



## DOCUMENTO DI SINTESI

WORKSHOP 18 GENNAIO 2016

**IL GOVERNO DELL'INNOVAZIONE FARMACEUTICA:  
MODELLI DI GOVERNANCE EQUA E SOSTENIBILE DEI  
FARMACI ONCOLOGICI AD ALTO COSTO**

**LUNEDÌ 18 GENNAIO 2016 WORKSHOP  
IL GOVERNO DELL'INNOVAZIONE FARMACEUTICA:  
MODELLI DI GOVERNANCE EQUA E SOSTENIBILE DEI  
FARMACI ONCOLOGICI INNOVATIVI AD ALTO COSTO**

**BIBLIOTECA DEL SENATO "GIOVANNI SPADOLINI"  
SALA DEGLI ATTI PARLAMENTARI - PIAZZA DELLA MINERVA 38 - ROMA**



**Mario Marazziti**

*Presidente XII Commissione (Affari Sociali), Camera dei Deputati*

Il settore farmaceutico in questi ultimi anni sta vivendo una rivoluzione di portata epocale. Ci troviamo di fronte ad una grande sfida: mettere a disposizione dei cittadini queste nuove opportunità terapeutiche senza creare gravi squilibri nei conti della sanità pubblica. Occorre mettere mano, con saggezza, al tema della separazione delle voci di spesa, dei tetti, tra farmaceutica territoriale e ospedaliera, per una visione più unitaria. Se i farmaci innovativi permetteranno di guarire e non finire più in ospedale, dovrà cambiare anche il modello ospedaliero e quello di spesa.

Negli ultimi due anni il tema dei farmaci innovativi è stato al centro dell'attenzione mediatica soprattutto per quello che riguarda la cura dell'epatite C. Per rispondere alle esigenze di salute dei nostri cittadini nelle due ultime leggi di stabilità è stato istituito un Fondo ad hoc. Per il prossimo futuro, sarà necessario avviare una riflessione più ampia che preveda risposte strutturali al tema dell'innovazione. Dobbiamo innanzitutto capire, come Paese, quali livello di costo-efficacia possiamo sostenere per poi dare mandato agli enti regolatori di trattare il prezzo di questi farmaci.

Sono altresì convinto che sarà poi necessario avviare una riflessione più ampia che preveda un confronto e una collaborazione a livello comunitario. Un'esigenza che era già stata posta proprio dal nostro Paese durante il semestre europeo di Presidenza italiana. Già in quella sede si era iniziato a discutere di una possibile negoziazione a livello europeo ed extra-europeo (ne ho parlato con il Quebec e possiamo trovare alleati) che possa far valere il peso dei grandi numeri, pur nel rispetto delle differenze di approccio di ogni singolo Stato. Si tratta di un progetto ambizioso che richiederà tempo in quanto la natura dei sistemi sanitari in Europa è molto variegata. L'Italia in questo contesto, potrà far valere la peculiarità del suo Servizio Sanitario che si distingue per il carattere solidale e universalistico.

## **Nicoletta Luppi**

*Presidente e Amministratore Delegato MSD Italia*

L'evento di oggi che, come MSD, sosteniamo con passione, si pone l'obiettivo di stimolare un dibattito tra tutti gli stakeholder per identificare un modello di *governance* della spesa farmaceutica che consenta contemporaneamente di preservare l'universalità del diritto alla salute, la sostenibilità economica del Servizio Sanitario Nazionale e di aumentare l'attrazione di investimenti in ricerca e sviluppo sul territorio nazionale.

L'attuale modello di regolamentazione che, fino ad oggi, è stato in grado di governare la spesa farmaceutica territoriale, si sta dimostrando sempre più incoerente con le dinamiche della spesa farmaceutica a livello ospedaliero ed emerge in modo sempre più chiaro l'esigenza di un nuovo modello che consenta di valutare in termini olistici la spesa sanitaria.

Ritengo non abbia più senso mantenere un tetto rigido per la spesa farmaceutica ospedaliera ponendo in capo alle aziende la responsabilità del suo sfioramento senza tenere in conto i risparmi prodotti in altre voci della spesa sanitaria o l'aumento dell'aspettativa e della qualità di vita dei pazienti.

