

La cura che non puoi permetterti

Brevetti farmaceutici:
perché i farmaci nuovi
costano così tanto



CONTROPOTERE

un libro di Alessio Farinella



La cura che non puoi permetterti

Brevetti farmaceutici: perché i farmaci nuovi costano così tanto

Alessio Farinella

Indice

Prefazione – Perché questo libro ti riguarda, anche se pensi di no	2
Capitolo 1 – Cos'è un brevetto e perché esiste	5
Capitolo 2 – Quanto costa davvero sviluppare un farmaco	8
Capitolo 3 – Il caso dei vaccini COVID	11
Capitolo 4 – Farmaci generici e biosimilari	14
Capitolo 5 – Come l'Italia negozia i prezzi dei farmaci	18
Capitolo 6 – Malattie rare e farmaci «orfani»	21
Capitolo 7 – Il confronto con altri sistemi	24
Capitolo 8 – Le obiezioni, trattate con onestà	27
Capitolo 9 – Cosa si potrebbe fare	30
Capitolo 10 – Cosa puoi fare tu, adesso	33
Nota sulla trasparenza nell'uso dell'intelligenza artificiale	36

Prefazione — Perché questo libro ti riguarda, anche se pensi di no

Un farmaco, due prezzi

Immagina due situazioni. Nella prima, un farmaco ti viene prescritto e lo paghi pochi euro di ticket, o niente, perché il Servizio Sanitario Nazionale lo copre. Nella seconda, quello stesso tipo di farmaco — magari per una malattia più rara, o più recente sul mercato — costa alla comunità decine di migliaia di euro a paziente all'anno, e per alcuni farmaci innovativi anche centinaia di migliaia.

Perché due farmaci, entrambi frutto di ricerca scientifica, entrambi capaci di curare o migliorare la vita di chi li assume, hanno un prezzo così diverso? La risposta comune che senti è «la ricerca costa». È vero, ma è solo una parte della storia — e in questo libro vedremo che è una parte più piccola di quanto normalmente si racconti.

Chi paga davvero la ricerca

Una delle cose che questo libro ti mostrerà, con fatti verificabili, è che una parte importante della ricerca scientifica alla base di molti farmaci — inclusi i vaccini contro il COVID-19 che quasi tutti noi abbiamo ricevuto — viene finanziata con soldi pubblici, attraverso università, enti di ricerca statali, agenzie governative. Il momento in cui un'azienda privata brevetta il pro-

dotto finale, e ne stabilisce il prezzo, arriva spesso dopo anni di ricerca già pagata, almeno in parte, dai contribuenti.

Il compromesso alla base di tutto

Il sistema dei brevetti farmaceutici nasce da un compromesso ragionevole: dare a chi investe in ricerca un'esclusiva temporanea sul prodotto, in modo che possa recuperare l'investimento e avere un incentivo a continuare a innovare. È un'idea sensata, e questo libro non la mette in discussione nel suo principio. Quello che mette in discussione è come questo compromesso viene applicato oggi: prezzi che in alcuni casi sembrano slegati dal costo reale di sviluppo, strategie per allungare artificialmente l'esclusiva sui farmaci più redditizi, e un sistema sanitario pubblico che si trova sempre più spesso a dover scegliere tra curare tutti i pazienti che ne avrebbero bisogno o rispettare i vincoli di bilancio.

Perché nessuno te lo spiega così

Il tema dei prezzi dei farmaci raramente arriva al grande pubblico in modo chiaro, perché è un argomento tecnico, che tocca interessi economici enormi — l'industria farmaceutica è una delle più redditizie al mondo — e perché la conversazione pubblica su questo tema si polarizza facilmente tra chi difende senza sfumature l'industria farmaceutica e chi la demonizza senza distinguere tra ricerca legittima e strategie di

prezzo discutibili. Questo libro prova a stare nel mezzo, con onestà: raccontando cosa funziona bene del sistema attuale, e cosa no.

Perché capire non è tempo perso

Come negli altri libri di questa collana, il punto di partenza è lo stesso: capire un meccanismo è il primo passo per poterlo cambiare. Il caso dei vaccini COVID e del dibattito sulla sospensione temporanea dei brevetti, che racconteremo nel Capitolo 3, mostra che anche un sistema consolidato da decenni può essere messo in discussione quando l'opinione pubblica e i governi decidono che è necessario farlo.

Cosa troverai in questo libro

Nei capitoli che seguono ti spiegheremo, con parole semplici e dati verificabili, cos'è un brevetto farmaceutico e perché esiste, quanto costa davvero sviluppare un farmaco, cosa è successo con i vaccini COVID, come funzionano i farmaci generici, come l'Italia negozia i prezzi attraverso l'AIFA, e cosa succede quando un farmaco necessario è troppo costoso per essere garantito a tutti. L'ultimo capitolo ti dirà cosa puoi fare tu, da subito, per orientarti meglio in questo sistema.

Buona lettura.

Capitolo 1 — Cos'è un brevetto e perché esiste

Un'esclusiva in cambio di un segreto svelato

Immagina di aver inventato qualcosa di nuovo e utile — una molecola capace di curare una malattia. Hai due scelte: tenerla segreta, sperando che nessun altro la scopra mai, oppure renderla pubblica, spiegando esattamente come funziona, in cambio del diritto di essere l'unico a poterla produrre e vendere per un certo numero di anni.

Il sistema dei brevetti sceglie la seconda strada. Un'azienda che scopre un nuovo farmaco lo brevetta: pubblica la formula, il meccanismo, tutti i dettagli tecnici — informazioni che chiunque può leggere — e in cambio ottiene, di solito per 20 anni dalla data di deposito del brevetto, il diritto esclusivo di produrlo e venderlo, impedendo ad altre aziende di copiarlo.

