



Report

23^o

Convegno

“Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie”

Promosso da



Ass. Ital. Economia Sanitaria

con il Patrocinio di



UNIVERSITÀ DEL PIEMONTE ORIENTALE

Organizzato da



Media Partner

PHARMASTAR[★]
il Giornale on-line sui Farmaci



“Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie”

**INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ:
LE SFIDE E LE OPPORTUNITÀ NEL FUTURO DELLA SANITA'**

3

**COST-EFFECTIVENESS: PRESENT AND FUTURE ROLE
IN DRUG PRICING AND REIMBURSEMENT**

5

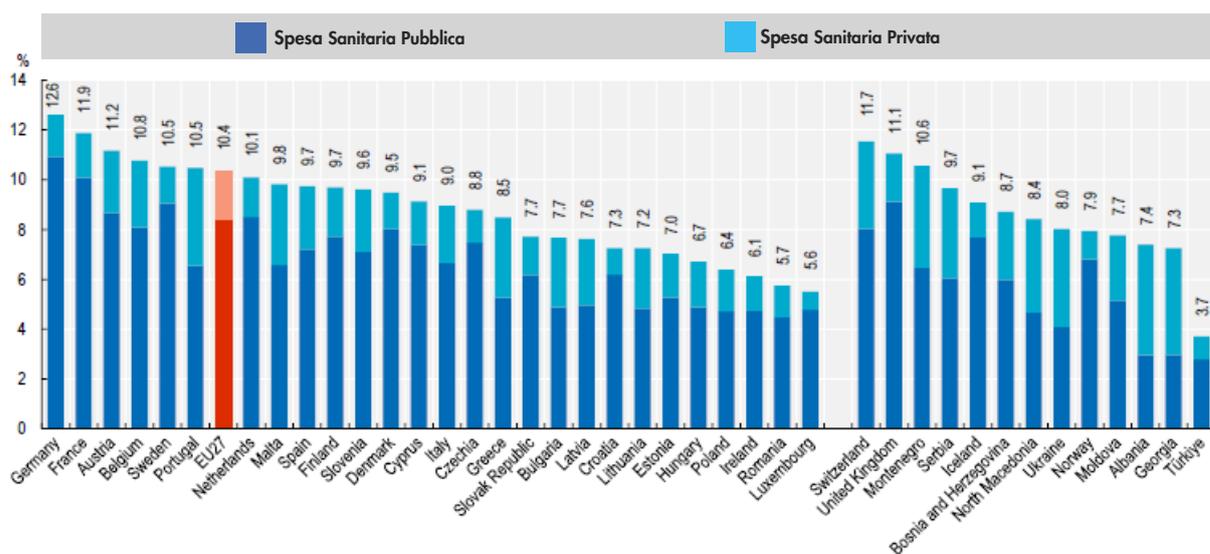
**ONCOLOGIA DI PRECISIONE:
STATO DELL'ARTE E PROSSIMI SCENARI**

6

INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ: LE SFIDE E LE OPPORTUNITÀ NEL FUTURO DELLA SANITA'

Negli ultimi anni, il settore sanitario ha assunto un'importanza crescente nelle economie dei paesi sviluppati. Secondo i dati relativi al 2022 pubblicati nei rapporti "Health at a Glance" (2023-2024) dell'OCSE (Organizzazione per la Cooperazione e lo Sviluppo Economico), la spesa sanitaria complessiva (pubblica e privata) è stata pari al 10,4% del PIL nei 27 paesi UE (valore medio): 12,9% in Germania, 11,9% in Francia, 9,7% in Spagna; considerando la spesa sanitaria pubblica tali valori per queste nazioni risultano rispettivamente pari al 10,9%, al 10,1% e al 7,2%. L'Italia, nonostante una spesa sanitaria inferiore (9% del PIL per la complessiva e 6,7% per quella pubblica), mostra ancora buoni indicatori di qualità.

