

Il curioso caso della colchicina, un clamoroso autogol di FDA (*)

Già il uso 3000 anni fa nell'antica Grecia, la colchicina è disponibile come generico negli USA dal 19° secolo. Si tratta di un farmaco raccomandato da molte linee guida come intervento di seconda scelta nell'accesso gottoso, per gli intolleranti a FANS o che non possono usare steroidi.

E' stata una sorpresa sapere che FDA ne ha approvato una nuova versione. Il farmaco non era mai stato registrato perché nel 1938, quando divenne obbligatoria la registrazione dei nuovi farmaci, vi fu una sanatoria per i prodotti già in uso e di comprovata efficacia. Negli anni sessanta FDA provvide poi ad una ulteriore revisione per togliere dal commercio i prodotti la cui efficacia non fosse chiara, ma la colchicina non venne riesaminata.

Così nel 2007 la URL Pharma di Philadelphia ha pensato bene di produrre alcuni studi di farmacocinetica su volontari sani e un RCT su 185 pazienti affetti da gotta, dimostrando ciò che era già noto da decenni, cioè che la colchicina funziona bene nell'attacco acuto di gotta, a margine di effetti collaterali 'accettabili' quali diarrea e vomito. Sulla scorta di questi dati FDA approvava nel luglio 2009 Colcrys®, una nuova formulazione di colchicina. Tecnicamente si tratta di un "nuovo" farmaco, che beneficia dunque di 3 anni di mercato esclusivo. Nello stesso tempo alla ditta produttrice sono stati concessi 7 anni di esclusività commerciale in quanto Colcrys® è attiva sulla febbre mediterranea familiare (FMF), malattia rara che colpisce non più di 100mila persone, per il beneficio della *Orphan Drug Act*. Questa legge premia la ricerca di farmaci per le malattie orfane, come in passato è stato per il talidomide, impiegata nella lebbra e, più recentemente, nel mieloma multiplo.

Quali sono stati i risultati di tutto questo?

La colchicina generica, in commercio negli USA a 9 centesimi a pillola, non può più essere venduta. Al suo posto si è obbligati ad acquistare Colcrys® che costa ben \$ 4.85 a compressa. Così per i prossimi anni MEDICARE pagherà non più 1 milione di \$ per le

100mila prescrizioni di colchicina generica, come avvenuto nel 2007, ma 50 milioni di \$ all'anno!

Non solo, ma trattandosi di farmaco in uso anche per malattia orfana (FMF), anche i 100mila sfortunati che hanno questa rara affezione dovranno sborsare per ben 7 anni una cifra 50 volte superiore per l'acquisto di Colcrys®!

Mai definizione di autogol può essere più appropriata nei riguardi di FDA che ha applicato acriticamente due leggi approvate con l'intento di favorire la ricerca.

L'esclusività per 3 e per 7 anni premia infatti le Aziende farmaceutiche che hanno investito tempo e danaro nella ricerca di base e poi negli RCT registrativi, producendo farmaci utili per il progresso della medicina e per malattie rare, orfane di terapia.

Ma non è certo il caso di Colcrys®. L'unico risultato dell'incentivo di esclusività farà spendere di più ai pazienti ed alle compagnie assicurative statali come Medicare.

Molto ironica mi è sembrata la considerazione che appare nel sito web della URL Pharma

(http://www.urlpharma.com/url_home_Landing.aspx) e che recita più o meno così "*...URL Pharma valuta con regolarità nuove opportunità di sviluppo commerciale (...) noi abbiamo il capitale, le tecnologie, il supporto legale e l'abilità per muoverci rapidamente se una opportunità è nel nostro interesse...*"... appunto...nel **nostro** interesse!

(*) libera traduzione e adattamento da :

Kesselheim A. et al. Incentives for Drug Development — The Curious Case of Colchicine *NEJM* 2010; 362: 2045-7

Giovanni Peronato
Reumatologo
Specialista Ambulatoriale
Vicenza