G. U. n. 279 3/7/2003
Trisenox	Triossido di arsenico	Leucemia promielocitica acuta	05/03/02	G. U. n. 236 10/10/ 2003
Ventavis	Iloprost	Iperensione polmonare primaria	16/09/03	G.U. n. 277 25/11/2004
Wilzin	Zinco acetato diidrato	Morbo di Wilson	13/10/04	G. U. n. 196 24/8/2005
Xagrid	Anagrelide	Trombocitemia essenziale	16/11/04	G.U. n. 130 7/6/2006
Xyrem	Sodio oxibato	Narcolessia	13/10/05	G.U. n. 53 5/3/2007
Zavesca	Miglustat	Malattia di Gaucher	20/11/02	G.U. n. 277 25/11/2004

Fonte dei dati e anno di riferimento: Elaborazione dati del Centro Nazionale Malattie Rare su dati EMEA (<http://www.emea.europa.eu/>).