



Società Italiana per Studi di Economia ed Etica sul Farmaco e
sugli Interventi Terapeutici



13 DICEMBRE 2021
DOCUMENTO DI SINTESI

CASA DELL'AVIATORE
Viale dell'Università 20 | **ROMA**

SOSTENIBILITÀ IN ONCOLOGIA

COME CONCILIARE
RICERCA, VALORE SCIENTIFICO, PREZZO E ACCESSIBILITÀ

OPINIONI A CONFRONTO

CONGRESSO

promosso da

SIFEIT

Società Italiana per Studi di Economia ed Etica sul Farmaco e sugli Interventi Terapeutici



PREMESSA

Come riportato nel programma (all.), se da un lato assistiamo ad una crescente domanda di salute, dall'altro è indubbio che molti farmaci cosiddetti innovativi hanno portato e porteranno un notevole guadagno in termini di sopravvivenza e di qualità di vita del paziente.

In tale contesto, la sostenibilità della spesa farmaceutica, in particolare di quella ospedaliera e ancora di più in ambito oncologico, è e continuerà ad essere un serio problema, anche in presenza del positivo impatto economico dei farmaci biosimilari.

Pur riconoscendo un indubbio valore alle iniziative intraprese per definire una metodologia di approccio, rigorosamente scientifico, il numero dei farmaci autorizzati in ambito oncologico continua, per fortuna, a crescere, sebbene non tutti sembrano fornire vantaggi "consistenti", ma, anzi, in alcuni casi modesti o solo in alcuni sottogruppi di pazienti.

Con queste premesse, risulta opportuno ripensare e rivedere la metodologia di approccio alla valutazione dei farmaci oncologici in modo che possa permettere sia di offrire sostanziali benefici per i pazienti, sia di ottimizzare la relativa spesa, in funzione dei risultati ottenuti.

CONSIDERAZIONI, CRITICITÀ E SUGGERIMENTI

Alla luce di queste premesse sono stati presentati e discussi diversi aspetti scientifici, economici e di accessibilità.

In ambito oncologico, si è aperta la fase del modello mutazionale, a fronte di una progressiva disponibilità dei test di profilazione genomica e della recente approvazione di trattamenti agnostici, che colpiscono le alterazioni molecolari, indipendentemente dall'organo malato; questa fase si affianca e si integra al modello tradizionale di tipo istologico e permette di assicurare un trattamento personalizzato.

È altresì evidente che il passaggio dal modello istologico, a quello mutazionale non è affatto semplice considerato che i due modelli dovranno "convivere" ancora e questo implica una notevole complessità gestionale del governo clinico ed economico.

SI RIPORTANO ALCUNI DEI PRINCIPALI ASPETTI DISCUSSI DURANTE IL CONGRESSO.

