



LE NUOVE FRONTIERE DELLA REMUNERAZIONE DEL FARMACO

Innovazione, evidenza clinica e personalizzazione della terapia

**Mercoledì 15 Ottobre 2014, ore 16.30 - 19.45
Roma, Sede I-Com, Piazza Santi Apostoli 66**

Il Pricing del farmaco

I sistemi di definizione del prezzo e rimborso del farmaco sono molto **diversi** tra gli Stati Membri dell'Ue

La valutazione di efficacia del farmaco, da cui genera poi l'ammissione al rimborso da parte dei sistemi sanitari, **non può variare** tra gli Stati, dal momento che gli effetti stessi di un farmaco non variano in base alla residenza in un singolo Stato o a un altro

Ecco perché una **differenza di prezzo dei farmaci** tra gli Stati non è giustificata da una diversa efficacia del farmaco, ma semplicemente da una differente disponibilità a pagare da parte degli Stati stessi.

Pricing, spesa, parallel trade e accessibilità

Le **differenze di prezzo** creano problemi legati al lancio di nuovi farmaci nei mercati con aspettative di prezzo basse

Il pricing ha un impatto diretto sulla **spesa farmaceutica** di un singolo stato

Differenti prezzi creano

commercio parallelo (attraverso il quale i distributori comprano il farmaco presso i paesi con i prezzi più bassi e li rivendono in paesi con i prezzi più elevati)

stock-out, che si verifica quando l'azienda non riesce mai a soddisfare il fabbisogno di farmaco del territorio in cui i farmaci hanno un costo più basso

Il controllo della spesa

I sistemi di **controllo della spesa farmaceutica** partono ovviamente dal pricing, ma si propagano in interventi automatici o discrezionali che tendono a ridurre l'impatto della spesa sul sistema

In realtà, oltre ai **payback** di varia natura messi in vigore, gli stessi fenomeni della **genericazione** e **dell'equivalenza terapeutica**, grazie anche alla scadenza dei brevetti, ha portato a un ridimensionamento dell'impatto della spesa farmaceutica sul SSN

La **genericazione** ha ormai dato i suoi frutti in termini di contenimento della spesa

Il regolatore deve necessariamente trovare **nuove soluzioni** per garantire un rapporto positivo tra la spesa e il fabbisogno sanitario, senza però tralasciare l'aspetto industriale, che rischia in questo modo di essere depauperato

Lo stesso sistema di pricing e del controllo della spesa dovrebbero orientare i fondi investiti in Ricerca da parte delle Aziende

Value based pricing

Il principio di **legare la prova di efficacia** di un singolo trattamento farmacologico, al riconoscimento del suo valore terapeutico reale e dunque al suo rimborso, è stato già applicato in diverse tipologie di sistema di P&R (*pricing and reimbursement*)

Tale sistema tenderebbe a «**chiamare**» anche altri **stakeholders** del sistema sanitario al processo di remunerazione dei trattamenti farmacologici, legandoli alla loro reale efficacia

Al fine di applicare questi tipi di sistemi più evoluti è necessario dotarsi di un **sistema di monitoraggio efficace**

Risk sharing

Uno di questi modelli è il **risk sharing**:

- Il principio è **condividere il rischio di fallimento di una terapia**, a fronte di una aspettativa – teorica – di efficacia dichiarata in fase di registrazione, o di revisione della stessa
- In base a dei parametri di valutazione, il rischio dell'insuccesso è condiviso con il **produttore**
- In pratica si applica uno **sconto sul prezzo dei farmaci** per i pazienti **non responsivi** (a differenza del **Cost-sharing**, per il quale invece lo sconto si applica a tutti i pazienti eleggibili al trattamento per i primi cicli di terapia, a prescindere se sono responsivi o meno)
- L'AIFA è stata una delle prime Agenzie europee ad applicarlo, e costituisce un successo in Europa

Payment by result e differenze con i precedenti

Si estende lo sconto del risk sharing al costo di tutto il farmaco per i pazienti non responsivi

