

# L'impatto dei farmaci innovativi in oncologia Sostenibilità e ruolo dei pazienti

Roma 12 maggio 2016  
Carla Collicelli – Fondazione Censis



## Ricerca e farmaci antitumorali

- Ad oggi disponibili 132 farmaci antitumorali
- Negli ultimi 15 anni immessi sul mercato 63.
- Circa 1 sostanza su 10 mila supera le prove per essere approvata
- Non più di 2 farmaci su 10 consentono di ammortizzare i costi di ricerca e sviluppo
- Gli investimenti possono superare 1 miliardo di euro per farmaco

# I costi delle cure oncologiche

- Deciso aumento: da **42,20 euro** nel periodo 1995-1999 a **203,47 euro** nel periodo 2010-2014 il costo giornaliero medio di un farmaco antineoplastico
- Da **3.853 euro** nel 1995-1999, a **44.900 euro** nel 2010-2014 il costo medio di una terapia complessiva
- La spesa per farmaci oncologici in Italia è passata da circa **1 miliardo** nel 2007 a **2 miliardi e 200 milioni** nel 2014.

# La durata della terapia

La media della durata complessiva della terapia con nuovi farmaci antitumorali è progressivamente aumentata:

- da **118 giorni** nel quinquennio 1995-1999
- a **263 giorni** per i nuovi farmaci introdotti nel 2010-2014.

# I pazienti chiedono risposte più eque e lungimiranti

Secondo dati Censis:

- il **53,8% dei pazienti** pensa che la messa a disposizione di terapie innovative e personalizzate sia una priorità
- il **78,8%** ritiene che “troppi farmaci per patologie gravi siano a carico dei pazienti”
- **l’83%** che il ticket penalizzi le persone malate

# I tempi di immissione sul mercato dei farmaci innovativi vanno ridotti

Secondo lo studio Censis-FAVO-AIOM del 2015, i tempi di accesso per i nuovi prodotti oncologici sono stati in Italia tra 2008 e 2013 in media di complessivi **427 giorni**, contro i 109 del Regno Unito, i 364 della Francia e gli 80 della Germania

# Come decidere sulla innovatività

- Nella *Consensus degli International Society of Drug Buletins* (ISDB) di Parigi nel 2001, si è definita innovazione terapeutica ciò che ha un **valore terapeutico aggiunto in termini di efficacia, sicurezza e convenienza economica**, rispetto alle opzioni terapeutiche esistenti.
- Da anni si insiste sulla necessità di introdurre maggiore interazione tra i diversi soggetti (regolatori, del finanziamento, della utilizzazione clinica) sin dalle fasi iniziali dello sviluppo del farmaco, anche a partire dal **“mondo reale”** e dalle **indicazioni dei pazienti**.

# L'Organizzazione Mondiale della Sanità

Un Rapporto WHO del 2015 indica gli elementi aggiuntivi richiesti, rispetto alla efficacia clinica, e cioè:

- **miglioramenti negli *outcome* rilevanti per il paziente**, anche in termini di qualità della vita;
- **miglioramenti degli *end-points* definiti clinicamente**;
- **miglioramenti di impatto in senso lato**, come quelli registrabili nella **qualità della vita dei caregiver** o nel **sistema generale di cure** o in termini economici.



# L'Agenzia Europea

Nell'ambito del progetto MAPPs per *l'adapting licensing*, le aziende hanno un **“dialogo precoce”** con EMA, di supporto al disegno dei trials per i nuovi farmaci, ed anche in relazione alla utilizzazione di dati provenienti dal *“real world”*, secondo una impostazione nuova centrata sulla individuazione di risultati positivi in piccole coorti di pazienti

# Il ruolo dei pazienti

- Secondo EMA: *“l’importanza di un dialogo continuo e precoce tra stakeholder e autorità competenti nell’ambito dello sviluppo dei farmaci è ampiamente riconosciuta e (...) vi sono molti possibili approcci per il coinvolgimento dei pazienti e degli operatori nella attività delle agenzie regolatorie europee”*.
- L’EMA riconosce che pazienti, consumatori ed operatori sanitari sono *“facilitatori-chiave” (key facilitators)* rispetto ai processi di interazione con la comunità sociale ampiamente intesa, in particolare per quanto riguarda la sicurezza dei farmaci e la accessibilità per i malati.
- Su questo ultimo punto nel 2014 pazienti, consumatori ed operatori sono stati coinvolti nella revisione attuata dall’EMA su diverse tipologie di prodotti.

# Per una nuova HTA

Accanto agli indicatori classici della HTA, si insiste sempre più a livello internazionale su quelli derivanti dai pazienti e dalla comunità scientifica.

Studi internazionali mettono in evidenza:

- l'esistenza di "*parallel advice and protocol*" in procedure EMA-HTA su farmaci oncologici, che comprendono anche *meeting face-to-face* con tutti gli stakeholder;
- la presenza, nei diversi paesi, di procedure HTA che considerano, oltre ai benefici terapeutici in senso stretto, i benefici **per il paziente, per l'equità e per l'impatto generale sul sistema della salute.**

# Le proposte di FAVO

- La **qualità della vita** del paziente e il taglio dei **costi sociali** in capo a pazienti e familiari come criteri ordinatori di una innovazione ad alto impatto sociale ed economico
- Analisi valutative sulla **efficienza della spesa** sanitaria tra prevenzione, terapia farmacologica e riabilitazione, e tra cure domiciliari e cure in regime ospedaliero
- Potenziamento dei **Registri di patologia**, come strumento di monitoraggio e valutazione dell'impatto delle terapie, sia dal punto di vista clinico che da quello economico, nonché rispetto al controllo delle disparità
- Rafforzamento delle **reti di dati epidemiologici**, di *real life* e clinici
- Rafforzamento della collaborazione con le **associazioni dei malati** e gli altri stakeholder, in termini di supporto alle valutazioni e di collaborazione costruttiva nelle decisioni di investimento e rimborso
- Ridefinizione degli obiettivi della **HTA** e delle responsabilità delle diverse istituzioni, e sviluppo di forme di accompagnamento di valutazioni, autorizzazioni, immissione in commercio e definizione dei prezzi
- Monitoraggio della **appropriatezza prescrittiva** e terapeutica in tutte le fasi della malattia e delle cure
- Maggiore **coordinamento** italiano con il lavoro delle Agenzie di HTA degli altri paesi europei (circa 50);
- Adeguata modernizzazione del **supporto** tecnologico per le nuove funzioni da svolgere, ed un nuovo assetto funzionale