Sarebbe, invece, auspicabile considerare un unico tetto di spesa ospedaliera al cui interno inglobare la componente farmaceutica o, in via sperimentale, scorporare dalla spesa farmaceutica ospedaliera alcune voci come quelle sui farmaci innovativi oncologici e quelli per le malattie degenerative del Sistema Nervoso Centrale.

**Walter Ricciardi**  
*Presidente ISS - Istituto Superiore di Sanità*

La sostenibilità dell'innovazione farmaceutica è una delle più grandi sfide per tutti i sistemi sanitari. Se nel ventesimo secolo abbiamo assistito a una riduzione della mortalità senza precedenti, almeno nei Paesi ricchi, il ventunesimo secolo sembra essere segnato da una domanda che pone una sfida che è innanzitutto di tipo etico. Chi potrà usufruire delle nuove tecnologie che stanno mettendo a dura prova la sostenibilità anche dei sistemi sanitari migliori, e come?

In campi come quello dell'oncologia si sono ottenuti i frutti più straordinari in termini di sopravvivenza negli ultimi decenni. Si tratta di conquiste così importanti che non possono restare appannaggio di pochi. La sfida, oggi, è proseguire il trend positivo di crescita della conoscenza creando un sistema in cui tutti concorrono per assicurare alla collettività l'accesso all'innovazione e alla salute.

Ma questo è solo un aspetto. Perché, invece, i tassi di sopravvivenza non siano strettamente correlati, come sempre più spesso accade, al reddito economico e, come mostrano anche recenti analisi, al grado di istruzione, è necessario far interagire diversi nodi del sistema e metterli in rete: oltre al welfare, è necessario che alla produzione di innovazione concorrano il sistema di ricerca pubblica, sostenuto e affiancato da quello privato, in particolare nella fase di sviluppo di nuove ed efficaci molecole, e riflettere però anche su nuovi sistemi brevettuali che proteggano gli investimenti delle aziende ma rendano possibile alla ricerca pubblica di collaborare nell'interesse della collettività.

Si tratta perciò di costruire reti con nuovi meccanismi di funzionamento e di comprendere che oggi tutte le parti sociali sono chiamate a collaborare nell'interesse comune perché nessun sistema è sostenibile da solo e soprattutto non si può derogare oggi alla conquista di un sistema solidaristico e universalistico che affonda le sue radici nei valori più alti della nostra cultura e nella nostra Carta Costituzionale.

**Marcella Marletta**

*Direttore generale della Direzione Generale dei Dispositivi Medici e del Servizio Farmaceutico  
del Ministero della Salute*

Negli ultimi anni, sono stati sviluppati diversi nuovi trattamenti, orientati ad esercitare un'azione farmacologica su specifici target biologici e/o destinati a sottogruppi di malati sulla base dell'espressione di specifiche caratteristiche genetiche o recettoriali. Questi elementi di innovazione stanno incidendo sull'approccio alla sperimentazione e valutazione dei farmaci innovativi, così come stanno incidendo successivamente sulla complessità dell'organizzazione sanitaria regionale richiesta nella dispensazione al paziente.

Il punto cruciale, senza ovviamente dimenticare gli aspetti metodologici, sembra essere rappresentato dal superamento di un modello di valutazione dell'innovazione dei farmaci basato forse, troppo, sugli aspetti qualitativi e che, al tempo stesso, non permette un collegamento diretto e proattivo con i risultati provenienti dalle valutazioni HTA e farmaco economiche.

A tal proposito, l'implementazione di un algoritmo dell'innovazione che focalizzi l'attenzione sulla reale valorizzazione dell'innovazione stessa potrebbe essere in grado, a mio giudizio, da una parte di fornire al decisore gli strumenti necessari per valutare le reali priorità in un'ottica di corretto utilizzo delle risorse e dall'altra di garantire una equità nell'accesso ai farmaci innovativi da parte dei cittadini nel rispetto di un corretto equilibrio economico-finanziario. Occorrerebbe rivedere la spesa ospedaliera calcolando i costi evitati:

- dividere la spesa farmaceutica in base alla patologia (farmaci oncologici solo nella spesa ospedaliera del settore oncologico)
- considerare un fondo speciale per l'oncologia cercando i finanziamenti dove si effettuano spese, per esempio nel tabacco, uno dei principali generatore di tumori. Si potrebbe, così, aumentare di un centesimo le sigarette e destinarlo al fondo.

