



L'Agenzia Italiana del Farmaco e le associazioni di pazienti: prospettive attuali e future di dialogo

Pietro Erba

1[^] edizione del "Management del Terzo Settore - Advocacy e strumenti gestionali per chi opera in ambito salute"

Focus sul Volontariato nei Centri di Senologia

4 ottobre 2019, Milano

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

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso

* **Pietro Erba**, 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.

MISSION DI AIFA

- L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è l'autorità nazionale competente per l'attività regolatoria dei farmaci in Italia
- E' un Ente pubblico che opera in autonomia, trasparenza ed economicità, sotto l'indirizzo del Ministero della Salute e la vigilanza del Ministero della Salute e del Ministero dell'Economia e Finanze
- Collabora con le Regioni, l'Istituto Superiore di Sanità, gli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico, le Associazioni dei pazienti, i Medici e le Società Scientifiche, il mondo produttivo e distributivo

FUNZIONI AIFA

Garantire ai pazienti
un accesso
appropriato ai farmaci
nel rispetto delle
evidenze scientifiche
che assicurano qualità
efficacia e sicurezza

Monitorare la
sicurezza e
l'appropriatezza
dell'uso dei farmaci

Comprare più salute
a parità di risorse in
funzione dei bisogni
della popolazione

Area Amministrativa

Area Pre-Autorizzazione:

- Ufficio Sperimentazione Clinica
- Ufficio Ricerca Indipendente

Area Autorizzazione Medicinali:

- Ufficio Autorizzazione all'immissione in commercio
- Ufficio Procedure post autorizzative
- Ufficio Valutazioni medicinali biologici
- Ufficio Certificazioni e Importazioni Parallele

Regolamento di organizzazione, funzionamento e ordinamento
del personale di AIFA *G.U. n. 140 del 17.06.2016*

LE AREE OPERATIVE DI AIFA

Area Vigilanza Post-Marketing

- Ufficio Farmacovigilanza
- Ufficio Gestione dei Segnali
- Ufficio Misure di Gestione del Rischio
- Ufficio Informazione scientifica

Area Strategia ed Economia del Farmaco

- Settore HTA ed economia del farmaco
- Settore Innovazione e Strategia del farmaco

Area Ispezioni e Certificazioni

- Ufficio Ispezioni e autorizzazioni GMP medicinali
- Ufficio Ispezioni e autorizzazioni GMP materie prime
- Ufficio Qualità dei prodotti e Contrasto al Crimine Farmaceutico
- Ufficio Ispezioni GCP
- Ufficio Ispezioni GVP

PRE-AUTORIZZAZIONE

- attività legate alle sperimentazioni cliniche di medicinali
- ricognizione e analisi di studi osservazionali, uso compassionevole
- valutazione delle richieste di accesso a farmaci sperimentali ai sensi della L. 648/1996 e di accesso al fondo AIFA per i farmaci orfani e le malattie rare e relativo monitoraggio clinico
- coordinamento e gestione Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dei medicinali (OsSC)
- promozione della ricerca indipendente finanziata dall'AIFA

AUTORIZZAZIONI MEDICINALI

- gestione del processo di registrazione dei medicinali per uso umano, secondo i regolamenti ufficiali a livello nazionale ed europeo (Mutual Recognition, Decentralised Procedure)
- supporto per le procedure di registrazione in cui l'Italia è coinvolta come relatore o co-relatore

TIPO DI PROCEDURA PER IL RILASCIO DELL'AUTORIZZAZIONE

PROCEDURA	STATI MEMBRI COINVOLTI	TEMPI DI DEFINIZIONE	ORGANISMI INTERESSATI
CENTRALIZZATA	TUTTI gli Stati dell'UE	210 giorni	EMA COMMISSIONE UE STATI MEMBRI
NAZIONALE	Solo lo Stato in cui è presentata la domanda	210 giorni	AUTORITÀ NAZIONALE
MUTUO RICONOSCIMENTO	RMS CMSs	90 giorni	RMS – CMSs CMD(referral) EMA (arbitrato)
DECENTRATA	RMS CMSs	210 giorni	RMS – CMSs CMD(referral) EMA (arbitrato)

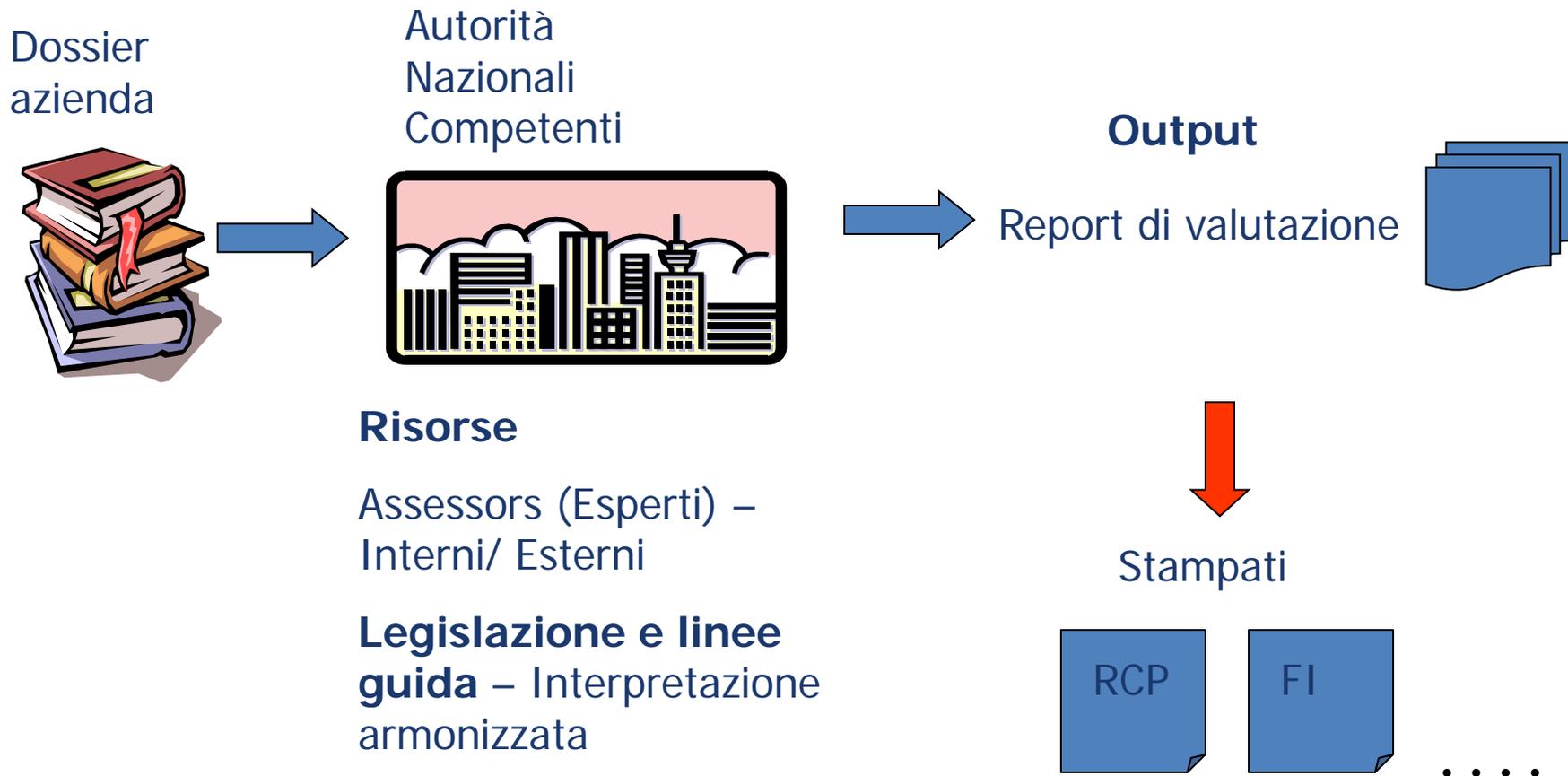
Diverse tipologie di procedure autorizzative

