

Novembre 2023



## XXII Convegno

# “Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie”

Promosso da



*Associazione Italiana  
di Economia Sanitaria*

Organizzazione Convegno



# Introduzione

La XXII edizione del Convegno “Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie” – promosso da AIES (Associazione Italiana di Economia Sanitaria) e organizzato da Economia Sanitaria – ha voluto approfondire tre importanti tematiche, con il contributo di Rappresentanti AIFA, Commissione Tecnico-Scientifica AIFA, Servizi Farmaceutici regionali, Clinici, Ricercatori, Economisti e Industria.

## **ACCESSO AI FARMACI: SITUAZIONE E PROPOSTE DI NUOVI SCENARI**

Partendo da riflessioni sul contesto di crescente complessità di valutazione dei farmaci, è stato analizzato l'accesso tempestivo (con attenzione alla procedura 100 giorni) per determinati farmaci; sono stati approfonditi per un accesso precoce la situazione italiana con le diverse modalità disponibili e il quadro internazionale, con la proposta di un programma strutturato in questo ambito nel nostro Paese.

## **ONCOLOGIA DI PRECISIONE: STATO DELL'ARTE E PROSSIMI SCENARI**

Focus su profilazione genomica con NGS (nella pratica clinica e per gli studi clinici e i trattamenti off-label), e correlata importanza di Fondi e Tariffe LEA coerenti con i reali costi di produzione, al fine di rendere effettivi i risparmi per il SSN e garantire diagnosi e terapie appropriate; oltre al ruolo strategico dei Molecolar Tumor Board e dei centri specialistici per l'esecuzione dei test.

## **6 ANNI DEL NUOVO MODELLO DI VALUTAZIONE DI INNOVATIVITÀ**

Analisi degli aspetti di valutazione tecnica e delle tempistiche del processo di Pricing & Reimbursement, con particolare attenzione ai farmaci onco-ematologici (combinazioni e monoterapie), con riflessioni su aspetti positivi, problematiche e ambiti di miglioramento di un modello multidimensionale basato su processi decisionali espliciti e trasparenti.

**Claudio Jommi**

*Responsabile Scientifico del Convegno  
Professore di Economia Aziendale, Dipartimento Scienze del Farmaco,  
Università del Piemonte Orientale - Novara*



**Video Reportage**

# ACCESSO AI FARMACI: SITUAZIONE ATTUALE E PROPOSTE DI RIFORMA

I diversi programmi per permettere l'accesso tempestivo e precoce ai farmaci sono i temi della sessione (ripresi nelle videointerviste), coordinata dal Prof. **Francesco Saverio Mennini** (Direttore CEIS-EEHTA, Università Tor Vergata, Roma e Presidente SIHTA - Società Italiana di Health Technology Assessment).

Partendo dall'analisi della crescente complessità di valutazione (oltre il 50% delle procedure in ambito oncologico attualmente in EMA fanno riferimento a studi a braccio singolo; sessanta nuove terapie ATMP sono previste entro il 2030; diversi farmaci in sviluppo sono relativi ad ambiti con epidemiologia limitata, quali l'oncologia mutazionale), sono stati approfonditi i dati relativi ai nuovi farmaci a livello europeo (documenti "EFPIA patients W.A.I.T. Indicator 2022-2021 survey" IQVIA).

Dall'analisi EPFIA-WAIT, il nostro Paese si conferma tra le prime nazioni europee sia in termini di numero di farmaci resi accessibili ai pazienti, sia di rimborsabilità e di tempi di disponibilità, con un valore medio pari a 436 giorni rispetto a una media europea di 517 giorni nel quadriennio 2018-2021.

Sono state altresì evidenziate tempistiche molto più ridotte in Francia se si considerano i programmi di accesso precoce (Programma "ATU - Autorisations d'accès précoce", sostituito dal 01.07.21 da "Accès Précoce a un médicament") nella valutazione complessiva: con i 44 medicinali (tra i 105 farmaci disponibili) inseriti nel sistema ATU le tempistiche di accesso nel 2017-2020 si riducono da 497 giorni a 240 giorni.