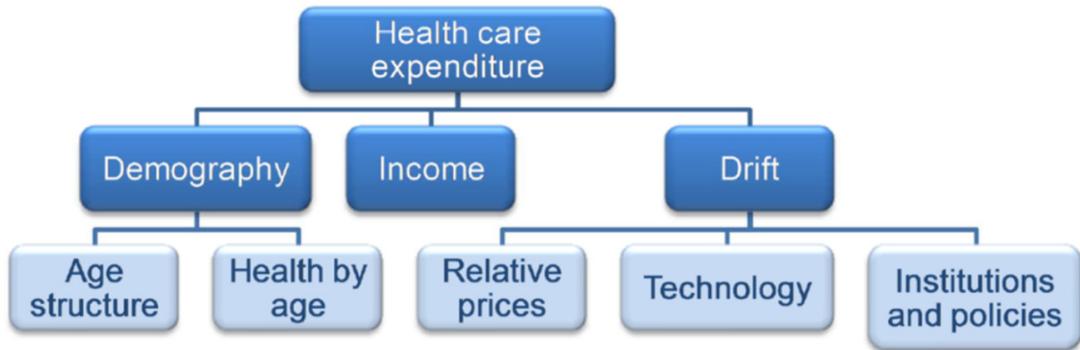
**Spesa Sanitaria 2022 (Pubblica + Privata) in % su PIL
(27 paesi UE e altre 13 nazioni europee)**



Fonte: OECD Health Statistics 2024; Eurostat WHO Global Health Expenditure Database

Come precisato da **Cinzia Di Novi** (President AIES - Associazione Italiana di Economia Sanitaria), **i principali fattori (driver) che influiscono sulla variazione della spesa sanitaria si dividono tra demografici e non demografici.** Il primo è quello che desta maggiori preoccupazioni nel nostro Paese ai fini della sostenibilità del SSN: nel corso degli ultimi decenni, infatti, si è sperimentata una caduta nel tasso di fertilità, cui si è accompagnato un costante aumento della vita media, due fattori demografici che hanno comportato un progressivo invecchiamento della popolazione. Come evidenziato da diversi studi l'aumento della quota di popolazione anziana comporterà un potenziale incremento della domanda di salute e della spesa aggregata.

Principali fattori (driver) che influiscono sulla variazione della spesa sanitaria



L'Italia è attualmente il paese più anziano d'Europa, con oltre il 24% della popolazione di età superiore ai 65 anni. Nel nostro Paese, come in altre nazioni dell'Europa meridionale, la famiglia ha da sempre svolto un ruolo cruciale nell'assistenza agli anziani: il progressivo allentamento dei legami familiari, l'aumento della partecipazione delle donne al mercato del lavoro e la diminuzione della forza lavoro disponibile per prendersi cura delle generazioni più anziane stanno mettendo sotto pressione il modello di assistenza informale.

In Italia si rende quindi necessaria una maggiore riflessione sui servizi formali di assistenza, con risorse pubbliche, a lungo termine (Long Term Care - LTC): per la quale nel 2022 i Paesi Bassi e Svezia hanno destinato oltre un quarto della spesa sanitaria, mentre in Italia, e in molti paesi del Sud Europa, destiniamo solo il 10%.

Altri driver non demografici, quali il reddito e le innovazioni tecnologiche, influenzano la spesa sanitaria. Si tratta di fattori non indipendenti tra loro: il progresso biomedico, che influisce sull'offerta di cure e servizi, è spesso alimentato dalla crescita del reddito, mentre l'innovazione in campo biomedico contribuisce ad aumentare la longevità in buona salute. È noto che i progressi in campo biomedico hanno portato a un aumento della capacità di diagnosi e di intervento curativo e riabilitativo, rappresentando contemporaneamente un fattore chiave nell'incremento della spesa sanitaria: **in questo contesto, le valutazioni economiche e l'HTA rappresentano strumenti fondamentali per garantire la sostenibilità del SSN.**

Con il rapido invecchiamento della popolazione, emerge l'importanza di ripensare a come i sistemi possano promuovere un "invecchiamento più sano", migliorare la qualità delle cure e trovare nuovi modi per assistere le persone in questa fase della loro vita, bilanciando l'adeguatezza sociale dei sistemi, l'adozione di nuove tecnologie, con la sostenibilità finanziaria.