Medesimi requisiti: qualità, sicurezza ed efficacia

Medesimo approccio: risk/benefit

Medesimo scopo: salute dei pazienti

IL PROCESSO DI VALUTAZIONE



VIGILANZA POST-MARKETING

- persegue l'obiettivo di prevenire i danni causati da reazioni avverse conseguenti all'uso di un medicinale secondo le condizioni di autorizzazione ma anche agli errori terapeutici, all'esposizione professionale, agli usi non conformi incluso l'uso improprio e l'abuso
- promuovere l'uso sicuro ed efficace dei medicinali, in particolare fornendo tempestivamente informazioni sulla sicurezza dei medicinali ai pazienti, agli operatori sanitari e al pubblico in generale
- l'AIFA promuove anche programmi e studi di farmacovigilanza attiva con l'obiettivo di aumentare le conoscenze sui medicinali e definire meglio la loro sicurezza d'uso
- fornisce informazione tramite il canale farmaci-line

STRATEGIA ED ECONOMIA DEL FARMACO

- adozione di procedure di valutazione di Health Technology Assessment (HTA) dei medicinali
- gestione delle procedure di definizione del prezzo e della rimborsabilità dei medicinali
- produzione e pubblicazione degli atti amministrativi dei medicinali rimborsati dal SSN ed agli HTA report
- raccordo con gli altri uffici dell'Area coinvolti nell'attività istruttoria delle procedure di definizione del prezzo e della rimborsabilità dei medicinali
- attività di implementazione dell'istruttoria tecnico-scientifica ed economica nell'ambito del gruppo di supporto HTA
- revisione periodica delle Note AIFA
- check tecnico e amministrativo dei dossier di richiesta del prezzo e della rimborsabilità dei medicinali

ISPEZIONI E CERTIFICAZIONI

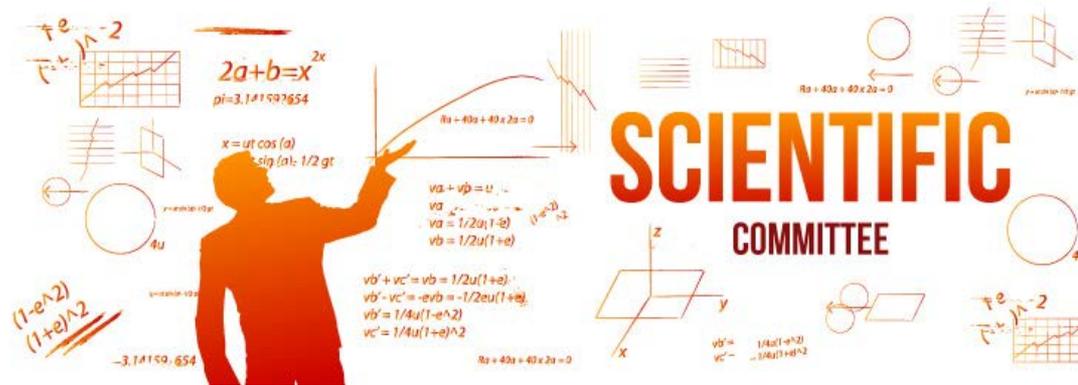
- vigila e controlla le officine di produzione delle Aziende Farmaceutiche per garantire la qualità della produzione dei farmaci e della materie prime (Good Manufacturing Practice, GMP)
- garantisce l'attività ispettiva di Buona Pratica Clinica (GCP) sulle sperimentazioni dei medicinali, il follow-up delle ispezioni, la promozione di norme e linee guida GCP
- assicura l'osservanza delle disposizioni del titolo IX (Farmacovigilanza) del D.Lgs. 24 aprile 2006 n.219, attraverso l'ispezione dei locali, le registrazioni e i documenti dei titolari di AIC relativamente alle attività di Farmacovigilanza
- verifica l'applicazione delle leggi nazionali ed europee riguardanti la distribuzione, l'importazione, l'esportazione e il corretto funzionamento delle procedure di allerta rapido e di gestione delle emergenze

COMMISSIONI TECNICO-SCIENTIFICHE

L'autorità scientifica di AIFA è sostenuta da due commissioni autonome composte da esperti di comprovata esperienza:

