Farmaci Innovativi
Qualità Efficacia Appropriatezza

Ass. “G.Dossetti” Palazzo Marini _ 25 ottobre 2010

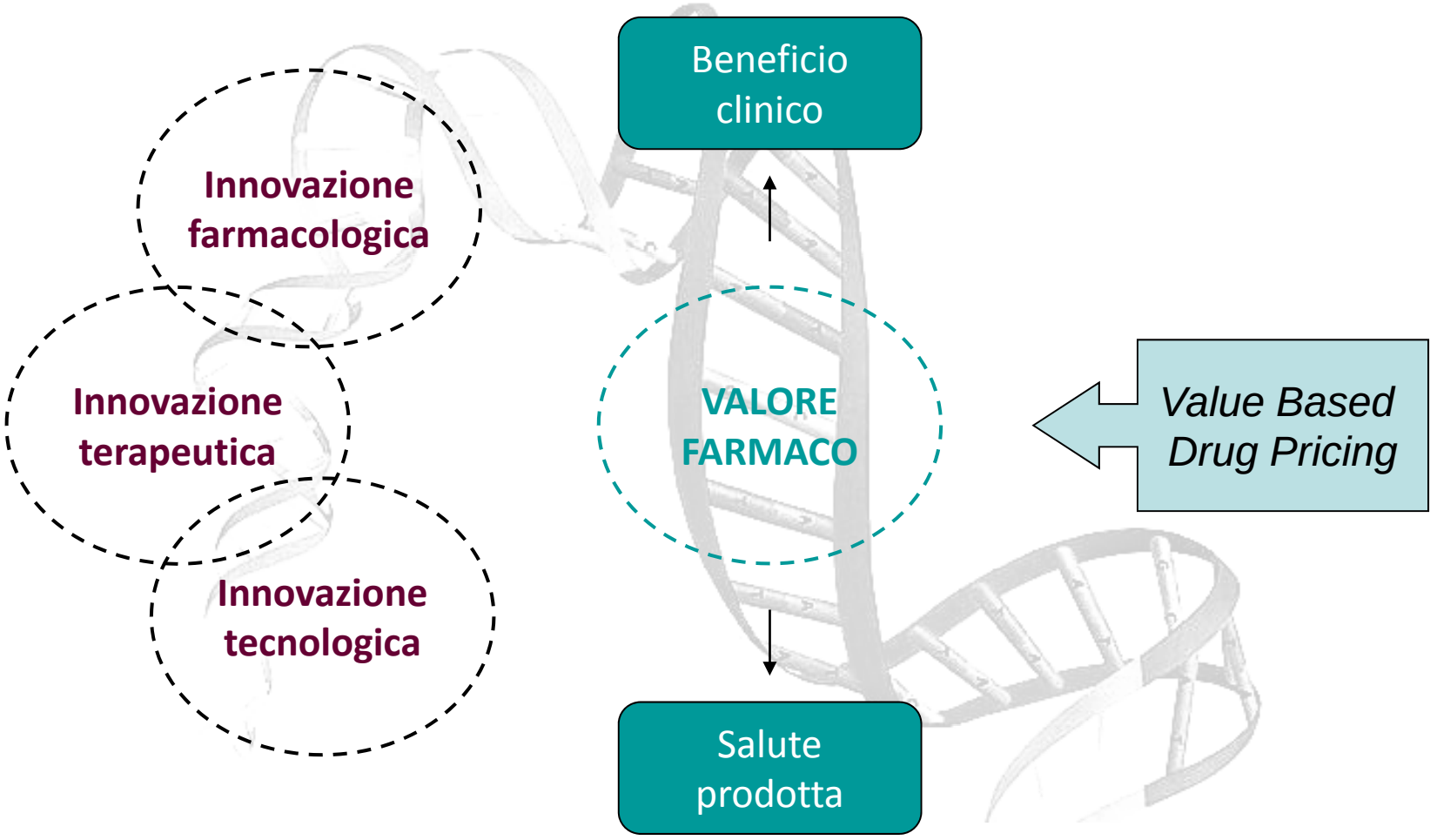
“Farmaci Innovativi: quali tutele fra ricerca e paziente”

