

L'applicazione della metodologia HTA nella farmacoterapia

Roma -16 giugno 2010

Marisa Dell'Aera

U.O. Farmacia

A.O.U. Policlinico - Bari



Farmaci

cosa?

- ✓selezione
- ✓capitolati tecnici di gara
- ✓protocolli d'uso
- ✓monitoraggio d'uso
- ✓informazione e documentazione

GESTIONE FARMACI



Health Technology Assessment

farmaci

- ✓ Futuro?
- ✓ Presente?
- ✓ Passato?



...per il farmaco un solco già tracciato

- ✓Prontuari
- ✓Note AIFA
- ✓Valutazioni economiche *(rapporto costo/efficacia, NNT)*
- ✓Piani terapeutici
- ✓Raccomandazioni/LL.GG.
- ✓Protocolli terapeutici
- ✓Registri prospettici su farmaci ad alto costo
- ✓Drug utilization study/Drug review study
- ✓…

Health Technology Assessment

farmaco

.....un pezzo di strada ed anche importante è stato fatto soprattutto in alcune realtà molto avanzate compresi la diffusione dei risultati ed il monitoraggio

- *CREVIF (Emilia Romagna)*
- *CEVEAS (Emilia Romagna)*
- *UVEF (Veneto)*



Prontuario crocevia



selezione

gestione rischio

Prontuario

appropriatezza

Raccomandazioni d'uso

RMP

linee guida, piani terapeutici, note limitative

monitoraggio

DUS/DUR



...per il farmaco un solco già tracciato

- ✓Riforma aziendalistica del SSN ’92
- ✓Evidence-based medicine *(1993 Cochrane Collaboration)*
- ✓Riformulazione PFN ’94 *(farmaci ammessi/non ammessi alla rimborsabilità)*
- ✓Legge 229/99
- ✓Note AIFA
- ✓PSN ’98-2000
- ✓…



Health Technology Assessment

step di un report

- *Ricerca e selezione prove di efficacia/evidenze (RCT, studi osservazionali di coorte,di farmacoeconomia)*
- *Lettura critica delle evidenze:*
  - *1) peso e valore*
  - *2) trasferibilità/generalizzabilità dei risultati*
- *Analisi delle ricadute sulla spesa sanitaria*
- *Sintesi delle informazioni*
- *Formulazione dei risultati:*
  - ✓*selezione del farmaco nel PTO*
  - ✓*elaborazione di raccomandazioni/protocolli terapeutici/strategie di sanità pubblica*



SIFO

"L'informazione non è un sistema di trasferimento meccanico, più o meno fedele e completo, di dati dalle fonti ai possibili utenti. Per fare informazione non basta la disponibilità di risorse tecniche (testi, libri, fonti automatizzate), ma è necessaria la presenza di competenze specifiche in grado di valutare criticamente le informazioni, di elaborarle, di integrarle e infine di comunicarle in modo efficace….L'informazione si definisce quindi come un processo che richiede (accanto alle attività tradizionali di lettura, archiviazione, comunicazione), capacità di elaborazione, valutazione,integrazione"

Convegno Nazionale"l'informazione sui farmaci: ruolo della farmacia ospedaliera" ***1978***



Health Technology Assessment

step di un report

- *Ricerca e selezione prove di efficacia/evidenze (RCT, studi osservazionali di coorte,di farmacoeconomia)*
- *Lettura critica delle evidenze:*
  - *1) peso e valore*
  - *2) trasferibilità/generalizzabilità dei risultati*
- *Analisi delle ricadute sulla spesa sanitaria*
- *Sintesi delle informazioni*
- *Formulazione dei risultati:*
  - ✓*selezione del farmaco nel PTO*
  - ✓*elaborazione di raccomandazioni/protocolli terapeutici/strategie di sanità pubblica*

Health Technology Assessment

step di un report

- *Diffusione dei risultati a tutti e 3 i livelli: macro, meso e micro*
- *Implementazione dei risultati della valutazione nella pratica*
- *Monitoraggio dell'impatto: valutare i cambiamenti della pratica prescrittiva nel contesto interessato e le conseguenti ricadute economiche ed eventualmente sociali ed organizzative*



Health Technology Assessment

Farmaci: perché?

- *Costante immissione in commercio di nuovi farmaci*
- *Costi sempre più elevati*
- *Risorse sempre più limitate*
- *Costante aumento della domanda di salute*
- *Ampia diffusione dei nuovi farmaci su mass media*



Health Technology Assessment

Farmaci: perché?

