



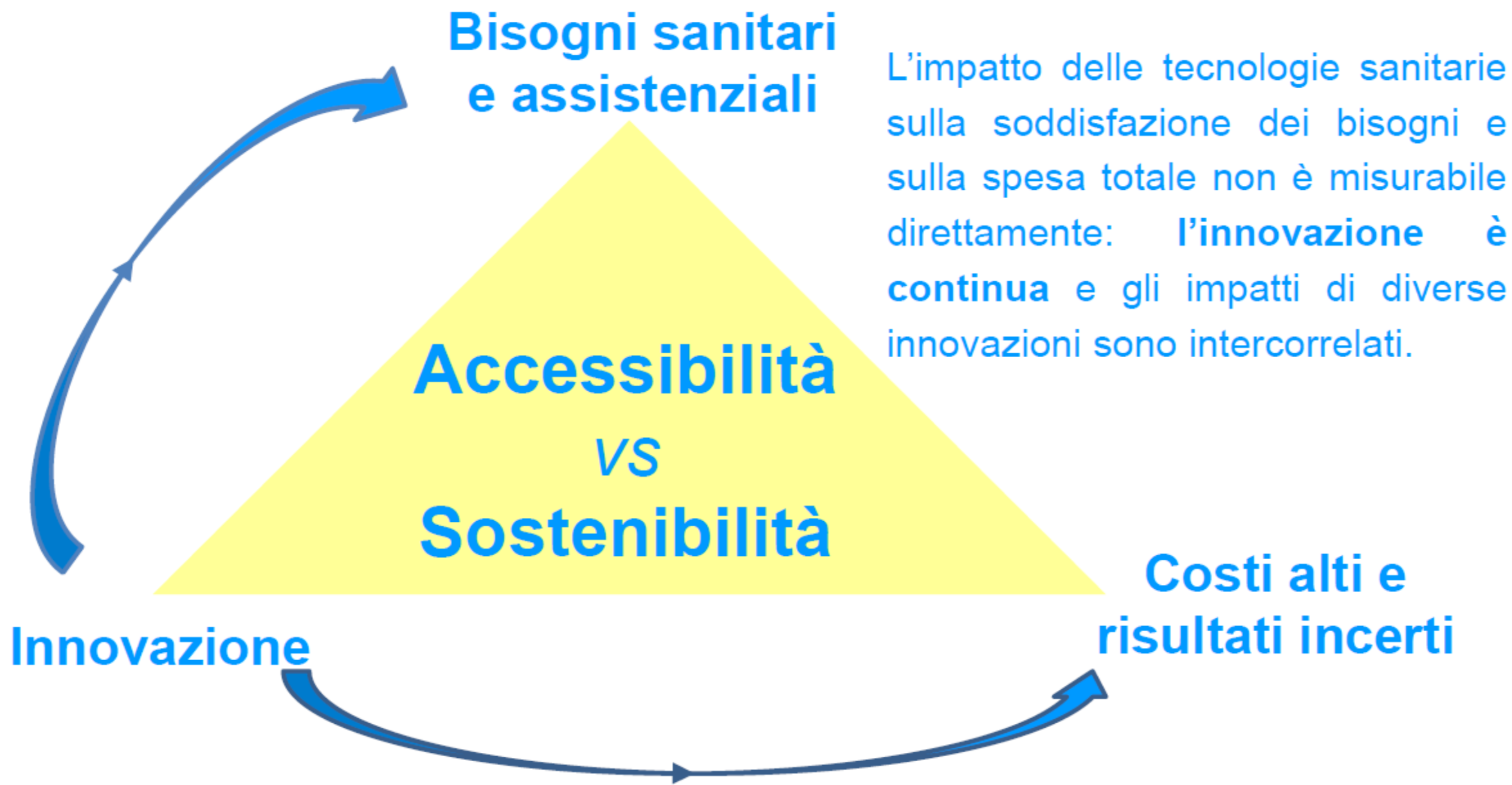
**8° CONVEGNO**  
**Appropriatezza nel**  
**Servizio Sanitario Nazionale**  
Condivisione di strategie tra Ospedale e Territorio  
**P.N.R.R.- Missione Salute**

