




CONSULTAZIONE PUBBLICA AIFA SU ATTRIBUZIONE CRITERI DI INNOVATIVITÀ TERAPEUTICA


Con il presente documento  


 intende offrire il proprio contributo alla consultazione pubblica relativa all'attribuzione dei criteri di innovatività dei medicinali.

 prende atto di quanto contenuto nel documento dell'Agenzia "*Criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti*", sulla base di quanto previsto dalla Legge di Bilancio 2025, nella specie con riferimento alla determinazione dell'innovatività terapeutica quale caratteristica: necessariamente vincolata ad una maggiore efficacia e sicurezza della terapia, rispetto alle alternative già in commercio; riferibile solo a farmaci per il trattamento di malattie gravi e con un medio-basso impatto epidemiologico; e, comunque, non riconoscibile a farmaci scaduti di brevetto. Sulla base di ciò, si sancisce l'impossibilità dei farmaci scaduti di brevetto ad accedere al Fondo per i Farmaci Innovativi.

Nonostante ciò, si auspica che l'Agenzia inviti il Ministero della Salute a rivedere quanto prima il DM 02 agosto 2019 (DM Criteri Negoziali), al fine di prevedere un riconoscimento anche per quelle forme di valore aggiunto – non strettamente terapeutico – che si possono realizzare attraverso la c.d. innovazione incrementale, ossia l'innovazione applicata a farmaci basati su molecole note scadute di brevetto che potrebbe produrre vantaggi per il paziente, per i caregiver e per il SSN (si parla, in questi casi, di Value Added Medicines, o medicinali a valore aggiunto). Sino ad ora, infatti, il valore aggiunto che non fosse riconducibile alla definizione di "valore aggiunto terapeutico" non ha trovato alcuna forma di riconoscimento, con la conseguenza che il medicinale che anche apportasse un vantaggio al paziente, al caregiver o al SSN viene considerato come tutti gli altri farmaci fuori brevetto. Questa situazione, però, finisce col disincentivare qualsiasi forma di investimento nell'innovazione incrementale e nel miglioramento di terapie consolidate che riguardano moltissimi pazienti. Sarà essenziale creare delle condizioni – a livello regolatorio e soprattutto legate alla determinazione del livello di prezzo e rimborso – che siano favorevoli allo sviluppo di nuovi medicinali a valore aggiunto e che incentivino l'innovazione incrementale.

Si raccomanda, quindi, una revisione del DM Criteri negoziati al fine di:

- **Riconoscere il "valore aggiunto" (non terapeutico).** Significa, innanzitutto, riconoscere che una soluzione terapeutica può portare un tipo di beneficio ulteriore rispetto a quello considerato sino ad oggi (appunto, quello terapeutico), in particolare un beneficio riconducibile a: rispondere a un *unmet medical need*; determinare un guadagno in salute del
- 



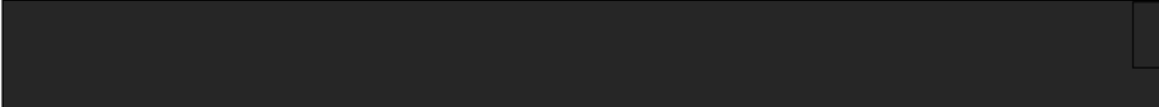
paziente; prendere in considerazione gli esiti riportati dai pazienti; determinare una riduzione degli oneri per famiglia e caregiver; produrre una riduzione dell'onere per il SSN.

