A.I.G.
Associazione Italiana GIST Onlus

Ricerca, Innovazione e Competitività

Farmaci autorizzati e farmaci rimborsati: il sistema dei prezzi e dei rimborsi tra equità e contenimento della spesa

Anna Costato, Presidente

Roma, 15 novembre 2012

Cos'è il Tumore Stromale Gastrointestinale (GIST)?

- Tumore raro; categoria sarcomi dei tessuti molli; colpisce organi del tratto gastro-intestinale.
- **Incidenza di 1,5/100.000 abitanti per anno (stima: 600-900 persone colpite ogni anno in Italia di GIST).**
- Ancora poco conosciuto (patologia individuata solo nel 1998); spesso mal diagnosticato e trattato erroneamente.
- **Non risponde a chemioterapia e radioterapia convenzionali; fino al 2000, possibile solo trattamento chirurgico e, nella malattia metastatica, sopravvivenza di pochi mesi.**
- Nel 2000 l'avvento di Glivec, prima terapia molecolare mirata, efficace nel GIST, ha consentito una prognosi più favorevole e una sopravvivenza media molto piu' elevata.



I tumori rari

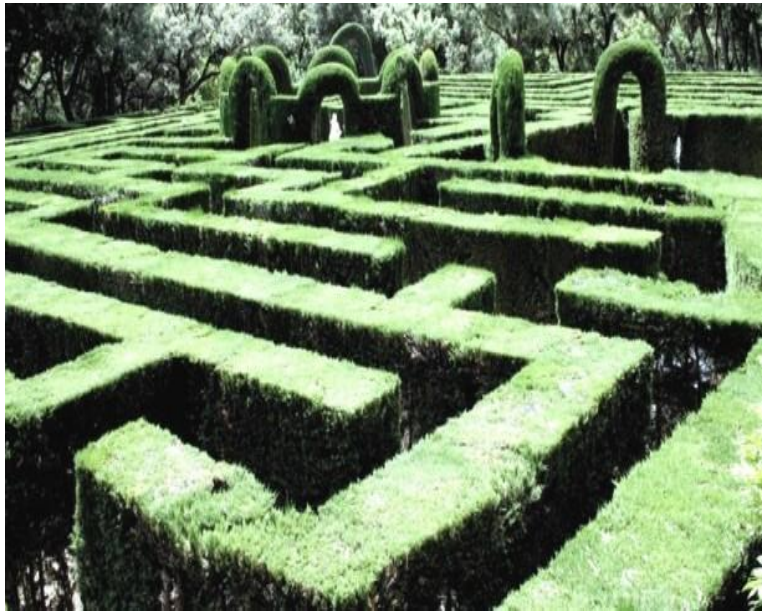
- 22% di tutti i malati oncologici ha un tumore RARO!
- **186 tumori rari ***
- TR comportano difficoltà aggiuntive
- **minore frequenza = minore disponibilità di *expertise*, disomogeneità nella qualità delle cure**
- bassa numerosità = meno studi clinici = difetto di evidenza = meno farmaci
- **nei tumori rari e pediatrici è diffuso il ricorso all'uso Off Label**



* *RARE-CARE, marzo 2011 (Surveillance of rare cancers in Europe), il progetto europeo che si occupa di tumori rari.*

Problemi correlati alla Rarità

- Difficoltà x diagnosi tempestiva e corretta
- **Diagnosi patologica nei tumori rari: +30% errata**
- Difficoltà a identificare Centri di Riferimento e medici con competenze cliniche necessarie per diagnosi patologica certa e trattamento corretto della malattia
- **Pazienti e i familiari senza aiuto e senza riferimenti: difficoltà ad orientarsi**



Limitata disponibilità di terapie

- Problema drammatico TR
- difficoltà sviluppo studi clinici
- numero esiguo di pazienti
- carenza di interesse nella ricerca nuove terapie

In Italia TR non compresi nell'elenco delle MR. Non beneficiano delle misure "ad hoc" e tutele previste per i soggetti affetti da MR:

migliorare ricerca, assistenza e accesso rapido alle terapie

Benefici e tutele previste per le Malattie Rare oggi precluse ai Tumori Rari

DM 279 18 maggio 2001

- **registri** regionali, sovraregionali o nazionali sulla patologia;
- **rete** dei Centri/Presidi accreditati per la diagnosi e cura delle malattie rare e **riconoscimento di Centri Regionali e Interregionali di riferimento**;
- **Percorsi Diagnostici, Terapeutici e Assistenziali (PDTA)**

AIFA: **finanziamento indipendente** sulla ricerca dei farmaci orfani e **malattie rare**

Legge 326 24 novembre 2003

Comma 19 dell'art. 48 dichiara che risorse confluite nel fondo dell'AIFA siano destinate «per il 50 per cento, alla costituzione di un fondo nazionale per l'impiego, a carico del SSN, di farmaci orfani per malattie rare e di **farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie».**

I farmaci in Italia

Procedura di registrazione europea unica e centralizzata EMA, ma **reale disponibilità** delle terapie per pazienti italiani passa attraverso

a) negoziazione di prezzo e rimborso a livello AIFA

b) 21 procedure regionali, che dettano i tempi e le modalità inserimento nei prontuari terapeutici.

