



# XVII Congresso Nazionale CIPOMO

L'ONCOLOGIA NELL'ERA  
DELLA MEDICINA MOLECOLARE:  
ASPETTI SCIENTIFICI E MANAGERIALI

ROMA 20-22 giugno 2013

NH Hotel Vittorio Veneto

Presidente del Congresso: Giampietro Gasparini

## Medicinali oncologici innovativi: appropriatezza, accessibilità e sostenibilità

Luca Pani  
[dg@aifa.gov.it](mailto:dg@aifa.gov.it)



# Dichiarazione di trasparenza/interessi\*

Interessi nell' industria farmaceutica	NO	Attualmente	Precedenti 2 anni	Da oltre 2 a 5 anni precedenti	Oltre 5 anni precedenti (facoltativo)
Interessi diretti:					
Impiego in una società	x				
Consulenza per una società	x				
Consulente strategico per una società	x				
Interessi finanziari	x				
Titolarità di un brevetto	x				
Interessi indiretti:					
Sperimentatore principale	x				
Sperimentatore	x				
Sovvenzioni o altri fondi finanziari	x				
Corsi ECM				x	

\* Luca Pani, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 26.01.2012 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 20.03.2012 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**

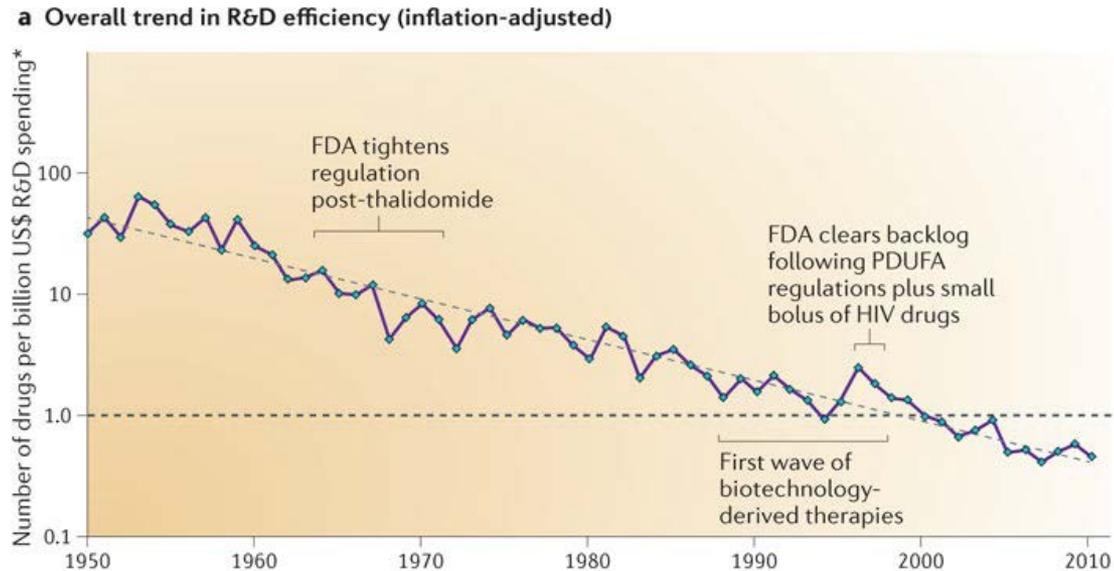
# Recenti dati epidemiologici

- L'incidenza (nuovi casi) dei tumori varia molto tra gli Stati europei con un'incidenza media annuale in Europa di 264 casi per 100000 cittadini. Questo significa che ogni anno a **2,4 milioni** di cittadini europei viene diagnosticato un tumore (1 milione solo nella fascia di età 50-70 anni).
- Molti studi epidemiologici hanno individuato una maggiore incidenza di molti tumori nelle **classi socio-economiche più basse**, anche se per alcuni tumori (ad esempio il tumore al seno) l'incidenza è maggiore nelle classi più alte.
- La probabilità di sopravvivenza nei primi 5 anni dopo una diagnosi di tumore è leggermente più alta nelle **classi socio-economiche più alte**.
- La popolazione proveniente dai Paesi non occidentali ha un **rischio più basso** di avere una diagnosi di tumore collegato allo stile di vita occidentale (colonrettale, seno, prostata).

# La popolazione invecchia...i tumori aumentano!

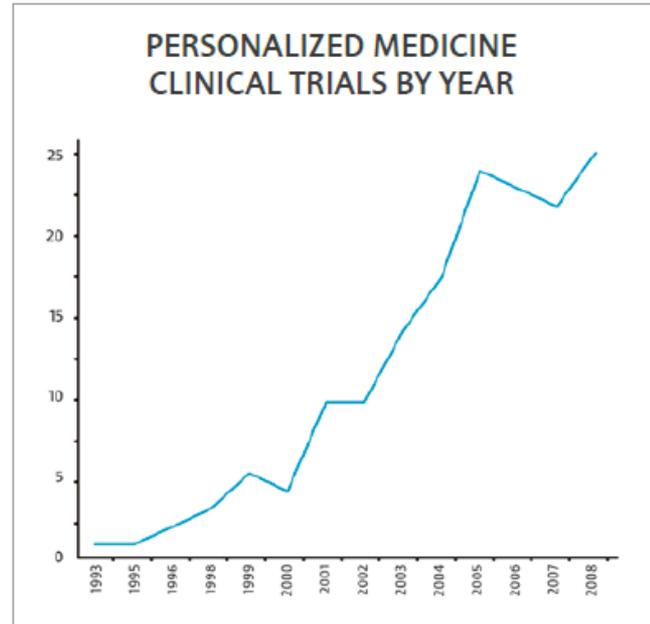
- L'incidenza dei tumori aumenta con l'età.
- Poichè la popolazione europea sta invecchiando ci si può aspettare che il numero assoluto di nuovi casi di tumore aumenterà parallelamente.
- In media, a partire dal 1990, la mortalità sta diminuendo per il gruppo di età 45-74, per entrambi i sessi.