# Sostenibilità delle terapie innovative

**PIERA MAIOLINO E ADRIANO CRISTINZIANO**

## **Futuro e Innovazione: realizzabile e sostenibile?**

- **Invecchiamento della popolazione**
- **Aumento delle patologie cronico degenerative**
- **Comorbidity**
- **Disomogeneità regionale**
- **Risparmio forzoso** per bilanci pubblici vincolati a **tetti di spesa**;
- **Sviluppo delle conoscenze** scientifiche e tecnologiche;
- **Relazione** tra sistema sanitario, sociale e sviluppo socio economico;
- **Sostenibilità** della spesa farmaceutica;
- **Garanzia** per i pazienti di un **accesso rapido ai nuovi farmaci**, **garantendo** e la **sostenibilità economica** e la “**governance**” del sistema in un contesto caratterizzato da nuovi farmaci ad alto costo.





## Scenario nuovo farmaco



**Nuovo farmaco disponibile**



**Migliori esiti, costo maggiore**

### Impatto economico

	Farmaci	Dispositivi	Specialistica	Diagnostica	Ricoveri....
<b>Patologia A prestazioni</b>	↑ spesa	spesa	↓ spesa	↓ spesa	↓ spesa

- Un nuovo farmaco *nell'immediato* produce un aumento della spesa farmaceutica
- Nel medio-lungo periodo l'impatto sulla spesa farmaceutica potrebbe essere, almeno in parte, compensato dalla riduzione di ricoveri ospedalieri e di altre prestazioni specialistiche
- L'impatto complessivo sulla spesa pubblica (farmaceutica e non farmaceutica) è quindi incerto: i costi evitati potrebbero compensare quelli incrementali

## Scenario nuovo farmaco



- In presenza di tetti di spesa, l'impatto economico *complessivo* non è più l'aspetto rilevante
- Il tetto di spesa *isola* le voci di costo farmaceutiche dalle altre voci relative allo stesso processo assistenziale
- È quindi possibile che un nuovo farmaco incontri resistenze all'accesso a causa di un vincolo finanziario non efficiente (si potrebbero perdere dei risparmi)
- Gli esiti clinici rientrano nel modello decisionale, ma non in una logica di *value for money*

