

# XXXVIII Congresso Nazionale SIFO

**PHARMASTAR**<sup>★</sup>  
il Giornale on-line sui Farmaci

TAVOLA ROTONDA

## FONDO INNOVATIVI: un'opportunità per il sistema sanitario

Roma, 24 novembre 2017

[WWW.PHARMASTAR.IT](http://WWW.PHARMASTAR.IT)

PDF INTERATTIVO



34 PAGINE  
6 VIDEO  
6 ARTICOLI

# Introduzione

Ogni giorno in Italia circa 1.000 persone ricevono la diagnosi di tumore. Nel 2017, si stima che in Italia ci siano circa 370mila i nuovi casi di tumore (192.000 fra i maschi e 177.000 fra le femmine), un numero importante che testimonia la rilevanza della patologia oncologica e gli sforzi che devono essere fatti non solo per ricercare cure sempre più adeguate ed efficaci ma anche in termini di prevenzione primaria, per ridurre il rischio di ammalarsi.

Per quanto riguarda la prevalenza, secondo i dati diffusi da AIOM, sono oggi oltre 3 milioni e trecentomila i cittadini italiani che vivono dopo la diagnosi, il 24% in più rispetto al 2010. Un segno tangibile dei progressi che sono stati fatti in termini di cura e assistenza a queste persone.

Oggi, e sempre di più, la cura del cancro nasce da una diagnosi sempre più accurata che permette di distinguere per ogni paziente la variante della patologia oncologica da cui è colpito e per mettere a punto una cura sempre più personalizzata.

Sul fronte terapeutico, l'accelerazione che ha avuto la ricerca negli ultimi 5 anni è impressionante. Lo testimoniano le notizie che ci arrivano dai grandi congressi mondiali, americano ed europeo in primis, che ogni pochi mesi danno il senso dell'avanzare delle cure. Oramai le terapie a bersaglio molecolare sono presenti per quasi tutti i tipi di tumore e da qualche anno, e sempre di più, sono disponibili anche farmaci immunoterapici che agiscono potenziando il nostro sistema immunitario e rendendolo capace di aggredire il tumore. Si affacciano anche le terapie geniche in grado di modificare a lungo termine il decorso di una malattia con l'obiettivo, ambizioso ma non più irraggiungibile, di curarla.



Rango	Maschi	Femmine	Tutta la popolazione
1°	Prostata (18%)	Mammella (28%)	Colon-retto (14%)
2°	Colon-retto (16%)	Colon-retto (13%)	Mammella (14%)
3°	Polmone (15%)	Polmone (8%)	Polmone (11%)
4°	Vescica* (11%)	Tiroide (6%)	Prostata (9%)
5°	Rene, vie urinarie**	(5%) Utero corpo	(5%) Vescica* (7%)

### Primi cinque tumori più frequentemente diagnosticati e proporzione sul totale dei tumori (esclusi i carcinomi della cute) per sesso. Stime per l'Italia 2017.

\* Comprende sia tumori infiltranti sia non infiltranti.

\*\* Comprende reni, pelvi e uretere.

Questi farmaci, così sofisticati, hanno però dei costi elevati, conseguenza del grande sforzo di ricerca farmacologica sottostante e dell'elevato tasso di fallimento nello sviluppo clinico di un nuovo prodotto. Oramai i farmaci copia, per fortuna, non hanno quasi più spazio, e ogni nuovo farmaco in sviluppo si deve confrontare con la miglior terapia disponibile, la cui asticella si fa sempre più alta.

Vediamo qualche dato per avere la dimensione di questi fenomeni. Secondo quanto si legge nel "Global Oncology Trends 2017", un report annuale di IQVIA, negli ultimi dieci anni la pipeline dei farmaci oncologici in sviluppo clinico è cresciuta del 45% e l'87% dei farmaci oncologici in fase avanzata di studio sono terapie mirate e anticorpi monoclonali. Attualmente, risultano 631 nuove terapie in sviluppo, delle quali 139 nel fase III.

I costi globali totali della terapia oncologica e dei farmaci di supporto nel 2016 sono stati pari a 113 miliardi di dollari, in crescita dai 91 miliardi del 2012.

Nonostante la scadenza dei brevetti di molti farmaci oncologici e l'ingresso dei biosimilari contribuiscano a ridurre i prezzi, nei prossimi anni, si stima che la crescita dei costi dei farmaci an-

ticancro sia compresa tra il 6% e il 9% all'anno, per arrivare ai \$147 miliardi nel 2021.

Consapevoli di questi problemi e in maniera illuminata, i Governi dell'ultima legislatura, spinti dall'azione parlamentare e da quella, fondamentale, del Ministero della Salute, hanno stanziato dei fondi ad hoc per finanziare la spesa per i farmaci oncologici innovativi, definiti dall'Agenzia Italiana del farmaco secondo norme molto chiare e precise.

L'utilità di questo Fondo, ma anche i problemi connessi alla sua gestione, sono stati al centro di una interessante tavola rotonda che si è tenuta all'ultimo congresso della Società Italiana di Farmacia ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie.

Nel presente documento diamo conto dei contenuti di questa tavola rotonda, diamo voce ai pazienti, rappresentati da un'associazione importante qual è Salute Donna onlus e spieghiamo la normativa che sottende al Fondo in questione. Speriamo di aver dato un piccolo contributo alla comprensione di questa materia i cui effetti possono riguardare la vita di noi tutti, come cittadini e a volte, purtroppo, anche come pazienti.

# TAVOLA ROTONDA

## Fondo innovativi: un'opportunità per il sistema sanitario

XXXVIII CONGRESSO NAZIONALE  
**SIFOCARE**  
Il farmacista nel futuro del sistema salute  
ROMA, 25-26 NOVEMBRE 2017, HOTEL ROME CAVALIERI

Tavola rotonda  
**FONDO INNOVATIVI**  
UNA OPPORTUNITÀ  
PER IL SISTEMA SANITARIO

con il contributo non condizionato di



# Partecipanti



**dott. Marco Gambera**

Direttore dei Servizi  
Farmaceutici Territoriali  
del AST di Bergamo –  
Segretario SIFO Lombardia



**dott.ssa Anna Maria  
Mancuso**

Presidente Salute Donna Onlus



**prof. Paolo Marchetti**

Direttore Dipartimento  
Oncologia IDI/S. Andrea Roma



**dott.ssa Roberta  
Di Turi**

Direttore Dipartimento  
dei Servizi del ASL Roma



**dott. Massimo  
Scaccabarozzi**

Presidente e AD Janssen



**dott. Nando Minnella**

Capo Segreteria Tecnica  
del Ministro della Salute

## TAVOLA ROTONDA

# Il fondo innovativi: un'opportunità per il sistema sanitario

In occasione del 38° congresso nazionale della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (SIFO), quest'anno denominato SIFOCARE, ha avuto luogo un'interessante tavola rotonda, dal titolo "Fondo innovativi: un'opportunità per il sistema sanitario".

Punto di partenza del dibattito è stato la recente notizia dell'aumento cospicuo dei fondi previsti per i farmaci innovativi, con l'istituzione di un fondo aggiuntivo specifico per i farmaci innovativi oncologici. Una buona notizia che arriva dopo un periodo "di magra", e un segnale del fatto che i governi attuali pongono un'attenzione diversa rispetto al passato alla questione della ricerca e dell'innovazione in medicina. Esempio paradigmatico è quello della copertura accordata ai nuovi farmaci per l'epatite C, che oggi permettono di guarire dalla malattia, facendo risparmiare alle casse dello Stato i costi associati alle conseguenze dell'epatite C, come la cirrosi e il carcinoma epatico, impiegabili così in un'altra direzione.

