FARMACI INNOVATIVI

Qualità Efficacia Appropriatezza

Garanzia dell'universalità delle cure sul Territorio Nazionale

Roma, giovedì 9 ottobre 2008

CAMERA DEI DEPUTATI
Palazzo Marini, Sala delle Conferenze
Via del Pozzetto, 158 Roma

L'ACCESSO AI FARMACI INNOVATIVI

Prof. Francesco Saverio Mennini
CEIS Sanità – Facoltà di Economia – Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"

L'Italia è una tra le nazioni europee dove con maggior ritardo vengono sottoposti all'autorità regolatoria i dossier di farmaci potenzialmente innovativi (generalmente autorizzati dall'EMEA attraverso la procedura di registrazione centralizzata) per l'autorizzazione alla commercializzazione. Tale ritardo si prolunga poi se si considera il tempo necessario per l'effettivo accesso al farmaco da parte del paziente, variabile anche in rapporto alla regione di residenza del paziente stesso.

Quali sono le criticità nel processo decisionale ed organizzativo che potrebbero contribuire ad aumentare l'attrattività del nostro contesto, permettendo un più rapido accesso all'innovazione?

Una rilevante questione riguarda la trasparenza dei processi decisionali e come questa tematica viene affrontata nei diversi contesti internazionali. In generale, le problematiche di trasparenza del processo di definizione della rimborsabilità ed eventualmente del prezzo dei farmaci si articolano su due livelli:

1.) **Trasparenza dei criteri decisionali: presuppone la necessità di rendere espliciti a tutte le parti interessate i criteri sulla base dei quali le commissioni tecniche assumono le decisioni.** La dichiarazione di criteri solidi dal punto di vista scientifico è a garanzia dell'efficienza della decisione, minimizzando al tempo stesso eventuali discrezionalità nel processo decisionale che potrebbero andare a scapito della equità della decisione stessa e del rispetto delle parti.

2.) **Trasparenza del processo di valutazione: presuppone la necessità di rendere espliciti sia gli elementi che informano la decisione nel singolo caso, sia il criterio che operativamente determina la decisione**. Ciò implica anche il coinvolgimento dei vari *stakeholders* nel processo decisionale, sebbene alcuni potrebbero avere un ruolo esclusivamente di tipo consultivo.

Il principale strumento di trasparenza adottato ormai nella maggior parte dei paesi europei ed in alcune nazioni extra-europee è dato dalla valutazione economica applicata ai farmaci. L'obiettivo delle valutazioni farmacoeconomiche non è ovviamente quello di "confezionare" delle decisioni, ma quello di fornire al decisore dei giudizi di valore e dei

criteri di valutazione in modo tale da rendere la decisione trasparente, semplice e metodologicamente solida.

In Italia si registra ancora una situazione di grave ritardo rispetto alle altre nazioni, basti pensare che nonostante l'Italia sia collocata al sesto posto nel mercato farmaceutico mondiale, l'incidenza di pubblicazioni relative ad analisi economiche nel contesto italiano è inferiore al 3% dell'intera produzione internazionale in questa area (Cfr. Russo PG, *Pharmacoeconomics Italian Research Articles* 2008).

Tale scenario evidenza che un primo aspetto potenzialmente in grado di contribuire ad aumentare l'attrattività del nostro contesto favorendo l'accesso dell'innovazione è dato proprio dall'implementazione di procedure di valutazione basate su standard metodologici solidi, ampiamente condivise in ambito internazionale, procedure già utilizzate in diversi contesti regolatori e in grado di garantire imparzialità e trasparenza della decisione. Da un lato, ciò permetterebbe all'azienda farmaceutica di intraprendere un percorso regolatorio che si basa su regole chiare e su una metodologia condivisa, non rischiando di doversi confrontare con un'eccessiva discrezionalità del processo decisionale. Dall'altro lato le Regioni potrebbero disporre di strumenti di trasparenza del processo di valutazione, attraverso cui vengono resi espliciti gli elementi che informano la decisione sulla singola specialità medicinale. La disponibilità di tali informazioni da un lato può ridurre i tempi per l'accessibilità del paziente, minimizzando i tempi dedicati ad eventuali duplicazioni nei processi di valutazione a livello locale; dall'altro agevola l'efficienza nell'introduzione dell'innovazione nel loro specifico contesto sanitario. Infine verrebbe garantito il paziente che potrebbe disporre in tempi rapidi di farmaci innovativi.

Accesso ai Farmaci Innovativi

Mennini F.S.