Perché è un compromesso, non un regalo

Questo scambio ha una logica precisa. Senza questa esclusiva temporanea, un'azienda che investe anni di ricerca e milioni di euro per sviluppare un nuovo farmaco rischierebbe di vedere un concorrente copiare la scoperta il giorno dopo, senza aver sostenuto nessuno dei costi di ricerca, e vendere lo stesso prodotto a un prezzo più basso. Se questo accadesse sistemati-

camente, nessuna azienda avrebbe più convenienza a investire in ricerca farmaceutica, perché non riuscirebbe mai a recuperare l'investimento iniziale.

Il brevetto, in teoria, risolve questo problema: garantisce all'azienda un periodo di tempo in cui può vendere il farmaco senza concorrenza diretta, recuperando l'investimento e ottenendo un profitto che finanzia anche la ricerca successiva. In cambio, la società nel suo complesso ottiene un beneficio: la conoscenza scientifica diventa pubblica, e dopo la scadenza del brevetto chiunque può produrre lo stesso farmaco a un prezzo molto più basso (i farmaci «generici», di cui parleremo nel Capitolo 4).

Vent'anni sono tanti o pochi?

Vent'anni possono sembrare un periodo lungo, ma per un farmaco il calcolo è più complicato di quanto sembri. Il brevetto viene depositato spesso molto prima che il farmaco sia pronto per essere venduto: servono anni di sperimentazione clinica, controlli di sicurezza, l'approvazione delle autorità regolatorie (in Europa l'EMA, l'Agenzia Europea per i Medicinali; in Italia poi l'AIFA). Nel tempo che il farmaco impiega ad arrivare sul mercato, una parte consistente dei vent'anni di esclusiva può già essere trascorsa — lasciando all'azienda molti meno anni di vendita in esclusiva di quanto sembri a prima vista.

Il punto di equilibrio che il sistema dovrebbe garantire

L'idea di fondo del sistema dei brevetti è trovare un equilibrio: abbastanza incentivo economico perché le aziende continuino a investire in nuovi farmaci, ma non così tanto potere di mercato da rendere i farmaci inaccessibili a chi ne ha bisogno durante il periodo di esclusiva. Come vedremo nei prossimi capitoli, questo equilibrio non è affatto scontato, e ci sono meccanismi concreti — sia da parte delle aziende sia da parte dei sistemi sanitari pubblici — che possono spostarlo in una direzione o nell'altra.

Il punto di questo capitolo

Il brevetto farmaceutico non è, di per sé, un meccanismo ingiusto: è un compromesso ragionevole tra l'incentivo a innovare e l'accesso pubblico alla conoscenza scientifica. Il problema, come vedremo nei prossimi capitoli, nasce quando questo equilibrio viene alterato — da prezzi che sembrano slegati dal costo reale di sviluppo, da strategie per allungare artificialmente l'esclusiva, o da un sistema sanitario pubblico che non ha abbastanza potere contrattuale per negoziare prezzi sostenibili.

Nel prossimo capitolo vedremo quanto costa davvero, secondo le stime disponibili, sviluppare un nuovo farmaco — e perché anche questa domanda, apparen-

temente semplice, ha risposte molto diverse a seconda di chi la calcola.

Capitolo 2 — Quanto costa davvero sviluppare un farmaco

Una domanda con due risposte molto diverse

Quanto costa, in media, portare un nuovo farmaco dal laboratorio alla farmacia? È una domanda che sembra avere una risposta oggettiva, un numero preciso. In realtà, a seconda di chi fa il calcolo, la risposta cambia enormemente — ed è importante capire perché, per non farsi convincere né dalla versione più generosa verso l'industria né da quella più critica, senza guardare i dati.

La cifra dell'industria farmaceutica

Le associazioni di categoria dell'industria farmaceutica pubblicano da anni stime molto alte del costo medio di sviluppo di un nuovo farmaco, spesso superiori al miliardo di dollari, in alcuni casi vicine ai due miliardi. Queste cifre vengono citate spessissimo nel dibattito pubblico come giustificazione dei prezzi elevati dei farmaci innovativi.

Perché quelle cifre sono contestate

Diversi studi accademici indipendenti, non finanziati dall'industria, arrivano a stime nettamente più basse

— in alcuni casi anche di dieci volte inferiori alle cifre diffuse dall'industria. La differenza si spiega soprattutto con cosa viene incluso nel calcolo:

Le stime dell'industria includono spesso il «costo del capitale» — cioè quanto quei soldi avrebbero fruttato se investiti altrove, invece di essere spesi in ricerca — e il costo di tutti i farmaci che falliscono durante lo sviluppo e non arrivano mai sul mercato, spalmato sul farmaco che alla fine ha successo. Sono calcoli legittimi dal punto di vista finanziario, ma finiscono per gonfiare molto la cifra finale rispetto al costo diretto e verificabile di sviluppare quel singolo farmaco.

Gli studi indipendenti, al contrario, tendono a basarsi sui costi diretti effettivamente documentati — quanto è stato speso in sperimentazione clinica, personale, materiali — arrivando a cifre più contenute.

Un dato su cui c'è meno disaccordo: quanto viene dalla ricerca pubblica

C'è un aspetto su cui la ricerca accademica è più concorde: una parte significativa della ricerca scientifica di base che sta dietro molti farmaci innovativi — specialmente nelle fasi iniziali, quando si scopre il meccanismo biologico su cui poi si costruisce il farmaco — viene finanziata con fondi pubblici, attraverso università, istituti di ricerca statali, agenzie governative come i National Institutes of Health negli Stati Uniti.