Accesso al farmaco ritardato (survey di Farmindustria: ritardo **medio** di 9 mesi), facendo venir meno l'obiettivo principale del **Regolamento CE n. 141/2000**: **la contemporaneità della disponibilità delle cure e livelli omogenei di tutela della salute per tutti i cittadini europei.**

Il tempo è un'emergenza per il paziente oncologico

I pazienti con GIST e con tumori rari hanno bisogno di opzioni terapeutiche *rapide*

I loro medici hanno bisogno di utilizzare tutti farmaci potenzialmente utili al paziente!



Questi pazienti richiedono maggiore urgenza
La malattia oncologica non può aspettare

Cosa chiedono i pazienti: sul piano normativo

Inserimento dei TR nell'elenco delle malattie rare (nessun aggravio di spesa per SSN: esenzione 048 copre anche TR)

Applicazione puntuale "decreto Balduzzi" convertito L. 31-10-2012: immediata disponibilità dei nuovi farmaci oncologici in tutte le Regioni, dopo approvazione EMA e AIFA. Livello regionale genera ritardi e disuguaglianze.

Approvazione AIFA per farmaci oncologici: immediata dopo EMA

Correttivi sull'uso "compassionevole" e off label dei farmaci, per accesso in mancanza di alternative terapeutiche

Gruppo di lavoro sui Tumori Rari (settembre 2011)

1. Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori, Milano
2. Istituto Clinico Humanitas IRCCS, Rozzano MI
3. Istituto Nazionale per la Ricerca sul Cancro, Genova
4. Fond GIMENA Onlus Gruppo Italiano Malattie Ematologiche dell'Adulto, Roma
5. A.I.G. Associazione Italiana GIST Onlus
6. Associazione Paola per i Tumori Muscolo-scheletrici Onlus
7. Uniamo FIMR Onlus
8. FAVO Federazione Italiana delle Ass. di Volontariato in Oncologia

8-11-2012: audizione in XII Commissione Igiene e Sanità

Uso compassionevole DM 8-5-2003 (gratuito per SSN)

1. **eliminare criterio dell'esistenza di studi già conclusi di Fase II (sufficiente Fase I completata)**

   Consentire l'accesso ai farmaci con razionale preclinico, con evidenza clinica anche in assenza di dati definitivi di Fase II (es: registrazione EMA di Imatinib x il dermatofibrosarcoma protuberans)

2. **eliminare requisito dell'esistenza di un piano di sviluppo del farmaco**

   malato raro non è tutelato se azienda farmaceutica non intende perseguire lo sviluppo; uso compassionevole PUO' generare evidenze cliniche.

Appropriatezza dell'uso: somministrazione presso centri di riferimento e reti oncologiche

Uso Off-label

Eliminare criterio di prescrivibilità solo se esistono studi già conclusi di Fase II (v. compassionevole)

Consentire l'accesso ai farmaci con evidenza clinica, anche parziale, supportata da consenso a livello internazionale, in mancanza di alternative terapeutiche, anche in assenza di studi di Fase II

Rimborso del farmaco da SSN con erogazione presso Centri di Riferimento, registrazione prospettica dei dati clinici e pubblicazione dei dati (generare evidenza)

Consentire off-label "individuale"dei farmaci oncologici nei tumori rari

in tempi rapidi

Malato oncologico metastatico: inguaribile, ma curabile

Trattamenti clinici mirati a **prolungare sopravvivenza e migliorare qualità della vita**.

Le preferenze del pazienti devono sempre essere prioritarie.

Contenimento spesa sanitaria non deve compromettere la scelta delle terapie nei trattamenti per tumore metastatico.

Fattori decisionali prioritari: **benessere, sopravvivenza e qualità della vita del pazienti.**



Ruolo dell’associazione dei pazienti

Interlocutore fondamentale in tutti i tavoli di programmazione in tema di TR, mettere al centro del sistema il paziente e l’esperienza di chi è impegnato nella sua rappresentanza.

Comitati etici in Italia devono favorire la partecipazione dei pazienti **per patologia al disegno studi clinici e HTA**, allineandosi ai piu’ moderni ed efficienti standard esteri.



Per una stretta di mano tra pazienti



.....e tra pazienti, medici e ricercatori