

Il ruolo della Farmacoeconomia nello sviluppo e nell'impiego dei Farmaci

LUCIANO CAPRINO

**Prof. Emerito di Farmacologia
Università La Sapienza – Roma**

Presidente S.I.F.E.I.T

**(SOCIETÀ ITALIANA per STUDI di ECONOMIA ed ETICA
sul FARMACO e sugli INTERVENTI TERAPEUTICI)**

TUTTI GLI STATI DEVONO OGGI AFFRONTARE il PROBLEMA

SPESA FARMACEUTICA → RISORSE DISPONIBILI

Questo nasce dalla sommatoria di diversi fattori:

- immissione nel mercato di farmaci innovativi "biotecnologici" molto costosi
- invecchiamento progressivo della popolazione con conseguente aumento della morbilità
- Comportamento dell'Industria Farmaceutica, del medico e del paziente

Per i farmaci "*Biotechnologici*" si valuta :

- 📄 **Le probabilità di successo terapeutico**
- 📄 **I risultati ottenibili**
- 📄 **I costi dei risultati →
pay-back; tetto di spesa**
- 📄 **le ripercussioni sulla spesa sanitaria**

Uno studio Farmacoeconomico deve valutare :

•Outcome/ risultati terapeutici:

- Prolungamento della vita e incremento della qualità di vita
- Correzione di alcuni parametri patologici
- Riduzione delle complicanze indotte dalla malattia



Costi d'acquisto e d'impiego di un farmaco

•Costo degli effetti avversi

•Costo della *non-compliance*

**Tutte le analisi
Farmacoeconomiche sono
essenzialmente costituite
da un rapporto: costi/outcome**

RILEVAZIONE degli outcomes economici in
pratica clinica (*effectiveness*)

SIMULAZIONE degli outcomes economici:
modello su dati di RCT (*efficacy*)

**Ricerca
clinica**



Efficacy

**Outcomes
research**



Effectiveness

**Farmaco
economia**



Costo/effectiveness

Misure dell'efficacy/effectiveness

Esiti primari (Hard endpoints)