CEIS Sanità, Facoltà di Economia,

Università di Roma "Tor Vergata"

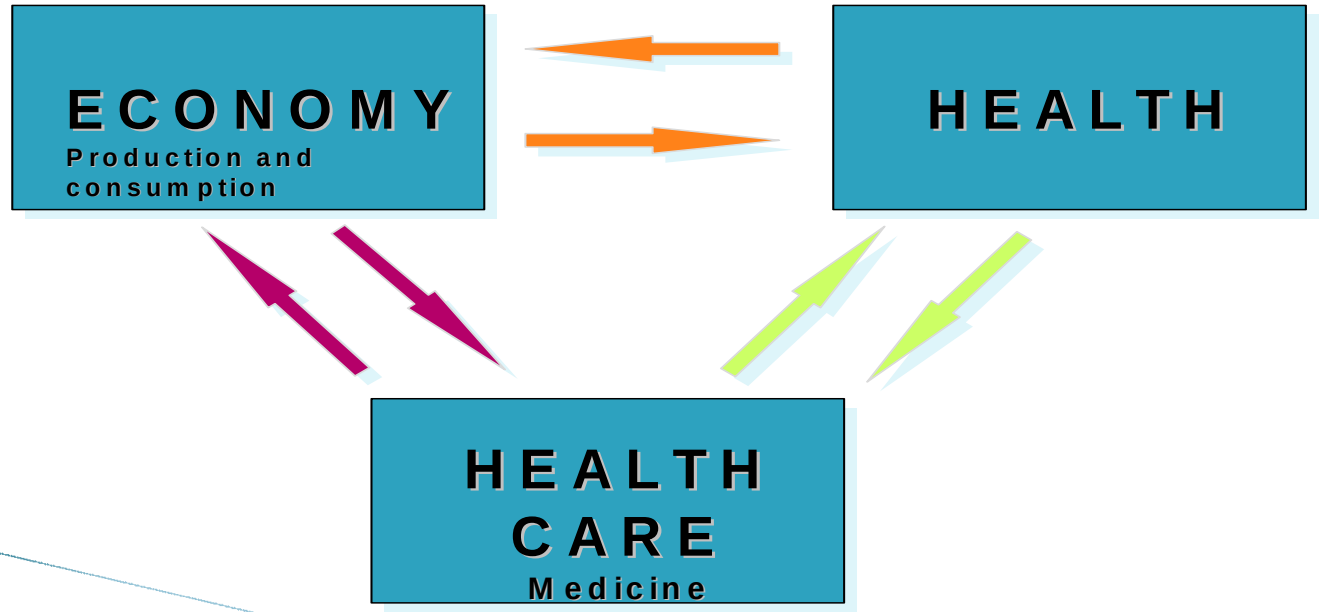
Salute e Benessere

- L'innovazione è la chiave per il miglioramento dello stato di salute e per lo sviluppo dell'assistenza sanitaria, e quindi per l'Economia Sanitaria.

- *The wealth of nations:*
  - Adam Smith ha focalizzato l'attenzione sull'utilizzo ottimale delle risorse: lavoro e capitale.

    ma anche altre tipologie di capitale sono importanti per la creazione del benessere; la Salute della poplazione è uno dei più importanti.
  - La teoria del Capitale Umano ha rappresentato uno dei fondamenti principali per lo sviluppo della moderna Economia Sanitaria.

Health and Wealth



5

Fonte: Jonsson B., Innovation and Value in 21° Century Medicine, ECHE Roma 2008, Closing Plenary Session, Faculty of Economics University of Rome "Tor Vergata", 26 July 2008

Ruolo delle Tecnologie e dell'Innovazione nel *Welfare State*

- Le tecnologie Efficaci ed **Innovative** rappresentano il *driver* principale per il miglioramento della salute.

- Le tecnologie Efficaci ed **Innovative** rappresentano il *driver* principale per attrarre investimenti nel Sistema Salute.

Come dovremmo bilanciare la prospettiva di un miglioramento della salute con le "RISORSE"?

Quale è l'obiettivo principale in presenza di risorse "scarse"?

- Massimizzare i benefici sanitari, minimizzare la spesa.
- Effettuare un *benchmark* tra crescita marginale nell'assistenza sanitaria e costi incrementali.
- Indirizzare le Politiche Sanitarie utili per la promozione **dell'Efficienza Economica** ad ogni livello dei *decision maker*: dal punto di vista macro (*policy maker*) a quello micro (fornitori)

Il continuo sviluppo tecnologico, l'invecchiamento della popolazione e la crescita delle aspettative della popolazione e l'utilizzo inappropriato, anche e soprattutto dal punto di vista organizzativo-gestionale, delle risorse e gli sprechi rappresentano i fattori principali della crescita della spesa.

problemi di accessibilità e quindi equità.

Numerose statistiche dimostrano che esistono differenze significative fra i Paesi, e anche al loro interno, in relazione all'accessibilità alle terapie farmacologiche: tali differenze dipendono ovviamente dal reddito dei Paesi, dalla regolamentazione, dall'applicazione o meno della Valutazione Economica ma anche il prezzo dei farmaci incide notevolmente.