Gli ultimi due Governi hanno deciso di stanziare due fondi strutturali di 500 milioni di euro ciascuno, ma non è ancora chiaro se questi fondi facciano parte del pacchetto di oltre un miliardo previsto dal governo o siano da considerare a parte, né se questi due fondi potranno in futuro comunicare tra loro, in modo da poter travasare i soldi da un fondo all'altro in caso di necessità, cosa al momento impossibile.

La tavola rotonda, di cui riportiamo una sintesi, è stata condotta dal giornalista **Franco Di Mare** e ha visto la partecipazione del Dottor Massimo Scaccabarozzi, Presidente e Amministratore Delegato di Janssen Italia, il Professor Paolo Marchetti, Direttore del Dipartimento di Oncologia dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria S. Andrea di Roma, il Dottor Nando Minnella, Capo Segreteria Tecnica del Ministro della Salute, la Dottoressa Roberta Di Turi, Direttore del Dipartimento dei Servizi dell'ASL Roma, il Dottor Marco Gambera, Direttore dei Servizi Farmaceutici Territoriali dell'AST di Bergamo, oltre che segretario della SIFO Lombardia, e la Dottoressa Anna Maria Mancuso, Presidente di Salute Donna Onlus.



## FONDO FARMACI INNOVATIVI ONCOLOGICI Come è nato? Cosa ne pensate? Qual è l'importanza dell'innovazione in oncologia?

### Nando Minnella

“Nel 2014 è stato istituito un fondo speciale per l'accesso ai farmaci innovativi e l'anno scorso il Governo ha approvato lo stanziamento di ulteriori fondi da destinare all'accesso ai farmaci innovativi oncologici. Negli ultimi anni è arrivata sul mercato di una serie di farmaci completamente innovativi, che possono portare alla guarigione da malattia, come nel caso dei nuovi antivirali per l'epatite C. Prima dell'avvento di questi nuovi agenti, si cercava di mantenere il paziente con epatite C in una situazione stabile, ma per poter guarire si doveva ricorrere al trapianto di fegato; con i nuovi farmaci, invece, basta un trattamento di 8 o 12 settimane per eradicare la malattia e guarire il paziente, che può così tornare alla sua vita normale. L'aspetto negativo di queste nuove terapie è il loro costo, molto elevato, ma bisogna tener conto che questi farmaci



Nando Minnella

Fondo per i farmaci oncologici innovativi: il punto di vista del Ministero della Sanità

 **GUARDA IL VIDEO**

cambiano radicalmente la vita delle persone ed è quindi giusto dedicare loro una parte del fondo sanitario (dai 109,9 miliardi nel 2014 ai 114 miliardi attuali), premiando nel contempo il soggetto e l'azienda che hanno investito in innovazione. L'anno scorso, con la legge di bilancio 2017, si è deciso di aggiungere ai 500 milioni del fondo per i farmaci innovativi, impiegato essenzialmente per curare i malati di epatite C, un ulteriore fondo per curare i pazienti colpiti da un tumore con i farmaci innovativi oncologici”.

### Nando Minnella

“Ad oggi i fondi sono strutturali. Nel 2015, con la legge di stabilità 190, il fondo aveva una durata biennale, ma dallo scorso anno, con la legge di bilancio 2017, i fondi sono stati resi strutturali. Si tratta, dunque, di un fondo che viene alimentato ogni anno e la speranza è che in futuro venga alimentato con risorse anche superiori a quelle attuali.”

### Anna Maria Mancuso

“Soddisfatta sì, ma non del tutto, perché non è ancora chiaro come vengano distribuiti questi fondi nelle Regioni, motivo per cui ci sono ancora pazienti che non riescono ad accedere all'innovazione. Sappiamo che c'è una disparità di trattamento regionale dal Nord al Sud e che ci sono Regioni in cui i pazienti tuttora non vengono curati con i farmaci innovativi. L'idea della creazione di un fondo per garantire ai malati oncologici l'accesso ai farmaci innovativi è nato nel 2014 grazie all'attività di 14 associazioni coordinate da *Salute donna onlus*, ma anche di clinici, come il Professor Paolo Marchetti. Abbiamo riunito intorno a un tavolo tutti gli *stakeholder*, siamo andati in Parlamento a spiegare le esigenze dei pazienti e le differenze regionali e abbiamo istituito un inter-gruppo nazionale di parlamentari di tutti gli schieramenti politici, chiamato “*Insieme per la lotta contro il cancro*”, che ha iniziato un'intensa attività di discussione, sfociata, con grande soddisfazione, nell'istituzione di questo fondo. Proprio in questi giorni si parla di incrementare ulteriormente questo fondo attraverso l'aumento del costo delle



sigarette, misura alla quale siamo assolutamente favorevoli. In Senato, durante la discussione della legge di stabilità, è stato presentato questo emendamento, votato, tra l'altro, da tutta la Commissione Igiene e sanità del Senato; sembra, tuttavia, che su questa misura il governo stia facendo un passo indietro. Ci auguriamo che non sia così e che questo emendamento sia, invece, recepito e approvato dal Governo, perché l'approvazione di questa misura rappresenterebbe, tra l'altro, un segnale volto a responsabilizzare i cittadini sull'importanza di uno stile di vita sano. Anche sul fondo già deliberato, tuttavia, c'è ancora confusione, in quanto non è chiara la struttura organizzativa, non si capisce bene dove si debba andare per attingere a questi soldi e a tutt'oggi ci sono Regioni che non sanno dove poterli recuperare”.

*(L'emendamento 41. 137 sull'aumento del prezzo delle sigarette -70 centesimi euro a pacchetto per arrivare a 2-3 euro entro qualche anno- è stato respinto in commissione Bilancio al Senato nonostante la Commissione Salute del Senato l'avesse approvato all'unanimità. NdR)*

### **Paolo Marchetti**

“Ormai abbiamo acquisizioni rapidissime rispetto al passato, quando l'uscita di nuovi farmaci avveniva con ritmi annuali o ancora più lunghi. Praticamente ogni mese, vengono pubblicati lavori talmente importanti da consentire un trasferimento molto rapido dei dati della ricerca clinica nella pratica quotidiana, ferma restando la necessità di attuare specifici meccanismi di

controllo o di articolazione dei sistemi di rimborso, che tengano conto della precocità dell'immissione sul mercato e che, quindi, prevedano la discussione con l'azienda di modalità di condivisione del rischio ad essa correlato. Il tema è sicuramente molto importante, perché riguarda il diritto, peraltro sancito dalla nostra costituzione, all'uguaglianza di possibilità di accesso alle cure innovative, la necessità di rendere disponibili risorse per i farmaci innovativi e, ancor prima, quella di riuscire a identificare nell'ambito del grande capitolo della spesa farmaceutica, a livello nazionale, canali per garantire ai pazienti l'accesso a terapie efficaci in determinate situazioni particolarmente importanti. L'istituzione del fondo per i farmaci oncologici innovativi mi sembra un dato sicuramente di grande merito del Governo in carica”.

### **Massimo Scaccabarozzi**

“Fino a poco tempo fa, la spesa farmaceutica in Italia era molto sottofinanziata, perché negli ultimi 10 anni, fino al 2012, ogni 4 mesi si effettuava un taglio; se 4-5 anni fa tale spesa rappresentava il 16,4% della spesa sanitaria nazionale, oggi è il 14,85% e se non avesse subito questi tagli probabilmente oggi non ci sarebbero problemi di sostenibilità della spesa farmaceutica. All'attuale ministro della Salute va dato atto di essere riuscito in primo luogo a stabilizzare il sistema, e poi di aver cercato di trovare uno strumento che consentisse ai malati di avere l'accesso all'innovazione. In un momento di persistente difficoltà

L'istituzione di questo fondo ha rappresentato un grande segno di civiltà e di riconoscimento e promozione dell'innovazione, anche se difficile nella sua applicazione per via del fatto che il Paese ha 20 sistemi sanitari diversi.

