

L'Agenzia Italiana del Farmaco e il Servizio Sanitario Nazionale

Innovazione e sostenibilità

Messina, 16 giugno 2017

Mario Melazzini

AIFA

Agenzia Italiana del Farmaco

m.melazzini@aifa.gov.it

@mmelazzini

Sin

SOCIETÀ ITALIANA DI NEUROLOGIA



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.

La Costituzione della Repubblica Italiana

Art. 32.

La Repubblica tutela la salute come fondamentale diritto dell'individuo e interesse della collettività, e garantisce cure gratuite agli indigenti.

Nessuno può essere obbligato a un determinato trattamento sanitario se non per disposizione di legge. La legge non può in nessun caso violare i limiti imposti dal rispetto della persona umana.

Legge n. 833 del 23 dicembre 1978 istituisce il “Servizio Sanitario Nazionale”: tutela la salute dei cittadini, garantisce, a partire dagli indigenti, l'accesso alle cure primarie anche tramite la dispensazione di farmaci essenziali.

AIFA: tutela della Salute attraverso i farmaci; garantire unitarietà ed omogenità del sistema farmaceutico; favorire l'equilibrio economico della spesa farmaceutica



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

Contesto ed evoluzione dello scenario di riferimento

- ✓ **Invecchiamento della popolazione**
- ✓ **Aumento delle patologie cronico degenerative**
- ✓ **Comorbidità**
- ✓ **Risparmio forzoso per bilanci pubblici vincolati a tetti di spesa**
- ✓ **Disomogeneità regionale**
- ✓ **Sviluppo delle conoscenze scientifiche e tecnologiche**
- ✓ **Complessità di modelli ed interventi basata su evidenze**
- ✓ **Pazienti più informati e consapevoli**
- ✓ **Sostenibilità della spesa farmaceutica**
- ✓ **Garanzia per i pazienti di un accesso rapido ai nuovi farmaci e contestualmente garantire la sostenibilità economica e la “governance” del sistema in un contesto caratterizzato da nuovi farmaci ad alto costo**



**Bisogni sanitari
e assistenziali**

**Accessibilità
vs
Sostenibilità**

Innovazione

**Costi alti e
risultati incerti**

L'impatto delle tecnologie sanitarie sulla soddisfazione dei bisogni e sulla spesa totale non è misurabile direttamente: **l'innovazione è continua** e gli impatti di diverse innovazioni sono intercorrelati.

Spesa territoriale-ospedaliera gennaio-ottobre 2016

	A=B/14,85%	B	C	D	E=C+D	F=E-B	G=E/A%
Regione	FSN gen-ott 2016	Tetto 14,85%	Spesa Territoriale*(#)	Spesa Ospedaliera**	Spesa complessiva (#)	Scostamento assoluto (#)	Inc.% Inc.%
SARDEGNA	2.477.489.745	367.907.227	367.351.623	133.607.360	500.958.982	133.051.755	20,22%
PUGLIA	6.124.372.317	909.469.289	818.885.485	315.710.996	1.134.596.481	225.127.192	18,53%
CAMPANIA	8.676.859.162	1.288.513.586	1.088.127.867	493.475.351	1.581.603.217	293.089.632	18,23%
CALABRIA	2.975.464.608	441.856.494	357.921.171	173.974.244	531.895.414	90.038.920	17,88%
ABRUZZO	2.030.932.272	301.593.442	249.773.626	111.576.694	361.350.320	59.756.878	17,79%
UMBRIA	1.386.176.118	205.847.154	158.612.676	83.566.635	242.179.310	36.332.157	17,47%
TOSCANA	5.812.635.393	863.176.356	599.561.228	415.645.375	1.015.206.602	152.030.247	17,47%
MARCHE	2.390.730.647	355.023.501	275.335.765	134.255.310	409.591.075	54.567.574	17,13%
LAZIO	8.835.043.595	1.312.003.974	1.093.011.435	417.443.330	1.510.454.764	198.450.790	17,10%
BASILICATA	888.821.535	131.989.998	102.283.040	48.163.364	150.446.405	18.456.407	16,93%
SICILIA	7.543.625.778	1.120.228.428	880.317.602	350.889.059	1.231.206.662	110.978.234	16,32%
MOLISE	506.468.547	75.210.579	57.521.736	22.931.418	80.453.154	5.242.575	15,89%
LIGURIA	2.582.094.489	383.441.032	268.738.445	140.753.339	409.491.783	26.050.752	15,86%
FRIULI V.G.	1.869.832.588	277.670.139	207.561.000	87.298.039	294.859.039	17.188.900	15,77%
PIEMONTE	6.812.379.796	1.011.638.400	719.017.907	326.418.050	1.045.435.957	33.797.558	15,35%
E. ROMAGNA	6.807.082.086	1.010.851.690	673.518.884	366.697.672	1.040.216.556	29.364.866	15,28%
LOMBARDIA	15.083.325.391	2.239.873.821	1.570.409.887	731.525.236	2.301.935.123	62.061.302	15,26%
VENETO	7.435.427.893	1.104.161.042	734.408.210	350.352.909	1.084.761.120	-19.399.922	14,59%
V. D'AOSTA	192.021.974	28.515.263	18.180.408	8.610.734	26.791.142	-1.724.121	13,95%
TRENTO	790.616.240	117.406.512	82.201.209	25.387.083	107.588.292	-9.818.219	13,61%
BOLZANO	751.557.187	111.606.242	66.692.800	35.146.967	101.839.767	-9.766.475	13,55%
ITALIA	91.972.957.358	13.657.984.168	10.389.432.002	4.773.429.164	15.162.861.167	1.504.876.999	16,49%

A ottobre del 2016 la spesa farmaceutica nazionale totale (pubblica e privata) è stata pari circa a 21,9 miliardi di euro, di cui il 77,4% è stato rimborsato dal SSN

