FEDERCHIMICA
ASSOBIOTEC
Associazione nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie

All'interno dell'Area operano i Gruppi di Lavoro dedicati a: Accesso e Governance, Farmaci Orfani e Malattie Rare, Terapie Avanzate e Ricerca Clinica

Area terapie

LE PROPOSTE

I progressi della scienza guidano la trasformazione del mondo della salute.

I biofarmaci rappresentano un epocale cambio di prospettiva nell'approccio alla cura delle malattie. Non più modelli terapeutici rivolti a tutti i pazienti affetti dalla stessa patologia (one size fits all), ma **strumento per l'affermarsi del nuovo paradigma della medicina personalizzata**, con terapie sempre più efficaci, rivolte a sottogruppi di pazienti, fino ad arrivare a prodotti preparati ad hoc per il singolo individuo.

In ambito farmaceutico, già oggi circa il 45% dei farmaci in sviluppo è biotecnologico[1]. Si tratta di un mercato in rapida crescita, che ha raggiunto un valore complessivo di 326,2 miliardi di dollari nel 2024 e arriverà a 664,8 miliardi di dollari entro il 2033 con un tasso di crescita annuale composto (CAGR) dell'8,2% dal 2025 al 2033[2].

Secondo quanto rilevato da un'analisi Assobiotec, la quota biotech della categoria **"Prodotti Farmaceutici"** ha generato in Italia, nel 2023, un **fatturato di 12 miliardi di euro.**

La popolazione delle **imprese attive** conta **155 aziende** con una forte polarizzazione territoriale. Il 63% delle realtà biotech è, infatti, nel Nord Italia, il 28% al Centro e il 9% nel Sud e nelle Isole. La Lombardia è la regione leader con il 39% del totale.

L'analisi della **classe dimensionale** rileva una forte predominanza di **macroimprese** (33%), seguite da medie (28%), micro (24%) e piccole (15%).

Gli **addetti** impiegati nella fabbricazione di prodotti farmaceutici sono quasi **22.700**.

Il **costo medio orario del personale** biotech in Italia trova nell'industria farmaceutica **picchi di 41,57 € rispetto a una media di 31,50 € che caratterizza trasversalmente il comparto.**

1- "Indicatori farmaceutici", Farmindustria, 2023.
2- Biopharmaceutical Market Size, Share, Trends and Forecast by Indication, Class, and Region, 2025-2033, Imarc.

Le proposte Assobiotec per lo sviluppo del settore

I Gruppi di Lavoro dell'Area Terapie, partendo da un'analisi approfondita del contesto sanitario attuale, hanno individuato proposte concrete per liberare il potenziale delle biotecnologie in Italia. **L'obiettivo?** Garantire ai pazienti l'accesso alle migliori terapie innovative, tutelando al contempo la sostenibilità del Sistema Sanitario Nazionale.

Per raggiungere questo traguardo, l'Associazione porta all'attenzione delle Istituzioni competenti alcune proposte di intervento per affrontare le principali priorità del settore:

CRITERI INNOVATIVITÀ

Come previsto dalla Legge di Bilancio 2025, **AIFA deve ridefinire i criteri** per l'attribuzione del requisito dell'**innovatività terapeutica** da parte della Commissione Scientifica e Economica del Farmaco (CSE). Il processo di valutazione dell'innovatività terapeutica è un percorso multidimensionale, di natura tecnico-scientifica, volto a garantire un'imparziale e consistente applicazione dei criteri per il riconoscimento dello status di medicinale innovativo e finalizzato all'accesso alle risorse del Fondo Farmaci Innovativi. Come previsto da normativa, AIFA ha elaborato dei primi criteri, sopposti a consultazione pubblica (marzo 2025).

Rispondendo alla consultazione pubblica e più generalmente, l'Associazione:

- Evidenzia le **criticità dell'uso della prevalenza della patologia come criterio esclusivo**, sottolineando che i parametri epidemiologici non dovrebbero essere considerati come un criterio, poiché vi sono terapie in grado di determinare la guarigione o di ridurre il rischio di complicazioni letali o potenzialmente letali o di rallentare la progressione o di migliorare la qualità della vita in patologie dove, nonostante l'elevata prevalenza (e incidenza), non esistano trattamenti.
- Propone che la **perdita di copertura brevettuale o il limite temporale di 10 anni non precludano l'innovatività se il farmaco apporta valore aggiunto** in nuove indicazioni.
- Richiede che il **riconoscimento del bisogno terapeutico sia massimo** quando le alternative identificate sono assenti o hanno uno status regolatorio non comparabile.
- Invita a **evitare penalizzazioni nella valutazione del Valore Terapeutico Aggiunto** per farmaci destinati a malattie rare o a bassa numerosità, aumentando il coinvolgimento di esperti clinici e ampliando i criteri di valutazione dell'evidenza.
- Sollecita **maggiore chiarezza procedurale**, specialmente per estensioni di indicazione o accesso al Fondo Farmaci Innovativi, per non limitare ingiustamente l'accesso a terapie innovative.