Le aziende farmaceutiche private intervengono spesso in una fase successiva: prendono una scoperta scientifica già avanzata, spesso nata in un laboratorio universitario finanziato con soldi pubblici, e la sviluppano fino a farne un farmaco vendibile, sostenendo da quel punto in poi la parte più costosa (sperimentazione clinica su larga scala, produzione industriale, marketing). È un contributo reale e importante — ma non è tutta la storia dello sviluppo del farmaco, come a volte viene raccontato.

Perché questo conta per il prezzo finale

Se una parte consistente della ricerca di base è già stata pagata con soldi pubblici, la domanda «perché poi il prezzo finale del farmaco non tiene conto di questo contributo pubblico» diventa legittima. Non significa che l'azienda non debba guadagnare nulla — ha comunque sostenuto rischi e costi reali nella fase successiva — ma apre una domanda su quanto sia giusto che il prezzo finale rifletta solo la logica di mercato dell'azienda privata, senza nessun riconoscimento del contributo pubblico iniziale.

Il punto di questo capitolo

Non esiste una cifra unica e indiscussa sul costo di sviluppo di un farmaco: dipende da cosa si include nel calcolo, e le stime dell'industria e quelle indipendenti divergono molto. Quello che è più solido, invece, è il fatto che la ricerca pubblica gioca un ruolo importante,

spesso sottovalutato nel dibattito pubblico, nelle fasi iniziali di sviluppo di molti farmaci.

Nel prossimo capitolo vedremo un caso concreto e recentissimo in cui questo dibattito è esploso su scala globale: quello dei vaccini contro il COVID-19.

Capitolo 3 — Il caso dei vaccini COVID

Una corsa contro il tempo, con soldi pubblici

Quando il COVID-19 si diffuse nel mondo nel 2020, diversi governi — in particolare quello degli Stati Uniti, con il programma «Operation Warp Speed» — investirono miliardi di dollari pubblici per accelerare lo sviluppo dei vaccini, finanziando la ricerca delle aziende farmaceutiche prima ancora di sapere quali vaccini avrebbero funzionato, e garantendo in anticipo l'acquisto di grandi quantità di dosi. Anche la ricerca scientifica di base dietro alcune delle tecnologie usate nei vaccini — in particolare la tecnologia a RNA messaggero, usata da Pfizer-BioNTech e Moderna — era il frutto di decenni di ricerca accademica precedente, in parte finanziata con fondi pubblici.

Il brevetto sul prodotto finale

Nonostante questo contributo pubblico enorme, sia nella ricerca di base sia nel finanziamento diretto dello

sviluppo, il prodotto finale — il vaccino pronto per essere iniettato — restava di proprietà brevettuale delle aziende private che lo avevano sviluppato. Questo significava che solo quelle aziende, o chi avesse ottenuto una licenza da loro, potevano produrlo e venderlo, con un controllo pressoché totale sui prezzi e sulle priorità di distribuzione a livello globale.

Il dibattito sulla sospensione dei brevetti

Nell'ottobre 2020, India e Sudafrica proposero formalmente, all'Organizzazione Mondiale del Commercio (WTO), di sospendere temporaneamente gli obblighi internazionali sui brevetti (chiamati TRIPS, dall'accordo internazionale che li regola) specificamente per i vaccini, i test diagnostici e le cure contro il COVID-19. L'obiettivo era permettere a più paesi, specialmente quelli a basso e medio reddito, di produrre i vaccini localmente, senza dover pagare le aziende titolari del brevetto o aspettare le loro forniture.

La proposta incontrò una forte resistenza da parte di diversi paesi ricchi e delle aziende farmaceutiche, che sostenevano che il problema non fosse il brevetto in sé, ma la capacità produttiva e tecnica necessaria per fabbricare vaccini complessi — capacità che, secondo questa posizione, molti paesi non avrebbero comunque avuto anche con il brevetto sospeso.

La decisione, arrivata tardi

Solo il **22 giugno 2022**, quasi due anni dopo la proposta iniziale, la WTO approvò una deroga parziale e temporanea agli obblighi sui brevetti dei vaccini COVID-19, permettendo ai paesi che ne avessero i requisiti di autorizzare la produzione locale senza il consenso del titolare del brevetto, per un periodo di cinque anni.

È importante segnalare con onestà il tempismo di questa decisione: arrivò quando la fase più acuta e globale della pandemia, quella in cui l'accesso ai vaccini faceva la differenza più drammatica tra vita e morte su scala di massa, era già in gran parte superata nei paesi ricchi, dove la campagna vaccinale era già avanzata da mesi. Nei sei mesi successivi alla decisione, i membri della WTO avrebbero dovuto valutare se estendere la deroga anche ai test diagnostici e alle cure — ma non si raggiunse un accordo su questa estensione.

Cosa dimostra questo caso

Il caso dei vaccini COVID mostra, con un esempio concreto e recentissimo, due cose insieme: che il sistema dei brevetti può essere temporaneamente sospeso, in via eccezionale, quando la comunità internazionale decide che l'emergenza lo richiede — un fatto importante, perché dimostra che il sistema attuale non è l'unica strada possibile in assoluto. E, allo stesso tempo, che questo tipo di decisione, quando arriva, tende ad arrivare tardi, dopo lunghe trattative internaziona-

li, e con una portata più limitata di quanto sarebbe stato utile nel momento di massima urgenza.

Il punto di questo capitolo

Il caso dei vaccini COVID non è la prova che il sistema dei brevetti farmaceutici sia sbagliato in ogni caso — molti farmaci esistono proprio grazie a questo sistema. Ma è la prova concreta che, quando il contributo pubblico alla ricerca è enorme e l'urgenza sanitaria è collettiva, la domanda su chi debba controllare il prezzo e la distribuzione del prodotto finale diventa legittima, e le risposte istituzionali attuali — lente, negoziate a livello internazionale, spesso tardive — non sono le uniche possibili.

