

POSITION STATEMENT FARMINDUSTRIA

**GARANTIRE
UN ACCESSO RAPIDO
E SOSTENIBILE AI FARMACI
DI TERAPIE AVANZATE**



FARMINDUSTRIA

Introduzione

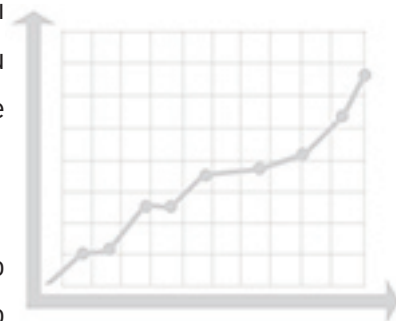
I farmaci di terapie avanzate rappresentano uno straordinario esempio di come la ricerca biofarmaceutica sia capace di esprimere le grandi potenzialità della convergenza tra scienza, tecnologia e pratica clinica. Tuttavia, per garantire concretamente ai pazienti l'accesso ai frutti di questa ricerca è necessaria un'evoluzione dell'organizzazione dei sistemi sanitari, dei modelli di valutazione e riconoscere il valore innovativo e le peculiarità di queste terapie. È fondamentale, quindi, che insieme ai progressi della Ricerca e dell'Innovazione procedano di pari passo quelli della regolamentazione farmaceutica, con politiche sanitarie dinamiche e all'avanguardia.

Per questo Farindustria chiede che il positivo confronto con Istituzioni ed Enti regolatori affronti anche questo tema di grande importanza, al fine di condividere gli elementi comuni dello scenario, con le seguenti finalità:

Assicurare la sostenibilità per i farmaci di terapie avanzate

Fino a oggi, la maggior parte dei farmaci per terapie avanzate sono stati caratterizzati da un costo iniziale elevato. Questa caratteristica è attribuibile in parte alla complessità della loro produzione, ai notevoli investimenti in ricerca e sviluppo, alle dimensioni ridotte della popolazione di pazienti a cui si rivolgono essendo, infatti, in gran parte destinati al trattamento di patologie rare o comunque a numeri estremamente limitati di pazienti, ed alle loro peculiari modalità di somministrazione, ma soprattutto al valore terapeutico offerto ai pazienti, spesso con una singola somministrazione, e ai conseguenti risparmi per la società e i sistemi sanitari che si distribuiscono su un orizzonte temporale pluriennale.

Di fronte a questo elevato costo iniziale, essendo la spesa farmaceutica considerata spesa corrente ed il relativo costo contabilizzato nello stesso anno in cui viene somministrato il farmaco,

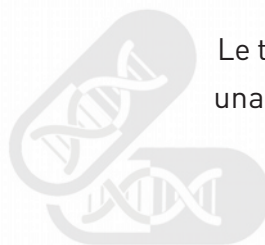


nascono evidenti problemi legati all'impatto sul bilancio con la conseguente percezione di non-sostenibilità per il Sistema sanitario (SSN).

- **È di fondamentale importanza, quindi, che le terapie avanzate siano considerate un investimento per il SSN e non spesa corrente in modo tale da poter ammortizzare la loro spesa su più anni e non limitare il loro impatto sul budget nell'anno in cui vengono effettivamente somministrate.**
- **Far evolvere i modelli di condivisione del rischio per limitare l'incertezza relativa all'entità e alla durata del beneficio clinico apportato, sostenendoli con un adeguato finanziamento.**



Definire un value framework per i farmaci di terapie avanzate.



Le terapie avanzate rappresentano una frontiera dell'innovazione tra le tecnologie sanitarie, con caratteristiche peculiari sia per le modalità di somministrazione, sia per il meccanismo con il quale esercitano la loro azione terapeutica.

