



Modelli di previsione in AIFA

Michele Marangi

Ufficio Attività di Analisi e Previsione

6 giugno 2019

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Michele Marangi**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy EMA /626261/2014 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso

Regolamento AIFA ed Horizon Scanning

Area Strategia ed Economia del farmaco

Ufficio Segreteria
organismi collegiali

Settore HTA ed economia del farmaco

Settore Innovazione e Strategia del
farmaco

Ufficio Registri di
monitoraggio

Ufficio Procedure
Centralizzate

Ufficio Valutazioni
economiche

Ufficio Innovazione e
Scientific Advice EMA

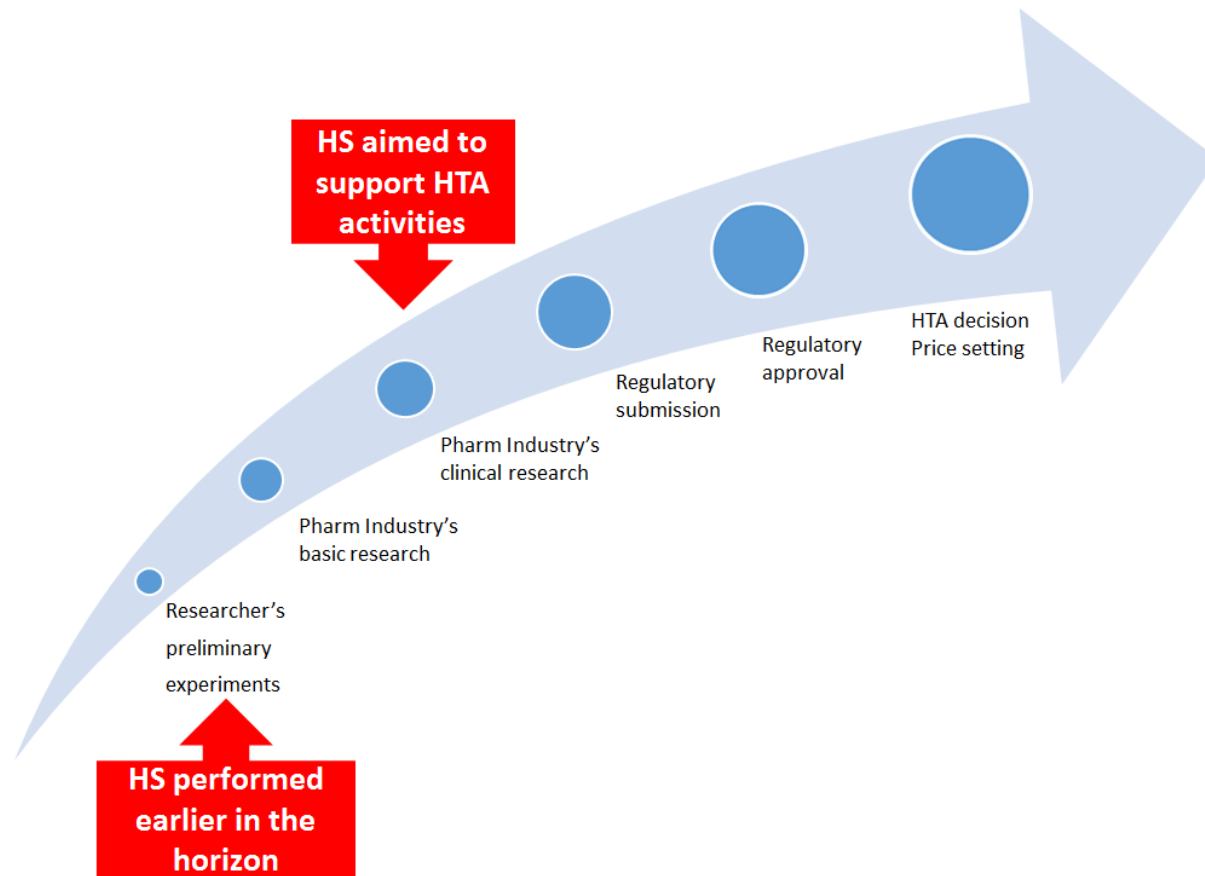
Ufficio Monitoraggio della
spesa farmaceutica e
rapporti con le Regioni

Ufficio Attività di Analisi e
Previsione

Piano della Performance 2019-2021



Quando si svolge l'attività di Horizon Scanning?