# Il settore del farmaco è cambiato!



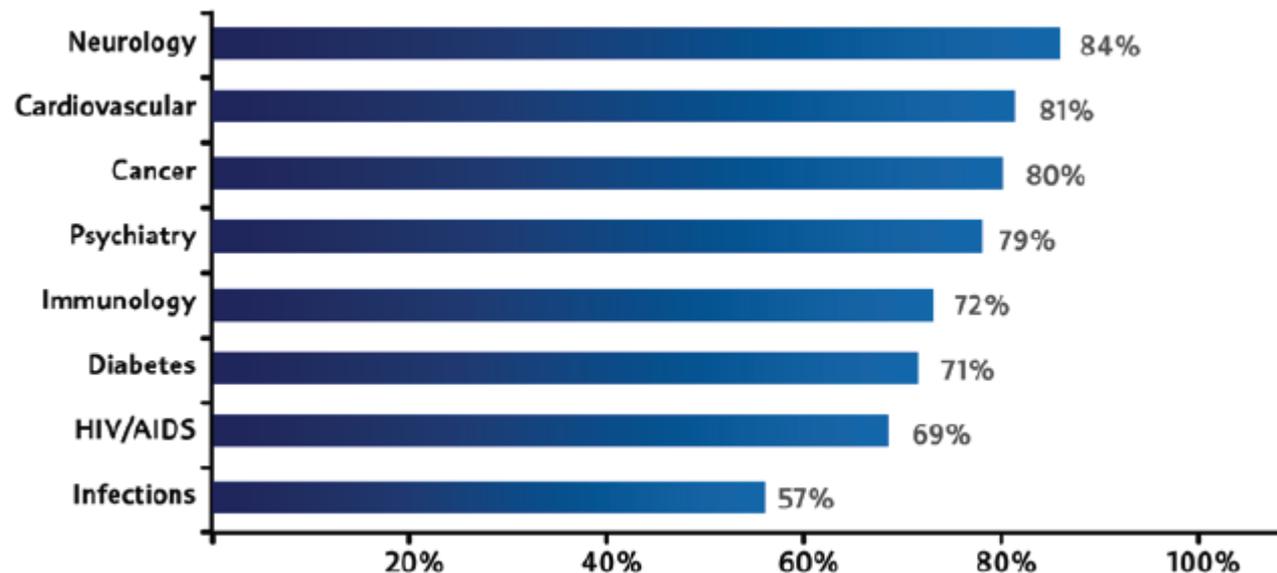
La Ricerca e lo Sviluppo di un nuovo farmaco è diventato ormai un processo lungo, costoso ed economicamente rischioso. Questo potrebbe ampliare il divario tra le aspettative dei pazienti e i bisogni di cura da una parte e la disponibilità di terapie innovative dall'altro.

# Aumentano i medicinali “personalizzati”



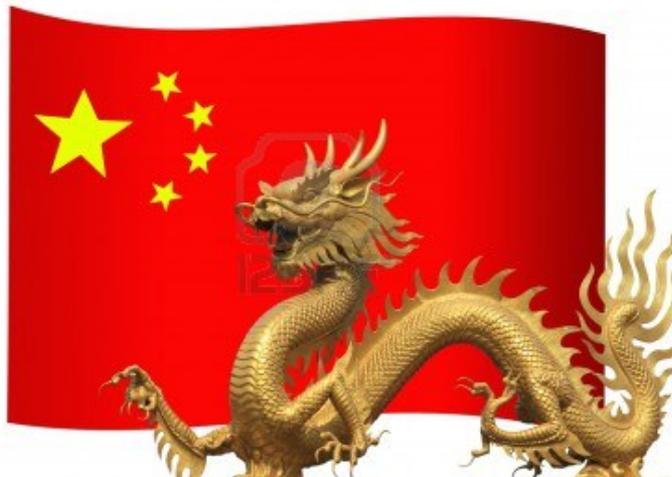
La medicina personalizzata sta diventando una parte integrante del processo di Ricerca e Sviluppo dei farmaci permettendo di prevenire, diagnosticare e trattare in modo più efficace le malattie e di contenere i costi riducendo i trattamenti non efficaci e gli effetti indesiderati.

# Medicinali oncologici “First-in-class”



L'alto numero di medicinali in sviluppo cosiddetti “First-in-class” nel settore oncologico riflette il rapido aumento delle conoscenze delle basi molecolari delle malattie.

# Un esempio: il boom della Cina!



Il 25% delle aziende cinesi sono indirizzate verso la produzione di medicinali oncologici e lo studio di differenti tipologie di cancro. Questo fa dell'area oncologica la principale area terapeutica in Cina.

# I medicinali oncologici nel contesto italiano

Risorse limitate

Invecchiamento della  
popolazione

Crescente domanda  
assistenziale



Diritto alla salute

Unitarietà del sistema  
farmaceutico

Accesso e  
appropriatezza delle  
cure

Sicurezza



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**

# Cosa emerge dal Rapporto OsMed?



Secondo il Rapporto OsMed gennaio-dicembre 2012 su "L'Uso dei farmaci in Italia", i medicinali antineoplastici ed immunomodulatori rappresentano la seconda categoria terapeutica a maggior spesa pubblica, pari a **2,2 miliardi di euro** (37 euro pro capite). Tale spesa è dovuta soprattutto alla spesa da parte delle strutture sanitarie pubbliche (33,8 euro pro capite), con una crescita rispetto al 2011 sia della spesa (+2,1%) che dei consumi (+5,4%).

