

**EXECUTIVE SUMMARY
FARMACI PLASMADERIVATI:
CONTESTO DI RIFERIMENTO
E SFIDE PER L'ACCESSO
ALLE TERAPIE**

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 oncematologiche** oltre che nei **trapianti**.

Nella maggioranza dei casi non hanno alternative terapeutiche.

Ogni donazione di sangue intero o plasma **contiene solo una quantità minima di proteine** utili a produrre i farmaci necessari a una determinata terapia. È quindi evidente la **necessità di raccogliere sangue o plasma sufficiente a garantire la disponibilità di plasmaderivati per la cura** delle molte **persone** che dipendono per **tutta la vita** da queste terapie.

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 anche al costante **miglioramento delle tecnologie produttive** per massimizzare le rese industriali, valorizzando in questo modo la materia prima raccolta con le donazioni con l'obiettivo di **rendere disponibili più prodotti** per i pazienti.



Sono **imprese impegnate** anche in **studi clinici** con **farmaci** ad azione mirata **contro il virus SARS-CoV-2** derivati dal plasma di pazienti guariti dalla Covid-19 e nella **R&S** di plasmaderivati per trattare in modo sempre più efficace un **numero maggiore di patologie**.

Aspetti produttivi e fornitura al SSN

La materia prima, il **plasma**, è una **risorsa limitata** la cui **disponibilità dipende** esclusivamente dalle **donazioni volontarie**, perché non è sintetizzabile in laboratorio.

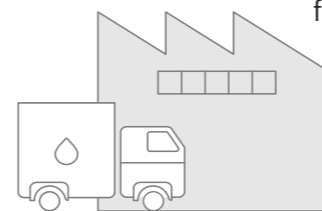
Per rispondere ai fabbisogni terapeutici della popolazione il **processo di raccolta del plasma umano** e la successiva **produzione** necessitano di una **programmazione a lungo termine**, con **tempi** che, dalla donazione alla distribuzione del prodotto finito,



possono arrivare **fino a 12 mesi**.

I **plasmaderivati disponibili in Italia** sono **prodotti** a partire dal:

- **plasma raccolto sul territorio nazionale** dalle strutture trasfusionali o dalle associazioni/federazioni di donatori di sangue che viene **trasformato dalle aziende farmaceutiche**, presso i propri stabilimenti, nelle varie tipologie di farmaci;
- **plasma raccolto all'estero**; questi **medicinali sono acquistati dal SSN** tramite le procedure di gara predisposte per garantire una risposta alla richiesta di plasmaderivati.



Si tratta di **due canali di produzione distinti ma comunicanti** fra loro per assicurare la disponibilità delle terapie e compensare le eventuali carenze causate, ad esempio, da un calo nella raccolta del plasma nazionale.

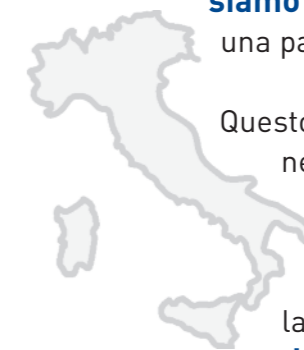
Per dare risposta alle esigenze di salute come quelle legate, ad esempio, all'invecchiamento della popolazione o all'aumento delle diagnosi delle malattie che possono essere trattate efficacemente con plasmaderivati, la **domanda mondiale di questi farmaci è in costante crescita**. E lo sarà anche in Italia, considerato inoltre che l'attuale uso pro-capite per alcuni di essi è ancora

inferiore rispetto a quello di altri Paesi sviluppati.

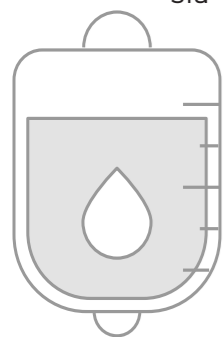
L'impatto della pandemia Covid-19 sulla disponibilità di plasmaderivati

La **pandemia** da Covid-19 ha avuto un **impatto sulla raccolta di plasma**. In Italia, si è registrato **nel 2020 un calo** della raccolta pari al **2%** e ancora **più preoccupante** è stata la **riduzione a livello internazionale**. In particolare, negli **USA**, il principale Paese che da solo garantisce il 60% della raccolta, dove, dall'inizio della pandemia, si è assistito ad una **flessione** pari ad **oltre il 40%** che si è poi **stabilizzata su base annua al 20%**.

Un fenomeno da seguire con grande attenzione poiché, anche se in **Italia** la **raccolta del plasma** nell'ambito del Programma di autosufficienza garantisce una **buona copertura dei fabbisogni, siamo dipendenti dall'estero** per una parte comunque significativa.



Questo calo nella raccolta determinerà nei **prossimi mesi** una **riduzione della disponibilità di plasmaderivati a livello globale**, in particolare di **immunoglobuline polivalenti**, con potenziali gravi conseguenze sulla possibilità di accesso dei pazienti alle terapie.



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 **accregono** infatti la **competizione tra Paesi** per il loro approvvigionamento.

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

Nel position paper sono **proposte** alcune misure necessarie **per rispondere ai rischi di non disponibilità dei prodotti** anche nel breve termine.

FARMINDUSTRIA

Largo del Nazareno 3/8 - 00187 Roma

T: 06 675801

Avenue de la Joyeuse Entrée 1 - B1040 Bruxelles

T: +32 2 2861255

farmindustria@farmindustria.it

www.farmindustria.it



FARMINDUSTRIA