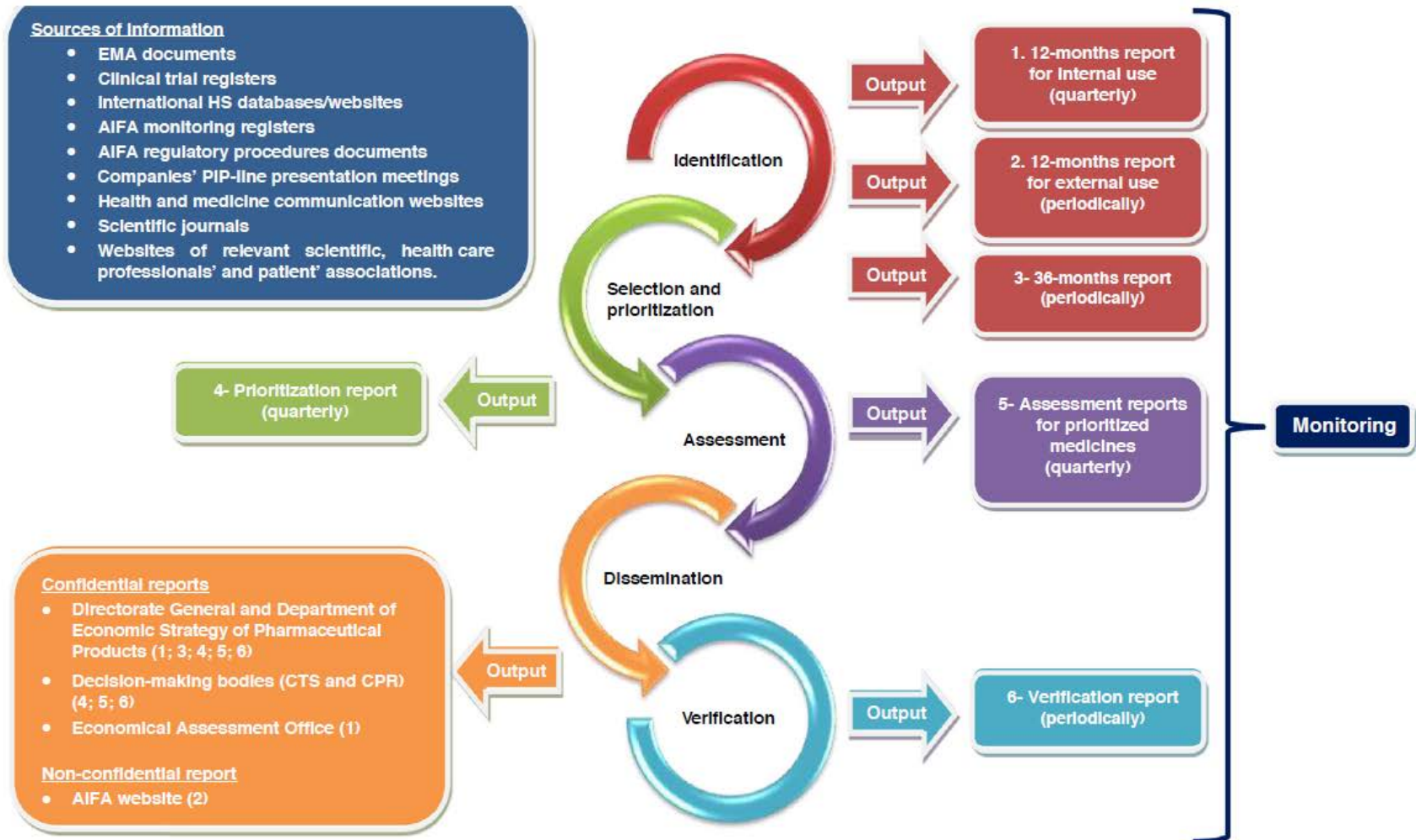
Come si svolge l'attività di Horizon Scanning?

