Conclusioni

L'Accademia Nazionale delle Scienze detta dei XL ha organizzato nei giorni 8-9 marzo 1985 un Convegno internazionale sul tema « Nuove strategie per farmaci orfani » sotto gli auspici e con l'aiuto della Direzione Generale per la Scienza, la Ricerca e lo Sviluppo della Commissione delle Comunità Europee e con la collaborazione della Società Italiana di Medicina Tropicale (SIMET) e della Società Italiana di Scienze Farmaceutiche (SISF).

I partecipanti hanno discusso vari aspetti del problema dei farmaci orfani ed in particolare quelli che riguardano i Paesi in sviluppo, giungendo a formulare le seguenti conclusioni:

Lo sviluppo e la produzione di *Farmaci orfani* sono di grande importanza sia per il loro significato sociale e sia per le responsabilità internazionali verso le necessità dei Paesi in sviluppo.

I farmaci orfani possono essere considerati farmaci (cioè prodotti farmaceutici e biologici, inclusi i vaccini) di limitato interesse commerciale che impedisce investimenti adeguati necessari per il loro sviluppo.

Sulla base di questa definizione — che va considerata in una prospettiva mondiale e non a livello della politica sanitaria di singole nazioni — si possono distinguere due categorie:

1 - Farmaci per malattie rare;

2 - Farmaci per Paesi in sviluppo, ed in particolare farmaci per malattie tropicali.

Su questa base i partecipanti hanno preso in considerazione tre punti principali:

a) l'identificazione degli obiettivi e le loro possibili priorità;

b) i metodi per incentivare la ricerca;

c) le possibili vie per superare le barriere economiche e regolamentari che impediscono la ricerca e lo sviluppo di questi farmaci.

Generalmente i farmaci orfani sono *nuovi* farmaci, che si devono scoprire, studiare e sviluppare, ma vi sono anche esempi di farmaci, noti e molto efficaci, che non sono sul mercato perché il loro bilancio economico sarebbe negativo.

Si è convenuto che vi devono essere due impostazioni, sostanzialmente diverse, per lo sviluppo di nuovi farmaci a seconda che si tratti di curare malattie rare o di studiare nuovi farmaci per i Paesi in sviluppo.

Per le malattie rare (ad esempio talassemie, morbo di Alzheimer, idatitosi,

etc.) si raccomanda un piano di incentivazione finanziaria che tenga conto del contributo di Enti pubblici e di Fondazioni private.

Per i Paesi in sviluppo l'identificazione di malattie specifiche — quali la filariasi, la schistosomiasi, la leishmaniasi, la tripanosomiasi, la malaria, la lebbra etc. — è il primo passo indispensabile per identificare le capacità globali di ricerca, incluse le biotecnologie, per ridurre l'incidenza e per l'eventuale eradicazione di queste malattie.

E' stato messo in rilievo che nei Paesi in sviluppo i nuovi farmaci non sarebbero per se stessi sufficienti a ridurre l'incidenza delle endemie, se non accompagnati da una campagna contro i vettori e da una educazione igienica e socio-economica.

Una nuova strategia per ottenere nuovi farmaci per i suddetti scopi dovrebbe essere basata sulla collaborazione internazionale tra università, istituti di ricerca e industria.

Dato l'elevato costo di un nuovo farmaco (tra 50-60 milioni di dollari) e la necessità di notevoli investimenti di capitali, di manodopera e potenziale scientifico, è indispensabile stabilire un programma a livello mondiale. Questo rende necessaria la scelta di priorità e soprattutto la coordinazione delle ricerche e la ripartizione dei compiti. In questa ottica si devono prendere in considerazione anche i farmaci per prevenire e curare le malattie degli animali.

Lo sviluppo di nuovi farmaci richiede anche ricerca fondamentale sull'etiologia delle malattie e, nel caso di malattie trasmissibili, anche sul modo della trasmissione e sulla biologia degli agenti patogeni. La ricerca fondamentale è ancora necessaria e dovrebbe svolgersi soprattutto in taluni centri di ricerca dei Paesi in sviluppo, i quali, sin dall'inizio di questo secolo, hanno notevolmente contribuito al progresso delle conoscenze in questo campo.

Anche lo studio dei nuovi farmaci basati su questi risultati dovrà essere intrapreso in cooperazione con gli scienziati dei Paesi in sviluppo.

La possibilità di produrre questi farmaci nei Paesi in sviluppo deve essere altresì considerata — assicurando la qualità dei prodotti — visti i risultati positivi ottenuti in alcuni di questi Paesi nella produzione di importanti vaccini e farmaci.

* * *

L'incentivazione della ricerca su farmaci orfani per *malattie rare* — come si è detto — può essere realizzato con l'impiego di fondi pubblici e privati a livello nazionale ed internazionale e con adeguata programmazione.

Nel caso di nuovi farmaci per malattie tropicali si ribadisce la importanza e la urgenza di finanziare la ricerca fondamentale nei Paesi in sviluppo e la necessità di aiutare i loro centri di ricerca.

La collaborazione tra i Paesi in sviluppo deve essere incoraggiata come anche la cooperazione Nord-Sud, quest'ultima specialmente per la formazione dei ricercatori e per l'uso di tecnologie altamente specializzate.

Il finanziamento di questi programmi dovrebbe essere realizzato destinando una percentuale, anche piccola, dei fondi assegnati allo sviluppo da parte di varie nazioni.

I centri internazionali di ricerca e formazione, come quelli sulle biotecnologie di Trieste e New Dehli, potrebbero essere di grande importanza per promuovere ricerche specifiche in questo campo e per la formazione degli operatori.

Vi sono anche fondi privati e pubblici in varie nazioni che potrebbero essere utilizzati a questo scopo.

Le Accademie delle Scienze nazionali ed internazionali (ad es. l'Accademia delle Scienze del Terzo Mondo e l'Accademia delle Scienze Latino-Americana) potrebbero cooperare in questo impegno, con Organizzazioni nazionali ed internazionali per stabilire priorità e programmi al fine di realizzare nuovi farmaci per i Paesi in sviluppo. Questi sono oltremodo necessari per combattere le malattie endemiche tropicali che attualmente *costituiscono il principale fattore negativo che impedisce lo sviluppo*. Anche per le malattie rare è necessario, per un impegno sociale, sviluppare la ricerca di nuovi farmaci.

I partecipanti al Convegno, che rappresentano la ricerca universitaria, i centri di ricerca e dell'industria di molti Paesi, propongono che questo documento sia presentato alla Direzione Generale per la Scienza, lo Sviluppo e la Ricerca della Commissione delle Comunità Europee, che ha promosso questa riunione.

Propongono altresì che questo documento sia portato all'attenzione — attraverso adeguati canali — *dei Governi* e delle *Organizzazioni nazionali ed internazionali*.

E' importante mettere in evidenza la necessità di una azione immediata per iniziare la ricerca che dovrà portare alla produzione di farmaci orfani e soprattutto di quelli per le malattie tropicali.

Questo documento dovrebbe inoltre essere inviato dall'Accademia delle Scienze detta dei XL alle Nazioni Unite e alle loro Agenzie in modo da ottenere il più ampio consenso e concreto appoggio a questa iniziativa.