*Massimo Scaccabarozzi*

## **CRITICITÀ DEL FONDO FARMACI INNOVATIVI ONCOLOGICI** **Come vengono ripartite le risorse?** **I meccanismi sono tutti chiari?**

**Roberta Di Turi**

“La creazione del fondo per i farmaci innovativi, che rappresenta indubbiamente un fatto positivo, ci ha lasciati in realtà un po' in difficoltà. È vero che sono stati stanziati questi soldi in più, che costituiscono un incentivo all'impiego dei farmaci innovativi e danno in qualche modo una spinta nella direzione della sostenibilità del sistema; tuttavia, nella normativa non sono indicate in modo chiaro le disposizioni per l'uso periferico. La stessa legge di stabilità specifica chiaramente che per le aziende sanitarie, soprattutto quelle delle Regioni sottoposte a piano di rientro, l'impiego di questi fondi è fortemente vincolato, perché sono costrette a rispettare una forchetta ben definita di “costo-produttività” nella quale i costi non devono superare la produttività del 5%. Si pone, quindi, un problema di bilancio. Poiché la stessa legge che ha istituito i fondi innovativi non contiene le disposizioni e le istruzioni per l'uso per le Regioni, in che modo queste ultime devono attingere a tali fondi e secondo quali criteri li devono ripartire? Al momento le Regioni sono in attesa di indicazioni chiare e quindi, a loro volta, non danno disposizioni alle aziende sanitarie su ciò che, di fatto, devono fare.

Finirà che terranno i fondi per sé stesse, oppure li erogheranno in modo proporzionale alle aziende sanitarie che usufruiranno di farmaci innovativi? Al momento non lo sappiamo e questo rappresenta certamente un grosso limite. Inoltre, si dice che questi fondi favoriscano l'accesso ai farmaci innovativi, ma il direttore generale di turno sa soltanto che deve stare attento al suo bilancio, mentre il prescrittore, che risponde a sua volta al direttore generale del suo budget, qualora lo sfori, oggi come

economica, nonostante i segnali di ripresa, l'istituzione del primo fondo e poi quella del fondo per i farmaci oncologici innovativi costituiscono un segno importante che questo Paese guarda all'innovazione, pur nella difficoltà di trovare i fondi per garantire ai malati l'accesso a questi farmaci innovativi.

Le coperture necessarie sono state trovate, anche se, come sottolineato dalla dottoressa Mancuso, ci sono ancora questioni aperte, tra cui definire esattamente l'innovazione e in base a quali criteri un prodotto può rientrare nella categoria dei farmaci innovativi. Come industria, inoltre, abbiamo sempre detto che riteniamo questi fondi ancora insufficienti, speriamo che vengano usati completamente e, sotto un certo punto di vista, auspichiamo anche che l'ammontare del fondo venga sfiorato: anche se a ripianare l'eccedenza sarebbe chiamata l'industria, questo implicherebbe che c'è una necessità di salute e che questa necessità viene soddisfatta perché i malati possono avere comunque accesso a questi fondi; per questa ragione, se fossi lo Stato o l'ente regolatore, non starei troppo a lesinare la patente di innovatività ai diversi farmaci.



Roberta Di Turi

Fondo per i farmaci oncologici innovativi:  
il punto di vista del farmacista ospedaliero

## GUARDA IL VIDEO

oggi, spesso non chiede al direttore generale di attingere ai fondi accessori per gli agenti innovativi, perché non ne conosce l'esistenza. E questo rappresenta un altro problema”.

### **Marco Gambera**

“Ci piacerebbe capire meglio come poter gestire i farmaci innovativi. A oggi anche la Regione Lombardia non dato indicazioni specifiche su come dare accesso a quei farmaci. Non sono stati presi provvedimenti, come ad esempio creare una nuova tipologia di file F, che potrebbe essere una modalità di rendicontare e comunque “congelare” quel tipo di spesa, riservandola solo agli innovativi. Siamo tutti in attesa.

La Lombardia ha scelto come strategia politica la libertà di scelta del cittadino e ha quindi impostato il sistema sanitario regionale sulla concorrenza tra pubblico e privato accreditato. Oggi, tuttavia, ci troviamo nella condizione in cui non è documentato se il privato accreditato possa avere accesso a questi agenti innovativi. La Regione Veneto, invece, ha deliberato e specificato che una tale azienda socio-sanitaria del territorio acquisterà - e lo

sta già facendo - i farmaci innovativi per le due strutture private accreditate del suo territorio. In Veneto, però, sono presenti solo quattro strutture private accreditate in una Regione con 4 milioni di abitanti, mentre in Lombardia il 30% dei posti letto è assegnato al privato accreditato. In questo momento siamo in una condizione in cui si naviga a vista, non sappiamo se le singole strutture potranno poi davvero erogare questi farmaci attingendo allo specifico fondo, recuperando così i soldi, o se la Regione rischia di trovarsi con il cerino in mano. In più, sul nostro territorio ci sono centri di eccellenza che, come ben sappiamo, sono oggetto di una fortissima migrazione di pazienti provenienti da altre Regioni; su questo fronte si apre una partita delicatissima, nella quale si rischia che i centri comincino a rifiutare i pazienti ed è forte la preoccupazione in questo senso. Nel contempo, è comprensibile che, di fronte a quest'incertezza, il privato accreditato

**Come farmacisti ospedalieri, noi trattiamo i farmaci tutti allo stesso modo: ci impegniamo a fornire ed erogare il farmaco nel più breve tempo possibile, scegliendo quello migliore possibile per quel paziente e quella patologia, e con il prezzo migliore possibile.**

*Marco Gambera*

si ponga dei problemi, perché potrebbero aprirsi dei contenziosi con le Regioni sui rimborsi dei soldi spesi per i farmaci innovativi, ed è noto che il privato necessita di finanziamenti e liquidità maggiori rispetto al pubblico, e che in queste due realtà vigono regole politiche e logiche, anche economiche, ben diverse”.

## Paolo Marchetti

“Il tema è importantissimo e rappresenta un ulteriore motivo di disparità di trattamento dei pazienti nel nostro Paese. A mio avviso, oltretutto, la soluzione sarebbe relativamente semplice, perché i farmacisti già svolgono un lavoro enorme con la tenuta dei registi AIFA. Noi collaboriamo nella gestione di questi registri per ottenere rimborsi specifici; le prescrizioni dei farmaci innovativi, quindi, sono tracciate, appropriate e controllate. Passando attraverso le Regioni potrebbe succedere quel che è già accaduto con il *payment-by result* o il *payment-by volume*, in cui le aziende farmaceutiche restituiscono i soldi alla Regione, senza il vincolo di restituirli all’azienda sanitaria che ha fatto la prescrizione; con il risultato di avere bilanci sempre più complessi e pressioni sempre maggiori dal punto di vista operativo, in un contesto nel quale, per fortuna, non è il singolo medico a decidere se spendere di più o di meno per un paziente e ad essere totalmente artefice della sua vita o della sua morte, scegliendo di non trattarlo con un dato farmaco efficace, perché “costerebbe troppo”.

