

Le conquiste del volontariato oncologico in Italia e in Europa: tumori rari e accesso ai farmaci

di F. De Lorenzo – FAVO, ECPC

Europa e tutela della salute

Nell'ordinamento dell'Unione europea le politiche relative alla organizzazione e alla prestazione dei servizi sanitari hanno da sempre costituito oggetto di **riserva statale**. Il Trattato di Roma del 1957 non affidava alla Comunità europea alcuna competenza in materia, dando vita a un modello di ente sovranazionale finalizzato soltanto alla promozione e allo sviluppo di un mercato unico.

L'ambito disciplinare **tutela della salute**, tuttavia, è *emerso* lentamente nel diritto primario dei Trattati in ragione della progressiva trasformazione dell'UE in un ente sovranazionale sempre più *politico* e "a competenza generale". L'obiettivo del miglioramento della salute, con il tempo, ha acquisito un più ampio spessore e una sua autonomia anche nel contesto generale delle politiche dell'Unione europea.

Oggi la materia è regolata dall'art. 168 del TFUE che conserva l'impostazione originale per cui l'Unione rispetta la responsabilità degli Stati membri per la definizione della loro politica sanitaria e per l'organizzazione e la fornitura di servizi sanitari e di assistenza medica. Tuttavia, nella definizione e nell'attuazione di tutte le sue politiche, l'Unione garantisce un livello elevato di protezione della salute, attraverso il nuovo approccio "*Health in all policies*".

Sin dall'inizio del progetto di integrazione europea, sono state comunque intraprese iniziative congiunte di cooperazione tra gli Stati membri, rimesse alla libera iniziativa di ciascuno di essi e rivolte al contrasto di gravi malattie a elevato impatto sociale come il cancro.

Nel settore dell'oncologia, un ruolo fondamentale di impulso per la realizzazione di iniziative sovranazionali è stato assicurato dall'attività di *lobbying* del volontariato europeo rappresentato dalla *European Cancer Patient Coalition* (ECPC), di cui l'Associazione Italiana Malati di Cancro (AiMaC) è socia fondatrice e FAVO è membro attivo. Il volontariato, infatti, attento alle dinamiche della politica europea, ha compreso da tempo che il Parlamento Europeo e la Commissione sarebbero diventati interlocutori di rilievo e destinatari tra i più importanti dell'attività di *advocacy* delle Associazioni.

La sfida per la sostenibilità economica e politica dei sistemi di *welfare* che accomuna tutti i Paesi dell'Unione, infatti, deve essere condotta anche a livello europeo. Ad essere in crisi, infatti, non sono soltanto i bilanci dei singoli sistemi sanitari con le loro peculiarità nazionali, ma un vero e proprio modello di assistenza che ha connotato fortemente le società europee, ma che ora rischia di modificarsi surrettiziamente, senza che la politica governi e gestisca il cambiamento.

Il contributo che può venire dall'Europa, dunque, è fondamentale soprattutto per affrontare e risolvere alcune problematiche che, a livello dell'Unione, possono trovare risposte migliori perché più efficienti, ma anche più efficaci. La promozione della cooperazione tra gli Stati membri, prevista espressamente dall'art. 168 del TFUE, si è tradotta principalmente in progetti e iniziative di politica sanitaria finanziati nell'ambito del **Programma salute**, il principale strumento di cui si avvale la Commissione per dare esecuzione alla strategia europea del settore. In attuazione delle disposizioni del Trattato, inoltre, sono stati adottati veri e propri atti normativi volti a fornire ai paesi dell'UE la base giuridica per la realizzazione di collaborazioni e iniziative di cooperazione in ambiti specifici.

Le conquiste nella lotta ai tumori rari

In questo contesto normativo e programmatico, il volontariato, in Italia e in Europa, ha ottenuto importanti risultati nella **lotta ai tumori rari**, sfruttando le opportunità create dal diritto dell'UE nel settore più ampio delle malattie rare.