Il sistema sanitario non paga i trattamenti non efficaci per i pazienti eletti

Il fallimento terapeutico è completamente a carico del produttore

Cost e risk sharing, come il payment by result poggiano di fatto sullo stesso principio. La loro differenza si fonda su:

- entità dello sconto (parziale o totale)
- tempo del trattamento (primi cicli o tutto l'iter terapeutico)
- estensione della popolazione trattata (tutti o solo non responsivi)

Soluzione: nuove formule di *pricing* per premiare l'innovazione e controllare la spesa

Proprio in questo periodo il dibattito sui sistemi di riconoscimento del valore e dunque del prezzo di rimborso delle terapie farmacologiche è acceso e in discussione all'EMA e in AIFA.

Un nuovo paradigma è l'*adaptive licensing*

Con questo approccio si tende a massimizzare i risultati clinici dei nuovi farmaci, puntando a riconoscere la “*vera*” *innovazione*, e remunerarla in maniera congrua.

Adaptive Licensing 1

L'adaptive licensing è un approccio all'autorizzazione all'immissione in commercio e al rimborso di un farmaco legato all'evidenza dell'efficacia

Spesso è indicato come "licenza progressiva" discusso da EMA per abbreviare il tempo di accesso dei pazienti a trattamenti innovativi ed efficaci

L'adaptive licensing è basato su un processo a tappe:

- si inizia con una **autorizzazione preventiva** (early authorisation) di un medicinale per una ristretta popolazione di pazienti
- parallelamente si avvia un processo di valutazione con **fasi iterative** che legano la constatazione di efficacia e appropriatezza a una sempre maggiore popolazione trattata

Adaptive Licensing 2

L'adaptive licensing è rilevante soprattutto per quei trattamenti con un **potenziale terapeutico molto elevato** e per patologie che non hanno ancora soluzioni efficaci.

In alcuni Stati membri il sistema è già in uso, in via sperimentale, e in tutti i modi è applicabile dai sistemi di regolazione nazionale

Adaptive reimbursement

Un sistema di **rimborso adattivo** esiste già con l'applicazione del cost e risk sharing, e del payment by result

Questi differenti meccanismi di rimborso potrebbero essere **omogeneizzati** e legati al meccanismo della “autorizzazione progressiva” basata sulle prove di efficacia

In altre parole sarebbe come incorporare i sistemi di cost e risk sharing e payment by result, in uno schema uniforme e chiaro che lega progressivamente il **rimborso del farmaco alle prove di efficacia**

Interazione tra pricing e rimborso adattivo

In un ipotetico sistema integrato potrebbe essere questo il funzionamento di un sistema adattivo di P&R

L'adaptive licensing

Meccanismo	darebbe una licenza d'uso progressiva
Variabile	popolazione da trattare ed efficacia
Obiettivo	accorciare i tempi di accesso a trattamenti innovativi monitorando rigorosamente la safety

Adaptive reimbursement:

Meccanismo	per i farmaci autorizzati, legare il prezzo di rimborso all'efficacia su una popolazione target, fino ad arrivare a rimborsare solo i trattamenti somministrati ai pazienti responsivi
Variabile	livello di efficacia
Obiettivo	remunerare adeguatamente l'innovazione eliminando gli sprechi

Soluzione: un nuovo sistema europeo di P&R «adattivo»

L'interazione tra lo schema di adaptive licensing e l'adaptive reimbursement potrebbe:

- essere **integrato**
- **esteso** a livello europeo
- utilizzato come **benchmark** da parte di tutti gli Stati Membri a cui sarebbe lasciata la libertà di controvalutare l'efficacia, confrontando su una piattaforma unica i risultati

Vantaggi

Maggiori evidenze su **efficacia** del farmaco

Maggiori evidenze su **sicurezza**

I sistemi remunerano il **successo terapeutico** sul paziente

Il sistema **premia l'innovazione e orienta gli investimenti** del settore privato, che ne risulterebbe automaticamente controllato rispetto al rischio di pressione commerciale su prodotti poco efficaci

Il sistema diventa un **benchmark per tutti gli STAKEHOLDERS** del mondo sanitario:

Autorita regolatorie – Vigilanza – Produttori
Ricerca – Pazienti – Mondo assicurativo

Il ruolo della medicina personalizzata/1

E' noto che la **cronicizzazione delle malattie**, con la conseguente complessità della presa in carico del paziente poli-patologico, originano un impatto certo sulla sostenibilità finanziaria dei sistemi sanitari dei Paesi europei a più alto tasso di invecchiamento demografico

La **medicina personalizzata** potrebbe rappresentare l'approccio assistenziale avanzato, economicamente sostenibile e applicabile su scala europea di gestione delle cronicità e co-morbidità.