Economia Sanitaria e Valutazione Economica

- Politica Sanitaria
  - Accesso ed equità
  - Finanziamento ed efficieza
- Efficienza nell'assistenza sanitaria
  - Ottimizzazione degli *inputs* ed *outputs*
  - Informazione sull' "attuale"

- *Value for money*
  - Utilizzo ottimale delle risorse nel trattamento della malattia
  - Utilizzo ottimale delle risorse all'interno di una specifica malattia

Ruolo della farmacoeconomia nei Paesi Sviluppati

- Molti Paesi EU hanno introdotto normative esplicite relative al criterio C/E quale elemento portante per la rimborsabilità.
- L'impatto sul processo decisionale dei risultati di C/E è ampio in particolare in:UK/SCO/WAL, SWE, NOR, FIN, NED, DAN, IRL.
- Tra i paesi extra EU, quelli che presentano una consolidata esperienza nell'applicazione dell'analisi farmacoeconomica all'interno del processo regolatorio sono: Australia e Canada.

ITALIA (1)

- In Italia si riscontra una situazione di serio ritardo.
- Il criterio C/E è stato introdotto per la prima volta con la *delibera* CIPE 1999 e poi mantenuto nella *delibera* 2001 (G.U. n.73 28 Marzo 2001).
- Nonostante l'Italia rappresenti il 5°-6° mercato Ph, l'incidenza di pubblicazioni relative alla valutazione economica è ca. il 3% della produzione mondiale in questa area.

ITALY (2)

- Nell'ambito della delibera vengono individuati i criteri per la contrattazione del P dei farmaci e la struttura dei *dossier* per la richiesta del P e della rimborsabilità.

→ La *delibera* evidenzia un impegno "facoltativo" nella presentazione di analisi farmacoeconomiche nella compilazione del *dossier* da parte dell'azienda.

- **Inoltre, la delibera effettua delle precisazioni, limitando l'utilità nella presentazione di analisi farmacoeconomiche al caso di farmaci altamente innovativi o "orfani".**

ITALY (3)

Che fare?

Problema della Trasparenza

- Trasparenza dei Criteri Decisionali
- Trasparenza del Processo di Valutazione

Problema della Trasparenza

- Il principale strumento di trasparenza adottato ormai nella maggior parte dei Paesi EU ed in alcune nazioni extra-EU è dato dalla **valutazione economica applicata ai farmaci.**

- L'obiettivo delle valutazioni farmacoeconomiche non è ovviamente quello di confezionare delle decisioni, ma quello di fornire al decisore dei **giudizi di valore e dei criteri di valutazione** in modo tale da rendere la decisione trasparente, semplice e metodologicamente solida.

Ruolo della Valutazione Farmacoeconomica nel processo regolatorio

una recente analisi di tutti i *dossier* presentati all'AIFA tra l'agosto del 2004 e il novembre 2007 (109 *dossier* relativi a nuove entità chimiche, estensioni delle indicazioni terapeutiche e farmaci per malattie orfane) ha evidenziato **solo nel 36%** dei casi la presenza di valutazioni farmacoeconomiche,

Russo P. Pharmacoeconomics Italian Research Articles 2008

Ruolo della Valutazione Farmacoeconomica nel processo regolatorio

la maggior parte delle analisi riguardava farmaci per il trattamento di malattie oncologiche **(31% dei casi)**.

Russo P. Pharmacoeconomics Italian Research Articles 2008

Ma, quale è la reale influenza di queste informazioni all'interno del processo regolatorio?

Pochissima

…ma dovrebbe servire per……

Conclusioni

- Accrescere la trasparenza attraverso tutti gli *stakeholders*
- Introdurre approccio C/B nelle decisoni (soprattutto a livello micro), partendo comunque dal contesto regolatorio.
- Incentivare l'innovazione (anche di processo) considerando tanto il punto di vista delle Aziende (che dovrebbero investire) quanto delle Regioni (che dovrebbero/potrebbero trasferire queste innovazioni, anche di processo, in benefici reali per la popolazione e in un'ottica di efficienza allocativa)
- Accrescere la "cultura della Valutazione" ad ogni livello decisionale.
- Per "bilanciare" la salvaguardia della salute….con i soldi.

...concludendo

.....il Ruolo della Valutazione Farmacoeconomica

"Nuovo" strumento
nel HTA
per valutare la *cost-effectiveness*
e prendere le decisioni in
maniera "razionale"

Ruolo della Valutazione Economica

- La valutazione economica, ed in particolare **la stima del valore sociale dell'innovazione**, acquisisce crescente importanza, anche nella misura in cui può contribuire a fronteggiare i problemi derivanti dalla incapacità di pagare per le innovazioni (in particolar modo nei Paesi a basso reddito), e a **ridurre le differenze di accessibilità tra** Paesi e anche al loro interno (Regioni), oltre a promuovere lo sviluppo industriale.

Valutazione Economica

- Strumento per una efficiente allocazione delle risorse
- ***Value for money***
- Contenimento dei Costi

Value for Money

Cost-effectiveness

Non significa

***cost-savings* !**

Francesco Saverio Mennini

www.ceistorvergata.it/sanita

f.mennini@uniroma2.it