## Paolo Bonaretti

*Consigliere per le Politiche industriali del Gabinetto del Ministro dello Sviluppo Economico  
Responsabile Tavolo sulla Farmaceutica*

L'alto costo unitario dei farmaci e delle cure innovative è certo dovuto all'imponente investimento in ricerca, ma al tempo stesso ad un sempre più breve ciclo di vita dei prodotti, più breve della durata dei brevetti, dovuto al continuo ingresso sul mercato di farmaci più performanti e da una porzione ancora relativamente molto ristretta della popolazione mondiale che ha accesso alle cure innovative.

È evidente che la risposta non può essere ricondotta ad una *governance* nazionale, ma richiederebbe risposte a livello globale (WHO) o quantomeno europeo. È altrettanto evidente che l'attuale *governance* nazionale della spesa farmaceutica è da considerarsi superata, in particolare per i farmaci innovativi che vengono equiparati di fatto ai farmaci tradizionali, in un sistema ormai obsoleto di tetti di spesa, budget e *pay back*, eccezion fatta per il Fondo, comunque ancora limitato, per farmaci innovativi istituito per il 2015 e il 2016. Considerati i vincoli di bilancio, un nuovo sistema di governo va ricondotto innanzitutto ad un recupero di efficienza della spesa sanitaria che deve essere reinvestito in innovazione. In secondo luogo, ad un sistema di HTA che valuti con attenzione i costi evitabili ed evitati con i farmaci innovativi, superando la logica dei "silos". In terzo luogo, attraverso una negoziazione annuale o biennale del costo del farmaco e della cura in relazione all'efficacia, alla efficacia relativa rispetto alle altre cure disponibili, e ovviamente con una forte curva decrescente in base ai volumi. Infine, con l'istituzione di un Fondo nazionale *ad hoc*, oppure incrementando quello esistente, per i farmaci oncologici innovativi, cui potrebbero partecipare le imprese superando il sistema di tetti *pay back* attuale.

È evidente che una riforma della *governance* in questo senso dovrebbe essere accompagnata da un rigoroso percorso di appropriatezza terapeutica che contribuisca a mantenere il controllo della spesa complessiva. L'altro fronte che è necessario approfondire è quello della ricerca clinica e preclinica. L'Italia, leader nella manifattura farmaceutica, soffre di un declino degli investimenti in ricerca nel settore. Il trend deve essere rapidamente invertito, diventando un polo di attrazione della ricerca biomedica attraverso una serie di azioni di semplificazione, efficientamento, riduzione dei tempi e dei meccanismi di sviluppo delle sperimentazioni cliniche e precliniche, già allo studio presso il Ministero della Salute e nel Tavolo nazionale della Farmaceutica.

Con il medesimo obiettivo, potrebbe essere messo a punto un sistema di sostegno alla ricerca indipendente, attraverso la convergenza di fondi pubblici e con la partecipazione delle imprese del settore e delle charities impegnate in questo campo, organizzando un sistema partecipato e coordinato lungo le traiettorie prioritarie per il Paese. Un sistema che, tra l'altro, garantirebbe una riduzione del rischio della ricerca farmaceutica, favorirebbe un sensibile incremento della sperimentazione clinica ed un rapido aumento dell'accesso alle cure e ai farmaci innovativi per una larga fetta della popolazione.

Ultima, ma non ultima, va considerata la necessità di sviluppare il secondo pilastro dell'assistenza sanitaria creando un sistema di "stanza di compensazione e vasi comunicanti" con il Servizio Sanitario Nazionale, che rafforzi il sistema universalistico in una direzione mutualistica, contrastando la tendenza alla frammentazione.

**Emilia Grazia De Biasi**

*Presidente XII Commissione permanente (Igiene e Sanità), Senato della Repubblica*

Quando parliamo di innovazione terapeutica, ci riferiamo ai farmaci, argomento delicato. In questo momento noi abbiamo un Fondo per i farmaci innovativi che per ora viene utilizzato interamente per l'epatite C.