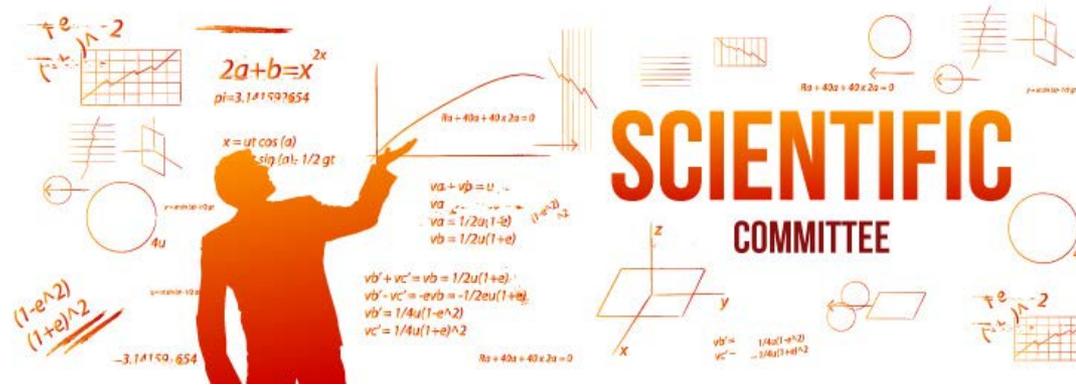
- Commissione Tecnico-Scientifica, (CTS)
- Comitato Prezzo e Rimborso, (CPR)

PRINCIPALI FUNZIONI E COMPITI CTS (1)



- Valutazione delle domande di autorizzazione all'immissione in commercio nazionali ed europee (centralizzate, decentralizzate e di mutuo-riconoscimento)
- Valutazione su questioni relative alla farmacovigilanza e alla ricerca clinica (compresi i casi di accesso anticipato a nuovi farmaci rimborsati dalla legge 648/2006)
- Fornisce un'opinione vincolante sul ruolo in terapia di un nuovo prodotto e sulla definizione di "innovatività" (benefici economici per l'Azienda e accesso precoce ai Formulari Regionali)

PRINCIPALI FUNZIONI E COMPITI CTS (2)



- Fornisce parere vincolante sulle condizioni di fornitura / utilizzo
- Fornisce una proposta sul sistema di rimborso
- Conduce audizioni con aziende farmaceutiche, (società scientifiche, associazioni di pazienti), se necessario o richiesto
- Fornisce una proposta per la redazione dei Piani Terapeutici (PT)

COMPOSIZIONE CTS

3 Membri
designati da MdS

1 Membro
designato da MEF

4 Membri
designati
dalle Regioni

Direttore Generale AIFA e Presidente Istituto Superiore Sanità
(componenti di diritto)

SEGRETARIATI AIFA DI SUPPORTO ALLA CTS

L'attività CTS è supportata da quattro gruppi di lavoro (segretariati), composti da autorità di regolamentazione dell'AIFA e da esperti esterni

- Ricerca e Sperimentazione clinica
- Valutazione e Autorizzazione
- Farmacovigilanza
- HTA

Composizione segretariati: massimo 10 membri

- di cui 3 designati dalla lista degli esperti dell'Agenzia con comprovata competenza tecnico-scientifica e sanitaria
- di cui 7 interni all'agenzia e tra questi 3 membri sono individuati nell'ambito delle altre aree complementari con compito di raccordo

PRINCIPALI FUNZIONI E COMPITI CPR



Prendendo in considerazione la valutazione della CTS, il CPR

- Stabilisce il prezzo e le condizioni/schemi di rimborso di nuovi medicinali/ nuove indicazioni terapeutiche o nuove forme farmaceutiche
- Rivaluta il prezzo e il rimborso dei prodotti precedentemente autorizzati due anni dopo la prima negoziazione o in caso di estensione della linea o estensione delle indicazioni
- Stabilisce accordi di accesso condizionato al mercato (Managed Entry Agreements MEA) basati su criteri finanziari o sui risultati monitorati da AIFA

COMPOSIZIONE CPR

3 Membri
designati da MdS

1 Membro
designato da MEF

4 Membri
designati
dalle Regioni

Direttore Generale AIFA e Presidente Istituto Superiore Sanità
(componenti di diritto)

CRITERI PER LA NEGOZIAZIONE

La procedura di negoziazione con le aziende è condotta sulla base di criteri, tra i quali:

- valore terapeutico del prodotto (analisi costi / efficacia)
- sicurezza e dati di farmacovigilanza
- Confronto prodotti simili all'interno dello stesso/simile gruppo farmacoterapeutico
- previsioni del mercato interno, numero stimato di potenziali pazienti