# AIFA per un Fondo Farmaceutico Nazionale

Sede | Contatti | Posta Elettronica Certificata | Elenco siti tematici | Mappa | Webmail AIFA |  English corner

 **AIFA**  
*Agenzia Italiana del Farmaco*

Aifa è Modulistica | Vertici istituzionali Open Data | Commissioni | Normativa | Comunicazione | In Agenda | Attualità | Servizi online | Pillole dal Mondo

## Un Fondo Farmaceutico Nazionale, la via di AIFA per un'assistenza omogenea e tempestiva



12/06/2013

E' la proposta annunciata dal Direttore Generale, Luca Pani, in un'intervista rilasciata all'Agenzia Giornalistica Repubblica, in cui è stato affrontato il tema particolarmente a cuore all'AIFA della garanzia di accesso immediato alle cure innovative ed efficaci nel rispetto dell'equilibrio economico del sistema e del superamento delle differenze regionali nella disponibilità dei farmaci.

# Gestire l'incertezza per i medicinali oncologici

Esiste la necessità di conciliare l'incertezza dei costi e degli outcomes dei trattamenti con l'esigenza di accesso dei pazienti alle cure

Garantire un rapido accesso alle tecnologie sanitarie potenzialmente efficaci per i pazienti



Garantire il miglior rapporto beneficio/costo al fine di circoscrivere l'incertezza e garantire l'accesso alle cure

# Il dilemma delle Autorità regolatorie...

Evitare di escludere  
dalla rimborsabilità  
medicinali che  
potrebbero essere  
utili ai pazienti



Evitare l'utilizzo  
non necessario di  
risorse del SSN  
ottimizzando  
l'allocazione delle  
stesse e  
sostenendo il  
sistema



## ...e la sfida delle Autorità regolatorie

- Gli Stati europei devono far fronte a:
  - Risorse limitate
  - Aumento dei costi sanitari
  - Terapie ad alto costo
- Come possiamo affrontare l'incertezza al momento di decidere il prezzo e il rimborso di un nuovo medicinale?
- Qual è il cut-off da considerare tra l' utilità terapeutica di un nuovo farmaco e il suo maggiore costo?
- Come possiamo prendere decisioni difficili in assenza di informazioni ideali?



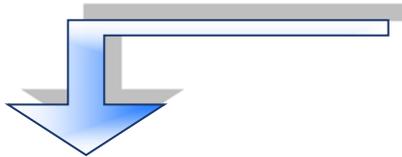
# Cosa sta facendo AIFA?



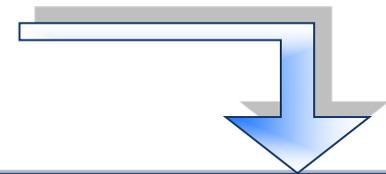
Occorre potenziare gli strumenti per la “*governance*” per individuare aree di inappropriatazza sulle quali agire e orientare politiche coerenti con i bisogni di salute

# HTA...la possibile soluzione!

The challenge for a **pharmaceutical system** is to balance the **availability** and the **access**



Protecting and promoting public health by licensing **safe** and **effective** medicines