È ovvio che il tema di un Fondo nazionale per i farmaci innovativi interroga a vari livelli le diverse istituzioni grazie al mio emendamento che svincola il fondo dei farmaci innovativi dal tetto territoriale e lo rende indipendente per il 2015 e il 2016 e che può liberare risorse dando respiro alla Regioni che, con una attenta programmazione, potranno in modo più ampio rispettare il diritto alla salute. Un fondo che si potrà implementare e sarà autonomo all'interno del Fondo sanitario nazionale, quindi non soggetto alle stesse regole di mercato vigenti per gli altri farmaci. Naturalmente è impensabile che il Fondo aumenti più di tanto ma bisogna riconvertire la spesa sulle esigenze della popolazione.

Il punto è come far arrivare questi soldi, questione che riguarda anche la *governance* del sistema. Si potrebbero mettere in atto diverse azioni; una per esempio è quella di intervenire sul pronto soccorso. Insomma, dobbiamo scegliere se siamo uguali davanti al cancro o davanti all'aspirina, ricordiamo che quello italiano è un sistema universalistico, equo e solidale e tale va mantenuto, particolarmente per l'oncologia. Questo comporta una revisione della politica del farmaco se si vuole evitare sofferenza su sofferenza a certe fasce della popolazione.

Dobbiamo essere molto vicini ai cittadini, il tema dell'uguaglianza deve essere salvaguardato e questo può essere fatto solo tarandolo sulle problematiche attuali. Penso ad alcune forme di risparmio che si potrebbero attuare, per esempio implementando i servizi territoriali, azione che ritengo necessaria dal momento che si muore sempre meno e le malattie si cronicizzano sempre più. Quanto alla tempestività delle cure, è necessario che si instauri un rapporto più lineare tra AIFA e servizi regionali, affinché i farmaci innovativi vengano erogati secondo tempistiche omogenee. Credo che, per ottenere questo, le strutture regionali responsabili della distribuzione del farmaco dovrebbero diventare più efficienti.

## Francesco De Lorenzo

Fondatore e Presidente Associazione Italiana Malati di Cancro, Parenti e Amici (AIMAC)  
e Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO)

L'indagine condotta da Censis, AIOM e FAVO, pubblicata nel 2015 sul VII Rapporto sulla condizione assistenziale del malato oncologico, documenta che l'accesso ai farmaci oncologici innovativi non è né tempestivo, né equo, né omogeneo.

Nello specifico, il lavoro di ricerca ha monitorato il percorso di concreta disponibilità di 16 farmaci oncologici innovativi che hanno completato l'iter autorizzativo nel 2012-2014 in 10 Regioni, evidenziando che:

- la fase che va dalla sottomissione all'EMA (l'Agenzia Europea dei Medicinali) del dossier da parte dell'azienda farmaceutica sino al recepimento dell'Autorizzazione da parte dell'UE da inoltrare all'AIFA dura **in media 400 giorni** (comprensivi di sospensioni dovuta ad integrazione di documenti).
- la fase che va dalla data d'invio della domanda (corredata dell'autorizzazione UE) all'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) sino alla pubblicazione della Determina AIFA in Gazzetta Ufficiale (G.U.) dura **mediamente 530 giorni** (passando da un minimo di 346 giorni a un massimo di 934 giorni).
- dalla data di pubblicazione della Determina AIFA su G.U. sino all'inserimento del farmaco in Prontuario trascorrono ulteriori **100 giorni**, passando da un minimo di 40 giorni in Umbria a un massimo di 170 giorni in Calabria.

Ciò in forte contrasto con le tempistiche stabilite da diverse norme in vigore:

- *Transparency Directive* 2012/0035, che fissa il termine di 180 giorni per il completamento delle procedure di negoziazione del prezzo ed ammissione alla rimborsabilità.
- Decreto legge 13 settembre 2012, n. 158, contenente «Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un più alto livello di tutela della salute» che prevede l'immediata disponibilità agli assistiti dei medicinali con il requisito dell'innovatività terapeutica definita dall'AIFA, in tutto il territorio nazionale.
- Decreto del "fare" promosso dal Ministro Lorenzin che prevede l'obbligo per l'AIFA di valutare, ai fini della classificazione e della rimborsabilità da parte del SSN, le domande dei farmaci innovativi, anche con la fissazione di sedute straordinarie delle competenti commissioni, stabilendo comunque un periodo massimo di 100 giorni dalla presentazione delle domande da parte delle aziende farmaceutiche.