Spesa farmaceutica convenzionata

	gen-ott 2015	gen-ott 2016	variazione assoluta	Variazione %
SICILIA	593.637.018	570.550.714	-23.086.304	-3,90%
ITALIA	7.098.060.644	6.842.296.047	-255.764.597	-3,60%

Distribuzione diretta classe A

	gen-ott 2015	gen-ott 2016	variazione assoluta	variazione %
SICILIA	300.444.423	368.928.947	68.484.524	22,8%
ITALIA	3.924.454.414	4.555.373.869	630.919.455	16,1%

Spesa territoriale gen-ott 2016

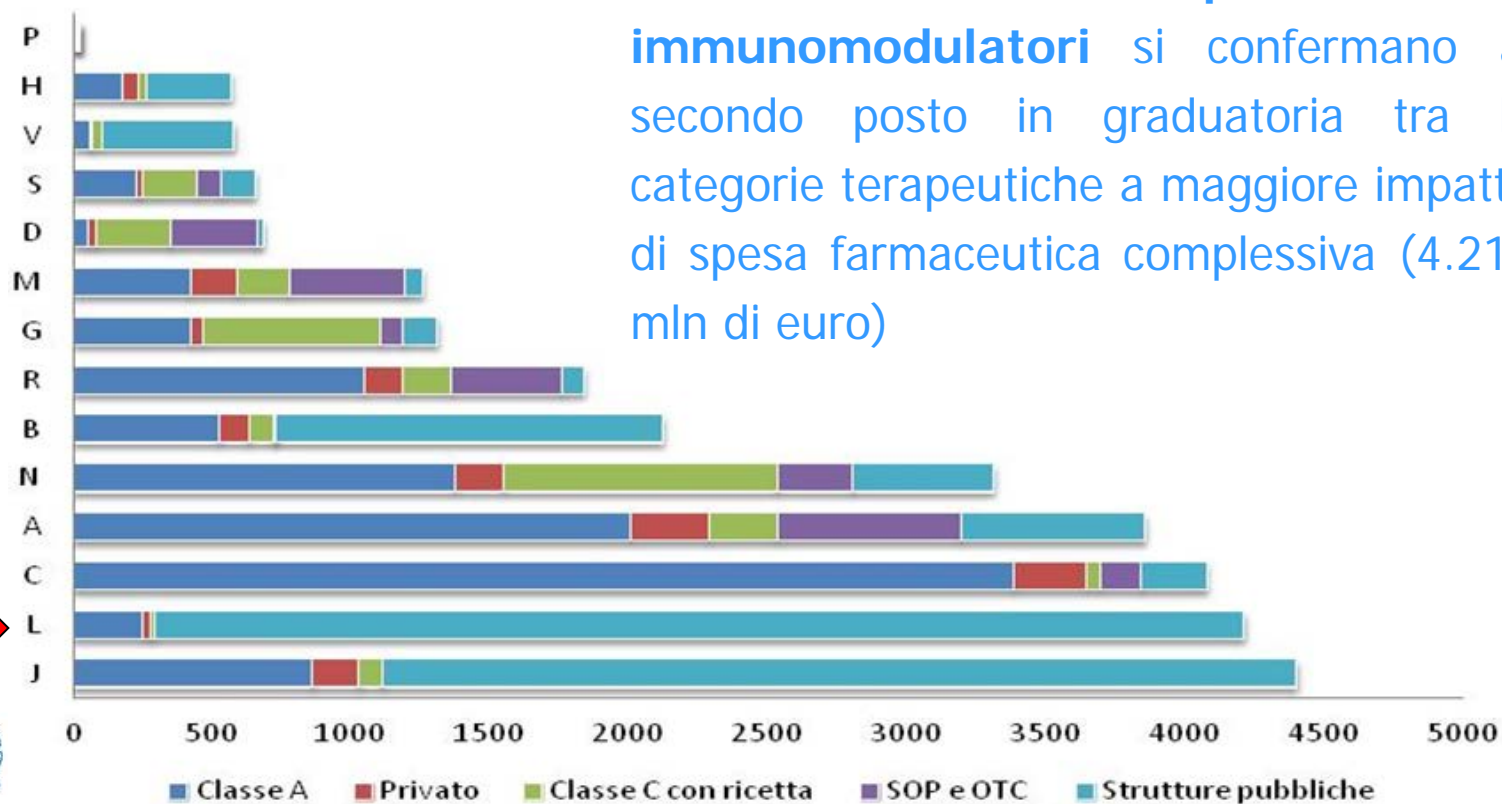
	A	B=A*11,35%	C	D	E	F	G	H=C+E+F-G	I=H-B	I=H/A*100
Regione	FSN	Tetto 11,35%	Spesa	Quota prezzo di riferimento	Ticket fisso per ricetta	Distribuzione	Payback^^	Spesa territoriale	Scostamento assoluto (#)	Inc.% su FSR
	gen-ott 2016		netta^							
SICILIA	7.543.625.778	856.201.526	570.550.714	87.700.260	42.985.904	345.221.939	78.440.954	880.317.602	24.116.077	11,67
ITALIA	91.972.957.358	10.438.930.660	6.842.296.047	847.188.077	430.928.682	4.138.707.202	1.022.499.929	10.389.432.002	-49.498.658	11,3

Spesa farmaceutica ospedaliera gen-ott 2016

	A	B	C	D	E	F	G=C-D-E-F	H=G-B	I=G/A%
Regione	FSN gen-ott 2016	Tetto 3,5%	Spesa tracciabilità*^	Distribuzione diretta di fascia A	Spesa medicinali fascia C e C bis	Payback**	Spesa Ospedaliera	Scostamento assoluto	Inc. %
SICILIA	7.543.625.778	264.026.902	731.364.263	345.221.939	25.885.761	9.367.505	350.889.059	86.862.157	4,70%
ITALIA	91.972.957.358	3.219.053.508	9.471.274.075	4.138.707.202	410.407.214	148.730.494	4.773.429.164	1.554.375.657	5,20%

