

**WORKSHOP**  
**IL GOVERNO DELL'INNOVAZIONE FARMACEUTICA:**  
**MODELLI DI GESTIONE SOSTENIBILE**  
**DEI FARMACI ONCOLOGICI INNOVATIVI**  
**AD ALTO COSTO**



**NAPOLI**

# DOCUMENTO DI SINTESI

## MATTINO

**Joseph Polimeni**, Commissario ad Acta per l'attuazione del Piano di Rientro dai disavanzi del Settore Sanitario della Regione Campania - ha introdotto il convegno sul governo dell'innovazione farmaceutica considerandolo un tema di grande attualità e fonte di attività che bisogna mettere in atto nei prossimi mesi. Per cambiare la programmazione, non è sufficiente che il sistema sanitario metta in campo politiche innovative su un piano particolare, bisogna avere un approccio complessivo su diversi ambiti: ospedaliero, preventivo territoriale e culturale. In Campania ancora molti indicatori sono bassi, in termini di esiti sulla salute e ciò è dipeso da risultati qualitativi e quantitativi, dagli stili di vita, e dal reddito. C'è bisogno di ricreare attività che portino a performance migliori per la Regione e per le aziende ma senza investimenti in forza operativa, la Campania non potrà avere i risultati attesi sperati. Per dare accesso a questi farmaci, bisogna capire bene quali sono i farmaci realmente innovativi cercando di mettere in campo delle azioni che traducano l'accessibilità in modo chiaro ed esplicito alle aziende farmaceutiche puntando sull'appropriatezza prescrittiva e sull'efficienza prescrittiva. Polimeni ha sottolineato l'importanza delle sperimentazioni cliniche, un'attività che andrebbe promossa e incentivata. Per quanto riguarda la sostenibilità economica, è convinto che bisogna intervenire a livello nazionale con attività che vadano nella direzione di responsabilizzazione delle aziende produttrici, inoltre per poter governare c'è sempre più bisogno di informatizzazione. La situazione in Campania non è delle migliori in questo ambito: ci sono i dati, ma non le informazioni utili per i clinici e i farmacisti per assumere le decisioni giuste.

**Bruna Vinci**, Ricercatrice Scuola Superiore Sant'Anna, Pisa - ha definito preoccupante l'incremento della spesa ospedaliera. La maggior parte delle regioni hanno superato il tetto complessivo, una che non ha sfiorato è il Veneto. Tutte le molecole subiscono dei contratti di *risk cost sharing* e *payment by result*. Vinci ha poi descritto l'analisi svolta dalla scuola che ha previsto una mappatura di ogni attore del sistema. Il livello nazionale interviene nella *governance* dell'innovazione farmaceutica in maniera importante. I criteri di appropriatezza sono gestiti dai prontuari mentre il prezzo non è oggetto di contrattazione regionale. Solo due regioni non hanno il prontuario terapeutico: una però lo introdurrà entro il 2016, l'altra è il Veneto. L'inserimento del farmaco nel prontuario lo fa il clinico, in due casi ci si avvale di HTA, negli altri di gruppi multidisciplinari. Le industrie farmaceutiche non partecipano mai ai gruppi ne alle commissioni HTA. Le tempistiche medie per la valutazione è inferiore ai 3 mesi. Un altro modo di governare è l'identificazione dei centri prescrittori, in alcune regioni è limitata a pochi centri, in altre la selezione di centri è mantenuta solo per le preparazioni più complicate (come le infusioni). I sistemi informativi sono alla base dei centri di controllo per la valutazione di costi/rischi e performance. Quasi tutte le regioni hanno dichiarato una lacuna in termini di restituzione delle informazioni. La Puglia ha investito molto in campo informatico, l'Umbria ha un unico software, il Friuli Venezia Giulia ha la cartella clinica, e la Toscana sta lavorando per la realizzazione di indicatori di software per sede neoplastica trattata. Tutte le regioni riconoscono l'importanza dei registri AIFA e delle informazioni che ne provengono come ad esempio l'andamento dei rimborsi utili alla *governance*.