Le citate normative sono tuttavia finora sostanzialmente inapplicabili a causa della latenza nella definizione di "innovatività" dei farmaci da parte dell'AIFA. Seppure quest'ultima ha annunciato in passato di aver elaborato un nuovo algoritmo decisionale (mai reso realmente pubblico), non è dato di sapere la sua applicazione alle nuove richieste di registrazione.

Ulteriori forti ritardi derivano anche dall'interferenza di Commissioni regionali, locali e aziendali che rallenta ulteriormente l'accesso ai farmaci, configgendo talvolta competenze specifiche di EMA ed AIFA, come nel caso della modifica e/o cancellazione di alcune indicazioni terapeutiche.

Il complesso di queste procedure costituisce un vero e proprio razionamento dei farmaci effettivamente accessibili ai cittadini, determinando gravi disparità sul territorio, e negando, nei casi in cui ciò avviene, il diritto di tutti i malati di avere accesso ai nuovi farmaci autorizzati in tempo utile. È questa una potenziale forma occulta di razionamento, poco conosciuta e poco monitorata, che crea disuguaglianze territoriali e penalizza larghe fasce di cittadini.

Tale situazione è stata più volte denunciata dalle associazioni di pazienti, anche prima della realizzazione del presente studio, e permane come problema irrisolto. Ed è evidente che l'origine del problema è di tipo economico, cioè legato all'impatto degli alti costi delle terapie oncologiche sulla spesa ospedaliera, ma è anche di tipo politico.



Appropriatezza e sostenibilità sono nel DNA di FAVO che, per garantire la correttezza delle risorse, soprattutto in considerazione dell'elevata spesa causata dai farmaci innovativi, ritiene si debba dare immediata attuazione in Italia a quanto previsto anche dal Patto per la Salute in merito all'applicazione dell'Health Technology Assessment (HTA). Non è più accettabile che nel nostro Paese si definisca il prezzo dei farmaci senza una valutazione dell'HTA. È pertanto necessario e urgente realizzare una procedura europea armonizzata che valuti da una lato i criteri di efficacia e sicurezza dei nuovi farmaci (cosa che già avviene a livello di EMA), e dall'altro adotti dei criteri omogenei di sostenibilità globale definendo il valore economico dei nuovi farmaci affinché sia chiaro l'impegno per le nuove molecole, in termini di rimborsabilità garantita dai vari Sistemi Sanitari Nazionali.



**Enzo Chilelli**  
*Direttore Generale Federsanità ANCI*

Dalla sua istituzione nel 1978, il Servizio Sanitario Nazionale (SSN) ha rappresentato e tuttora rappresenta una garanzia per l'accesso alle cure e all'assistenza dei malati. Infatti, a differenza di quanto avviene in altre realtà dove questo è garantito ai cittadini che pagano un'assicurazione privata, come ad esempio gli Stati Uniti, nel nostro Paese vige ancora il principio - fortunatamente - secondo il quale tutti i pazienti hanno diritto a livelli essenziali di assistenza, LEA. Non dobbiamo dimenticarci, però, che quando si parla di farmaci spesso si parla di molecole molto costose che possono determinare problemi di sostenibilità economica.