Impatto in termini di spesa sul SSN

I farmaci **antineoplastici** ed **immunomodulatori** si confermano al secondo posto in graduatoria tra le categorie terapeutiche a maggiore impatto di spesa farmaceutica complessiva (4.213 mln di euro)



Il costo 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
- **70.000-100.000** euro: proiezione 2018-2020

Spesa per farmaci oncologici (ATC L), anni 2014-2016

(fasce A e H)	2014	2015	2016	Δ% 2016/2014	Δ% 2016/2015
SPESA MLN DI EURO	1.722.488.583	1.944.880.809	2.156.790.058	25,21%	10,90%
SPESA PROCAPITE	28,3	32,0	35,5	25,19%	10,90%
% SU SPESA SSN	11,19%	11,24%	12,28%	1,09%	1,04%

TOTALE MERCATO SSN (fasce A e H)*

	2014	2015	2016
convenzionata + tracciabilità	15.393.652.860	17.297.169.445	17.559.041.619

*valori di spesa riferiti al prezzo ex factory lordo IVA



Immunotherapy era: nuove armi contro le neoplasie

Anticancer Res, 2017 Feb;37(2):377-387.

Immune-based Therapies for Non-small Cell Lung Cancer.

Rafei H¹, El-Bahesh E², Finianos A³, Nassereddine S¹, Tabbara J⁴.

Author information

Abstract

Lung cancer is the leading cause of cancer-related death worldwide. Treatment of non-small cell lung cancer has evolved tremendously over the past decade. Specifically, immune checkpoint inhibitors have become an increasingly interesting target of pharmacological blockade. These immune inhibitors have shown promising results in front-line therapy and after failure of multiple lines, as well as in monotherapy and combination with other therapies. Vaccination in non-small cell lung cancer is also an emerging field of research that holds promising results for the future of immunotherapy in non-small cell lung cancer. This review presents a concise update on the most recent data regarding the role of checkpoint inhibitors as well as vaccination in non-small cell lung cancer.

Int Rev Cell Mol Biol. 2017;331:289-383. doi: 10.1016/bs.icmb.2016.10.002. Epub 2017 Jan 27.

Antibody-Based Cancer Therapy: Successful Agents and Novel Approaches.

Hendriks D¹, Choi G², de Ruyjn M³, Wiersma VR⁴, Bremer E⁵.

Author information

Abstract

Since their discovery, antibodies have been viewed as ideal candidates or "magic bullets" for use in targeted therapy in the fields of cancer, autoimmunity, and chronic inflammatory disorders. A wave of antibody-dedicated research followed, which resulted in the clinical approval of a first generation of monoclonal antibodies for cancer therapy such as rituximab (1997) and cetuximab (2004), and infliximab (2002) for the treatment of autoimmune diseases. More recently, the development of antibodies that prevent checkpoint-mediated inhibition of T cell responses invigorated the field of cancer immunotherapy. Such antibodies induced unprecedented long-term remissions in patients with advanced stage malignancies, most notably melanoma and lung cancer, that do not respond to conventional therapies. In this review, we will recapitulate the development of antibody-based therapy, and detail recent advances and new functions, particularly in the field of cancer immunotherapy. With the advent of recombinant DNA engineering, a number of rationally designed molecular formats of antibodies and antibody-derived agents have become available, and we will discuss various molecular formats including antibodies with improved effector functions, bispecific antibodies, antibody-drug conjugates, antibody-cytokine fusion proteins, and T cells genetically modified with chimeric antigen receptors. With these exciting advances, new antibody-based treatment options will likely enter clinical practice and pave the way toward more successful control of malignant diseases.

REVIEW

From targeting the tumor to targeting the immune system: Transversal challenges in oncology with the inhibition of the PD-1/PD-L1 axis

Curr Opin Oncol. 2017 Mar 16. doi: 10.1097/CCO.0000000000000366. [Epub ahead of print]

Immunotherapy: a new treatment paradigm in bladder cancer.

Davarpanah NN¹, Yuno A, Trepel JB, Apolo AB.

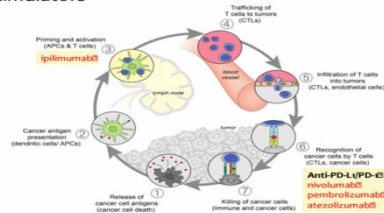
Author information

Abstract

PURPOSE OF REVIEW: T-cell checkpoint blockade has become a dynamic immunotherapy for bladder cancer. In 2016, atezolizumab, an immune checkpoint inhibitor, became the first new drug approved in metastatic urothelial carcinoma (mUC) in over 30 years. In 2017, nivolumab was also approved for the same indication. This overview of checkpoint inhibitors in clinical trials focuses on novel immunotherapy combinations, predictive biomarkers including mutational load and neoantigen identification, and an evaluation of the future of bladder cancer immunotherapy.

Agonists to costimulators

- αOX40
- αCD27
- αCD137
- αCD40
- αGITR



Antagonists of negative regulators, Treg depleters

- αLag-1 (MHCII blocker)
- αKIR (NK cell activator)
- αTim-3 (PS? Galectin? CEACAM?)
- αTIGIT (PVR blocker, CD226 activator)
- NKG2a,
- IDO1

Farmaco	Indicazione	UE	Italia
Pembrolizumab (Keytruda) Anti-PD1	NSCLC metastatico PD-L1 ≥ 50% TPS in 1° linea	Autorizzato EC	In corso negoziazione del prezzo ed ammissione alla rimborsabilità (procedura in fase precoce)
	NSCLC localmente avanzato o metastatico PD-L1 ≥ 1% TPS dopo almeno un precedente trattamento chemioterapico	Autorizzato EC	In corso negoziazione del prezzo ed ammissione alla rimborsabilità (procedura in fase avanzata)
	Carcinoma uroteliale	In valutazione	-
Nivolumab (Opdivo) Anti-PD1	NSCLC localmente avanzato o metastatico dopo una precedente chemioterapia	Autorizzato EC	Autorizzato e rimborsato
	Carcinoma uroteliale	In valutazione	-
Atezolizumab (Tecentriq) Anti-PD-L1	NSCLC	In valutazione	-
	Carcinoma uroteliale	In valutazione	-

