

Settembre 2022



XXI Convegno

“Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie”

Promosso da



*Associazione Italiana
di Economia Sanitaria*

Organizzazione Convegno



Introduzione

La XXI 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 focalizzare due importanti tematiche: GOVERNANCE e INNOVATIVITÀ del farmaco.

Nella sessione della mattina, sono stati analizzati, in modo articolato gli aspetti di GOVERNANCE, partendo dal documento EU “Ripensare le priorità politiche alla luce delle pandemie”, approfondendo poi le strategie e gli strumenti dell’attuale governance AIFA, e gli scenari futuri: dall’Early Access Program in Italia all’impatto del prossimo Joint Clinical Assessment-EU per il sistema regolatorio italiano e per le imprese farmaceutiche.

La sessione pomeridiana dedicata all’INNOVATIVITÀ, da una parte ha posto l’attenzione sullo stato dell’arte (implicazioni cliniche, gestionali e di finanziamento) della Medicina di Precisione in Oncologia, caratterizzata da un grande sviluppo in questi anni, che attraverso l’identificazione di alterazioni molecolari coinvolte nello sviluppo delle neoplasie permette di individuare i pazienti da trattare con terapie personalizzate.

Dall’altra, mediante disamina delle schede di valutazione Innovatività AIFA e documentazione correlata, sono state presentate due analisi sugli aspetti Clinici e di Pricing & Reimbursement delle combinazioni e monoterapie innovative in onco-ematologia, evidenziando aspetti positivi, problematiche e ambiti di miglioramento di tali valutazioni.

Claudio Jommi

*Responsabile Scientifico del Convegno
Professor of Practice di Health Policy SDA Bocconi School of Management
Past President AIES*



Video Reportage

SCENARI PRESENTI E FUTURI DI GOVERNANCE DEI FARMACI

RETHINK POLICY PRIORITIES IN THE LIGHT OF PANDEMICS: KEY OBJECTIVES AND RECOMMENDATIONS

“Pan-European Commission on Health and Sustainable Development”

Prof.ssa Aleksandra Torbica

Gli obiettivi chiave e le raccomandazioni del documento europeo sono stati presentati dalla Prof.ssa Aleksandra Torbica (President AIES e Special Adviser to the Commission's Chair “Pan-European Commission on Health and Sustainable Development”), nel corso del XXI Convegno “Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie”.

In primis il documento chiede la piena attuazione del concetto di “One Health” in tutti i contesti di politiche sanitarie, che ha come base l'interdipendenza tra essere umano, animale e salute ambientale.

Tra gli argomenti trattati, particolare attenzione è stata posta sul **sostenere l'innovazione nella salute, incoraggiando la scoperta e lo sviluppo di farmaci, tecnologie mediche, soluzioni digitali e innovazioni organizzative, comprese misure per aumentare e migliorare le sperimentazioni cliniche su larga scala.**



STRATEGIE E STRUMENTI PER LA GOVERNANCE DEL FARMACO, TRA INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ

Dott. Nicola Magrini

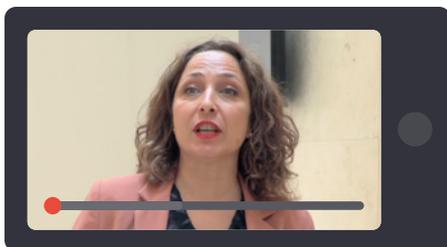
Il Direttore Generale dell'Agenzia Italiana del Farmaco, Dott. Nicola Magrini, nel suo intervento al XXI Convegno “Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie” ha analizzato le principali tematiche della governance del farmaco in un quadro generale di salute pubblica, dalle relazioni tra AIFA-SSN e Innovazione-Sostenibilità, alle priorità e difficoltà relative agli scenari prossimi.