Nel prossimo capitolo vedremo cosa succede quando un brevetto scade, e come funzionano i farmaci generici — la parte del sistema che, quando funziona bene, rende davvero i farmaci più accessibili nel tempo.

Capitolo 4 — Farmaci generici e biosimilari

Cosa succede quando scade un brevetto

Come abbiamo visto nel Capitolo 1, un brevetto farmaceutico dura di solito 20 anni dal deposito, ma il periodo di vendita effettiva in esclusiva è spesso più breve, per via del tempo necessario a sperimentazione e approvazione. Quando quel periodo di esclusiva fini-

sce, succede qualcosa che i sostenitori del sistema dei brevetti indicano spesso come la prova che il sistema, alla fine, funziona: altre aziende possono produrre lo stesso farmaco, con lo stesso principio attivo, e venderlo a un prezzo molto più basso. Questi farmaci si chiamano «generici».

Il motivo per cui i prezzi crollano è semplice: l'azienda che produce il generico non deve coprire i costi di ricerca e sviluppo, già sostenuti dall'azienda originale — deve solo produrre e distribuire un farmaco la cui efficacia è già dimostrata, con margini molto più contenuti su ciascuna confezione, spesso compensati da grandi volumi di vendita.

Un caso più complesso: i biosimilari

Per una categoria specifica di farmaci — quelli «biologici», cioè prodotti da organismi viventi invece che sintetizzati chimicamente, sempre più diffusi tra i farmaci innovativi contro tumori e malattie autoimmuni — il farmaco equivalente al generico si chiama «biosimilare». La differenza tecnica è che un biosimilare non è mai identico al 100% al farmaco originale come lo è un generico chimico tradizionale, perché la produzione biologica ha una variabilità naturale intrinseca. Per questo servono studi clinici specifici, più costosi di quelli richiesti per un generico tradizionale, prima che un biosimilare possa essere approvato — un motivo per cui i biosimilari, pur costando meno del farmaco

originale, restano generalmente più cari dei generici tradizionali.

Le strategie per allungare l'esclusiva

Qui arriva la parte più controversa del sistema, che un libro onesto non può ignorare: le aziende farmaceutiche titolari dei brevetti originali hanno sviluppato, nel tempo, diverse strategie legali per allungare il periodo di esclusiva oltre quanto inizialmente previsto — una pratica che in inglese viene chiamata «evergreening» (letteralmente, «rendere sempre verde», cioè mai in scadenza).

Alcune di queste strategie: brevettare piccole modifiche alla formula originale (un nuovo dosaggio, una nuova combinazione con un altro principio attivo, una nuova forma farmaceutica come una compressa a rilascio prolungato) prima della scadenza del brevetto principale, ottenendo così un nuovo periodo di esclusiva su una variante del farmaco; oppure avviare cause legali contro i produttori di generici per ritardarne l'ingresso sul mercato, anche quando la causa ha scarse probabilità di successo, semplicemente per guadagnare tempo.

Perché conta per il sistema sanitario pubblico

Ogni mese in più di esclusiva su un farmaco molto usato può valere, per una singola azienda, centinaia di milioni di euro in tutto il mondo — e un costo equi-

valente per i sistemi sanitari pubblici, Italia inclusa, che devono continuare a pagare il prezzo del farmaco originale invece di poter accedere al prezzo molto più basso del generico o del biosimilare.

Il punto di questo capitolo

I farmaci generici e biosimilari rappresentano la parte del sistema dei brevetti che, quando arriva a compimento senza ostacoli artificiali, funziona esattamente come dovrebbe: rende accessibili a un prezzo molto più basso farmaci la cui efficacia è già dimostrata, liberando risorse pubbliche per finanziare le cure più nuove. Le strategie di «evergreening», invece, mostrano il lato più problematico del sistema: un uso del diritto brevettuale non per proteggere una vera innovazione, ma per ritardare artificialmente la concorrenza.

Nel prossimo capitolo vedremo come l'Italia, attraverso l'AIFA, prova a negoziare i prezzi dei farmaci prima ancora che arrivino ai pazienti — e cosa succede quando un farmaco nuovo è troppo caro per il Servizio Sanitario Nazionale.

Capitolo 5 — Come l'Italia negozia i prezzi dei farmaci

Chi decide cosa paga il Servizio Sanitario Nazionale

In Italia, prima che un farmaco possa essere prescritto a carico del Servizio Sanitario Nazionale, deve passare attraverso l'AIFA — l'Agenzia Italiana del Farmaco — che ne valuta l'efficacia, la sicurezza, e negozia con l'azienda produttrice il prezzo che lo Stato è disposto a pagare. È un passaggio fondamentale: senza l'approvazione e la negoziazione AIFA, un farmaco può comunque essere venduto in farmacia, ma il paziente dovrebbe pagarlo interamente di tasca propria.

Il meccanismo dei tetti di spesa

Per tenere sotto controllo la spesa pubblica complessiva, l'Italia fissa ogni anno dei «tetti di spesa» — cifre massime, calcolate come percentuale del Fondo Sanitario Nazionale, che non dovrebbero essere superate per la spesa farmaceutica. Esistono tetti separati per la farmaceutica «convenzionata» (i farmaci che compri in farmacia con la ricetta) e per gli «acquisti diretti» (i farmaci più costosi, spesso ospedalieri o innovativi, acquistati direttamente dalle strutture sanitarie).