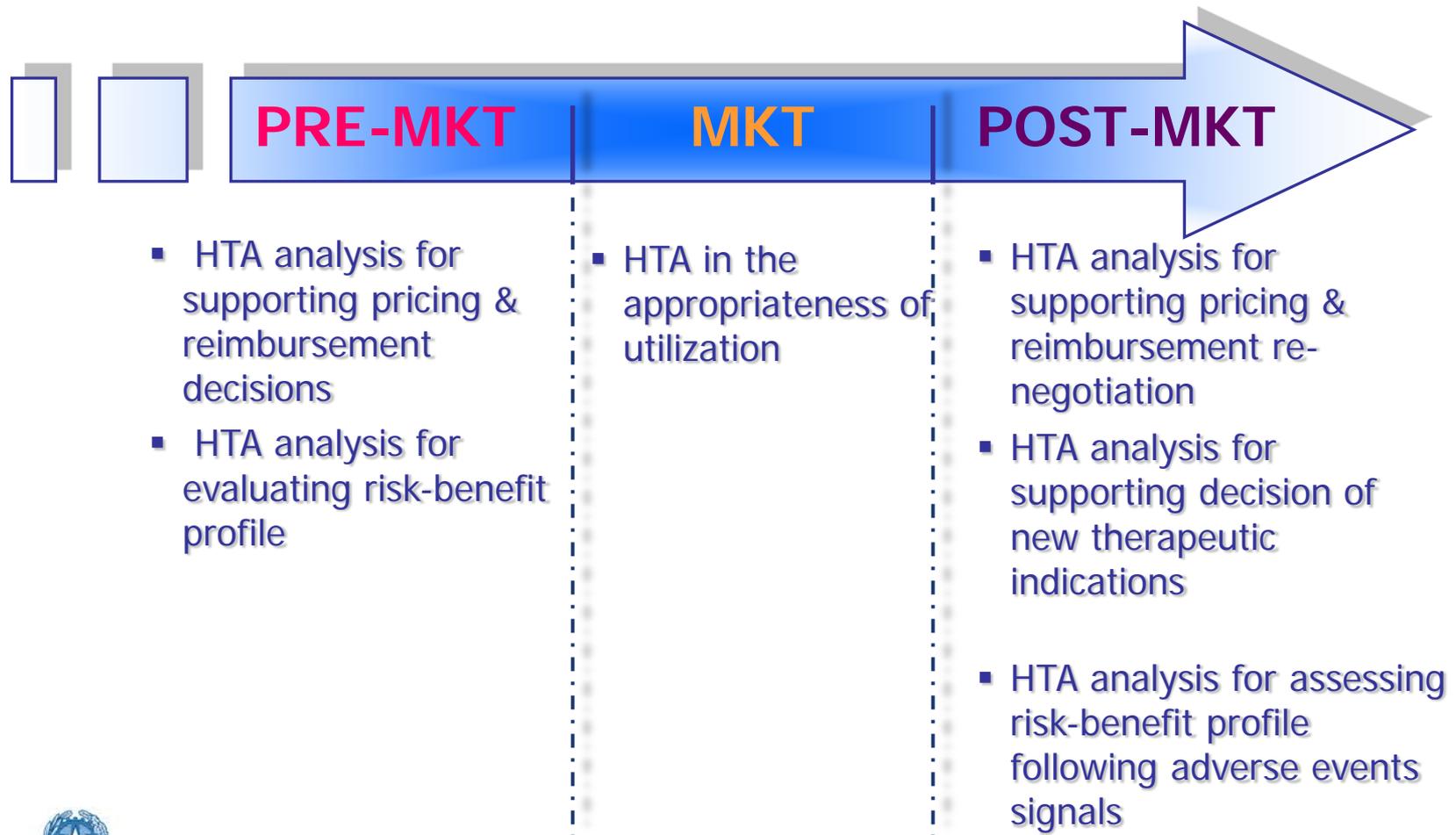


Governance of public **pharmaceutical expenditure** in order to guarantee a sustainable and **equal access** to medicines