- ✓ Con l'attività di Horizon Scanning nel settore farmaceutico si procede ad una **raccolta sistematica delle informazioni sui farmaci in sviluppo** con potenzialità di ricevere un'autorizzazione all'immissione in commercio nei successivi 12-36 mesi attraverso una procedura centralizzata.
- ✓ I farmaci identificati vengono successivamente selezionati e prioritizzati al fine di valutare quelli che potrebbero avere un **impatto significativo** sul Servizio Sanitario Nazionale.

Quali potenziali benefici?

- ✓ Fornire un'**informazione precoce** sulle strategie terapeutiche potenzialmente promettenti in arrivo.
- ✓ **Integrare le informazioni** a supporto dei processi decisionali.
- ✓ Supportare i processi di **programmazione e prioritizzazione** dell'impiego delle risorse economiche disponibili.

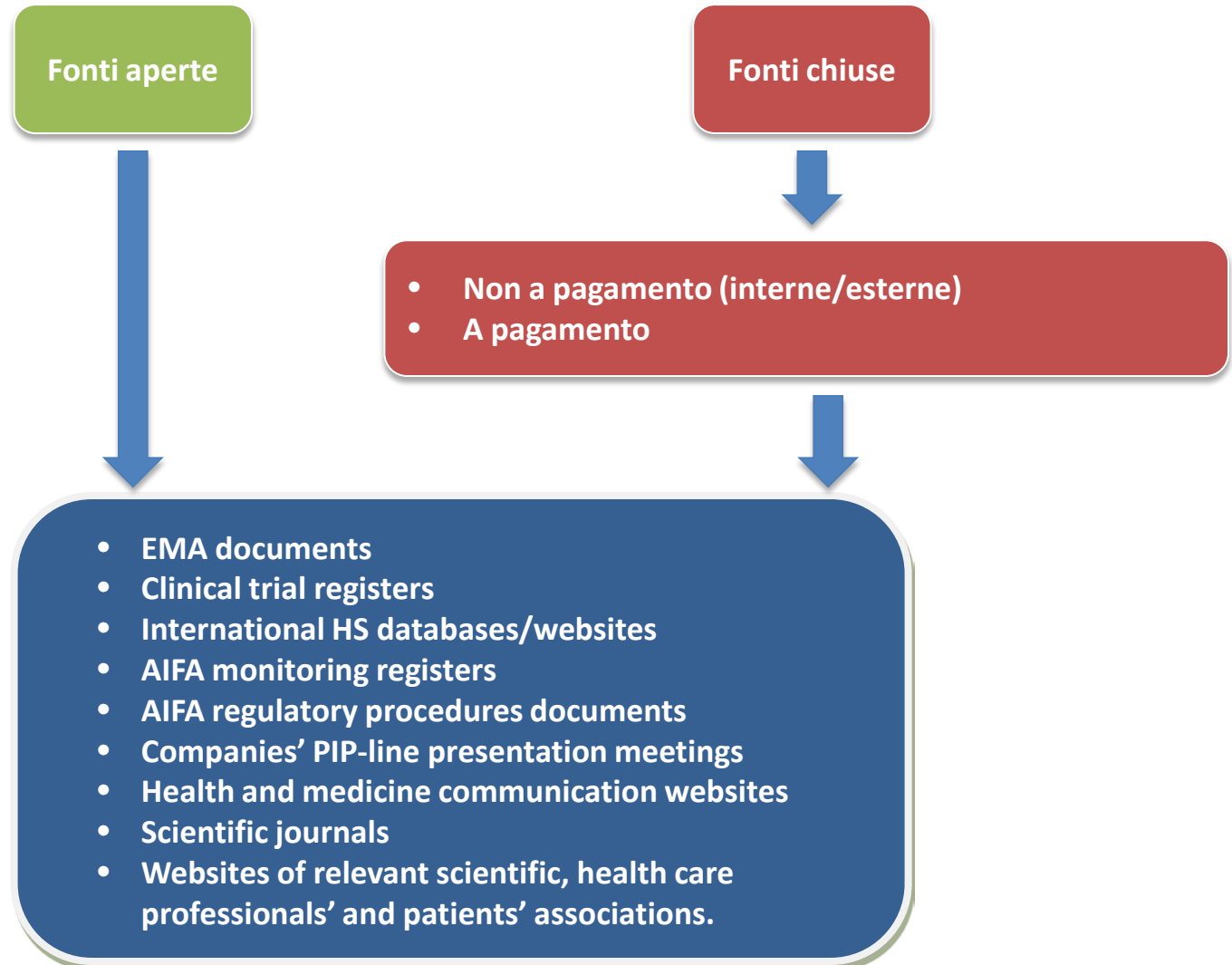
Il Sistema di Horizon Scanning in AIFA



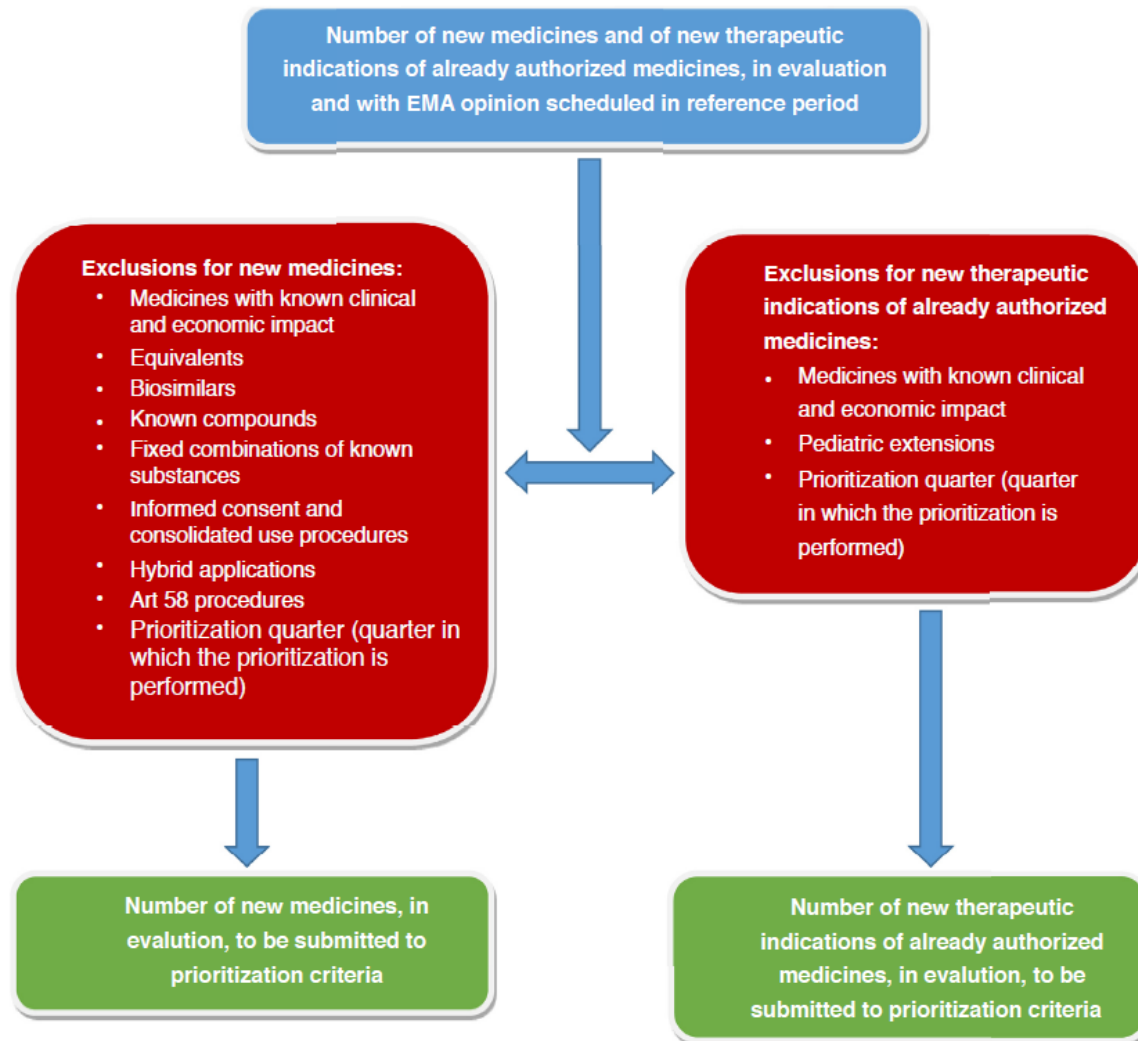
Report redatti

- ✓ **Report di identificazione trimestrale (uso interno - confidenziale)** sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già in commercio in arrivo nei successivi 12 mesi.
- ✓ **Report di identificazione periodico (uso esterno – non confidenziale):** dati cumulativi non confidenziali.
- ✓ **Report di identificazione periodico** sui nuovi medicinali in arrivo nei successivi 36 mesi.
- ✓ **Report trimestrale di prioritizzazione** contenente la lista dei medicinali prioritizzati.