<b>Confronto farmaci a livello europeo (rimborsabilità e relative tempistiche): dati Report EPFIA-WAIT</b>							
I farmaci sono considerati disponibili se rimborsati dal SSN o con accesso gratuito per il paziente (modalità diverse di accesso, differenti tra i vari Paesi)							
<b>Nuovi Farmaci disponibili (2018-2021)</b>	<b>Approvazione EU</b>	<b>Paese</b>	<b>Germania</b>	<b>Italia</b>	<b>Francia</b>	<b>Inghilterra</b>	<b>Spagna</b>
	<b>168</b>	<b>Farmaci</b>	<b>147</b>	<b>135</b>	<b>112</b>	<b>111</b>	<b>98</b>
	Report	Posizione	1a	2a	6a	7a	12a
	<b>Media EU</b>	<b>Paese</b>	<b>Germania</b>	<b>Inghilterra</b>	<b>Italia</b>	<b>Francia</b>	<b>Spagna</b>
	<b>517 gg</b>	<b>Tempistiche</b>	<b>128 gg</b>	<b>329 gg</b>	<b>436 gg</b>	<b>508 gg</b>	<b>629 gg</b>
	Report	Posizione	1a	6a	10a	16a	28a
<b>Nuovi Farmaci disponibili (2017-2020). Annotazioni</b>	<b>Francia:</b> Il report EPFIA-WAIT 2017-2020 riporta la seguente annotazione: "Se si considera che i 44 farmaci inseriti nel programma ATU (per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo) sono direttamente disponibili (time to availability = 0), <b>il tempo medio di disponibilità per i 105 farmaci disponibili in Francia nel periodo è pari a 240 giorni</b> ".						
	<b>Italia:</b> Nello stesso Report 2017-2020 i dati relativi all'Italia erano i seguenti: <b>127 farmaci disponibili con una tempistica media di 429 giorni</b> . L'annotazione relativa al programma ATU non è presente nel report 2018-2021.						

Se da una parte sono diverse le modalità in Italia per accedere a terapie farmacologiche prima che l'AIFA ne autorizzi la commercializzazione o a farmaci con uso nominale off-label, tra le quali un ruolo importante è svolto dalla lista 648 e dal Fondo 5%, l'analisi a livello europeo ha confermato l'importanza dell'introduzione nel nostro Paese di un programma di accesso precoce strutturato con caratteristiche simili al programma francese "Accès précoce", contestualizzato alla situazione esistente in Italia.



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 04' 01"

### **Rimborsabilità delle tecnologie sanitarie, quali sono le sfide?**

**Dott. Giovanni Giuliani**

E' molto più complesso valutare attualmente una tecnologia sanitaria rispetto a 15 anni fa (studi a braccio singolo; farmaci in sviluppo relativi ad ambiti con epidemiologia limitata, quali l'oncologia mutazionale; ecc.). Come gestire l'incertezza su rischio/beneficio e costo/beneficio in un contesto di crescente complessità, che impatta sull'uniformità di accesso e sui tempi. Quali le possibili proposte per una governance sostenibile a garanzia di un accesso tempestivo. Ne parliamo con il Dott. Giovanni Giuliani (Access Chapter Lead, Roche).



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 04' 52"

### **Accesso precoce ai farmaci, qual è la situazione in Italia?**

**Dott.ssa Sandra Petraglia**

Dei diversi programmi di accesso precoce consentiti in Italia – sia per una terapia farmacologica prima che l'AIFA ne autorizzi la commercializzazione, sia per i farmaci già autorizzati per indicazioni diverse da quelle per le quali il medicinale è stato autorizzato (uso off-label) – ne parliamo con la Dott.ssa Sandra Petraglia (Dirigente Area Pre-Autorizzazione, AIFA), che ha approfondito questi temi nella sua relazione al Convegno.



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 04' 31"

### **Accesso precoce ai farmaci: quadro internazionale e proposta di riforma per l'Italia**

**Prof. Claudio Jommi**

In Italia esistono programmi di accesso precoce (Lista 648 e Fondo 5%), ma sono frammentati e rispondono a obiettivi diversi, presentando diverse criticità. Solo in Francia esiste un programma strutturato in questo ambito. Ne parla ai microfoni di Pharmastar il Prof. Claudio Jommi (Professore di Economia Aziendale, Dipartimento Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale - Novara), che ha presentato nel Convegno una proposta di accesso precoce ai farmaci, con caratteristiche simili al programma "Accès précoce" francese, contestualizzata alla situazione esistente nel nostro Paese.

# ONCOLOGIA DI PRECISIONE: STATO DELL'ARTE E PROSSIMI SCENARI

L'Oncologia di Precisione, con l'identificazione delle alterazioni genomiche coinvolte nello sviluppo delle neoplasie, permette di trattare i pazienti con terapie "personalizzate".

In questo scenario in grande evoluzione – nonostante l'utilizzo della tecnologia "Next-Generation Sequencing" (NGS) sia prioritario in alcuni tumori (polmone, colangiocarcinoma, mammella, ovaio, prostata, tiroide) in quanto consente, rispetto alle metodiche standard, la valutazione contemporanea di diverse alterazioni – non sono previste codifiche per test NGS oncologici nel nuovo tariffario LEA che entrerà in vigore il 1° gennaio 2024.