# Governance Farmaceutica

Legge n.222/2007 e n.135/2012

Fissazione dei tetti  
di spesa

Assegnazione dei  
budget ad ogni  
azienda titolare di  
AIC

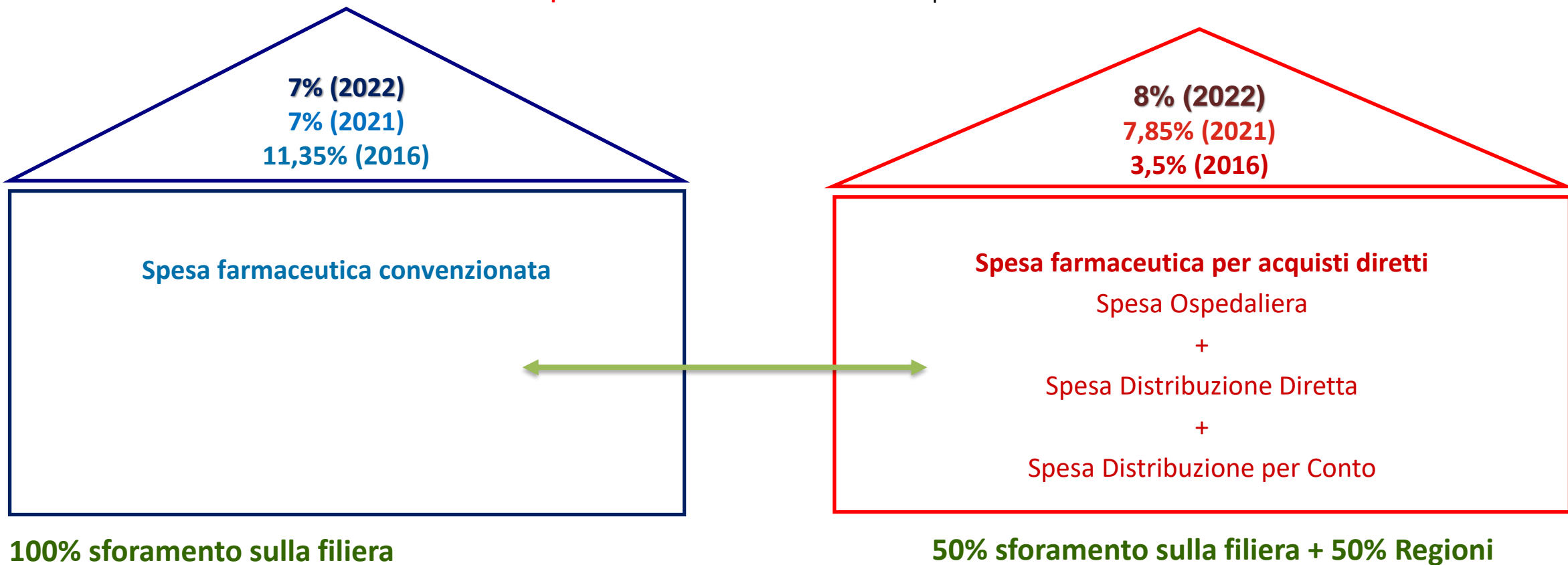
Monitoraggio della  
spesa farmaceutica

Procedimenti di  
ripiano tramite pay-  
back a beneficio  
delle Regioni

La variabile economica, per motivazioni e responsabilità diverse, ha guidato le scelte politiche in sanità degli ultimi 10 anni.

## Il governo della spesa farmaceutica garantisce l'equilibrio economico della spesa attraverso il sistema dei tetti di spesa programmati.

La legge di bilancio 2022 ha aggiornato la *governance farmaceutica* con l'incremento del Fondo sanitario nazionale (Fsn). Il livello del finanziamento del fabbisogno sanitario nazionale standard a cui concorre lo Stato viene fissato in 124,061 miliardi di euro per il 2022, in 126,061 miliardi per il 2023 e 128,061 miliardi per il 2024, *ha previsto una modifica alla spesa farmaceutica dal 14,85% al 15% del Fondo sanitario nazionale per il 2022, al 15,15% per il 2023 e al 15,3% per il 2024* che è stata diversamente ripartita:





# GESTIONE DEL BUDGET

**ESCLUSIONE**

**INNOVATIVI NON ONCOLOGICI**

**ESCLUSIONE**

**INNOVATIVI ONCOLOGICI**



**SPESA NETTA**



**I Farmaci Innovativi sono finanziati con i benefici economici previsti dall'articolo 1, comma 403, Legge n. 232/2016 (Legge di bilancio 2017) e la loro spesa non va ad incidere nei Tetti di spesa programmati.**

Il riconoscimento dell'innovatività comporta l'inserimento:

- nel Fondo dei farmaci innovativi, oppure nel Fondo dei farmaci innovativi oncologici, **i due fondi sono di 500 milioni di euro annui;**
- nei Prontuari Terapeutici Regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (Capo III, articolo 10, comma 2, Legge 8 novembre 2012, n. 189).

**Il “Decreto Sostegni Bis” anno 2021 ha definito** ha definito di apportare una modifica ai due fondi innovativi, unificandoli, per un totale di 1 miliardo di euro a partire da gennaio 2022.

Inoltre, nell'ambito della **Legge di Bilancio 2022**, è stato previsto un incremento della dotazione finanziaria del fondo unico con **100 milioni per il 2022, 200 milioni per il 2023 e 300 milioni per il 2024.**

# Nuovi Farmaci

- **Terapia Mirata**
- **Meno Effetti Collaterali**
- **Diversi campi di applicazione**



**BENEFICIO TERAPEUTICO**

# Farmaco Nuovo = Farmaco Innovativo ?

- **Bisogno terapeutico**
- **Valore terapeutico aggiunto**
- **Qualità delle prove**



**INNOVATIVO**

# L'innovatività AIFA

Nella Determinazione 1535 del 2017 (che sostituisce la Det. 519/2017), l'AIFA stabilisce che, al fine di riconoscere un farmaco innovativo (in relazione a una singola indicazione), deve essere dimostrato il suo **valore terapeutico aggiunto** nel trattamento di una **patologia grave** (esito mortale, ripetute ospedalizzazioni etc...)

