

L'evoluzione della professione farmaceutica tra Stato e mercato: la tutela della salute e l'universalismo diseguale

Mario Melazzini

m.melazzini@aifa.gov.it

AIFA

Agenzia Italiana del Farmaco

@melazzini

Milano, 18 marzo 2017



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

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
INTERESSI DIRETTI:				
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
INTERESSI INDIRETTI:				
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

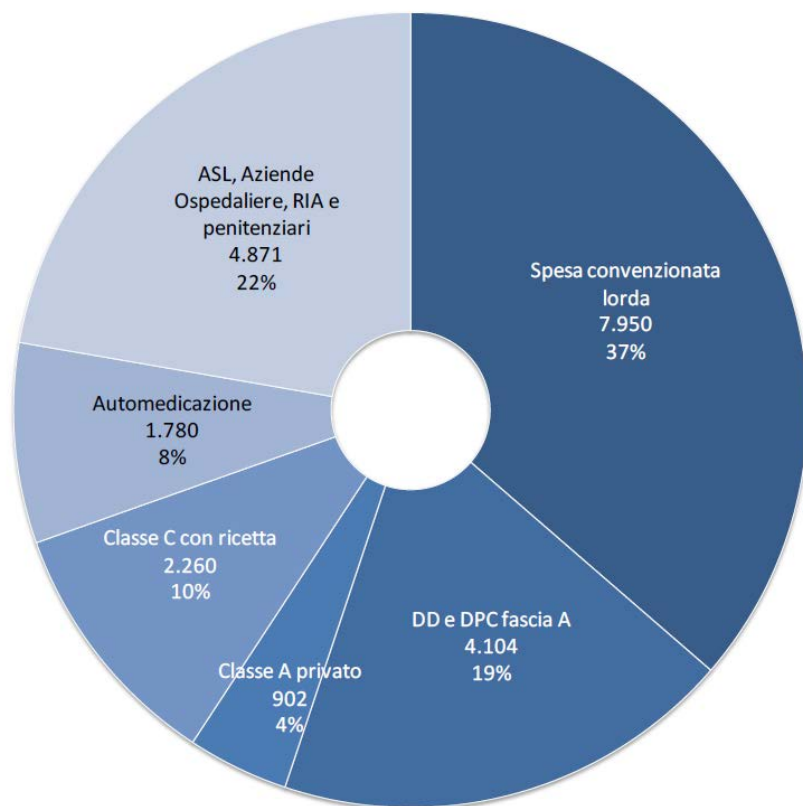
* **Mario Melazzini**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

Contesto ed evoluzione dello scenario di riferimento

- ✓ Invecchiamento della popolazione
- ✓ Aumento delle patologie cronico degenerative
- ✓ Comorbidità
- ✓ Maggiore necessità assistenziali per particolari fasce di popolazione
- ✓ Nuove povertà che impattano sulla salute
- ✓ Risparmio forzoso per bilanci pubblici vincolati a tetti di spesa
- ✓ Sostenibilità della spesa farmaceutica
- ✓ Disomogeneità regionale
- ✓ Sviluppo delle conoscenze scientifiche e tecnologiche
- ✓ Complessità di modelli ed interventi basata su evidenze
- ✓ Crescente impegno sul versante delle procedure e degli esiti
- ✓ Relazione tra sistema sanitario, sociale e sviluppo socio economico
- ✓ Pazienti più informati e consapevoli