A livello locale si è cercato di risolvere con il meccanismo di ripiano del *pay back* nato per venire incontro all'esigenza di una maggiore flessibilità del mercato farmaceutico, consentendo da un lato l'erogazione di risorse economiche alle Regioni a sostegno della spesa farmaceutica di ciascuna, e dall'altro l'opportunità per le aziende farmaceutiche di effettuare le scelte sui prezzi dei loro farmaci, sulla base delle proprie strategie di intervento sul mercato. Proprio per evitare di deresponsabilizzare eccessivamente le Regioni, nel 2013 si è deciso di assegnare solo il 20% delle risorse del *pay back* in proporzione agli sfondamenti di spesa H nelle singole Regioni. Adesso siamo al giro di boa. Se nel campo clinico e farmaceutico sono stati compiuti progressi inimmaginabili nella diagnosi e nel trattamento di gravi malattie, che hanno registrato negli ultimi decenni, una riduzione dei tassi di mortalità senza precedenti, è arrivato il momento che tutti gli attori del Sistema affrontino con responsabilità le nuove sfide della sostenibilità e della *governance* della spesa. Numerosi sono gli esempi di accordi innovativi per la negoziazione del prezzo di farmaci ad alto costo a cui stanno lavorando da tempo i sistemi sanitari di tutta Europa, con l'obiettivo da un lato di garantire il principio universale di diritto alla migliore terapia e dall'altro di assicurare la sostenibilità del sistema di *governance* della spesa farmaceutica pur remunerando l'innovazione e gli investimenti che ne sono alla base. La promozione della ricerca pubblica attraverso investimenti privati ne è un esempio.

In particolare proprio i farmaci oncologici, per le loro caratteristiche, sono il crocevia delle trasformazioni dei sistemi sanitari. Si tratta di prodotti innovativi, a elevato valore terapeutico (spesso la differenza tra il decesso e la sopravvivenza) e altrettanto elevato costo. Il loro utilizzo deve necessariamente confrontarsi con i problemi di sostenibilità della spesa sanitaria che in ogni sistema, sia con finanziamento a prevalenza pubblica che privata, diventano sempre più evidenti. Nel caso dell'Italia, queste difficoltà trovano due fattori di amplificazione, di natura strutturale: da un lato le condizioni della finanza pubblica, sulle quali pesano il debito pubblico e la bassa crescita dell'economia; dall'altro, il "cantiere" federalista che si stenta a chiudere e che implica, per la sanità, la mancanza di una *governance* unitaria, in particolare su quei capitoli di spesa, come i prodotti oncologici, che avrebbero urgenza di punti di riferimento chiari su come articolare il *trade-off* tra sostenibilità e adeguatezza delle cure.

## **Antonio Federici**

*Direttore Generale della Prevenzione del Ministero della Salute*

Un programma di *screening* organizzato è un processo complesso, che agisce su una popolazione asintomatica invitata attivamente a sottoporsi a un test. Per attuare un programma di screening è necessario che ne sia stata dimostrata l'efficacia in termini di riduzione dell'incidenza o della mortalità della patologia oggetto dell'intervento. In questo modo si può ridurre l'impatto della malattia sulla popolazione che si sottopone regolarmente a controlli per la diagnosi precoce di neoplasie o lesioni pre-cancerose.

Un programma di screening è un intervento organizzato di sanità pubblica e per questo deve avere alcuni requisiti essenziali:

- controllo della qualità
  - interdisciplinarietà
  - garanzia di equità
  - bilancio tra effetti positivi e negativi
  - stima dei costi
  - informazione della popolazione bersaglio
  - valutazione epidemiologica della prestazione sanitaria, della partecipazione e dell'impatto su incidenza e mortalità.
1. Anche l'attività di diagnosi precoce effettuata al di fuori di programmi organizzati di *screening* deve essere sottoposta a un controllo di qualità che consenta di valutarne adeguatezza e risultati. Il medico di medicina generale ha un ruolo strategico nel favorire l'adesione dei cittadini ai programmi di *screening*, grazie al rapporto privilegiato e diretto con i propri assistiti, che si fidano e si affidano a lui per ricevere consigli e supporto per ogni decisione sulla propria salute.

Il medico ha quindi un ruolo assolutamente attivo nell'invito della popolazione ad aderire ai programmi di *screening*:

- nella selezione della popolazione da invitare
- nell'informazione attiva, soprattutto di chi non aderisce all'invito
- nel *counselling* in tutte le fasi del programma, in particolare per le persone risultate positive al test.

**Antonio Gaudio**  
*Segretario Generale Cittadinanzattiva*

L'accesso alle cure, comprese quelle farmacologiche innovative, rappresenta un banco di prova per l'unitarietà e l'equità del Servizio Sanitario Nazionale verso i cittadini, in particolare quelli affetti da patologie oncologiche e croniche, ed è per questo che chiediamo al Governo un provvedimento nazionale di riordino del settore, con cui si chiariscano con esattezza ruoli, funzioni, tempistiche, responsabilità e partecipazione delle associazioni di cittadini e pazienti nel processo, mettendo a sistema sia il ruolo dell'EMA, sia quello nazionale, regionale e aziendale, a garanzia della trasparenza sulle decisioni.