Nel 2025, secondo i dati AIFA, la spesa per acquisti diretti ha sfiorato il proprio tetto di oltre 4,7 miliardi di euro — un segnale chiaro di quanto la spesa per far-

maci innovativi, spesso oncologici o per malattie rare, stia crescendo più velocemente delle risorse stanziare.

Il payback: quando le aziende restituiscono soldi

Quando la spesa supera il tetto fissato, entra in gioco un meccanismo chiamato «payback»: le aziende farmaceutiche sono tenute a restituire allo Stato una parte della spesa eccedente, in proporzione alle vendite di ciascuna. Nel 2025 questo ripiano è ammontato a oltre 2,3 miliardi di euro a carico delle aziende. È uno strumento reale di controllo della spesa, ma anche un segnale che il sistema attuale fatica strutturalmente a stare dentro i limiti fissati, anno dopo anno.

Cosa succede quando un farmaco è troppo caro

Quando l'AIFA e un'azienda non trovano un accordo sul prezzo di un farmaco nuovo — perché l'azienda chiede una cifra che l'AIFA giudica insostenibile per il sistema pubblico — il farmaco può restare fuori dalla rimborsabilità del SSN, anche se è già approvato come sicuro ed efficace dalle autorità regolatorie europee. In questi casi, il farmaco resta disponibile solo a pagamento privato, con costi che per molte famiglie italiane sono semplicemente proibitivi, specialmente per le terapie più costose contro tumori o malattie rare.

I farmaci innovativi e i fondi dedicati

Per i farmaci considerati particolarmente innovativi, l'Italia ha istituito fondi dedicati — pensati per garantire l'accesso rapido alle terapie più promettenti senza gravare direttamente sui tetti di spesa ordinari. È un tentativo di bilanciare l'esigenza di innovazione con la sostenibilità del sistema, ma anche questi fondi, come mostrano gli sforamenti ricorrenti, faticano a tenere il passo con il costo crescente delle nuove terapie.

Il punto di questo capitolo

Il sistema italiano di negoziazione dei prezzi farmaceutici, attraverso l'AIFA, è uno degli strumenti più concreti che un sistema sanitario pubblico ha a disposizione per bilanciare l'accesso alle cure con la sostenibilità della spesa. Funziona, in parte: mantiene un controllo reale sui prezzi che nessun paziente singolo potrebbe negoziare da solo. Ma i sforamenti sistematici dei tetti di spesa, anno dopo anno, mostrano i limiti di un sistema che si trova a rincorrere una crescita dei prezzi dei farmaci innovativi decisa altrove, dalle case farmaceutiche che li producono.

Nel prossimo capitolo affrontiamo, con la massima onestà possibile, le obiezioni più serie a tutto quello che abbiamo raccontato finora.

Capitolo 6 — Malattie rare e farmaci «orfani»

Un problema diverso dagli altri

Fino a questo capitolo abbiamo parlato di farmaci che esistono, ma costano molto. C'è un problema diverso, forse ancora più difficile da accettare: farmaci che non vengono nemmeno sviluppati, perché il numero di pazienti che ne avrebbero bisogno è troppo piccolo perché un'azienda privata li consideri un investimento conveniente.

Cosa sono le malattie rare

Le malattie rare sono, per definizione, patologie che colpiscono un numero molto limitato di persone — in Europa, la soglia usata è meno di 1 persona su 2.000. Prese singolarmente, ogni malattia rara riguarda poche migliaia o addirittura poche centinaia di pazienti in tutta Italia. Ma sommate insieme, le malattie rare conosciute sono migliaia, e complessivamente riguardano milioni di persone in Europa.

Il problema dal punto di vista di un'azienda

Immagina di essere un'azienda farmaceutica che deve decidere dove investire i propri fondi di ricerca, comunque limitati. Sviluppare un farmaco per una malattia comune — il diabete, l'ipertensione — significa, se il farmaco funziona, poterlo vendere a milioni

di pazienti in tutto il mondo, con un ritorno economico potenzialmente enorme. Sviluppare un farmaco per una malattia che colpisce poche centinaia di persone al mondo significa, anche in caso di successo, un mercato potenziale piccolissimo, spesso insufficiente a coprire i costi di sviluppo con un prezzo di vendita «normale».

Con la sola logica di mercato, la conseguenza è chiara: le malattie rare tendono a restare senza terapie sviluppate, non perché sia impossibile scientificamente curarle, ma perché non è conveniente economicamente farlo.

I farmaci «orfani»: un tentativo di correggere questo squilibrio

Per contrastare questo problema, diversi paesi — inclusa l'Unione Europea — hanno introdotto normative specifiche sui cosiddetti «farmaci orfani»: incentivi economici e regolatori dedicati alle aziende che sviluppano farmaci per malattie rare, come periodi di esclusiva di mercato più lunghi del normale, riduzioni delle tasse regolatorie, assistenza scientifica gratuita da parte delle agenzie del farmaco, e in alcuni casi finanziamenti pubblici diretti alla ricerca.

Il rovescio della medaglia: prezzi altissimi

Questi incentivi hanno funzionato, in parte: negli ultimi decenni sono stati sviluppati e approvati diversi farmaci orfani che prima non esistevano. Ma hanno

anche creato un effetto collaterale rilevante: proprio perché il mercato per questi farmaci è piccolo, le aziende tendono a fissare prezzi altissimi per singola dose o trattamento — a volte centinaia di migliaia di euro l'anno per paziente — per riuscire comunque a generare un profitto significativo nonostante il numero limitato di pazienti trattati.

Questo crea un dilemma difficile per i sistemi sanitari pubblici, incluso quello italiano: garantire l'accesso a un farmaco salvavita per un numero ristretto di pazienti, anche a un costo altissimo per ciascuno, oppure limitarne l'accesso per contenere la spesa complessiva — una scelta che nessun sistema sanitario affronta a cuor leggero, perché dietro ogni numero ci sono persone reali e famiglie reali.