Enrico Belviso

BMS Pricing & Reimbursement

Bristol-Myers Squibb

Innovazione: *un ponte tra valore terapeutico e accesso*



Bristol-Myers Squibb

I driver dell'innovazione in *sanità*

Invecchiamento della popolazione nei paesi industrializzati: opportunità e sfida

Incremento di domanda di risorse sanitarie

Aumento di patologie croniche

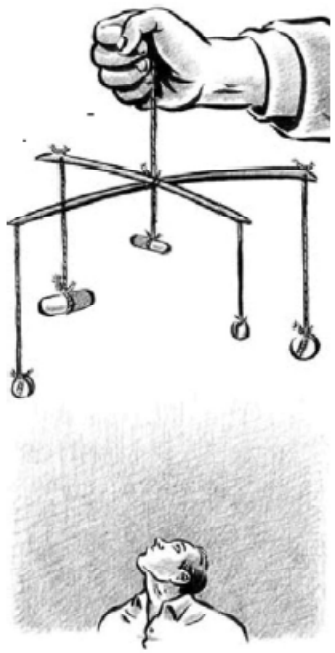
Governi ed istituzioni di fronte al problema di contenere i costi senza compromettere la qualità delle cure



Bristol-Myers Squibb

I driver dell'innovazione nel *farmaceutico*

La sfida per la salute: trasferire in tempi rapidi i risultati delle ricerche alla pratica clinica e all'assistenza sanitaria



Necessità di terapie sempre più "personalizzate"

Miglioramento della qualità della vita

Rapporto costo-beneficio ottimale, vantaggio economico e sostenibilità

Bristol-Myers Squibb

“L’intelligenza costa troppo”

- *Nei prossimi quattro anni saranno avviate le procedure per la registrazione e la richiesta di rimborso per 50 nuovi farmaci anticancro*

- *La crescita della spesa farmaceutica sta mettendo a rischio i bilanci sanitari e lo stesso accesso dei malati alle nuove terapie, specialmente per quelle che portano benefici limitati. La conseguenza è che Stati e assicurazioni in Europa e negli USA stanno cercando di controllare la spesa farmaceutica contenendo i prezzi e istituendo registri per verificare che i farmaci vadano solo ai malati che ne traggano i benefici. Ma non basta, e si pensa anche a non concedere il rimborso a un numero crescente di nuove medicine o a introdurre delle forme di razionamento*



AFFARI&FINANZA

Settimanale

Data 28-06-2010
Pagina 27
Foglio 1 / 3

Il direttore dell’Agenzia del farmaco, Guido Rasi: “Istituiremo appositi registri che identifichino esattamente chi dovrà realmente assumere questi nuovi medicinali”

www.ecostampa.it

Farmaci, l’ “intelligenza” costa troppo

Sta per arrivare sul mercato la prima generazione di medicinali “targettizzati” soprattutto antitumorali, in grado di identificare con precisione le cellule da colpire limitando così gli effetti collaterali che in questi casi sono spesso micidiali: ma le terapie costano fra i 5 e i 50mila euro l’anno

ARNALDO D’AMICO

Mentre tra i malati di cancro, soprattutto in quelli colpiti da alcune forme particolari, torna la speranza e gli oncologi gridano al miracolo, un brivido corre tra amministratori di Asl e assessori alla Sanità. A scatenare le opposte reazioni basta il termine: farmaco “intelligente”: ferma il tumore, a volte lo elimina ma arriva a costare anche 50 mila euro l’anno. E se il paziente lo deve prendere per tutta la vita il conto è astronomico.

Il farmaco “intelligente” (per gli americani “target therapy”, cura a bersaglio) è una sostanza che, una volta diffusa nel corpo, attacca selettivamente un preciso meccanismo vitale della cellula cancerosa. Enormi i vantaggi rispetto alla classica chemioterapia: gli effetti collaterali (nausea, vomito, debolezza, caduta di capelli, ecc) quasi inesistenti, sopravvivenza in genere raddoppiata, in molti casi pari all’aspettativa di vita, ma soprattutto in alcuni arriva la guarigione definitiva.

Il tutto grazie a tanta ricerca, per scoprire le mutazioni del Dna che innescano il cancro, i meccanismi di moltiplicazione impazziti delle cellule, insomma gli obiettivi “sensibili” del tumore. Altra ricerca per mettere a punto decine di candidati-farmaci e infine le sperimentazioni su centinaia di animali da laboratorio e migliaia di malati per selezionare il più efficace, quando lo si trova. Un percorso che richiede in genere dieci anni e investimenti ingenti i cui riflessi si vedono sul costo di mercato: un anno di cura di un singolo paziente costa dai 5 mila ai 50 mila euro, a seconda del farmaco. E ogni anno, tra i 250 mila italiani che si ammalano di cancro, si stima ve ne siano almeno 20 mila con forme vulnerabili ai farmaci “intelligenti”. Una popolazione in crescita: per l’aumento dei tumori, per i progressi della ricerca che incrementa quelli aggredibili e infine per il prolungamento delle sopravvivenze.