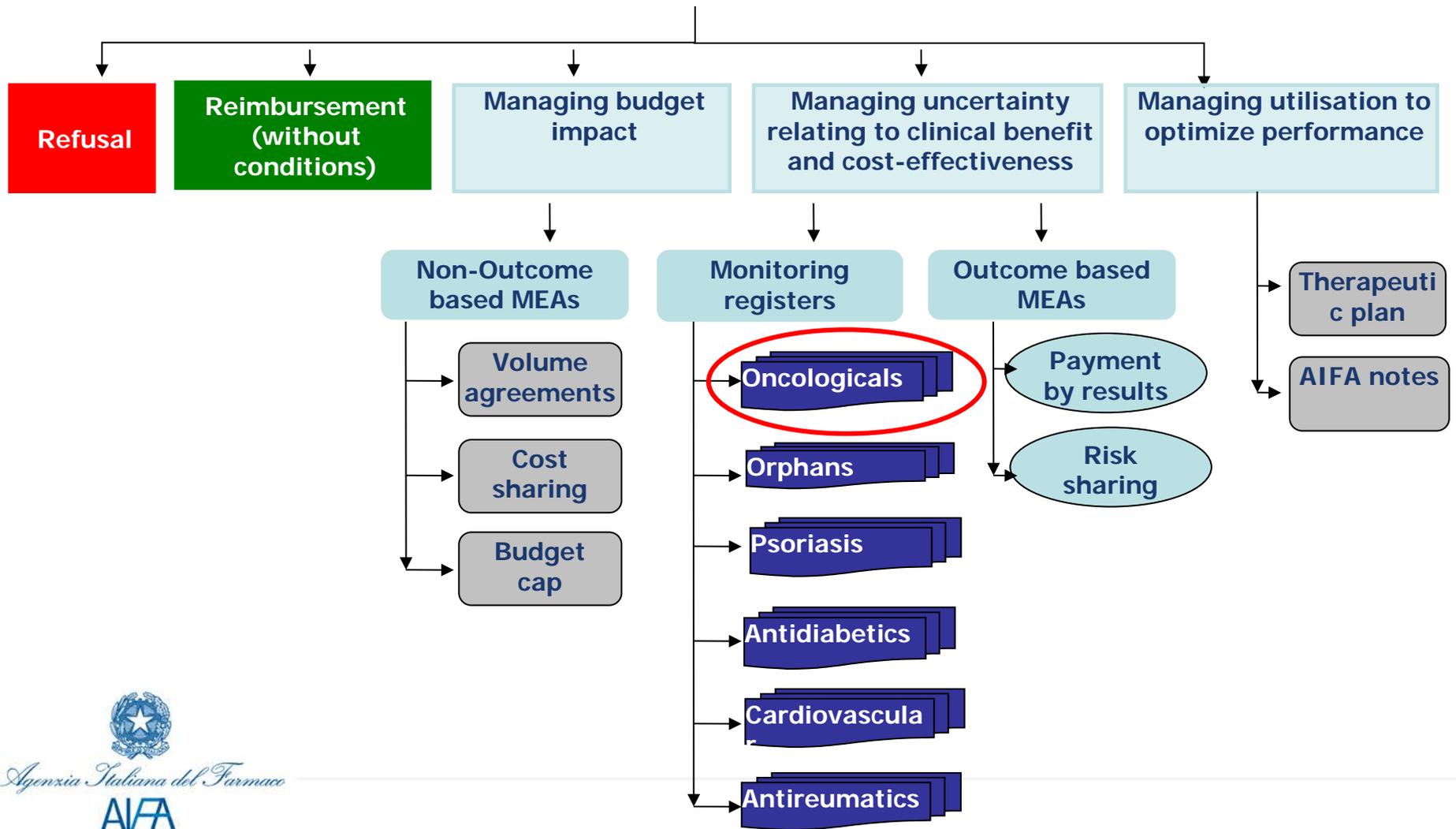
## HTA

**a useful approach that helps policy makers in taking decisions**

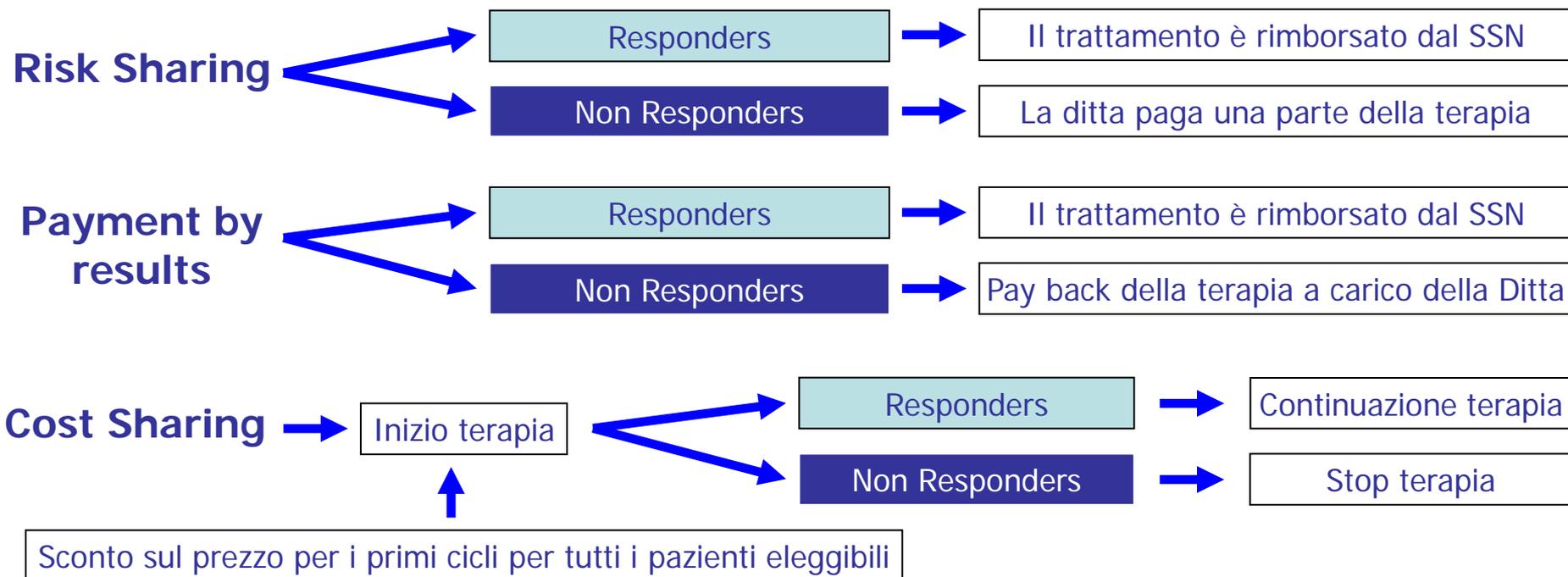
# AIFA all' avanguardia nell'HTA!



# Managed Entry Agreement (MEA)



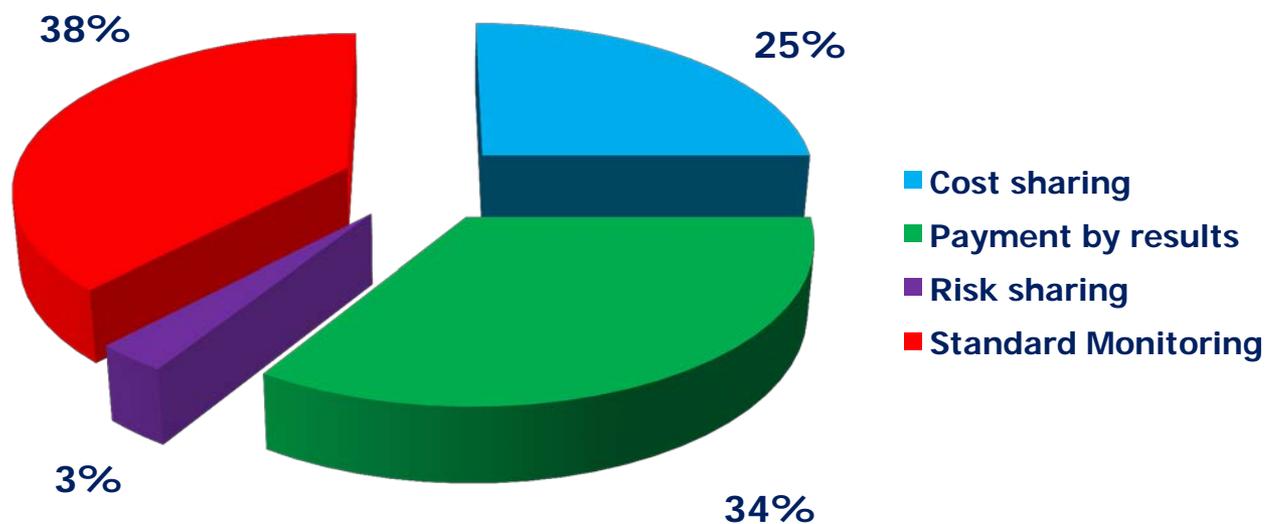
# Schemi di rimborso condizionato



# Schemi di rimborso condizionato

- Il valore aggiunto degli schemi di rimborso condizionato connessi all'implementazione dei Registri di monitoraggio AIFA consentono di:
- Evitare l'esclusione dal rimborso di farmaci potenzialmente utili per i pazienti eleggibili.
- Accelerare l'accesso al farmaco dopo l'approvazione.
- Raccogliere dati sulla reale pratica clinica.
- Contenere la spesa a carico del Servizio Sanitario Nazionale ottimizzando l'allocazione delle risorse e la sostenibilità del sistema.