Il punto di questo capitolo

Il caso delle malattie rare mostra, forse più di ogni altro esempio in questo libro, i limiti di affidarsi solo alla logica di mercato per decidere quali farmaci sviluppare. Gli incentivi pubblici sui farmaci orfani hanno aiutato a colmare in parte questo vuoto, ma hanno anche prodotto un nuovo problema: prezzi talmente alti da mettere sotto pressione anche i sistemi sanitari dei paesi più ricchi.

Nel prossimo capitolo vedremo come altri paesi affrontano il problema della negoziazione dei prezzi

farmaceutici, e cosa possiamo imparare — con i dovuti limiti — dai loro approcci.

Capitolo 7 — Il confronto con altri sistemi

Non tutti i paesi negoziano allo stesso modo

Come abbiamo visto nel Capitolo 5, l'Italia negozia i prezzi dei farmaci attraverso l'AIFA, un'agenzia nazionale che tratta caso per caso con ciascuna azienda farmaceutica. Altri paesi hanno scelto approcci diversi, con vantaggi e limiti che vale la pena conoscere, senza pensare che esista un modello perfetto da copiare senza adattamenti.

Il potere d'acquisto centralizzato

Alcuni paesi hanno sistemi sanitari organizzati in modo da concentrare in un unico soggetto — un'agenzia nazionale, un unico grande acquirente pubblico — tutto il potere contrattuale nei confronti delle aziende farmaceutiche. Più grande e centralizzato è l'acquirente, maggiore è, in teoria, la sua forza nel negoziare prezzi più bassi: un'azienda farmaceutica ha molto più interesse a scendere sul prezzo se questo significa vendere a un intero paese, piuttosto che perdere singole vendite frammentate.

Paesi con sistemi sanitari nazionali fortemente centralizzati tendono, in generale, a ottenere condizioni di prezzo più favorevoli rispetto a sistemi più frammentati, dove più soggetti diversi negoziano separatamente con le stesse aziende.

Il caso degli Stati Uniti: l'estremo opposto

Gli Stati Uniti rappresentano, su questo tema, il caso più diverso dall'Italia: fino a pochi anni fa, il programma pubblico Medicare — l'assicurazione sanitaria federale per gli anziani — non aveva nemmeno il potere legale di negoziare direttamente i prezzi dei farmaci con le aziende, un divieto introdotto per legge nel 2003 su forte pressione dell'industria farmaceutica. Il risultato storico è stato che, per decenni, i prezzi dei farmaci negli Stati Uniti sono stati, per molte categorie di medicinali, sensibilmente più alti che in Europa, a parità di farmaco. Solo di recente, con una riforma approvata nel 2022, Medicare ha ottenuto il potere di negoziare i prezzi per un numero limitato di farmaci ad alto costo — un cambiamento significativo rispetto al passato, ma ancora parziale.

I limiti di questi confronti

Un libro onesto deve segnalare i limiti di questi paragoni internazionali. Un sistema fortemente centralizzato negozia prezzi più bassi, ma può anche significare tempi di accesso più lunghi ai farmaci più nuovi, se

il negoziato con l'azienda si protrae a lungo prima di trovare un accordo. Un sistema più frammentato, come quello americano prima della riforma del 2022, garantisce spesso un accesso più rapido ai farmaci appena approvati, ma a un costo molto più alto, distribuito in modo diseguale tra chi ha un'assicurazione privata generosa e chi no.

Il ruolo (limitato) dell'Unione Europea

L'Unione Europea, a differenza degli Stati Uniti o della Cina, non ha un unico sistema sanitario centralizzato: ogni paese membro negozia i prezzi separatamente con le aziende farmaceutiche, spesso ottenendo condizioni diverse per lo stesso farmaco. Esistono forme di cooperazione tra paesi — condivisione di informazioni, in alcuni casi negoziati congiunti per farmaci specifici, soprattutto durante l'emergenza COVID per i vaccini — ma non un vero potere contrattuale unico a livello europeo, che in teoria potrebbe negoziare condizioni molto più favorevoli, vista la dimensione del mercato europeo nel suo complesso.

Il punto di questo capitolo

Non esiste un sistema di negoziazione dei prezzi farmaceutici perfetto, valido in ogni contesto. Ma il confronto tra i vari approcci mostra con chiarezza un principio: il potere contrattuale conta, e più un acquirente pubblico è grande e coordinato, maggiore è, in

generale, la sua capacità di ottenere prezzi sostenibili senza compromettere l'accesso alle cure.

Nel prossimo capitolo affrontiamo, con la massima onestà possibile, le obiezioni più serie a tutto quello che abbiamo raccontato finora in questo libro.

Capitolo 8 — Le obiezioni, trattate con onestà

Perché questo capitolo conta

Fin qui abbiamo raccontato i limiti e le storture del sistema attuale dei brevetti farmaceutici. Ma un libro onesto deve affrontare anche gli argomenti seri di chi difende, con ragioni economiche fondate, il sistema così com'è oggi.

Prima obiezione: senza brevetti forti, chi finanzierebbe la ricerca?

È l'argomento più importante, e merita di essere preso sul serio. Anche se, come visto nel Capitolo 2, la ricerca pubblica gioca un ruolo importante nelle fasi iniziali, la sperimentazione clinica su larga scala — quella che dimostra se un farmaco è davvero sicuro ed efficace su migliaia di pazienti, in più fasi successive — è estremamente costosa, e nella maggior parte dei casi viene finanziata da capitali privati, che chiedono un ritorno economico proporzionato al rischio preso.

