

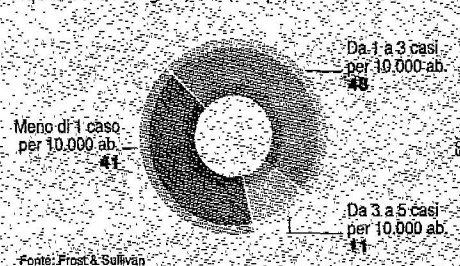
Farmaci, addio 'blockbuster', è l'ora dei 'nichebuster'

Uno studio dei consulenti internazionali di Frost & Sullivan conferma che la ricerca si sta concentrando sui prodotti di nicchia riservati a malattie rarissime, che garantiscono più profitti da quando la scadenza dei brevetti e l'avvento dei generici ha fatto crollare la redditività dei medicinali di più ampia diffusione

Il mercato dei farmaci "orfani", destinati alla cura delle malattie rare

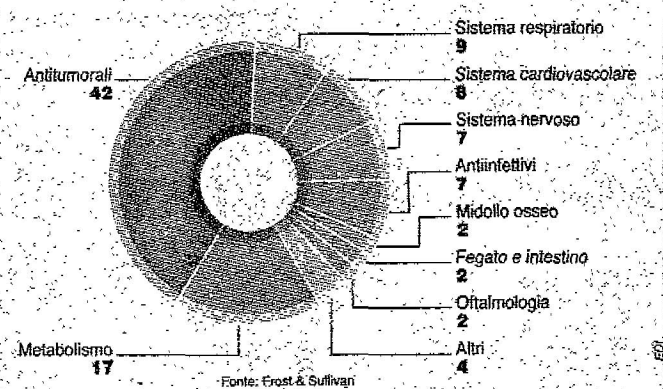
Il mercato dei farmaci orfani

A quanti casi si rivolgono, in % (Europa)



I settori dei farmaci orfani

In % sul totale (Europa)



STEFANIA MARTANI

Un padre è disperato: ai suoi due figli è stata diagnosticata la malattia di Pompe, una rara patologia genetica che porta a un progressivo indebolimento della muscolatura, cuore compreso. Non esistono farmaci in grado di bloccare il decorso. L'uomo non si arrende: si associa a un ricercatore anticonformista e mette su una piccola *biotech* per sviluppare il farmaco salvavita. È la trama del film *Misure straordinarie*, che ha focalizzato l'attenzione sulle malattie rare e i farmaci orfani: non perché privi d'autore ma perché destinati alla diagnosi, prevenzione e cura di patologie che, secondo i parametri europei, colpiscono non più di 5 persone ogni 10.000 (in Giappone parlano di rarità se la patologia colpisce meno di 4 persone ogni 10.000 abitanti; negli Stati Uniti si passa a meno di 7,5 cittadini su 10.000). Il numero sembra piccolo ma si traduce in più di 240 mila individui nell'Unione Europea.

Sebbene rare, tali malattie non sono poche: l'Organizzazione Mondiale della Sanità stima che ne esistano circa 8000, che colpiscono il 6% della popolazione in totale (oltre 20 milioni in Europa), il 10% delle patologie umane conosciute. In Italia riguardano più di un milione e mezzo di pazienti. Tra le più note la malattia di Gaucher, l'ipertensione arteriosa polmonare, la malattia di Fabry, quella di Pompe, la fibrosi cistica, l'atrofia muscolare e

spinale infantile. Nell'80% dei casi sono patologie genetiche ereditarie che interessano il 3-4% delle nascite e colpiscono i bambini. Altre appaiono da adulti come la malattia di Huntington, quella di Crohn, la sclerosi laterale amiotrofica. Se Big

Pharma, negli anni del boom farmaceutico, non si occupava dei farmaci orfani, concentrando gli sforzi nelle molecole in grado di curare milioni di persone, ora il trend si inverte: la scadenza di brevetti dei cosiddetti *blockbuster*, le linee guida più restrittive di Fda ed Emea, i costi proibitivi della ricerca, hanno innescato una corsa al farmaco orfano. Al punto che non si fa quasi più ricerca sui farmaci "generalisti": sono vent'anni che non esce un nuovo antibiotico, e il genere umano è vulnerabile a nuovi germi. Il fatto è che alle industrie conviene puntare sui farmaci orfani: dopo l'avvento dei generici, un ex-*blockbuster* che cura milioni di malati come una statina vale 1.500 dollari l'anno per paziente, mentre il Naglazyme, che cura una rarissima alterazione metabolica, rende 365 mila dollari a paziente nei soli Stati Uniti, dove i nove farmaci più costosi curano malattie che affliggono meno di 10 mila persone.

Secondo il Tufts Center for the Study of Drug Development negli Usa i farmaci che hanno ottenuto la designazione di "orfano" sono passati da 208 nel 2000 a 425 nel 2008. E secondo l'European organization for rare diseases, dall'inizio del 2009 ad oggi 577 farmaci sono stati designati come orfani e 57 di questi hanno ottenuto l'autorizzazione alla vendita in Europa. La ricerca di

Frost & Sullivan "Il mercato dei farmaci orfani" rivela che in Europa il settore ha fatturato quasi 14 miliardi di euro nel 2008 e può crescere fino a più di 20 nel 2015. Il mercato europeo della malattia di Gaucher è schizzato a oltre 400 milioni di euro, con una crescita sull'anno scorso dell'11%, e quello delle terapie per l'ipertensione arteriale del polmone è arrivato a 750 milioni.

Tutto ciò sta mutando i paradigmi aziendali dell'industria. Molti big perseguono obiettivi di acquisizione di piccole imprese del biotecnologico. «Entro 5 anni farmaci per un valore di 90 miliardi di dollari perderanno l'esclusività», spiega il consulente di Frost & Sullivan, Sha-beer Hussain. «La situazione economica e la competizione derivante dai generici hanno portato le case a modificare strategie e a concentrarsi sui 'niche-busters', vale a dire blockbuster di nicchia». I governi incoraggiano la ricerca in questo campo: negli Stati Uniti la legge sui farmaci orfani (*Orphan Drug Act*) prevede detrazione fino al 50% delle spese sostenute per la ricerca, incentivi per la sperimentazione e l'immissione in commercio del farmaco e un periodo di 7 anni di 'copertura' brevettuale. L'Unione Europea ha approvato con la direttiva "European orphan medicinal product regulation", che ha portato alla nascita di un comitato per i farmaci orfani all'interno dell'Emea e all'erogazione di incentivi di vario tipo. «Sulla base di 25 anni di esperienza degli Stati Uniti e 9 anni nell'Ue - dice Hussain - si prevede che ci saranno circa 100 nuovi prodotti designati orfani tra il 2010 e il 2019. I farmaci orfani sono la chiave per il recupero del settore».

© RIPRODUZIONE RISERVATA