- »»»»» Ricerca di precisione: per migliorare l'efficienza degli studi clinici in oncologia sono stati sviluppati nuovi disegni (umbrella e basket trial, master protocols, studi adattativi). **È opportuno valutare, definire e finanziare una piattaforma comune volta ad identificare il trattamento idoneo al singolo paziente. Il sistema attuale di valutazione dovrà adattarsi ai nuovi modelli.**
- »»»»» Circa il 40% degli studi clinici in Italia è in oncologia e in oncologia si registra la mortalità più bassa rispetto alla media europea. Oncologia e malattie rare sono le due aree con più studi clinici attivi. **È auspicabile incrementare le risorse finanziarie, potenziare i network “oncologici”, con regia di AIFA e Regioni, e la premialità per l'innovazione.**
- »»»»» Impatto economico dei cambiamenti in efficacia dei farmaci oncologici e necessità di estrapolazione del dato di sopravvivenza nel medio-lungo periodo. **Implementazione di modelli previsionali, di studi RWE e maggiore cooperazione pubblico/industria/Società Scientifiche nella ricerca in oncologia.**
- »»»»» Linee guida nazionali e appropriatezza prescrittiva. **È necessario attivare un tavolo fra Istituzioni, Società Scientifiche, Industria e Stakeholders interessati.**
- »»»»» Ripristinare l'uso dei registri a fini della valutazione del rapporto rischio/beneficio/costo. **Ottimizzare i dati provenienti dai registri per rivalutare efficacia, costo, appropriatezza e sostenibilità dei farmaci oncologici.**
- »»»»» La crescita di utilizzo dei biosimilari riduce la spesa complessiva e a fronte di una decrescita del 4% del mercato biosimilare a volumi, la spesa si riduce di oltre il 50%. **Continuare a promuovere l'utilizzo dei biosimilari per liberare risorse da destinare all'innovazione.**
- »»»»» Nel pieno rispetto della miglior terapia disponibile per ogni singolo paziente, è possibile ipotizzare una maggiore limitazione all'utilizzo e al costo di farmaci che offrono vantaggi modesti e/o solo in sottopopolazioni. **Rivedere i criteri scientifici, clinici e regolatori per i farmaci oncologici innovativi.**
- »»»»» Differenze approvative tra FDA ed EMA; la seconda risulta essere più rigorosa nel giudizio. **Riconsiderare il livello degli studi presentati a supporto della domanda di P&R, l'approvazione accelerata, i confronti da inserire negli studi randomizzati?**
- »»»»» Il “nuovo” fondo unico per gli innovativi sembra essere sufficiente. **Rivedere i criteri scientifici, clinici e regolatori per i farmaci oncologici innovativi; ottimizzare i dati dai MEAs e/o meccanismi che permettono di spalmare nel tempo il pagamento; ottimizzare i dati provenienti dai database esistenti.**
- »»»»» Definire i criteri scientifico/clinici che dovrebbero identificare un farmaco oncologico come “insostituibile” e cosa succede ai farmaci che escono e/o usciranno dal fondo. **Rivedere i criteri scientifici, clinici e regolatori per i farmaci oncologici innovativi.**
- »»»»» Peso delle condizioni di rimborso negli altri Paesi sulle decisioni nazionali. **Database europeo su domande di P&R, MEAs, criteri di innovatività.**

- »»»»» Peso dell'incertezza crescente sulle evidenze nella negoziazione del prezzo. **Il processo di innovazione deve essere considerato come un processo dinamico e valutato durante l'uso del farmaco.**
Sono ipotizzabili nuovi modelli di pagamento, più flessibili rispetto a quanto in vigore attualmente (es. rimborso condizionato: concessione temporanea del rimborso subordinata alla raccolta di nuovi dati e ad un'ulteriore revisione delle prove, con rinegoziazioni di prezzo) e adeguamenti normativi: es. accesso accelerato specie per tecnologie innovative con maggiore incertezza nella definizione dei risultati a lungo termine.

- »»»»» Ruolo delle Associazioni dei pazienti. **Sicuramente di primo piano ma anche di rispetto del rigore scientifico, economico e sociale delle valutazioni effettuate dagli stakeholders interessati.**

- »»»»» Implementare le azioni per le aree di risparmio. **Si deve insistere su educazione sanitaria, screening, prevenzione e presenza delle reti. Il rimborso del farmaco deve essere parametrato all'efficacia reale (forse quello che era valido 3 anni fa potrebbe non esserlo più oggi).**

- »»»»» Istituzione del Molecular Tumor Board (MTB), per gestire la complessità e la sostenibilità dei test da utilizzare. **Certamente necessario, ma è opportuno considerare e definire un numero massimo di MTBs (1 per Regione o 2 per le Regioni con più ampio bacino di utenza). La governance di questi MTBs deve necessariamente essere centralizzata e accreditata in AIFA, a fronte di criteri e procedure chiare e trasparenti.**

- »»»»» Rivedere i criteri dell'innovazione. **Certamente sì, riconsiderando i criteri scientifici, clinici e regolatori per i farmaci oncologici innovativi.**