COST-EFFECTIVENESS: PRESENT AND FUTURE ROLE IN DRUG PRICING AND REIMBURSEMENT

Il ruolo e il tema della coerenza tra costo e valore dei farmaci è molto complesso e oggetto di continuo dibattito. Durante la 23esima edizione del “Convegno di Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie sanitarie” è stato affrontato il ruolo della valutazione di costo-efficacia nella negoziazione di prezzo e rimborso dei farmaci, con il contributo di ospiti internazionali:

- **John Cairns** (London School of Hygiene and Tropical Medicine)
- **Valerie Paris** (OCSE ed ex Presidente di CEESP – Commissione di valutazione economica e sanità pubblica - di HAS)
- **Oriol Solà Morales** (HITT Foundation ed esperto spagnolo di politiche sanitarie) con il coordinamento di **Claudio Jommi** (Università del Piemonte Orientale).

Il panorama europeo rimane ancora fortemente frammentato con Inghilterra ancorata a un uso sistematico delle evidenze di costo-efficacia, al ricorso a valori-soglia e al rapporto incrementale di costo-efficacia (ICER); Francia e Spagna (e Italia) in cui la costo-efficacia rimane uno, ma non l'unico strumento di negoziazione, senza valori soglia all'ICER.

Eppure sembra esserci una maggiore convergenza verso approcci esplicitamente o implicitamente multi-criterio, in cui la costo-efficacia gioca/non gioca un ruolo né di sovrano assoluto né di comparsa negletta.

In Inghilterra, il range di valori soglia all'ICER è stato aumentato per le Highly Specialised Technologies (inclusi i farmaci ultra-orfani) e gli End-of-Life Treatments (aumento poi esteso ai farmaci per patologie molto gravi). In caso di elevata incertezza sulle evidenze, i farmaci hanno trovato nel Cancer Drug Fund & Innovative Medicine Fund una fonte di copertura provvisoria, con una raccolta parallela di dati confermativi dell'impatto clinico ed economico del farmaco.

In Francia, il ruolo della costo-efficacia è stato ben specificato e, analogamente a quanto avviene in Germania, è stato adottato l'approccio della “frontiera di efficienza” (costo-efficacia coerente con farmaci lanciati per lo stesso target), come guida alla ragionevolezza dell'ICER.

La Spagna, nonostante la pubblicazione di linee-guida ministeriali sulla costo-efficacia, non ha ancora specificato il suo ruolo, ma è previsto che questa rappresenti in futuro uno degli elementi considerati.

Le esperienze internazionali possono essere di supporto al futuro della costo-efficacia in Italia. Le Linee-Guida sul Dossier di Prezzo e Rimborso indicano che per nuovi farmaci e indicazioni, in particolare per i medicinali orfani, ci si attende che siano fornite dalle imprese analisi farmaco-economiche. Nel frattempo, sono stati pubblicati i dati sull'ICER relativi ai farmaci per i quali l'azienda ha fornito evidenze di costo-efficacia e ottenuto il rimborso. L'aspettativa è che, in futuro, il ruolo di queste evidenze nel processo valutativo e negoziale sia maggiore e più strutturato.

ONCOLOGIA DI PRECISIONE: STATO DELL'ARTE E PROSSIMI SCENARI

Oncologia di Precisione: stato dell'arte e scenari LEA

Il ruolo e l'importanza della Medicina di precisione in Oncologia, con l'identificazione delle alterazioni genomiche coinvolte nello sviluppo delle neoplasie, mediante test di profilazione, sono stati sottolineati da **Carmine Pinto** (Head Medical Oncology Clinical Cancer Centre dell'IRCCS AUSL di Reggio-Emilia e Referente Scientifico del GMI-Gruppo Multidisciplinare Innovatività).

Attualmente nel nostro Paese sono 36 i farmaci con indicazione rimborsata dal SSN che richiedono la valutazione di un target molecolare (e quindi un test) per la prescrizione, e che riguardano 11 sedi di tumore e un'indicazione agnostica, rappresentando oltre un terzo delle terapie oncologiche.