prolungamento della vita

miglioramento della qualità di vita

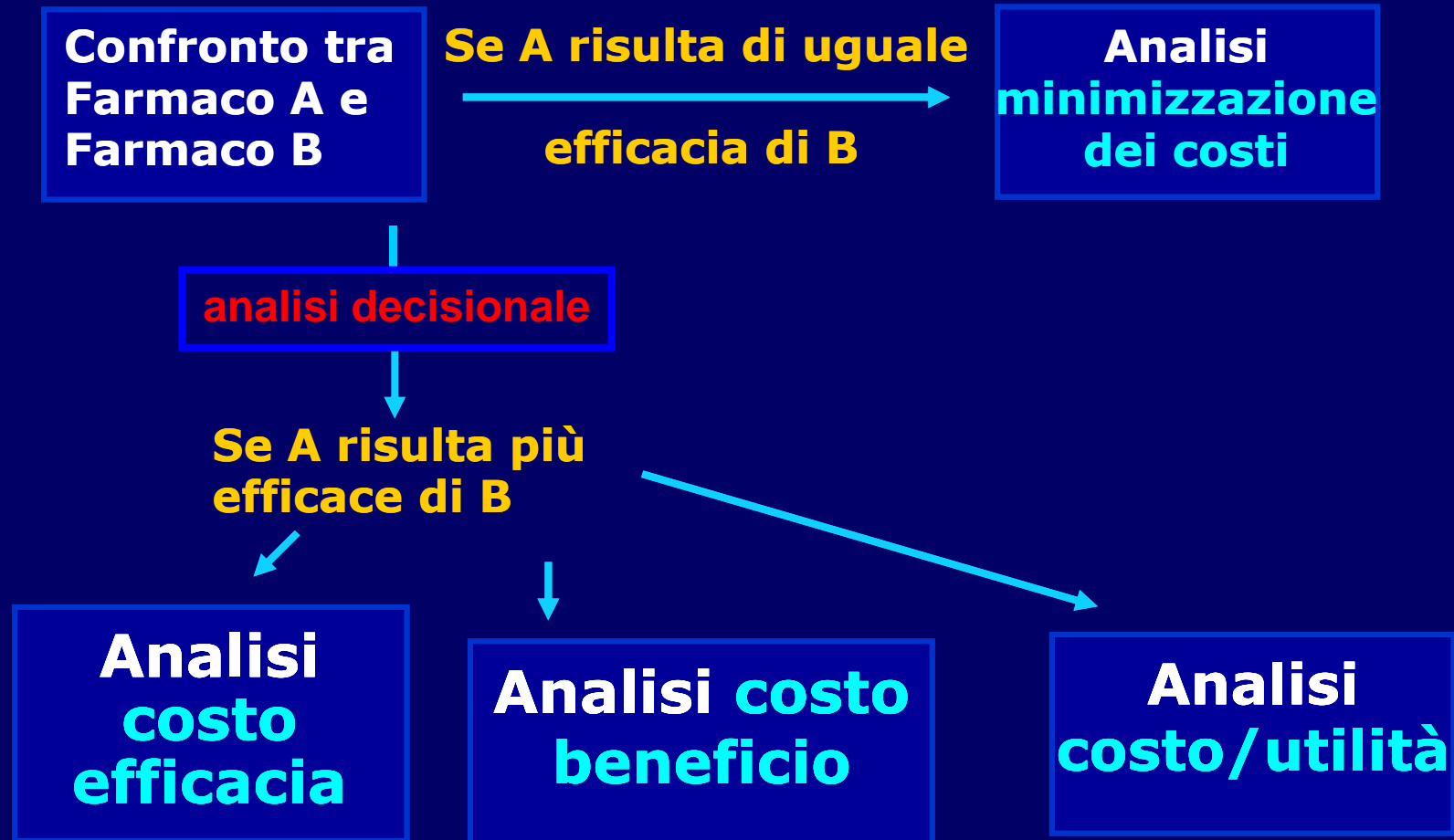
**prevenzione o riduzione dell'incidenza
di un'esito patologico**

Misure dell'efficacy/effectiveness

Esiti intermedi (Surrogate endpoints)

⇒ **normalizzazione
di un parametro indicatore
del processo fisiopatologico
di una malattia**

Modelli di analisi farmacoeconomica



Analisi costo-efficacia

Misura i costi di un trattamento farmacologico in rapporto con l'efficacia terapeutica, espressa in unità cliniche / fisiche (OUTCOMES)

Viene misurato il costo per raggiungere un obiettivo, quale:

- **anni di vita salvati,**
- **evento evitato, etc..**

Analisi costo utilità

L'analisi costo-utilità incorpora negli esiti clinici derivanti da un trattamento Farmacologico una stima della qualità della vita

Utilità = quantità × qualità

Quantità = anni di vita guadagnati

Qualità di vita

→ **Rappresenta lo stato di benessere o malessere di un paziente**

→ **La sua misura è multi-dimensionale ed è composta da fattori: fisici, psicologici, funzionali e sociali**

L'indicatore più utilizzato nell'analisi
costo-utilità
è il cosiddetto QALY
(Quality Adjusted Life Years)

**Il QALY corrisponde ad
un anno di vita guadagnato, moltiplicato per
un coefficiente compreso
tra 0 ed 1 indicante il livello di qualità di vita**

I compiti dell'esperto in Farmacoeconomia sono:

**indicare al "*Decision Maker*" una
valutazione dell'impatto economico e
della validità prescrittiva di un farmaco
in rapporto alla patologia**

**contribuire alla classificazione dei farmaci nelle
varie fasce di rimborsabilità**

È necessaria per i nuovi farmaci
(biotecnologici e non) una
valutazione dell'innovatività e
una continua valutazione dei
risultati terapeutici raggiunti in
rapporto a quelli ipotizzabili

Algoritmo di innovatività

Developing a paradigm of drug innovation: an evaluation algorithm
(Drug Discovery Today 2006; 11, 21-22 : 999-1006)

Permette di quotare

➔ *sulla base dei dati presenti nel dossier di registrazione*

➔ *utilizzando parametri numerici,*

il valore di innovatività e di confermarlo o modificarlo dopo l'introduzione in terapia (FASE IV).