Un contesto nel quale, però, la pressione al risparmio, e quindi il razionamento implicito da parte delle direzioni generali, è sempre più forte e costringe i malati a migrare in un’altra Regione e a spostarsi in un altro ospedale, alla ricerca delle cure migliori. A dispetto del principio generale su cui si basa il nostro Sistema Sanitario, quello di dare “tutto a tutti”, nella realtà ci sono molti vincoli operativi che, a mio parere, potrebbero essere superati se riuscissimo a sganciare dalla gestione delle Regioni almeno i fondi per gli agenti innovativi, cosa che non credo sia facile”.



Paolo Marchetti

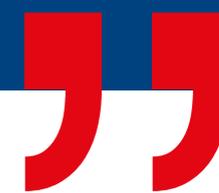
Fondo per i farmaci oncologici innovativi:  
il punto di vista dell'oncologo

 **GUARDA IL VIDEO**



Mi aspetterei che il ministero o AIFA pensassero a pagare direttamente questi farmaci, evitando questo giro verso le Regioni che crea una confusione enorme. Il rimborso dei soldi spesi per i farmaci innovativi potrebbe essere fatto direttamente dal ministero tramite AIFA.

*Paolo Marchetti*



## **Nando Minnella**

“Sarebbe sbagliato dire che non ci sono problemi, perché non è vero. Tuttavia, dissento sul fatto che la norma non abbia previsto una modalità di ripartizione; nel 2015 era vero, ma la legge di stabilità dell’anno scorso, che è ancora in vigore nel 2017, prevedeva nel comma 405 proprio questo. Il provvedimento sarà licenziato a breve e conterrà le modalità e le tempistiche per la ripartizione dei fondi per gli innovativi oncologici, che ad oggi effettivamente non sono definite in modo chiaro.

## **POSSIBILITA' DI MIGLIORAMENTO La complicata rendicontazione è importante? I fondi basteranno?**

## **Anna Maria Mancuso**

“Sappiamo che il tempo è cruciale per un malato oncologico. Io stessa sono un'ex malata di cancro, ho avuto per tre volte la malattia e per fortuna sono sempre arrivata in tempo, perché vivevo e vivo in una Regione, la Lombardia, che oggi riesce a soddisfare la necessità di essere rapidi nel diagnosticare e trattare il tumore. Ma non è così dappertutto, purtroppo. Lo testimonia l'esempio di Anna, 45 anni, che arrivava dalla Sardegna, si era rivolta alla nostra associazione perché aveva avuto una recidiva di un tumore al seno e per questo motivo era andata a Torino per un consulto, dopo essere stata operata in Sardegna. Nella sua Regione le avevano detto che avrebbe dovuto assumere un certo farmaco perché aveva una metastasi, indicazione confermata anche dall'Istituto dei tumori di Milano, dove si era

Tramite decreto ministeriale del Ministero della Salute, di concerto con il Ministero delle Finanze, sarebbero state definite le modalità di ripartizione dei fondi sulla base delle spese sostenute dalle Regioni. Lo schema di decreto è attualmente al vaglio della Conferenza Stato-Regioni.

*Nando Minnella*

poi recata per un'ulteriore valutazione. La donna è tornata con la prescrizione di quel farmaco in Sardegna e si è rivolta alla struttura nella quale si era curata in precedenza, dove si è sentita dire che la Regione e la struttura non le avrebbero fornito quel farmaco e gliene hanno proposto un altro. A quel punto, Anna si è rivolta nuovamente all'Istituto dei Tumori chiedendo di poter fare la terapia in Piemonte o in Lombardia, ma le è stato risposto che non era possibile e che avrebbe dovuto farla in Sardegna.



Il fattore tempo per i pazienti oncologici è fondamentale, per cui è assolutamente essenziale sburocratizzare l'accesso all'innovazione e dare la possibilità a tutti i malati di accedervi in modo rapido.

*Anna Maria Mancuso*

Questo accade perché le Regioni che non possono fornire i farmaci non pagano nemmeno le Regioni accoglienti, per cui queste ultime si trovano costrette a rimandare indietro i pazienti, che finiscono per essere le vittime di questo sistema sballato e disorganizzato. Attraverso *Salute donna* siamo riusciti a trovare la possibilità di curarsi all'Aquila e oggi Anna, a 5 anni dalla comparsa di metastasi polmonari ed epatiche, è ancora viva”.

### **Massimo Scaccabarozzi**

I soldi che la paziente citata dalla dottoressa Mancuso ha speso di tasca propria in trasporti, alberghi e ristoranti, nel suo peregrinare per l'Italia alla ricerca della cura migliore, rappresentano costi occulti della sanità, che i malati si trovano a dover affrontare; ma alcuni, come Anna, sono in grado di sostenerli, altri no. Gli agenti innovativi, come peraltro quasi tutti i farmaci che oggi vengono negoziati in AIFA, sono inseriti in un registro di monitoraggio e

associati a una relativa scheda di monitoraggio che consente di sapere dove viene erogato un determinato farmaco, a chi viene erogato e se viene erogato alla persona giusta, che ha i requisiti per rispondere a quel trattamento.

Questi registri funzionano. Sebbene vengono impiegati per lo più a fini economici, per rimborsare i farmaci laddove non funzionano, rappresentano comunque anche uno strumento per capire come vengono distribuiti Regione per Regione. E alla luce della legge sopra citata, se fossi un paziente o un familiare e vivessi in una Regione in cui un farmaco innovativo non è stato reso disponibile entro i termini previsti, mi rivarrei senz'altro sui burocrati della Regione. Un modello che ha funzionato fino a qualche tempo fa, oggi non funziona più, perché la ricerca ha fatto progressi straordinari. I farmaci che oggi definiamo innovativi sono stati scoperti 10 anni fa, ma nei prossimi 3 anni arriverà un'ondata di innovazione che, se manteniamo la struttura dei silos, cioè di centri di costo nettamente separati tra loro, non ci potremo permettere.



Massimo Scaccabarozzi

Fondo per i farmaci oncologici innovativi:  
il punto di vista delle imprese farmaceutiche

 **GUARDA IL VIDEO**

Se continueremo a mantenere il tetto della spesa farmaceutica accadrà che non tutti i malati avranno accesso ai farmaci, perché le Regioni in difficoltà dal punto di vista economico non li renderanno disponibili, e che le aziende dovranno ripianare e quindi rischieranno di non commercializzarli più.

Pensiamo ad esempio all'epatite C: è vero che sono stati spesi molti soldi per curare i 103.000 malati che ad oggi sono stati guariti in Italia grazie ai nuovi antivirali, fatto di per sé straordinario, ma è altrettanto vero che molti soldi sono stati risparmiati se consideriamo i costi evitati dei trattamenti per la cirrosi o il carcinoma epatico, dei vari ricoveri correlati a queste problematiche e dei trapianti di fegato, senza dimenticare che le persone guarite non percepiranno più la pensione di invalidità. A mio parere non c'è bisogno tanto di risorse aggiuntive, quanto di dare a chi ci amministra la possibilità di vedere un processo, un percorso costituito da tante

I farmaci classificati come innovativi devono essere messi a disposizione dei malati entro 100 giorni, ci sono Regioni, come Lombardia e Lazio, in cui questo limite viene rispettato, mentre in altre, per ottenerli, può volerci molto di più, fino a 500 giorni.

*Massimo Scaccabarozzi*

Sono ottimista perché credo che il percorso sia stato identificato.

*Massimo Scaccabarozzi*

caselle - il farmaco, il dispositivo medico, la chirurgia, la pensione - e di capire dove si può risparmiare e si possono spostare risorse, per rendere sostenibile tutto il resto. Anche se siamo ormai a fine legislatura, sono ottimista perché credo che il percorso sia stato identificato e che il ministero abbia creato una direzione della programmazione sanitaria che si ispira proprio a questo principio. A gennaio 2018 certamente non saremo pronti con questo sistema, ma, se partiremo oggi, fra due anni ci arriveremo”.

