



## **Criteri di attribuzione dell'innovatività terapeutica - Contributo [REDACTED] alla consultazione pubblica**

La creazione di un Fondo Farmaci Innovativi ha rappresentato una decisione fondamentale che riconosce la volontà di incentivare gli investimenti e accelerare l'accesso all'innovazione in Italia. Con questa premessa [REDACTED] considera positivamente l'attuale processo di aggiornamento dei criteri e coglie lo spunto della consultazione pubblica per esprimere la propria posizione in merito.

### **Parte introduttiva del documento**

Il fondo è stato istituito con l'obiettivo di garantire un finanziamento e un accesso immediato a terapie che, in assenza, avrebbero rischiato di non essere accessibili in modo uniforme su tutto il territorio nazionale.

Con questa premessa è importante non limitare la valutazione di innovatività per alcune patologie rispetto ad altre ritenute più rilevanti; anche nei casi di patologie ad alta prevalenza, infatti, è possibile identificare sottopopolazioni con bisogno terapeutico elevato che necessitano di terapie efficaci.

### **Bisogno terapeutico**

L'efficacia della ricerca porta a modifiche di scenario, in termini di terapie innovative disponibili, in modo continuativo; per questo motivo una terapia di nuova approvazione non dovrebbe essere svantaggiata nella valutazione del bisogno terapeutico qualora altre terapie di simile efficacia (ancorché meccanismo di azione differente) siano rese disponibili nel periodo precedente, o durante, la procedura di valutazione di innovatività.

La definizione del livello "importante" come criterio minimo appare troppo limitativo considerando che ad oggi l'innovatività terapeutica è stata spesso riconosciuta anche con livello di bisogno terapeutico moderato (79 su 131 innovativi riconosciuti con bisogno terapeutico moderato nel periodo 2018-2023).

### **Vantaggio terapeutico aggiunto**

A parere della Scrivente, il vantaggio terapeutico non dovrebbe essere "influenzato fortemente dal giudizio relativo alla qualità delle prove prodotte a supporto delle evidenze cliniche"; infatti, il criterio

di qualità delle prove è un criterio a sé stante e come tale andrebbe considerato per evitare di avere un approccio di valutazione non congruo in particolare sulle terapie a minore prevalenza/incidenza.

Similmente, il livello “non valutabile” non si ritiene necessario, in quanto già ricompreso nel livello “molto bassa” relativo al terzo criterio di qualità delle prove.

La Scrivente considera positivamente l'inclusione, tra le dimensioni che portano a un valore terapeutico importante, dell'impatto sui pazienti in termini di qualità della vita, funzionalità e riduzione di terapie cliniche ad alto rischio; è auspicabile, coerentemente con quanto espresso in legge di bilancio e nella premessa del documento sui criteri di innovatività, un'ulteriore specifica sulla tecnologia di produzione del principio attivo, del suo meccanismo d'azione, della modalità della sua somministrazione e sull'impatto organizzativo o sul percorso del paziente che le nuove terapie possono portare. Questo è importante al fine di riconoscere l'impegno nella ricerca di nuovi target, sviluppo tecnologico, meccanismi di produzione o evoluzione nelle modalità di somministrazione.

### **Considerazioni sulla procedura di richiesta**

Si ritiene utile esplicitare l'opportunità [redacted] di poter richiedere l'innovatività per una sottopopolazione dell'indicazione terapeutica autorizzata da EMA, ritenuta meritevole di accesso al fondo in quanto maggiormente rispondente ai criteri identificati dalla CSE.

Andrebbero meglio specificati i tempi previsti per la valutazione dell'innovatività da parte della CSE: es. entro 90 giorni dall'invio dell'istanza in AIFA attraverso l'apposito modulo predisposto da AIFA.

Si ritiene utile specificare [redacted] ha facoltà di controdedurre un eventuale parere negativo espresso dalla CSE ai fini del riconoscimento dell'innovatività.

Si ritiene necessario definire una modalità attraverso cui viene riconosciuta l'innovatività a farmaci somministrati in combinazione. Ad oggi l'innovatività viene concessa al solo farmaco che si aggiunge ad uno standard of care. A nostro giudizio, tale riconoscimento dovrebbe essere esteso implicitamente anche al farmaco (o farmaci) citati nella nuova indicazione autorizzata e limitatamente a tale utilizzo.

[redacted] ribadisce l'importanza del Fondo Innovativi e ne auspica un pieno utilizzo per consentire un accesso tempestivo alle cure il più ampio possibile, accoglie positivamente il documento relativo all'aggiornamento dei criteri di innovatività terapeutica di AIFA e si augura in una valutazione positiva di quanto espresso.