

Accesso ai medicinali innovativi: le sfide dell'innovazione

Francesca Mastroianni

Milano, 15 Aprile 2016



Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

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				

* **Francesca Mastroianni**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

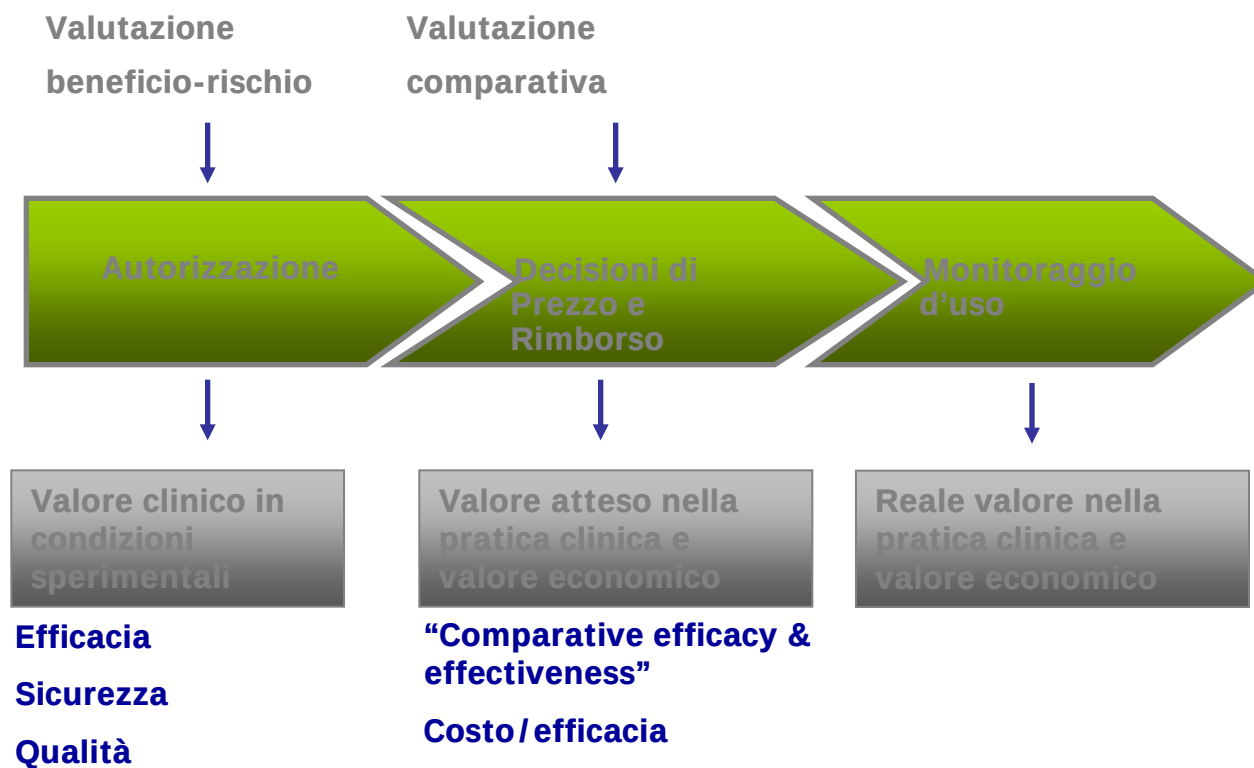
N.B. <Per questo intervento non ricevo alcun compenso>

Premessa

- Il farmaco è la tecnologia più regolamentata nel settore sanitario.
- I settori regolamentati sono:
 - Sperimentazione clinica
 - Autorizzazione all'immissione in commercio
 - Decisioni di prezzo
 - Decisione di rimborso
 - Farmacovigilanza post-marketing
 - Monitoraggio appropriatezza d'uso
 - Monitoraggio spesa



Regolazione dei farmaci



Obiettivi

- Innovazione e produzione di valore;
- *Adaptive pathways*;
- Semplificazione dei processi decisionali;
- Porre il paziente al centro del processo regolatorio;
- Disponibilità al confronto e all'ascolto con i cittadini, le associazioni dei malati e tutti i portatori di interessi;
- Ridefinizione della *governance* farmaceutica.



Innovazione e produzione di valore

- L'innovazione terapeutica rappresenta un obiettivo importante per la salute pubblica e può costituire uno strumento utilizzabile dall'AIFA per classificare, ai fini dell'assegnazione alla fascia di rimborsabilità e della contrattazione del prezzo, i farmaci che si apprestano ad entrare in commercio in Italia, valorizzando quelli che rappresentano una innovazione terapeutica.



Comunicato AIFA 25.05.2015

- Ai sensi dell'art. 1, comma 1, dell'Accordo Stato-Regioni sottoscritto in data 18 novembre 2010, l'Agenzia Italiana del Farmaco pubblica l'elenco aggiornato dei medicinali che, a giudizio della Commissione Tecnico Scientifica, possiedono il requisito della innovatività terapeutica «importante» ovvero innovatività terapeutica «potenziale».



