- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 13.59.231.155 Mon, 29 Apr 2024, 13:24:47

Francesco Brera
Comitato Unico di Redazione Editoria SIFO

HTA nel governo del farmaco

Moderatori: Alberto Costantini, Paolo Foggi
- *Alberto Corsini,* Farmaci innovativi: dalle proteine terapeutiche ai farmaci anti HCV
- *Entela Xoxi,* I Registri AIFA quale strumento per la verifica dell'appropriatezza prescrittiva e applicazione dei Managed Entry Agreements (MEAs) nella reale pratica clinica
- *Luca Del Bene,* Decidere in sanità ai tempi della crisi. Ruolo e prospettive dell'HTA
- *Luigi Di Matteo,* Appropriatezza terapeutica per la sostenibilità economica. L'esempio della Reumatologia

L'innovazione farmacologica prevede l'impiego di strategie terapeutiche sempre più all'avanguardia; la terapia delle malattie con la predisposizione a cronicizzare sono oggetto di analisi HTA che prevede la valutazione di molecole innovative a fronte di un costo elevato; un esempio è fornito dalle opportunità terapeutiche per i pazienti affetti da epatite C che prevedranno l'utilizzo di terapie orali, escludendo quelle a base di interferone e ribavirina.
Il futuro obiettivo consisterà nella somministrazione di molecole *direct-acting antivirale (DAAs)* e *host-targeted agents (HTAs),* ovvero inibitori selettivi delle proteine virali, che garantiscono un beneficio terapeutico pari ad una riduzione delle tempistiche di trattamento a 12-24 settimane.
I progressi scientifici lasciano intravedere la possibilità di affrontare patologie da cui sono affetti una percentuale elevata della popolazione (il numero delle persone infette da HCV in italia è 1 milione, a livello mondiale è 140 milioni ovvero 2.2 % della popolazione globale) sfruttando queste nuove opportunità terapeutiche. Le strategie di *drug development* promosse dalle aziende farmaceutiche prevedono lo sviluppo di farmaci *biotech* (il 30% dei farmaci di nuova immissione un commercio saranno anticorpi monoclonali) finalizzate al trattamento delle patologie oncologiche, reumatiche, immunologiche, alterazioni del metabolismo osseo e del colesterolo. La terapia per il trattamento dell'ipercolesterolemia prevederà presumibilmente la somministrazione di anticorpi monoclonali, attualmente in avanzata fase sperimentale, come Evolocumab e Bococizumab. I dati provenienti da studi clinici randomizzati (*RCT),* condotti somministrando il primo anticorpo insieme ad ezetimibe, hanno evidenziato una maggiore efficacia nella riduzione del colesterolo, rispetto all'utilizzo di ezetimibe in monoterapia.
L'Autorità regolatoria per fronteggiare una spesa economica prevedibilmente in aumento ha predisposto l'impiego dei registri di monitoraggio, indirizzando di fatto il clinico nella scelta prescrittiva in modo tale da valutare l'utilizzo dei nuovi farmaci; il Servizio Sanitario Nazionale adotta infatti come principio quello di utilizzare e rimborsare farmaci innovativi solo se realmente efficaci e di ottimizzare la spesa farmaceutica identificando come nuovi pazienti eventuali *responders* alla terapia mediante stringenti criteri d'arruolamento (il clinico deve obbligatoriamente compilare una sezione dedicata ai valori baseline). L'utilizzo di questi registri da parte degli operatori sanitari rappresenta così uno strumento per misurare l'efficacia e la sicurezza delle nuove molecole, implementando un sistema di rimborsi che possa tener presente questi aspetti definendo il concetto di *Managed Entry Agreement (MEAs)* ovvero i sistemi di *payment by results, risk sharing, success fee*. Il contenimento della spesa è concomitante alla valutazione della sicurezza, intesa anche come monitoraggio degli eventi avversi, impostata in modo tale che ci sia una comunicazione con la rete nazionale di farmacovigilanza, generando automaticamente una segnalazione.
Questo sistema fornisce dati a livello nazionale utili all'Autorità regolatoria per rivalutare i contratti con le aziende farmaceutiche e rinegoziare le modalità di rimborso.
In un'ottica di sostenibilità in cui l'esigenza sanitaria deve confrontarsi con un fabbisogno economico – finanziario, risulta necessario una valutazione HTA che permetta una scelta tra le diverse alternative disponibili; appare quindi opportuno impostare una valutazione di natura "multidimensionale" considerando alcuni aspetti come quelli clinici (desunti dalla letteratura scientifica e dall'esperienza medica), l'impatto atteso sulla salute e sulla qualità di vita dei pazienti e l'efficacia clinica. L'impatto sulla salute dovrà valutare tanto il singolo paziente quanto una corte e i relativi benefici attesi in termini di qualità di vita; come conseguenza di ciò è opportuno considerare anche la capacità di svolgere completamente un'attività lavorativa, parzialmente oppure l'incapacità di svolgerla (capacità produttiva).

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 13.59.231.155 Mon, 29 Apr 2024, 13:24:47

L'esempio fornito dalle malattia reumatiche evidenzia infatti una diminuzione della produttività pari a 1,8 miliardi di euro, descrivendo uno stato di severa disabilità dei pazienti italiani, maggiore rispetto alla media dei paesi dell'unione europea.
L'analisi HTA, come criterio decisionale, risulta eterogeneo tre le regioni italiane (il 71,4% delle regioni ha recepito le attività HTA e solo il 47,6% ha previsto una regolamentazione formale) in termini di maturità delle esperienze, livelli d'implementazione, ambiti di applicazione e oggetti della valutazione (farmaci, vaccini, dispositivi medici, grandi apparecchiature, procedure, sistemi di organizzazione).
Lo scenario attuale, quindi, lascia aperte le prospettive ad un'armonizzazione nazionale in merito alle tecniche decisionali in ambito sanitario, considerando i contesti regionali e il conseguente impatto sull'efficienza dell'offerta e sull'accessibilità delle prestazioni.