



*A stilare il documento di posizione sono stati gli esperti del Workshop di Economia e Farmaci dell'Università Cattolica di Roma insieme a tutti gli attori di sistema, dagli economisti agli oncologi, dai farmacologi ai clinici alle associazioni pazienti*



Roma, 13 novembre 2019 - Un documento di posizione in 4 punti rivolto alle istituzioni interessate per mutare la situazione italiana, ancora per certi aspetti arretrata rispetto agli altri paesi europei, sui farmaci innovativi oncologici, molecole costose ma in alcuni casi imprescindibili.

A stilare il documento di posizione sono stati gli esperti del Workshop di Economia e Farmaci dell'Università Cattolica insieme a tutti gli attori di sistema, dagli economisti agli oncologi, dai farmacologi ai clinici alle associazioni pazienti. Obiettivo, rendere accessibili a tutti e in tempi rapidi i farmaci innovativi, neutralizzando ritardi burocratici che mettono a rischio la vita dei pazienti. Infatti, sebbene sia recente la notizia del via libera alla riconferma e al rifinanziamento del fondo per i farmaci innovativi per il triennio 2020-2023, secondo gli esperti presenti al convegno ancora c'è molto da fare per garantire i migliori percorsi di gestione e di accesso.

Il documento è stato presentato in occasione del I Workshop di Economia e Farmaci in Immuno-Oncologia - WEF IO 2019 tenutosi oggi a Roma presso la Sala Zuccari di Palazzo Giustiniani e propone alcune azioni nell'ambito della gestione degli innovativi oncologici: in primis è necessario, specie quando questa terapia rappresenta la migliore cura disponibile per un dato tumore (come ad esempio nei pazienti con melanoma avanzato senza mutazioni di BRAF), garantire le risorse necessarie all'erogazione e, nello stesso tempo, la sostenibilità di sistema. Per tutto questo (e per i nuovi farmaci in arrivo) è necessario mantenere separati i due fondi ad hoc: quello riservato ai farmaci innovativi e quello riservato agli innovativi oncologici.

Inoltre è necessario garantire l'accesso dei pazienti alle combinazioni terapeutiche che si sono dimostrate efficaci, valutando modelli di rimborso basati sul valore specifico della terapia (es. l'immuno-combinazione dimostrata molto attiva nel melanoma: 16 paesi europei a partire dal 2016 già rimborsano questa combinazione, mentre solo una regione italiana ha istituito un fondo ad hoc).

Il Workshop di Economia e Farmaci (WEF) nell'ambito delle varie aree terapeutiche affrontate, costituisce una occasione di confronto per sollecitare posizioni politiche basate sulle evidenze scientifiche, spiegano i responsabili scientifici prof. Americo Cicchetti, Direttore Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS), Ordinario di Organizzazione Aziendale, Università Cattolica del Sacro Cuore, e il prof. Antonio Gasbarrini, Ordinario di Gastroenterologia all'Università Cattolica del Sacro Cuore, e direttore dell'Area di Medicina Interna e Gastroenterologia della Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, Roma.

Pertanto un gruppo affiatato di lavoro multidisciplinare che include clinici, farmaco-economisti, farmacologi, bioeticisti e pazienti, studia le patologie a più elevato impatto sulla spesa sanitaria, per valutarne le diverse dimensioni cliniche, economiche e sociali e fornire alle Istituzioni le evidenze necessarie a prendere decisioni solide e condivise.

Il WEF Immuno-oncologia 2019 ha affrontato i temi dell'impatto economico e sociale legati alle malattie oncologiche oltre che la sostenibilità della spesa sanitaria e farmaceutica per l'immunoterapia.

“I Workshop di Economia e Farmaci (WEF) hanno lo scopo di fare proposte concrete di miglioramento per la sostenibilità del nostro Sistema Sanitario Nazionale - sottolinea il prof. Gasbarrini - e quest'anno abbiamo ritenuto fosse fondamentale riunire tutti gli stakeholder coinvolti in un'area terapeutica cruciale quale l'oncologia. Le proposte che sono emerse dalla discussione tra gli esperti coinvolti nel I WEF IO 2019 sollecitano pochi ma fondamentali interventi urgenti da parte delle Istituzioni. È indispensabile che il fondo per i farmaci innovativi venga rifinanziato per un altro triennio ma deve essere garantito ai pazienti l'accesso alle migliori terapie oncologiche indipendentemente dal termine dei 3 anni canonici attribuiti in sede di registrazione. In un'ottica di sostenibilità e di equità di accesso è quindi fondamentale che, in caso non ci siano valide alternative terapeutiche, i farmaci oncologici possano beneficiare del fondo per un periodo più lungo, se necessario estendibile fino a 5 anni”.