La sessione del Convegno, coordinata dal **Dottor Carmine Pinto** (Presidente FICOG - Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) ha analizzato alcuni importanti aspetti dell'Oncologia di Precisione e i prossimi scenari, temi ripresi nelle videointerviste: (i) inquadramento delle principali caratteristiche relative alla profilazione genomica nella pratica clinica rispetto a quella estesa-CGP, utilizzata per gli studi clinici e i trattamenti off-label; (ii) funzioni, competenze e potenzialità dei Molecular Tumor Board, il cui Decreto istitutivo è stato recentemente pubblicato; (iii) forti disparità di accesso ai test tra le diverse regioni e come politiche di rimborso, con tariffe nazionali e inserimento dei test NGS nei LEA, possano garantire a tutti i pazienti oncologici un percorso diagnostico e di cura appropriato; (iv) l'inserimento di tali test nei LEA risponde anche a un corretto approccio HTA in questo ambito, al fine di superare la dicotomia tra rimborsabilità del farmaco (decisa a livello centrale) e disponibilità del test di profilazione genomica (decisa a livello regionale).



 **CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata: 06' 17"

## **Profilazione NGS nella pratica clinica e profilazione NGS Estesa-CGP**

### **Prof. Giancarlo Pruneri**

Diversi approcci, obiettivi, infrastrutture tecnologiche e organizzative caratterizzano le due profilazioni: quella destinata alla pratica clinica, effettuata con pannelli fino a 50 geni, permette di valutare le alterazioni molecolari specifiche per le quali esistono trattamenti "on-label"; quella estesa-CGP (Comprehensive Genomic Profiling), effettuata con pannelli grandi (300/500 geni), consente di disporre del profilo molecolare complessivo della neoplasia per gli studi clinici e i trattamenti off-label. Ne parliamo con il Prof. Giancarlo Pruneri (Direttore Dipartimento Patologia Diagnostica - Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori di Milano).



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 05' 57"

## Importanza e obiettivi del decreto ministeriale che regola l'istituzione dei Molecular Tumor Board

**Dott. Nello Martini**

Il Decreto del Ministero della Salute del 30.05.23 sull'istituzione dei MTB è stato pubblicato nella Gazzetta Ufficiale GU n. 190 del 16.08.23: il Dott. Nello Martini (Presidente Fondazione ReS - Ricerca e Salute) ne evidenzia ai microfoni di Pharmastar i principali criteri, modalità e procedure istitutive, il ruolo della profilazione genomica NGS estesa-CGP e l'importanza di una valutazione multidisciplinare delle indicazioni emerse da tale profilazione, le potenzialità del MTB per la ricerca farmacologica e di cura per questi pazienti oncologici, per i quali è stata accertata l'assenza di alternative terapeutiche autorizzate.



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 04' 28"

## Test Next Generation Sequencing, qual è la situazione in Italia?

**Prof. Nicola Normanno**

In Italia solo il 2% delle analisi di patologia molecolare viene eseguito con NGS a fronte di una media europea del 10%, con forti disparità di accesso tra le diverse Regioni, con quelle meridionali che presentano maggiori criticità. Per garantire a tutti i pazienti oncologici un percorso diagnostico e di cura appropriato, sono necessari - oltre a Centri Specialistici qualificati, con adeguati livelli di organizzazione e competenze professionali - politiche di investimento nelle tecnologie e politiche di rimborso, con tariffe nazionali e inserimento dei test NGS nei LEA. Ne parliamo con il Prof. Nicola Normanno (Direttore Dipartimento Ricerca Traslationale - IRCCS Fondazione Pascale di Napoli).



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO** Durata: 05' 41"

## Ruolo della diagnostica nella valutazione economica e HTA dei farmaci a bersaglio molecolare

**Prof. Patrizio Armeni**

Nell'oncologia di precisione l'accesso alla terapia e alla diagnostica sono elementi complementari. Nel nostro Paese però la rimborsabilità del farmaco (decisa a livello centrale) e la disponibilità del test di profilazione genomica (decisa a livello regionale) seguono strade non congiunte. Un corretto approccio HTA in questo ambito richiede che il test (metodica standard o NGS, quando prioritario) sia inserito nei Livelli Essenziali di Assistenza con l'adeguata allocazione di risorse. Ne parliamo con il Prof. Patrizio Armeni (Associate Professor of Practice Health Economics and HTA - SDA Bocconi School of Management).