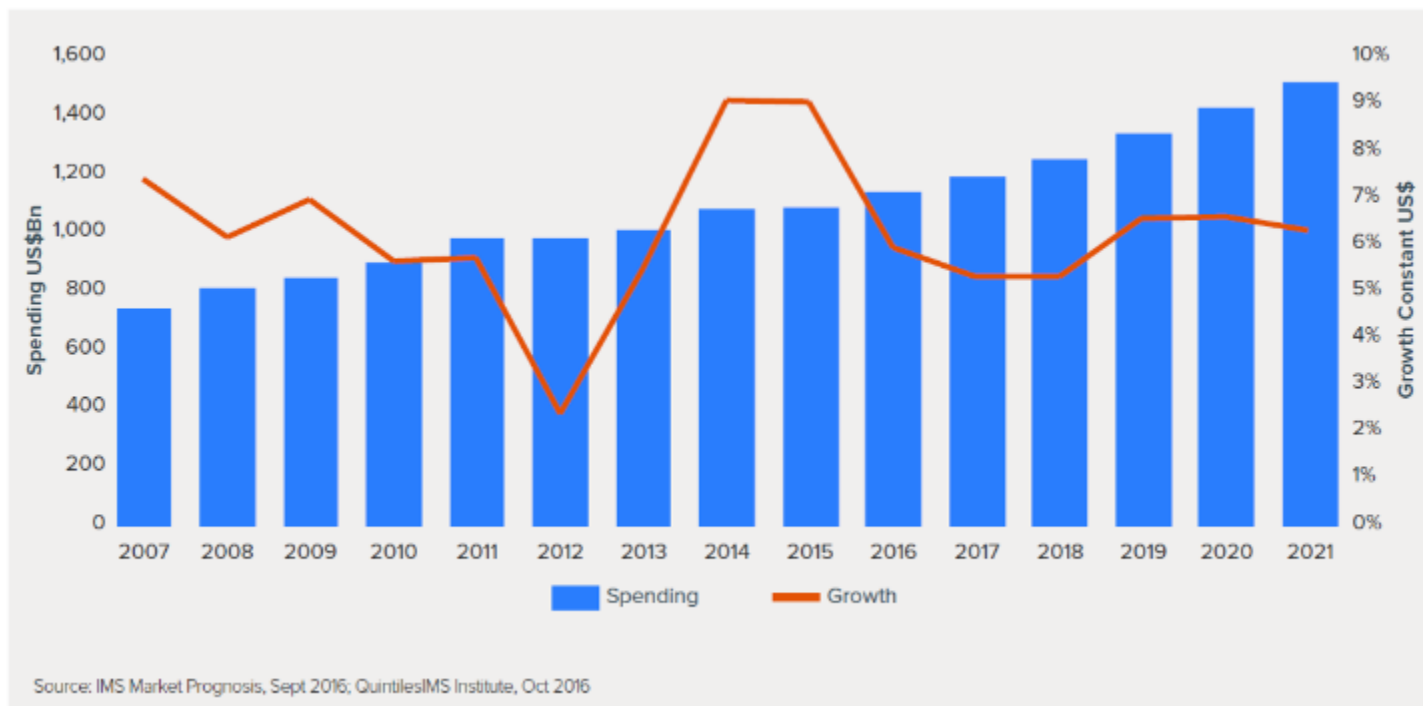


Spesa farmaceutica-offerta SSN



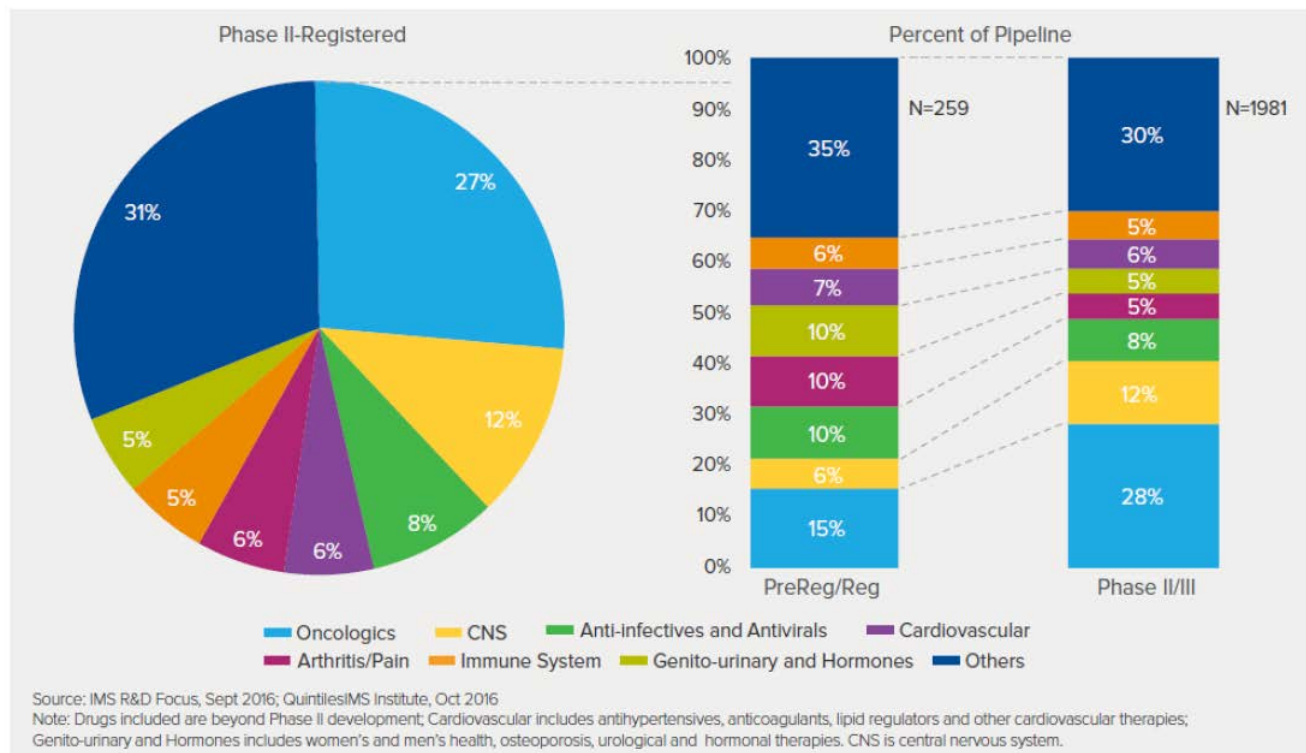
Nei primi nove mesi del 2016 la spesa farmaceutica nazionale totale (pubblica e privata) è stata pari a circa **21,9 miliardi di euro**, di cui il **77,4%** è stato rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN). La spesa dei farmaci acquistati direttamente dal cittadino è stata di **4.942 milioni di euro**, composta soprattutto dai farmaci di classe C con obbligo di ricetta (10,3%).

