

XII COMMISSIONE PERMANENTE

(Affari sociali)

S O M M A R I O

INDAGINE CONOSCITIVA:

Indagine conoscitiva sulle malattie rare.

Audizione di docenti universitari ed esperti in materia di malattie rare (*Svolgimento e conclusione*) 75

INTERROGAZIONI:

5-04531 Binetti: Disponibilità in Italia del farmaco per la fibrosi polmonare idiopatica ... 76

ALLEGATO (*Testo della risposta*) 77

AVVERTENZA 76

INDAGINE CONOSCITIVA

Mercoledì 15 aprile 2015. — Presidenza del presidente Pierpaolo VARGIU, indi della vicepresidente Daniela SBROLLINI.

La seduta comincia alle 14.30.

Indagine conoscitiva sulle malattie rare.

Audizione di docenti universitari ed esperti in materia di malattie rare.

(*Svolgimento e conclusione*).

Pierpaolo VARGIU, *presidente*, propone che la pubblicità dei lavori sia assicurata anche mediante impianti audiovisivi a circuito chiuso. Non essendovi obiezioni, ne dispone l'attivazione.

Introduce, quindi, l'audizione.

Il professor Carlo VANCHERI, *ordinario di malattie respiratorie presso l'Università di Catania*, il professor Placido BRAMANTI, *direttore scientifico IRCCS Centro Neurolesi « Bonino Pulejo » di Messina*, il professor Roberto Generoso ANDRIA, *di-*

rettore del Dipartimento clinico di pediatria – Università degli studi Federico II di Napoli e responsabile centro coordinamento malattie rare regione Campania, il professor Giuseppe ZAMPINO, *responsabile del Servizio di Epidemiologia e clinica dei difetti congeniti del Policlinico Universitario Agostino Gemelli di Roma*, la dottoressa Vincenzina LUCIDI, *responsabile dell'unità operativa complessa fibrosi cistica dell'Ospedale Bambin Gesù*, la dottoressa Maria PICCIONE, *ricercatrice presso il Policlinico-Università degli studi di Palermo e responsabile del centro di riferimento regionale della Sicilia per le malattie genetiche, cromosomiche e rare* e la dottoressa Laura NARDELLI, *esperta in malattie rare* svolgono una relazione sui temi oggetto dell'audizione.

Intervengono quindi i deputati Paola BINETTI (AP), Anna Margherita MIOTTO (PD), Ileana ARGENTIN (PD), Eugenia ROCCELLA (AP), Silvia GIORDANO (M5S) e Maria AMATO (PD).

La dottoressa Vincenzina LUCIDI, *responsabile dell'unità operativa complessa*

fibrosi cistica dell'Ospedale Bambin Gesù, il professor Giuseppe ZAMPINO, *responsabile del Servizio di Epidemiologia e clinica dei difetti congeniti del Policlinico Universitario Agostino Gemelli di Roma*, e il professor Roberto Generoso ANDRIA, *direttore del Dipartimento clinico di pediatria – Università degli studi Federico II di Napoli e responsabile centro coordinamento malattie rare regione Campania*, intervengono in replica.

Daniela SBROLLINI, *presidente*, ringrazia gli intervenuti e dichiara quindi conclusa l'audizione.

La seduta termina alle 16.

N.B.: Il resoconto stenografico della seduta è pubblicato in un fascicolo a parte.

INTERROGAZIONI

Mercoledì 15 aprile 2015. — Presidenza del presidente Pierpaolo VARGIU. — Interviene il sottosegretario di Stato per la salute, Vito De Filippo.

La seduta comincia alle 16.

5-04531 Binetti: Disponibilità in Italia del farmaco per la fibrosi polmonare idiopatica.

Il sottosegretario Vito DE FILIPPO risponde all'interrogazione in titolo nei termini riportati in allegato (*vedi allegato*).

Paola BINETTI (AP), replicando, ringrazia il rappresentante del Governo per le informazioni fornite e per avere messo a fuoco la problematica dei pazienti che soffrono di gravi patologie e che vengono a sapere dell'esistenza di un farmaco innovativo che però non è reperibile sul mercato. Auspica, pertanto, un'efficace comunicazione su questi temi e che tali farmaci possano essere resi disponibili rapidamente, preferibilmente a carico del Servizio sanitario nazionale.

