

Consultazione pubblica sul documento
“CRITERI DI VALUTAZIONE PER L’ATTRIBUZIONE
DELL’INNOVATIVITÀ TERAPEUTICA E SULLA
GESTIONE DEGLI AGENTI ANTINFETTIVI
PER INFEZIONI DA GERMI MULTIRESISTENTI “

CRITERI DI VALUTAZIONE PER L'ATTRIBUZIONE DELL'INNOVATIVITÀ TERAPEUTICA

Il nostro punto di vista

In merito al documento “*Criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti*” vorremo indicare due punti per noi importanti:

- 1- Nel documento viene considerato il concetto del **criterio dell'innovatività terapeutica** limitatamente a quelle specifiche malattie o condizioni patologiche gravi a medio-basso impatto epidemiologico.

Ci preme sottolineare che l'elevato numero dei pazienti potenzialmente eleggibili **non garantisce**, come affermato nel documento, “...di per sé un sufficiente riconoscimento del valore terapeutico del medicinale”: in alcune circostanze, infatti, alcuni farmaci per la cura di specifiche tipologie di tumore

sono stati approvati ed erogati con difficoltà e/o limitazioni e con tempi di attesa importanti.

Riteniamo quindi che il **BISOGNO TERAPEUTICO** debba essere considerato **indipendentemente dalla prevalenza della patologia**, ma in considerazione della capacità di un farmaco di determinare la guarigione, di rallentare la progressione della malattia o di migliorare la qualità della vita dei pazienti relativamente alle dimensioni della capacità di movimento e di cura della persona, così come indicato nel documento; **campo, quest'ultimo, applicabile a molte** per le quali la progressione di malattia ad esempio, limitano fortemente l'autonomia e la qualità di vita della persona e della famiglia

- 2- In merito al concetto di **VANTAGGIO TERAPEUTICO AGGIUNTO**, fatte salve le considerazioni di merito relativamente al criterio con il quale viene definito, ovvero *influenzato fortemente dal giudizio relativo alla qualità delle prove prodotte a supporto delle evidenze cliniche, in particolare dalla qualità, affidabilità e riproducibilità dei*

risultati ottenuti nelle sperimentazioni cliniche, ci preme sottolineare che **non tiene in considerazione un endpoint fondamentale** per tutti i pazienti [redacted] relativo alla **qualità di vita**.

Sta crescendo, infatti, nella comunità [redacted] la consapevolezza **dell'importanza di dare spazio alla valutazione [redacted] vita del paziente e ai PROs (esiti riferiti dal paziente)** non solo nella pratica clinica, ma anche negli studi clinici e a seguire quindi nei criteri di valutazione per l'approvazione di un farmaco, al fine di rendere l'aderenza alle cure un elemento centrale nella valutazione dello stesso. L'aderenza infatti è un fattore determinante nel percorso terapeutico, soprattutto quando gli effetti collaterali sono molto pesanti e richiedono interventi complementari per sostenere la loro efficacia. Questo tema riguarda tutti i pazienti [redacted]

Per quanto riguarda l'impiego dei PROs nella pratica clinica, negli scorsi anni sono stati pubblicati i risultati di vari studi randomizzati: nello specifico i pazienti erano stati randomizzati a ricevere o la sola visita tradizionale o l'approccio tradizionale integrato con l'impiego di strumenti che prevedono la possibilità per il paziente di registrare in tempo reale, tramite la risposta a questionari, alcuni sintomi di tossicità. Uno di questi studi, presentato ad ASCO 2017, portato avanti dal Memorial Sloan-Kettering Cancer Center di New York, ha dimostrato che i pazienti sottoposti all'approccio integrato avevano ottenuto **un miglioramento significativo della qualità di vita, dell'aderenza al trattamento, della riduzione degli accessi in pronto soccorso e delle ospedalizzazioni e anche un prolungamento dell'aspettativa di vita**. Questo stesso approccio deve essere implementato anche negli studi clinici e le stesse società scientifiche di riferimento [redacted] lo stanno sostenendo.


Considerare la **qualità di vita dei pazienti** nel valutare il vantaggio terapeutico di un farmaco **non è una questione di bassa rilevanza**.

Un farmaco che non tiene in considerazione la qualità di vita di un paziente, infatti, spesso ha un forte impatto: **sull'aderenza alla cura**, sul numero di **accessi aggiuntivi** [redacted] in ospedale, **sulla tossicità finanziaria** [redacted] oltre a quella specifica della terapia, perché legata a spostamenti evitabili, farmaci a compensazione degli effetti collaterali evitabili, sullo **stato di salute psico-fisico** del malato.


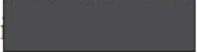


La qualità di vita deve essere considerata considerando diversi fattori.

Dal nostro punto di vista, quindi, un farmaco ha un vantaggio terapeutico aggiunto se:

- **ha una formulazione facile da gestire:** un farmaco orale, ad esempio, non costringe un paziente a recarsi in ospedale settimanalmente o con una certa periodicità, non lo costringe a giorni di day hospital o ricoveri;
- **ha effetti collaterali gestibili,** che non vanno a impattare sulla vita quotidiana del malato: 
- **permette a una paziente di continuare a svolgere le proprie attività quotidiane** quali lavoro, accudimento della famiglia, dei genitori...;
- **non impatta sulla sfera psicologica, familiare** che sono a loro volta causa di scarsa aderenza.

Inserire la qualità di vita come elemento di valutazione del vantaggio terapeutico aggiunto, **non deve essere considerato un costo** ma un risparmio per il nostro SSN per i motivi sopra riportati.

Ci auguriamo, come associazione pazienti che fa riferimento alla patologia  con numero maggiore di diagnosi annuali  e non solo, che questi nuovi criteri di innovatività, con la soglia di prevalenza come requisito di accesso al fondo e bisogno terapeutico almeno “importante” tenga in giusto conto l’equilibrio tra sostenibilità economica, reale valore dell’innovazione e real life del paziente nel suo quotidiano. Sostenibilità economica che, con un investimento in ambito di ricerca e di approccio gestionale ai pazienti, potrebbe essere migliorata dando proprio spazio e valore alla qualità di vita come outcome.