- »»»»» Identificazione delle azioni necessarie a sostenere economicamente e finanziariamente queste scelte, ormai non più rinviabili. **Il farmaco soprattutto oncologico innovativo deve essere considerato come un investimento in particolare nel nostro SSN. Per renderlo sostenibile è necessario migliorare l'educazione sanitaria, la prevenzione, la gestione ospedale territorio, la gestione della cronicità, l'utilizzo dei biosimilari ed altro ancora, per produrre "ricchezza di salute".**

FRA QUESTI ASPETTI SONO STATI IDENTIFICATI I SEGUENTI COME PRIORITARI:

- a) Identificazione delle mutazioni con approcci omogenei e MTBs condivisi**
Definizione di un comitato di esperti inter-regionale e organizzazione centralizzata di database per patologie oncologiche e rare coordinato da AIFA o dall'ISS.
- b) Nuovo modello di riconoscimento dell'innovatività**
Rivedere i criteri scientifici, clinici e regolatori dell'attribuzione dell'innovatività per i farmaci oncologici innovativi, unitamente a nuovi modelli di pagamento come, ad esempio, la definizione di un prezzo "di base" al momento dell'ottenimento dell'AIC, con eventuale, ulteriore revisione e rivalutazione delle prove e rinegoziazione del prezzo.
- c) Ruolo delle Associazioni pazienti**
Il parere dei pazienti dovrebbe avere un ruolo "ufficiale" nella definizione della innovatività di un prodotto nel pieno rispetto del rigore scientifico, economico e sociale delle valutazioni effettuate dalle Autorità Sanitarie e dagli stakeholders interessati.

In tale contesto SIFEIT, AIOM, Farindustria e IQVIA si rendono immediatamente disponibili, come interlocutori attivi e costruttivi, a collaborare e propongono di attivare al più presto un tavolo di lavoro multidisciplinare, anche con gli altri stakeholders interessati per favorire una rapida attivazione di tutte le azioni opportune e necessarie alla puntuale e completa implementazione delle attività relative ai punti sopra citati.

FACULTY

Giuseppe Assogna Presidente SIFEIT, Roma
Maurizio Belgiglio Dirigente Ufficio Ricerca Indipendente AIFA, Roma
Giordano Beretta Presidente Fondazione AIOM, Bergamo
Sergio Bracarda Direttore S.C. di Oncologia Medica e Traslazionale – Direttore del Dipartimento di Oncologia, Azienda Ospedaliera Santa Maria, Terni
Stephane Broucker Presidente e Amministratore Delegato Ipsen Italia, Milano
Enrico Cortesi Direttore dell'Oncologia Medica, Azienda Policlinico Umberto I, Roma
Jan Kirsten General Manager Healthcare Merck Italia, Roma
Sergio Liberatore Presidente e Amministratore Delegato IQVIA Italy and Greece, Milano
Andrea Magrini Direttore Sanitario PTV Policlinico Tor Vergata, Roma
Antonietta Martelli Professore ordinario di Farmacologia Dipartimento di medicina interna e specialità mediche - DIMI, Genova – Consigliere SIFEIT
Pierluigi Navarra Professore ordinario di Farmacologia Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma – Vicepresidente SIFEIT
Marcello Pani Segretario Nazionale SIFO, Roma
Giovanni Pappagallo Epidemiologo Clinico, Treviso
Claudio Pisanelli Referente Nazionale SIFO, Roma
Giuseppe Quintavalle Direttore Generale Fondazione PTV, Policlinico Tor Vergata, Roma
Fausto Roila Professore Ordinario di Oncologia Medica, Perugia
Massimo Scaccabarozzi Presidente Farindustria, Roma
Federico Spandonaro Presidente C.R.E.A. Sanità – Università Telematica San Raffaele, Roma – Consigliere SIFEIT
Marco Zibellini Direttore della Direzione Tecnico Scientifica di Farindustria, Roma



Società Italiana per Studi di Economia ed Etica sul Farmaco e
sugli Interventi Terapeutici

Sede del **Segretario**
c/o Società CP Associati S.r.l.

 Via Panama 58 | 00198 Roma

 +39 339 3639907

 info@sifeit.it