ELSEVIER

Developing a paradigm of drug innovation: an evaluation algorithm

Reviews - INFORMATICS

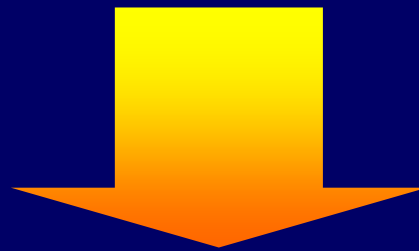
Luciano Caprino and Pierluigi Russo

Department of Human Physiology and Pharmacology, University 'La Sapienza', Rome, 00185, Italy

Assessment of drug innovation is a burning issue because it involves so many different perspectives, mainly those of patients, decision- and policy-makers, regulatory authorities and pharmaceutical companies. Moreover, the innovative value of a new medicine is usually an intrinsic property of the compound, but it also depends on the specific context in which the medicine is introduced and the availability of other medicines for treating the same clinical condition. Thus, a model designed to assess drug innovation should be able to capture the intrinsic properties of a compound (which usually emerge during R&D) and/or modification of its innovative value with time. Here we describe the innovation assessment algorithm (IAA), a simulation model for assessing drug innovation. IAA provides a score of drug innovation by assessing information generated during both the pre-marketing and the post-

The Basic concepts:

- The model integrates **different properties** of drug innovativeness
- The model provides a **numeric score** evaluating drug innovativeness
- The drug score is not definitive and can be **reassessed over time**



Innovation Assessment Algorithm (IAA)

Innovation Assessment Algorithm (IAA)

The IAA is made up of **two steps**:

IAA - efficacy



the assessment of drug innovation in the **pre-Marketing Authorisation phase**

based on

Evidence on drug **clinical efficacy**

IAA - effectiveness



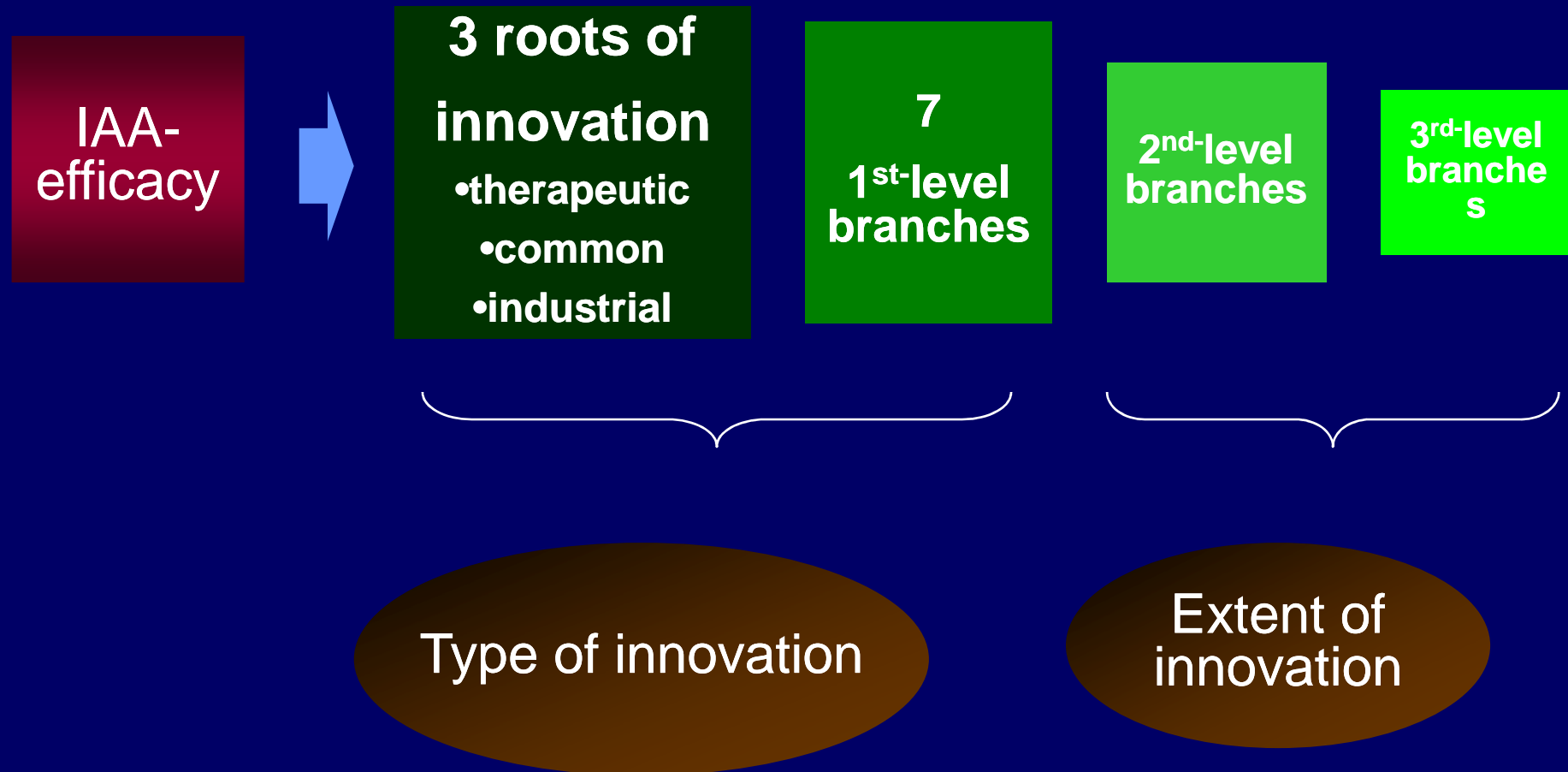
the **re-assessment** of drug innovation in the **post-Marketing Authorisation phase**