Tra agli altri temi trattati: (i) **una nuova alleanza AIFA-SSN/SSR per l'uso ottimale dei farmaci, vaccini e tecnologie;** (ii) **la creazione di un ecosistema di ricerca (hub pandemico) e di evidenze coerenti;** (iii) **l'esperienza inglese che ha introdotto nuovi modelli di prezzo per gli antibiotici WHO Reserve, separando vendite e revenues in favore di una quota fissa.**

Relazioni: AIFA-SSN-innovazione-sostenibilità



1. Innovazione e AIFA/SSN - quale relazione? **Privilegiata**
- **innovazione e non innovativi - quale relazione?**
2. Innovazione e efficacia (highly effective) - quale relazione? **Identitaria**
3. Innovazione e sostenibilità SSN - relazione? **Possibile**
4. Sostenibilità spesa SSN? **SI con approcci molteplici, coerenti e convergenti (centrali e regionali)**
- **momento post-Covid-19 era favorevole MA gli scenari di guerra hanno complicato e di molto gli scenari sostenibili**



CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 06' 46"

JOINT CLINICAL ASSESSMENTS: PRIMO PASSO VERSO UN SISTEMA EUROPEO DI HTA

Dott.ssa Alessandra Lo Scalzo

Dare uguaglianza di accesso e rendere omogenee le procedure a livello europeo per i farmaci, dispositivi medici e tutte le altre tecnologie sanitarie da una parte, e facilitare i produttori nel presentare un'unica documentazione centrale dall'altra, sono gli obiettivi di un nuovo sistema europeo di HTA (Health Technology Assessment) che parte dalle Valutazioni Cliniche Congiunte (Joint Clinical Assessments). Lo spiega ai microfoni di PharmaStar la Dott.ssa Alessandra Lo Scalzo dell'Unità Operativa HTA dell'AGENAS, nel corso del XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".

Le Valutazioni Cliniche Congiunte – che riguarderanno i farmaci oncologici e le terapie avanzate (dal 2025), i farmaci orfani (dal 2028) e poi tutte le tecnologie (dal 2030) – lasceranno impregiudicata la competenza degli Stati europei di trarre conclusioni sull'efficacia relativa delle tecnologie sanitarie o di adottare decisioni sull'uso di tali tecnologie nel contesto sanitario nazionale. **Inoltre, non interferiranno con la competenza nazionale esclusiva degli Stati in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso.**

Joint Clinical Assessments europei si focalizzeranno sugli aspetti clinici basandosi sul modello P.I.C.O., metodo utilizzato nella pratica clinica basata sulle evidenze, mentre saranno valutati a livello nazionale gli aspetti economici, organizzativi, relativi ai pazienti, sociali, etici e giuridici, in un quadro di valutazione multidimensionale tipica dell'HTA.

Facendo riferimento al modello P.I.C.O., alla base delle Valutazioni Cliniche Congiunte che saranno introdotte dal 2025 a livello europeo, il **Gruppo Multidisciplinare Innovatività ha prodotto nel 2018, con il contributo di interlocutori pubblici, il documento "Schema per la preparazione del dossier per la richiesta di innovatività"** da parte delle Aziende, con lo scopo di rendere più rapidi e riproducibili i processi di valutazione di questi farmaci. (Il presente documento e le analisi approntate dal Gruppo Multidisciplinare Innovatività possono essere scaricati dal sito www.economiasanitaria.it)



Economia e delle Politiche del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie

Schema per la preparazione del dossier di richiesta di innovatività dei farmaci

Carmine Pinto,¹ Giovanni Pappagallo,² Nicola Normanno,³ Romano Danesi,⁴ Claudio Jommi,⁵ Giovanni Ravasio⁶

¹ Clinical Cancer Centre, IRCCS Arcispedale S. Maria Nuova, Reggio Emilia
² Esperto Epidemiologia e Metodo Grade
³ Dip. Ricerca Ist. Naz. Tumori - IRCCS Fondazione Pascale, Napoli
⁴ Farmacologia Clinica AOU Pisano - Pisa
⁵ Dip. Scienze Farmaco Univ. Studi Piemonte Orientale e CERGIS-SDA Bocconi, Milano
⁶ Editore Economia Sanitaria

Gli Autori ringraziano, per il contributo alla discussione nel corso di incontri, Patrizia Popoli (Presidente Commissione CTS-AIFA)