CHMP: Committee for Medicinal Products for Human Use

EC: European Commission

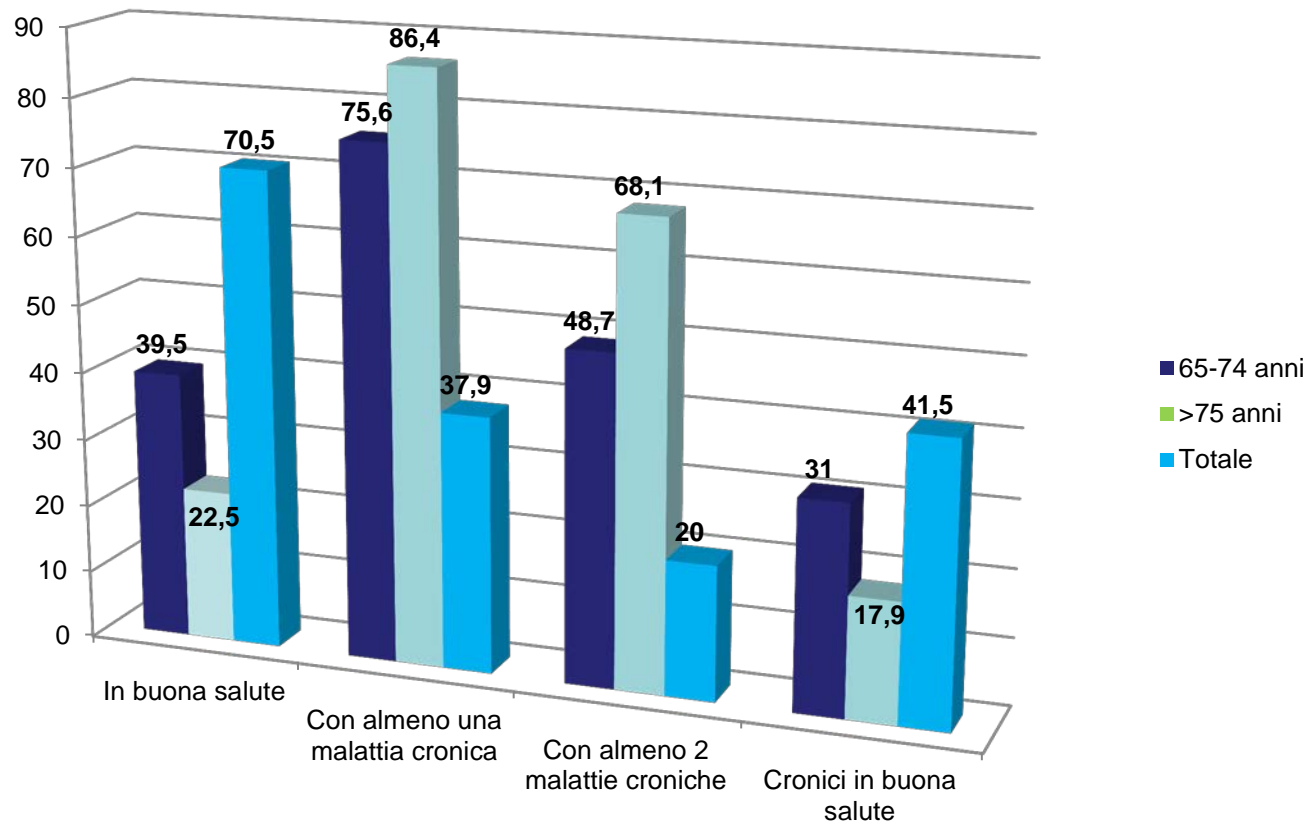
NSCLC: Non small cell lung cancer

PD1: Programmed cell death protein 1

PD-L1: Programmed cell death-ligand 1

TPS: tumor proportion score

Malattie croniche in Italia



Popolazione residente per condizioni di salute e malattie croniche dichiarate anno 2013 (per 100 persone della stessa età)

Spesa farmaceutica pubblica malattie croniche 2014-2016

CARDIOVASCOLARI

ATC C (fasce A e H)	2014	2015	2016	Δ% 2016/2014	Δ% 2016/2015
SPESA MLN DI EURO	191.938.484	233.992.794	258.829.744	34,85%	10,61%
SPESA PROCAPITE	3,2	3,8	4,3	34,82%	10,61%
% SU SPESA SSN	1,25%	1,35%	1,47%	0,23%	0,12%

RESPIRATORIE

ATC R (fasce A e H)	2014	2015	2016	Δ% 2016/2014	Δ% 2016/2015
SPESA MLN DI EURO	53.411.272	74.304.050	93.709.806	75,45%	26,12%
SPESA PROCAPITE	0,9	1,2	1,5	75,41%	26,12%
% SU SPESA SSN	0,35%	0,43%	0,53%	0,19%	0,10%