based on

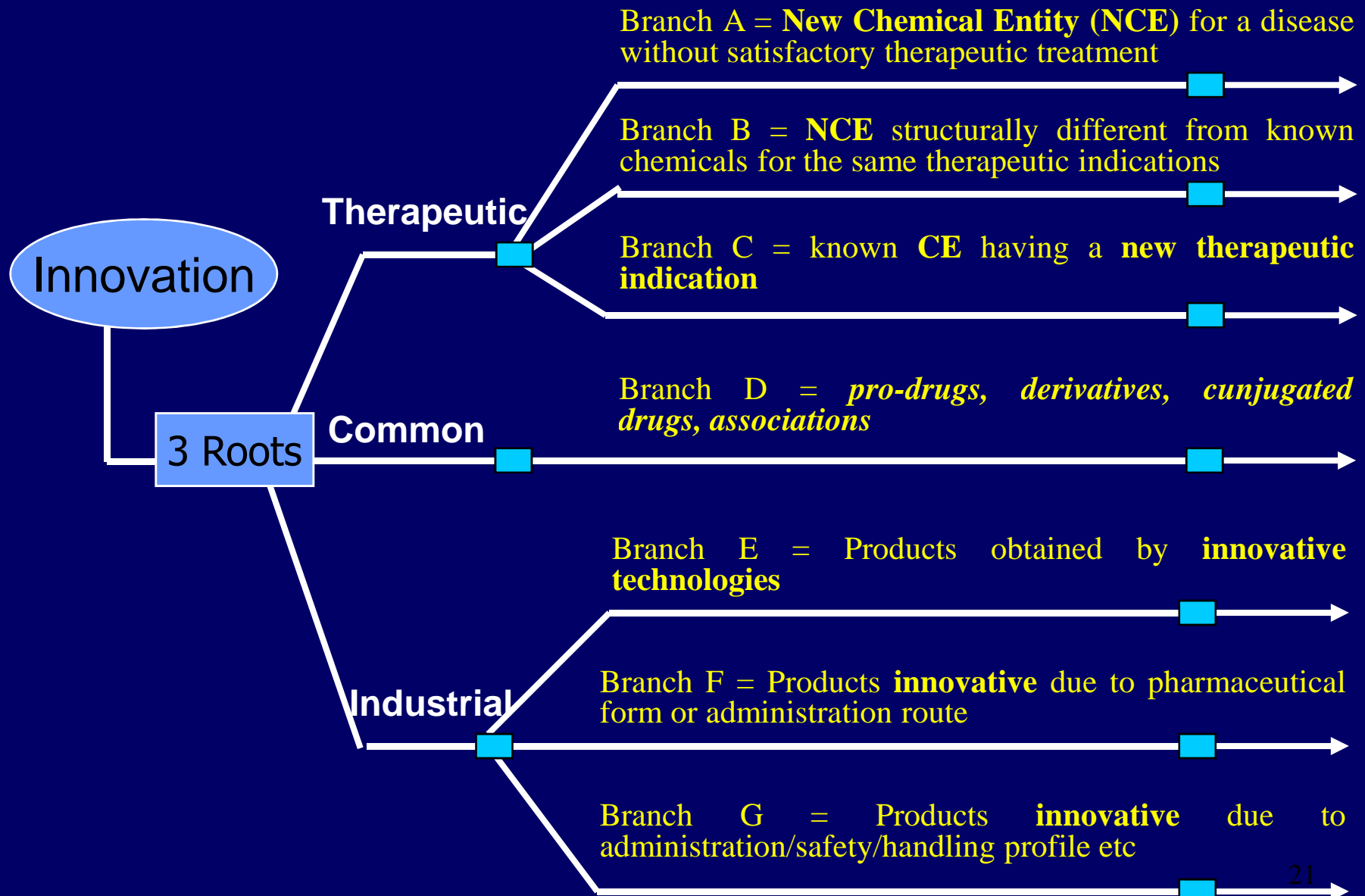
Evidence on drug **clinical effectiveness** and on the profile of **Adverse Drug Reactions**