Ruolo di AIFA

- L'AIFA ha elaborato un modello per graduare l'innovatività terapeutica di un nuovo farmaco e i criteri di valutazione, determinati tramite l'applicazione di uno specifico algoritmo che combina i punteggi relativi ai trattamenti già preesistenti e gli effetti terapeutici.

Limiti dell'algoritmo

- La valutazione del grado di innovazione di un nuovo farmaco si basa prevalentemente sui dati di efficacia e di sicurezza disponibili al momento della sua (prima) autorizzazione.
- La valutazione della sicurezza dovrebbe essere periodicamente aggiornata per alcuni anni dopo l'iniziale utilizzo del farmaco nella pratica clinica, così come i dati di efficacia, soprattutto se supportati da confronti diretti con altri farmaci della stessa categoria.



Fondo farmaci innovativi

- Per gli anni 2015 e 2016 nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito un fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi.
- Il fondo finalizzato al predetto rimborso è alimentato da:
 - a) un contributo statale alla diffusione dei predetti medicinali innovativi per 100 milioni di euro per l'anno 2015;
 - b) una quota delle risorse destinate alla realizzazione di specifici obiettivi del Piano sanitario nazionale, ai sensi dell'articolo 1, comma 34, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, pari a 400 milioni di euro per l'anno 2015 e 500 milioni di euro per l'anno 2016.



Accesso ai farmaci innovativi

- Per garantire un equo e omogeneo accesso dei pazienti a tutti i medicinali, con particolare riguardo ai medicinali innovativi o di eccezionale rilevanza terapeutica, l'AIFA predispone, a supporto del Ministero della salute e delle regioni, valutazioni di HTA volte a caratterizzare e individuare i percorsi farmaco-terapeutici in grado di garantire l'impiego efficiente e costo-efficace delle risorse disponibili;
- Tali valutazioni, anche integrate con i dati di utilizzo e di spesa dell'Osservatorio nazionale sull'impiego dei medicinali, nonché di quelli raccolti attraverso i registri di monitoraggio dell'AIFA, sono utilizzate nell'iter istruttorio delle procedure di rivalutazione di prezzo o di rimborsabilità dei medicinali.

Appropriatezza prescrittiva

- Gli strumenti utilizzati da AIFA allo scopo di garantire l'appropriatezza prescrittiva sono:
 - Le Note AIFA
 - Il Prontuario della distribuzione diretta (PHT)
 - I Registri di monitoraggio
 - Risk/cost sharing e Payment by Results
 - L'Health Technology Assessment (HTA)

Note AIFA

- Le Note sono uno strumento regolatorio che definisce alcuni ambiti di rimborsabilità dei farmaci senza interferire con la libertà di prescrizione del medico. Rappresentano, tuttavia, delle indicazioni che ogni medico deve obbligatoriamente rispettare per poter prescrivere alcuni farmaci a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN)
- Nel corso del tempo le Note hanno subito una evoluzione nei contenuti, nella forma e nelle finalità pur mantenendo sempre il principale obiettivo di riassumere e documentare un percorso di valutazione critica della Commissione Tecnico Scientifica (CTS) dell'AIFA

PHT

- Il Prontuario della Distribuzione diretta è uno strumento volto a garantire uno specifico monitoraggio dei consumi, la presa in carico e la continuità assistenziale H (Ospedale) – T (Territorio), ponendo il paziente al centro della strategia assistenziale, caratterizzata da criticità diagnostica e terapeutica, nonché dall'esigenza di un periodico follow up con la struttura specialistica, e da accessi programmati e periodici da parte del paziente.



I Registri di monitoraggio

- I Registri AIFA sono strumenti regolatori realizzati dall'Agenzia Italiana del Farmaco, a partire dal 2005, ai fini della verifica dell'appropriatezza prescrittiva e del controllo della spesa farmaceutica.
- Vengono realizzati al momento del primo rilascio di un'autorizzazione all'immissione in commercio di un farmaco (in genere, innovativo e costoso), per controllare la correttezza della prescrizione da parte delle strutture ospedaliere nonché della dispensazione da parte del farmacista, al fine di evitare ogni eccesso di prescrizione che comporterebbe una ricaduta economica non dovuta per il SSN.
- Nei Registri entrano anche quelle forme di monitoraggio di farmaci che entrano nella lista della legge 648/96.