- ✓ **Report trimestrali di valutazione** focalizzati sul valore clinico-terapeutico dei medicinali prioritizzati.
- ✓ **Report periodico di verifica.**

Fonti di informazione



Criteri di selezione



Drug Discovery Today

Criteri di prioritizzazione

Fase pilota per la validazione dei criteri e dei rispettivi livelli.

Impatto clinico ed economico		
Criteri	Valutazione	Spiegazione
Impatto della malattia	Elevata mortalità 3	La malattia per cui il medicinale viene utilizzato comporta un'elevata mortalità, morbidità, disabilità o compromette notevolmente la qualità della vita.
	Elevata morbidità e/o disabilità 2	
	Compromissione significativa della qualità della vita 1	
	Nessuna delle precedenti 0	
Bisogno terapeutico	Massimo 4	Il bisogno terapeutico è condizionato dalla disponibilità di terapie per la patologia in oggetto ed indica quanto l'introduzione di una nuova terapia sia necessaria per dare risposta alle esigenze terapeutiche di una popolazione di pazienti. Si considerano le alternative terapeutiche disponibili che hanno ricevuto almeno il parere positivo del CHMP dell'EMA ovvero che sono inserite nella lista di cui alla legge 648/96.
	Importante 3	
	Moderato 2	
	Scarso 1	
	Assente 0	
Valore terapeutico potenziale	Massimo 4	Il valore terapeutico potenziale è determinato dall'entità del beneficio clinico apportato dal nuovo farmaco rispetto alle alternative terapeutiche disponibili. Si considerano le alternative terapeutiche disponibili che hanno ricevuto almeno il parere positivo del CHMP dell'EMA ovvero che sono inserite nella lista di cui alla legge 648/96.