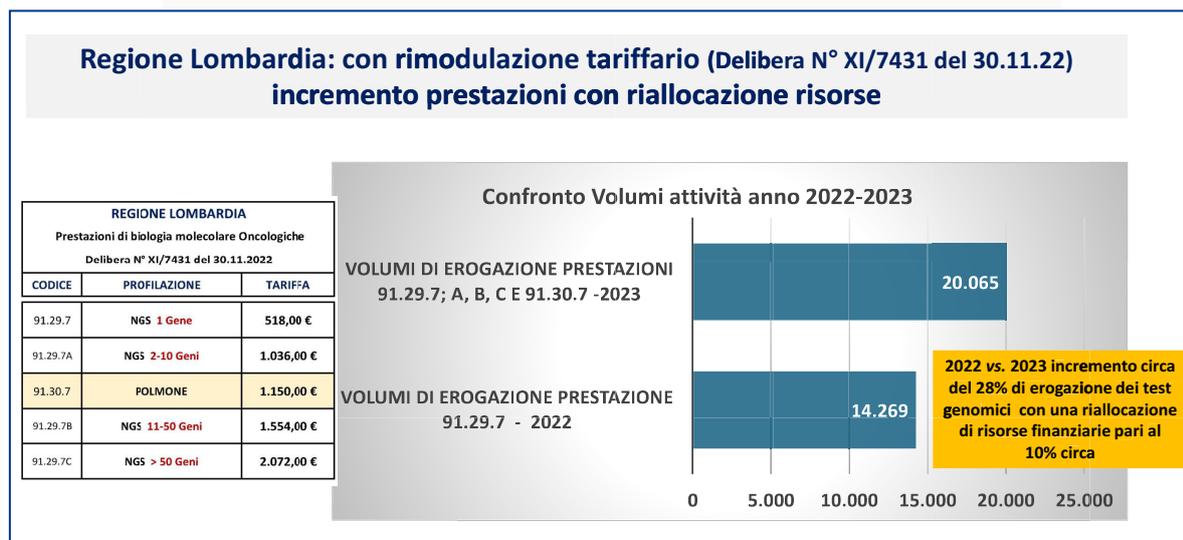
A fronte di questa realtà clinico-terapeutica, i nuovi LEA non prevedono tutti i 16 diversi test molecolari richiesti per la prescrizione dei farmaci rimborsati né codifiche specifiche per i test NGS oncologici.

- In Italia 36 farmaci oncologici con indicazione rimborsata dal SSN richiedono la valutazione di un target molecolare (e quindi un test) per la prescrizione.
- Farmaci per 11 sedi tumorali e per un'indicazione agnostica.
- **L'AIFA governa la rimborsabilità e quindi l'accesso ai farmaci, ma non interviene nella governance per l'accesso ai test.**
- Per queste indicazioni sono richiesti 16 test.
- Il nuovo tariffario LEA non prevede tutti i test molecolari richiesti né codifiche specifiche per i test NGS oncologici.

Scenari regionali per l'Oncologia di Precisione: Lombardia

Significativa è l'esperienza maturata dalla Regione Lombardia nell'ambito della Medicina di precisione in Oncologia – presentata da **Sabrina Buoro** (Responsabile del Centro Regionale Coordinamento Medicina di Laboratorio della Regione Lombardia) – grazie alla Qualità dei Centri di Anatomia Patologica (requisiti specifici autorizzativi e di accreditamento), alle Risorse dedicate (Umane, Strutturali e Tecnologiche) e al Modello Organizzativo. Per quanto riguarda lo specifico contesto regionale: 56 sono i Servizi di Anatomia Patologica (pubblici, privati autorizzati e/o accreditati), di cui 18 con documentata esperienza superiore a tre anni nella esecuzione e gestione di test NGS; circa 400 sono i professionisti Medici e Biologi impegnati nella diagnostica; più di 90 le piattaforme già operative per Next-Generation Sequencing.