La loro disponibilità è in grado di portare ai pazienti effetti curativi e a lungo termine, dai quali si potranno generare risparmi significativi per il Sistema sanitario (ad esempio minori ospedalizzazioni, riduzione delle co-morbilità e dei trattamenti associati, riduzione dei costi ospedalieri, terapeutici e infermieristici e di assistenza domiciliare) e benefici per la società (ad esempio diminuendo i giorni di malattia, aumentando la qualità della vita e la produttività, maggiore gettito fiscale, liberando risorse previdenziali destinate all'assistenza).



Per tali motivi, i farmaci di terapie avanzate e, più in generale, i farmaci con caratteristiche simili a queste, hanno bisogno di un sistema di valutazione del loro valore più flessibile rispetto a quello attuale, che tenga conto di una gamma più ampia di potenziali benefici e risparmi economici.

- **È necessario identificare nuove metodologie di valutazione capaci di riconoscere il valore dei farmaci di terapie avanzate che vadano oltre un approccio conservativo basato esclusivamente sui benefici clinici e sull'impatto del loro costo sul budget farmaceutico, ma tengano conto della capacità di generare risparmio sul Sistema Sanitario e Previdenziale e più in generale sulla società.**

Inoltre, per rendere più veloce l'accesso ai pazienti, i farmaci di terapie avanzate seguono percorsi regolatori accelerati e centralizzati, e questo ha creato, paradossalmente, un disallineamento tra le evidenze necessarie

alle Autorità regolatorie per autorizzare tali farmaci e quelle necessarie per una corretta determinazione del loro valore. Infatti, al momento del lancio del medicinale sul mercato tali evidenze presentano inevitabilmente delle incertezze associate al follow-up limitato degli studi registrativi e con una conseguente percezione limitata del loro valore.

- **È necessario ricercare una metodologia per la determinazione del valore che superi l'incertezza associata alle evidenze disponibili al momento del lancio del farmaco e che quindi vada oltre i requisiti regolatori necessari per autorizzare il farmaco al commercio.**

Ottimizzare la gestione e la somministrazione dei farmaci per terapie avanzate

Le terapie avanzate sono farmaci biologici che richiedono modelli gestionali ed organizzativi peculiari. Oggi, non tutti i Centri che



potenzialmente potrebbero erogare queste terapie, possiedono le caratteristiche richieste per la loro gestione e somministrazione (procedure, personale formato, modelli organizzativi, ecc).

In tale contesto le imprese del farmaco che producono terapie avanzate sono disponibili in ottica di partnership strategica a condividere le proprie competenze con le Istituzioni preposte alla selezione dei criteri per l'accreditamento dei Centri.

- **È necessario, quindi, un precoce e maggiore coordinamento tra AIFA, Aziende e Regioni nella scelta dei criteri per la qualificazione dei Centri.**
- **Partendo dall'esperienza delle terapie oggi erogate, è utile definire un documento Guida comune per la qualificazione dei Centri che superi le differenze regionali.**

Nell'ambito delle interazioni tra le aziende farmaceutiche e il personale sanitario coinvolto

nella gestione e somministrazione della terapia, si evidenzia la necessità di un aggiornamento a livello normativo/regolatorio per assicurare che le informazioni sullo specifico prodotto di terapia avanzata e la sua gestione possa avvenire in maniera adeguata non solo al medico prescrittore, ma a tutti i membri del team multidisciplinare coinvolti nella erogazione di tali terapie.



- **È necessario, quindi, un inquadramento normativo/regolatorio di figure aziendali responsabili dei rapporti con i Centri relativamente alla TA (gestione del farmaco, somministrazione, formazione e informazione scientifica).**

Note

1 Regolamento (CE) N. 1394/2007 del Parlamento Europeo e del Consiglio del 13 novembre 2007 sui medicinali di terapie avanzate recante modifica della direttiva 2001/83/CE e del Regolamento (CE) n. 726/2004

FARMINDUSTRIA

Largo del Nazareno 3/8 - 00187 Roma

T: 06 675801

Avenue de la Joyeuse Entrée 1 - B1040 Bruxelles

T: +32 2 2861255

farmindustria@farmindustria.it

www.farmindustria.it



FARMINDUSTRIA