VALORE TERAPEUTICO AGGIUNTO	
Campo di applicazione	Definizione della popolazione obiettivo (P di P.I.C.O.) e del/del trattamenti di riferimento (C di P.I.C.O.)
Definizione dei parametri di efficacia e tollerabilità	Definizione dei parametri (O di P.I.C.O.) su cui basare il rapporto tra benefici e danni: <ul style="list-style-type: none"> outcome di beneficio considerati essenziali* outcome di danno considerati essenziali* outcome di beneficio considerati importanti** outcome di danno considerati importanti**
Costruzione di tabelle sintetiche delle evidenze disponibili	Utilizzo della piattaforma web GRADEpro-GDT (http://gdt.auditanddevelopment.org/): <ul style="list-style-type: none"> indicazione delle fonti di informazione presentazione degli indicatori di effetto relativi (RR, OR, HR, ecc.) e assoluti (RD, MD, ecc.) per ogni outcome considerato esplicitazione delle soglie di rilevanza clinica considerate (delta di superiorità, margine di non-inferiorità, M.I.D., ecc.), quando disponibili, per ciascun outcome
Strutturazione del testo	<ul style="list-style-type: none"> Presentazione ed esplicitazione delle informazioni tabellate (v. sopra): <ul style="list-style-type: none"> outcome essenziali* e importanti** di beneficio outcome essenziali* e importanti** di danno Giudizio sintetico sul rapporto tra benefici e danni: <ul style="list-style-type: none"> entità globale degli effetti desiderabili (benefici) entità globale degli effetti non desiderabili (danni) possibile impatto sulle preferenze del paziente

* parametri considerati indispensabili per la formulazione della proposta terapeutica
** parametri considerati non essenziali, ma comunque importanti per la corretta definizione del rapporto tra benefici e danni

P.I.C.O.: Problem, Intervention, Comparison, Outcomes
RR: Risk Ratio OR: Odds Ratio HR: Hazard Ratio
RD: Risk Difference MD: Mean Difference M.I.D.: Minimal Interesting Difference
OS: Overall Survival DFS: Disease-Free Survival PFS: Progression-Free Survival



CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 04' 47"

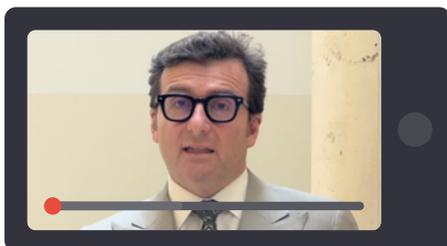
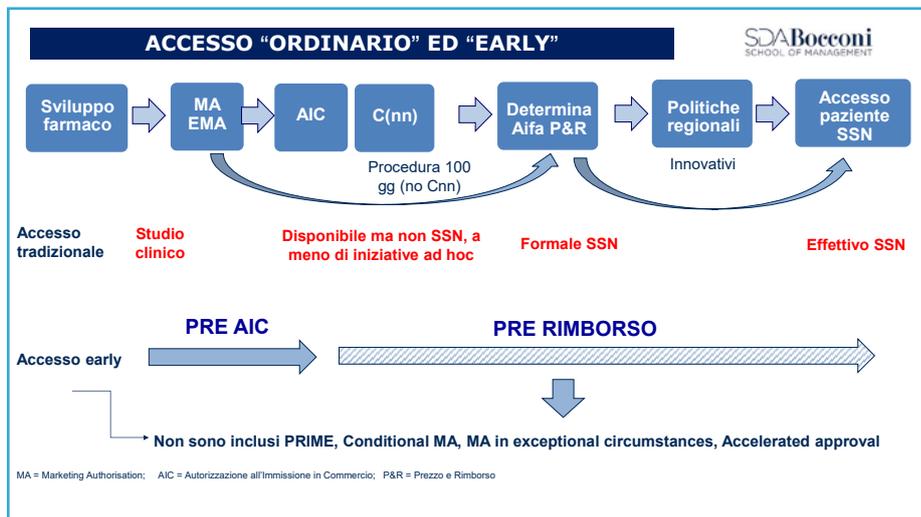
Nel nostro Paese l'accesso anticipato ai farmaci avviene attraverso due programmi gestiti direttamente dal SSN: la "Lista 648" e il "Fondo 5%" (attualmente elevato al 7% delle spese annuali per attività di promozione delle Aziende farmaceutiche, le quali concorrono al 50% di questo fondo). Inoltre, esiste il cosiddetto "Uso Compassionevole", che prevede un maggior coinvolgimento dell'Azienda produttrice e la fornitura gratuita del medicinale.

L'analisi dell'Osservatorio Farmaci del Cergas-Bocconi ha evidenziato che il sistema EAP italiano è frammentato e che dovrebbe essere ristrutturato in un'ottica complessiva e di effettivo accesso anticipato ai farmaci, proponendo in questa prospettiva un interessante modello francese.