La valutazione AIFA tiene in considerazione:

**1. il bisogno terapeutico**  
(disponibilità di terapie)

**2. il valore terapeutico aggiunto**  
(entità del beneficio clinico)

**3. la qualità delle prove fornite** (robustezza studi clinici)

- I. Massimo
- II. Importante
- III. Moderato
- IV. Scarso
- V. assente

Per i farmaci oncologici il gold standard è l'OS. La mancanza di OS deve essere giustificata e potranno essere considerati altri endpoint (PFS, DFS etc..)

- I. Alta
- II. Moderata
- III. Bassa
- IV. Molto bassa

L'AIFA riconosce innovativa la specialità medicinale (per indicazione) che abbia un bisogno terapeutico e un valore terapeutico aggiunto massimo o importante, e una qualità delle prove fornite alta

## ESITO DELLA VALUTAZIONE AIFA

### **Innovatività terapeutica:**

Accesso ai fondi ed inserimento nei Prontuari Regionali

### **Innovatività terapeutica condizionata o potenziale:**

Inserimento nei Prontuari Regionali

I benefici dell'innovatività hanno durata massima di **36 mesi** per farmaco “**first in class**”, mentre eventuali followers che venissero riconosciuti come innovativi potranno beneficiare per il periodo residuo



## Ripartizione del Fondo

Il Ministero della Salute concorre a rimborsare le Regioni a statuto ordinario e la Sicilia al 50% (le altre regioni a statuto speciale non vengono rimborsate) in proporzione alla spesa sostenuta dalle Regioni medesime.

Qualora la spesa registrata a livello nazionale ecceda il valore fissato per il fondi, la quota di spesa non coperta dai rispettivi fondi resta a carico delle singole Regioni.

A fine anno, la Regione provvede a ripartire il finanziamento alle strutture sanitarie secondo quanto rilevato dai flussi di consumo e/o dai Registri AIFA.

Dall'anno 2021 AIFA ripartirà il fondo dai dati dei Registri

**L'analisi dei registri AIFA è fondamentale quando un farmaco è autorizzato in commercio per più di una indicazione terapeutica, ma il requisito di innovatività, e quindi l'accesso al fondo, non è esteso a tutte le indicazioni, perché solo il registro – e non i consumi – può fornire le informazioni dettagliate sulle indicazioni di utilizzo.**

Inoltre il fondo va ripartito all'azienda sanitaria che acquista il farmaco ovvero a chi l'azienda farmaceutica fattura, per questo motivo in File F i farmaci innovativi vanno rendicontati a costo 0.

## Innovazione un'opportunità che va “governata”

- Operiamo in un sistema sanitario nazionale le cui **funzioni di finanziamento, acquisizione e produzione del bene salute sono governate dalla amministrazione pubblica** e non lasciate al mercato
- **Produce effetti sulla salute dei pazienti**, benessere delle famiglie, efficienza dei processi produttivi delle aziende erogatrici, efficacia dei fini istituzionali dei SSR, performance dell'industria e sviluppo economico del Paese
- **È più veloce** della crescita economica del Paese e il **costo-opportunità delle scelte è sempre più alto**

## Governo Clinico e Horizon Scanning

Horizon Scanning può contribuire a garantire ai pazienti un **accesso omogeneo e tempestivo** alle terapie più innovative, **anticipando quesiti di valutazione di efficacia e sostenibilità** in una fase precoce del processo.