Risk/cost sharing e Payment by Results

- Le forme di rimborso condizionato sono strumenti volti a garantire non solo l'accesso efficace ai farmaci innovativi ma anche il monitoraggio della spesa.
- Gli strumenti di rimborso condizionato si distinguono come segue:
 - nel *Cost-sharing* è previsto uno sconto sul prezzo dei primi cicli di terapia per tutti i pazienti eleggibili al trattamento secondo scheda tecnica
 - Nel *Risk-Sharing*, rispetto al *cost-sharing*, lo sconto si applica esclusivamente ai pazienti eleggibili, ma non responsivi alla prima rivalutazione
 - Nel *Payment by Result* si estende il principio del *risk-sharing* con una copertura totale del prezzo del farmaco utilizzato, in caso di fallimento terapeutico alla prima rivalutazione



Attività di HTA

- Valutazione dei nuovi farmaci ed attività di valutazione dell'efficacia clinica (*clinical efficacy*);
- Raccomandazioni sull'uso appropriato dei farmaci (Note AIFA) correlate alle attività di valutazione dell'efficacia clinica (*clinical effectiveness*);
- Partecipazione alle decisioni sul rimborso dei farmaci, correlate alle attività di valutazione del rapporto costo/efficacia e di *budget impact*;
- Generazione di dati epidemiologici originati da flussi OsMed, sull'utilizzo dei farmaci in ambito territoriale ed ospedaliero.



Legge n. 648/1996

- La Legge n. 648/1996 regola l'accesso dei farmaci in uso *off-label*, quando non vi è alternativa terapeutica valida, sentito il parere della CTS.
- L'inserimento nella lista prevede una delle seguenti condizioni:
 - medicinali innovativi in commercio in altri Stati ma non sul territorio nazionale;
 - medicinali ancora non autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica;
 - medicinali da impiegare per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata;
- I medicinali inseriti nella lista 648 sono a totale carico del S.S.N.
- Per tutti devono essere disponibili risultati di studi clinici di fase seconda.



D.L. 20 marzo 2014, n. 36

- Inserimento nell'elenco dei medicinali di cui alla legge n. 648/1996, con erogazione a carico del SSN, di medicinali utilizzabili per una indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata, anche in caso di alternativa terapeutica già autorizzata, purché tale indicazione sia nota e conforme a ricerche condotte nell'ambito della comunità medico-scientifica, nazionale e internazionale, secondo parametri di economicità e appropriatezza.
- In tali casi AIFA attiva idonei strumenti di monitoraggio a tutela della sicurezza dei pazienti.



USO COMPASSIONEVOL

- Medicinali non autorizzati soggetti a sperimentazione clinica;
- Assenza di una valida alternativa terapeutica;
- Malattie rare o di particolare gravità;
- Prescrizione per singolo paziente;
- Accesso gratuito;
- Programmi di uso compassionevole approvati dai Comitati Etici;
- Specifiche condizioni per l'autorizzazione.



D.L. n. 158/2012, L. n. 189/2012

- Classificazione dei medicinali in apposita sezione, denominata C (nn), entro 60 giorni dalla data di pubblicazione in G.U. dell'Unione Europea della Decisione della Commissione Europea.
- Incompatibilità con la prosecuzione dei programmi di uso compassionevole e la permanenza nell'elenco dei medicinali di cui alla L. n. 648/96.

D.L. n. 158/2012, L. n. 189/2012

- La classificazione in C(nn) chiude di fatto la possibilità di ulteriore applicazione del DM 8/5/2003 per l'accesso al medicinale a nuovi pazienti all'interno del programma.
- La prosecuzione di trattamento di tutti i pazienti precedentemente inseriti, con fornitura gratuita del medicinale e fino ad effettiva commercializzazione del medicinale in Italia, è comunque garantita ai sensi dell'art. 83, comma 8, del Regolamento Europeo n. 726/2004.



D.L. n. 158/2012, L. n. 189/2012

- Qualora il medicinale fosse già inserito nelle liste di cui alla legge n. 648/96 per la nuova indicazione, previo accordo con le aziende farmaceutiche, la CTS ha ritenuto di non procedere con la classificazione C(nn), al fine di garantire la continuità di accesso al farmaco per vecchi e nuovi pazienti.
- In tali casi, si è sollecitata l'azienda a sottomettere domanda di rimborsabilità e prezzo per evitare una classificazione nelle liste 648/96 *sine die*.



Parere Consiglio di Stato

- Il Consiglio di Stato, interessato dal Ministero della Salute in merito alla compatibilità tra l'inserimento dei medicinali in C(nn) e il mantenimento in lista *ex lege* n. 648/96/uso compassionevole, ha espresso il parere interlocutorio del 26 febbraio, in cui chiede *«se l'Amministrazione, in base ad un'interpretazione costituzionalmente orientata della normativa in questione (a tutela dunque del diritto alla salute), abbia valutato la possibilità di continuare ad erogare i trattamenti ai pazienti in cura, non interrompendoli, almeno con riguardo ai medicinali inseriti nei cc.dd. elenchi 648 - già gravanti, peraltro, a carico del SSN – differendo per questi, e solo per essi, gli effetti preclusivi che sembrano chiaramente derivare dall'inclusione temporanea automatica dei farmaci, una volta autorizzati all'immissione in commercio, nella classe C(nn)»*.



Grazie per l'attenzione!



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA



CONTATTI

t +39. 06-5978.1

e f.mastroianni@aifa.gov.it

www.agenziafarmaco.gov.it



Agenzia Italiana del Farmaco

AIFA