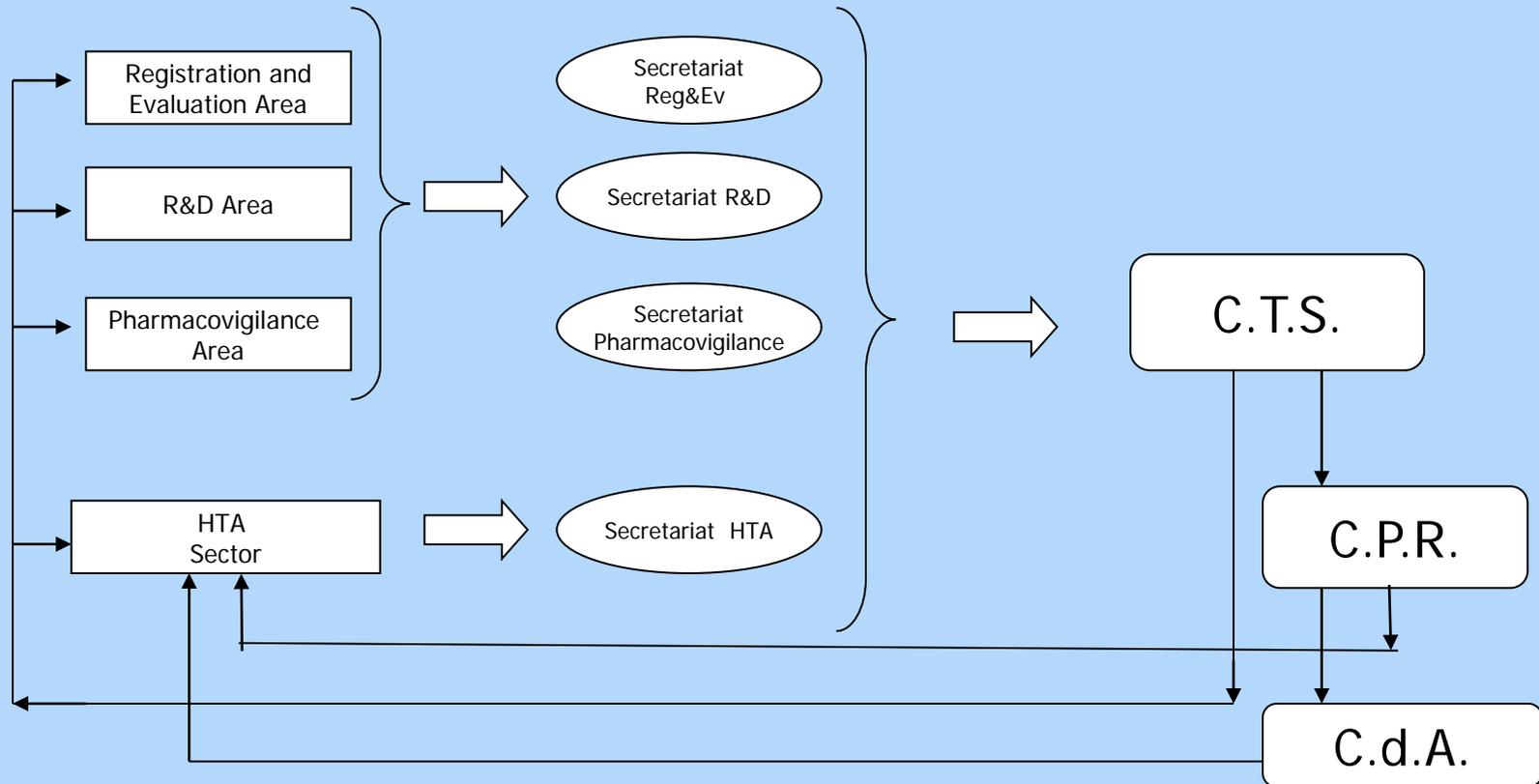
FLUSSO NEGOZIAZIONE



CALENDARIO

- Riunioni mensili presso AIFA
- Riunioni extra possono essere convocate per discussione di specifici argomenti

CTS, CPR e i SEGRETARIATI



CONFLITTI DI INTERESSE

- Tutti i membri dei comitati CTS, CPR, segretari AIFA e dei comitati consultivi devono dichiarare tutti i potenziali conflitti di interesse una volta all'anno;
- Tutti i membri devono compilare una dichiarazione di interessi ogni riunione del CTS e del CPR per aggiornare la loro posizione (mensile)
- Dichiarazione di riservatezza
- A seconda del livello del conflitto identificato dalla Commissione specifica potrebbe essere richiesto all'esperto di astenersi dal giudizio o non partecipare alla seduta

Osservatorio sull'impiego dei medicinali (OsMed)



- Controlla le prescrizioni sui farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale e fornisce rapporti mensili alle autorità regionali sulla base di indicatori predefiniti sul consumo e sulle spese dei medicinali
- Pubblica il rapporto annuale del Centro di monitoraggio sull'utilizzo dei medicinali

nuovo portale dell'Osservatorio Nazionale sulla sperimentazione clinica dei Medicinali OsSC



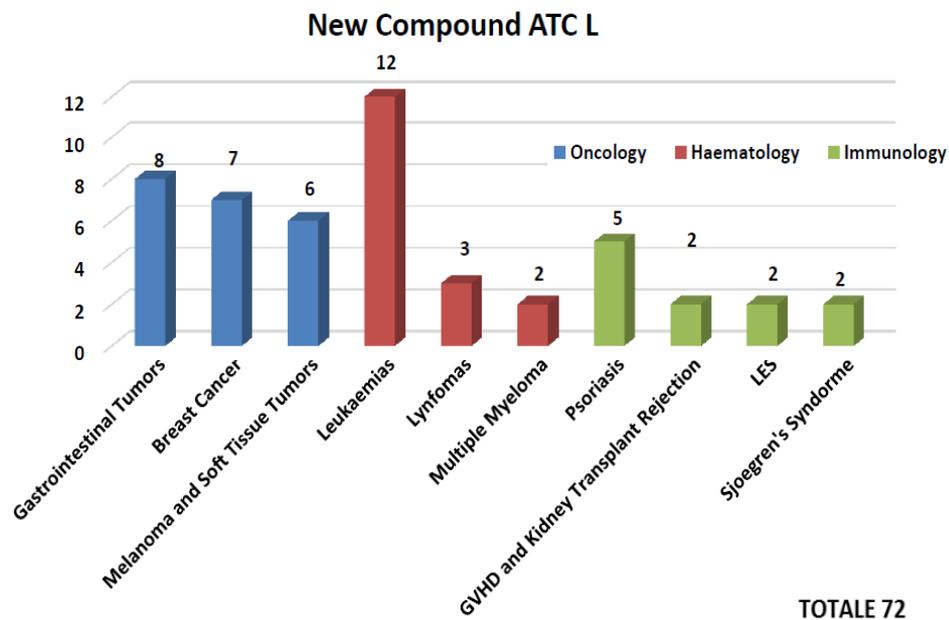
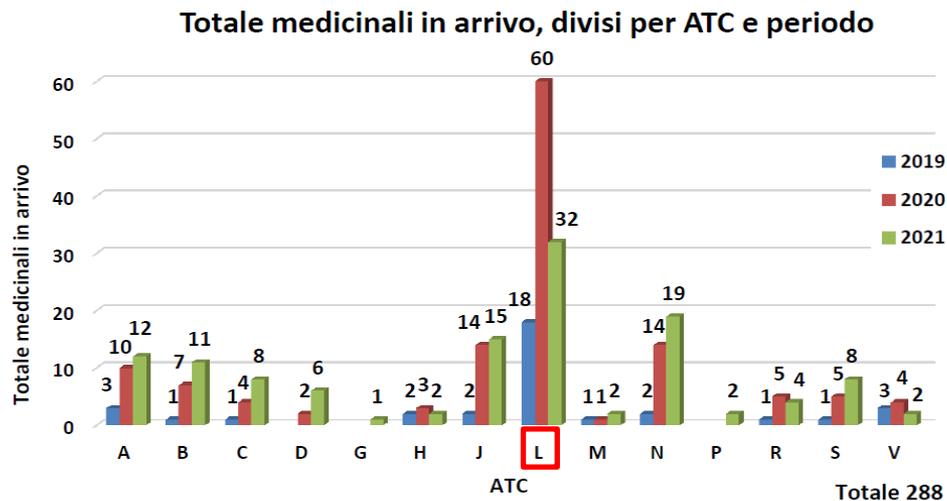
- Assicura il monitoraggio di tutte le sperimentazioni cliniche condotte in Italia e approvate dai Comitati Etici Locali
- aperto e accessibile ai comitati etici, alle autorità regionali e agli sponsor
- pubblica la relazione annuale sulla ricerca clinica in Italia, una breve sintesi della quale è disponibile anche in inglese