La Direttiva 24/2011/UE, concernente l'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera, ha previsto all'art. 12, co. 1 che *"La Commissione sostiene gli Stati membri nello sviluppo delle reti di riferimento europee tra prestatori di assistenza sanitaria e centri di eccellenza negli Stati membri, **soprattutto nel settore delle malattie rare**"*. L'attivazione degli ERN (*European Reference Network*)¹ è finalizzata ad affrontare a livello sovranazionale le problematiche connesse alle malattie rare o complesse che richiedono cure altamente specializzate e conoscenze e risorse concentrate.

Con questo importante atto normativo l'UE ha, dunque, avviato una politica di integrazione volta non solo a favorire la libera circolazione dei pazienti, ma anche a garantire l'accesso uniforme a cure di elevata qualità, soprattutto in quegli ambiti, quali le malattie rare e i tumori rari, che richiedono interventi complessi ed elevati investimenti tecnologici e professionali. Nel disegno del legislatore europeo "i nodi" delle Reti di Riferimento per le malattie rare sono costituiti dalle strutture sanitarie selezionate e candidate dai propri Stati di appartenenza. La partecipazione alle Reti, rimessa alla volontà di ogni singolo centro, è finalizzata alla cooperazione nell'assistenza, soprattutto con riferimento a trattamenti estremamente complessi, alla condivisione delle conoscenze e delle buone pratiche, nonché alla massimizzazione dell'uso efficiente delle risorse economiche. La Direttiva, pertanto, ha creato la base giuridica per una cooperazione sovranazionale specifica su gruppi di malattie che generano particolari bisogni assistenziali.

Già nel VII° Rapporto² gli ERN erano stati indicati come il programma realmente innovativo e concretamente attuabile della Direttiva 24/2011/UE che, invece, ha fatto registrare, sin dall'inizio, notevoli difficoltà applicative sul versante della circolazione dei pazienti europei tra gli Stati membri.

Il volontariato ha dato un grande contributo alla realizzazione delle finalità della Direttiva proprio sul fronte della lotta ai tumori rari. Questi ultimi sono generalmente ricompresi tra le neoplasie. Se considerati cumulativamente presentano un elevato tasso di incidenza.

Il rapporto *"Rare Cancers in Italy"*, curato da AIRTUM e pubblicato nel 2015, ha descritto per la prima volta l'impatto dei tumori rari in Italia. È stato stimato che 89.000 persone hanno una diagnosi di tumore raro ogni anno. Tale valore corrisponde al 25% delle nuove diagnosi di neoplasia. Sono in totale 900.000 le persone che convivono con una diagnosi di tumore raro³.

L'impegno del volontariato su questo fronte parte da lontano, da ben prima che l'UE lanciasse la costituzione delle Reti di Riferimento Europee, con l'attiva partecipazione di ECPC al progetto *Surveillance of rare cancers in Europe* (RARECARE), finanziato dalla Commissione europea e finalizzato a individuare una definizione condivisa e operativa di "tumore raro" nonché a creare una lista di neoplasie comprese in tale definizione. In Italia, è stata portata avanti un'analoga iniziativa grazie al Ministero della Salute con il progetto *Surveillance of rare cancers in Italy* (RITA) volto a conoscere l'impatto dei tumori rari nella popolazione italiana.

Più di recente, l'impegno di FAVO è stato orientato alla realizzazione di due specifici obiettivi di politica sanitaria:

1) sensibilizzare il Governo a individuare i centri specialistici per i tumori rari da candidare alla partecipazione agli ERN; 2) attivare la Rete Nazionale per i Tumori Rari (Rntr). Si tratta evidentemente di due obiettivi nazionali funzionali alla piena integrazione dell'Italia nelle politiche europee.

La Commissione Europea aveva, infatti, invitato gli Stati membri a selezionare, con criteri rigorosamente meritocratici e sulla base di indici rappresentativi dei volumi di attività, i centri di riferimento da inserire nelle costituite Reti Europee previste dalla direttiva 24/2011/UE.

