

FARMACI ORFANI E PREPARAZIONI GALENICHE

Luca Giannotti

Il concetto di farmaco “orfano”

Un capitolo a parte è rappresentato dai *farmaci orfani*, la cui classificazione non è di tipo amministrativo, ma derivante da ragioni di mercato ed economiche.

Il farmaco orfano non è diffuso dall'industria farmaceutica per ragioni economiche ma risponde ad una necessità di salute pubblica.

Concretamente possono presentarsi tre casi:

1. *farmaci destinati al trattamento di malattie rare*: sono concepiti per trattare i pazienti affetti da malattie per le quali non esiste ancora una cura soddisfacente. Queste malattie colpiscono una piccola porzione della popolazione (meno di una persona su 2000 in Europa), molto spesso dalla nascita o dall'infanzia. Attualmente nel mondo il numero di malattie rare per le quali non esiste una cura è stimato tra quattro mila e cinque mila circa; e da 25 a 30 milioni sarebbero le persone interessate da tali malattie in Europa.
2. *farmaci ritirati dal mercato per ragioni economiche e terapeutiche*: per esempio, il talidomide è stato molto usato come ipnotico alcuni anni fa, poi ritirato dal mercato per la scoperta di un tragico e frequente effetto teratogeno. In ogni caso – particolarmente negli ultimi anni – questo farmaco ha dimostrato proprietà antalgiche molto interessanti nelle malattie come la lebbra e il lupus eritematoso, per le quali non si è ancora trovata alcuna soluzione.

3. farmaci non diffusi (sviluppati): sia perché derivano da un processo di ricerca non brevettabile; sia perché riguardano dei mercati importanti ma non solvibili.

In passato, le aziende prima ideavano e sviluppavano i prodotti e poi cercavano di venderli, tenendo raramente in considerazione i bisogni dei consumatori. Così, pochissimi prodotti venivano creati per rispondere alle loro richieste. La pubblicità, allora doveva creare un bisogno; oggi, al contrario, la maggior parte dei produttori utilizza il concetto di *marketing orientato al mercato*, secondo cui i beni dovrebbero essere sviluppati solo dopo aver identificato ed individuato i bisogni. In questo modo i beni possono essere prodotti e distribuiti ottenendo un adeguato profitto. In altre parole, i prodotti non sono frutto del caso, ma rappresentano il risultato di un'attenta pianificazione del lancio pubblicitario e della vendita. Il marketing è dunque un sistema interattivo di attività economiche la cui funzione consiste nella programmazione, determinazione del prezzo, promozione e distribuzione dei prodotti e servizi che rappresentano i bisogni del consumatore. A questa logica, per quanto la cosa appaia inaccettabile, non sfugge il mercato farmaceutico e ne costituiscono un esempio i cosiddetti "farmaci orfani".

Essi sono destinati alla cura delle malattie talmente rare che i produttori sono poco disposti a diffonderli nelle condizioni abituali di commercializzazione.

Il processo che porta dalla scoperta di una nuova molecola fino alla sua immissione in commercio, è lungo (in media dieci anni), costoso (diverse decine di milioni di euro) e molto aleatorio (tra dieci molecole testate, una sola può avere effetto terapeutico).

Diffondere un farmaco destinato al trattamento di una malattia rara, o comunque presente in mercati economicamente insolubili, non permette alle imprese produttrici di ammortizzare, attraverso le vendite, gli investimenti in ricerca, sviluppo e produzione.

E' comunque necessario che i pazienti affetti da malattie rare non rimangano esclusi dai progressi della scienza e della terapia. Per tale ragione si è resa necessaria l'attuazione di tutta una particolare politica sui farmaci orfani¹.

Nonostante questi notevoli impegni da parte degli Stati nel promuovere presso le aziende farmaceutiche lo sviluppo dei farmaci orfani, numerosi sono ancora i problemi di accessibilità ai farmaci, particolarmente nei paesi dove le precarie condizioni economiche rappresentano un forte limite al marketing, che ormai troppo spesso – forse in maniera non corretta – controlla le scelte imprenditoriali, inverosimilmente anche nel campo della salute.

Non è concepibile, a mio parere, che molte patologie rare non ricevano, ancora oggi, i trattamenti che il progresso medico dovrebbe essere in grado di garantire in termini di qualità, principalmente a causa della scarsa convenienza economica dei farmaci utilizzati per la loro cura.

L'allestimento di galenici magistrali nelle farmacie pubbliche ed ospedaliere può ragionevolmente sopperire a molti dei problemi indicati in precedenza. Da questo compito il farmacista non può e non deve esimersi, in quanto rappresenta una delle peculiarità caratterizzanti la sua professione.

¹ Per una trattazione dettagliata si vedano: *Orphan Drug Act*, Stati Uniti, 1983; *Regolamento (CE) N° 141/2000 riguardante i farmaci orfani*, Consiglio e Parlamento Europeo, 16 dicembre 1999; *Regolamento (CE) N° 847/2000*, Commissione Europea, 27 aprile 2000, che stabilisce le disposizioni di applicazione dei criteri di designazione di un farmaco come farmaco orfano, definendo i concetti di “farmaci simili” e di “superiorità clinica”.