Rete Nazionale di Farmacovigilanza

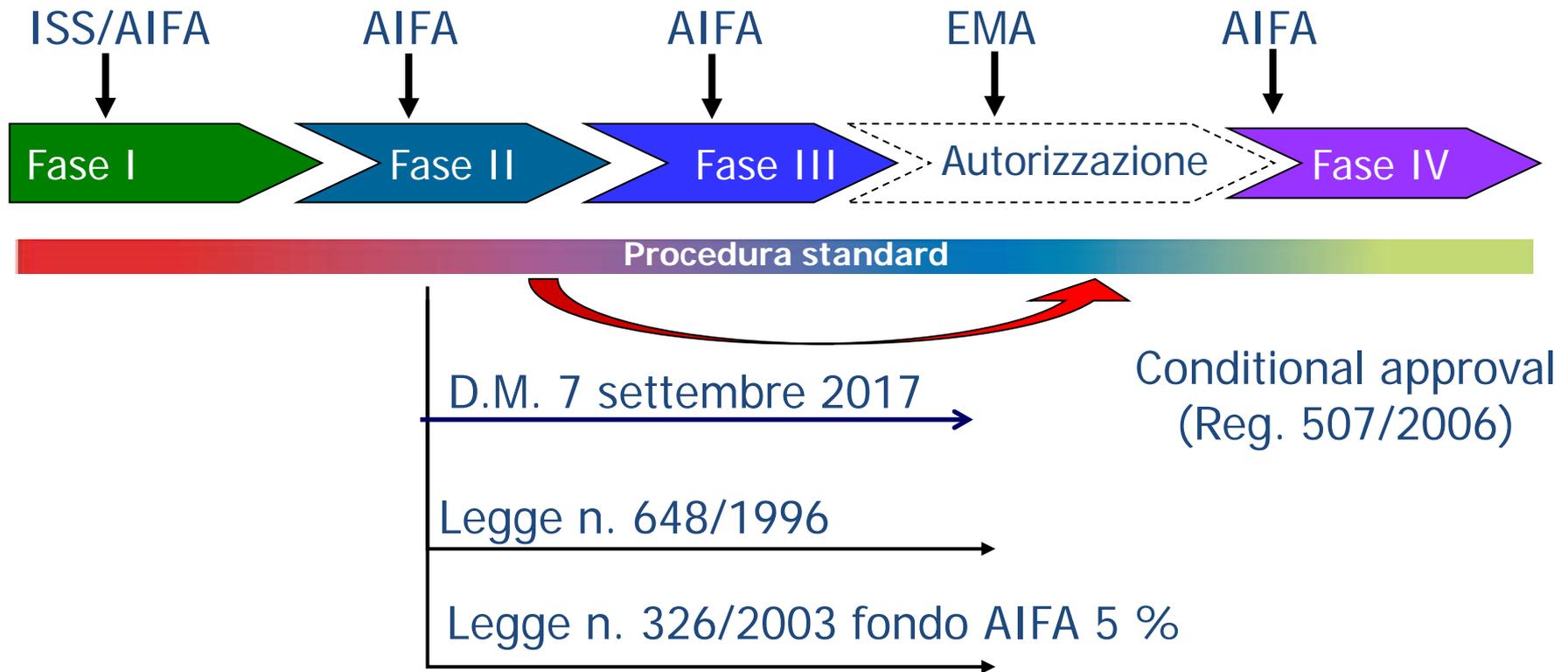


- L'attuale sistema italiano di farmacovigilanza si basa sulla Rete Nazionale di Farmacovigilanza (RNF). La rete garantisce la raccolta, la gestione e l'analisi delle segnalazioni di sospette reazioni avverse a farmaci (ADR)
- L'Agenzia Italiana del Farmaco rende disponibile al pubblico il sistema RAM (report Reazioni Avverse dei Medicinali) che consente di accedere ai dati relativi alle segnalazioni ADR registrate a partire dal 2002, organizzate per anno di inserimento nella RNF e aggiornate con cadenza trimestrale

I medicinali in arrivo in UE nel triennio 2019 - 2021



Accesso in Italia



Criticità

- Valore relativo dati preliminari
- Evidenze negative in fase successiva di sviluppo
- Applicazione forzata del concetto di *unmet medical need* e di uso compassionevole

Ministero della Salute

Documento in materia di *Governance* farmaceutica

t) Coinvolgimento dei rappresentanti dei pazienti.

Allo scopo di favorire l'inclusione delle istanze dei pazienti, si propone di istituire un Tavolo permanente di consultazione con la presenza di rappresentanti delle associazioni dei pazienti.