È fondamentale giungere ad una chiara e strutturata definizione di innovazione, in modo da quantificarne l'impatto e il beneficio ottenibile dalle cure farmacologiche innovative da un lato e dall'altro promuovere una capillare attività di informazione e comunicazione rivolta ai pazienti sulle diverse opportunità terapeutiche a disposizione operando nella rimozione di tutte quelle condizioni che mettono in discussione il principio di uguaglianza ed universalismo nell'accesso alle cure.

## **Giuseppe Zuccatelli**

*Presidente Agenas - Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali*

L'introduzione di farmaci sempre più costosi sta rendendo oltremodo critica la ricerca dell'equilibrio tra diritto alle cure del paziente e sostenibilità economica del Servizio Sanitario Nazionale.

La programmazione della spesa farmaceutica produce, a livello nazionale sia riferimenti quantitativi, quali la definizione dei tetti, per la farmaceutica territoriale ed ospedaliera, che qualitativi, a garanzia dell'appropriatezza prescrittiva, rappresentati dalle "note" e dai registri Aifa. Su questo versante, si valuta positivamente l'innovazione normativa del comma 570 della legge di stabilità (L. 208/2015). In tale scenario, la Regione dovrebbe inserirsi con la propria attività di programmazione/controllo, predisponendo una serie di punti:

- un programma strategico di dettaglio, indicando per singola azienda sanitaria, in linea con le prescrizioni del richiamato comma 570: "le priorità di intervento, il numero dei pazienti potenzialmente trattabili e le relative previsioni di spesa". Tale dettaglio dovrebbe spingersi fino ad identificare la quota del budget farmaceutico per area terapeutica e, possibilmente, per specifico target (esempio: mammella, pancreas, colon, etc.), enucleando, quantomeno, le risorse destinate ai farmaci ad alto costo/innovativi, la quota per farmaci di nuova registrazione, ed eventualmente la quota per farmaci CNN (fascia C non negoziata);
- l'elaborazione, con gruppi multidisciplinari, di linee guida/raccomandazioni d'uso dei farmaci, a partire da quelli ad alto costo/innovativi, con l'obiettivo primario di elevare l'appropriatezza prescrittiva dei farmaci;
- un ruolo fondamentale potrebbe essere rappresentato dalla ridefinizione dei centri prescrittori. I farmaci innovativi dovrebbero essere prescritti solo da centri di consolidata esperienza, di eccellenza, con elevata casistica, in grado di ottimizzare il *drug day* per i farmaci iniettabili;
- la definizione di un sistema di indicatori di performance e del correlato sistema sanzionatorio/premiante;
- obiettivi di ottimizzazione delle scorte di magazzino e, in generale, di tutta la logistica del farmaco;
- garantire che il sistema informatico sia in grado di evidenziare l'intero processo d'uso dei farmaci innovativi ad alto costo: dalla prescrizione alla somministrazione fino alla rendicontazione degli eventuali rimborsi da *Managed Entry Agreements* (MEA).

## Stefania Gori

Presidente Eletto Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM)  
e medico oncologo IRCCS Arcispedale S. Maria Nuova, Reggio Emilia

Ogni ora in Italia vengono individuati più di 40 nuovi casi di cancro: nel 2015 sono state stimate 363.300 nuove diagnosi di neoplasia (AIOM-AIRTUM 2015).

Nonostante l'aumento di incidenza di neoplasie osservata nei decenni in Italia (dato grezzo, non corretto per l'invecchiamento della popolazione), dal 1990 al 2007 la sopravvivenza a 5 anni dalla diagnosi di tumore è aumentata del 18% negli uomini e del 10% nelle donne. La ricerca scientifica infatti ha reso disponibili nuove tecnologie diagnostiche, nuovi e più moderni approcci chirurgici, radioterapici e nuovi farmaci: tra questi, i farmaci a bersaglio molecolare e i farmaci immunoncologici, che potrebbero consentire di cronicizzare diverse malattie neoplastiche anche molto aggressive e in fase avanzata.