L'evoluzione del mercato farmaceutico



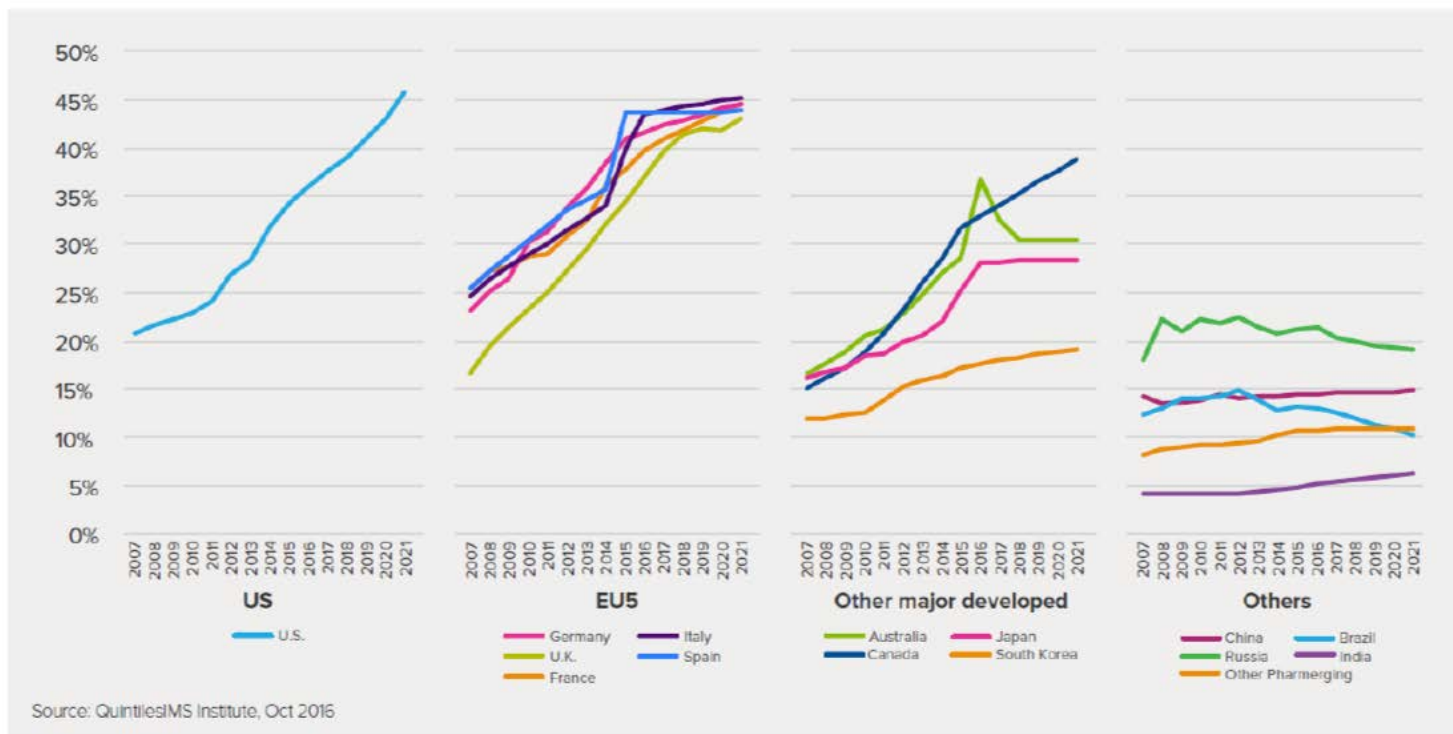
Global Medicine Spending Will Reach Nearly \$1.5 Trillion by 2021 on an Invoice Price Basis, Up Nearly \$370 Billion from the 2016 Estimated Spending Level

In arrivo numerose nuove molecole



The Number of New Medicines Reaching Patients Will Be Historically Large

L'impatto sulla spesa delle nuove molecole



New Medicines Increasingly are Specialty in Nature, and Their Share of Global Spending Will Continue to Rise Through 2021

Futuro e Innovazione: realizzabilità e sostenibilità

- ✓ Altre terapie per l'epatite C;
- ✓ MoAb per Alzheimer e per demenze;
- ✓ Nuovi antitumorali;
- ✓ Nuovi antiretrovirali.