EARLY ACCESS PROGRAM IN ITALIA: SITUAZIONE ATTUALE E POSSIBILI NUOVI SCENARI

Prof. Claudio Jommi

Quali sono i programmi di accesso anticipato alle terapie farmacologiche, prima dell'approvazione e prima che venga deciso il prezzo di rimborso, i cosiddetti "Early Access Program" e quanto vengano utilizzati, ma soprattutto come potrebbero essere migliorati: lo spiega ai microfoni di PharmaStar il Prof. Claudio Jommi, Professor of Practice di Health Policy SDA Bocconi School of Management, in occasione del XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".



CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 04' 53"

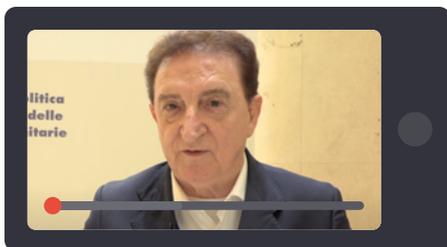
LA GOVERNANCE DEL FARMACO: COSA CAMBIERÀ NEI PROSSIMI ANNI

Prof. Francesco Saverio Mennini

Nel 2025 verranno introdotte le Valutazioni Cliniche Congiunte europee e questo comporterà giocoforza modifiche importanti al sistema farmaceutico nazionale per quanto riguarda gli aspetti regolatori, ma anche a livello organizzativo e gestionale.

Ne parla ai microfoni di PharmaStar il Prof. Francesco Saverio Mennini, Presidente SIHTA (Società Italiana di Health Technology Assessment) e Direttore CEIS-EEHTA Univ. Tor Vergata, che ha coordinato la Tavola Rotonda sul tema al XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".

A fronte dei cambiamenti a livello europeo dovrà essere infatti garantito nel nostro Paese, oltre a un accesso più rapido alle terapie (al quale possono contribuire nuovi modelli di Early Access Program), un percorso più omogeneo su tutto il territorio nazionale, con nuovi modelli organizzativi e PDTA condivisi.



CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 06' 17"

In particolare, i MTB – con il contributo di oncologo, ematologo, anatomopatologo, biologo molecolare, farmacologo e farmacista – sono organismi di 2° livello su richiesta dei GOM (Gruppi Oncologici Multidisciplinari).

In attesa della pubblicazione dello specifico Decreto del Ministero della Salute, che disciplina l'Istituzione dei MTB e dei Centri NGS da parte di ogni singola regione e provincia autonoma nell'ambito delle Reti Oncologiche Regionali, alcune Regioni hanno deliberato in materia.

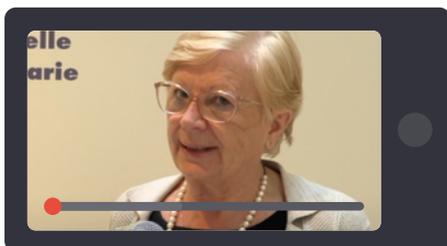
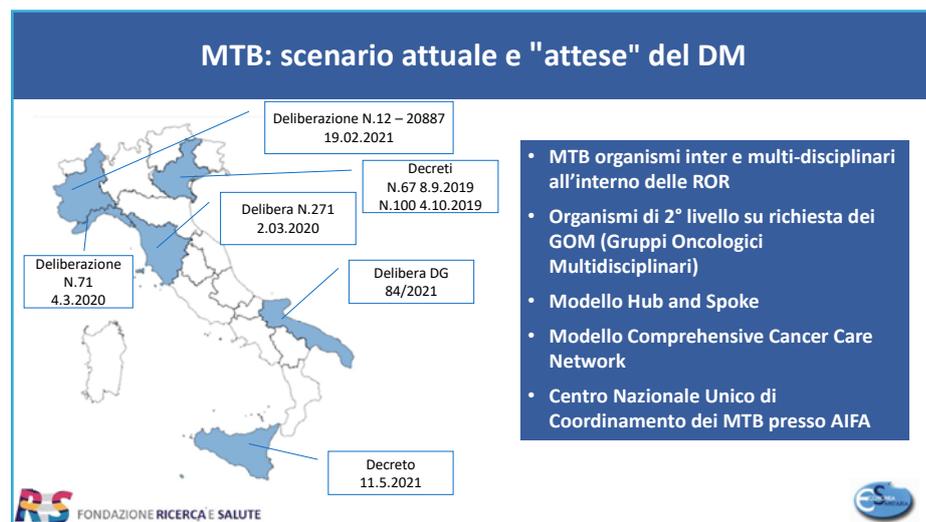
Nel frattempo, è in corso il Progetto MTB VCS (Virtual Consultation System) ITA che, in collaborazione con CINECA, prevede una piattaforma per la raccolta e l'elaborazione dei dati di profilazione genomica, dei dati clinici, dei referti laboratoristici e di diagnostica strumentale.