**Roberta Di Turi**

“La rendicontazione attualmente rappresenta per noi un onere molto gravoso, soprattutto negli ultimi tempi, perché le nostre linee di attività sono in crescita esponenziale e gli organici invece no, il che è ovviamente un problema. Tuttavia, rendicontare è essenziale, perché significa rendersi conto di come si impiegano le risorse e di quello che effettivamente si fa. Siamo sempre stati convinti che i dati vadano raccolti in maniera completa. E se un domani riuscissimo a incrociare tutti i dati gestionali con i dati di outcome, ciò sarebbe evidentemente importante in termini di programmazione sanitaria, perché ci darebbe la consapevolezza di dove dover investire la maggior parte di risorse e dove no. Da un altro punto di vista, ritengo che sia altrettanto

importante tenere ben alta l'attenzione ai conti e alla spesa, e naturalmente avere un monitoraggio serrato di tutte le terapie, anche quelle innovative, tanto più in assenza di chiare "istruzioni per l'uso", come ora, ma con la speranza di poter rientrare in futuro, almeno in parte, dei fondi spesi, auspicabilmente in misura proporzionale all'impiego che se ne è fatto. Bisogna, però, essere pronti a quest'eventualità, e per essere pronti e non in ritardo è necessario tenere una contabilità aggiornata".

### **Marco Gambera**

"Rendicontare è sicuramente essenziale, però i registri AIFA contengono una criticità: i farmaci nuovi immessi in commercio vengono inseriti in registri cartacei, e ciò implica da un lato un grosso dispendio di tempo per gli operatori deputati alla registrazione e, dall'altro, un ritardo nella disponibilità dei dati. Mi pare assurdo che, a fine 2017, non esista ancora una piattaforma online per fare queste registrazioni, e poi non ci sono neanche i dati di ritorno. Non viene quindi minimamente ripagato lo sforzo, l'investimento, del personale per registrare e inserire tutti quei dati. Teniamo anche conto anche che in alcune Regioni, tra cui in Lombardia, c'è anche un altro forte sforzo in atto per verificare che tutte le prescrizioni siano adeguate, in quanto ci sono altri farmacisti che vanno a controllare quello che è stato fatto dai farmacisti ospedalieri; si ha, quindi, un doppio controllo, per verificare ciò che è stato effettivamente inserito. Si tratta di uno sforzo aggiuntivo che il sistema sanitario regionale si è sobbarcato, a garanzia anche della correttezza dei trattamenti e della spesa farmaceutica".

### **Massimo Scaccabarozzi**

"Questo tipo di rendicontazione è così difficoltosa che alcune Regioni hanno istituito anche un registro regionale e vorrei sottolineare che questi registri non sono così costosi per il sistema sanitario, perché li paga l'industria. Per ogni registro paghiamo

dai 30 ai 40.000 euro annui per il mantenimento e siamo contenti di investire questi soldi, se l'investimento dà dei risultati".

### **Nando Minnella**

"Francamente non credo che 500 milioni di euro siano sufficienti. I fondi saranno abbondantemente utilizzati e si andrà anche oltre. Finora il fatto che non fossero chiari i criteri di ripartizione ne ha frenato l'impiego. Ma la domanda di farmaci innovativi è eccedente la cifra stanziata, e questo è risaputo. Ad oggi i fondi non sono stati spesi completamente per un solo motivo: perché le Regioni in alcuni casi hanno tirato un po' i freni, non essendo chiara la modalità di rimborso e non sapendo quando sarebbero state rimborsate".

**I pazienti chiedono di essere curati nel modo giusto, con i farmaci migliori possibili per la loro specifica situazione. Perché sapere che esiste la possibilità di avere una cura e non potervi avere accesso credo sia davvero devastante per chi, come me e altri, ha dovuto e/o deve affrontare la malattia**

*Anna Maria Mancuso*

# VUOI RIVEDERE LA TAVOLA ROTONDA?



**DURATA  
DEL VIDEO**  
50:35



INTRODUZIONE

TAVOLA ROTONDA

PUNTO DI VISTA PAZIENTI

APPROFONDIMENTI

# Il punto di vista dei pazienti

## Ne parliamo con Anna Maria Mancuso

### Presidente di Salute Donna onlus



# Intervista ad Anna Maria Mancuso

Quando si supera una sfida difficile come quella del cancro tutte le sfide sembrano possibili anche quella di creare dal nulla un'associazione che aiutasse le altre donne a superare questo momento così difficile della loro vita. È questa, in estrema sintesi, la battaglia di **Anna Mancuso**, che, dopo aver affrontato per tre volte e vinto la sfida con la malattia, nel gennaio del 1995 ha fondato l'associazione **Salute Donna onlus**.

Grazie alla dedizione dei volontari e al continuo sostegno dell'**Istituto dei Tumori di Milano**, Salute Donna è cresciuta e si impegna ogni giorno per diffondere una diversa cultura della malattia oncologica.

L'abbiamo incontrata a margine del congresso SIFO per farci raccontare meglio i temi che ruotano intorno alle cure oncologiche, all'innovazione in terapia e, soprattutto, per sapere il punto di vista dei pazienti.

## Qual è stato il vostro contributo nella creazione di un Fondo per i farmaci oncologici innovativi?

Nel 2014 Salute Donna è stata promotrice di un gruppo di lavoro che prende il nome di "La Salute un bene da difendere, un diritto da promuovere". A questo gruppo hanno aderito 17 associazioni di pazienti oncoematologici, società scientifiche come Aiom, il registro nazionale dei tumori, l'Osservatorio degli screening, il Cipomo e altre ancora.

Il progetto nasce dalla constatazione dei ritardi e delle gravi disparità che ancora sussistono nell'assistenza e cura dei pazienti oncologici tra le diverse regioni italiane, disparità che alimentano il preoccupante fenomeno della migrazione sanitaria.



Anna Maria Mancuso

Fondo per i farmaci oncologici innovativi: il punto di vista dei pazienti

## GUARDA IL VIDEO

È stata costituita una Commissione tecnica scientifica composta da clinici, società scientifiche, esperti di farmacoeconomia e Istituzioni medico-scientifiche che ha poi messo a punto un documento programmatico per la cura, la prevenzione e l'accoglienza al paziente oncologico. Questo Manifesto aveva anche l'obiettivo di richiamare l'attenzione delle Istituzioni sui rischi per l'omogeneità dell'assistenza oncologica. Per garantire sul territorio nazionale l'uniformità delle prestazioni sanitarie, nel

**LA SALUTE: UN BENE DA DIFENDERE,  
UN DIRITTO DA PROMUOVERE**

<https://www.salutebenedadifendere.it/>

Manifesto si chiede che in ogni Regione venga attivato almeno un centro specialistico di riferimento con la responsabilità di stabilire i protocolli di cura.

## Quali sono stati i passi successivi per arrivare al Fondo?

Per tutelare sempre meglio i diritti dei pazienti oncologici, abbiamo costituito un intergruppo parlamentare che prende il nome di “**Insieme per un impegno contro il cancro**”, composto da 80 parlamentari di tutti gli schieramenti politici impegnati a promuovere la lotta al cancro come una priorità della politica sanitaria nazionale e per orientare in tal senso la legislazione.

Il lavoro fatto con le Istituzioni politiche ha portato alla creazione di un fondo economico di 500 milioni di euro per garantire l'accesso dei pazienti alle cure innovative. Questo è stato il nostro primo successo, seguito da altri atti parlamentari elaborati e discussi sia alla Camera sia al Senato.