- *Costante immissione in commercio di nuovi farmaci*
- *Costi sempre più elevati*
- *Risorse sempre più limitate*
- *Costante aumento della domanda di salute*
- *Ampia diffusione dei nuovi farmaci su mass media*

- *razionalizzare l'uso/promuovere uso appropriato*
- *ottimizzare l'uso delle risorse sanitarie*
- *stabilire le priorità nell'allocazione delle risorse*

Health Technology Assessment

farmaci

- *Selezione dei nuovi farmaci sulla base di analisi comparate*

  PTO/PTOR

- *Governo dei farmaci di uso già consolidato nella pratica clinica*

  protocolli d'uso/raccomandazioni

  DUS/DUR

- *Governo dell'innovazione*

  note limitative

  piani terapeutici/RMP

  registri prospettici



Health Technology Assessment

step di un report

- *Raccolta prove di efficacia (RCT, studi di coorte,di farmacoeconomia)*
- *Lettura critica delle evidenze:*
  - *1) peso e valore*
  - *2) trasferibilità/generalizzabilità dei risultati*
- *Sintesi delle informazioni*
- *Formulazione dei risultati:*
  - ✓*selezione del farmaco nel PTO*
  - ✓*elaborazione di raccomandazioni/protocolli terapeutici/strategie di sanità pubblica*



Redigere ed aggiornare un PTO…..

- ✓Individuare le reali novità terapeutiche
- ✓Valutare l'impatto sul budget
- ✓Individuare le equivalenze terapeutiche nell'ambito di classi terapeutiche omogenee



Redigere ed aggiornare un PTO…..

- ✓Individuare le reali novità terapeutiche
- ✓Valutare l'impatto sul budget
- ✓Individuare le equivalenze terapeutiche nell'ambito di classi terapeutiche omogenee



Health Technology Assessment

farmaci

Fattore di crescita o ostacolo
all'innovazione?

Che cosa è innovativo?

farmaci

accezione commerciale

Agenzie regolatorie

Clinici

accezione tecnologica

Decisori sanitari

accezione di reale novità terapeutica

Innovatività

farmaci

- *Nuovo farmaco = novità terapeutica?*
- *Nuova tecnologia = novità terapeutica?*

Reale novità terapeutica

SOLO SE

benefici maggiori (efficacia, sicurezza e convenienza)



individuare le reali novità terapeutiche….

Valutazione prove di efficacia per farmaci ammessi alla rimborsabilità

Perché?

Ai fini registrativi è sufficiente aver dimostrato la non inferiorità del nuovo farmaco rispetto al vecchio…



Pertanto spesso il nuovo farmaco vs il vecchio:

- ✓efficacia sovrapponibile
- ✓costo uguale se non superiore
- ✓sicurezza con incognite
- ✓pressione commerciale maggiore
- ✓non/scarsa opportunità di una gara per obiettivo terapeutico

selezione in PTO?



Se invece il nuovo farmaco vs il vecchio:

reale novità terapeutica

- ✓efficacia superiore
- ✓costo superiore

Ok inserimento in PTO, con eventuale nota limitativa

Governo dell'innovazione



selezione dei farmaci

percorso

valutazione….

- *Efficacia*
- *Sicurezza*

- *Costo*
- *Impatto sul sistema sanitario dal punto di vista organizzativo e gestionale (modalità di erogazione e ricadute sul territorio, modelli assistenziali, modalità di somministrazione)*

- *Aspetti sociali ed etici (predominanti nel caso di malattie senza soluzioni terapeutiche es. malattie rare)*



Redigere ed aggiornare un PTO…..

✓Individuare le reali novità terapeutiche

✓Impatto sul budget

✓Equivalenze terapeutiche nell'ambito di classi terapeutiche omogenee



Equivalenze terapeutiche nell'ambito delle classi terapeutiche omogenee

- ✓Prove di efficacia: quale peso?
- ✓Indicazioni registrate: problematica off-label/non off-label
- ✓Sicurezza con incognite per farmaco neo-registrato

Redigere ed aggiornare un PTO…..