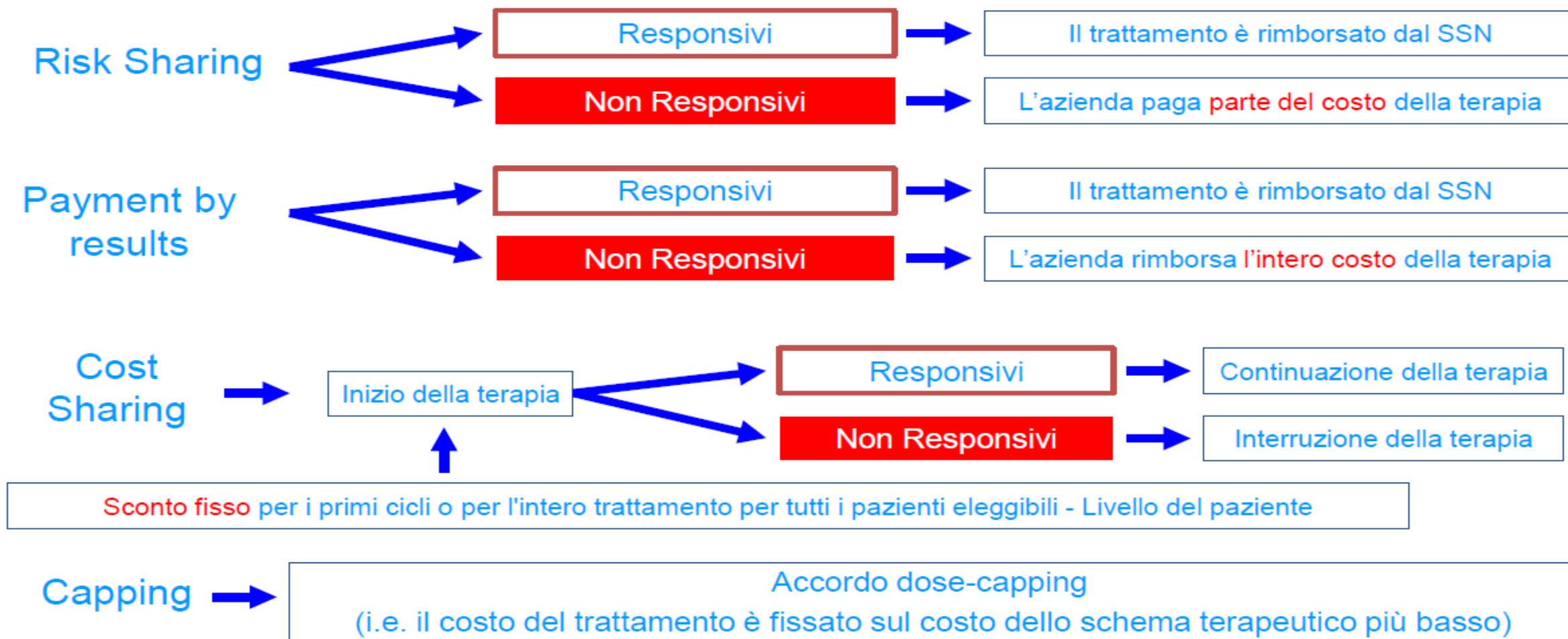
Horizon Scanning mira a:

- identificare, filtrare e prioritizzare le tecnologie sanitarie nuove o emergenti;
- valutare e/o prevedere il loro impatto sull'assistenza, sui costi, sulla società e sui sistemi sanitari;
- informare i decisori (*decision maker*) e coloro che si occupano della pianificazione delle attività di ricerca sanitaria.

## Percorsi Innovativi

- Un contesto caratterizzato da risorse limitate e una crescente domanda assistenziale ha richiesto lo sviluppo di **principi e metodologie atte a valutare i costi, l'appropriatezza delle prestazioni e i risultati ottenuti.**
- **Percorsi innovativi** permettono di attuare politiche orientate alla **razionalizzazione delle risorse** e a bilanciarle con gli **obiettivi di efficacia** nell'assistenza erogata.