## Vi siete molto impegnati per contrastare il fumo di sigaretta. Ce ne parla?

Crediamo che la prevenzione sia, insieme alla ricerca, un mezzo importante per la lotta contro il cancro, motivo per cui l'abitudine al fumo andrebbe contrastata con ogni mezzo possibile in quanto i fumatori sono soggetti che più facilmente possono ammalarsi di cancro, e a dirlo sono gli scienziati. L'aumento delle sigarette aveva due obiettivi: il primo era quello di incrementare il Fondo oncologico per le cure, visto che le risorse non bastano mai. L'altro era dare un segnale per i fumatori: il fumo uccide e chi in maniera consapevole sceglie di fumare rappresenta un onere aggiuntivo per la società. C'è chi si ammala senza colpe e chi si ammala con delle colpe.



Introduce anche un po' un senso civico, perché chi si ammala per irresponsabilità deve sapere che rappresenta un costo per il SSN, e visto che stiamo attraversando una difficile crisi economica, potrebbe esserci il rischio di non essere curati con i farmaci innovativi perché troppo costosi. Diciamolo chiaramente: lo stato non investe in ricerca e chi lo fa spende miliardi di euro per trovare il farmaco salvavita, è naturale che poi debba recuperare quanto ha investito.



L'Italia è ancora indietro rispetto ad altri stati europei (prendiamo sempre il peggio dall'Europa). Il costo delle sigarette in alcuni paesi è stato raddoppiato proprio per disincentivare il fumatore, e la scelta è stata vincente perché ha costituito un vero deterrente al fumo visto che i dati hanno registrato un calo della vendita delle sigarette e dei fumatori.

Siamo molto dispiaciute che il Governo, nonostante la Commissione Sanità del Senato avesse votato all'unanimità l'emendamento che prevedeva l'aumento del costo delle sigarette, abbia invece rigettato l'emendamento stesso. Per fortuna però, sembrerebbe che il Fondo per i farmaci oncologici innovativi rimanga. Non ci sarà l'extra che poteva derivare dall'aumento del costo delle sigarette e di ciò siamo rammaricate, perché ancora una volta è mancato il coraggio di decidere per il bene pubblico.

### **Perché questo Fondo è importante?**

È importante perché la ricerca sta galoppando velocemente con l'immissione di nuove molecole che potrebbero rivoluzionare la vita dei malati oncologici, così come sta galoppando velocemente la crisi economica che investe l'Italia. Questo è il motivo principale per cui occorre mettere al riparo dei fondi al fine di garantire cure appropriate e rivoluzionarie per i malati di cancro. Garantito il Fondo, però, dobbiamo fare in modo che lo stesso sia effettivamente speso per i farmaci innovativi e non venga invece messo nel calderone dei bilanci delle aziende sanitarie. L'azienda sanitaria potrebbe essere tentata di mettere questi

fondi aggiuntivi nel conto complessivo della sua programmazione annuale, risparmiando i fondi che altrimenti avrebbe destinato proprio a questi farmaci. Così si vanificherebbe lo spirito della legge e, soprattutto, si danneggerebbero i pazienti.

### **Cosa vuol dire per un paziente sapere che ci sono farmaci che potrebbero curare la sua malattia e non sapere se l'ospedale o il medico glieli potranno somministrare?**

Questa è una cosa gravissima sulla quale noi stiamo lavorando. Stiamo lavorando sulle differenze regionali perché queste differenze portano ad avere pazienti di serie A e serie B anche se siamo un unico Paese. In realtà, il titolo 5° della Costituzione lascia alle regioni il compito di organizzare il loro budget di spesa sanitaria. Diventa un problema quando una regione è soggetta a un piano di rientro ed è commissariata da tempo (la Calabria ad esempio). Le Regioni che hanno grossi deficit di bilancio sicuramente investono meno in innovazione e non offrono alla loro popolazione tutte le terapie innovative disponibili. Il piano di rientro non dovrebbe mai mettere in discussione l'uguaglianza di accesso alle cure, perché poi si crea un disagio al cittadino. Purtroppo queste disparità nei casi più gravi possono portare i pazienti a morire. Se non vengono curati in tempo con farmaci innovativi e salvavita gli si crea un danno gravissimo. Nel caso della salute, queste disparità territoriali costituiscono un fatto gravissimo. È un'Italia a più velocità che non ci deve es-

sere. Ci sono dei pazienti che dalla Calabria vengono a Milano magari per sottoporsi a un intervento chirurgico. L'Ospedale li accoglie visto l'elevato valore del DRG, ma le cure successive, invece, iniziano ad essere un costo anche per le regioni virtuose. Infatti succede che gli ospedali accoglienti, rimanda il paziente nella sua Regione per le terapie, prescrivendogli cure che forse non riceverà mai o che subiranno cambiamenti proprio in virtù dei costi. Il circolo vizioso viene messo in atto in quanto, le regioni che hanno pazienti che si spostano su altre per essere curati, non rimborsano più il costo dovuto alle regioni accoglienti e questo grazie anche ai piani di rientro. Chi ne fa le spese? Alla fine siamo sempre noi pazienti a subire l'incapacità di chi dovrebbe tutelare la salute come bene pubblico.

### **Cosa fa Salute Donna per informare le pazienti sull'arrivo dei nuovi farmaci oncologici?**

Innanzitutto consigliamo loro di andare su internet a meno che non sia una testata certificata, in quanto può essere uno strumento pericoloso, suggeriamo a tal proposito di fidarsi solo di siti certificati e autorevoli come quello dell'AIOM.

Internet ha rivoluzionato il mondo ma non solo in modo positivo: può portare a fare scelte non appropriate se non viene utilizzato con criterio.

L'altro suggerimento che diamo è quello di parlare con il proprio medico di famiglia o con il proprio oncologo, e qualora non trovasse risposta nelle persone di loro fiducia, chiedere una seconda opinione ai centri di alta specializzazione. Salute Donna, tra le sue attività, facilita l'accesso alla seconda opinione, supportando le pazienti per la richiesta di eventuali appuntamenti o visione delle cartelle cliniche, attraverso il supporto degli oncologi con i quali collabora sia all'interno dell'Istituto dei Tumori di Milano che in altre strutture ugualmente qualificate.





<http://www.salutedonnaonlus.it/>

## **Negli ultimi anni, cosa è cambiato nella cura dei tumori femminili?**

Negli ultimi 4-5 anni c'è stata un'evoluzione importante della ricerca in oncologia. Infatti si parla sempre di più di cure personalizzate: per ogni paziente e patologia c'è una cura mirata e non più una cura uguale per tutti. Oggi si parla di biologia molecolare, di test genetici e questo sta portando a curare ogni tipologia di tumore in modo più appropriato rispetto al passato. Grazie anche ai media qualificati che diffondono informazioni in modo etico e corretto anche i pazienti mediamente oggi sono più informati di ieri. L'informazione è alla base di ogni scelta ed è questo uno dei motivi per cui oggi il paziente si sposta da una regione all'altra, in cerca di cure migliori. C'è da lavorare ancora molto, il nostro impegno richiede energie, affinché si possa cambiare la cultura della malattia, non solo in chi la vive, ma anche in chi la governa: il tempo può essere letale per un malato oncologico e la politica è sempre in ritardo rispetto alla scienza.

