

Considerazioni in merito alla consultazione pubblica AIFA sui criteri di attribuzione dell'innovatività terapeutica

Abstract


Apprezzando la volontà del legislatore di porre l'accento sull'importanza della qualità di vita nell'elaborazione dei nuovi criteri che guideranno il riconoscimento del requisito di innovatività dei farmaci, [redacted] ritiene che, nel recepimento delle indicazioni fornite dalla manovra finanziaria, ci siano aspetti da prendere maggiormente in considerazione. Pertanto, si invita l'Agenzia a valorizzare sistematicamente l'**esperienza fornita dai malati**, includendo i **Patient-Reported Outcome (PRO)** ed i **Patient-Reported Experience (PRE)** nel processo di valutazione del farmaco e considerando la **gestibilità del trattamento per i malati ed i loro caregiver**. Inoltre, sarebbe auspicabile consentire un **accesso precoce ai farmaci** [redacted] scelta che potrebbe influire notevolmente sul decorso della patologia.

Considerazioni

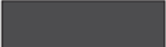

[redacted] è stata fondata nel 2000 da alcuni [redacted] con la finalità di supportare i malati [redacted] e i loro familiari durante la fase acuta e post-acuta di malattia. La mission fondamentale della nostra attività può racchiudersi in questa frase: **"Nella nostra Associazione non si cura [redacted] ma le Persone che vivono l'esperienza [redacted]"**. Per questo motivo, la nostra azione è orientata a fornire assistenza a livello globale a malati, ex malati, familiari, caregiver e [redacted] mettendo a disposizione, grazie al costante aiuto di [redacted] supporti individualizzati.

Abbiamo, quindi, accolto con favore l'intenzione del legislatore nazionale, mediante l'ultima manovra finanziaria, di fornire un adeguato riconoscimento, nella revisione dei criteri di innovatività dei farmaci, alla **qualità di vita** e all'**impatto delle terapie sull'assetto organizzativo**, ma appare importante fornire alcune considerazioni sui contenuti del documento posto in consultazione, che potrà determinare effetti dirimenti sui malati e sulle opzioni terapeutiche che verranno rese disponibili.

Allo stato attuale, gli esiti riportati dal paziente sono stati considerati in meno della metà dei *dossier* di rimborsabilità per i farmaci [redacted]. Tuttavia, i **Patient-Reported Outcome (PRO)**, ossia l'impatto di un farmaco sulla qualità della vita correlata allo stato di salute (HRQoL - Health-Related Quality of Life) ed i **Patient-Reported Experience (PRE)**, ovvero l'impatto di un farmaco sulla qualità della vita non strettamente allo stato di salute (come ad esempio la maggiore tollerabilità di una terapia grazie da una più agevole somministrazione del farmaco) possono avere un ruolo fondamentale nella valutazione del **beneficio terapeutico** dal punto di vista del malato e dovrebbero essere adeguatamente considerati nel processo di valutazione condotto dall'Agenzia del farmaco, pur con la consapevolezza della necessità di una robustezza di prove che vada a suffragare l'esperienza fornita dalla comunità di pazienti. Lo stesso regolamento europeo sulla valutazione delle tecnologie sanitarie *prevede l'opportunità di includere i PRO* nel processo di valutazione di un medicinale o dispositivo medico, tenendo in considerazione non solo i domini clinici, ma anche quelli etici, sociali ed economici, che hanno un impatto nel misurare la qualità di vita di chi convive con la patologia.




Un altro aspetto da sottolineare è anche la **gestibilità del trattamento per i malati ed i caregiver**, in quanto sulla qualità della vita influiscono non solo la tollerabilità della terapia, ma anche la modalità ed i tempi di somministrazione della terapia, nonché la formulazione, poiché possono determinare un impatto significativo non solo sul tempo impiegato per l'impegno assistenziale (accesso in ospedale, degenza, coinvolgimento del personale sanitario) ma anche sull'aspetto sociale (perdita di produttività a livello lavorativo, costi connessi agli spostamenti, impegno del caregiver, ecc.). Il valore di un farmaco dovrebbe inoltre essere valutato anche in base all'**impatto che produce nei modelli organizzativi del Sistema Sanitario Nazionale** in termini di organizzazione, efficienza e costi.

Infine, sarebbe necessario prevedere un percorso di **accesso precoce ai farmaci**  con una procedura di valutazione accelerata dei farmaci che consenta al malato che convive con una  di accedere tempestivamente a terapie che possono influire significativamente sul decorso della malattia.

L'attribuzione del requisito di innovatività per il farmaco non è soltanto un riconoscimento finanziario per le aziende o per le regioni ma rappresenta anche l'unico meccanismo introdotto a favore dei malati con modalità che ne migliorano l'accessibilità sia in termini temporali che, almeno in linea teorica, in termini geografici. In questo contesto la partecipazione delle associazioni del terzo settore, in particolare quelle di pazienti, deve essere garantita in modo inclusivo. Seppure sia encomiabile la volontà del legislatore di introdurre il criterio di partecipazione, e sia positivo il ricorso di AIFA alla modalità di "consultazione pubblica", va sottolineato che le modalità di partecipazione utilizzate in questa consultazione pubblica, per quanto riguarda le associazioni dei pazienti, non sono idonee ad una reale e costruttiva raccolta di commenti, particolarmente per l'esiguo tempo concesso. Nello specifico, si ritiene fondamentale che il punto di vista delle associazioni dei pazienti venga raccolto nel modo più efficace possibile favorendo una partecipazione autentica tra le parti. Si auspica per future consultazioni di avere a disposizione il tempo adeguato a esprimere le proprie considerazioni, nonché vagliare altre modalità di interazione che facilitino una discussione più approfondita. Si ritiene, infatti, che adottare un sistema di partecipazione più inclusivo possa portare benefici a tutte le parti coinvolte.

In conclusione, si richiede all'Agenzia Italiana del Farmaco di:

- includere i Patient-Reported Outcome (PRO) ed i Patient-Reported Experience (PRE) in modo sistematico nel processo di valutazione del farmaco;
- considerare la gestibilità del trattamento per i malati ed i caregiver, nonché l'impatto organizzativo prodotto dalla terapia all'interno del SSN;
- consentire un accesso precoce a 
- valutare modalità e tempistiche della consultazione pubblica