Open AIFA nasce nel 2012 con queste finalità

Open AIFA

L'Agenzia Italiana del Farmaco ha lanciato l'iniziativa "OPEN-Aifa" dedicata all'istituzionalizzazione degli incontri con tutti i suoi interlocutori al fine di garantire un dialogo diretto e trasparente.

Associazioni di malati, rappresentanti della società civile, aziende farmaceutiche e ogni altro soggetto interessato potranno inviare una richiesta di partecipazione motivata agli incontri che si svolgeranno con cadenza mensile, compatibilmente con gli impegni istituzionali dei vertici AIFA.

Primi 5 anni

Gio rna te	N. incont ri	Aziend a Farm.	Ass./ Fed. di categor ia	Ass. pazien ti	Società servizi	Oper. Sanita rio/Un iv.	Società Scientifi ca
47	236	110	47	28	26	13	12
	100%	47%	20%	12%	11%	6%	5%

PARTECIPAZIONI Open AIFA

2017-2018

Giornate	N. incontri	Azienda Farm.	Ass. pazienti	Oper. Sanitario /Org. scientifiche	Società servizi	Univ. Centri di ricerca
16	44	27	6	6	4	1
	100%	61%	14%	14%	9%	2%

Priorità ai pazienti in Open AIFA

AIFA istituisce un tavolo permanente per i pazienti



30/01/2019

In ottemperanza alle Linee guida del [Documento in materia di Governance farmaceutica](#), l'Agenzia Italiana del Farmaco ha deciso di istituire un tavolo permanente di consultazione con le associazioni dei pazienti all'interno di Open AIFA.

Nell'iniziativa da sempre dedicata agli incontri con tutti gli interlocutori dell'Agenzia, l'AIFA intende adesso privilegiare il coinvolgimento attivo di tutti i cittadini e pazienti riservando loro uno spazio esclusivo.

L'Agenzia invita pertanto i pazienti, riuniti in associazione o anche singoli cittadini portatori di tematiche inerenti al farmaco (es. accesso, ricerca, sicurezza), a contattarla all'indirizzo openaifa@aifa.gov.it e a consultare la [pagina dedicata](#) per prendere visione e sottoscrivere il regolamento di partecipazione.

30 gennaio 2019

quotidiano **sanità.it**

Farmaci. Aifa istituisce un tavolo permanente per i pazienti

La creazione del tavolo era prevista dalle linee guida sulla governance. “L’apertura di questo canale di dialogo rappresenta un contributo prezioso per l’attività regolatoria, perché portatore di esperienze reali e competenze che miglioreranno il raggiungimento dell’obiettivo primario che per l’AIFA è la promozione e tutela della salute dei cittadini”.

ABOUTPHARMA^{ONLINE}

| Aziende

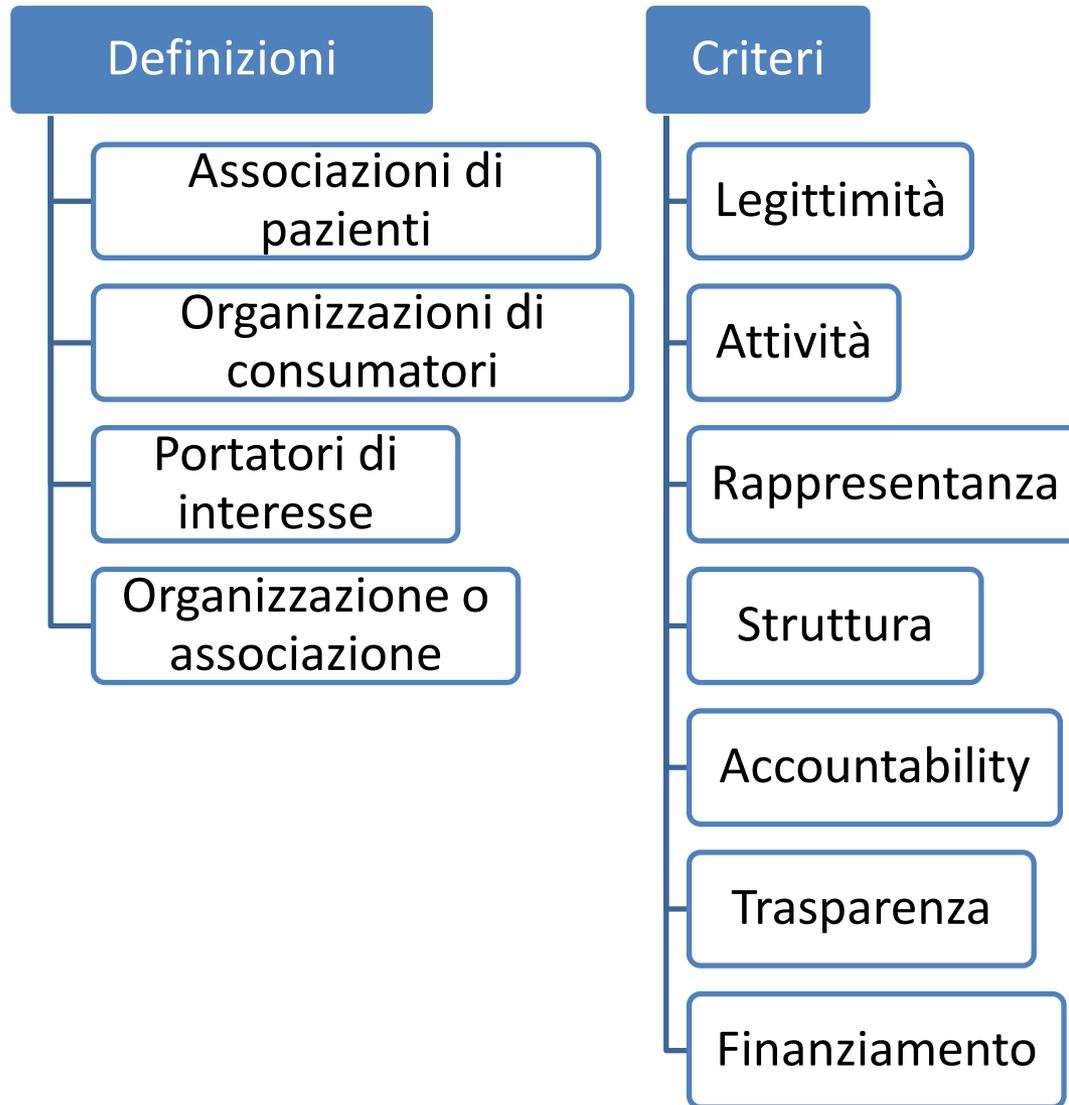
Aifa, aperto un tavolo permanente per i pazienti