Terapia genica

Editing genetico

Farmaci stampati 3D

Immunoterapia

Il SSN sarà in grado di sostenere tutto ciò?

Il costo dei farmaci oncologici in Italia

Costo medio di una intera terapia antitumorale:

- ✓ 3.853 euro nel periodo 1995-1999
- ✓ **44.900** euro nel periodo 2010-2014

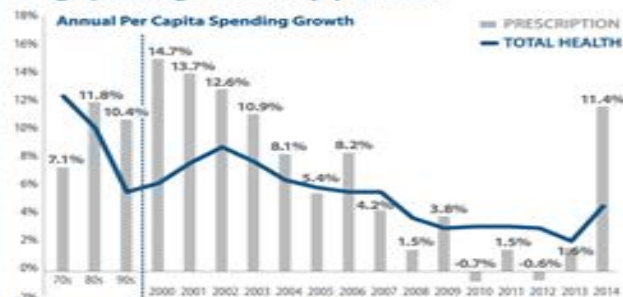
Spesa per farmaci oncologici, anni 2012-2014

Spesa	Anni			var.% ai prezzi correnti	
	2012	2013	2014	2012-2014	2013-2014
Spesa per farmaci oncologici					
v.a. in milioni di euro correnti	1.898,5	2.016,0	2.227,6	17,3	10,5
val. pro capite in euro	31,8	33,8	36,7	15,2	8,5
% sulla spesa farmaceutica pubblica	16,1	17,0	18,8	2,7 (1)	1,8 (3)

(1) Differenze tra le quote

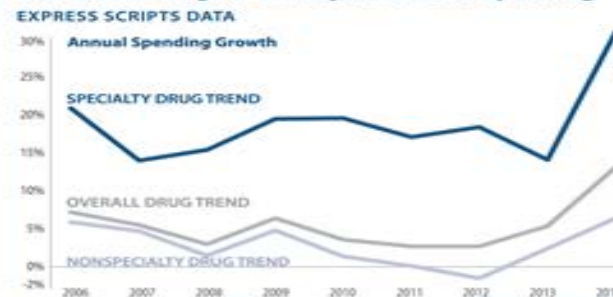
RECENT TRENDS IN PRESCRIPTION DRUG COSTS

After Several Years of Modest Growth, Prescription Drug Spending Rose Sharply in 2014

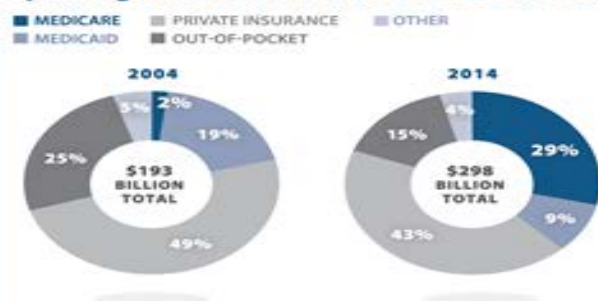


Prescription drug costs are projected to grow more modestly in coming years, averaging about 5% annual per capita growth through 2024.

Costly New Specialty Drugs Such as Hepatitis C and Cancer Drugs Are a Major Driver of Spending



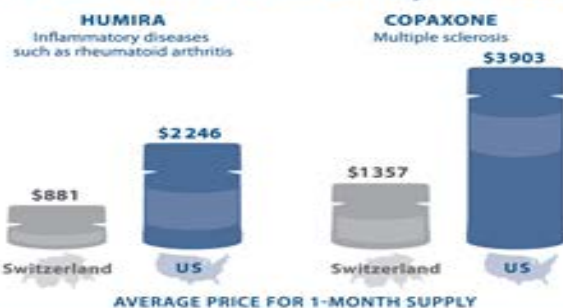
Medicare's Share of National Prescription Drug Spending Rose From 2% in 2004 to 29% in 2014



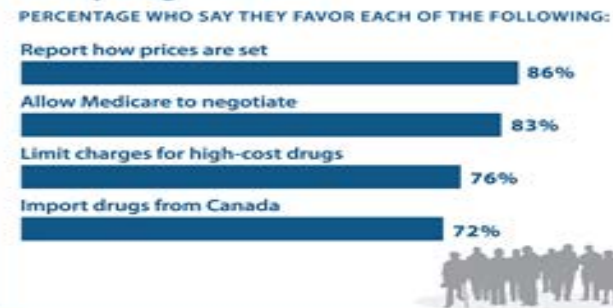
Nearly 1 in 4 People in the United States Taking Prescription Drugs Report Difficulty Affording Them



Many Specialty Drugs Are Priced Higher in the United States Than in Other Developed Countries



Most People in the United States Favor Action to Keep Drug Prices Down



Authors: Cynthia Cox, MPH; Rabah Kamal, Anne Jankiewicz, and David Rousseau, MPH; for the Kaiser Family Foundation

Source: Kaiser Family Foundation analysis. Original data and detailed source information are available at http://kff.org/JAMA_04-05-2016.
Please cite as: JAMA. 2016;315(13):1326. 10.1001/jama.2016.2646

Farmaci innovativi

La terapia più giusta?