¹ Per un commento agli ERN, v. M. Campagna, D. De Persis, F. Florindi, *Monitoraggio sull'attuazione della direttiva sull'assistenza transfrontaliera: il rapporto della Commissione Europea*, in *VIII° Rapporto FAVO sulla condizione assistenziale dei malati oncologici*, 2016, pp. 141-144

² V. M. Campagna, D. De Persis, F. Florindi, *Stato di attuazione della direttiva europea sull'assistenza sanitaria transfrontaliera*, in *VII° Rapporto FAVO sulla condizione assistenziale dei malati oncologici*, 2015, pp. 47-56, spec. p. 55

³ V. S. Busco, C. Buzzoni, S. Mallone, A. Trama, *L'impatto dei tumori rari in Italia*, in *VIII° Rapporto FAVO sulla condizione assistenziale dei malati oncologici*, 2016, pp. 132-136

A fronte dell'inerzia del Governo Italiano, FAVO si è attivata promuovendo una vera e propria **alleanza** tra Parlamento, Società scientifiche e Associazioni dei malati affinché l'Italia non perdesse l'occasione di partecipare alla cooperazione europea nel settore. In collaborazione con l'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare, coordinato dall'On. Paola Binetti, il volontariato oncologico, insieme all'Istituto Nazionale dei Tumori di Milano e alle Società scientifiche, si è fatto promotore il 30 ottobre 2015 a Montecitorio di un Convegno in tema di *Prospettive di cura e di ricerca per i tumori rari*.

Nel Convegno sono stati individuati e condivisi da tutti gli attori coinvolti gli impegni concreti che il Governo avrebbe dovuto assumere. L'On. Binetti poche settimane dopo l'evento, ha presentato una mozione⁴ concernente iniziative per la cura dei tumori rari, cui si sono aggiunte altre cinque analoghe iniziative che hanno accolto le istanze di FAVO, inserendole nel dibattito parlamentare.

La mozione, votata a larghissima maggioranza insieme alle altre cinque, ha impegnato il Governo ad **inserire stabilmente nell'ambito del Servizio sanitario nazionale la Rete dei tumori rari** e a formalizzare una lista di tali patologie.

Particolare rilevanza è stata data al **ruolo delle associazioni** dal momento che la mozione impegna il Governo *"a verificare che in tutti i tavoli di lavoro in cui si trattano i tumori rari siano presenti i rappresentanti delle associazioni di malati che hanno raggiunto livelli di esperienza e di competenza di riconosciuto valore"*.

Con la mozione quindi si è impegnato il Governo anche ad indicare alla Commissione europea i centri di riferimento italiani da candidare nei *network* europei per i tumori rari, in modo conforme alle indicazioni della Direttiva.

I risultati ottenuti grazie alle iniziative parlamentari che hanno fatto seguito all'iniziativa pubblica del 2015 rappresentano una grande conquista nella lotta ai tumori rari. Oggi, i malati, infatti, possono fare riferimento a una lista di centri specializzati individuati di concerto dal Ministero della Salute e dalle Regioni e in modo conforme al diritto europeo⁵.

È stato altresì predisposto lo schema di intesa sulla realizzazione della Rete nazionale dei tumori rari (Rntr)⁶ che dovrà essere approvato dalla Conferenza Stato-Regioni. Il documento richiama espressamente gli impegni che il Governo ha assunto con il Parlamento a seguito della discussione delle mozioni promosse anche con il contributo del volontariato e ne rappresenta la concretizzazione.

La rete per i tumori rari solidi dell'adulto ha **5 obiettivi specifici**: fornire risposte ai pazienti; potenziare e strutturare le collaborazioni interistituzionali; ottimizzare gli investimenti in alta specializzazione; aumentare la capacità di fornire informazioni ai pazienti e ai loro familiari; sostenere la ricerca. Il *network* si articolerà in centri *"user"* e in centri *"provider"*. Questi ultimi forniranno agli *user* prestazioni di teleconsulto e sono costituiti dalle strutture già selezionate per la partecipazione agli ERN.

Tale parziale identità soggettiva ribadisce, sul versante della *governance*, l'imprescindibile collegamento della rete nazionale con i *network* europei. Nel documento, infatti, si legge che *"Fa parte sostanziale dell'assetto istituzionale, il fatto di organizzare una unica rete nazionale, anche come retroterra organizzato per gli ERN italiani"*.

