



L'intervista

■ Tiziana Azzani

Governance farmaceutica

Il 2016 sarà l'anno della svolta?

Accesso alle terapie più efficaci, ascolto dei pazienti e dei familiari, incentivo alla ricerca clinica e ampliamento strutturale dell'Agenzia italiana del farmaco. Questi gli obiettivi dell'Aifa presieduta da Mario Melazzini



Vincolare il finanziamento dei farmaci innovativi ad alto costo dal Fondo Farmaceutico Nazionale e istituire dei budget specifici per ciascuna area terapeutica, per distribuire le risorse tenendo conto dell'impatto delle nuove molecole ad alto potenziale di innovazione. La revisione della governance farmaceutica è uno degli impegni che Mario Melazzini, eletto presidente di Aifa, ha raccontato ai microfoni di NCF per garantire ai pazienti l'accesso alle terapie più efficaci e più indicate.

Cosa significa per lei, come Mario Melazzini e come malato di Sla, essere arrivato alla presidenza di Aifa?

È un altro punto di partenza! Ho accettato con entusiasmo e spirito di servizio l'incarico di presidente dell'Agenzia Italiana del Farmaco e mi sono messo all'opera immediatamente, consapevole della delicatezza e dell'importanza della missione di Aifa.

In realtà il mio rapporto con Aifa è nato ben prima del conferimento di questo incarico così prestigioso, ho avuto modo di confrontarmi con l'Agenzia nel corso della mia carriera di medico, ricercatore, amministratore pubblico e ne ho sempre avuto una percezione molto positiva.

Mi sono accostato a questa realtà con umiltà e il massimo rispetto per il capitale umano e professionale che vi opera e che in questi anni ha consentito all'Agenzia di accrescere la propria autorevolezza e di raggiungere risultati significativi, riconosciuti anche a livello internazionale.

Quali sono i principali obiettivi che si prefigge durante il suo incarico in Aifa? L'obiettivo principale è sempre quello di tutelare la salute dei pazienti. Il malato e le loro famiglie sono e devono sempre essere posti al centro di tutto il sistema decisionale. Da parte mia, l'impegno sarà quello di mettere a disposizione dell'Agenzia la mia esperienza professionale di medico e personale di paziente per continuare a promuovere l'equità e l'accesso alle cure a tutti i pazienti.

Come Presidente, una parte importante del mio mandato riguarderà il rilancio della ricerca indipendente, uno strumento fondamentale per accrescere ulteriormente la conoscenza soprattutto in ambiti poco esplorati. Inoltre, un'attenzione particolare sarà dedicata ai pazienti affetti da "malattie rare" che, a causa della natura della loro patologia, subiscono la mancanza di investimenti da parte del settore privato, che spesso si traduce nella scarsità di terapie e trattamenti disponibili.

Quali aspetti ha già avuto modo di apprezzare e quali invece le criticità che pensa di dover migliorare?

Aifa ha fatto e sta facendo un grandissimo lavoro grazie anche alla guida del direttore generale, Luca Pani, del quale condivido pienamente la visione strategica. Apprezzo molto il grande valore delle competenze e le potenzialità del capitale umano e professionale dell'Agenzia che in questi anni le ha consentito di raggiungere traguardi importanti anche a livello internazionale.

Oggi però ci troviamo di fronte a un'evoluzione, straordinariamente rapida, del mondo del farmaco, che impone un cambiamento dei paradigmi adottati in passato dagli enti regolatori. Negli ultimi anni abbiamo assistito, infatti, allo sviluppo di molecole innovative, in grado di apportare sensibili miglioramenti ai trattamenti terapeutici dei cittadini, che tuttavia comportano un impatto sulla spesa farmaceutica notevolmente ele-

vato. Secondo alcune stime nel mondo vi sono più di 7.000 nuovi farmaci in via di sviluppo. Solo nel corso del 2015, l'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) ha raccomandato l'immissione in commercio di 39 nuove sostanze attive, su un totale di 93 nuovi farmaci, di cui 18 per il trattamento delle malattie rare. Molti di questi sono destinati al trattamento delle patologie oncologiche, e una parte consistente è costituita da farmaci e vaccini biotech, dal potenziale rivoluzionario per numerosissime patologie. La sfida che oggi siamo chiamati ad affrontare è proprio quella di bilanciare, da un lato, il diritto all'accesso rapido e omogeneo ai farmaci innovativi di cui sia possibile misurare obiettivamente l'efficacia e la sicurezza, dall'altro, coniugare questi aspetti con la sostenibilità economica del sistema.

Quali cambiamenti organizzativi sono necessari?

L'ampliamento della pianta organica di Aifa è diventata un'esigenza imprescindibile di fronte alle crescenti incombenze e ai mutevoli scenari che investono il mondo regolatorio. L'attuale dotazione è infatti troppo esigua per far fronte alla quantità delle funzioni che l'Agenzia è chiamata a svolgere quotidianamente a tutela della salute pubblica, dal rilascio delle autorizzazioni per l'immissione in commercio dei farmaci, alle attività ispettive, alla sperimentazione clinica, alla farmacovigilanza.