L’Aifa intende adesso privilegiare il coinvolgimento attivo di tutti i cittadini e pazienti riservando loro uno spazio esclusivo

Dopo nuova governance

Giornate (13/2 - 30/9)	N. incontri	Ass. pazienti	Azienda Farm.	Univ. Centri di ricerca	Oper. Sanitari o/Org. scientifiche	Società servizi
9	32	24	4	2	1	1
	100%	75%	12,5%	~6%	~3%	~3%

Regolamento (bozza) partecipazione



Lavori in corso!

Da visionare e sottoscrivere per poter partecipare a Open AIFA

- Organizzazione
- Referenti dell'Organizzazione
- Persona di riferimento (per le attività con l'AIFA)
- Tipo organizzazione (azienda, associazione, accademia)
- Composizione (I pazienti o i loro caregiver rappresentano la maggioranza dei membri iscritti all'organizzazione)
- Legittimità (l'organizzazione è registrata in Italia e/o Europa)
- Attività (Vision e mission)

- **Rappresentanza** (Indicare come l'Organizzazione rappresenta i pazienti attraverso il territorio nazionale/regionale e, se applicabile in Europa);
- **Struttura** (I membri dell'Organizzazione possono votare il direttivo dell'Organizzazione; Indicare come viene eletto il direttivo dell'Organizzazione);
- **Accountability e metodi di comunicazione** (Indicare come l'organizzazione promuove e gestisce la comunicazione da e per i membri).
- **Trasparenza** (indicare se sono stati ricevuti finanziamenti privati, pubblici, ultima dichiarazione finanziaria annuale, elenco degli sponsor)

- Finanziamenti derivanti dall'industria (Nome dell'azienda/finanziatore, Importo del finanziamento, % rispetto al reddito complessivo dell'organizzazione, bilancio)
- Finanziamenti derivanti da ambiti no profit (Nome dell'azienda/finanziatore, Importo del finanziamento, % rispetto al reddito complessivo dell'organizzazione, bilancio)

Le informazioni rilasciate sono valutate dall'AIFA per attestare la conformità a tali criteri e, quindi, l'idoneità alla partecipazione. Le informazioni rilasciate saranno pubblicate sul portale dell'Agenzia nell'apposita sezione.



Patients Active in Research And Dialogues for An Improved Generation of Medicines

Mission

Contribute to a sustainable framework that enables meaningful patient engagement and demonstrates 'return on engagement' for all players



Research and
priority setting



Design of
clinical trials



Early dialogues with
regulators and HTA bodies



Objectives

Develop processes and tools for these three points in the medicine lifecycle
Develop a sustainability roadmap for Patient Engagement

Maggiori informazioni <http://imi-paradigm.eu/>



PARADIGM

Patients Active in Research and Dialogues
 for an Improved Generation of Medicines

Project Scope	Operationally European - Results to be disseminated globally
Duration	30 months March 2018 - September 2020
Partners	34 4 European patients organizations; 2 Competent authorities; 3 Academic teams; 1 Non-profit organization; 2 SMEs; 1 Hospital; 21 Industry partners: 3 associations, 17 bio-pharmaceutical companies, 1 contract research organization (http://imi-paradigm.eu/project-partners)
Funding	PARADIGM has received funding from the Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking under grant agreement No 777450. This Joint Undertaking receives support from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme and EFPIA, as well as from private partners from the consortium.
Contact Details	www.imi-paradigm.eu Email: info@imi-paradigm.eu