Inoltre **a seguito della rimodulazione del tariffario regionale delle prestazioni di biologia molecolare in Oncologia** (con Delibera N° XI/7431 del 30.11.22) – in concomitanza con il recepimento della tariffa della profilazione NGS dell’adenocarcinoma del polmone (DM MinSal 30.09.22), il cui costo è stato stimato pari 1.150 euro dallo studio Pinto C. et al, GMI - Economia Sanitaria 2021) – **in Regione Lombardia nell’anno 2023 vs. 2022 si è registrato un incremento del 28% di erogazione dei test genomici con una riallocazione di risorse finanziarie pari al 10% circa.**



Biopsia Liquida in Oncologia: scenari attuali e prossimi

Il termine biopsia liquida è generalmente utilizzato per indicare la possibilità di analizzare biomarcatori presenti nei fluidi biologici. Tra le varie applicazioni della biopsia liquida, quella che viene attualmente impiegata nella pratica clinica è il sequenziamento del DNA tumorale circolante (ctDNA) che viene rilasciato in quantità variabili dalle cellule neoplastiche.

Nella sua relazione **Nicola Normanno** (Direttore Scientifico IRST “Dino Amadori” IRCCS, Meldola) ha individuato gli scenari attuali e prossimi della biopsia liquida in Oncologia:

- Il test del ctDNA è attualmente raccomandato nella pratica clinica solo per la profilazione genomica nei pazienti con tumore avanzato, quando il campione tissutale non è disponibile o sono necessari risultati in tempi molto rapidi;
- La diagnosi precoce della neoplasia è un'importante applicazione (prossima) della biopsia liquida;
- Sono in corso studi su pazienti con malattia in fase iniziale per sviluppare nuove strategie terapeutiche basate sulla rilevazione della MRD (Minimal Residual Disease) tramite test del ctDNA;
- Nei pazienti con malattia avanzata, il test del ctDNA può fornire informazioni complementari alla biopsia tissutale sull'eterogeneità del tumore contribuendo a personalizzare i trattamenti.

Fondi e Tariffe per la profilazione NGS in Oncologia

La situazione Fondi, Decreti e Tariffe In Oncologia, riassunta nella tabella, è stata presentata da **Giovanni Ravasio** (Direttore di Economia Sanitaria e Coordinatore del GMI).

Il fondo relativo all'Adenocarcinoma del polmone è rimasto in vigore formalmente fino al 30.09.24 (quasi tutte le Regioni hanno utilizzato "l'anno mobile", a partire dal 01.10.22), mentre quello del Colangiocarcinoma – sotto dimensionato, in quanto copre solo il 10% dei casi stimati dal documento ministeriale – scade a marzo 2026.

Si riportano anche i dati della proposta (correlata alla Legge 213/23 con un Fondo di 1 mil. di euro per l'anno 2024), relativa al Carcinoma sieroso di alto grado dell'Ovaio (HGSOC), in valutazione da giugno da parte delle Regioni, che permetterebbe di testare da subito 740 pazienti (il 37% della casistica).

PROFILAZIONE NGS: FONDI, DECRETI e TARIFFE			
RIFERIMENTI LEGISLATIVI	FONDO	ALTERAZIONI TESTATE	TARIFFA
PROFILAZIONE ADENOCARCINOMA (Polmone) con NGS Decreto MinSal 30.09.22 (Fondo Legge 234/21)	5 milioni euro annui anni 2022-2023 4.348 Casi trattabili annui 44% dei 9.876 Casi stimati M+ 26% dei 16.460 Casi adenocar	EGFR, ALK, ROS1, BRAF, NTRK, KRAS, RET, MET exon14 skipping, HER2 mutazioni	1.150 €
PROFILAZIONE COLANGIOCARCINOMA con NGS Decreto MinSal 06.03.23 (Fondo Legge 197/22)	200.000 euro annui anni 2023-2025 174 Casi trattabili annui 10% dei 1.695 Casi stimati inoperabili/recidivati	FGFR2, IDH1, NTRK, BRAF, MMR (MLH1, PMS2, MSH2, MSH6) mutazioni Ulteriori geni con alterazioni ESCAT1-2	1.150 €
Proposta PROFILAZIONE CARCINOMA SIEROSO DI ALTO GRADO DELL'OVAIO con NGS Decreto MinSal..... (Fondo Legge 213/23)	1 milione euro anno 2024 740 Casi trattabili annui 37% dei 1.971 Casi stimati con questa neoplasia	Biomarcatore complesso HRD (compreso BRCA1-2)	1.350 €

I Fondi e i relativi Decreti per la profilazione NGS in Oncologia hanno avuto il pregio di:

- aver posto l'attenzione su un'importante problematica per i pazienti oncologici
- aver introdotto la correlazione tra tariffe e i reali costi di produzione dei test in questo ambito. Sono comunque una soluzione tampone, che deve essere superata con l'inserimento nei LEA di tariffe specifiche strutturate a seconda del numero di geni refertati.