Quali rischi?

Trials clinici

Real World Data



Eventuali rivalutazioni

Innovatività e sostenibilità

AIFA, entro il 31 marzo 2017, definisce i criteri per la classificazione di:

- **farmaci innovativi e a innovatività condizionata**
- **farmaci oncologici innovativi.**

Il requisito di innovatività potrà valere per un massimo di **36 mesi**.

400. A decorrere dal 1° gennaio 2017, nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito un Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi, con una dotazione di **500 milioni di euro annui**.

401. A decorrere dal 1° gennaio 2017, nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito un Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali oncologici innovativi, con una dotazione di **500 milioni di euro annui**, mediante utilizzo delle risorse del comma 393.

- Conciliare la **promozione della ricerca e la valorizzazione dell'innovazione** con **l'accesso ai nuovi farmaci e la sostenibilità** è una priorità per il nostro SSN.
- AIFA si impegna a fare in modo che ogni paziente riceva la terapia più mirata, basata sui criteri sostenuti dalla Comunità Scientifica internazionale e garantendo che il farmaco sia il più **appropriato**, in termini di rapporto costo-beneficio e in relazione alla patologia:
 - ✓ **Approccio etico**
 - ✓ **Responsabilità sociale**
 - ✓ **Sostenibilità economica del Sistema**
- **Nuova governance del farmaco**, nella consapevolezza dell'impatto della gestione del trattamento farmacologico del malato cronico sull'assistenza sanitaria.



Prezzi alti dei farmaci non sempre giustificabili

I prezzi sono spesso il risultato del potere di mercato correlato alla protezione brevettuale, dell'esclusività garantita dalla normativa vigente, della forza del mercato sanitario. In rari casi i prezzi elevati sono associati a molecole innovative con una efficacia importante ma comunque ad un costo iniziale esorbitante e discutibile.

La sfida politica risiede nel mettere a disposizione queste molecole ad un prezzo ragionevole, in modo da:

- **Incentivare** lo sviluppo e l'adozione di nuove tecnologie per migliorare i bisogni di salute dei cittadini;
- Assicurare un accesso equo all'innovazione;
- Promuovere la sostenibilità del sistema sanitario.

Questo implica che l'innovazione dovrebbe avere un prezzo che offra valore e dovrebbe essere sostenibile.

Come conciliare innovazione, sostenibilità e rapido ed equo accesso per i pazienti?

Regulatory Toxicology and Pharmacology 80 (2016) 314–320



ELSEVIER

Contents lists available at ScienceDirect

Regulatory Toxicology and Pharmacology

journal homepage: www.elsevier.com/locate/yrtph



Commentary

New trends and challenges in the European regulation of innovative medicines[☆]



Harald Enzmann

Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte, Kurt Georg Kiesinger Allee 3, 53175, Bonn, Germany

Diminishing the differences in the requirements of regulators and HTA bodies is in the best interest of both patients and the pharmaceutical industry, avoiding duplication of work and accelerating patients' access by early decisions on price and reimbursement.