	Importante 3	
	Moderato 2	
	Scarso 1	
	Assente 0	
Impatto organizzativo	Alto (es. necessità di riorganizzazione strutturale) 3	Necessità di strumenti aggiuntivi per la pratica clinica
	Medio (es. necessità di test/procedure/interventi di elevata specializzazione; impatto sostanziale sul regime assistenziale) 2	

Criteri di prioritizzazione

Fase pilota per la validazione dei criteri e dei rispettivi livelli.

	Basso (es. necessità di test/procedure/interventi aggiuntivi con impatto moderato rispetto alla routine) Nessuno (test di routine)	1 0	
Stima del numero di pazienti da trattare	Alto (oltre 50000 pazienti) Medio-alto (tra 10000 e 50000 pazienti) Medio (tra 1000 e 10000 pazienti) Basso (tra 100 e 1000 pazienti) Molto basso (meno di 100)	4 3 2 1 0	Previsione del numero di pazienti da trattare nel contesto nazionale
Stima del costo del trattamento	Molto alto (oltre 300K) Alto (tra 150K e 300K) Medio-alto (tra 50K e 149K) Medio (tra 10K e 49 K) Basso (meno di 9K)	4 3 2 1 0	Previsione del costo del trattamento nel primo anno
Impatto regolatorio			
Criteri	Valutazione		Spiegazione
Designazione di farmaco orfano	+5 punti		Designazione di farmaco orfano da parte di EMA
ATMP	+5 punti		Medicinale per terapia avanzata
Qualità delle prove	+2 punti		Disponibilità di studi clinici di Fase III, randomizzati, doppio cieco

Strumento di prioritizzazione

Fase pilota per la validazione dello strumento di prioritizzazione.