«Nei prossimi quattro anni saranno avviate le procedure per la registrazione e la richiesta di rimborso per 50 nuovi farmaci anticancro», annuncia il professor Guido Rasi direttore generale dell’Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa), l’ente pubblico che autorizza la commercializzazione dei farmaci e ne fissa il prezzo, «e ciò darà un notevole contributo all’aumento della spesa farmaceutica, già in crescita per l’invecchiamento della popolazione».

Il 60% dei tumori appare dopo i 65 anni e più s’ingrossa questa fascia d’età e più crescono i casi da trattare, che le nuove cure stanno trasformando in lungo-sopravviventi e che quindi prendono questi farmaci per molti anni. C’è di che far saltare il banco, non solo della malconcia sanità italiana. Non è un caso che proprio Rasi di recente sia volato ad Atlanta per partecipare a un simposio con i vertici degli enti di controllo dei farmaci europei ed americani. Il tema, detto in sintesi: le strategie comuni per non arrivare al razionamento dei nuovi farmaci.

«La crescita della spesa farmaceutica sta mettendo a rischio i bilanci sanitari e lo stesso accesso dei malati alle nuove terapie, specialmente per quelle che portano benefici limitati», dice Rasi. «La conseguenza è che Stati e assicurazioni, in Europa e negli Usa, stanno cercando di controllare la spesa farmaceutica contenendo i prezzi e istituendo registri per verificare che i farmaci vadano solo ai malati che ne traggono benefici. Ma non basta e si pensa anche a non concedere il rimborso a un numero crescente di nuove medicine o a introdurre delle forme di razionamento».

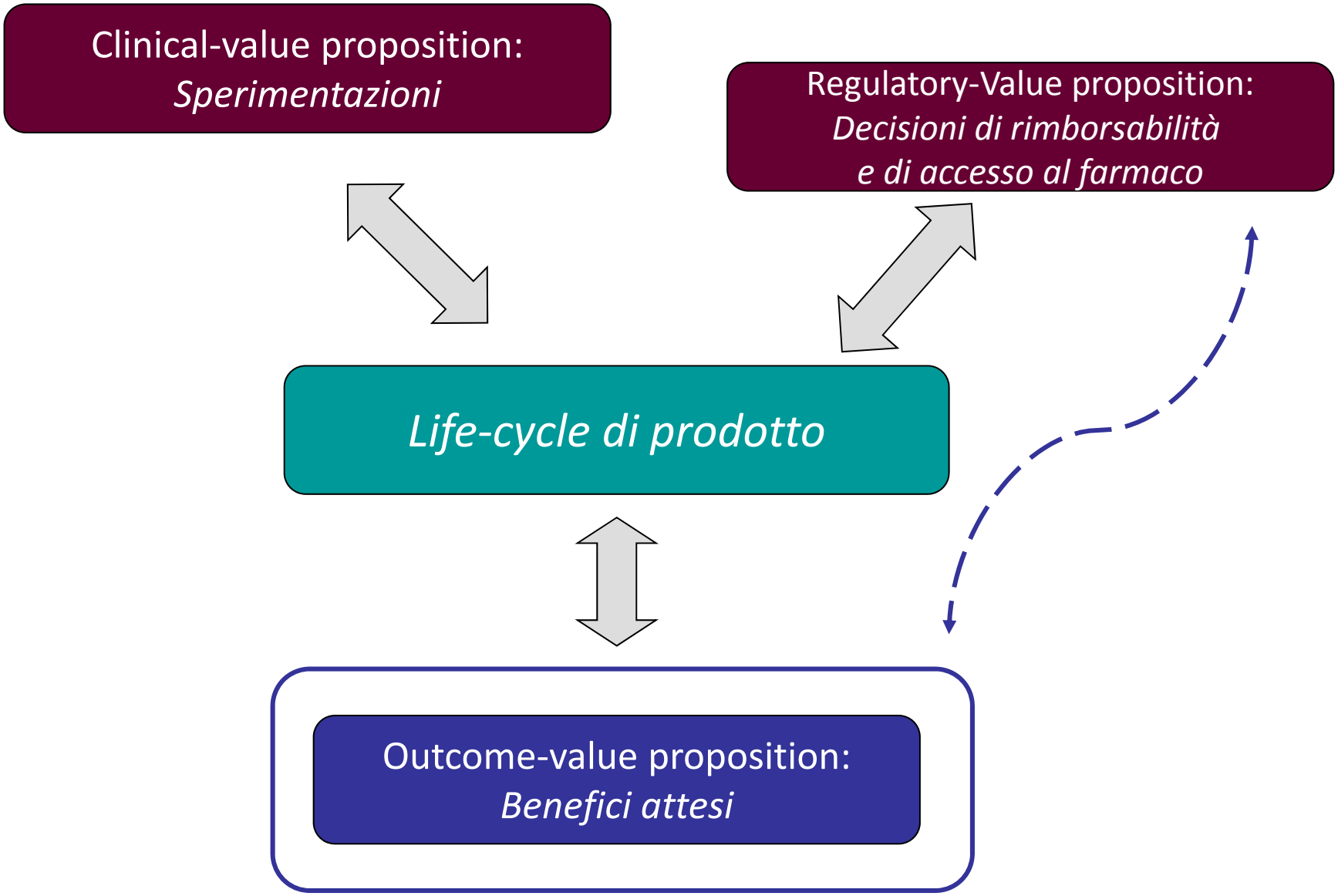
Purtroppo, solo di pochi di questi farmaci si può sapere in anticipo in quali malati saranno efficaci. Per il tumore del seno o del colon, ad esempio, esistono test che svelano la presenza del “bersaglio” (in genere una mutazione particolare del Dna) nelle cellule neoplastiche dei malati. Solo questi trarranno benefici dal farmaco “intelligente”. Gli altri, la maggioranza, no e quindi è inutile somministrargli la cura. Un bel risparmio. Ma nella maggior parte dei tumori il test non è fattibile, oppure avrebbe un costo di sviluppo non conveniente. In questi casi rimane il vecchio sistema empirico: dare il farmaco a tutti i malati per alcuni mesi e proseguire solo in chi ne ha tratto benefici.