Senza la garanzia di un periodo di esclusiva di mercato, gli investitori privati avrebbero un incentivo molto minore a finanziare questa fase, che resta comunque indispensabile per portare una scoperta scientifica di laboratorio fino a un farmaco sicuro da somministrare ai pazienti. Indebolire troppo il sistema dei brevetti, senza sostituirlo con qualcos'altro di funzionante, rischierebbe di ridurre il numero di nuovi farmaci sviluppati nel tempo — un costo che pagherebbero soprattutto i pazienti futuri, non ancora nati o non ancora malati, quindi meno visibili nel dibattito pubblico di oggi.

Seconda obiezione: i prezzi alti finanziano anche i farmaci che falliscono

Un argomento tecnico ma reale: per ogni farmaco che arriva sul mercato con successo, esistono molti altri farmaci che un'azienda ha sviluppato, investendo tempo e denaro, e che sono falliti nelle fasi di sperimentazione, senza mai generare un euro di ricavo. Il prezzo del farmaco che ha successo deve, in una certa misura, coprire anche questi investimenti falliti — altrimenti nessuna azienda avrebbe convenienza a rischiare capitali su ricerche dall'esito incerto, che è la natura stessa della ricerca scientifica.

Terza obiezione: il caso dei vaccini COVID non è generalizzabile

Chi difende il sistema attuale sottolinea che il caso dei vaccini COVID, raccontato nel Capitolo 3, è un'eccezione, non la regola: un'emergenza sanitaria globale, senza precedenti nella storia recente, con finanziamenti pubblici diretti di dimensioni mai viste prima per accelerare lo sviluppo. Generalizzare da questo caso specifico — sostenendo per esempio che tutti i brevetti farmaceutici dovrebbero essere sospesi più facilmente — rischierebbe di applicare a situazioni normali una logica pensata per un'emergenza eccezionale.

Una risposta onesta a queste obiezioni

Queste obiezioni contengono argomenti economici reali, che questo libro non vuole ignorare. Ma non cambiano il quadro di fondo raccontato nei capitoli precedenti: il fatto che gli investimenti privati siano necessari non significa che il sistema attuale — con le strategie di allungamento artificiale dei brevetti raccontate nel Capitolo 4, o con prezzi che in alcuni casi sembrano slegati da qualsiasi calcolo verificabile di costi reali — sia l'unico modo possibile di bilanciare incentivo alla ricerca e accesso alle cure.

La domanda giusta, quindi, non è «brevetti sì o no», ma «come regolare il sistema in modo da mantenere l'incentivo alla ricerca reale, contrastando allo stesso

tempo le pratiche che sfruttano il sistema oltre la sua logica originale». È quello che vedremo nel prossimo capitolo.

Capitolo 9 — Cosa si potrebbe fare

Non tutto o niente, anche qui

Come per gli altri temi di questa collana, la scelta non è tra «lasciare tutto come sta» e «abolire i brevetti farmaceutici». Esistono proposte concrete, già discusse nel dibattito reale tra economisti, istituzioni sanitarie e organizzazioni internazionali, che provano a correggere gli squilibri raccontati in questo libro senza smontare l'incentivo alla ricerca.

Trasparenza sui costi reali di sviluppo

Una proposta discussa da anni: obbligare le aziende farmaceutiche a rendere pubblici, in modo verificabile, i costi reali sostenuti per sviluppare un farmaco specifico — non solo le stime aggregate di settore citate nel Capitolo 2, ma dati verificabili farmaco per farmaco. Questo permetterebbe alle agenzie nazionali come l'AIFA di negoziare i prezzi partendo da informazioni più solide, invece che dover accettare le cifre proposte dalle aziende senza un reale potere di verifica.

Negoziazione europea congiunta

Come visto nel Capitolo 7, l'Unione Europea oggi negozia i prezzi dei farmaci paese per paese, senza un

vero potere contrattuale unico. Rafforzare la cooperazione tra le agenzie nazionali del farmaco dei diversi paesi europei, fino a una negoziazione realmente congiunta per i farmaci più costosi, permetterebbe di sfruttare la dimensione dell'intero mercato europeo — molto più grande di quello di ogni singolo paese membro — per ottenere condizioni di prezzo migliori, senza perdere la possibilità di adattare le scelte alle specificità di ciascun sistema sanitario nazionale.

Licenze obbligatorie in caso di emergenza sanitaria

Il caso del TRIPS waiver sui vaccini COVID, raccontato nel Capitolo 3, ha mostrato sia il principio (i brevetti possono essere sospesi in emergenza) sia i suoi limiti pratici (tempi troppo lunghi, portata troppo ristretta). Rendere questo meccanismo più rapido da attivare, con criteri chiari e concordati in anticipo invece che negoziati da zero a ogni emergenza, permetterebbe di intervenire più tempestivamente in future crisi sanitarie globali, senza dover ricominciare ogni volta un negoziato internazionale lungo mesi o anni.

Regole più severe contro l'«evergreening»

Contrastare in modo più efficace le strategie di allungamento artificiale dei brevetti raccontate nel Capitolo 4 — per esempio, criteri più rigidi su cosa costituisce davvero un'innovazione sufficiente a giustificare un

nuovo brevetto, distinguendola da modifiche marginali fatte solo per prolungare l'esclusiva di mercato. Diverse autorità antitrust, in Europa e altrove, hanno già sanzionato in singoli casi pratiche di questo tipo: renderle la norma, invece dell'eccezione, richiederebbe regole più chiare scritte nella legislazione sui brevetti stessa.