**36** medicinali oncologici sottoposti a monitoraggio.  
**29** di questi negoziati con un rimborso condizionato  
(per un totale di **71** indicazioni terapeutiche sottoposte a Standard  
Monitoring di cui **44** soggette a uno schema di rimborso condizionato)

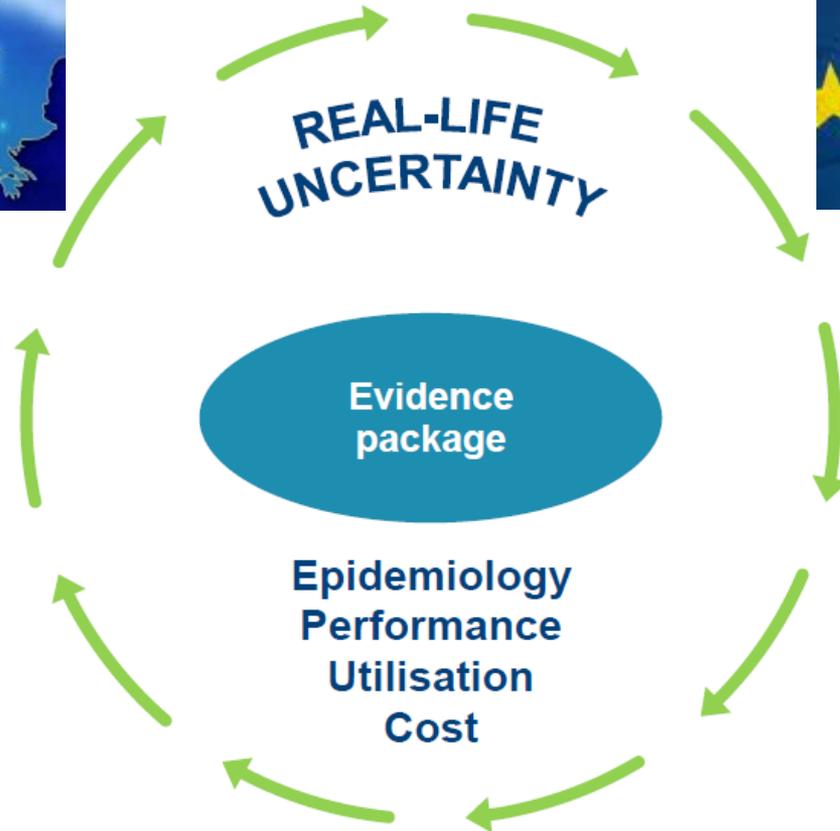


# Le diverse realtà europee

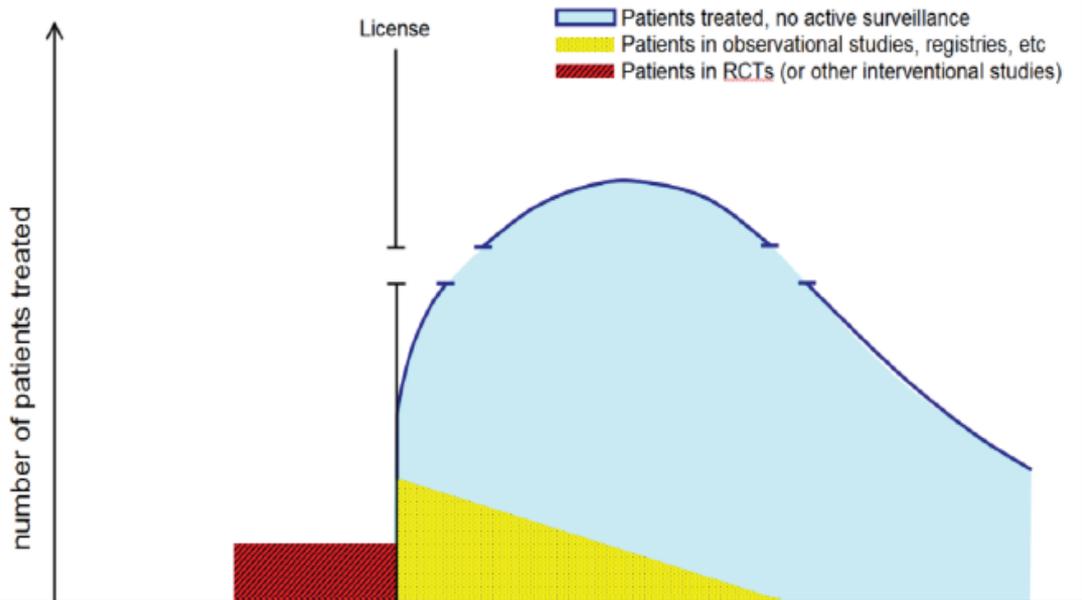


**DIFFERENCES IN:**

- Healthcare systems
- HTA processes
- National P&R bodies
- Societal preferences
- Willingness to pay