LA MEDICINA DI PRECISIONE IN ITALIA E RUOLO DEI MOLECULAR TUMOR BOARD: STATO DELL'ARTE

Dott. Nello Martini

I Molecular Tumor Board (MTB) sono gruppi inter-multidisciplinari che hanno la responsabilità di interpretare test di profilazione genomica e di scegliere il trattamento per i pazienti oncologici per i quali già non sussistano indicazioni definite a terapie target: rappresentano quindi un importante meccanismo organizzativo nell'ambito della Medicina di Precisione in Oncologia.

Ne parla ai microfoni di PharmaStar il Dott. Nello Martini, Presidente Fondazione ReS - Ricerca e Salute, in occasione del XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".



CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 06' 42"

Accanto a questo "percorso virtuoso", per ridurre criticità locali e nazionali, è importante individuare regole comuni non solo per l'esecuzione, ma anche per l'applicazione clinica dei test eseguiti, che possibilmente distingua fra farmaci con l'indicazione registrata (target therapy, agnostici...) e usi off label/early access.

PROFILAZIONE GENOMICA IN ONCOLOGIA: ASPETTI GESTIONALI E CRITICITÀ A LIVELLO CENTRALE

Dott.ssa Anna Maria Marata

La profilazione genomica rappresenta un cambio di paradigma in alcune terapie oncologiche: è quindi fondamentale costruire un "percorso virtuoso" che a fronte di una nuova indicazione rimborsata da AIFA di un farmaco che richiede uno specifico TEST di profilazione genomica, questo venga inserito tempestivamente dal Ministero della Salute nei LEA stabilendone il costo, mentre Agenas deve definire un Percorso Diagnostico Terapeutico valido a livello nazionale. Ne parla ai microfoni di PharmaStar la Dott.ssa Anna Maria Marata, Componente Commissione CTS-AIFA, nel corso del XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".





CLICCA E GUARDA IL VIDEO

Durata: 04' 18"

Come ben noto, il modello multidimensionale prevede una valutazione che tenga conto di tre elementi fondamentali: Bisogno Terapeutico (BT), Valore Terapeutico Aggiunto (VTA) e Qualità delle Prove (QP). L'analisi, focalizzata sulle combinazioni e monoterapie in ambito onco-ematologico, ha confermato che il VTA è il driver principale del giudizio di innovatività. **Inoltre, pur essendo il BT già in parte coperto dalle monoterapie che avevano dimostrato una certa efficacia, in alcune neoplasie metastatiche le combo innovative hanno contribuito a cambiare il decorso della malattia.**

LE VALUTAZIONI DELL'INNOVATIVITÀ DEI FARMACI DA PARTE DI AIFA: FACCIAMO UN BILANCIO

Dott. Giovanni Pappagallo

L'analisi del Gruppo Multidisciplinare Innovatività delle schede valutate dalla CTS-AIFA (2017-2022) – che fanno riferimento al nuovo modello di valutazione multidimensionale basato su processi decisionali espliciti e trasparenti – ne ha evidenziato aspetti positivi e ambiti di miglioramento.

Lo spiega ai microfoni di PharmaStar il Dott. Giovanni Pappagallo, Epidemiologo Clinico e componente Gruppo Metodologico Linee Guida AIOM e AIRO, nel corso del XXI Convegno "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie".