time

Decisional-tree-like structure of IAA-*efficacy*



IAA - efficacy (1st level branches)



**Oggi risulta importante per gli
studi di Farmacoeconomia
il *COST of ILLNESS* (COI)**

**→ Analisi peso economico sopportato dalla
collettività per una determinata malattia**

**→ Stima dei risparmi conseguenti alla
scomparsa della malattia**

Per i *COST of ILLNESS*



identificare:

- **l'impatto economico di una malattia sulla spesa sanitaria / spesa farmaceutica**
- **i costi complessivi (diretti, indiretti)**
- **Totale risorse che sarebbero disponibili per impieghi alternativi in assenza della patologia**

Rilevare possibili risparmi da guarigione o controllo dell'evoluzione di una malattia

→ Risparmio di Risorse per il SSN

**→ Risparmio Risorse di attività assi-
stenziali *non* a carico del SSN**

→ Risparmi di Risorse del malato / familiari



RIDUZIONE *Cost of Illness*

La FARMACOECONOMIA come strumento per il SSN necessita di:

ESPERTI NEL SETTORE per:

- Impostazione, svolgimento e stesura di analisi di Farmacoeconomia
- Verifiche (su richiesta del *Decision Maker*) delle analisi condotte

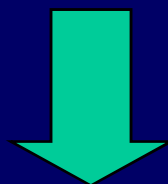
BANCHE DATI SPECIFICHE PER STUDI FARMACOECONOMICI:

- Outcomes
- Farmacoutilizzazione
- Compliance
- Costi / rimborsabilità



Ricerche di farmacoeconomia all'estero

➔ situazioni diverse da quelle italiane



**Il trasferimento dei risultati di lavori
attuati all'estero non può essere
automatico.**

Sono altresì necessari:

PER L'EFFETTUAZIONE DI ANALISI FARMACOECONOMICHE:

Good Clinical Practice (GCP)



Good Pharmacoeconomic Practice (GFP)

MOTIVAZIONI: È possibile “indirizzare” uno studio farmaco-economico in base a scelte/selezioni più o meno attente su:

- *Outcomes*
- *compliance*
- QALYs e criteri di misurazione
- tipi di costi da considerare
- altro