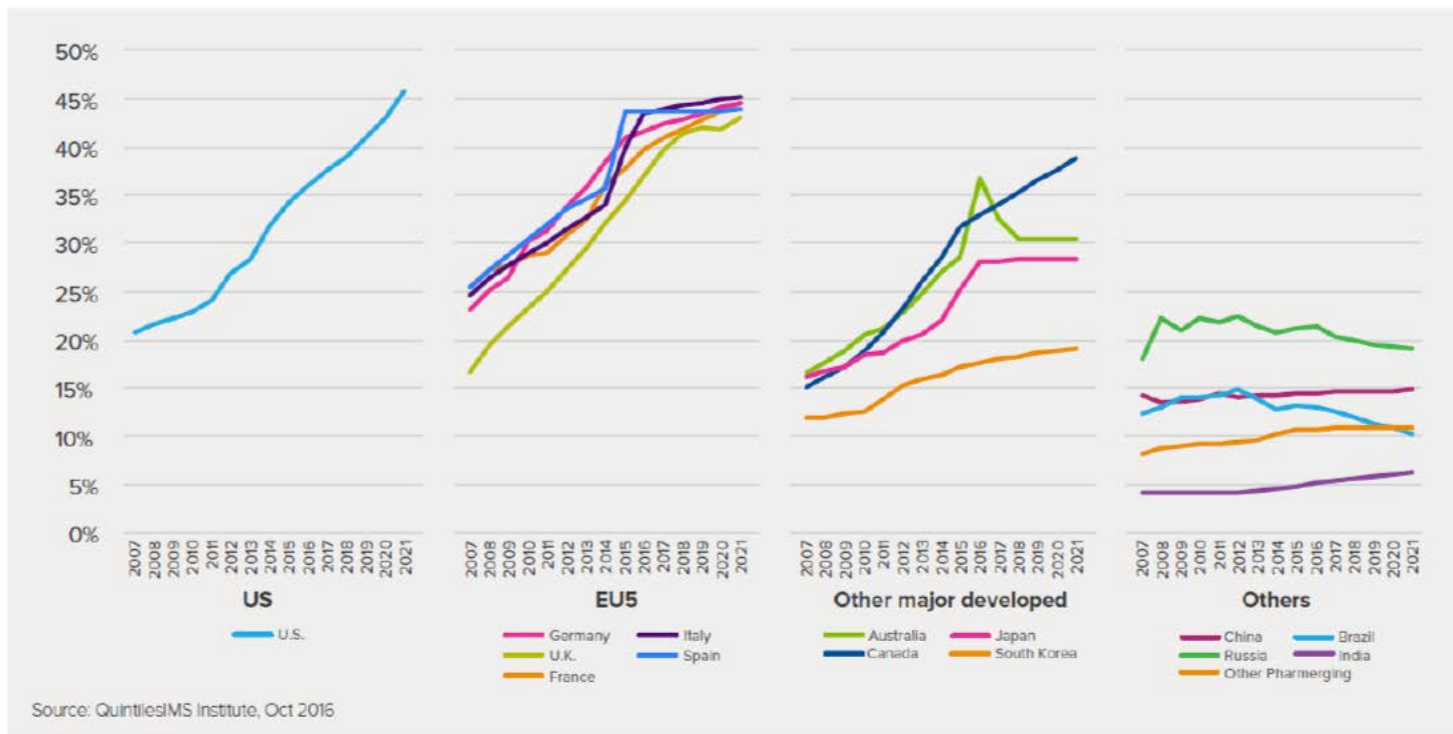
DIABETE - INSULINE

A10A (fasce A e H)	2014	2015	2016	Δ% 2016/2014	Δ% 2016/2015
SPESA MLN DI EURO	142.227.618	154.018.831	164.518.773	15,67%	6,82%
SPESA PROCAPITE	2,3	2,5	2,3	15,65%	6,82%
% SU SPESA SSN	0,92%	0,89%	0,92%	0,01%	0,05%

DIABETE - IPOGLICEMIZZANTI

A10B (fasce A e H)	2014	2015	2016	Δ% 2016/2014	Δ% 2016/2015
SPESA MLN DI EURO	164.217.567	204.795.956	164.217.567	35,04%	8,29%
SPESA PROCAPITE	2,7	3,4	3,6	35,02%	8,29%
% SU SPESA SSN	1,07%	1,18%	1,26%	0,20%	0,08%

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

- ❖ Nuovi antitumorali;
- ❖ Altre terapie per l'epatite C;
- ❖ MoAb per Alzheimer e per demenze;
- ❖ Nuovi antiretrovirali.
- ❖ Terapia genica,
- ❖ Sensoristica,
- ❖ 3D printing,
- ❖ Cellule staminali,
- ❖ Wearable devices
- ❖ Robotica
- ❖ Farmaci combinati con nanotecnologie

Come può il nostro SSN sostenere tutto ciò?

(tetti spesa 2017: tot-14,85%-convenzionata 7,96%-acquisti diretti 6,89%)



*'There is a side effect with
this new drug - the NHS
goes bankrupt'*

La nuova era della terapia dell'epatite C

The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

EDITORIALS

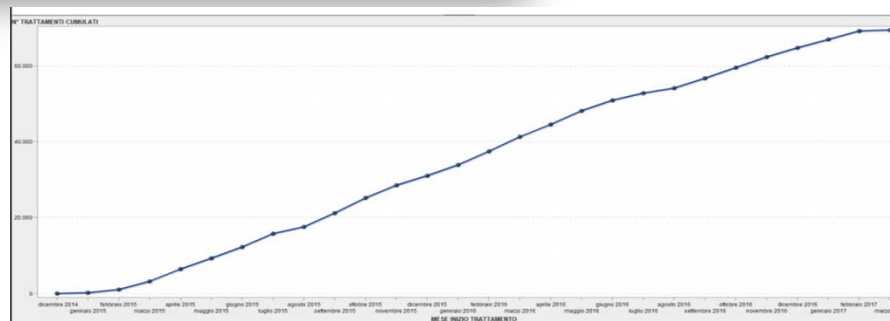


A New Era of Hepatitis C Therapy Begins

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 Peginterferon/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-

N Engl J Med 2011; 364:1272-1274



78.507 (12 giugno) «avviati» sono i trattamenti (solo pazienti eleggibili) con almeno una scheda di Dispensazione farmaco

HTA per trattamento anti HCV

1. **Analisi dei costi** per mancato trattamento anti-HCV
2. **Stima dei risparmi** con trattamento anti-HCV

Dati per lo sviluppo dell'analisi:

- Numero di trattamenti “avviati” al 12/06/2017: 78.507;
- Livello di efficacia del trattamento: 90.4% (Aghemo et al.);
- In relazione al numero di trattamenti erogati dal SSN e al livello di efficacia della terapia per i 2 anni considerati (2015-2017), il numero stimato di pazienti trattati con successo è pari a: 64.157