Partners





Output

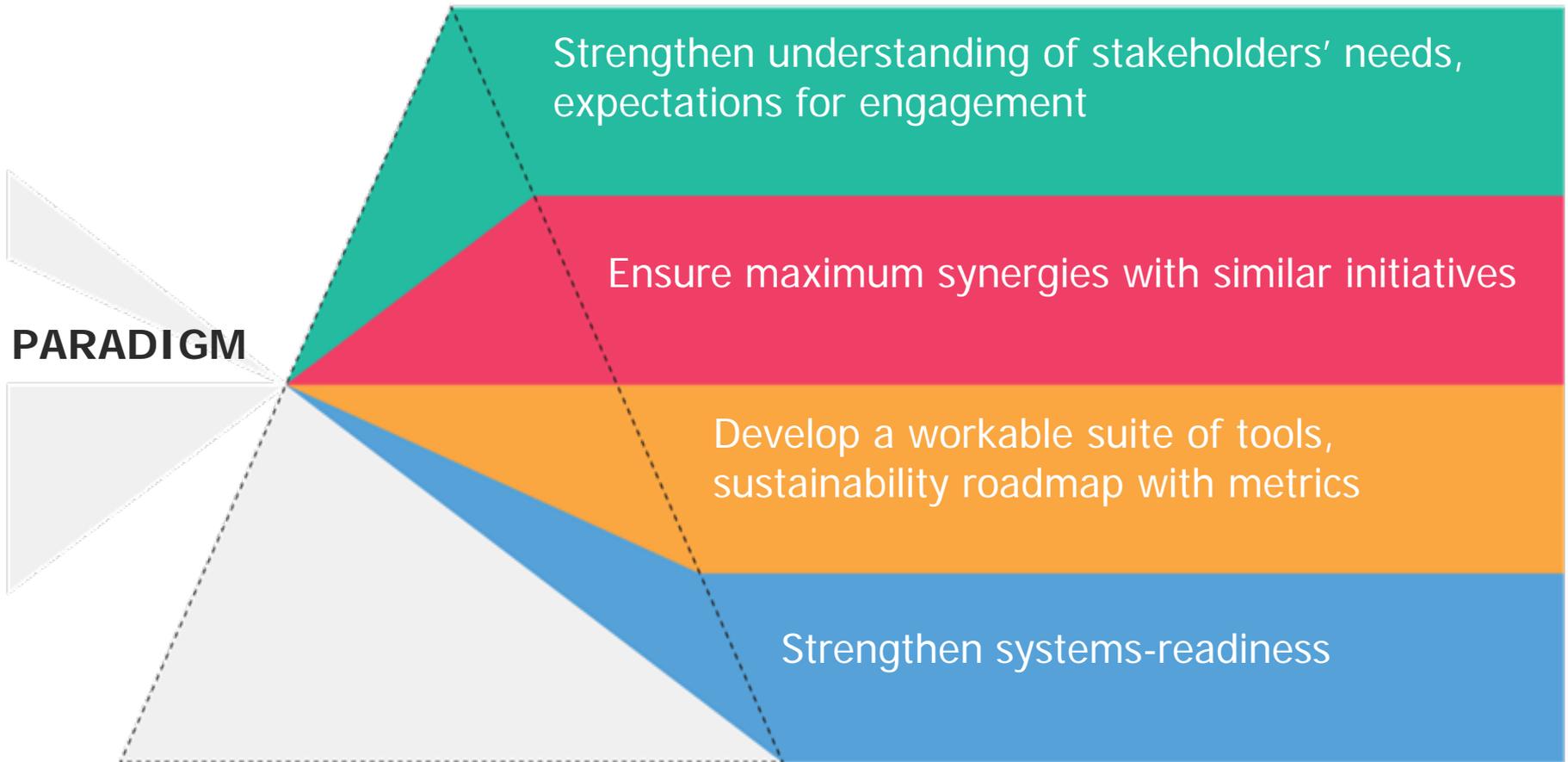
- Rafforzare la comprensione dei bisogni e delle aspettative degli stakeholder per il coinvolgimento dei pazienti (PE)
- Sviluppare metriche per aiutare a dimostrare l'impatto delle pratiche di PE
- Migliorare la disponibilità del sistema verso il coinvolgimento dei pazienti fra tutti gli SHs
- Costruire sinergie con altre iniziative di PE come PFMD (Patients Focused Medicines Development) e EUPATI
- Progettare una roadmap di sostenibilità attuabile per ottimizzare il PE nei punti decisionali chiave nel ciclo di vita dei farmaci

Obiettivo dei work package in sintesi:



- WP1 Capire le aspettative i bisogni e le preferenze dei Stakeholders (SH) sul PE
- WP2 Individuare i gap nella attività correnti degli SH
- WP3 Come dimostrare il valore di quello che sarebbe utile fare
- WP4 Eliminare i gap nelle pratiche degli SH per poter coinvolgere efficacemente i pazienti
- WP5 Comunicazione del progetto (interna ed esterna)
- WP6 sostenibilità degli outcome del progetto e sostenibilità delle pratiche di PE degli SH nel tempo

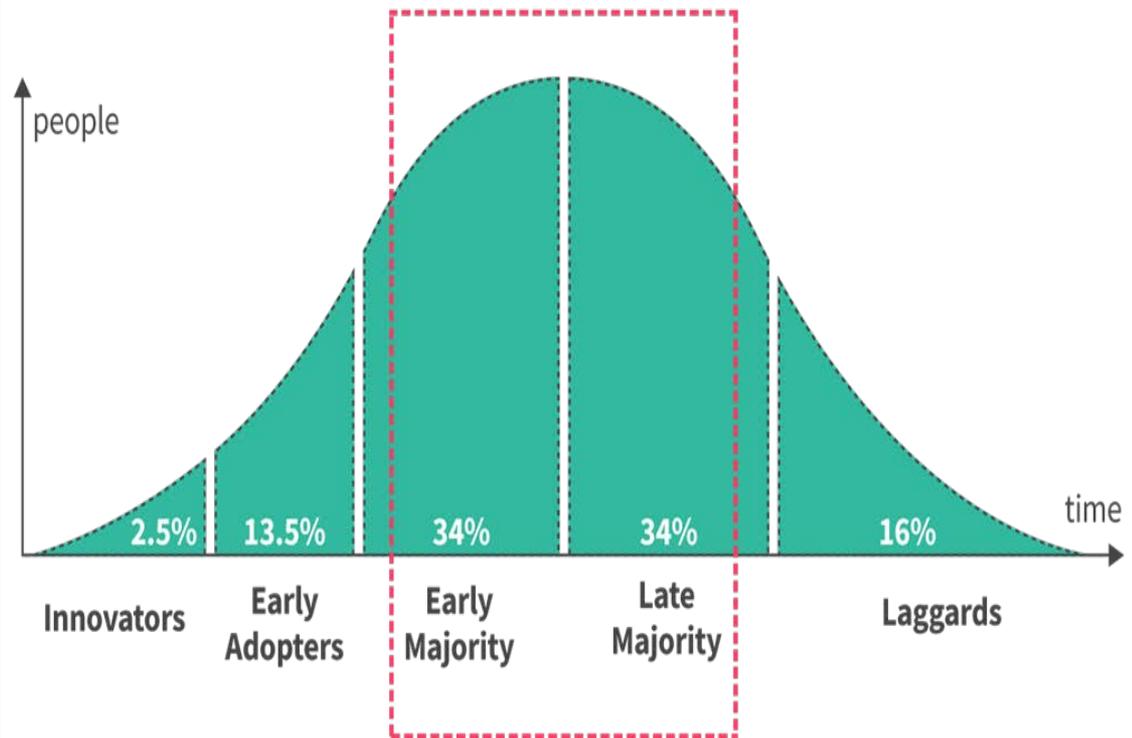
Intended outcomes



Normalizing Patient Engagement it's a step change

Normalizing Patient Engagement

- Incremental progress made to date
- Inclusion of the willing and the converted
- Key success factor will be the ability to expand to win the hearts and minds of the majority
- PARADIGM will aim to also include vulnerable groups (like dementia, or paediatric patients)
- PARADIGM will aim to gain a greater mass of acceptance within each stakeholder group



Contatti:

✉ p.erba@aifa.gov.it

🖱 www.aifa.gov.it

www.aifa.gov.it

