

---

## Malattie rare: Ossfor, "aggiornare Early Access Programs per garantire a tutti i pazienti accesso alle terapie"

Le norme dell'ordinamento italiano che regolano gli Early Access Programs (Eaps) sono strumenti fondamentali nel garantire opportunità a pazienti che altrimenti non avrebbero accesso alle terapie. Nondimeno sono norme scritte in tempi diversi e che non rappresentano un complesso organico. Le conseguenze sono spesso farraginosità burocratica e lunghi tempi di accesso effettivo. È quanto emerge dall'indagine condotta da [Ossfor-Osservatorio Farmaci orfani](#) su un campione di rappresentanti di associazioni di pazienti, di industria ed esperti di regolamentazione farmaceutica. La survey è contenuta nell'[VIII Quaderno pubblicato dall'Osservatorio, intitolato "Verso un ripensamento degli Early Access Programs"](#), realizzato con il contributo non condizionante di Amicus Therapeutics, Chiesi Global Rare Diseases, Janssen, Ptc Therapeutics, Kyowa Kirin, Sanofi, Sobi, Takeda. Il 55,6% del campione ha risposto che è necessario uniformare le fonti legislative legate agli Early Access Programs. Ma è interessante notare come tra i soli rappresentanti delle associazioni la percentuale salga all'83%. L'88,9% degli intervistati, inoltre, si è detto favorevole ad un Eap ad hoc per velocizzare l'accesso ad alcune categorie di farmaci, come gli orfani e gli oncologici. Rispetto alle criticità di implementazione di un programma di accesso anticipato ad hoc, la principale è il potenziale impatto sulla spesa farmaceutica (48%), seguita dall'impatto sul potere contrattuale in fase di negoziazione e da quello sul rapporto tra Centro e Regioni (16%). A influire maggiormente sui tempi di accesso dei farmaci sono la negoziazione (29,6%), i tempi di accesso regionale (20,4%) e i tempi di presentazione del dossier (19,8%). Nel dettaglio, per il 66,7% dei rappresentanti delle associazioni e degli esperti di regolatorio la voce che pesa maggiormente è rappresentata dai tempi di presentazione del dossier. Questa complessità ha fatto emergere la necessità di pensare a un aggiornamento degli Eaps per rendere ancora più veloce l'accesso dei pazienti alle terapie, attraverso procedure di accesso "accelerato". Per questo, [Ossfor-Osservatorio Farmaci orfani](#) ha voluto approfondire i contenuti del dibattito sviluppando una propria originale analisi e proposta, basata sull'esperienza accumulata in alcuni dei Paesi europei di maggior interesse e sugli esiti del confronto con alcuni esperti del settore. L'[VIII Quaderno](#) contiene la sintesi di questo lavoro e le conclusioni. Prioritari i temi degli usi off-label e quello dei fast track (percorsi di approvazione accelerata, ndr). Sul primo fronte, i principali obiettivi da perseguire sembrano essere la riduzione delle complessità burocratico-amministrative e l'implementazione di una maggiore trasparenza riguardo agli impatti e alle risorse effettivamente disponibili. Sul secondo, il tema emerso è quello dell'accelerazione dei tempi di accesso dei farmaci "meritori" per cui l'obiettivo è duplice: da una parte l'efficacia dello schema, dall'altra l'individuazione di una modalità per mitigarne i rischi finanziari. Riguardo a questi ultimi, le forme di payback, già utilizzate in Italia in altri contesti, possono risolvere tale criticità.

Giovanna Pasqualin Traversa