Analisi dei costi per mancato trattamento anti-HCV

I costi sanitari diretti, indiretti e totali relativi al mancato trattamento in un orizzonte temporale di 10 e 15 anni

	Costi diretti evitati (milioni di €)		Costi indiretti evitati (milioni di €)		Costi totali evitati (milioni di €)	
	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni
F3	€29,0	€22,7	€297,9	€232,9	€326,9	€255,6
F4	€178,3	€120,5	€1.118,9	€755,8	€1.297,3	€876,3
Cirrosi scompensata	€495,9	€285,3	€201,7	€116,0	€697,7	€401,4
HCC	€108,8	€68,8	€161,2	€102,0	€270,0	€170,8
Trapianti	€209,9	€117,2	€55,2	€30,8	€265,1	€148,0
Anni post trapianto	€44,2	€15,5	N/A	N/A	€44,2	€15,5
Totale	€1.066,2	€630,0	€1.835,0	€1.237,6	€2.901,2	€1.867,7



Stima dei risparmi con trattamento anti-HCV

- Considerando un orizzonte temporale di 10 e 15 anni, sono stati calcolati i risparmi (costo differenziale) sui costi (diretti e indiretti) evitati grazie al trattamento antivirale;
- L'analisi è stata effettuata su tre ipotesi di costi del trattamento: 6.500 €, 15.000 €, 20.000 €

	Costi totali evitati (milioni di €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 15.000 €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 20.000 €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 6.500 €)	
	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni
Totale	€ 2.901,2	€ 1.867,7	€ 962,4		€ 1.283,1		€ 417,0	
Costo differenziale	N/A	N/A	€ -1.938,8	€ -905,3	€ -1.618,0	€ -584,5	€ -2.484,2	€ -1.450,6

Valorizzare l'innovazione e migliorare l'accesso alle cure: il ruolo di AIFA

Riconoscimento dell'innovatività

Evidenza di un rapporto
favorevole b/r

Rapido accesso ai medicinali per
patologie gravi o rare

Maggiore trasparenza sulle dinamiche di
formazione dei prezzi

Puntuale verifica del ritorno degli
investimenti pubblici in ricerca e
sviluppo in termini di salute prodotta



Migliore valorizzazione dell'innovazione e una più tempestiva disponibilità di terapie ad impatto significativo sulla vita dei pazienti e sulla tenuta del sistema sanitario-spesa farmaceutica.

Innovazione e sostenibilità: cosa è cambiato

Legge di bilancio 2017 (L.11 dicembre 2016, n. 232), istituzione di due Fondi, rispettivamente per i farmaci innovativi e per quelli innovativi oncologici (**art. 1, commi 400-402**), entrambi di 500 milioni ciascuno a valere sul Fondo SSN.

Viene dato mandato ad AIFA che con **Determinazione n. 519/2017** con i criteri che definiscono la metodologia ai fini della classificazione dei **farmaci innovativi e a innovatività condizionata e i farmaci oncologici innovativi**.



Innovatività

- Per il SSN ha interesse l'innovatività legata al **valore terapeutico aggiunto** (inteso come entità del beneficio clinico rispetto alle alternative disponibili) **nel trattamento di una patologia grave** (intesa come una malattia ad esito potenzialmente mortale, oppure che induca ospedalizzazioni ripetute, o che ponga il paziente in pericolo di vita o che causi disabilità in grado di compromettere significativamente la qualità della vita).
- 3 domini di valutazione:
 - ✓ **bisogno terapeutico**
 - ✓ **valore terapeutico aggiunto**
 - ✓ **qualità delle prove/robustezza degli studi** (valutati con il metodo GRADE) (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation; <http://www.jclinepi.com/content/jce-GRADE-Series>)
- **Innovatività terapeutica**
- Innovatività terapeutica **potenziale o condizionata**



Big data: futuro o realtà attuale?

- E' di fondamentale importanza avere un quadro sugli ultimi sviluppi in merito alle tecnologie big data, in modo da chiarire se queste enormi fonti dati possano essere di aiuto nel settore del farmaco/healthcare
- le tecnologie cognitive sono in grado di comprendere, elaborare ed apprendere
- big data e' in grado di trasformare l'healthcare (*i.e.*, algoritmi per il machine learning al fine di identificare effetti indesiderati di farmaci usati da soli o in associazione)
- analisi di dataset di dati clinici, di sensori, genomica, dati provenienti da report di pazienti possono condurre a migliori clinical outcomes (medicina di precisione), prevenzione, previsione di epidemie, ecc.
- medicina personalizzata (ad es. il progetto Human Longevity, che utilizza tecnologie per il machine learning applicate alla genomica)
- farmacogenomica diventa parte della pratica clinica e del processo decisionale regolatorio (biomarkers, risposta al farmaco, rapporto rischio-beneficio)
- interoperabilita' e condivisione di (open)data al fine di verificare la coerenza con le valutazioni di HTA e le linee guida (cliniche), evitare i silos, ecc.
- la disponibilita' dei big data puo' consentire accordi con nuovi modelli di pagamento (*i.e.*, by results)
- gestione di problematiche legate alla privacy (General Data Protection Regulation in vigore nel 2018); le sfide alla privacy possono essere mitigate attraverso cifratura/decifratura in tempo reale degli identificatori personali



"Io, mia figlia e l'epatite C: per avere quel farmaco ho speso 140 mila euro"

Contagiata dopo una trasfusione una donna ha chiesto il risarcimento e adesso dopo aver comprato il farmaco chiede di essere rimborsata.