ACCESSO E GOVERNANCE

Focus Early access

Gli attuali strumenti normativi in materia di accesso anticipato ai farmaci non risultano pienamente efficaci nel rispondere alle esigenze di cura dei pazienti in caso di patologie a rapida progressione, che richiedono l'accesso tempestivo a una terapia. Faticano inoltre a garantire un approccio "governato" e sostenibile da parte del regolatore, non essendo in grado di assicurare ampiezza di accesso e non consentendo una raccolta strutturata dei dati scientifici sull'efficacia e la sicurezza dei farmaci.

L'Associazione auspica l'introduzione di un nuovo meccanismo di accesso anticipato ai farmaci, complementare a quelli già esistenti e attivabile su richiesta dell'azienda farmaceutica.

Tale strumento dovrebbe coprire anche quei medicinali oggi esclusi dagli attuali strumenti normativi, ovvero farmaci privi di alternative terapeutiche adeguate, che rappresentano una speranza di cura per patologie gravi e a trattamento non differibile, in linea con i criteri di innovatività definiti da AIFA, relativi al valore terapeutico aggiunto e al bisogno terapeutico insoddisfatto.

Si auspica inoltre che questo modello, inizialmente applicato a farmaci orfani e innovativi, possa evolvere in una procedura standard estesa a tutti i farmaci.

Focus Prontuari regionali

L'attuale governo dell'assistenza farmaceutica si fonda su un elevato grado di decentramento che si traduce in un sistema misto di competenze in capo, da un lato, all'AIFA, dall'altro, alle Regioni, non senza sovrapposizioni.
All'interno di tale sistema, i Prontuari Terapeutici Regionali (PTR), laddove ancora presenti, possono estendere ulteriormente le tempistiche di accesso a un farmaco dopo la negoziazione in AIFA e creare una disomogeneità tra territori e pazienti.
Inoltre, è importante sottolineare che l'approvazione da parte di AIFA avviene al termine di un iter valutativo complesso, che garantisce non solo il valore terapeutico del farmaco, ma anche la sua sostenibilità economica. Nella maggior parte dei casi, ciò significa che il medicinale è stato negoziato a condizioni più favorevoli rispetto alle alternative disponibili, generando un risparmio per il Servizio Sanitario Nazionale.
Facilitare l'accesso tempestivo a questi trattamenti rappresenta quindi un'opportunità concreta per coniugare innovazione e sostenibilità.

L'Associazione auspica l'estensione a tutti i farmaci – già stabilita per quelli innovativi – **della previsione per cui le Regioni sono tenute ad assicurare l'immediata disponibilità agli assistiti** dei medicinali a carico dell'SSN erogati attraverso gli ospedali e le ASL, a prescindere dall'eventuale inserimento nei prontuari terapeutici regionali, al fine di consentire:

- L'efficientamento della spesa regionale.
- L'unitarietà e l'equità di accesso dei pazienti all'assistenza farmaceutica.
- Scongiurare fenomeni di "turismo sanitario" tra Regioni.
- Garantire dinamiche concorrenziali virtuose tra regioni evitando la creazione di micro-mercati regionali.
- Evitate di duplicare a livello regionale valutazione dei nuovi farmaci già svolte a livello centrale dall'AIFA attraverso le proprie Commissioni.

Focus Tetti della spesa farmaceutica

La Legge di Bilancio 2022 prevede la possibilità di rideterminare i due tetti della spesa farmaceutica, diretta e convenzionata, su base annua, in sede di legge di Bilancio, tenendo conto dell'andamento storico e tendenziale della spesa farmaceutica.

L'Associazione auspica l'effettiva attuazione della norma per **rideterminare annualmente i due tetti di spesa** sulla base dell'effettivo fabbisogno assistenziale, a fronte di uno strutturale avanzo che si registra nella spesa convenzionata e di un enorme e perdurante disavanzo della spesa diretta.

FARMACI ORFANI E MALATTIE RARE

Focus Accesso

L'accesso alla terapia farmacologica, autorizzata a livello nazionale dall'AIFA, non è sempre omogeneo o ugualmente tempestivo sull'intero territorio. Spesso valutazioni di tipo economicistico da parte delle strutture competenti a livello locale possono arrivare a limitarne o a ritardarne l'uso.

L'Associazione ritiene fondamentale il rispetto del termine di 100 giorni per la conclusione della procedura di rimborso e di determinazione del prezzo dei farmaci orfani e di eccezionale rilevanza terapeutica, che spesso rappresentano l'unica opzione per le persone affette da malattie rare.