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

La nuova era della terapia dell'epatite C

The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

EDITORIALS



A New Era of Hepatitis C Therapy Begins

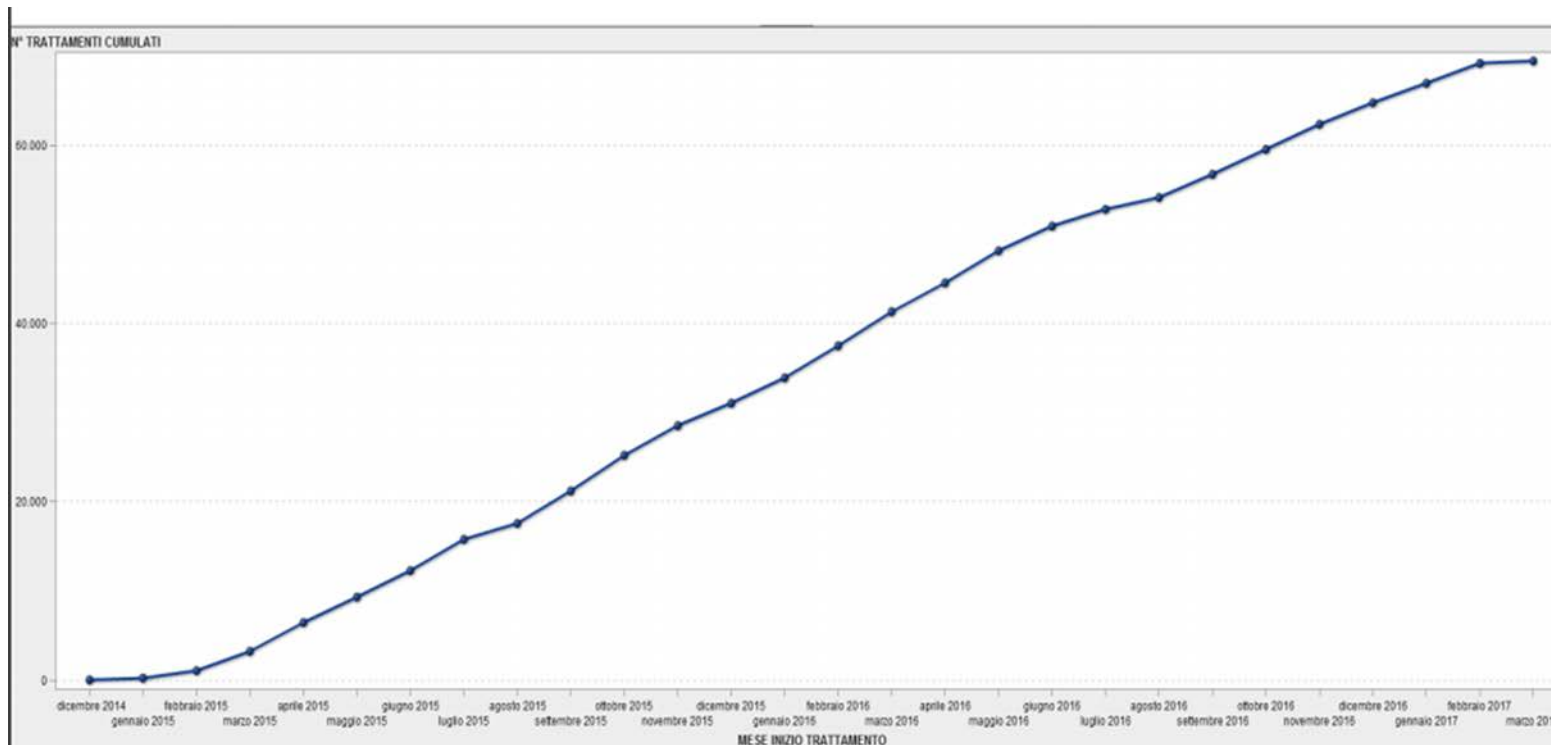
Donald M. Jensen, M.D.

A new era of therapy for hepatitis C virus (HCV) infection is dawning with the development of two effective HCV protease inhibitors, boceprevir and telaprevir. In this issue of the *Journal*, the results of two phase 3 trials involving boceprevir, in combination with peginterferon and ribavirin, are presented: the SPRINT-2 (Serine Protease Inhibitor Therapy 2) trial (ClinicalTrials.gov number, NCT00705432), by Poordad and colleagues,¹ and HCV RESPOND-2 (Retreatment with HCV Serine Protease Inhibitor Boceprevir and PegIntron/Rebetol 2; NCT00708500), by Bacon and colleagues.² Both studies focused on patients in-

phase before boceprevir (or placebo) was added. There were three treatment groups. The first received a standard regimen of peginterferon and ribavirin for 44 weeks after the lead-in period (control). The second received response-guided triple therapy consisting of boceprevir plus peginterferon-ribavirin for 24 weeks, after which patients with undetectable HCV RNA levels between weeks 8 and 24 after the lead-in period could stop all treatment. The third received fixed-duration triple therapy for 44 weeks after the lead-in period. In both nonblack and black cohorts, the use of boceprevir achieved a substan-

Trend cumulativo dei trattamenti avviati

(aggiornamento del 13 marzo 2017)



70.111 «avviati» sono i trattamenti (solo pazienti eleggibili) con almeno una scheda di Dispensazione farmaco



Programma di eradicazione HCV

Trattamento pazienti F2 + tutte le comorbidità (F0+F1)

Pazienti F2	
Ipotesi A (in carico SSN- EPAC survey)	56.250 pazienti
Ipotesi B (prevalenza 1%)	44.800 pazienti
Ipotesi C (prevalenza 2,24%)	100.352 pazienti

Ulteriori pazienti con comorbidità in F0+F1	
Pazienti Dializzati	5.000
Pazienti trapiantati /in lista per trapianto rene	3.000
Pazienti Talassemici	250
Pazienti co-infetti HIV	15.000-20.000
Pazienti co-infetti HBV	2.000
Pazienti con Diabete mellito	20.000-35.000
Obesità BMI>30	15.000
Totale	68.000-80.000

Qual è il prezzo ragionevole di un nuovo farmaco?