Come le **GCP** sono oggi alla base per l'accettabilità di uno **studio clinico**, così le **GFP** dovranno essere la base per uno **studio farmacoeconomico**

In sintesi gli studi di Farmacoeconomia si propongono di

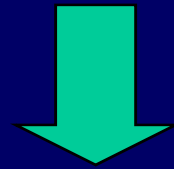
Aiutare le Autorità Sanitarie a selezionare i farmaci correlando il beneficio al costo

non ridurre contemporaneamente il livello dell'assistenza terapeutica

tenendo presente che il farmaco non è solo un costo, ma anche un investimento di carattere socio-economico

Nuovi farmaci: Anticorpi monoclonali

→ 1.000-3.000 euro a fiala



Risultati terapeutici prevedibili positivi:

per l'industria 50% dei casi

per la comunità scientifica 30-35%

Tetto di spesa farmaceutica/ pay back

**Lo Stato può sostenere la spesa solo in caso
di successo terapeutico**

È indispensabile che il medico acquisisca elementi di Farmacoeconomia e compia un percorso formativo critico su:

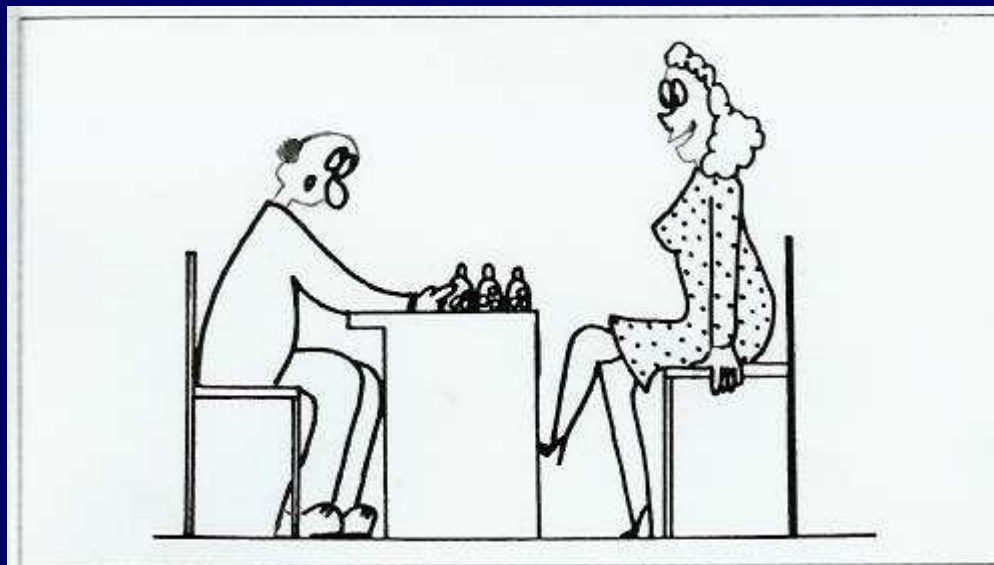
- ❖ attività prescrittiva
- ❖ **ottimizzazione** delle risorse
- ❖ Partecipazione ed adesione alla stesura di **linee guida** terapeutiche
- ❖ Riduzione ed eliminazione dell'uso **off-label**
- ❖ Valutazione della **compliance** del paziente

SM. Grundy scrive:

(*Circulation*. 2005; 111:3016)

I medici dovrebbero avere la responsabilità di conoscere e comprendere il **profilo di sicurezza** e il **rapporto costo/efficacia** di ciascun medicinale affinché la **scelta** del farmaco e della **dose** possano bilanciare appropriatamente i **benefici** ed i **rischi** legati alla terapia.

“The Laughing Therapy is a Pharmacoeconomic not expensive therapy”



A.Minardi

Ecco, per la sua insonnia le prescrivo queste compresse. Dovrà prenderne 3 nell'arco della notte. Con la prima lei dormirà dalle 22 alle 3, con la terza dalle 3 fino alle 9 del mattino successivo.

E la seconda?

La seconda le causerà un dolore al ventre tanto violento da svegliarla perché lei possa prendere la terza