“Un altro punto su cui è indispensabile prendere provvedimenti immediati è l'accesso a terapie immunoterapiche approvate dall'EMA che risultano disponibili in Italia spesso con grande ritardo o, peggio, vengono bloccate nel nostro Paese, quali ad esempio le immuno-combinazioni. La mission del WEF è farsi portavoce di queste proposte come già fatto con successo in altri ambiti, primo tra tutti l'HCV”, prosegue Gasbarrini.

“In una condizione di scarsità di risorse come quella attuale - aggiunge il prof. Cicchetti - è necessario adottare una logica 'value based' anche per i farmaci oncologici innovativi come le immunoterapie, alzando l'asticella per garantire rimborsabilità e accesso solo a ciò che effettivamente genera un vantaggio per i pazienti e per il sistema. L'AIFA dovrebbe quindi puntare a un sistema di definizione del prezzo strettamente legato al valore del farmaco. Cruciale, quindi, promuovere un approccio in cui l'analisi del valore clinico ed economico procedano di pari passo”.

In altri termini, per dare valore al farmaco non ci si può limitare al riconoscimento dell'unmet need e del valore clinico aggiuntivo: è cruciale considerare ulteriori parametri determinanti quali il valore aggiunto del farmaco alla Quality of Life del paziente di riferimento (es. i farmaci per via orale rispetto a quelli per via endovenosa) e i fattori organizzativi, l'impatto sul servizio sanitario nazionale (superando la logica dei silos di spesa) e i costi indiretti (es. giornate lavorative perse dal paziente e dai caregiver per seguire le terapie etc.). Tutti aspetti da valutare quando si decide sulla rimborsabilità e il prezzo di un farmaco.

“Abbiamo evidenziato più volte il problema dei lunghi tempi che attende un malato per avere accesso a farmaci innovativi - sottolinea Francesco De Lorenzo, presidente della Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO) - in questo senso giocano un ruolo notevole la mancata osservanza da parte della AIFA del DL n.69/2013 che prevede l'obbligo di valutare ai fini della classificazione e rimborsabilità le domande dei farmaci innovativi in un periodo massimo di 100 giorni, nonché la presenza dei proutari regionali che ritardano l'accesso ai farmaci innovativi e salvavita creando disparità tra i pazienti delle diverse regioni, con tempi talvolta incompatibili con la stessa aspettativa di vita del paziente. Un farmaco - rileva l'esperto - da quando l'azienda farmaceutica deposita il dossier di autorizzazione e valutazione presso l'EMA a quando diviene effettivamente disponibile al paziente nella prima regione in cui il farmaco viene movimentato, necessita di un tempo medio di 806 giorni, ovvero 2,2 anni. Tale scenario muta quando viene valutata la movimentazione nell'ultima regione individuata, passando a 1.074 giorni, ovvero circa 3 anni”.

“C'è anche una terribile sperequazione tra i malati di cancro che ci preoccupa - continua De Lorenzo - in alcune Regioni tra cui il Lazio le AO/IRCCS privati accreditati non possono erogare farmaci innovativi allo stesso modo di una struttura pubblica, perché il rimborso per questi farmaci avviene solo per l'80% dei costi sostenuti per erogarli. Questo provvedimento è inaccettabile perché interrompe il rispetto del principio dell'alleanza terapeutica tra medici e pazienti, questi ultimi costretti a migrare da una struttura ospedaliera a un'altra per avere accesso ai farmaci innovativi”.

È necessario, infine, istituire procedure di valutazione accelerate per i medicinali di maggiore interesse terapeutico e procedure per ottenere autorizzazioni temporanee soggette a condizioni annualmente verificabili. L'EMA ha adottato diversi strumenti per accelerare le procedure di autorizzazione dei nuovi farmaci, che potrebbero essere adottati anche a livello nazionale nel nostro paese e comunque sempre nel pieno rispetto dell'appropriatezza e della sostenibilità.

Diseguaglianze nelle strategie di controllo e nell'assistenza dei pazienti oncologici, correlate a problematiche organizzative e amministrative sono ancora presenti nel nostro Paese, con le ben note ripercussioni sia sugli outcome clinici, sia di ordine sociale e economico, spiega il dott. Carmine Pinto, Direttore di Oncologia Medica, Clinical Cancer Centre, AUSL-IRCCS di Reggio Emilia.