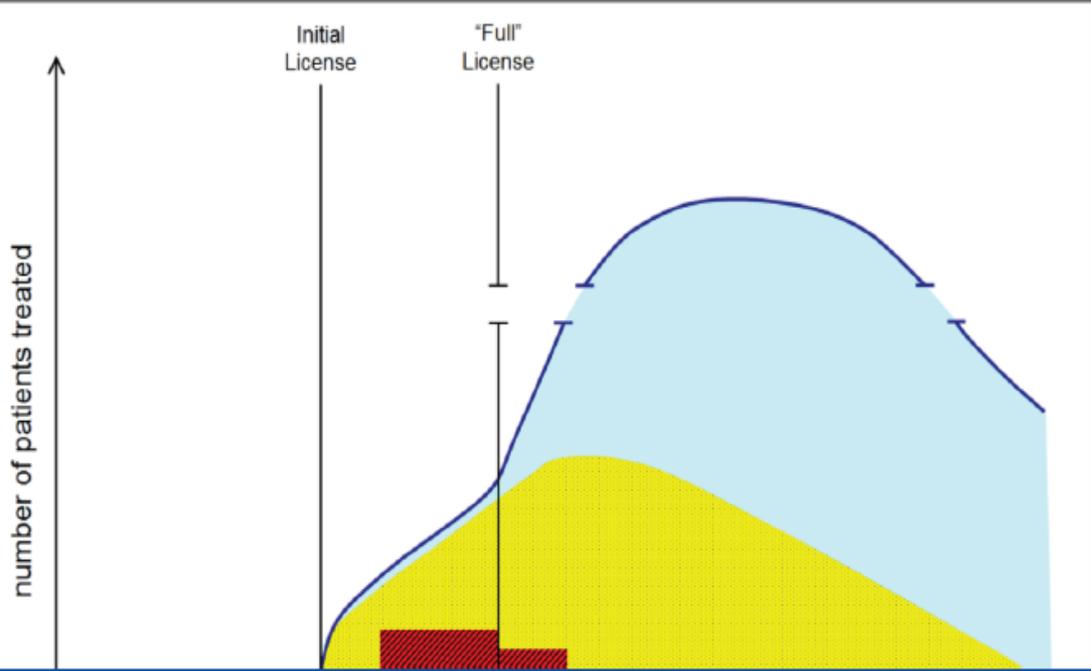


**DIFFERENCES IN COVERAGE**



### Scenario attuale:

Dopo l'autorizzazione la popolazione trattata aumenta rapidamente; l'esperienza del trattamento non contribuisce alla generazione di evidenze.



### Adaptive Licensing:

Dopo l'autorizzazione iniziale, il numero dei pazienti trattati cresce più lentamente a causa delle restrizioni; l'esperienza del paziente è raccolta per contribuire alle informazioni nella reale pratica clinica.

AIFA ha sviluppato alcuni strumenti utili a:



Supportare le attività regolatorie, cliniche e amministrative affinché queste siano efficaci ed efficienti



Aumentare le conoscenze scientifiche sulla reale pratica clinica allo scopo di ottenere informazioni utili al Regulatory Decision-Making Process

**L'Italia e' riconosciuta Leader Mondiale in questo ambito!**



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**

# Registri AIFA come strumenti di ricerca

## Registri per valorizzare l'innovazione?

- L'innovazione deve rappresentare un vantaggio terapeutico.
- L'innovazione deve essere "misurabile": qualità delle sperimentazioni cliniche; robustezza degli endpoint; scelta del trattamento di confronto (comparator); valutazione della dimensione dell'effetto terapeutico.
- L'innovazione deve essere valutata rispetto al contesto assistenziale Italiano.
- L'innovazione deve essere valutata attraverso studi farmaco-economici e di HTA al fine di determinare il rapporto di costo-efficacia incrementale rispetto allo standard di riferimento.

# Reale pratica clinica

- I Registri AIFA di monitoraggio sono un esempio concreto dell'importanza della valutazione della sicurezza e dell'efficacia dei

I Registri di monitoraggio NON sono:

- Studi clinici di Fase IV (studi post-marketing).
- Studi osservazionali (studi PASS).
- Meccanismi di restrizione della prescrizione dei medicinali.



# Valorizzazione dell'innovazione

## I nuovi domini di AIFA

- L' Agenzia ha sviluppato un nuovo percorso decisionale di valutazione del grado di innovatività di un farmaco **oggettivo, tracciabile e trasparente**.
- Il modello dell' algoritmo primario consta di **176 nodi e 66 connettori**.
- Il valore innovativo di un nuovo farmaco può essere valutato rispetto alla patologia, all' efficacia e alla sicurezza del farmaco e alle terapie attualmente disponibili.
- E' stata data molta importanza all' analisi farmaco economica di costo-efficacia.
- il progetto dell' Algoritmo e del Survey sono parte dei contributi Italiani **all'EU Innovation Network**.

# Esempio di un nodo iniziale

**Q** La procedura di valutazione si riferisce ad un nuovo medicinale.

Si prega di scegliere una delle tre opzioni sottostanti:

01 Medicinale orfano per il trattamento di una malattia rara

02 Nuova Entita' Chimica (NEC)

03 Estensione di indicazione terapeutica



# La valutazione anche HTA dei medicinali

Sede | Contatti | Posta Elettronica Certificata | Elenco siti tematici | Mappa | Webmail AIFA |  English corner  Ricerca

 **AIFA**  
*Agenzia Italiana del Farmaco*

Aifa è Modulistica | Vertici istituzionali Open Data | Commissioni | Normativa | Comunicazione | In Agenda | Attualità | Servizi online | Pillole dal Mondo