**Claudio D'Amario**, Subcommissario Regione Campania – ha affermato che non è una sfida solo per gli operatori di settore, ma anche per la politica. Anche in AIFA ci si sta rendendo conto dell'ondata di innovazione che sta cambiando sia l'approccio terapeutico che diagnostico che incidono del 9-10% sulla spesa complessiva. D'Amario ha poi definito il concetto di innovazione che non è solo cinetica o informatica, ma anche tipologia del farmaco e in questo ambito, purtroppo, a livello regionale si decide molto poco. La percentuale maggiore di mortalità è legata alla mancanza di prevenzione. Per quanto riguarda la rete oncologica, è già stata prevista una bozza nel piano nazionale ospedaliero che si concretizzerà in fase operativa attraverso un PDTA che comincia dallo screening alla terapia, alle chirurgie specialistiche. L'approccio adottato dev'essere globale sull'intero percorso del PDTA. Le GOM (Gruppi Oncologici Multidisciplinari) si prendono in carico i pazienti oncologici dall'intervento chirurgico alla terapia migliore da adottare, quello che fa la differenza è proprio l'assistenza nella presa in carico del paziente. Secondo D'Amario la Campania deve migliorare la gestione più che provvedere all'implementazione delle risorse.

**Paolo Ascierto**, Presidente della Fondazione Melanoma dell'unità oncologica Medica e Terapie Innovative IRCCS "Fondazione Pascale", Napoli - ha dichiarato che regione Campania è stata una delle prime regioni che ha trattato con immunoterapia e innovatività: si parla di circa 500/600 pazienti trattati. Ascierto è d'accordo sui centri di eccellenza perché possono essere importanti per l'appropriatezza, purché logisticamente più distribuiti. La regione ha individuato più centri prescrittori, per esempio nel 2015, la struttura di Napoli ha trattato il 94% dei pazienti con melanoma a fronte di una spesa di 7 milioni di euro. Fondamentale per Ascierto è anche che la rete oncologica insista sulla multidisciplinarietà e risolva difficoltà logistiche che non consentono ai pazienti un accesso alle cure: i farmaci ci sono, ma non i posti dove trattarli. Quella che abbiamo attivato è una rete virtuale e dobbiamo ora tradurla in un sistema a regime. La scommessa di oggi è trovare il modo per permetterci le cure conquistate. In Campania i farmaci innovativi sono rimborsati solo al 70%. La sostenibilità economica delle cure è di sicuro un problema serio, ma non si può ragionare in termini economicistici: il rischio è che si arrivi a decidere se approvare oppure no un farmaco esclusivamente sulla base delle disponibilità economiche di un Paese o di una Regione; si pensi in questo senso a quello che è successo recentemente con i farmaci contro l'epatite C. Forse sarebbe necessario che i Governi siglassero degli accordi con le imprese farmaceutiche in modo da permettere l'aumento degli investimenti in ricerca di queste aziende, garantendo al tempo stesso, una spesa sanitaria sostenibile a fronte, ad esempio, di un accesso più rapido alle cure. Comunque, il problema è serio e fino a quando il prezzo dei farmaci non verrà controllato in qualche modo, la soluzione non sarà facile. Prima del 2011 un paziente con melanoma arrivava a 6-9 mesi di sopravvivenza, oggi il 20% dei soggetti colpiti da melanoma può essere cronicizzato.

**Bruno Daniele**, Direttore U.O.C Oncologia Medica e Referente CIPOMO regionale - ha descritto uno scenario generale: l'immunoterapia ha portato a un risultato clinico importante perché oggi guarisce il 20% in più dei pazienti rispetto agli anni '90. La combinazione dei farmaci costa 150 mila euro, mentre negli USA 1 milione di dollari l'anno. Ci sono alcuni ambiti in cui si effettuano diagnosi e cure inappropriate e per le quali ci sono circa 11 miliardi di sprechi. Il problema è che in ambito oncologico la Campania non è organizzata: abbiamo una bozza di rete, ma non c'è dialogo tra regione e figure professionali in una logica di integrazione e di multidisciplinarietà. Le decisioni dovrebbero essere prese da chi prescrive il farmaco e da chi tratta in prima linea il paziente e non a livello politico.

