



Michele Marangi
Dirigente Ufficio Attività di Analisi e Previsione AIFA





Horizon Scanning 2020

Michele Marangi

Ufficio Attività di Analisi e Previsione

Academy – Il valore del farmaco e dei devices

10 dicembre 2020



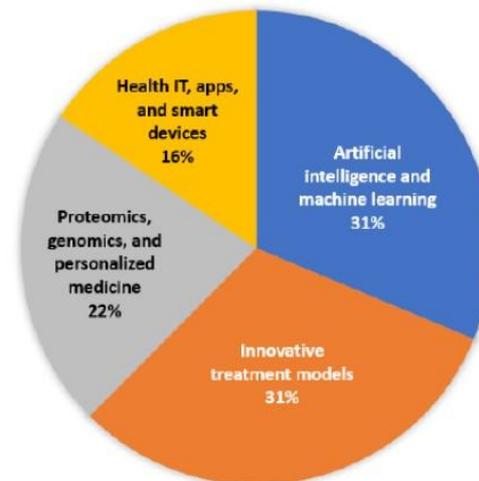
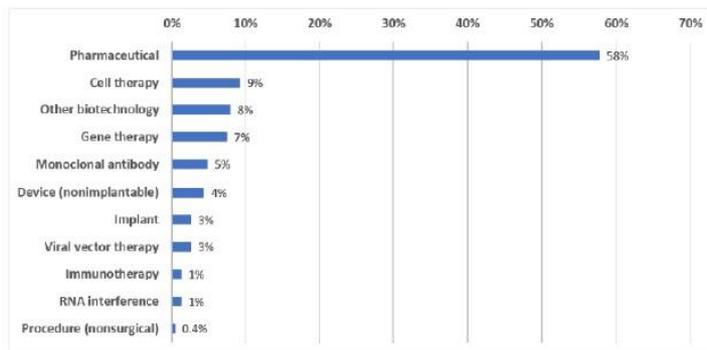
Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

*Michele Marangi, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy EMA /626261/2014 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

Le opportunità delle innovazioni in arrivo



<https://www.pcori.org/research-results/evidence-synthesis/pcori-health-care-horizon-scanning-system>

I Sistemi di Horizon Scanning

Open access

Research

BMJ Open Scanning the horizon: a systematic literature review of methodologies

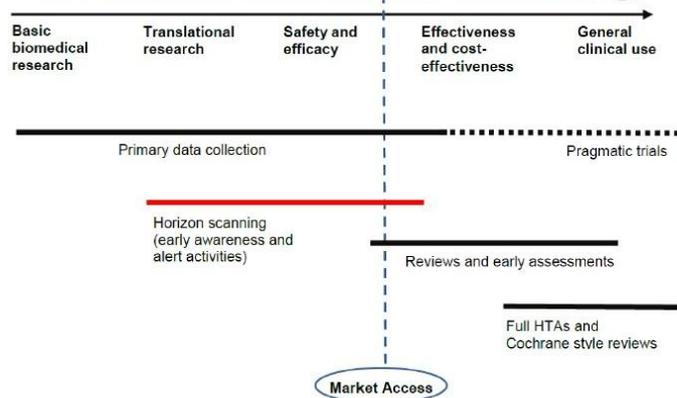
Philip Hines,^{1,2,3} Li Hiu Yu,^{1,3} Richard H Guy,^{1,4} Angela Brand,^{2,3}
Marisa Papaluca-Amati¹

Horizon scanning, when performed appropriately, is a flexible and potentially reliable tool, with a wide variety of methods. Horizon scanning can inform and influence decision-making, through identifying opportunities and challenges, from an organisational to an international level.

BMJ Open 2019



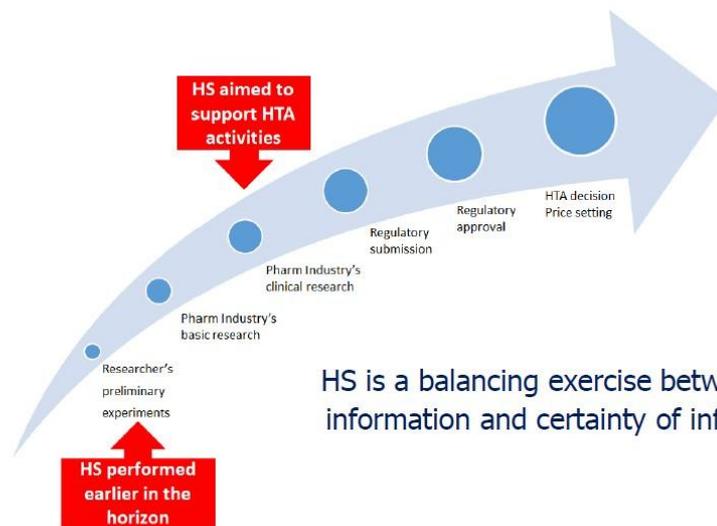
L'attività di Horizon Scanning



Horizon scanning is a systematic process that serves as an early warning system to inform decision makers about possible future opportunities and threats.

EuroScan Methods Toolkit – October 2014

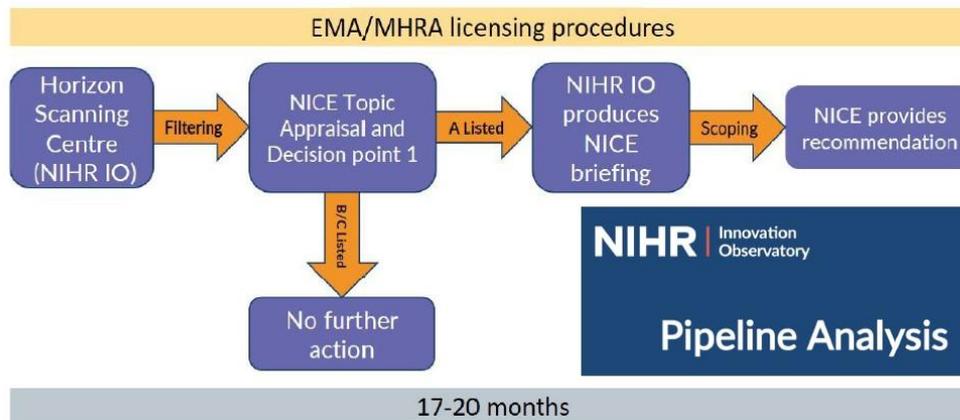
Horizon Scanning a supporto dei percorsi di HTA



HS is a balancing exercise between early information and certainty of information

NIHR | Innovation Observatory

Market Access in England and Wales





NHS England and NHS Improvement



NICE

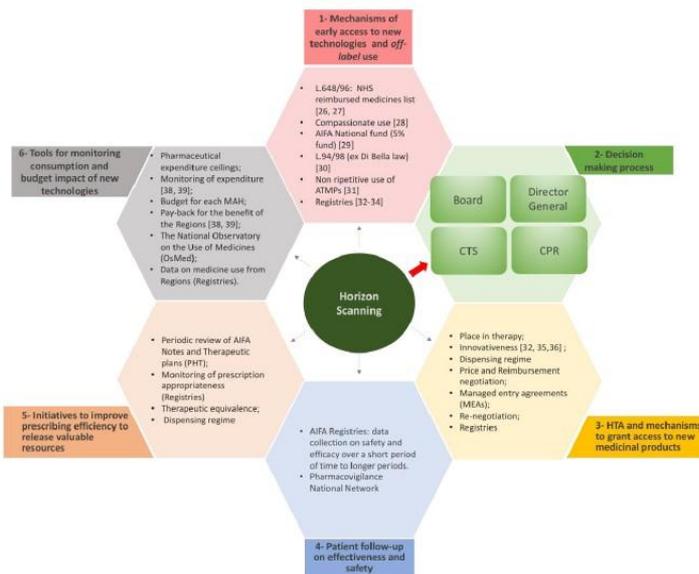
National Institute for Health and Care Excellence



NIHR | Innovation Observatory



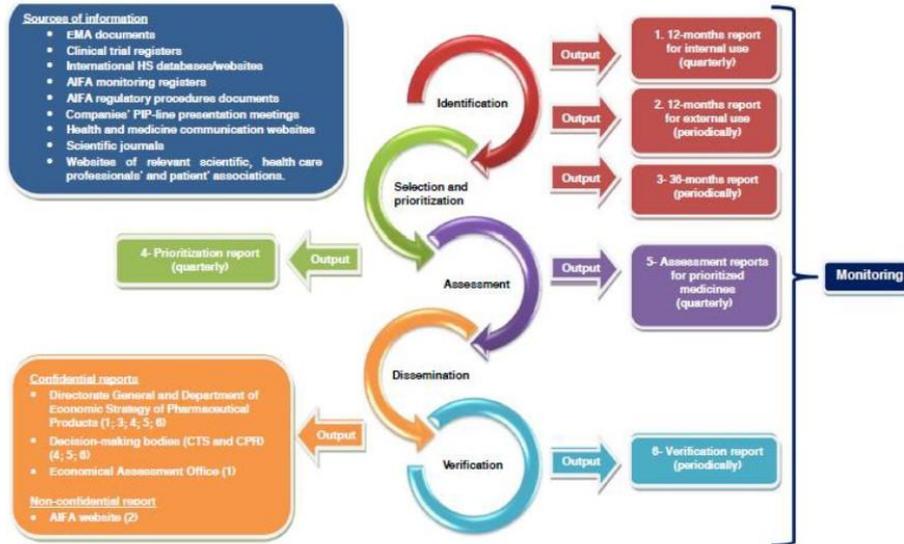
Integrazione dell'attività di Horizon Scanning



HS communicates directly with the HTA process, by supporting decision-makers of both Technical Scientific (CTS) and Prices and Reimbursement (CPR) Committees in timely evaluation of medicines with a possible impact on both public health and budget.

Drug Discov Today (2020)

Il Sistema di Horizon Scanning di AIFA



Drug Discov Today (2019)

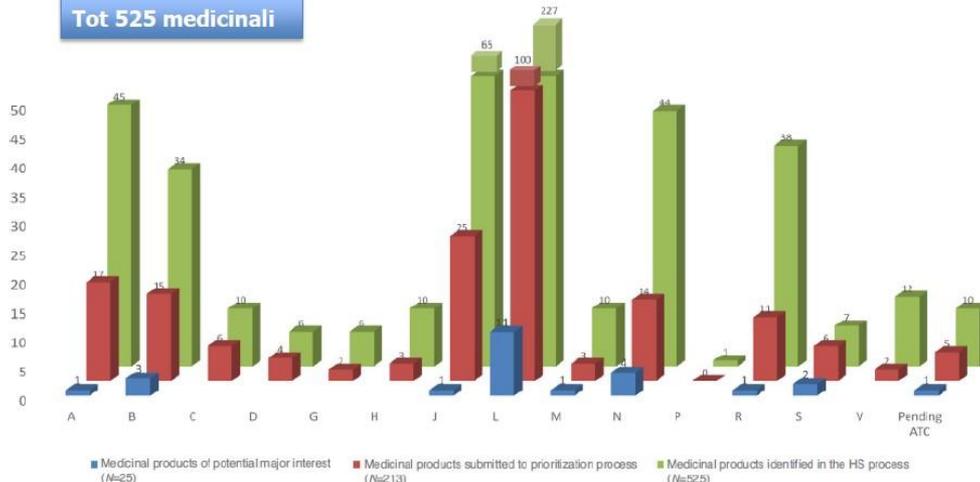
Processo di prioritizzazione e Prio-Tool

Critero	Definizione
Impatto della malattia	Condizione clinica per cui il medicinale è in sviluppo
Bisogno terapeutico	Il bisogno terapeutico è condizionato dalla disponibilità di terapie per la patologia in oggetto ed indica quanto l'introduzione di una nuova terapia sia necessaria per dare risposta alle esigenze terapeutiche di una popolazione di pazienti.
Valore terapeutico potenziale	Il valore terapeutico potenziale è determinato dall'entità del beneficio clinico apportato dal nuovo farmaco rispetto alle alternative terapeutiche disponibili.
Presunto impatto organizzativo	Necessità di strumenti aggiuntivi per la pratica clinica.
Potenziale numero di pazienti da trattare	Previsione del numero di pazienti da trattare nel contesto nazionale.
Potenziale costo del trattamento	Previsione del costo del trattamento nel primo anno.
Designazione di farmaco orfano	Designazione di farmaco orfano da parte di EMA.
ATMP	Medicinale per terapia avanzata.
Disegno dello studio clinico	Nel caso di più studi clinici si considera quello di livello più alto.



Medicinali identificati nel periodo Q3 2018-Q2 2020

Tot 525 medicinali



Data di analisi: luglio 2020

I medicinali identificati comprendono sia nuovi medicinali che nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

- Medicinali identificati: 1880
- Medicinali identificati per la prima volta: 563
- Medicinali con potenziali effetti attesi nel biennio 2020-2021: 525
- Medicinali con parere positivo EMA: 323 (61.5%)
- Medicinali in attesa del parere EMA entro i primi mesi del 2021: 202 (38.5%)
- Tipologia: 341 (64.9%) chimici, 175 (33.3%) biologici, 9 (1.7%) ATPM
- 44 (8.4%) equivalenti, 39 (7.4%) biosimilari

Drug Discov Today (2020)



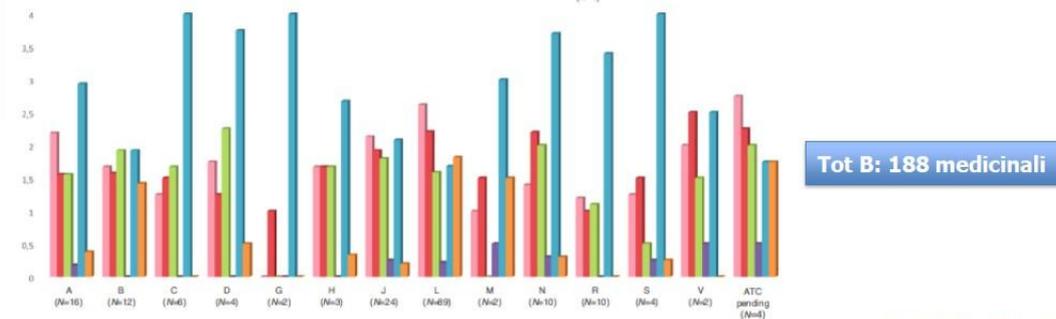
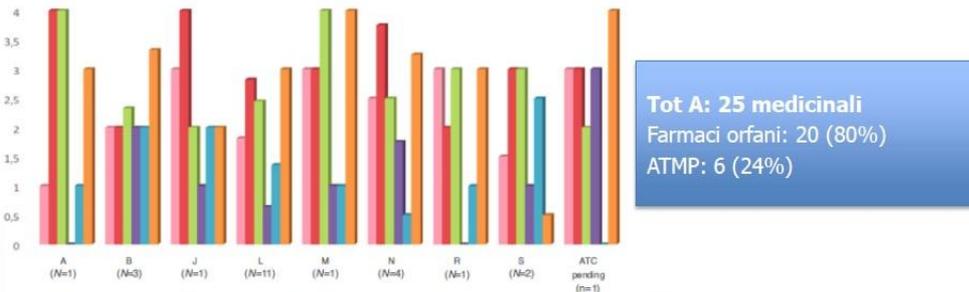
Medicinali sottoposti al processo di prioritizzazione

Tot A+B: 213 medicinali

- Disease impact
- Therapeutic need
- Potential therapeutic value
- Organizational impact
- Estimate of number of eligible patients
- Estimate of medicine cost

Data di analisi: luglio 2020

I medicinali sottoposti a prioritizzazione comprendono sia nuovi medicinali che nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

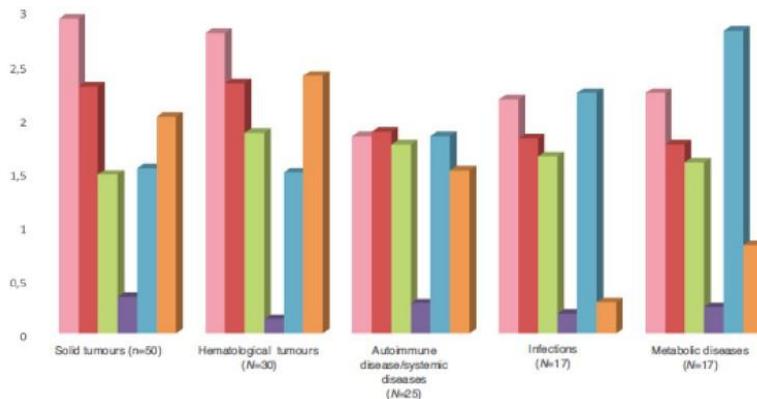


Drug Discov Today (2020)

Condizioni cliniche più rappresentative

Tot 139 medicinali

- Disease impact
- Therapeutic need
- Potential therapeutic value
- Organizational impact
- Estimate of number of eligible patients
- Estimate of medicine cost

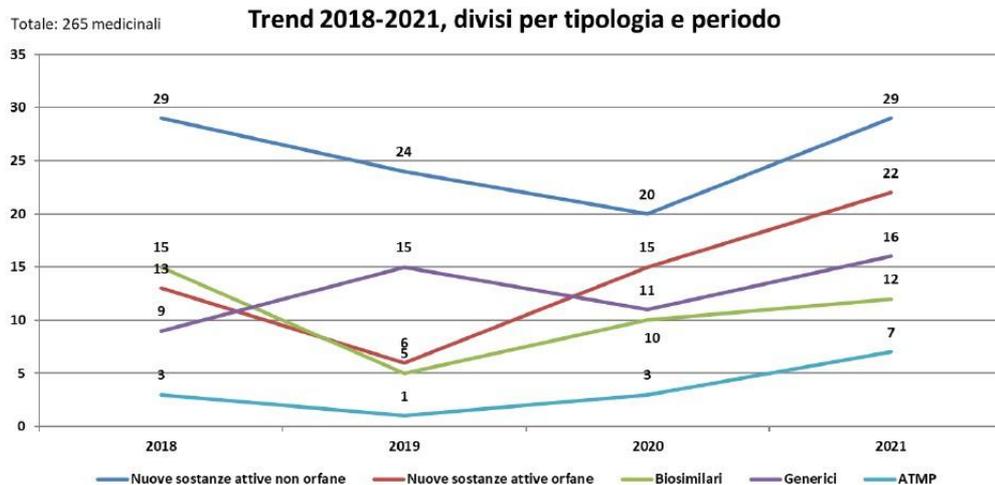


Data di analisi: luglio 2020

I medicinali sottoposti a prioritizzazione comprendono sia nuovi medicinali che nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

Drug Discov Today (2020)

Medicinali in arrivo, divisi per tipologia e periodo

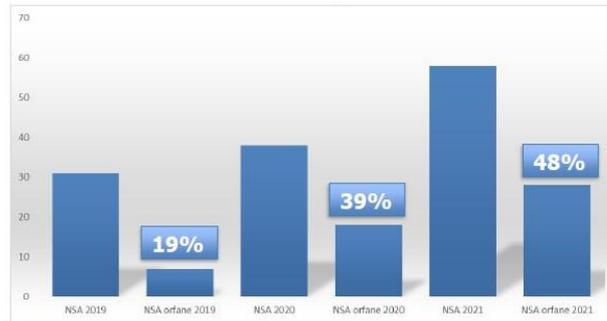


Data di analisi: 1 dicembre 2020

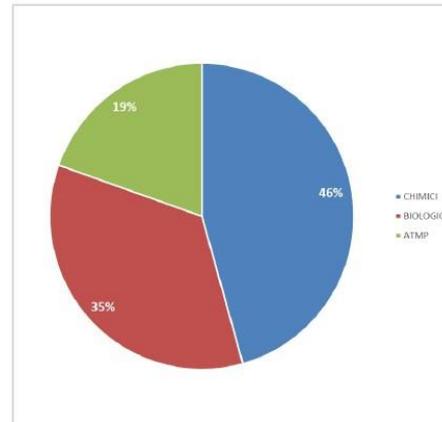
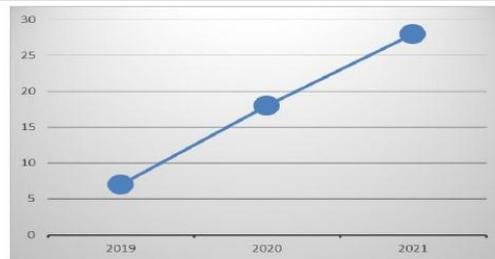
Per 2018-2020: medicinali con parere positivo EMA

Per 2021: medicinali in attesa di parere EMA (potenziali effetti attesi nel biennio 2021-2022)

L'esempio dei farmaci orfani in arrivo



2019: 7
2020: 18
2021: 28



Data di analisi: 23 novembre 2020

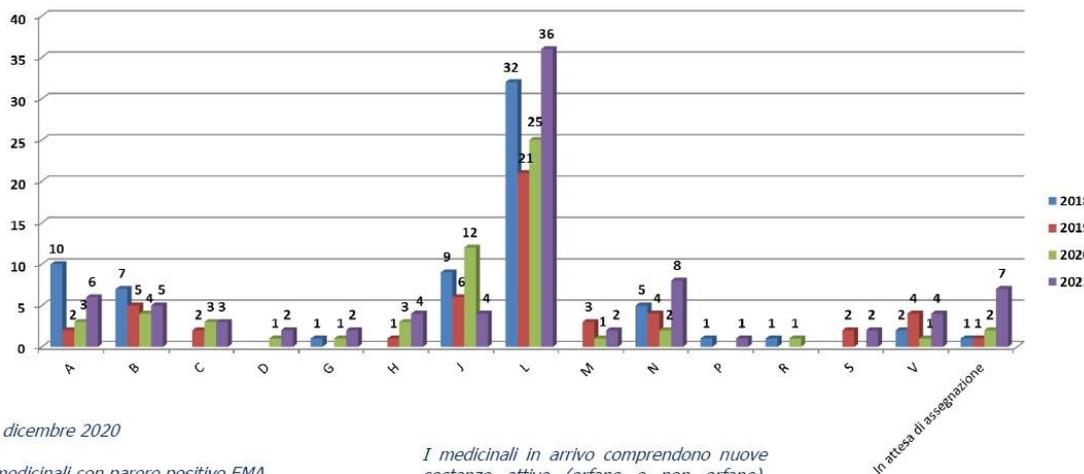
Per 2019-2020: nuove sostanze attive (orfane e non orfane) con parere positivo EMA

Per 2021: nuove sostanze attive (orfane e non orfane) in attesa di parere EMA (potenziali effetti attesi nel biennio 2021-2022)

Medicinali in arrivo, divisi per ATC e periodo

Tot: 265 medicinali

Trend 2018-2021, divisi per ATC e periodo



Data di analisi: 1 dicembre 2020

Per 2018-2020: medicinali con parere positivo EMA
 Per 2021: medicinali in attesa di parere EMA (potenziali effetti attesi nel biennio 2021-2022)

I medicinali in arrivo comprendono nuove sostanze attive (orfane e non orfane), ATMP, biosimilari e equivalenti

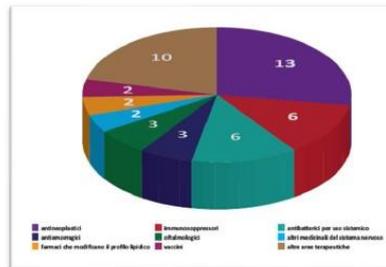
In attesa di assegnazione

Il coinvolgimento degli stakeholders



Promuovere il dialogo con tutti gli stakeholders ai vari livelli (internazionale, nazionale, regionale e locale).

Orizzonte Farmaci: uno strumento per il pubblico



Agenti antineoplastici e immunomodulatori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cellule T vitali	SI	Tumori e malattie ereditarie del sangue
Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Alpelisib	NO	Carcinoma mammario
Cemiplimab	NO	Carcinoma cutaneo
Enosidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Estrectinib	NO	Tumori solidi
Gilteritinib (fumarato)	SI	Leucemia mieloide acuta
Ivosidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Larotrectinib	SI	Tumori solidi
Pexidartinib (idrocloreuro)	SI	Tumore tenosinoviale a cellule giganti

Conclusioni

- L'attività di Horizon Scanning può avere una **funzione strategica** nell'orientare le scelte decisionali.
- Indispensabile la **piena integrazione** delle informazioni nei percorsi decisionali.
- Occorre il supporto di una **adeguata metodologia** nelle varie fasi dell'attività.
- L'efficacia delle informazioni generate a supporto dei processi decisionali dipende anche dalle **modalità di utilizzo** da parte dei decisori delle informazioni acquisite.