TERAPIE AVANZATE

I medicinali per terapie avanzate (ATMPs) costituiscono un cambiamento epocale nel concetto di cura che diventa paziente-specifica e che porta grandi benefici dal punto di vista clinico e terapeutico. Gli ATMPs hanno trasformato il concetto di cura a una velocità così elevata da dover essere adeguatamente considerati in un sistema normativo che vuole supportare lo sviluppo e l'implementazione dell'innovazione a vantaggio dei pazienti e del sistema.

Al fine di assicurare l'accessibilità dei pazienti all'innovazione rappresentata dagli ATMPs e al contempo la sostenibilità del sistema, **l'Associazione auspica:**

- **Sul piano della governance:**
  - L'attivazione del Tavolo tecnico sulle Terapie Avanzate istituito nel giugno 2023 presso il Ministero della Salute, affinché approfondisca le modalità di accesso uniforme, tempestivo e sostenibile a queste terapie.
- **Sul piano dell'accesso:**
  - La creazione di una nuova norma in materia di accesso precoce (vedere sezione "Accesso").
  - La predisposizione di indicazioni centrali chiare rispetto ad aspetti tecnico-organizzativi peculiari degli ATMP per l'utilizzo pre-rimborsabilità, che derivino da percorsi di dialogo precoce con le imprese produttrici.
- **Sul piano della rimborsabilità:**
  - Un dialogo precoce fra autorità nazionali, regionali, centri clinici e aziende che, sulla base di un esercizio continuo di Horizon Scanning, possano preparare un percorso di accesso ai trattamenti tempestivo, equo nella distribuzione geografica sul territorio e omogeneo rispetto al contesto internazionale.
  - L'utilizzo e la valutazione di modelli farmaco economici con orizzonte temporale e valori di costo incrementale che tengano conto della rarità della patologia e del beneficio atteso.
  - L'avvio di processi di partnership tra enti regolatori e imprese che permettano la generazione, raccolta e condivisione dei dati raccolti, valorizzando tutte le evidenze disponibili.
- **Sul piano organizzativo:**
  - Un dialogo precoce fra autorità nazionali, regionali, centri clinici e aziende al fine di favorire la readiness dei centri.

RICERCA CLINICA

La Ricerca Clinica in Italia, nonostante i Centri Sperimentali di eccellenza e la presenza di Organizzazioni di livello "best in practice", è spesso ostacolata da tempistiche imprevedibili per gli obblighi regolatori ed etico-amministrativi. Questo comporta costi e ritardi nell'apertura dei Centri rispetto ad altri Paesi, mettendo l'Italia a rischio di esclusione da alcuni programmi di sviluppo clinico e limitando il reclutamento di pazienti. Di conseguenza, l'Italia non sfrutta appieno i vantaggi degli investimenti in ricerca clinica, quali l'accesso anticipato a farmaci innovativi, i risparmi per il SSN e l'ulteriore crescita dei Centri di eccellenza. Il D. Lgs 52/2019 ha migliorato il quadro normativo, ma le opportunità non sono ancora pienamente sfruttate.
Il sostegno alla sperimentazione clinica in Italia richiede, inoltre, la promozione della **ricerca collaborativa tra pubblico e privato**. Questa forma di ricerca si affianca a quella sponsorizzata (for profit) e a quella indipendente ed è espressamente autorizzata dal Regolamento EU 536/2014.

Al fine di aumentare l'attrattività del Paese e incentivare l'attività di ricerca clinica, aumentando gli investimenti in quest'ambito, **l'Associazione auspica:**

- **Lo snellimento della burocrazia** per garantire il rispetto dei tempi autorizzativi di 60 giorni, attraverso l'implementazione del principio del silenzio-assenso e l'adozione del contratto unico.
- **La semplificazione e l'armonizzazione dei documenti sulla privacy** e garantire il rispetto sistematico nel processo di nomina dei componenti dei Comitati Etici a valenza nazionale.
- **Il riconoscimento delle sperimentazioni cliniche come opportunità ad alto valore aggiunto** attraverso un coinvolgimento e un dialogo costruttivo e aperto con i Direttori Generali e i vari partner istituzionali.
- **L'emanazione di un Decreto Ministeriale per definire i criteri e le modalità di tali collaborazioni** con cui le parti concorrono a realizzare una ricerca congiunta di interesse comune, sulla base di un progetto di ricerca concordato che preveda la cooperazione del personale e l'utilizza di laboratori, attrezzature e risorse finanziarie.
- La **definizione di un contratto unico dedicato alle ricerche collaborative**, che includa l'utilizzo delle conoscenze generate nell'ambito dell'attività comprese le informazioni, tutelabili o no, così come i diritti d'autore o i diritti connessi a tali risultati a seguito della domanda e del rilascio di brevetti.