Da ultimo, la Commissione Europea ha promosso una nuova iniziativa parallela a supporto degli ERN: si tratta della **Joint Action on Rare Cancers** (JARC). Coordinata dall'Istituto Nazionale Tumori di Milano, JARC è stata avviata a ottobre 2016 e si avvale della collaborazione di 34 partner, provenienti da 18 Paesi membri dell'Unione Europea, e di più di 20 *collaborating partners* tra cui ECPC e FAVO.

JARC ha lo scopo di inserire e/o mantenere i tumori rari tra le priorità dell'Europa e dei suoi Stati membri e di sviluppare soluzioni innovative e condivise relativamente a qualità delle cure, alla ricerca, alla formazione medica,

⁴ Si tratta della mozione n. 1-01063 presentata il 12/11/2015 e consultabile al sito: https://www.favo.it/images/6_Mozioni_3-12-15.pdf

⁵ V. in questo stesso Rapporto, pag. 52.

⁶ Il documento è disponibile al seguente indirizzo: <http://www.quotidianosanita.it/allegati/allegato8480896.pdf>

senza dimenticare l'informazione ai pazienti. JARC ha ritenuto, strategicamente, di finalizzare tutte le proprie attività all'ottimizzazione del concomitante processo di creazione degli ERN. La *Joint Action* si propone di dotare di contenuti nuovi e interdisciplinari le tre Reti di Riferimento Europee dedicate ai tumori rari: EURACAN, per i tumori rari solidi dell'adulto; EuroBloodNet, per tutte le malattie ematologiche, inclusi i tumori rari ematologici, e infine PaedCan, per i tumori pediatrici.

Il contributo del volontariato affinché i malati di tumori rari siano sempre più uguali agli altri ha permesso di ottenere importanti risultati non solo a livello nazionale, ma anche europeo, favorendo il coordinamento e l'integrazione tra i due livelli istituzionali. Non si tratta certo di punti di arrivo, ma comunque di tappe importanti di un cammino che si preannuncia ancora lungo.

L'accesso ai farmaci innovativi

Il fulcro del dibattito sulla sostenibilità dei sistemi sanitari si sta velocemente spostando sul tema della spesa farmaceutica e dell'accesso ai **nuovi farmaci**, sempre più efficaci, ma sempre più costosi. La *tempesta perfetta* cui secondo alcuni autori⁷ la sanità pubblica sta andando incontro ha nell'oncologia il suo nucleo centrale in ragione di una peculiare combinazione di fattori: sempre più malati, per un tempo sempre più lungo, costi unitari elevati e crescenti.

In particolare, la spesa per i farmaci oncologici è passata da poco più di un miliardo di euro nel 2007 a oltre tre miliardi nel 2014. Nel suo complesso, l'oncologia rappresenta una delle voci di spesa più rilevanti per il Servizio Sanitario Nazionale: per la prima volta, nel 2014, la spesa per i farmaci antineoplastici si è, infatti, collocata al primo posto⁸.

I dati rappresentano una realtà che mal si concilia con le attuali politiche sanitarie di vero e proprio *definanziamento* del Sistema Sanitario Nazionale. Pur crescendo in valori assoluti, le risorse messe a disposizione, infatti, risultano progressivamente sempre più insufficienti per dare risposte concrete alla domanda di assistenza. Il desiderio legittimo dei malati di accedere all'innovazione si scontra, dunque, con la finitezza delle risorse.

L'accesso ai farmaci, soprattutto a quelli di ultima generazione, costituisce una problematica complessa, che abbraccia non soltanto **profili economico-finanziari**, ma anche **etici e sociali**: solo la contestuale considerazione di tutti gli aspetti coinvolti può garantire soluzioni sostenibili, finanziariamente e politicamente. Diventa pertanto di fondamentale importanza, non soltanto, per la tenuta economica del sistema, ma anche per la salvaguardia della coesione del tessuto sociale, che si giunga al più presto a individuare un metodo condiviso e integrato per la valutazione dell'innovazione, che tenga cioè conto di tutti gli aspetti coinvolti nella cura: non soltanto dell'efficacia clinica del prodotto, ma anche del suo costo - efficacia in termini di **qualità della vita**.