## Algoritmi per la valutazione dell'innovatività terapeutica

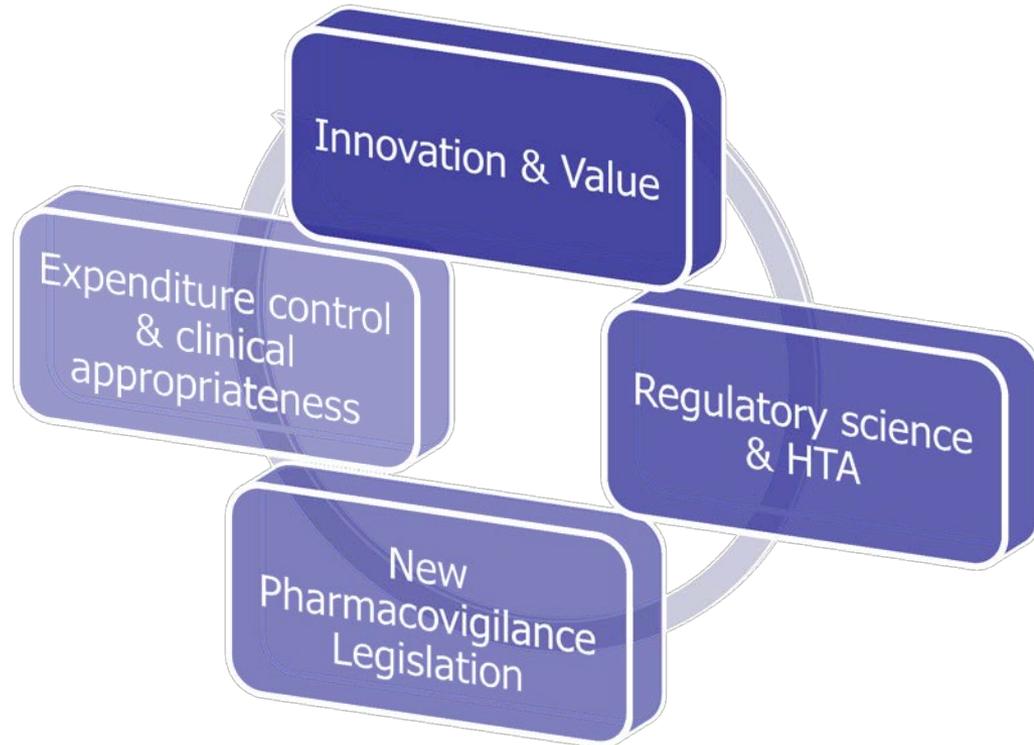


11/06/2013

L'Agenzia Italiana del Farmaco informa che in seguito alla consultazione pubblica sui nuovi Algoritmi per la valutazione dell'innovatività dei medicinali e sul relativo Survey, sono pervenute 96 richieste. A queste vanno sommati 52 accessi garantiti ai componenti della Commissione Tecnico Scientifica (CTS), del Comitato Prezzi e Rimborso (CPR) e del Consiglio di Amministrazione (CdA) dell'AIFA nonché al personale interno AIFA che ne ha fatto richiesta, per un totale complessivo di 148 utenti.

La quasi totalità delle richieste è stata accettata (143 su 148), mentre solo il 3% delle richieste sono state ritenute non conformi alle finalità del progetto. Si comunica che la fase di consultazione pubblica terminerà il 1 settembre 2013 e che nel corso dei circa 90 giorni messi a disposizione, tutti gli utenti accreditati potranno prendere visione di un modello di Algoritmo già predisposto dall'Agenzia e potranno collaborare, tramite il Survey, al disegno di nuovi Algoritmi per la valutazione anche HTA dei farmaci. Si precisa, infine, che il progetto dell'Algoritmo e del Survey sono parte dei contributi Italiani all'EU *Innovation Network*.

# In definitiva...una visione sinergica!



AIFA intende continuare a mettere in atto, nell'ambito di una politica della trasparenza, iniziative per il confronto con gli *stakeholders* e la condivisione delle scelte.



# Collaborazione!!!

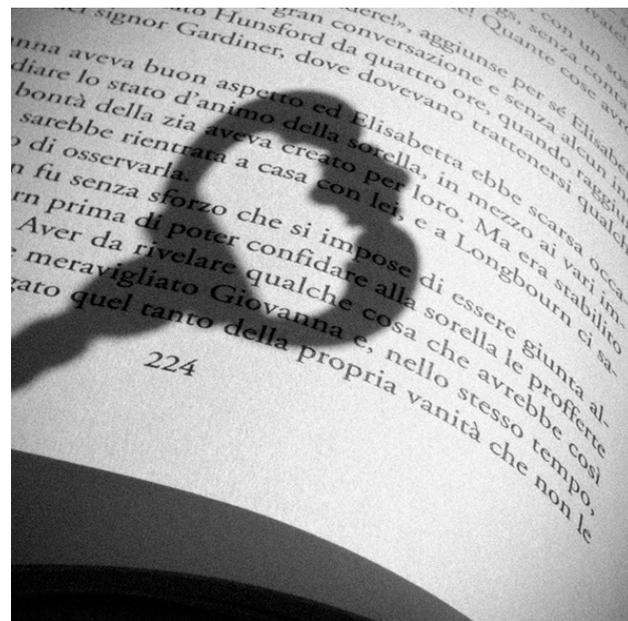
AIFA punta a una stretta collaborazione con pazienti, operatori sanitari, Agenzie regolatorie e industrie in quanto ognuno portatore di un patrimonio irrinunciabile di conoscenze che deve essere valorizzato.



L'unica "chiave di lettura"

Partecipare in modo proattivo  
ad un fine unico:

**Salvaguardare la salute dei  
pazienti !**



GRAZIE PER L'ATTENZIONE!

[DG@AIFA.GOV.IT](mailto:DG@AIFA.GOV.IT)



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**