Fondi pubblici dedicati alle malattie trascurate

Per le malattie rare e per le patologie che colpiscono soprattutto i paesi più poveri — dove il mercato, come visto nel Capitolo 6, ha un incentivo economico debole a investire — rafforzare i fondi pubblici e le partnership internazionali dedicate specificamente a queste aree, come già avviene in parte con i programmi sui farmaci orfani, ma con risorse e coordinamento internazionale più ampi.

Il punto di questo capitolo

Nessuna di queste proposte, da sola, risolverebbe completamente le storture raccontate in questo libro. Ma insieme rappresentano un cambio di approccio possibile: mantenere l'incentivo economico alla ricerca farmaceutica, che resta necessario, correggendo allo stesso tempo le pratiche che sfruttano il sistema oltre la sua logica originale, a scapito dei pazienti e dei sistemi sanitari pubblici.

Nell'ultimo capitolo vediamo cosa puoi fare tu, da subito, sia come cittadino sia come paziente o familiare di un paziente.

Capitolo 10 — Cosa puoi fare tu, adesso

Sapere di più, per decidere meglio

Se sei arrivato fin qui, ora sai che il prezzo di un farmaco non è un dato oggettivo e immutabile, ma il risultato di un sistema complesso — brevetti, ricerca pubblica e privata, negoziazioni tra agenzie nazionali e aziende — che si può conoscere e, in parte, mettere in discussione. Questo non cambia da solo il prezzo di un farmaco che ti serve oggi, ma può aiutarti a orientarti meglio in situazioni concrete.

Chiedere sempre se esiste un farmaco equivalente

Quando ti viene prescritto un farmaco, puoi chiedere al medico o al farmacista se esiste un generico o un biosimilare equivalente, con lo stesso principio attivo, a un prezzo più basso — come visto nel Capitolo 4, per legge in Italia il farmacista è tenuto a informarti dell'esistenza di un equivalente più economico, se disponibile, e a offrirtelo come alternativa, salvo indicazione contraria del medico.

Conoscere i tuoi diritti quando un farmaco non è coperto dal SSN

Se un farmaco di cui hai bisogno non è coperto dal Servizio Sanitario Nazionale perché non è stato ancora negoziato dall'AIFA, o perché la negoziazione non ha portato a un accordo, esistono comunque alcuni strumenti da conoscere: la possibilità di richiedere l'accesso attraverso specifici fondi per farmaci innovativi, quando applicabile; la possibilità, per il medico curante, di richiedere un uso «off-label» motivato in casi specifici; e, per le associazioni di pazienti organizzate, un ruolo reale nel fare pressione collettiva sulle istituzioni per l'inclusione di farmaci specifici nella rimborsabilità pubblica — un canale spesso più efficace del tentativo individuale isolato.

Il ruolo delle associazioni di pazienti

Le associazioni di pazienti, specialmente per le malattie rare raccontate nel Capitolo 6, hanno spesso un ruolo importante e sottovalutato: mettono insieme famiglie che altrimenti affronterebbero il problema da sole, raccolgono informazioni aggiornate su farmaci e sperimentazioni cliniche in corso, e fanno pressione collettiva sulle istituzioni sanitarie con una voce più forte di quella del singolo paziente. Se tu o una persona cara siete alle prese con una malattia rara o una terapia costosa, cercare l'associazione di pazienti dedicata a quella specifica patologia è spesso uno dei passi più utili che si possano fare.

Parlarne, senza sentirti solo con un problema tecnico

Il tema dei prezzi dei farmaci viene spesso vissuto come un argomento troppo tecnico per essere discusso pubblicamente, lasciato agli addetti ai lavori. Ma riguarda tutti, prima o poi, direttamente o attraverso una persona cara. Parlarne apertamente — con amici, colleghi, sui social — aiuta a costruire una consapevolezza collettiva che, come per gli altri temi di questa collana, è la precondizione per qualunque pressione politica reale su un sistema che oggi lascia gran parte del potere decisionale alle aziende farmaceutiche.

Condividere questo libro

Come tutti i libri della collana Contropotere, anche questo è pensato per essere condiviso liberamente e gratuitamente. Se conosci qualcuno interessato a capire meglio come funziona davvero il sistema dei farmaci — o semplicemente qualcuno a cui piacerebbe leggere un argomento complesso spiegato in modo semplice — condividi questo libro con loro.

Per finire

Il sistema dei brevetti farmaceutici non cambierà per un singolo gesto individuale. Ma la consapevolezza diffusa, come per gli altri temi di questa collana, resta la precondizione di ogni cambiamento politico reale. Non sei una goccia isolata in un problema troppo grande per essere affrontato.

Grazie per aver letto fino in fondo. Buona diffusione.

Nota sulla trasparenza nell'uso dell'intelligenza artificiale

Questo libro è stato scritto con il supporto di strumenti di intelligenza artificiale, usati per la ricerca preliminare delle fonti, la prima stesura dei testi a partire da una scaletta e da indicazioni editoriali definite dall'autore, e la revisione linguistica e strutturale.

Restano interamente umane: la scelta del tema e la tesi del libro, la verifica di ogni fatto, cifra e citazione contro una fonte primaria o istituzionale prima della pubblicazione, la decisione editoriale finale su cosa viene pubblicato o corretto, e la responsabilità editoriale dei contenuti — che resta in capo all'autore, mai allo strumento di intelligenza artificiale utilizzato.

Questa nota risponde agli obblighi di trasparenza previsti dall'art. 50 del Regolamento (UE) 2024/1689 (AI Act), applicabile dal 2 agosto 2026.

Se trovi un errore, una fonte imprecisa o un'affermazione che ritieni non verificata correttamente, scrivi a redazione@contropotere.com — ogni segnalazione fondata porta a una correzione pubblica del testo. Questo libro fa parte della collana **Contropotere**: gli altri titoli sono disponibili gratuitamente su **contropotere.com**.