Il volontariato oncologico ha portato avanti anche le sue battaglie per un migliore accesso ai farmaci e per l'introduzione di nuovi criteri di gestione delle politiche del farmaco sui due livelli istituzionali, italiano ed europeo, ritenendo ormai impossibile confinare la ricerca di soluzioni al solo ambito nazionale.

L'orizzonte dell'impegno delle Associazioni dei malati è rappresentato dalla diffusione e dal consolidamento dell'*Health Technology Assessment*, (HTA), uno strumento di valutazione multidimensionale e multidisciplinare per l'analisi delle diverse implicazioni di una tecnologia sanitaria attraverso la valutazione di più dimensioni quali l'efficacia, la sicurezza, i costi, l'impatto sociale e organizzativo.

Su questo fronte, grazie all'impegno dell'europarlamentare onorevole Elisabetta Gardini, ECPC ha ottenuto un importante risultato.

Nella sessione plenaria del 4 febbraio 2016, il Parlamento europeo ha votato una serie di emendamenti al Rego-

⁷ V. V. Atella, W. Ricciardi, C. Cricelli, F. Serra, *La tempesta perfetta: il possibile naufragio del Servizio Sanitario Nazionale: come evitarlo?*, Vita e Pensiero, 2015

⁸ Per tutti questi dati, v. D. Gallegati, L. Solinas, N. Gentili, I. Massa, D. Amadori, M. Altini, *Costi, attività e risultati in Oncologia in ottica di popolazione: misurare il "valore" per governare la tempesta perfetta*, in *VIII° Rapporto FAVO sulla condizione assistenziale dei malati oncologici*, 2016, pp. 22-50

lamento n. 726/2004 che aveva istituito l'Agencia Europea per i Medicinali (EMA), tra cui la proposta promossa da ECPC, e condivisa e presentata dall'on.le Gardini, che stabilisce il principio della valutazione dei farmaci attraverso lo strumento dell'HTA, parallela a quella tradizionale dell'efficacia clinica.

A seguito dell'importante iniziativa parlamentare, la Commissione Europea, per il tramite della Direzione generale competente, il 21 ottobre del 2016 ha lanciato una consultazione pubblica nell'ambito dell'iniziativa "Strengthening of the EU cooperation on Health Technology Assessment" volta a raccogliere da parte di tutti i soggetti interessati informazioni e idee per implementare la cooperazione europea nel settore dell'HTA, a partire dai risultati già raggiunti dalla *Joint Action EUnetHTA*.

Gli obiettivi dell'iniziativa europea erano ridurre la duplicazione delle valutazioni effettuate da ciascun Paese membro con lo strumento dell'HTA, favorendo la convergenza di procedure e metodologie al fine di semplificare e armonizzare il più possibile a livello europeo le modalità di fissazione dei prezzi e dei rimborsi, comunque nel pieno rispetto del riparto di competenze tra Stati membri e Unione nel settore della tutela della salute.

Il successo della consultazione è stato notevole: quasi 250 le risposte pervenute alla Commissione trasmesse da Stati membri, Associazioni di malati, piccole e medie imprese e cittadini. Il 98% degli intervistati ritiene l'HTA utile, più dell'80% lo ritiene, invece, importante o molto importante per valutare comparativamente l'efficacia di una nuova tecnologia sanitaria rispetto alle tecnologie già in uso.

Anche ECPC ha partecipato al dibattito presentando sul finire dell'anno 2016 un *position paper*⁹ in cui ha sostenuto con determinazione la necessità di diffondere la pratica dell'HTA per una migliore e più completa valutazione dei farmaci e della loro innovatività.

I risultati della consultazione hanno indotto l'attuale Commissario UE alla Salute, Vytenis Andriukaitis, a dichiarare che entro l'anno l'HTA sarà regolato a livello europeo da un atto normativo vero e proprio passo in avanti verso la diffusione di uno strumento sempre più indispensabile per il *buon governo* della spesa farmaceutica.