L'Agenzia è già al lavoro per il nuovo Regolamento Aifa che porterà il numero di dipendenti a un livello paragonabile a quello delle altre realtà del G20, anche se, è bene specificarlo, pur con l'ampliamento previsto la pianta organica di



Aifa resterà comunque tra le più contenute. Ovviamente il mio impegno sarà sicuramente indirizzato a far procedere con celerità l'iter per l'approvazione del nuovo Regolamento.

Un tema molto caldo riguarda la trasparenza. Come intende procedere **Aifa** al riguardo?

La trasparenza è tra i valori fondanti dell'Aifa, che guidano tutto l'operato dell'Agenzia. Personalmente posso garantire che **Aifa** è una vera e propria "gabbia di vetro", che, sotto la guida del Direttore Generale Luca Pani, ha intrapreso da tempo e prosegue un percorso all'insegna della trasparenza, a tutela dei pazienti, destinatari finali della nostra azione quotidiana, per continuare a garantire risposte concrete ai bisogni di salute dei cittadini. Voglio ricordare che **Aifa**, in linea con le esperienze più avanzate del panorama europeo e mondiale, è stata la prima autorità nazionale a dotarsi di un proprio Regolamento per gestire i conflitti

di interesse di tutti coloro che lavorano o collaborano con l'Agenzia, inclusi i componenti degli organi decisionali, di controllo e consultivi, per assicurarne il massimo livello di imparzialità, garantendo contestualmente l'impiego delle migliori competenze disponibili nella valutazione scientifica dei farmaci. In questi anni l'abbiamo vista battersi per garantire assistenza e cure ai malati di Sla. La vedremo portare avanti questo bisogno per tutti i pazienti? Come malato, persona affetta da una patologia come la Sla che comporta una grave disabilità, e soprattutto come medico, continuerò a impegnarmi per garantire ai pazienti l'accesso e l'equità delle cure, una battaglia peraltro già intrapresa da tempo **dall'Aifa**. Ho iniziato il mio percorso in **Aifa** portando con me non solo il bagaglio di esperienze maturate in ambito professionale, ma anche quelle altrettanto forti e significative che riguardano la mia storia personale di paziente affetto da Sla.

L'ascolto dei pazienti e dei loro familiari deve essere parte integrante del sistema decisionale; è fondamentale, infatti, l'inclusione precoce del mondo dei pazienti nei tavoli tecnici in cui si pongono le basi per le decisioni regolatorie. L'Aifa già da alcuni anni sposa questa visione portando avanti diverse iniziative per coinvolgere le associazioni dei pazienti e le società scientifiche in percorsi condivisi: consultazioni pubbliche su argomenti di particolare rilievo, collaborazione su percorsi terapeutici decisionali (Algoritmi terapeutici **Aifa**); il protocollo d'intesa **Aifa-Europati**, ovvero un percorso formativo per sviluppare l'*empowerment* e l'educazione del paziente; **Open Aifa**, un appuntamento mensile in cui la Direzione Generale incontra le associazioni dei malati, i rappresentanti della società civile, le aziende farmaceutiche e ogni altro soggetto interessato a condividere con l'Agenzia istanze, commenti, proposte.

Nel suo libro "Ma che cosa ho di diverso" afferma: "la trascuratezza nel nostro sistema sanitario non è tanto il frutto di carenze strutturali, quanto di un difetto culturale, epistemologico". Può commentare questa sua affermazione?

Spesso sono i modelli comportamentali e l'approccio ai bisogni dei malati che devono essere rivisti. È necessaria una visione multidisciplinare, una presa in carico sul lungo periodo, che ascolti i pazienti e coinvolga una classe medica più preparata e flessibile. Se tratti solo la malattia è un conto, se pensi che al centro c'è il malato è un altro. È indispensabile ripensare il rapporto con il paziente, cercare di ascoltarlo più a fondo e supportarlo anche dal punto di vista emotivo, identificare come bisogno prioritario il corretto percorso di presa in carico, dal momento della diagnosi alla terapia, a volte purtroppo alla progressione della malattia e ai momenti finali.

LA TERAPIA DELLA DIGNITÀ

Uno dei temi su cui si discute molto è l'eutanasia. A tale proposito Mario Melazzini commenta: «Esistono leggi e il codice deontologico medico che vietano l'accanimento terapeutico e l'eutanasia e favoriscono il rispetto dell'autonomia decisionale del malato. Possiamo benissimo parlare di testamento biologico, ma solo dopo aver fatto tutto il possibile per garantire ai malati le cure e gli strumenti necessari per vivere meglio. Ovviamente servono risorse per questo e servono strumenti adeguati a favorire una vita dignitosa, sempre e dovunque, indipendentemente dalle condizioni di salute. Negli ultimi decenni sono stati compiuti progressi significativi dal punto di vista dell'attenzione dedicata alla salvaguardia di una delle dimensioni più importanti dell'essere umano ed è stato sviluppato un nuovo approccio terapeutico, la "terapia della dignità", il cui obiettivo è il miglioramento

dell'esperienza del fine-vita, aiutando il paziente (e i suoi familiari) a preservare l'identità personale e affermare i propri valori in questa fase. La vita non deve essere strumentalizzata secondo un'ideologia, ma bisogna essere consapevoli che in qualsiasi condizione, se correttamente supportati, tutto può essere visto come una grande opportunità, valorizzando quanto sia più importante l'essere del fare. Personalmente credo che la vita meriti sempre di essere vissuta, dal momento del concepimento sino alla sua fine naturale, anche con la malattia».