Lo leggo dopo | 29 giugno 2015

201

Condividi

Tweet

0

G+

0

LinkedIn

0

Pinterest



"Io, mia figlia, l'epatite C per avere quel farmaco ho speso 140mila euro"
"Contagiata dopo una trasfusione, ho chiesto il risarcimento e ho potuto comprare il Sofosbuvir". Ora causa per il rimborso "Epatite C, ho speso 140mila

euro ora voglio essere rimborsata"

L'unica strada per tentare la guarigione dall'epatite C, per se stessa e sua figlia, era metter mano al portafogli. E sborsare 134 mila euro per comprare il superfarmaco, il "Sofosbuvir", finito al centro delle polemiche (e di un'inchiesta), perché troppo costoso e riservato a pochi. Da medico e da paziente, sapeva che per via del genotipo della sua malattia non avrebbe potuto in alcun modo accedere alla terapia gratuitamente. Così ha dovuto curarsi da sola: la figlia è guarita, lei ancora non del tutto. E ora fa causa a ministero e Regione per il rimborso.

In India, una pastiglia costa un euro: una bella differenza. Secondo lei perché?

Farmaci per l'epatite C troppo costosi, va a curarsi in India

Dalla Valsugana a Bangalore dove i nuovi medicinali costano 700 euro invece di 74mila. La storia di Marco, malato ma in Italia in fondo alla lista di chi può accedere alla terapia del sistema sanitario nazionale

04 agosto 2015

0 COMMENTI

2

Condividi

Tweet

0

G+

0

LinkedIn

0

Pinterest



Marco è un operaio forestale, abita in Trentino. Ha 43 anni e sta guarendo dal virus dell'epatite C grazie ai nuovi farmaci che ha reperito, da solo, in India: in Italia gli sarebbero costati 74 mila euro, in India ha pagato 700 euro per una terapia completa. Forse è il primo caso di "turismo sanitario" in Italia.

Abita in un paese di trecento abitanti. Un anno fa ha scoperto di avere il virus Hcv. «Mi hanno trovato il virus, probabilmente per colpa di un intervento chirurgico, chi lo sa - racconta -. Ma mi hanno anche spiegato che c'erano questi nuovi farmaci miracolosi che possono guarire l'epatite C nel 90-95 per cento dei casi. Solo che la terapia mi costa poco per me, ma per il sistema sanitario italiano è un costo molto alto».

LEGGI ANCHE:



Epatite C, in India con i turisti del superfarmaco - Repubblica.it



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA

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.

THE LANCET Volume 18, No. 3, p288, March 2017
Oncology

Il prezzo dei farmaci ed i costi di R&D

BMJ 2016;354:i3718 doi: 10.1136/bmj.i3718 (Published 27 July 2016)

Page 1 of 5

ANALYSIS



Betting on hepatitis C: how financial speculation in drug development influences access to medicines

Victor Roy and **Lawrence King** argue that the acquisition strategies of drug companies magnify development costs and leave the public paying twice—for research and high priced medicines

Victor Roy *doctoral researcher*, *Lawrence King* *professor of sociology and political economy*

Department of Sociology, University of Cambridge, Cambridge, UK

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



HARVARD T.H. CHAN SCHOOL OF PUBLIC HEALTH
Powerful ideas for a healthier world

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

Il caso Glybera

Lessons Learned from the Clinical Development and Market Authorization of Glybera

Laura M. Bryant,¹ Devin M. Christopher,² April R. Giles,² Christian Hinderer,² Jesse L. Rodriguez,² Jenessa B. Smith,² Elizabeth A. Traxler,² Josh Tycko,² Adam P. Wojno,² and James M. Wilson²

HUMAN GENE THERAPY CLINICAL DEVELOPMENT 24:55–64 (June 2013)

Regulatory evaluation of Glybera in Europe — two committees, one mission

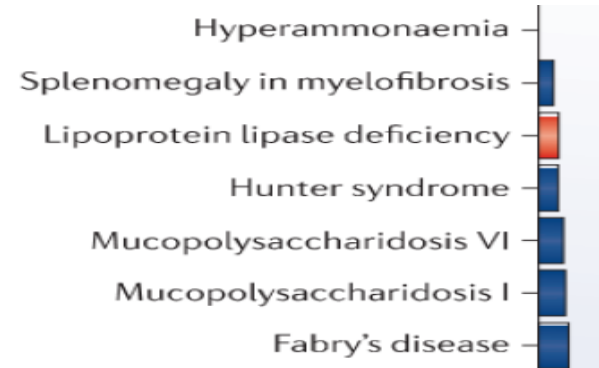
Daniela Melchiorri, Luca Pani, Paolo Gasparini, Giulio Cossu, Janis Ancans, John Joseph Borg, Catherine Drai, Piotr Fiedor, Egbert Flory, Ian Hudson, Hubert G. Leufkens, Jan Müller-Berghaus, Gopalan Narayanan, Brigitte Neugebauer, Juris Pokrotnieks, Jean-Louis Robert, Tomas Salmonson, and Christian K. Schneider

Dal punto di vista regolatorio il caso Glybera ha avuto un impatto sostanziale in Europa. Il processo di valutazione è stato lungo e complesso (la rarità della malattia e la complessità del prodotto) ma la vera sfida per i Regulators è stata quella di bilanciare la garanzia di un rapido accesso ad una terapia promettente con la difficoltà di ottenere evidenze scientifiche appropriate.

Nature Reviews Drug Discovery | AOP, published online 19 August 2013

Malattie rare, esce dal mercato Glybera, il farmaco supercostoso contro la Lpdl

aprile 26, 2017





EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE · MEDICINES · HEALTH

1 April 2016
EMA/CHMP/230486/2016

Press office

[Press release](#)

New gene therapy for the treatment of children with ultra-rare immune disorder recommended for approval

Orphan-designated Strimvelis to offer treatment option for patients with ADA-SCID who have no suitable stem cell donor

The effects of Strimvelis were studied in a pivotal clinical trial involving 12 patients. All of the patients included in this trial are still alive, with an average follow-up period of 7 years. The most common side effects observed in this study include pyrexia (fever), increased hepatic enzyme levels, autoimmune reactions, such as anaemia, neutropenia, and autoimmune haemolytic anaemia, aplastic anaemia and thrombocytopenia. This study was carried out in accordance with a Paediatric Investigation Plan (PIP), which was agreed by the Agency's Paediatric Committee. To ensure close long-term follow-up, the applicant for Strimvelis, is required to enrol all patients who receive the medicines, in a registry to monitor and report its long-term effects.