# 6 ANNI DEL NUOVO MODELLO DI VALUTAZIONE DI INNOVATIVITÀ

Il Gruppo Multidisciplinare Innovatività ha aggiornato l'analisi degli aspetti di valutazione tecnica e di Pricing & Reimbursement relativi ai farmaci onco-ematologici innovativi, che sarà a breve pubblicata con il coordinamento del Dott. **Giovanni Pappagallo** (Epidemiologo Clinico e componente Gruppo Metodologico Linee Guida AIOM e AIRO). Nel periodo Maggio 2017 - Maggio 2023 sono state valutate dalla CTS/AIFA 112 indicazioni, tra combinazioni e monoterapie in questo ambito, e l'aggiornamento dell'analisi ha confermato il Valore Terapeutico Aggiunto quale driver principale del giudizio di innovatività. **Inoltre, pur essendo il Bisogno Terapeutico già in parte coperto dalle monoterapie che hanno dimostrato una certa efficacia, in alcune neoplasie metastatiche le combo innovative hanno contribuito a cambiare il decorso della malattia.**

COMBINAZIONI E MONOTERAPIE INNOVATIVE ONCO-EMATOLOGICHE ANALISI SCHEDE VALUTAZIONE CTS					Gruppo Multidisciplinare INNOVATIVITA'
MAGGIO 2017 - MAGGIO 2023		INNOVATIVITA'			
Finestra temporale	Numero indicazioni	Piena	Condizionata	Non riconosciuta	
2017-2023	112	32%	28%	40%	
2017-2018	32	22%	44%	34%	
2019-2020	40	40%	25%	35%	
2021-2022	40	33%	17%	50%	

L'analisi aggiornata, per questi farmaci, relativa alle tempistiche da inizio procedura CTS a pubblicazione in Gazzetta Ufficiale ha evidenziato: (i) tempi più ridotti per i medicinali valutati con innovatività piena dalla CTS, rispetto a quelli con innovatività condizionata o non riconosciuta; (ii) tempistiche maggiori per le comboterapie rispetto alle monoterapie, sia per la valutazione CTS sia per la negoziazione in CPR; (iii) tempi minori per i farmaci oncologici rispetto a quelli ematologici.

In particolare, **l'analisi ha sottolineato che l'accesso alle terapie di combinazione potrà essere garantito da flessibilità negoziale e dalla possibilità di applicazione di contratti che differenzino l'uso delle terapie per indicazione e utilizzo in mono o combo.**

COMBINAZIONI E MONOTERAPIE INNOVATIVE ONCO-EMATOLOGICHE ANALISI TEMPISTICHE DA INIZIO PROCEDURA CTS A PUBBLICAZIONE GU					Gruppo Multidisciplinare INNOVATIVITA'
MAGGIO 2017 - MAGGIO 2023		INNOVATIVITA'			
Numero indicazioni	Media	Piena	Condizionata	Non riconosciuta	
112	348 gg	300 gg	358 gg	382 gg	
MAGGIO 2017 - MAGGIO 2023		TIPOLOGIA FARMACI			
Numero indicazioni	Media	Monoterapie	Comboterapie	Differenza Mono-Combo	
112	348 gg	334 gg	367 gg	+ 33 gg	

Il Convegno è stato realizzato con il contributo incondizionato di:

*Platinum Sponsors*



*Gold Sponsors*



*Silver Sponsors*



## Oltre 31.000 pazienti oncologici in attesa di TEST NGS: necessari Fondi 2024 aspettando Tariffe LEA, per rendere effettivi i risparmi per SSN e garantire diagnosi e terapie appropriate

Carmine Pinto,<sup>1,2</sup> Nicola Normanno,<sup>2,7</sup> Nello Martini,<sup>3,7</sup>  
Claudio Jommi,<sup>4,7</sup> Giancarlo Pruneri,<sup>5,7</sup> Giovanni Ravasio<sup>6,7</sup>

<sup>1</sup>Presidente FICOG - Federation of Italian Cooperative Oncology Groups e  
Direttore Oncologia Medica, Comprehensive Cancer Centre, AUSL-IRCCS di Reggio-Emilia

<sup>2</sup>Direttore Dipartimento Ricerca Trasazionale - Istituto Nazionale Tumori - IRCCS Fondazione Pascale, Napoli

<sup>3</sup>Presidente Fondazione ReS - Ricerca e Salute

<sup>4</sup>Professore di Economia Aziendale, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale, Novara

<sup>5</sup>Direttore Dipartimento Patologia Diagnostica e Laboratorio - Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori, Milano

<sup>6</sup>Direttore Economia Sanitaria

<sup>7</sup>Gruppo Multidisciplinare Innovatività (GMI)

L'Oncologia di Precisione, con l'identificazione delle alterazioni genomiche coinvolte nello sviluppo delle neoplasie, permette di trattare i pazienti con terapie "personalizzate", autorizzate da AIFA a seguito di un test di profilazione che indichi l'eleggibilità al trattamento.