VIEWPOINT

Payer and Policy Maker Steps to Support Value-Based Pricing for Drugs

Peter B. Bach, MD
Health Outcomes
Research Group,
Memorial Sloan
Kettering Cancer
Center, New York,
New York.

**Steven D. Pearson,
MD, MSc**
Institute for Clinical and
Economic Review,
Boston, Massachusetts.

Prescription drugs is the only major category of health care services for which the producer is able to exercise relatively unrestrained pricing power. By law, drug manufacturers can set the price that Medicare and Medicaid programs pay for new drugs, and they also benefit from significant negotiating advantages over private insurers, who are required to cover most new drugs and are unable to obtain significant price concessions from manufacturers, particularly for drugs that offer some clinical advantage or use alternative mechanisms of action compared with available treatment options. As a result, drug prices in the United States are generally 2 to 6 times higher than prices

B-cell acute lymphoblastic leukemia that is Philadelphia chromosome negative), at \$65 000 per month of treatment, costs 5 times as much as its value supports, but bendamustine HCL (approved for treatment of chronic lymphocytic leukemia), at \$7725 per month, costs 60% less than its DrugAbacus price.⁹

Now that value-based prices can be determined for drugs, insurers and policy makers can consider steps toward a value-driven pricing system (Table) that does not require Medicare negotiation, price setting, or mandates. What will be needed, however, is a shift toward providing an array of incentives to bolster the business case

JAMA December 15, 2015 Volume 314, Number 23

Will drug companies' price-transparency efforts fall short?



In January, 2017, Merck and Co disclosed its aggregate drug price increases since 2010 in an annual Corporate Responsibility Report and has pledged to update those figures each year. Despite headlines and widespread outrage about massive price hikes in the industry in recent years, Merck's

Care Taskforce. "I am sceptical that it will be so obvious as to make the high prices rational and understandable."

"Every new drug appears to cost more than the last; prices rise even when competitors appear, when the market size expands, when drugs work less well than hoped," said Peter Bach (Memorial

Unless firms specify to whom and why they offer rebates and discounts, "you're not being transparent, in my mind," Kinch said.

According to the figures from the Merck & Co report, after rebates, discounts, and returns to insurers and other payers, the average net annual

The path forward with drug companies, "as with any other for-profit company, is to correlate the price of the product, drugs in this case, to the value it brings to patients, the health-care system, and society", said Bach.

Il giusto prezzo

La questione morale nell'assistenza sanitaria: la politica dei prezzi dei farmaci tra etica e legge di mercato



14/09/2015

Il dibattito internazionale intorno alla questione dell'arrivo sul mercato di nuovi farmaci specialistici sempre più costosi, con le implicazioni etiche e morali che ne derivano per le istituzioni sanitarie così come per le aziende produttrici, si fa sempre più intenso e interessante. Ne è un esempio un [editoriale](#) di Uwe E. Reinhardt, professore di economia sanitaria, sistemi sanitari comparati, microeconomia e gestione finanziaria alla Princeton University, recentemente apparso su JAMA Forum.

JAMA Forum: Probing our Moral Values in Health Care: the Pricing of Specialty Drugs

BY NEWS@JAMA on AUGUST 11, 2015



A to Z Index Search

People - Calendar - myHarvardChan - Email - News

News

News Home

Press Releases

Features

[Home](#) > [News](#) > [In the News](#) > Poll: Most Americans support government action to keep drug prices down

Poll: Most Americans support government action to keep drug prices down

Etica e morale: assistenza sanitaria

EFPIA

EFPIA response to Reuters article "Industry weighs radical shake up of European Drug Pricing"

EFPIA notes today's article published by Reuters, entitled: "Industry weighs radical shake up of European Drug pricing". As an industry, we acknowledge the affordability challenges faced by healthcare systems, under pressure from rising healthcare demand. Our industry wants to be part of the solution in making medicines more accessible and healthcare more sustainable.

Adottare un modello di definizione del prezzo basato sugli *outcomes* prodotti e sul valore generato in termini di salute effettiva, piuttosto che sulla monetizzazione degli investimenti in ricerca e sviluppo e sui volumi di vendita dei medicinali.