Agenszia Italiana del Farmaco

AIFA

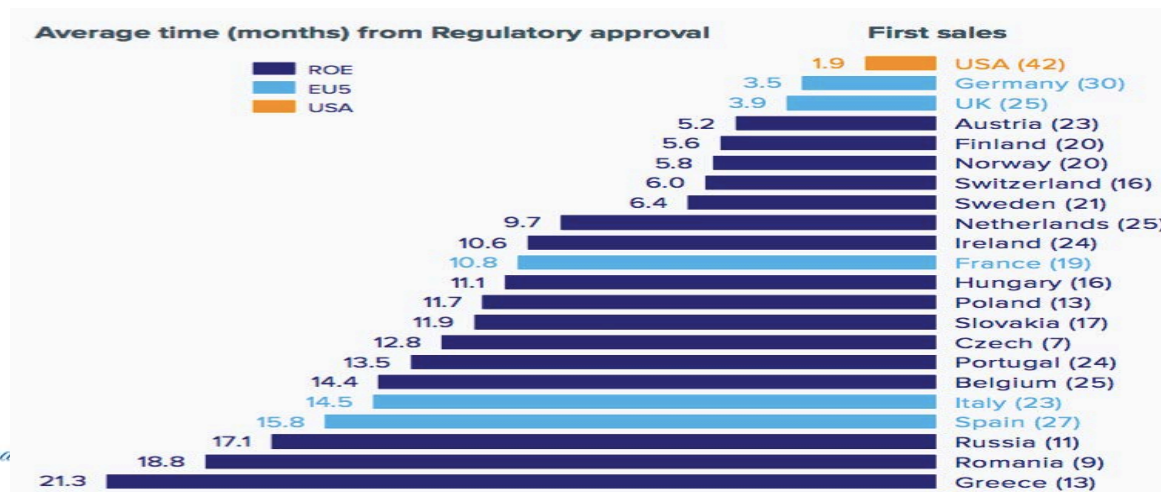
Garantire il diritto alla cura

rapido accesso ai nuovi farmaci a tutti coloro che ne possono trarre un reale vantaggio.



Fonte: IMS health 2015

Tempi di accesso al mercato dopo l'approvazione



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”

VALLETTA DECLARATION

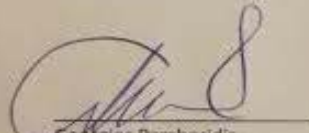
8th MAY, 2017

We Ministers for health, of Cyprus, Greece, Italy, Malta, Portugal and Spain, conscious of the importance of guaranteeing patients' access to new and innovative medicines and therapies while ensuring the sustainability of our health systems.

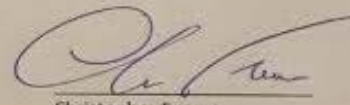
We have agreed to cooperate in full trust, loyalty, solidarity and, transparency for better access to medicines.

We have expressed a clear political will to set up a Technical Committee to explore possible ways of voluntary cooperation including but not limited to: sharing information, identifying best practices, horizon scanning of innovative medicines and therapies, exploring possible mechanisms for price negotiations and joint procurement.

This cooperation is open to the other EU Member States.



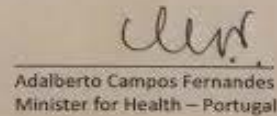
Georgios Pamboridis
Minister for Health – Cyprus



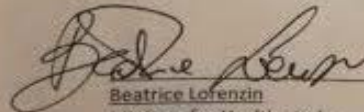
Christopher Fearn
Minister for Health – Malta



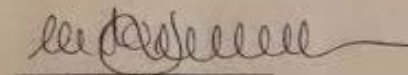
Andreas Xanthopoulos
Minister for Health – Greece



Adalberto Campos Fernandes
Minister for Health – Portugal



Beatrice Lorenzin
Minister for Health - Italy



Maria Dolores Montserrat
Minister of Health, Social Services and
Equality – Spain



Agencia Italiana del Farmaco

AIFA

- 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 appropriata sia sulla base dei dati scientificamente dimostrati e validati, sia clinicamente sulla base delle linee guida condivise dalla Comunità Scientifica internazionale, ma anche in termini di migliore rapporto costo-beneficio:
 - ✓ **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.



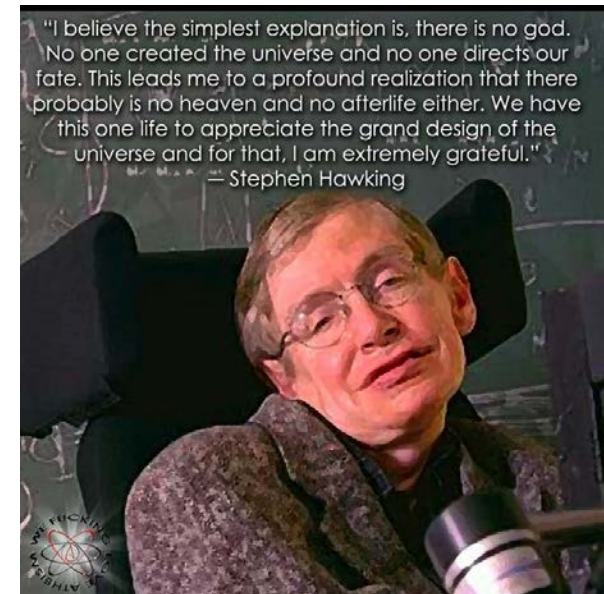
Il futuro reale:

L'utile ed il funzionale per garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti

"Intelligence is the ability to adapt to change"

"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



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA