

“L’evoluzione della valutazione e del recepimento dell’innovazione farmaceutica”

Lorenzo Mantovani

Università degli Studi di Napoli Federico II

3 punti

- Valutazione
- Recepimento
- Innovazione

3 punti

- Valutazione
- Recepimento
- **Innovazione**

Innovazione

- Terapia che cura il ca polmonare
- acido acetilsalicilico prodotto sulla luna

3 punti

- Valutazione
- Recepimento
- Innovazione

- Valutazione = dare un valore
- fa riferimento necessariamente ad “sistema di valori”, a “giudizi di valore”

2 dimensioni

- politica
- tecnica

Economics is...

- “... study of how societies use scarce resources to produce valuable commodities and distribute them among different people”
- *Paul A Samuelson, Nobel Laureate 1970*

What is a drug?

- Drug is a commodity
- Drug is an instrument whose aims are
 - preventing, diagnosing, caring, rehabilitating disease/disease
- Drugs have some characteristics
 - Quality
 - Safety
 - Efficacy
 - Price

What is an innovative drug?

- New Quality
- New Safety
- New Efficacy
- i. e. a new value
- New Price

What is the value of an innovative drug?

- The contribution of the drug to
 - Prevention
 - Diagnosis
 - Care
 - Rehabilitation

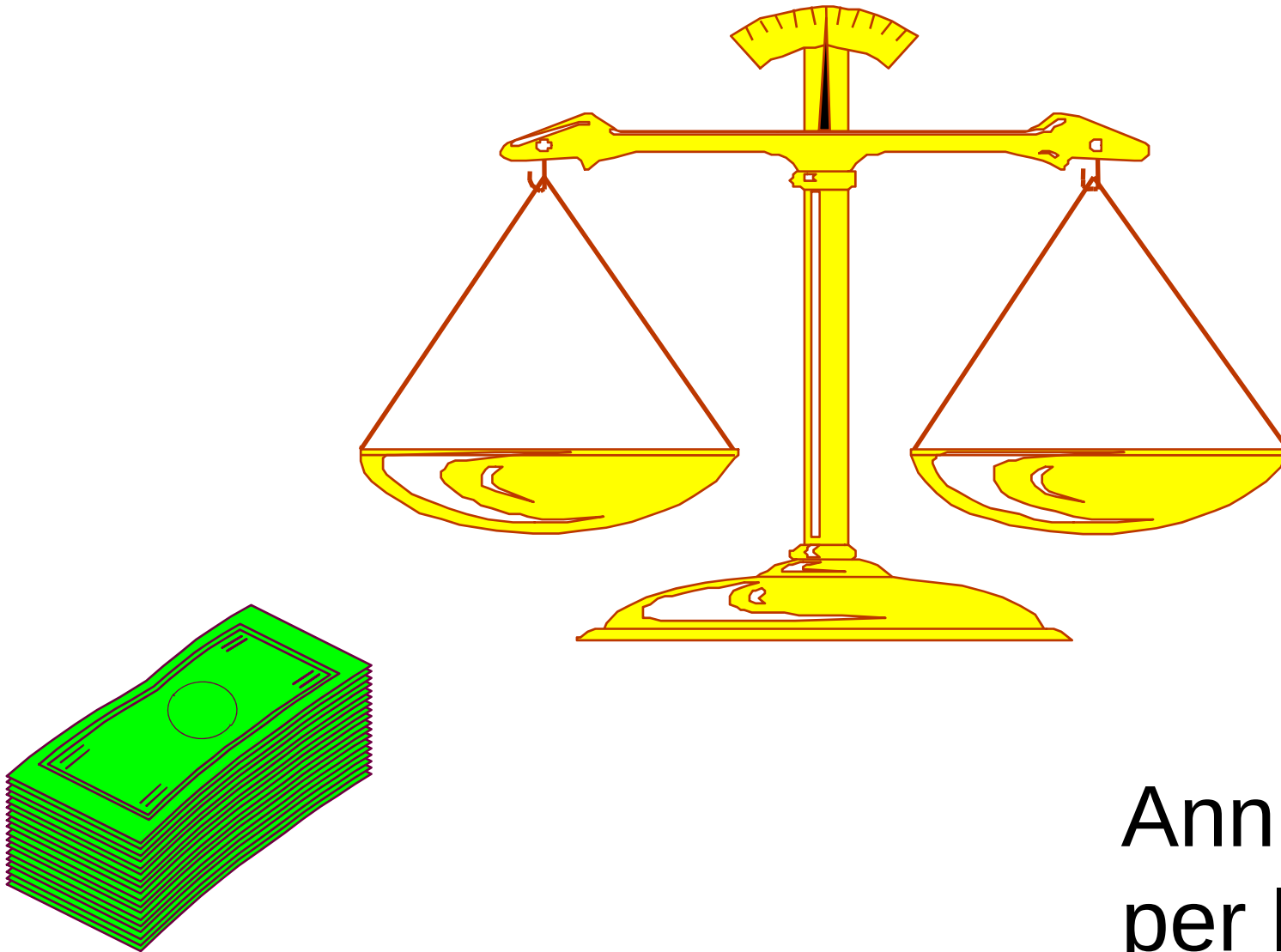
Value of innovation: some uncertainties

- What risk/benefit?
- Whose risk/benefit?
- Who and how to judge on risk/benefit?
- When to judge on risk/benefit?
- Cost Effectiveness

In concreto

- Malattia (il paziente/i pazienti)
- Terapia
- Qualità/sicurezza/efficacia
- Efficienza (costo efficacia)
- I cittadini (SSN)
- *Le alternative*

L'analisi di costo-utilità



Anni di vita aggiustati
per la qualità (QALY)

Come si calcola il QALY?

- Il QALY esprime in un unico indice la QUANTITA' e la QUALITA' della vita, ponderando la durata della vita per la qualità della stessa
- In letteratura il limite di costo efficace è pari a circa 50.000Euro/QALY (benchmark dialisi)

Cut-Off di costo utilità

Le malattie comuni hanno standard (più o meno esplicitamente) riconosciuti, basati sul benchmark della dialisi

- | | | |
|---------------------|---|----------------------|
| – Niente dialisi | = | Niente vita |
| – 1 anno di dialisi | = | 1 anno di vita |
| – 1 anno di dialisi | = | 30.000 Euro |
| – 1 anno di vita | = | 0.60 QALY guadagnati |
| • 50.000 Euro | = | 1 QALY |

Questo vale se

- Un QALY è un QALY, è un QALY, indipendentemente da chi lo guadagna
- Un Euro è un Euro è un Euro, indipendentemente da chi lo paga



The EuroQoL Group

Certified Translation: EQ-5D-5L Italian version for Italy

certify that qualified translators recruited locally in Italy by Oxford Outcomes and contract to the EuroQoL Group Foundation translated the EQ-5D-5L from the UK 'source' version to Italian for Italy in 2009. Oxford Outcomes specialize in the cultural and linguistic validation of Patient Reported Outcome instruments and have experience in this area in a wide range of therapeutic areas.

tion followed established EuroQoL Group translation methodology¹, which was with the aim of achieving semantic equivalence to the original and to ensure the n would be easily understandable to members of the target population. The y requires two independent forward translations into the target language by native production of a reconciled version of the two forward translations, and two t back-translations of the reconciled version by native English speakers who are e target language. A second reconciled version is produced after the back stage. This version was tested on 8 Italian-speaking respondents, with a spread of graphic characteristics and including both patients and healthy individuals.

on steps were taken in full cooperation with members of the EuroQoL Group's review team, who reviewed reports provided by Oxford Outcomes after each stage ess. All translation work was performed by members of the Italian translation team of their abilities as native speakers of Italian (or English in the case of the back- and as translators and researchers experienced in the field of health-related e research. This translation is, to the best of my knowledge, a valid and accurate of the corresponding original document.

Salind Rabin

Title: Executive Officer, EuroQoL Foundation and member of the EuroQoL Group Translation Review Team

RS Rabin

Date: September 2011



Luciana Scalone
Via Eustachi 45,
20129 Milano
Italy

30th May 2012

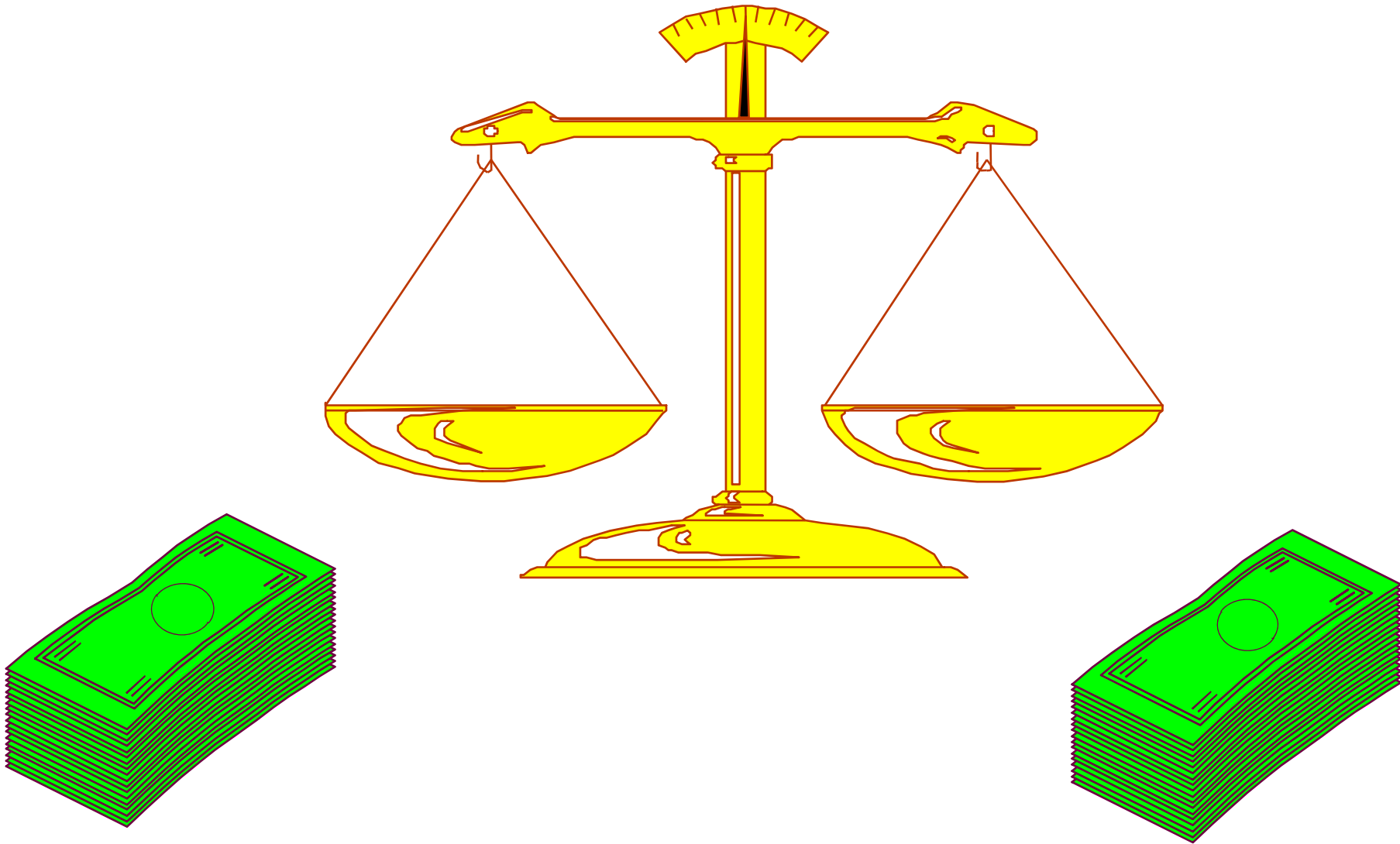
Dear Luciana,

Thank you for submitting your abstract:

Valuation study for the Italian general adult population

for presentation at the EuroQoL Group's Group's 29th Plenary meeting at De Hall and Congress Centre, Rotterdam, the Netherlands.

L'analisi costo-beneficio



Costo opportunità

In economia i costi vengono definiti in termini di benefici perduti

Il costo di un intervento sanitario è il beneficio perduto dal miglior altro intervento sanitario che avremmo potuto implementare con le stesse risorse

“Il costo di trattare Tizio è il beneficio che perdo perché non posso trattare Caio o Sempronio”

Dimensione politica

- Sulla base delle decisioni, osserviamo che un QALY *vale* di più
 - bambini (vs anziani)
 - malattie rare (vs malattie comuni)
 - malattie genetiche (vs malattie auto-provocate)
 - malattie *catastrofiche* (vs *malattie di lieve entità*)

3 punti

- Valutazione
- **Recepimento**
- Innovazione

Che cosa regolamentiamo?

Il modo di studiare, di produrre e di
‘commercializzare’ il farmaco

Il prezzo del farmaco

L'uso del farmaco



**In Italia
abbiamo
Prontuari**

la che cosa valutano, a questo
unto?

Qualità sicurezza efficacia?

Prezzi?

E i rappresentanti delle Regioni che siedono sia in
AIFA sia nei tavoli Regionali? Rivalutano?

L'uso? Difficile regolamentare l'uso, la trasferibilità
... impedendo ... proprio l'uso

Riepilogando

Domande classiche su di un farmaco

- Che cosa è?
- Che cosa fa?

Domande classiche su di un farmaco

- Che cosa è?
- Che cosa fa?

Domande classiche su di un farmaco

- Che cosa è?
- Che cosa fa di bene?

Domande classiche su di un farmaco

- Che cosa è?
- Che cosa fa di bene?
- Che cosa fa di male?

Domande classiche su di un farmaco

- Che cosa è?
- Che cosa fa di bene?
- Che cosa fa di male?
- ... quando usato in condizioni ideali

Che cosa conosciamo

- Qualità
- Sicurezza (teorica)
- Efficacia (teorica)
- “Prezzo”

Che cosa vorremmo conoscere?

- Qualità
- Sicurezza (reale/pratica)
- Efficacia (reale/pratica)
- Utilizzo (Da chi? Per chi?)
- Valore

Che cosa vorremmo conoscere?

- Qualità
- Sicurezza (reale/pratica)
- Efficacia (reale/pratica)
- Utilizzo (Da chi? Per chi?)
- Valore (aggiunto)

Rationing and priority setting in health care

The Case of “Child B”

“Making difficult choices in a setting of limited resources and within a nationally agreed framework is the *raison d'être* of health authorities

“It was crucial that our decision making be guided by explicit values, understood by all”

“The quality of the process by which we arrived at our decisions had become as important as the actual outcomes”

The case of "Child B"

"Our decision was one taken on the basis of an assessment of value, not of finance"

"In the same week we agreed to fund effective and appropriate treatment for a young patient with haemophilia costing three times the £75 000 required for Jaymee"

Stephen Thornton (Chief executive, Cambridge and Huntingdon Health Authority)
BMJ 1997;314:1838