Anche grazie alla costante attività di *advocacy* di ECPC, più di recente, il Parlamento Europeo ha rinnovato il suo impegno per un miglior accesso ai medicinali. Il 14 febbraio 2017, infatti, è stata pubblicata una proposta di **Risoluzione del Parlamento europeo** indirizzata al Consiglio dell'Unione europea e alla Commissione sulle opzioni per garantire una migliore accessibilità ai medicinali¹⁰.

La Risoluzione, predisposta dalla Commissione per l'ambiente, la sanità pubblica e la sicurezza alimentare, ribadisce con forza molte delle tesi già sostenute dal volontariato oncologico, indirizzando alla Commissione e al Consiglio precise raccomandazioni affinché sia garantito il diritto dei pazienti a un accesso universale, a prezzi contenuti, efficace, sicuro e tempestivo alle terapie essenziali e innovative, assicurando al contempo la sostenibilità dei sistemi sanitari pubblici dell'UE.

Secondo gli estensori della Risoluzione, i farmaci, elemento essenziale della cura, rischiano di diventare ben presto **il perno delle disuguaglianze in sanità**. L'incremento esponenziale del prezzo dei medicinali, gli effetti della prolungata crisi economico-finanziaria sulla spesa pubblica destinata all'assistenza sanitaria, procedure amministrative ingiustificate che ritardano la disponibilità di farmaci autorizzati sono, nel loro insieme, fattori di rischio che impediscono ai cittadini di accedere alla prevenzione sanitaria e di ottenere cure mediche, così come previsto dalla Carta dei diritti fondamentali dell'Unione europea (art. 35)¹¹.

Con specifico riferimento al cancro, la Risoluzione:

- al punto 48, "chiede misure a livello nazionale e di UE atte a garantire il diritto dei pazienti a un accesso universale, a prezzi contenuti, efficace, sicuro e tempestivo alle terapie essenziali e innovative"
- al punto 52 "invita gli Stati membri a sviluppare una più stretta collaborazione per contrastare la frammentazione del mercato, in particolare mettendo a punto processi e risultati comuni di valutazione delle

⁹ Il documento *The Value of Innovation in Oncology* è disponibile al seguente indirizzo: <http://www.ecpc.org/innovation.pdf>

¹⁰ Il documento è consultabile al seguente indirizzo: <http://www.europarl.europa.eu/sides/getDoc.do?pubRef=-//EP//TEXT+REPORT+A8-2017-0040+0+DOC+XML+V0//IT#title4>

¹¹ Il documento è consultabile al seguente indirizzo: http://www.europarl.europa.eu/charter/pdf/text_it.pdf

tecnologie sanitarie, nonché a lavorare alla definizione di criteri condivisi da impiegare nelle decisioni a livello nazionale in materia di prezzi e rimborsi"

- al punto 54 *"invita la Commissione a proporre una nuova direttiva sulla trasparenza delle procedure di fissazione dei prezzi e sui sistemi di rimborso, tenendo conto delle sfide del mercato"*
- al punto 90 *"chiede alla Commissione e agli Stati membri di avviare un dialogo strategico ad alto livello con tutte le parti interessate pertinenti, assieme ai rappresentanti della Commissione, del Parlamento e degli Stati membri, alle **organizzazioni dei pazienti**, agli organismi pagatori, agli operatori sanitari e ai rappresentanti del mondo accademico e scientifico e dell'industria, per discutere degli sviluppi presenti e futuri del sistema farmaceutico nell'UE"*.

In sintesi, la risposta allo stato di difficoltà comune e diffusa in tutti i Paesi membri deve essere ricercata a livello europeo, promuovendo, laddove possibile, la più ampia collaborazione tra gli Stati membri dell'UE.