«Sarebbero utili anche ricerche comparative, che mettendo a confronto farmaci simili scoprano il più efficace - aggiunge Rasi - e sperimentazioni sui malati più lunghe e su un numero maggiore di casi. Ma, paradossalmente, la gran quantità di dati che si genera aumenta molto i costi di ricerca e sviluppo senza invece fornire informazioni determinanti per il contenimento dei costi. La soluzione va cercata prima di tutto nell’armonizzare le attuali pratiche europee e statunitensi di efficacia comparativa. Poi va migliorato il coordinamento internazionale fra le iniziative già esistenti, con lo scambio delle esperienze migliori, chiarendo bene le differenze nelle prospettive e nelle richieste di dati da parte delle diverse agenzie regolatorie. Altrettanto importante è rendere gli effetti economici delle decisioni più prevedibili, individuando e adottando modelli comuni nel processo di ricerca e sviluppo, utili anche nelle decisioni sui prezzi e i rimborsi. Infi-

Ritaglio stampa ad uso esclusivo del destinatario, non riproducibile.

Bristol-Myers Squibb

Passato, presente e futuro



Bristol-Myers Squibb

Il “ponte” dell’innovazione tra *pre* e *post* marketing



Bristol-Myers Squibb

Risk Sharing: "*Assessment conditions*" e "*Funding mechanism*"

➔ **I diversi schemi di Risk Sharing sono definiti e determinati in base a 2 criteri: le condizioni di rimborso e i meccanismi di rimborso**

Risk-Sharing

Accordo negoziale tra un payer e un'azienda per condividere il rischio finanziario di una terapia / prodotto, in base ai seguenti elementi contrattuali:

Assessment conditions

Vengono individuate le condizioni sotto le quali il rimborso di un prodotto possa essere condiviso tra pagatore ed azienda