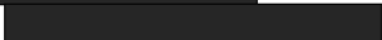
- **Utilizzare anche evidenze di natura alternativa per la determinazione del valore aggiunto.** Una definizione di “valore aggiunto” più estesa richiede necessariamente la considerazione di fattori nuovi. Garantire prove sostenibili per l'accesso al mercato e un adeguato riconoscimento dei vantaggi dei medicinali a valore aggiunto, anche attraverso schemi di valutazione dedicati, consentirebbe di sfruttare appieno i potenziali benefici di questi medicinali, in grado di offrire soluzioni che rispondono a esigenze dei pazienti, degli operatori e dei sistemi sanitari. In questo senso, l'utilizzo di dati *Real World* rappresenta un essenziale strumento per la raccolta di evidenze alla base del riconoscimento di queste nuove tipologie di valore aggiunto che, difficilmente, possono essere valutate *ex ante* nel corso del processo di sviluppo di un medicinale.
- **Prevedere condizioni negoziali più favorevoli** per quelle soluzioni terapeutiche che portano – o potrebbero portare – un valore aggiunto, nel senso precedentemente descritto. In virtù del beneficio che questi medicinali producono, e per incentivare le aziende ad investire nell'innovazione incrementale, ai farmaci a valore aggiunto potrebbe essere riconosciuto un *premium price* rispetto agli altri medicinali basati sul medesimo principio attivo ma che non offrono lo stesso valore aggiunto. Data la natura peculiare dei medicinali a valore aggiunto, tuttavia, si immaginano anche delle declinazioni *ad hoc* della premialità in oggetto. Da un lato, nella valutazione del *premium price* potrebbe essere ipotizzabile assegnare un prezzo superiore in fase negoziale richiedendo studi ed evidenze *Real World* al fine di verificare l'effettiva sussistenza del valore aggiunto inizialmente dichiarato entro un termine breve ma congruo e, solo una volta raccolti questi dati, confermare il prezzo inizialmente negoziato oppure tornare alla fase di negoziazione assegnando condizioni pari agli altri medicinali basati sul medesimo principio attivo. Nel nostro ordinamento già esiste un istituto giuridico che potrebbe essere adattato a questa esigenza, ossia i *Managed Entry Agreement (MEA)*¹. Dall'altro lato, la premialità per il valore aggiunto potrebbe anche non declinarsi necessariamente come una diversificazione del prezzo, bensì si potrebbero considerare anche altri *drivers*, quali, ad esempio la non sostituibilità del medicinale in farmacia ovvero la infungibilità nelle procedure di acquisto pubbliche.

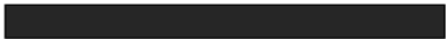


Gli esiti riportati dai pazienti

Menzione particolare meritano gli esiti riportati dai pazienti nell'utilizzo di un farmaco che possono e devono diventare uno dei fattori chiave nella valutazione, negoziazione di prezzi e rimborsi e accesso a livello regionale dei medicinali. Il tutto senza scardinare i meccanismi vigenti, bensì declinandoli per incorporare tali esiti e gestendo gli effetti che l'esperienza dei pazienti può avere sull'aderenza attraverso accordi di rimborso gestito (Managed Entry Agreement – MEA).



esiti ed esperienze riportati dai pazienti nell'accesso e nell'uso dei farmaci 



sono proprio uno dei domini di valore che dovrebbero essere integrati come indicatori nella valutazione tecnica e nella negoziazione di prezzi e rimborsi. Nonostante vi sia una crescente attenzione verso questi esiti – così come comprovato anche dall'ultima Legge di Bilancio che prevede l'inserimento di un rappresentante delle associazioni in “tavoli di lavoro, osservatori e gruppi di lavoro” – si registrano evidenze ancora limitate sul loro impatto nelle valutazioni e politiche di accesso.

Quindi, pur riconoscendo la corretta attenzione sui farmaci a valore “terapeutico” aggiunto – valutazione che peraltro include strutturalmente la qualità di vita correlata allo stato di salute – non si può non valorizzare l'esperienza dei pazienti, purché supportata da dati robusti, attraverso una generale considerazione delle evidenze che emergono e che, assieme all'impatto organizzativo, fanno parte del Dossier di Prezzo e Rimborso. Inoltre, se si assume che una più facile gestione di una terapia possa aumentare aderenza e persistenza e, quindi, l'efficacia del farmaco, si dovrebbe ammettere una richiesta di un premio di prezzo contenuto (o altre modalità incentivanti), con successiva conferma a massimo tre anni sulla base di dati real-world. In alcuni casi, proprio grazie alle soluzioni che generano il cosiddetto “valore aggiunto”, si riesce ad ottenere un valore terapeutico maggiore. Accade di frequente, infatti, che le condizioni di utilizzo di un farmaco in *real life* siano ben distanti da quelle verificate all'interno dello studio registrativo, decisamente più “controllate”. Queste soluzioni, molto spesso, aumentando la compliance alla terapia, aumentano indirettamente l'efficacia dei farmaci.