La Risoluzione, inoltre, individua nella cooperazione e nella predisposizione di nuove politiche congiunte un argine al fenomeno delle asimmetrie riscontrate nelle diverse capacità di negoziazione. Pone poi l'accento sull'importanza di **misurare il valore aggiunto** reale e suffragato da prove dei nuovi medicinali rispetto alla migliore alternativa possibile. I dati su cui generalmente si fonda tale valutazione sono spesso scarsi e non sufficientemente convincenti per fondare solide decisioni sulla fissazione dei prezzi. *"La valutazione delle tecnologie sanitarie deve essere uno strumento importante ed efficace al fine di migliorare l'accesso ai medicinali e di contribuire alla sostenibilità dei sistemi sanitari nazionali, incentivando l'innovazione e offrendo un elevato **valore aggiunto terapeutico** ai pazienti **che non può limitarsi all'incremento dell'efficacia clinica"**.*

La valutazione delle tecnologie sanitarie dovrebbe consistere in un *"processo multidisciplinare che tenga conto delle informazioni mediche, ma anche di quelle sociali, economiche ed etiche connesse all'uso delle tecnologie sanitarie"*.

La Risoluzione, dunque, condivide il metodo per la valutazione dei farmaci già da tempo proposta dal volontariato come auspicio di un definitivo cambiamento nelle scelte di politica farmaceutica, affinché le decisioni di settore vengano prese anche in considerazione della qualità della vita assicurata da un farmaco, non solo della quantità.

Il ruolo delle Associazioni dei pazienti, secondo i punti 14 e 90 della Risoluzione, non solo sarà determinante **"nella definizione delle strategie pubbliche e private di ricerca basate sulla sperimentazione cliniche e ciò al fine di garantire che tali strategie soddisfino le reali esigenze insoddisfatte dei pazienti"**, ma anche nella più generale definizione **"degli sviluppi presenti e futuri del sistema farmaceutico UE, allo scopo di istituire strategie olistiche a breve medio e lungo termine per garantire l'accesso ai medicinali, la sostenibilità dei sistemi sanitari e la competitività dell'industria farmaceutica"** che comunque, in questa fase storica di deindustrializzazione, resta un pilastro importante e trainante dell'economia europea, soprattutto italiana.

Sul fronte nazionale, il Volontariato oncologico valuta positivamente l'adozione da parte dell'AIFA della determina n. 519/2017 recante *Criteria per la classificazione dei farmaci innovativi e dei farmaci oncologici innovativi*. La deliberazione, infatti, rende accessibile il fondo straordinario di 500 milioni di euro destinati all'acquisto di farmaci innovativi. Inoltre, la decisione dell'Agenzia regolatoria consentirà finalmente la concreta attuazione del co. 2 dell'art. 10 del d.l. 158 del 2012 (c.d. Decreto Balduzzi) che aveva previsto che *"Al fine di garantire su tutto il territorio nazionale il rispetto dei livelli essenziali di assistenza, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano sono tenute ad assicurare l'immediata disponibilità agli assistiti dei medicinali a carico del Servizio sanitario nazionale erogati attraverso gli ospedali e le aziende sanitarie locali che [...] possiedano il requisito della innovatività terapeutica"*.

Si rileva, tuttavia, che il modello di valutazione presentato nella determina prevede un approccio multidimensionale che tiene conto soltanto di tre elementi fondamentali: 1) il bisogno terapeutico; 2) il valore terapeutico

aggiunto; 3) la qualità delle prove ovvero la robustezza degli studi clinici. Ciò in rilevante contrasto con le raccomandazioni testé citate.

La spiegazione riportata dei tre indicatori si limita a riferire le misurazioni **all'efficacia di tipo clinico**, tagliando del tutto fuori dalla valutazione di innovatività i profili etici e sociali di un farmaco e del suo impiego. In altre parole, non è stato adottato un metodo di valutazione della cura farmacologica che abbia come riferimento la cronicità o guarigione intesa come un completo recupero della condizione di benessere fisico, psichico e sociale del malato.

L'impegno di FAVO, di ECPC e di tutto il volontariato oncologico ripartirà da qui e sarà profuso affinché i pazienti smettano di essere l'anello debole nell'accesso ai medicinali e affinché le difficoltà di accesso ai farmaci non si ripercuotano più negativamente su di loro.