✓Valutazione prove di efficacia per farmaci ammessi alla rimborsabilità

✓Impatto sulla spesa sanitaria *(vincoli di bilancio, tetti di spesa)*

✓Equivalenze terapeutiche nell'ambito di classi terapeutiche omogenee

Compatibilità finanziaria - tetti di spesa

Esempio. Il caso del trattamento della degenerazione maculare correlata all'età

- ✓Limitazioni utilizzo del bevacizumab ai sensi della 648
- ✓Rimborsabilità fascia H ranibizumab e pegaptanib

Compatibilità finanziaria - tetti di spesa

Sostituzione del bevacizumab con il ranibizumab/pegaptanib: notevole aumento costo terapia

IMPATTO SULLA SPESA SANITARIA?

✓Studio CATT – National Eye Institute del National Institute of Health *(in corso)*

Bevacizumab vs ranibizumab

✓Studio americano: bevacizumab vs ranibizumab

Ophthalmologica 2009;223:370-375

Efficacia e sicurezza sovrapponibili nella degenerazione maculare correlata all'età

Bevacizumab e ranibizumab

Se i risultati saranno confermati anche dallo studio CATT

✓Efficacia sovrapponibile

✓Costo terapia da 18 a 36 volte superiore

uso efficiente risorse sanitarie?



Delibera della Giunta Regionale Emilia Romagna n° 1628/2009, laddove:

effetti sulla salute

✓*Considerate le prove di efficacia disponibili*

✓*Preso atto della norma per l'off-label e che una nuova indicazione terapeutica possa essere registrata solo su richiesta dell'Azienda farmaceutica, qualora già disponibili altri farmaci per la stessa indicazione*

costi

contesto epidemiologico-assistenziale

✓*Tenuto conto della norma che impone il ri[illegible] obiettivi di finanza pubblica per la spesa farmaceutica (finanziaria 2008, legge 77/2009 e legge 102/2009)*

- *spesa farmac. Osp.=<2,4%* → tetto di spesa

- *Recupero eventuale sforamento a carico della regione*

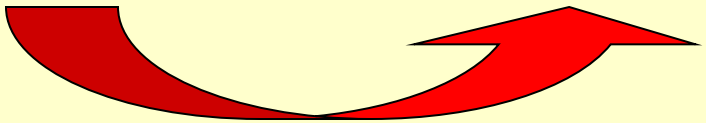
- *Rispetto del tetto di spesa è necessario per l'accesso al finanziamento integrativo a carico dello Stato*

aspetti sociali ed etici

Delibera della Giunta Regionale Emilia Romagna n° 1628/2009

✓*Consente la temporanea erogabilità del medicinale bevacizumab a carico del SSR nell'ambito delle strutture della Regione Emilia Romagna anche per il trattamento di nuovi casi di DMLE, previa acquisizione del consenso informato del paziente*

Report di HTA *strategia di sanità pubblica*



implicazioni cliniche, economiche, sociali ed etiche

Health Technology Assessment

step di un report

- *Raccolta prove di efficacia (RCT, studi di coorte,di farmacoeconomia)*
- *Lettura critica delle evidenze:*
  - *1) peso e valore*
  - *2) trasferibilità/generalizzabilità dei risultati*
- *Sintesi delle informazioni*
- *Formulazione dei risultati:*
  - ✓*selezione del farmaco nel PTO*
  - ✓*elaborazione di raccomandazioni/protocolli terapeutici/strategie di sanità pubblica*

REGIONE PUGLIA
AZIENDA OSPEDALIERA
Ospedale Policlinico Consorziale
Ospedale Giovanni XXIII
B A R I

Protocollo terapeutico

PROTOCOLLO PER L'USO

APPROPRIATO DELL'ALBUMINA

Versione n° 01 del 29-01-07

a livello locale – Commissione Terapeutica Aziendale, Commissioni Appropriatezza regionali e distrettuali

CRITICITA'

Le aspettative dei pazienti (associazioni) sono sicuramente una criticità, conseguente ad una informazione diffusa anche sui media , troppo spesso eccessivamente ottimistica e promettente;

✓Le pressanti richieste di inserimento di nuovi farmaci

informazione indipendente ed associazioni dei pazienti: un costo più basso della terapia consente di liberare risorse per la fornitura di altri servizi assistenziali

terapeutiche disponibili.