In una precedente intervista a NCF ha affermato che “trovare i soldi per curare è possibile. È una questione di scelte che il SSN e lo stato italiano devono trovare il coraggio di fare” (<http://www.notiziariochimicofarmaceutico.it/2014/07/01/sostenibilita-della-ricerca-clinica-questione-di-scelte/>). Porterà avanti questo punto di vista?

Certamente. Il costo elevato dei farmaci innovativi in arrivo sul mercato è la sfida che oggi siamo chiamati a sostenere, cercando di evitare il collasso finanziario del nostro SSN, uno dei pochi veramente solidaristici e universali rimasti. Aifa sta già lavorando da tempo per cercare di dare delle risposte concrete che sappiano, da un lato, garantire la sostenibilità del sistema e, dall'altro, assicurare l'accesso ai medicinali innovativi in arrivo in diverse aree terapeutiche. A questo proposito, l'Agenzia ha proposto da tempo la possibilità

di svincolare il finanziamento dei farmaci innovativi ad alto costo dal Fondo Farmaceutico Nazionale e di istituire dei budget specifici per ciascuna area terapeutica, affidati al monitoraggio in tempo reale attraverso i Registri Aifa. Questa nuova modalità di attribuzione dei budget consentirebbe di distribuire le risorse tenendo conto dell'impatto delle nuove molecole ad alto potenziale di innovazione sulle diverse aree. Se si riuscisse a portare avanti questo progetto di revisione della governance farmaceutica, penso che il 2016 potrebbe realmente diventare un anno di svolta per i pazienti affetti da gravi patologie che avranno a disposizione terapie sempre più efficaci.

A proposito di accesso ai farmaci, come decidere a quali pazienti somministrarli e a quali non?

Ci troviamo di fronte a una svolta epocale per il mondo del farmaco. Nel corso dell'ultimo anno abbiamo assistito all'arrivo sul mercato di nuovi farmaci per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite C, alcuni antitumorali di nuova generazione, diversi farmaci per il trattamento delle malattie rare. Le strategie adottate dall'Aifa si sono finora dimostrate in grado di governare questo processo, garantendo nello stesso tempo l'accesso ai farmaci e la sostenibilità per il Servizio Sanitario. Grazie ad accordi con le aziende farmaceutiche, l'Aifa ha trattato i pazienti più gravi facendo ricorso a percorsi terapeutici compassionevoli prima ancora della negoziazione del prezzo. Successivamente ha individuato i criteri di eleggibilità per regolare l'accesso ai trattamenti in funzione dell'urgenza clinica, tenendo sempre in considerazione anche i nuovi farmaci in via di registrazione che avrebbero rappresentato alternative terapeutiche più valide. Non sarà un criterio di scelta a chi si è a chi no, ma la garanzia che ognuno possa ricevere la terapia più appropriata.

La ricerca clinica è un tema che le sta molto a cuore. Come favorirla?

Tra le mie priorità vi sarà certamente anche il rilancio della ricerca indipendente, con la valorizzazione di progetti di qualità scientifica elevata.

L'Italia ha fatto segnare negli ultimi anni una crescita delle sperimentazioni; sono stati 723 e 726 gli studi clinici presentati rispettivamente nel 2014 e 2015, e i dati Aifa indicano inoltre che i trial valutati in Italia riguardano principalmente farmaci biologici, biotecnologici e mowdicinali per le terapie avanzate.

L'Italia è un paese di indubbia eccellenza nel campo clinico e della ricerca, non sempre riesce però a sfruttare tutti i fattori favorevoli che la contraddistinguono dal punto di vista organizzativo e scientifico. Mancano delle infrastrutture operative efficienti e sono troppe le lungaggini burocratiche che una sperimentazione clinica deve affrontare nel suo percorso prima di poter iniziare effettivamente.

Siamo ormai prossimi all'entrata in vigore del nuovo Regolamento per le sperimentazioni cliniche, previsto per il 2018, che rappresenterà una rivoluzione copernicana del sistema della ricerca clinica in Europa: segnerà infatti il passaggio dalla gestione nazionale a quella coordinata a livello europeo, e costituirà un'opportunità fondamentale per il sistema Italia. L'obiettivo del nuovo regolamento è quello di snellire e semplificare le procedure che saranno integrate e coordinate a livello europeo, che si tradurrà in un vantaggio concreto per i pazienti.

L'Italia potrebbe cogliere questa occasione per diventare l'hub della ricerca clinica, soprattutto nel campo dei medicinali innovativi e delle terapie avanzate, dove ha già dimostrato di essere leader, sia come autorevolezza nella valutazione scientifica in qualità di autorità competente, sia in ambito produttivo.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