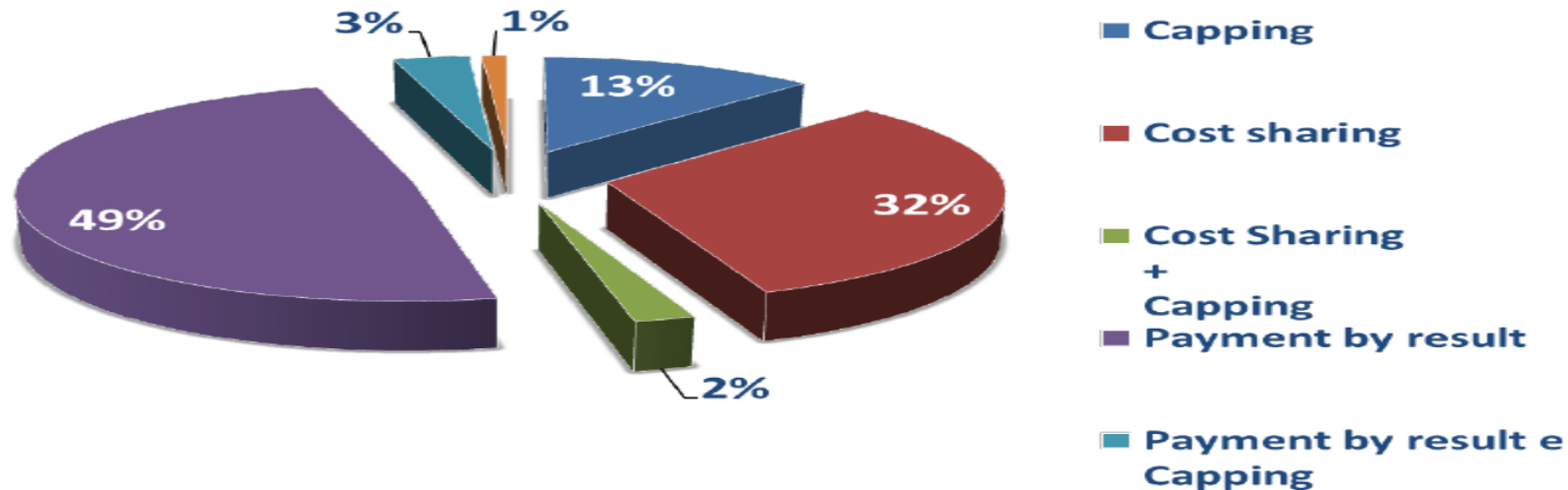
# Procedure di rimborso condizionale



# Registri di Monitoraggio AIFA


- Definire prospetticamente il ruolo di nuovi farmaci innovativi nella pratica clinica.
- Assicurare il rispetto delle condizioni registrative iniziali del farmaco.
- Descrivere la popolazione che utilizza il farmaco.
- Raccogliere dati sulla sicurezza e l'efficacia a medio e lungo termine.
- Garantire l'accesso di farmaci innovativi, nonostante gli alti costi ed un profilo rischio/beneficio ancora non definito al momento dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

## Distribuzione (%) delle tipologie di accordo di condivisione del rischio





## Strumenti di prezzo e rimborso

- **maggiore appropriatezza** per i nuovi trattamenti (es. terapia genica e cellulare)
  - consentono l'**accesso** del paziente a nuove terapie
  - minimizzano il **peso economico** a carico del paziente/caregiver
  - garantiscono che non ci sia **disincentivazione** a gestire terapie ad alto costo
  - riconoscono il **valore dell'innovatività**
  - rispondono alle **incertezze** degli stakeholder sui **costi e outcome** delle nuove terapie
- 
- **Pagamento di una quota fissa annuale** alle aziende per un periodo di **tempo specificato**.
  - **ATMP** pagate come se fossero **trattamenti in corso**, piuttosto che addebitare l'intero importo al momento della somministrazione.
  - I **pagamenti vengono interrotti** se il paziente non sostiene la risposta desiderata
- 
- **Riduzione** dell'impatto del budget annuale per i pagatori
  - **Riduzione dell'incertezza** in merito alle prestazioni e al valore a lungo termine
  - **Assunzione** da parte del produttore **del rischio degli outcome** a lungo termine
  - **Non compromissione sul valore potenziale di ATMP** a causa di preoccupazioni di bilancio a breve termine.

## **“Il FUTURO”: consapevolezza concreta del PRESENTE**

**Garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti mettendo a disposizione la terapia più appropriata sulla base delle linee guida condivise dalla Comunità Scientifica ed in termini del miglior rapporto costo-beneficio**