Agenscia Italiana del Farmaco

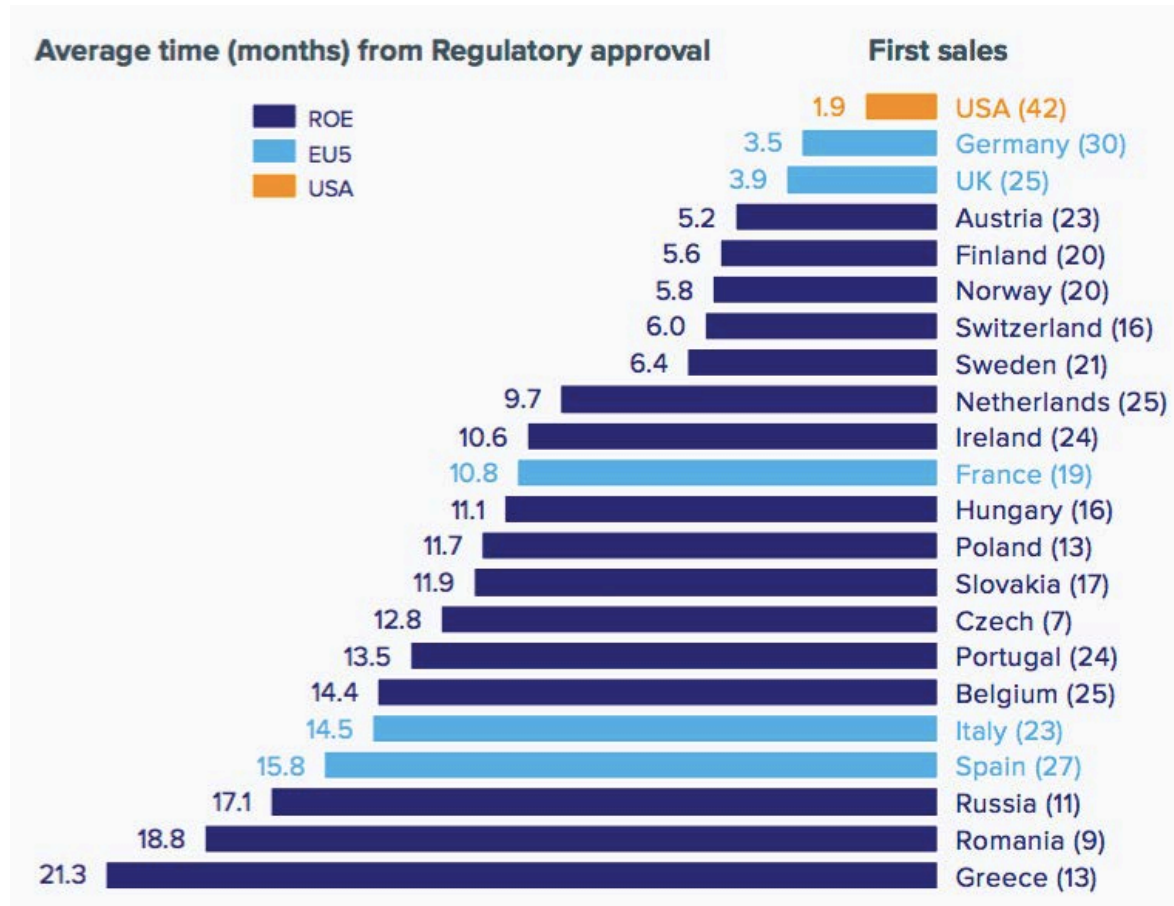
AIFA

Powerful Ideas for Global Access to Medicines

Suerie Moon, M.P.A., Ph.D.

“Terapie non sostenibili e innovazione non adeguata sono diventate questioni globali. Così come i cambiamenti climatici, hanno bisogno di nuove politiche pubbliche e di cooperazione internazionale”

Time to market access after approval



Le priorità per il nostro SSN

- Governare al meglio l'innovazione farmaceutica e tradurla in valore aggiunto in termini di salute è la condizione fondamentale per garantire ai cittadini anche in futuro un **accesso equo e sostenibile** alle nuove terapie.
- La questione dell'interrelazione tra innovazione, accesso alle cure e sostenibilità, ha una **portata globale** e non può essere affrontata esclusivamente all'interno dei confini nazionali.
- Occorre una **condivisione** ampia di politiche, strategie e leggi in grado di far fronte a una realtà che è profondamente mutata negli ultimi anni e che promette di non arrestare il suo processo di metamorfosi.



Il ruolo proattivo dei farmacisti

- I farmacisti sono posizionati **al centro del sistema di gestione e controllo del territorio** poiché hanno un ruolo fondamentale per garantire appropriatezza, aderenza ai trattamenti, sicurezza dei farmaci e, di conseguenza, la sostenibilità del SSN.
- I farmacisti sono **coinvolti in prima linea**, in particolare per i medicinali innovativi, nella rilevazione e segnalazione spontanea delle reazioni avverse e nei programmi di Farmacovigilanza attiva e/o intensiva.
- I farmacisti dovranno **investire in formazione e continuo aggiornamento** per essere al passo con i cambiamenti nel settore farmaceutico, fornire corretta informazione, affrontare la cronicità sul territorio e garantire la continuità assistenziale.



Il futuro: garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti

"Ricordatevi di guardare le stelle e non i vostri piedi...Per quanto difficile possa essere la vita, c'è sempre qualcosa che è possibile fare, e in cui si può riuscire."

Stephen Hawking