## **Quali altre attività svolge Salute Donna?**

I nostri servizi sono di diversa natura, e vanno dall'assistenza al malato, alla formazione dei pazienti e dei clinici. Esempi pratici: accompagniamo i pazienti a fare le terapie quando non hanno nessun familiare disponibile. Prendiamo gli appuntamenti quando i pazienti non possono andare agli sportelli a fare le code, o quando non trovano risposta al numero verde per prenotarsi un appuntamento. Diamo un supporto di tipo psicologico ai malati e alle famiglie. Inoltre offriamo Assistenza Fiscale per gestire le pratiche di invalidità e per i diritti sociali dei malati. Raccogliamo fondi per acquistare arredi, macchinari, come ad esempio ecografi, per alcune strutture che ne hanno la necessità. Per finanziare le nostre attività, ci avvaliamo di mercatini permanenti nelle varie sedi, dove offriamo oggetti realizzati dalle nostre stesse volontarie, organizziamo spettacoli teatrali, musicali, corsi di cucina, e avendo molti amici nonché soci promuoviamo attraverso di essi il 5x1000.

# Fondo per i farmaci innovativi: Epatite C e non solo

Nel tentativo di fronteggiare la spesa collegata all'innovazione terapeutica, la legge di stabilità 2015 (legge 190/2014, art. 1, co. 593-598) ha istituito presso il Ministero della salute, per il biennio 2015-2016, un Fondo per il rimborso alle Regioni per l'acquisto di medicinali innovativi, con uno stanziamento pari a 500 milioni di euro per ciascuno degli anni di riferimento.

La manovra 2017 ha previsto due fondi da 500 milioni di euro annui ciascuno, da destinare all'acquisto di farmaci innovativi, notoriamente molto efficaci ma anche molto costosi.

Il primo è il “**Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi**”, all'interno del quale sono presenti 10 farmaci: 8 farmaci per l'epatite C, uno per la fibrosi cistica e uno per l'Ada Scid, o sindrome dei bambini bolla, ovvero due malattie genetiche rare.

Tali elenchi saranno aggiornati dall'Aifa con cadenza mensile, sulla base dei successivi pareri resi dalla Cts, e pubblicati con le medesime modalità. Ogni elenco è strutturato con il nome commerciale del farmaco; il principio attivo; le indicazioni; la classe di rimborsabilità; efficacia e scadenza.

L'altro Fondo è quello per i farmaci oncologici innovativi di cui parliamo a parte.



# Fondo per i farmaci oncologici innovativi

Con la legge di bilancio del 2017 (legge 11 dicembre 2016 n. 232, comma 401) è stato istituito il **“Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l’acquisto dei medicinali oncologici innovativi”**.

Analogamente al fondo per i farmaci innovativi istituito nel 2015 e rinnovato nel 2016 e poi nel 2017, questo nuovo Fondo, che si riferisce ai soli farmaci oncologici innovativi, ha un valore di 500 mln che saranno assegnati a decorrere dal 1 gennaio del 2017. Il miliardo di euro dei due Fondi è ricavato dal fabbisogno sanitario nazionale standard.

Con determina del direttore generale di AIFA, da adottarsi entro il 31 marzo 2017, sono stabiliti i criteri che definiscono l’innovatività dei farmaci. Questa determina è stata poi aggiornata con quella del 18 settembre (n. 1535/2017).

Attualmente, sono sei i farmaci che rientrano nel Fondo farmaci oncologici innovativi: pertuzumab, nab paclitaxel, idelalisib, ibrutinib, nivolumab, pembrolizumab.

Le somme dei Fondi per l’acquisto, rispettivamente, dei medicinali innovativi e dei medicinali oncologici innovativi, sono versate in favore delle Regioni in proporzione alla spesa sostenuta dalle Regioni medesime per l’acquisto di tali medicinali, secondo le modalità individuate con apposito decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell’economia e delle finanze, previa intesa in sede di Conferenza Stato-Regioni.

La spesa dei farmaci innovativi ed innovativi oncologici concorre al tetto per l’ammontare eccedente la somma dei due fondi.





A dimostrazione del valore dell'operazione, vale la pena ricordare come il recente **Focus n. 5 dell'Ufficio Parlamentare di Bilancio consideri i Fondi** in questione (innovativi, oncologici e non) come «*l'elemento di maggiore rilievo della manovra, con cui viene consolidata una politica del farmaco che rende prioritaria la protezione dell'innovazione farmaceutica, gestita sotto il diretto controllo del livello centrale. In presenza di stretti vincoli sulla spesa sanitaria complessiva, questa scelta implica il sacrificio di altre attività*».

Recentemente, il ministro Lorenzin ha dichiarato che il Fondo, pari a 500 milioni di euro nel triennio «*è strutturale e credo che lo rimarrà sempre. Abbiamo infatti nuovi modelli di funzionamento che dobbiamo portare avanti e anche nella governance del farmaco stiamo introducendo altri aspetti di innovazione e, quindi - ha sottolineato - l'accesso ai farmaci innovativi nel nostro Paese va garantito*».

Secondo quanto denuncia la **FAVO**, la Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia, i pazienti oncologici italiani attendono in media 806 giorni, cioè 2,2 anni, per accedere a un farmaco anti-cancro innovativo. È il tempo che trascorre fra il deposito del dossier di autorizzazione e valutazione presso l'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) e l'effettiva disponibilità di una nuova terapia nella prima Regione italiana. Un termine che può dilatarsi fino a tre anni (1.074 giorni) se si considera l'ultima Regione in cui il farmaco viene messo a disposizione. L'auspicio è che con l'istituzione del Fondo questo tempo si accorci molto, perlomeno per i farmaci più innovativi.

# Come si stabilisce l'innovatività di un farmaco

Il 18 settembre 2017, l'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) sul suo sito ha pubblicato la determina n. 1535/2017 che stabilisce i criteri con cui un farmaco è classificato come innovativo.

La determina Aifa per la valutazione dell'innovatività dei medicinali prevede un approccio multidimensionale che tiene conto di tre parametri: bisogno terapeutico, valore terapeutico aggiunto e qualità delle evidenze scientifiche. Ai primi due parametri può essere assegnata una valutazione massima, importante, moderata, scarsa, assente. Mentre la qualità delle evidenze viene classificata, in accordo con il metodo Grade, in alta, moderata, bassa e molto bassa.

Vediamo i tre parametri in maniera dettagliata.



# 1

## 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.

Ai fini del riconoscimento dell'innovatività, il bisogno terapeutico può essere graduato in cinque livelli:

**Massimo:** assenza di opzioni terapeutiche per la specifica indicazione;

**Importante:** presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione, ma che non producono impatto su esiti clinicamente rilevanti e validati per la patologia in oggetto;

**Moderato:** presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione con impatto valutabile come limitato su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e/o con un profilo di sicurezza incerto o non del tutto soddisfacente;

**Scarso:** presenza di una o più alternative terapeutiche per la specifica indicazione con impatto valutabile come elevato su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e con un profilo di sicurezza favorevole;

**Assente:** presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione in grado di modificare la storia naturale della malattia e con un profilo di sicurezza favorevole.



# 2

## VALORE TERAPEUTICO AGGIUNTO

Il valore terapeutico aggiunto è determinato dall'entità del beneficio clinico apportato dal nuovo farmaco rispetto alle alternative disponibili, se esistenti, su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e validati per la patologia in oggetto.