In particolare, la profilazione genomica con NGS è prioritaria in alcuni tumori (polmone, colangiocarcinoma, mammella, prostata, tiroide e ovaio) che coinvolgono circa 30.000 pazienti l'anno.

L'inserimento nei LEA dei test NGS oncologici, a partire da queste neoplasie, richiede un finanziamento di circa 32 milioni di euro.

NEOPLASIE CON PROFILAZIONE NGS	Casi STIMATI
POLMONE	16.460
COLANGIOCARCINOMA	1.695
MAMMELLA (BRCA 1/2)	7.000
PROSTATA (BRCA 1/2)	2.200
TIROIDE (RET Mutazioni e Fusioni)	400
OVAIO HRD (compreso BRCA 1/2)	2.000
TOTALE	29.755

Tavola Rotonda "Oncologia di Precisione: stato dell'arte e prossimi scenari": il punto di vista delle Aziende

La medicina di precisione sta vivendo un notevole sviluppo: negli ultimi anni i farmaci a bersaglio molecolare costituiscono circa la metà delle nuove entità molecolari oncologiche approvate in EMA.

In collaborazione con la comunità scientifica, le aziende farmaceutiche e della diagnostica – come evidenziato da **Antonietta Caputo** (Market Access Leader, Johnson & Johnson Innovative Medicine) e da **Roberto Scalamogna** (Medical Excellence Lead, ROCHE Diagnostics) – stanno utilizzando le conoscenze scientifiche più avanzate e le tecnologie all'avanguardia per accelerare i progressi terapeutici e rispondere alle esigenze di salute non soddisfatte.

Tuttavia, in Italia si riscontra un divario tra gli sforzi delle aziende per ottenere l'approvazione di questi farmaci in oncologia e l'inerzia del sistema normativo-regolatorio nel fornire modelli valutativi e organizzativi che consentano ai pazienti un reale accesso alle terapie salvavita. Il pagatore, dopo che EMA ha autorizzato il farmaco, in virtù del positivo rapporto rischio/beneficio, sulla base di uno o più studi registrativi, può non ritenere quelle stesse evidenze sufficienti.

Per i test di profilazione genomica che indichino l'eleggibilità al trattamento, da anni ci si confronta sull'introduzione di un meccanismo di autorizzazione/rimborso del farmaco e contestuale inserimento di tale test nei LEA, con il relativo aggiornamento delle tariffe. Come mostrato più volte dalle analisi del Gruppo Multidisciplinare Innovatività, solo un adeguamento normativo e una accurata e continua programmazione può portare non solo la certezza che serve alle aziende per investire ma anche un più efficiente e appropriato utilizzo delle risorse economiche, garantendo un accesso equo e un migliore utilizzo della medicina di precisione.

Report 23° Convegno di Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie sanitarie

Supplemento Testata: "Economia & Politica del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie"

Registrazione: Tribunale di Milano n° 201 del 05/04/1997

Pubblicato: Novembre 2024

Copyright: © 2024 Economia Sanitaria srl, Monza (Italy)

Direttore Responsabile: Giovanni Ravasio

Editore: Economia Sanitaria srl - Via Medici, 39 - 20900 Monza (MB)

Il Convegno e il presente report sono realizzati con il contributo incondizionato di:

Platinum Sponsors

AMGEN[®]

AstraZeneca 

CSL Behring
Biotherapies for Life™

Johnson & Johnson

Roche

Gold Sponsors

 **astellas**

 Bristol Myers Squibb™

CSL Vifor

 **NOVARTIS**

Silver Sponsors

ALFASIGMA 

BAYER

idorsia

 **MSD**

SERVIER 
moved by you

teva