Il ruolo della medicina personalizzata/2

La società europea di medicina personalizzata – EAPM – parla appunto di “[Adaptive Pathways for Personalised Medicines – Supporting Innovation in Europe](#)”, con l’obiettivo di bilanciare:

- i progressi della scienza medica con conseguente sviluppo di terapie avanzate e sempre più mirate
- con i vincoli di natura economica e regolatoria

Il ruolo della medicina personalizzata/2

Anche per l'Italia la sfida della medicina personalizzata è ben presente a industrie del farmaco e operatori sanitari

Un modello vincente sarebbe dunque

- **abbinare** un sistema di rimborso basato sul monitoraggio e valutazione dell'efficacia come **l'adaptive licensing e adaptive reimbursement**
- con **terapie** sempre più **personalizzate**

SCENARIO – Ipotesi di interazione tra medicina personalizzata e sistema di P&R adattivo

In presenza di:

- i) un sistema di monitoraggio e valutazione degli effetti dei trattamenti sulla base di **test del profilo genomico** di ogni paziente
- ii) di risultati di efficacia dei trattamenti in interazione con altri trattamenti (**per pazienti politrattati**)
- iii) di **molecole e dosaggi** di farmaco sempre più personalizzati
- iv) di un **sistema «adattivo»** di autorizzazione all'utilizzo e di rimborso legato alla prova di efficacia su un singolo paziente

SCENARIO: possibili benefici

Si potrebbe:

- Accentuare ulteriormente il legame tra **AUTORIZZAZIONE**, **EFFICACIA** e **RIMBORSO** del farmaco
- Pagare a un **prezzo maggiore** i trattamenti realmente efficaci su ogni singolo paziente
- **Ampliare il risparmio** sulla spesa farmaceutica
- Valorizzare ulteriormente la spesa cui corrisponderebbe un outcome terapeutico sempre maggiore
- Tramutare la spesa in un investimento per via di una sempre maggiore corrispondenza tra **costo e rendimento**

SIAMO DEI SOGNATORI ? ? ?

Considerazioni degli Stakeholders

L'Agenzia Italiana del Farmaco **non sta sottovalutando** la portata innovativa della medicina personalizzata e dell'*adaptive licensing* essendone essa stessa promotrice

L'AIFA esprime continuamente l'esigenza di ripensare il modello di approvazione dei medicinali, passando a nuovi paradigmi, lo ha dimostrato con i sistemi di rimborso «adattivo» applicati per primi in Europa

L'industria non sottovaluta gli aspetti positivi derivanti da un sistema di «intelligence» che leghi la prova di efficacia con l'immissione in commercio e il rimborso di un farmaco, a patto che sia chiaro, aperto e verificabile da tutti, e auspica che sia integrato e uniforme tra gli stati europei

I benefici per i pazienti sono evidenti, e le associazioni sostengono queste ipotesi

Questioni aperte

Un sistema adattivo europeo che lega pricing, rimborso e personalizzazione delle terapie, e che costituisce un benchmark unico, è una soluzione auspicabile ma che necessita di grande concertazione

Quali sono gli ostacoli alla realizzazione di un sistema del genere?

Quale relazione ci potrebbe essere tra Europa, Stato e Regioni?

Quali sono le vere potenzialità della medicina personalizzata?

Qual è l'impatto di un sistema adattivo sugli investimenti dell'Industria? E qual è il reale interesse nell'investire nella personalizzazione delle terapie?



Piazza dei Santi Apostoli. 66
00187 Roma
tel. +39 06 4740746
fax +39 06 4746549
info@i-com.it
www.i-com.it