“Esistono differenze regionali su qualità e organizzazione dei percorsi assistenziali come nel rimborso dei farmaci - spiega il dott. Pinto - La realizzazione e l'attivazione delle Reti Oncologiche Regionali, non più procrastinabile, insieme a modelli amministrativi univoci e rapidi sull'intero territorio nazionale, potrebbero ottimizzare in maniera sostanziale il percorso clinico-gestionale del paziente”.

Dalla sua creazione, il fondo ha garantito le risorse per l'accesso dei pazienti alle nuove terapie rimediando ad alcune criticità. Innanzitutto, i farmaci ammessi nel Fondo non necessitano dell'inserimento nei proutari regionali e diventano pertanto immediatamente disponibili per i pazienti, in ambito regionale, dopo che l'AIFA ne ha determinato rimborsabilità e prezzo, riducendo il lasso di tempo tra l'approvazione dei farmaci a livello europeo e in Italia e il concreto accesso al mercato in ambito locale.

Il Fondo dal 2017 ha consentito di garantire le risorse per i farmaci innovativi in oncologia, in maniera uniforme, sull'intero territorio nazionale. Ricordiamo che solo nel 2018 la spesa per farmaci innovativi oncologici con accesso al Fondo è stata pari a 676.286.202 euro.

Nell'attuale sistema, il fondo dedicato ai farmaci innovativi oncologici è nato come misura emergenziale, dunque pianificata con una durata e termine temporale stabiliti. Infatti, il fondo per i medicinali oncologici innovativi è finanziato per gli anni 2017-2019 integralmente mediante l'utilizzo di risorse del comma 393 legge 232-2016. L'articolo 1 comma 402, della Legge 11 dicembre 2016, n. 232 (Legge di bilancio 2017), stabilisce invece che il riconoscimento dell'innovatività e i benefici conseguenti possano avere una durata massima fissata a trentasei mesi.

Nonostante il rinnovo del fondo garantito recentemente dal viceministro della Salute Sileri per un altro triennio, allo scadere del termine dei 36 mesi, farmaci oncologici ancora innovativi nell'impiego quotidiano in clinica sono usciti dal fondo (come nel caso del melanoma e del tumore del polmone). Il processo di uscita dal fondo di farmaci innovativi non sostituiti da altri farmaci più innovativi per la stessa patologia dovrebbe essere rivisto per assicurare la sostenibilità.

L'accesso tempestivo all'innovazione rappresenta una sfida cruciale per il Servizio Sanitario Nazionale, per garantire l'opzione di cura più innovativa per pazienti altrimenti privi di una alternativa terapeutica valida e, contestualmente, l'equilibrio di bilancio e la complementare sostenibilità di sistema. L'aver rifinanziato il fondo per i farmaci innovativi oncologici per un altro triennio è un passo importante, sostengono gli esperti del WEF. La creazione di tale fondo, infatti, ha consentito di superare le problematiche legate ai tetti di spesa della farmaceutica ospedaliera, garantendo l'accesso all'innovazione come opportunità di cura fondamentale per i pazienti oncologici.

“E l'ottimizzazione delle cure ai pazienti non passa solo per l'accessibilità ai farmaci ma anche dalla gestione multidisciplinare delle cure in una logica di team - conclude il prof. Cicchetti - È oramai ampiamente dimostrato che la prognosi per i pazienti oncologici migliora laddove le tecnologie innovative siano gestite secondo il migliore modello organizzativo possibile: la gestione integrata e multidisciplinare che purtroppo è ancora presente in modo variabile e differenziato tra regione e regione e nell'ambito della stessa regione tra ospedale e ospedale. È necessario uno sforzo comune che vede l'Agenzia de Farmaco, i clinici, il management aziendale i programmatori regionali con l'aiuto delle associazioni dei pazienti e dei cittadini per garantire reti oncologiche efficienti e snelle, team multidisciplinari formalmente costituiti e riconosciuti dotati di tutte le risorse necessarie. Il WEF-Immunoncologia, a questo proposito, si associa alla richiesta partita dall'ALTEMS (Università Cattolica del Sacro Cuore, 12 settembre 2019) di garantire una gestione integrata e multidisciplinare dei pazienti che potrebbe quindi confluire nei Livelli Essenziali di Assistenza a garanzia della tutela della salute di tutti i malati oncologici in tutte le regioni”.