



*Massimo Di Maio, AIOM: “L’accesso anticipato alle terapie già approvate a livello europeo è una grande opportunità e un diritto per i pazienti”. Il Presidente AIOM Giordano Beretta: “Troppi clinici giudicano insufficienti le loro conoscenze. Servono attività specifiche per evitare disparità di opportunità e di cura”*



Roma, 18 dicembre 2020 - Gli oncologi italiani incontrano alcune difficoltà nelle procedure per l’accesso anticipato alle terapie anticancro. E’ il così detto “early access” e nel nostro Paese esistono delle particolari norme che consentono e disciplinano la prescrizione di farmaci in molti casi già approvati dall’ente regolatorio europeo (EMA, European Medicines Agency) ma non ancora rimborsati dal nostro sistema sanitario nazionale.

La prima è la legge 648/1996 che consente di erogare un farmaco, in corso di sperimentazione clinica o con un’indicazione terapeutica diversa, essendo stato inserito in una lista approvata dall’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Esiste poi il Fondo AIFA del 5% che permette l’uso di farmaci orfani per il trattamento di patologie rare o di cure in attesa di commercializzazione.

Vi è la legge 94/1998 che autorizza l’utilizzo, “off label”, di particolari trattamenti sotto la responsabilità di un medico, e gli usi nominali che sono consentiti grazie alla fornitura gratuita del farmaco da parte

delle aziende farmaceutiche. Secondo un recente sondaggio promosso dall'AIOM (Associazione Italiana di Oncologia Medica) ben il 90% degli specialisti ha avuto esperienza diretta con l'early access per ottenere "in anteprima" i farmaci antitumorali.

Tuttavia il 33% dichiara di aver avuto problemi con le procedure burocratiche nella richiesta di un farmaco nell'ambito del Fondo 5% di AIFA. Uno su cinque dichiara invece di aver desistito dal portare avanti ulteriori richieste in seguito alle risposte negative da parte dell'ente regolatorio. Il 12% invece ha incontrato le stesse difficoltà nell'accesso alle terapie in base alla legge 648/1996. Il 22% invece ha riscontrato problemi nella richiesta dell'uso off label garantito dalla 94/1998. L'indagine viene presentata oggi con una conferenza stampa virtuale promossa nell'ambito di una campagna realizzata da AIOM e resa possibile con il supporto non condizionato di AstraZeneca.

“L'accesso anticipato ad alcune terapie rappresenta una grande opportunità nonché un diritto per i pazienti oncologici - afferma Massimo Di Maio, Segretario Nazionale AIOM - Sono trattamenti assolutamente sicuri e di comprovata efficacia in quanto hanno già avuto un parere favorevole da parte delle autorità europee. Il loro utilizzo deve essere senza dubbio regolamentato da regole precise per garantire sempre la salute del malato e tutelare il lavoro dello specialista. Dalla nostra indagine però emergono delle oggettive problematiche procedurali per tutte e tre le norme vigenti in Italia. Per quanto riguarda, per esempio, le richieste al fondo 5%, l'AIFA deve necessariamente rispondere ad ogni domanda valutando il singolo caso. Il riscontro può arrivare in tempi variabili, a volte anche dopo oltre un mese, e questo rischia in alcuni casi di essere un tempo d'attesa troppo lungo”.

“Quando richiediamo l'accesso anticipato ad un farmaco è molto spesso per curare tumori, rari o frequenti, in stadi avanzati, spesso dopo il fallimento delle terapie standard - prosegue Di Maio - Il nostro auspicio è che l'AIFA riesca ad accelerare i tempi di approvazione, compatibilmente con il fatto che l'attuale accesso al fondo prevede una valutazione paziente per paziente e non è prevista un'approvazione automatica per ogni singola indicazione”.

Il sondaggio promosso dall'AIOM evidenzia anche la non sempre ineccepibile preparazione degli oncologi italiani su questo particolare aspetto della loro professione. Il 19% sostiene di avere un aggiornamento insufficiente sui programmi di expanded access e uso nominale: vale a dire con un farmaco fornito gratuitamente dall'azienda farmaceutica. Il 26% afferma di non essere preparato in modo adeguato sulle norme che regolano il Fondo del 5%. Il 15% sostiene lo stesso per quanto riguarda invece le richieste di un farmaco off label.

“Sono ora necessarie e non più rinviabili delle attività di formazione specifiche per tutti i medici

oncologici - sottolinea Giordano Beretta, Presidente Nazionale AIOM - Quello dell'early access è infatti un aspetto della nostra professione in continua evoluzione e che richiede un costante aggiornamento. Il rischio concreto è che vi siano delle disparità di opportunità di cura per i pazienti assistiti nelle varie strutture sanitarie. Più un oncologo medico sa destreggiarsi in questo ambito medico-burocratico complesso, più facilmente il malato potrà ottenere il prima possibile un farmaco innovativo. Siamo convinti che questo compito di formazione spetta in primis alle Società Scientifiche e quindi come AIOM avvieremo corsi specifici per i professionisti”.

Nel 2020 in Italia sono stimate complessivamente 377mila nuove diagnosi di tumore. Si calcola che almeno un paziente su quattro è tornato ad avere la stessa aspettativa di vita della popolazione generale e può considerarsi guarito. “E’ un risultato straordinario ed impensabile fino a soli pochi decenni fa - sostiene Francesco Perrone, Membro del Direttivo Nazionale AIOM - Tra i vari motivi di questo indubbio successo vi è anche la ricerca medico-scientifica che ha permesso la messa a punto di trattamenti più efficaci e su misura del singolo paziente. Le terapie innovative devono però essere messe quanto prima a disposizione di tutti i malati e dei clinici. AIOM in passato ha documentato come in Italia si possano riscontrare delle disparità nell’accesso ai farmaci anche a causa della regionalizzazione della nostra sanità. Come AIOM è invece nostro compito combattere le disparità, nonché favorire il più possibile la formazione degli specialisti”.

Dal sondaggio presentato oggi emerge infine come sette specialisti su dieci giudicano buona collaborazione tra oncologo e la farmacia ospedaliera nell’ambito dell’early access. “E’ una cooperazione fondamentale che va implementata - aggiunge Emanuela Omodeo Salè, direttrice della Farmacia dell’Istituto Europeo di Oncologia (IEO) - Le procedure di richiesta dei farmaci devono essere semplificate e i tempi di risposta da parte di AIFA vanno accorciati. Occorre però lavorare anche a livello di ogni singola struttura sanitaria per individuare le migliori modalità di richiesta e la gestione dei trattamenti innovativi”.

“Come specialisti abbiamo un’esperienza diretta maturata sul campo e siamo disponibili ad avanzare proposte concrete. Inoltre i farmacisti ospedalieri sono da sempre coinvolti nelle procedure di approvvigionamento dei farmaci, questa expertise maturata nel tempo rappresenta oggi un valore che possiamo condividere aiutando gli oncologi a meglio destreggiarsi tra le procedure di attivazione di fondi e richieste specifiche. In questo modo possiamo contribuire a ridurre la variabilità tra centro e centro nell’accesso ai farmaci in maniera equa per tutti i pazienti. Inoltre non dobbiamo dimenticare la possibilità di utilizzare al meglio programmi di uso compassionevole come previsto dal DM 7 settembre 2017, che possono permetterci l’accesso per casi definiti a farmaci anche in via di autorizzazione. Questa può essere una ottima opportunità per i pazienti di avere trattamento innovativo e per i clinici per rafforzare l’esperienza acquisita durante la sperimentazione in un contesto di real life”, conclude Emanuela Omodeo Salè.