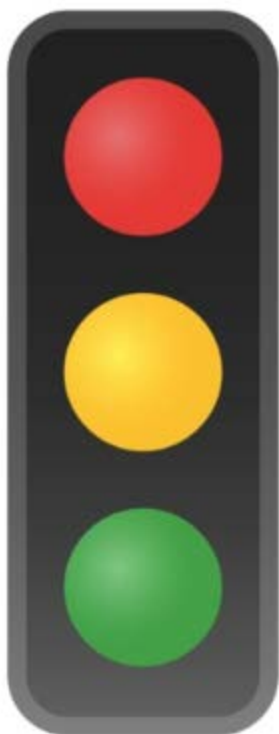
Assegnazione dei punteggi da parte dei clinici interni in base all'area terapeutica di competenza.

DOMINIO	CRITERI	PUNTEGGIO ASSEGNATO	
IMPATTO CLINICO ED ECONOMICO	Impatto della malattia	0	
	Bisogno terapeutico	0	
	Valore terapeutico potenziale	0	
	Impatto organizzativo	0	
	Stima del numero di pazienti da trattare	0	
	Stima del costo del trattamento	0	
	PUNTEGGIO DOMINIO		
	Punteggio dominio		0
	Dominio pesato (%)		100
	Punteggio massimo dominio		22
Punteggio minimo dominio		0	
Punteggio pesato massimo dominio		100	
Punteggio pesato minimo dominio		0	
Punteggio pesato dominio		0,0	
Punteggio pesato dominio (base 100)		0,0	
ALTRO	Designazione di farmaco orfano	0	
	ATMP	0	
	Qualità delle prove	0	

Categorizzazione dei medicinali

Fase pilota per la validazione delle 3 categorie.

Condivisione dei risultati con i clinici interni prima della redazione dei report.



Medicinali da escludere
(<50 punti)

Medicinali da monitorare
(≥50 e <65 punti)

Medicinali da prioritizzare
(≥65 punti)

Report di valutazione

General information and regulatory status
Disease impact
Epidemiology
Mechanism of action
Posology
Available therapies (authorized, law 648/96)
Innovation and/or advantages
Main clinical studies (efficacy and safety) and scientific uncertainties
Other indications for the same MP in development
The way care is provided /organisational impact
Ethical, social, legal, political and cultural impact
References

- ✓ Autore vs Revisore
- ✓ Report disponibili 18-24 mesi prima della commercializzazione del medicinale.
- ✓ Aggiornamento dei report man mano che si rendono disponibili nuovi dati.

Integrazione nel processo decisionale

- ✓ Condivisione di tutti i report con la Direzione Generale e l'Area Strategia ed Economia del Farmaco.
- ✓ Informative periodiche per la Commissione Tecnico Scientifica (CTS) e il Comitato Prezzi e Rimborso (CPR).
- ✓ Integrazione dei dati di Horizon Scanning nelle istruttorie di HTA (contestualizzazione delle decisioni).



Verifica degli esiti

Verifica quantitativa

Analisi a posteriori delle decisioni assunte in merito ai medicinali prioritizzati.

Critero	Esito HS	Esito dopo la negoziazione	Confronto esiti*	Note
Bisogno terapeutico				
Valore terapeutico				
Numero di pazienti				
Costo del trattamento/anno				

**Confronto esiti: l'esito HS coincide con l'esito dopo la negoziazione; l'esito HS non coincide con l'esito dopo la negoziazione.*

Verifica qualitativa

Sondaggio per la valutazione del grado di utilità delle informazioni fornite.

Monitoraggio



Tutte le fasi dell'attività sono sottoposte ad un monitoraggio continuo mediante l'utilizzo di appropriati indicatori di performance (KPI).

Conclusioni

- L'attività di Horizon Scanning ha una **funzione strategica** per l'AIFA poiché permette di identificare e valutare precocemente nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già in commercio che, una volta commercializzati, potrebbero avere un impatto clinico ed economico significativo sul Servizio Sanitario Nazionale.
- Indispensabile la piena **integrazione** di questa attività nei percorsi decisionali di AIFA.
- **Collaborazione** con tutti gli stakeholders che, a vari livelli (internazionale, nazionale, regionale e locale), si occupano di questa attività.

Grazie

Ufficio Attività di Analisi e Previsione
m.marangi@aifa.gov.it

w w w . a i f a . g o v . i t

