

EXECUTIVE SUMMARY

La diminuzione delle donazioni di plasma, in Italia e all'estero, a partire dall'inizio della pandemia e il tempo necessario per la produzione dei farmaci plasmaderivati (fino a 12 mesi), mettono a rischio la disponibilità di tali farmaci per i pazienti.

Alcune azioni prioritarie da mettere in atto rapidamente possono aiutare a gestire il rischio di non disponibilità di queste terapie salvavita nel breve termine:

- Valutare le scorte nazionali di immunoglobuline polivalenti e delineare una realistica proiezione della domanda nazionale da condividere attraverso incontri del Centro Nazionale Sangue e dell'Agenzia Italiana del Farmaco con le singole aziende che producono plasmaderivati.
- Prevedere una procedura semplificata/accelerata per la valutazione di rimborsabilità e prezzo (incluse le rinegoziazioni) per i plasmaderivati che tenga conto delle fluttuazioni della disponibilità di plasma specifiche del settore, affinché l'Italia possa competere a livello internazionale garantendo l'accesso dei pazienti a questi farmaci.
- Escludere i plasmaderivati dal tetto di spesa, a invarianza di risorse stanziare nei due tetti di spesa farmaceutica, in considerazione delle criticità nella raccolta del plasma a livello mondiale.

PLASMADERIVATI, FARMACI SALVAVITA

- I plasmaderivati sono farmaci biologici, prodotti a partire dalle proteine contenute nel plasma umano, che servono per integrare componenti mancanti del sangue o svolgere specifiche attività terapeutiche.
- Sono spesso usati per trattare malattie rare di origine genetica (immunodeficienze primarie, emofilia, angioedema ereditario, ecc.), complicanze di gravi patologie neurologiche e oncoematologiche, nelle gravi infezioni batteriche e nelle infezioni virali che complicano i trapianti di organo solido e midollo.
- Nella maggioranza dei casi non hanno alternative terapeutiche.

- La raccolta di sangue intero o plasma in quantità sufficiente per curare le molte persone che dipendono per tutta la vita da queste terapie rappresenta quindi una priorità.

LE IMPRESE FARMACEUTICHE E I PLASMADERIVATI IN ITALIA E NEL MONDO

- La ricerca e la produzione di plasmaderivati rappresentano un'area di forte impegno della farmaceutica in Italia, grazie a imprese che investono più della media manifatturiera e complessivamente contano più di 1.700 addetti.
- Gli investimenti in R&S sono destinati a nuovi farmaci e al costante miglioramento delle tecnologie produttive per rendere disponibili più medicinali per i pazienti.

ASPETTI PRODUTTIVI E FORNITURA AL SSN

- La disponibilità di plasma è limitata e dipende esclusivamente dalle donazioni volontarie, perché il plasma non è sintetizzabile in laboratorio.
- Il tempo necessario per la produzione, a partire dalla donazione di plasma, può arrivare fino a 12 mesi ed è quindi fondamentale una programmazione a lungo termine, per assicurare la disponibilità delle terapie per i pazienti che ne hanno bisogno.
- I plasmaderivati disponibili in Italia sono prodotti a partire dal plasma raccolto:
 - sul territorio nazionale e trasformato nelle varie tipologie di farmaci dalle aziende farmaceutiche, presso i propri stabilimenti;
 - all'estero, anch'esso trasformato dalle aziende farmaceutiche nei prodotti finiti, che seguono canali e processi di autorizzazione, prezzo, rimborsabilità e tracciabilità uguali a quelli dei farmaci di sintesi e sono generalmente acquisiti dal SSN tramite procedure di gara.
- La spesa sostenuta per l'acquisto dei medicinali prodotti con il plasma raccolto all'estero incide prevalentemente sulla spesa farmaceutica per acquisti diretti ed è soggetta al meccanismo del ripiano, diversamente da quanto accade per i farmaci plasmaderivati prodotti da plasma nazionale.

- La domanda mondiale di questi farmaci, per effetto dell'invecchiamento della popolazione e dell'aumento della capacità diagnostica, è in costante crescita.
- Attualmente, l'uso pro-capite in Italia di immunoglobuline polivalenti è ancora inferiore rispetto a quello di altri Paesi economicamente avanzati (nel 2020, Italia 110,8 kg per milione di abitanti rispetto, ad esempio, a Francia con 173,6 o Germania 125,5)¹.

LA DISPONIBILITÀ DI PLASMADERIVATI

- Nel 2020, anno della pandemia Covid 19, in Italia si è registrato un calo della raccolta pari al 2%, recuperato nel corso del 2021. Nel 2022 si è verificato una nuova riduzione della raccolta di plasma pari al 2,3%, riportando il nostro Paese a un livello inferiore a quello del 2020.
- Negli USA, dall'inizio della pandemia, si è assistito ad una flessione pari ad oltre il 40% nei primi mesi del 2020 che si è poi stabilizzata su base annua al 20%. Anche se si sta assistendo a un graduale allineamento ai livelli di raccolta pre-pandemici dovuto a diverse cause, questa riduzione si è protratta per tutto il 2021 e il 2022.
- Questi fattori stanno determinando quindi una riduzione della disponibilità di plasmaderivati a livello mondiale, in particolare di immunoglobuline polivalenti, con gravi conseguenze sulla possibilità di accesso dei pazienti alle terapie fino a tutto il 2023 considerati la lenta ripresa della raccolta di plasma a livello internazionale e i tempi di produzione.
- Nonostante in Italia la raccolta del plasma nell'ambito del Programma di autosufficienza garantisca una buona copertura dei fabbisogni, siamo dipendenti dall'estero per una parte comunque significativa.
- La limitata disponibilità di plasma (che ha determinato un aumento del suo costo sia in Europa sia negli Stati Uniti) e la crescente domanda di plasmaderivati nel mondo accrescono inoltre la competizione tra Paesi per il loro approvvigionamento.

¹ Fonte: Marketing Research Bureau.

- Analogamente a quanto fatto da altri Paesi europei, anche in Italia è necessario creare condizioni più favorevoli per rendere il nostro Paese più attrattivo negli approvvigionamenti, in particolare trovando un migliore equilibrio tra i prezzi, più bassi che in Europa, e i costi, più alti anche a causa degli oneri delle misure di contenimento della spesa farmaceutica (il cosiddetto “payback”). Un’azione fondamentale per evitare criticità nell’accesso alla cura dei pazienti determinate dalle possibili e purtroppo probabili carenze future.