Pierpaolo VARGIU, *presidente*, dichiara concluso lo svolgimento delle interrogazioni all'ordine del giorno.

La seduta termina alle 16.05.

AVVERTENZA

I seguenti punti all'ordine del giorno non sono stati trattati:

SEDE REFERENTE

Nuove disposizioni in materia di indennizzo a favore delle persone affette da sindrome da talidomide.

Nuovo testo unificato C. 263 Fucci, C. 843 Piazzoni e C. 858 Miotto.

Disposizioni in materia di assistenza in favore delle persone affette da disabilità grave prive del sostegno familiare.

Testo unificato C. 698 Grassi, C. 1352 Argentin, C. 2205 Miotto, C. 2456 Vargiu, C. 2578 Binetti e C. 2682 Rondini.

ALLEGATO

5-04531 Binetti: Disponibilità in Italia del farmaco per la fibrosi polmonare idiopatica.**TESTO DELLA RISPOSTA**

In data 22 dicembre 2014, l'Azienda farmaceutica «Boehringer Ingelheim International» ha presentato all'AIFA la domanda di classificazione e contrattazione del prezzo per un farmaco contenente il principio attivo «Nintedanib», il cui nome commerciale è «Ofev».

Sebbene l'istanza risultasse carente di alcuni essenziali elementi documentali previsti dalle disposizioni normative di riferimento, trattandosi di farmaco orfano e, quindi, di importanza rilevante, è stata comunque avviata subito la relativa istruttoria, con la necessaria valutazione da parte della Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) presso l'Agenzia, sul valore terapeutico della specialità, sul c.d. «place in therapy», e cioè il ruolo del nuovo farmaco nell'evoluzione della patologia nonché sul regime di fornitura.

Detta valutazione da parte della CTS è stata calendarizzata per la seduta del 24 marzo 2015.

Il «dossier» relativo al farmaco sarà quindi portato all'attenzione del Comitato Prezzi e Rimborso (CPR) dell'AIFA che, esaminata la documentazione presentata dall'azienda, procederà alla negoziazione del prezzo.

Ove le parti esprimano mutuo consenso, si procederà con la stipula di un accordo negoziale che, di norma, contiene il prezzo, la classe di rimborsabilità, il regime di fornitura, i soggetti autorizzati alla prescrizione, le eventuali condizioni di rimborsabilità condizionata e/o la previ-

sione di tetti di spesa, l'applicazione di un piano terapeutico cartaceo, eventuali note, eccetera.

Orbene, essendo tuttora in corso la fase istruttoria, non è possibile – allo stato – individuare con esattezza i centri che potranno prescrivere il farmaco (che di solito è un'attività che spetta alle Regioni), né le tipologie di pazienti a cui sarà destinato.

Va comunque ribadito che la natura di farmaco orfano della specialità in questione, fa sì che la procedura negoziale debba concludersi nel termine di 100 giorni, secondo quanto previsto dal già citato articolo 12, comma 5-*bis*, anziché nel termine ordinario di 180 giorni.

Si sottolinea che, ad oggi il farmaco oggetto dell'interrogazione non risulta ancora commercializzato in alcun Paese europeo.

A tale riguardo, si fa presente che lo stato di avanzamento delle procedure nei vari Paesi è portato a conoscenza delle aziende produttrici, sia mediante comunicati formali che tramite accesso delle aziende stesse al sistema di negoziazione «on line», consultabile dai soggetti interessati in ogni momento.

Si segnala, inoltre, che proprio nell'ottica di garantire la massima trasparenza nello svolgimento delle procedure, sul sito istituzionale dell'AIFA sono sempre pubblicati o i resoconti delle riunioni delle citate Commissioni, o vengono comunque indicati in forma sintetica i contenuti dei

pareri espressi da dette Commissioni in merito ai singoli farmaci oggetto di trattamento.

Per il farmaco in questione nel trattamento della fibrosi polmonare idiopatica, è tuttora in corso un programma di uso compassionevole, ai sensi del d.m. 8 maggio 2003 (Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione cli-

nica), per pazienti con detta patologia non eleggibili a pirfenidone.

Da ultimo, relativamente a tale programma, la citata ditta ha comunicato all'AIFA, la propria disponibilità ad accettare domande per nuovi pazienti, fino alla pubblicazione in *Gazzetta Ufficiale* degli esiti della procedura negoziale di rimborsabilità e prezzo.