C
T
O

FARMACO

H
T
A

valutazione evidenze

produzione evidenze

miglioramento continuo della qualità dell'assistenza

✓valutazione esiti (es.registri prospettici)

✓valutazione dell'impatto organizzativo ed economico



H

T

A

diffusione dei risultati

…..per una condivisione dei risultati non solo nell'ambito della comunità scientifica, dei decisori politici e degli addetti ai lavori, ma anche dei potenziali fruitori di quei risultati (i cittadini)



Conclusioni

…HTA strumento per promuovere la reale potenzialità innovativa dei farmaci in un'ottica di:

- ✓superiorità e non di equivalenza (efficacia)
- ✓uso efficiente delle risorse (economia)
- ✓accessibilità e sostenibilità per il SSN (equità e etica)

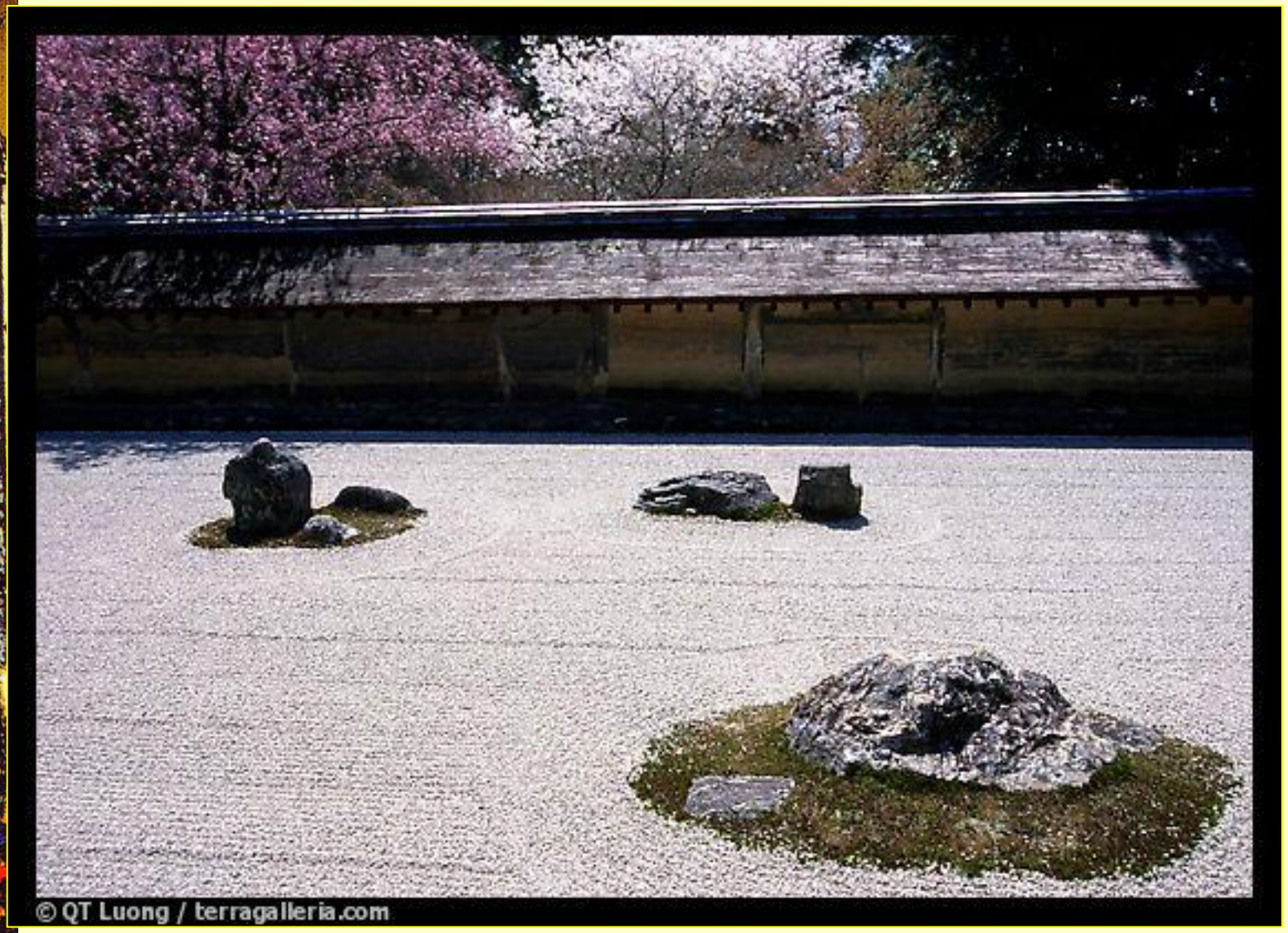
intero percorso terapeutico del paziente

con un gioco di squadra….



e con un approccio multidisciplinare/multidimensional

Ryōan-ji Temple Kyoto



Da nessuna angolazione è possibile vedere tutte le 15 pietre del giardino Zen