In questo scenario in grande evoluzione – nonostante l'utilizzo della tecnologia "Next-Generation Sequencing" (NGS) sia prioritario in alcuni tumori (polmone, colangiocarcinoma, mammella, ovaio, prostata, tiroide) in quanto consente, rispetto alle metodiche standard, la valutazione contemporanea di diverse alterazioni anche nelle neoplasie caratterizzate dalla limitata disponibilità di campioni tissutali – non sono previste codifiche per test NGS oncologici nel nuovo tariffario LEA che entrerà in vigore il 1° gennaio 2024.

Il presente Documento è stato redatto dal Gruppo Multidisciplinare Innovatività (GMI), a seguito di un'attività di analisi su queste tematiche – condivisa in questi anni con Rappresentanti Istituzionali, Società Scientifiche e Associazioni Pazienti – che ha portato alla definizione dei costi della profilazione NGS nella pratica clinica, recepiti nei Decreti del Ministero della Salute per l'adenocarcinoma del polmone e per il colangiocarcinoma.

In particolare, il Documento partendo dallo stato dell'arte dell'Oncologia di Precisione ha individuato oltre 31.000 **Pazienti oncologici che necessitano di test NGS nel 2024**, e per "agevolare la loro profilazione" ha approfondito ulteriormente l'analisi (pubblicata a luglio 2023) sulla **sostenibilità economico-finanziaria dell'inserimento nel tariffario LEA di test NGS oncologici coerenti con i reali costi di produzione**, definendo alcune proposte operative.

**1a proposta** In questa prospettiva è stata formulata una **griglia TARIFFE LEA per la profilazione NGS in Oncologia, a seconda della complessità della valutazione e dei geni referatati per la diagnosi. Condizione fondamentale per rendere effettivi e permanenti i risparmi per il SSN** (quale riduzione di allocazione di risorse SSN) **stimati in 21 milioni €**, rispetto a tariffe regionali vigenti o a quelle antecedenti ai Decreti sopra indicati.

**2a proposta** Per garantire, al più presto, la **valutazione con NGS degli oltre 26.000 pazienti oncologici con neoplasie per le quali sono disponibili farmaci autorizzati dal SSN (tumori nei quali una corretta profilazione è condizione fondamentale per la prescrizione di una terapia appropriata)** è necessario un **Fondo per l'anno 2024 di 30 milioni €**, in attesa che il Ministero della Salute aggiorni, in accordo con la Conferenza delle Regioni, i Livelli Essenziali di Assistenza recependo la griglia TARIFFE LEA di cui sopra.

**3a proposta** In riferimento al recente Decreto di istituzione del Molecular Tumor Board, che ha tra gli obiettivi la valutazione della profilazione genomica estesa dei pazienti non suscettibili di ulteriori terapie oncologiche efficaci, deve essere finanziato un **Fondo 2024 di 10 milioni € per i 5.500 casi stimati nel prossimo anno**.

**Proposte al fine di evitare che non vengano più erogate prestazioni di profilazione genomica NGS ai pazienti oncologici (a partire da quella coperta solo fino al 31.12.23 dallo specifico Fondo del polmone) soprattutto nelle Regioni in piano di rientro o commissariate, con limitazioni/divieti di effettuare spese extra LEA.**

# SCARICA IL DOCUMENTO



## **PHARMASTAR**

[www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it)

Registrazione al Tribunale di Milano

n° 516 del 6 settembre 2007

## **EDITORE**

MedicalStar

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

[info@medicalstar.it](mailto:info@medicalstar.it) - [www.medicalstar.it](http://www.medicalstar.it)

## **AVVERTENZE PER I LETTORI**

Nessuna parte di questa pubblicazione può essere copiata o riprodotta anche parzialmente senza l'autorizzazione dell'Editore.

L'Editore declina ogni responsabilità derivanti da errori od omissioni in merito a dosaggio o impiego di medicinali o dispositivi medici eventualmente citati negli articoli e invita il lettore a controllare personalmente l'esattezza delle informazioni, facendo riferimento alla bibliografia relativa.

## **DIRETTORE RESPONSABILE**

Danilo Magliano

## **VIDEOMAKER**

Riccardo De Paola

## **PROGETTO E GRAFICA**

Francesca Bezzan - [www.franbe.it](http://www.franbe.it)