**COMBINAZIONI E MONOTERAPIE INNOVATIVE IN ONCO-EMATOLOGIA:
ANALISI SCHEDE VALUTAZIONE CTS-AIFA 2017-2022**

**Gruppo Multidisciplinare
INNOVATIVITÀ'**

L'analisi ha riscontrato:

- L'applicazione di un modello multidimensionale e strutturato – basato su processi decisionali, espliciti e trasparenti – rispondente a quanto definito dalla specifica determina AIFA.
- Valutazioni complessivamente corrette.
- Un processo di valutazione, come prevedibile, via via affinandosi nel tempo.
- Il riconoscimento di "endpoint diversi da OS" per alcune indicazioni tra i farmaci onco-ematologici valutati quali innovativi.

L'analisi ha altresì individuato i seguenti ambiti di miglioramento:

- Il contributo di Clinici esperti e di rilevanza riconosciuta nella neoplasia per la definizione del **Bisogno Terapeutico** e dei parametri-guida (outcome di beneficio e di danno ritenuti critici) per la valutazione del **Valore Terapeutico Aggiunto** per le singole valutazioni.
- Per il **Bisogno Terapeutico**, inoltre, un confronto periodico tra tutti gli stakeholder del sistema al fine di rivedere congiuntamente i requisiti reali della sua classificazione, a seguito di un'attività di Horizon Scanning.
- Per la **Qualità delle Prove**, tre sono gli aspetti meritevoli di attenzione: trascinarsi del giudizio di questo parametro sul Valore Terapeutico Aggiunto (driver del riconoscimento di innovatività), corretta relazione tra significatività statistica vs. imprecisione e maturità del dato.

COMBINAZIONI: OPPORTUNITÀ TERAPEUTICA E PROBLEMATICHE DI VALUTAZIONE

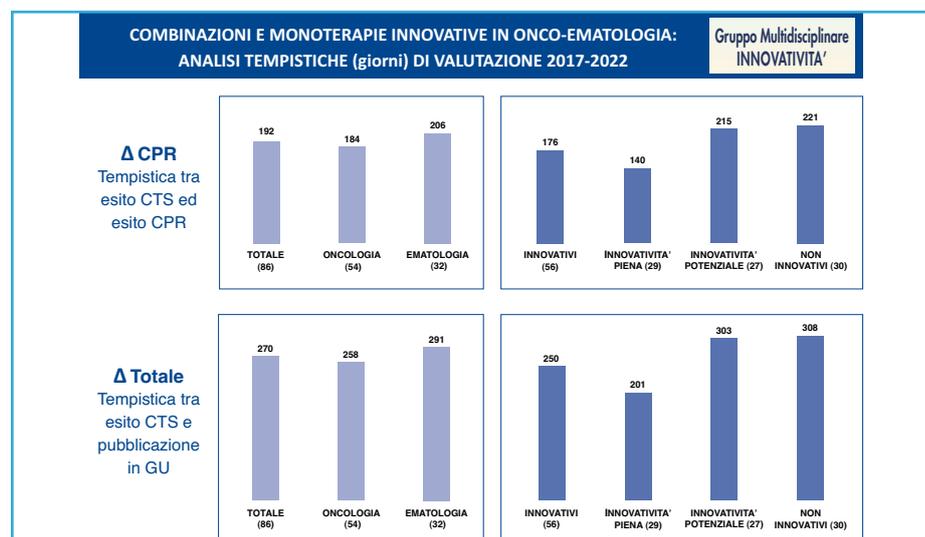
Prof. Claudio Jommi

Il Gruppo Multidisciplinare Innovatività ha approfondito anche gli aspetti di Pricing & Reimbursement delle terapie di combinazione e monoterapie in ambito onco-ematologico.

Le terapie combinate possono rappresentare una importante opportunità terapeutica; pongono però, per i soggetti che svolgono valutazioni di HTA e i pagatori, problematiche di valutazione, di coerenza tra valore e costo, e di sostenibilità.

L'analisi preliminare ha evidenziato che tali problematiche si riflettono sulle valutazioni di innovatività ma non sui tempi di negoziazione in CPR. Inoltre, si sono registrate tempistiche più ridotte: (i) per i farmaci oncologici rispetto a quelli ematologici; (ii) per i medicinali valutati con innovatività piena dalla CTS, rispetto a quelli giudicati potenziali o non innovativi.

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 loro utilizzo in mono o combo.



Il Convegno è stato realizzato con il supporto incondizionato di:

Platinum Sponsors



Gold Sponsors



Silver Sponsors



PHARMASTAR

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 - 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

Dante Daurelio

PROGETTO E GRAFICA

Francesca Bezzan - www.franbe.it