Ai fini del riconoscimento dell'innovatività il valore terapeutico aggiunto può essere graduato in cinque livelli:

**Massimo:** maggiore efficacia dimostrata su esiti clinicamente rilevanti rispetto alle alternative terapeutiche (qualora disponibili). Il farmaco è in grado di guarire la malattia o comunque di modificarne significativamente la storia naturale;

**Importante:** maggiore efficacia dimostrata su esiti clinicamente rilevanti, o capacità di ridurre il rischio di complicazioni invalidanti o potenzialmente fatali, o migliore rapporto rischio/beneficio (R/B) rispetto alle alternative, o capacità di evitare il ricorso a procedure cliniche ad alto rischio. Il farmaco modifica la storia naturale della malattia in una sottopopolazione di pazienti, o rappresenta comunque un vantaggio clinicamente rilevante, ad esempio in termini di qualità della vita e di intervallo libero dalla malattia, rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;

**Moderato:** maggiore efficacia di entità moderata o dimostrata in alcune sottopopolazioni di pazienti o su esiti surrogati, e con effetti limitati sulla qualità della vita. Per condizioni nelle quali sia ammissibile l'assenza di un comparatore, disponibilità di evidenze suggestive di migliore efficacia clinica e profilo R/B più favorevole rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;

**Scarso:** maggiore efficacia che, tuttavia, è stata dimostrata su esiti non clinicamente rilevanti oppure risulta di scarsa entità. Vantaggi minori (ad esempio via di somministrazione più favorevole) rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;

**Assente:** assenza di un beneficio clinico aggiuntivo rispetto alle alternative terapeutiche disponibili.



**3**

## **QUALITÀ DELLE PROVE**

La corretta valutazione del potenziale innovativo di un farmaco dipende dalla qualità delle prove scientifiche portate a supporto della richiesta. Per la valutazione di questo parametro l'AIFA ha deciso di adottare il metodo GRADE (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation)

<http://www.jclinepi.com/content/jce-GRADE-Series>.

Nato nel 2000, il GRADE è diventato lo strumento di riferimento per la valutazione della affidabilità delle prove scientifiche e per la formulazione di raccomandazioni cliniche basate sulle evidenze: ad oggi più di 100 organizzazioni in 19 Paesi supportano o utilizzano questo metodo.

# **GRADE**

**Per saperne di più**

<http://www.gradeworkinggroup.org/>



## VALUTAZIONE FINALE DI AIFA

Al termine del processo di valutazione, la Commissione tecnico scientifica (Cts) dell'Aifa descrive in una breve relazione le valutazioni su ciascuna delle tre variabili considerate.

E ne riporta l'esito finale, che può essere di tre tipi.



**1. Riconoscimento dell'innovatività**, a cui segue l'inserimento nel Fondo dei farmaci innovativi, oppure nel Fondo dei farmaci innovativi oncologici, i benefici economici previsti dalla Legge di bilancio 2017 e l'inserimento nei Prontuari Terapeutici Regionali.

La durata massima del requisito di innovatività e i benefici conseguenti è di 36 mesi per i first-in-class (i followers potranno beneficiare del requisito per il periodo residuo). Se esistono evidenze che smentiscano quelle che ne avevano giustificato il riconoscimento o ne ridimensionino l'effetto, l'innovatività non potrà essere confermata, e i benefici ad essa connessi decadranno, con conseguente avvio di una nuova negoziazione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilità.

**2. Riconoscimento dell'innovatività condizionata (o potenziale)**, che comporta unicamente l'inserimento nei Prontuari Terapeutici Regionali.

Per i farmaci ad innovatività condizionata è obbligatoria almeno una rivalutazione entro i 18 mesi dalla concessione del requisito di innovatività. Nella rivalutazione di farmaci ad innovatività condizionata, la disponibilità di nuove evidenze che venissero valutate positivamente dalla CTS potrà portare al riconoscimento dell'innovatività piena, con il conferimento dei benefici per il tempo residuo di durata prevista.

**3. Mancato riconoscimento dell'innovatività.**

Secondo quanto riportato dalla determina Aifa per i farmaci innovativi: "L'esito finale e la relativa valutazione della Cts vengono rese pubbliche sul portale dell'Agenzia contestualmente alla pubblicazione della determinazione di rimborsabilità e prezzo".

**Sito di AIFA**

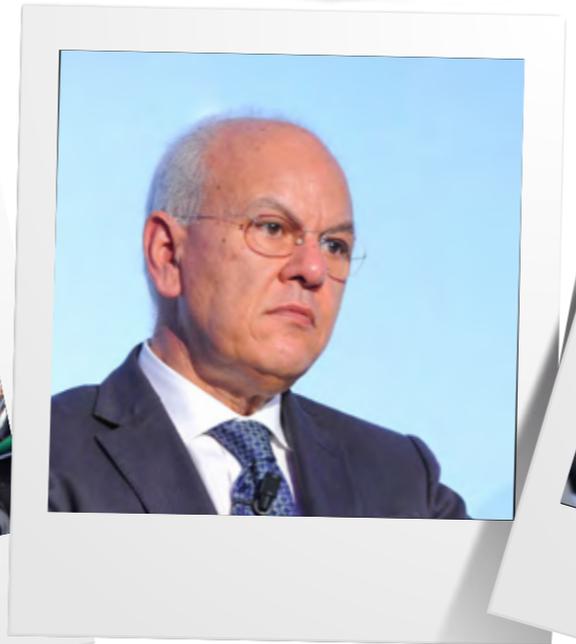
<http://www.aifa.gov.it/content/aifa-criteri-la-classificazione-dei-farmaci-innovativi-e-dei-farmaci-oncologici-innovativi>



# Tavola rotonda



**CLICCA QUI PER VEDERE LA FOTOGALLERY**



# Il valore della ricerca.

Avere soluzioni terapeutiche innovative significa migliorare la vita delle persone dal punto vista umano, sociale ed economico. Ma non sarebbe possibile senza nuove e incoraggianti scoperte in ambito farmaceutico: per questo motivo Janssen sostiene la ricerca globale all'interno dei propri laboratori e collabora con le realtà accademiche, scientifiche, industriali, istituzionali.

Giorno dopo giorno, Janssen affronta sfide sempre più complesse nel campo della medicina, rimanendo al fianco dei pazienti in molte delle principali aree terapeutiche: neuroscienze, infettivologia e vaccini, immunologia, malattie cardiovascolari e metaboliche, oncologia ed ematologia. Al tempo stesso promuove la sostenibilità del sistema salute con modelli innovativi di accesso e programmi di formazione e informazione.

Il valore della ricerca è solo uno dei cardini sui cui si basa l'operato di Janssen in Italia: da 40 anni al servizio della ricerca per un mondo più sano.

**Janssen. Più vita nella vita.**

Janssen-Cilag SpA  
[www.janssen.com/italy](http://www.janssen.com/italy)

 @JanssenITA

janssen 

## PHARMASTAR

[www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it)

Registrazione al Tribunale di Milano

n° 516 del 6 settembre 2007

## EDITORE

MedicalStar

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

[info@medicalstar.it](mailto:info@medicalstar.it) - [www.medicalstar.it](http://www.medicalstar.it)



## DIRETTORE RESPONSABILE

Danilo Magliano



## PROGETTO E GRAFICA

Francesca Bezzan

[www.franbe.it](http://www.franbe.it)

## AVVERTENZE PER I LETTORI

Nessuna parte di questa pubblicazione può essere copiata o riprodotta anche parzialmente senza l'autorizzazione dell'Editore.

L'Editore declina ogni responsabilità derivanti da errori od omissioni in merito a dosaggio o impiego di medicinali o dispositivi medici eventualmente citati negli articoli e invita il lettore a controllare personalmente l'esattezza delle informazioni, facendo riferimento alla bibliografia relativa.

## HA COLLABORATO ALLO SPECIALE



Alessandra Terzaghi

SEGUICI SU



ISCRIVITI ALLA NEWSLETTER



REDAZIONE@PHARMASTAR.IT

**PHARMASTAR**<sup>★</sup>  
il Giornale on-line sui Farmaci  
WWW.PHARMASTAR.IT