**Antonietta Vozza**, Direttore Farmacia Policlinico Federico II, Napoli - la spesa ospedaliera è in aumento non solo per i farmaci oncologici, ma anche per i *device* e per l'innovatività: tutti elementi che influiscono sul budget che non è settorializzato. Bisognerebbe che il budget sia orientato a delle specialità. La farmaceutica, con il criterio dell'appropriatezza non può entrare nel merito, quello che può fare è velocizzare l'accesso all'utilizzo del farmaco. Vozza sostiene che ci vuole più organizzazione tra gli oncologi, oltre che tra i farmacisti. Una delle criticità sollevate è che la farmacia possiede molti dati ma non sa come trasmetterli dopo la raccolta, quindi si ha difficoltà a capire quali sono veramente utili per la fruizione. Abbiamo bisogno di indicatori che sono numerosi, ma non sono sfruttati a pieno.

**Gaetano D'Onofrio**, Direttore Sanitario Policlinico Federico II, Napoli - ha affermato che il compito principale del SSN è il recupero della mobilità passiva. Dal 2013 abbiamo 7.000 pazienti oncologici fuori regione che si spostano per trovare una risposta assistenziale. La sfida dei farmaci oncologici, oltre al costo, è far sì che li utilizzino tutti i pazienti, la migliore strategia si compone di due momenti fondamentali: il primo è la creazione di una rete oncologica diffusa, ovvero dare l'opportunità a ciascun paziente di trovare un'assistenza che sia complessiva che comprenda il processo radio-terapico, il *follow up* e gli interventi chirurgici in un ambiente adatto per garantire a tutti la giusta assistenza per la salute è un diritto di ogni cittadino oltre che un interesse per la collettività. Una sfida che non è solo per gli oncologi, ma per tutti coloro che lavorano in questo ambito che devono dare una risposta appropriata, efficiente ed efficace. I sistemi non dialogano, bisognerebbe lavorare in un'ottica di omogeneizzazione. Il dato fondamentale è che le informazioni giunte non vengono trasformate in azioni correttive.

**Luigi Riccio**, Dirigente UOD 11 Programmazione/Pianificazione Sanitaria - ha affermato che la programmazione va prima di tutto. La spesa farmaceutica è salita, ma in regione ci si muove in un contesto ben definito a livello nazionale. Per quanto riguarda le manovre per la sostenibilità e l'innovazione, si è partiti dal 2006 con il ticket che ha proprio la finalità di finanziare e ridurre la spesa farmaceutica. Per Riccio, occorre rivalutare la spesa produttiva e premiare l'innovazione reale, quella che fa la differenza nella salute delle persone: uno strumento efficace per premiare l'innovazione è il modello di determinazione dei prezzi che si fonda sul valore percepito (*value-based pricing*) e stimato nell'uso dei farmaci, più che sul mero costo del prodotto. Un valore da proiettare nel tempo perché il ciclo di vita dei farmaci oncologici innovativi ha un'estensione di gran lunga superiore rispetto al ciclo medio di mercato e il vero valore del farmaco emerge dal suo utilizzo nel lungo periodo, e non solo dai risultati dei trial clinici valutati al momento dell'immissione in commercio. Bisogna individuare i centri prescrittori e arrivare alla copertura dei farmaci al 100%. Il Pascale è stato per la cura del melanoma un centro di eccellenza ed è stato un centro di riferimento per il meridione.

## **POMERIGGIO**

**Paolo Ascierto**, Presidente della Fondazione Melanoma dell'unità oncologica Medica e Terapie Innovative IRCCS "Fondazione Pascale", Napoli - ha dichiarato che sull'accessibilità alle cure, la Campania è stata una delle prime regioni a promuoverla, addirittura alcuni pazienti provengono dalla Sicilia. Quindi non è un problema di accessibilità, ma di programmazione. Il centro di riferimento deve essere riconosciuto strutturalmente con

personale qualificato e competente. Oltre a ciò, vi è poi il bisogno di un sistema misto e di una rete territoriale che permetta la condivisione dei percorsi e che le professionalità facciano bene il loro lavoro e garantiscano ai pazienti l'accessibilità sul territorio.