È cresciuto tuttavia negli anni l'impatto economico dei farmaci antitumorali sulla spesa farmaceutica complessiva (dal 23,7% al 39% fra il 2007 e il 2013).

Come si è cercato di dare risposte a questo problema che sta diventando sempre più oneroso a livello economico?

1. Cercando di diffondere la cultura delle Linee Guida, per assicurare appropriatezza prescrittiva. In tale area l'AIOM ha dedicato e dedica una parte importante della sua attività: nel 2015 ha diffuso oltre 30 Linee guida, che hanno coinvolto oltre 500 professionisti italiani esperti in ambito oncologico, con la collaborazione di più di 30 società scientifiche. Le linee guida AIOM sono stilate seguendo una metodologia moderna (SIGN e GRADE), sono indipendenti, vengono aggiornate annualmente e sono disponibili (anche come App) sul sito di AIOM ([www.aiom.it](http://www.aiom.it)). Rappresentano oggi uno strumento di approccio diagnostico-terapeutico diffuso in tutto il territorio nazionale, con oltre 300.000 Download dei PDF delle Linee Guida dal sito AIOM da gennaio a settembre 2015.

Per il 2016 AIOM:

- prevede un ulteriore miglioramento a livello metodologico e l'inserimento nei gruppi degli estensori della figura del paziente e del MMG;
  - ha pianificato la continuazione del programma di valutazione della implementazione delle LG a livello nazionale;
  - auspica che le Istituzioni nazionali possano dare riconoscimento a tali LG, diffondendole anche tramite i canali istituzionali nel Paese, al fine di assicurare omogeneità diagnostico-terapeutica a tutti i pazienti oncologici italiani.
2. Istituito i registri AIFA, che hanno rappresentato e rappresentano una modalità per controllare l'appropriatezza prescrittiva, e quindi apprendano un controllo della spesa farmaceutica oncologica.
3. Istituito, come AIFA, accorgimenti organizzativi (distribuzione diretta ma con gli sconti dovuti alle strutture pubbliche) e finanziari (*cost-sharing, risk-sharing, payment by results*) per ridurre il costo di questi farmaci.
4. Cercando di dare una precisa definizione quali-quantitativa dell'innovazione.
5. Iniziando il riordino dei percorsi assistenziali in oncologia, con l'istituzione dei PDTA (Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali) e delle reti oncologiche regionali.

Queste azioni non saranno sufficienti a rendere sostenibile per il Sistema Sanitario Nazionale quanto si prospetta economicamente nei prossimi anni in oncologia.

Il Governo italiano nel 2015 ha individuato le prime risposte alle sfide dell'innovazione farmaceutica con l'istituzione di un fondo di 500 milioni di euro all'anno nel biennio 2015-2016 per i trattamenti innovativi, in particolare per la cura dell'epatite C.

AIOM ha chiesto di prendere in considerazione l'istituzione di un fondo ad hoc che contribuisca al rimborso alle Regioni dei farmaci oncologici a forte carattere innovativo.

L'ipotesi di impiegare il 5% delle accise del tabacco per creare un fondo per i farmaci innovativi oncologici rappresenta una provocazione che AIOM lancia alle istituzioni per poter garantire a tutti i pazienti le cure più innovative ed efficaci, un modo per dire alle Istituzioni: "se vogliamo,

possiamo trovare tutti insieme (pazienti, istituzioni, operatori sanitari e associazioni scientifiche) una soluzione”.

AIOM si interroga inoltre al suo interno su vari aspetti relativamente alla valutazione del prezzo dei farmaci innovativi:

- è importante prendere in considerazione l'entità dell'efficacia (in termini di entità di prolungamento di vita)?
- è importante prendere in considerazione aspetti etici nella scelta della miglior cura per il singolo paziente?
- è importante coinvolgere il paziente nella scelta terapeutica?

Ed ecco il motivo per cui anche nel 2016 AIOM e Fondazione AIOM hanno previsto un convegno “Le giornate dell'etica in oncologia - V edizione” durante il quale verranno affrontati anche questi aspetti.