Funding mechanisms

Determinano come avviene tecnicamente il meccanismo di rimborso

se le

CONDIZIONI

si verificano …

…

allora i

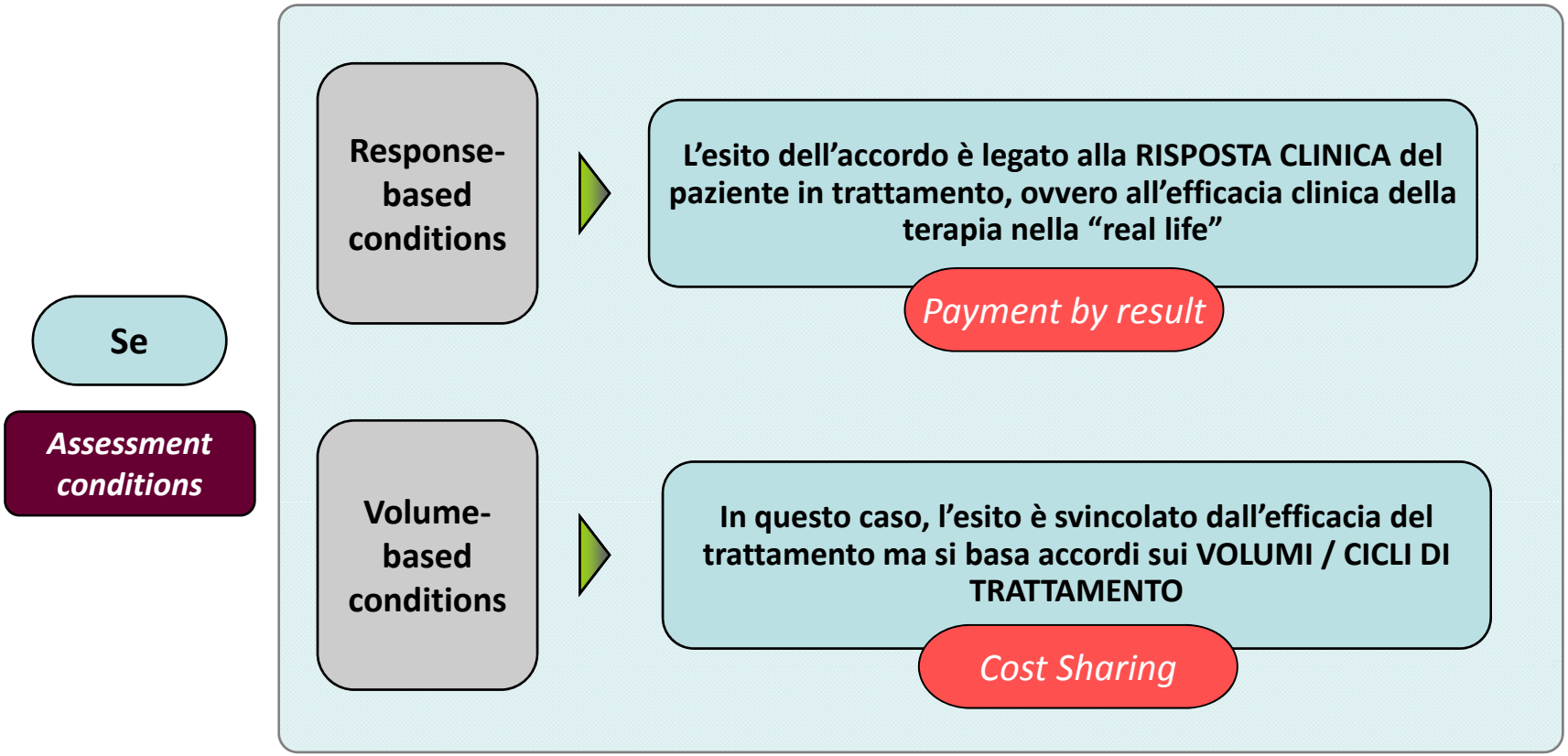
MECCANISMI

vengono applicati

Bristol-Myers Squibb

"Assessment conditions"

➔ **Esistono 2 tipologie: il modello *response-based* e quello *volume-based***



Bristol-Myers Squibb

Il “ponte” dell’innovazione tra *pre* e *post* marketing



Bristol-Myers Squibb

Come valutare l'Innovazione? *Registri* e *Monitoraggio*



Finalità del (web) monitoring:

- Definire la correttezza del percorso di appropriatezza di un farmaco
- Definire l'efficacia ed il profilo di safety da dati *real-life*
- Inibire l'uso off-label
- Ridefinire il profilo economico di un farmaco?
- Costruire degli studi "osservazionali"

Necessità di Valutazioni Multidisciplinari

Industria, Clinici, Payors, Associazioni, Farmacoeconomisti

Bristol-Myers Squibb

Il “ponte” dell’innovazione tra *pre* e *post* marketing



Bristol-Myers Squibb

Il ponte tra conoscenza e decisione



Bristol-Myers Squibb

Quale valutazione per l'Innovazione?

I requisiti metodologici fondamentali:

- Valutazione dell'Efficacia clinica
- Valutazione della Sicurezza
- Valutazione dell'effectiveness
- Impatto Economico Diretto
- Costi Sociali
- Governo della discrezionalità
- Trasparenza
- Multidisciplinarietà
- Etica
- Equità (Fair Share)

Bristol-Myers Squibb