**Piera Maiolino**, Direttore SC Farmacia Istituto Nazionale Tumori IRCCS "Fondazione Pascale", Napoli - ha dichiarato che in ambito farmaceutico la regione ha fatto molti passi in avanti perché ha trattato tantissimi pazienti. Vi è però una necessità fondamentale: quella di condividere le cure con obiettivi di organizzazione e costo/beneficio della terapia. Secondo Maiolino un esempio di rete è il registro AIFA che consente il passaggio di una cura da un paziente all'altro in modo appropriato. Per quanto riguarda gli obiettivi si individuano i seguenti: operare a supporto dell'unitarietà dell'assistenza farmaceutica attraverso azioni di monitoraggio, indirizzo e coordinamento; supportare le istituzioni nel processo di elaborazione di norme non discriminanti e omogenee, facilmente applicabili nella pratica e volte a rispondere ai reali bisogni dei pazienti; Proporre alle istituzioni e sviluppare progetti finalizzati a garantire l'accesso alle cure per le malattie neoplastiche e a fornire risposte appropriate ed unitarie alle condizioni critiche che risultano ancora orfane di trattamenti efficaci.

**Sergio Lodato**, Commissario Straordinario IRCCS "Fondazione Pascale", Napoli - ha spiegato nel suo intervento che la sopravvivenza è data da due fattori principali: l'anticipazione diagnostica e la qualità percorso assistenziale oltre ad altri due aspetti altrettanto rilevanti ossia l'esordio della patologia tumorale e la necessità terapeutica è il tempo che intercorre tra questi due elementi. L'assistenza oncologica è fatta di multidisciplinarietà, occorre scegliere quali sono le strutture che devono afferire alla rete e definire i compiti da svolgere. L'altro aspetto fondamentale è che non solo le strutture devono essere ben organizzate, ma anche che tutti i soggetti che lavorano nell'ambito, condividano il percorso assistenziale più adeguato per garantire l'efficacia alle cure. Se si costruissero centri Spoke nelle aree provinciali dove ci sono anche centri Hub, si otterrebbe un reticolo di centri distribuiti più capillarmente.

**Elena Vigliar**, Anatomopatologo del Laboratorio di Biologia molecolare Università degli Studi di Napoli Federico II - nel suo intervento ha puntato i riflettori sul problema della mancanza di una regolamentazione chiara sulla rimborsabilità delle indagini molecolari dei test diagnostici e sull'importanza del biomarcatore in grado di selezionare la popolazione in maniera accurata e di individuare chi ha veramente bisogno di un farmaco ad alto costo. Nell'ambito delle problematiche connesse alla validazione ed ottimizzazione delle reti oncologiche regionali e dei PDTA, un momento critico legato alla stessa presa in carico del paziente oncologico riguarda la attività diagnostica oncologica: oggi questo momento non è solo inteso come un corretto percorso clinico corredato da una precisa diagnosi anatomopatologica, basata su consolidati parametri istologici, ma è anche considerato come integrato dalla valutazione molecolare della neoplasia, studio imprescindibile per l'identificazione di biomarcatori predittivi di risposta a terapie con farmaci innovativi e per l'avvio del paziente a trattamenti mirati e personalizzati, più efficaci e tollerati. Una stretta integrazione tra la tradizionale valutazione anatomo-patologica e l'innovativo profilo molecolare che ha contraddistinto la diagnostica oncologica svolta alla Federico II. Laboratori affiancati e coordinati di istopatologia e di biologia molecolare, all'avanguardia nella implementazione di tecnologie avanzate, consentono una valutazione integrata evitando la frammentazione del processo diagnostico, garantendo in tempi rapidi una sempre più precisa selezione dei pazienti che possano realmente beneficiare di una terapia target. Investire sulla qualità della diagnosi permette, certamente, di ottimizzare i livelli di appropriatezza

terapeutica. Abbiamo gestito elevati flussi di lavoro, pur in assenza di chiare politiche regionali di rimborso delle prestazioni erogate, eppure la gestione delle risorse economiche in campo diagnostico è cruciale: se è vero che per i farmaci innovativi ad alto costo è prevista una rimborsabilità pari al 70%, ad oggi non esiste una regolamentazione chiara relativa alla rimborsabilità delle indagini molecolari per la predizione di risposta a questi farmaci. Risposte in tal senso sono necessarie per la corretta programmazione terapeutica dei pazienti oncologici.