



Necessario instaurare un tavolo di lavoro permanente fra Agenzia regolatoria e Aziende per fornire risposte a questa nuova complessità in ambito sanitario che potrebbe contribuire a sviluppare una metodologia valutativa condivisa a supporto sia del processo di negoziazione del prezzo che della rimborsabilità del farmaco. Il progetto, realizzato da Osservatorio Terapie Avanzate in collaborazione con C.R.E.A. Sanità, si è avvalso di un panel di 16 esperti a livello nazionale e internazionale



Roma, 23 febbraio 2022 - È disponibile da oggi, sul portale di Osservatorio Terapie Avanzate-OTA, la prima Consensus realizzata in Italia sul valore delle terapie avanzate: terapia genica, terapia cellulare, CAR-T e altre terapie di precisione che stanno rivoluzionando la biomedicina. La Consensus, realizzata con il metodo Delphi, si intitola Proposta di misure per la determinazione del valore delle Terapie Avanzate in Italia ed è stata realizzata da Osservatorio Terapie Avanzate in collaborazione con Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità-C.R.E.A. Sanità.

La Consensus è frutto di un intero anno di lavoro e del costante coinvolgimento di un ampio panel di esperti di altissimo livello nel panorama italiano e internazionale: ricercatori, clinici, farmacisti

ospedalieri, farmaco-economisti, payers e naturalmente i pazienti, fruitori ultimi e naturali destinatari di queste terapie innovative.

“Abbiamo ritenuto che fosse necessario realizzare questo lavoro, e farlo attraverso un rigoroso metodo scientifico, perché le terapie avanzate sono destinate a rivoluzionare la Sanità nei prossimi anni, sia per l’innovatività terapeutica offerta ai pazienti sia per le prospettive in ambito di ricerca e sviluppo per il Paese - ha spiegato Giulio Pompilio, Membro del Comitato Scientifico di OTA, Direttore Scientifico del IRCCS Centro Cardiologico Monzino e già Delegato Alternate italiano presso il Comitato EMA per le Terapie Avanzate (CAT) - È una questione che va affrontata con metodo, identificando tanto le opportunità quanto gli ostacoli, così da rimuoverli prima che diventino un freno a nocumento dei malati e dell’intero sistema”.

È infatti indubbio, e da tutti condiviso, che le terapie avanzate siano una straordinaria innovazione con un enorme potenziale sia in termini di “outcome terapeutici” che di progresso scientifico e tecnologico. Ma è anche evidente, e questo è emerso chiaramente dalla Consensus, che la loro complessità - legata all’eterogeneità dei meccanismi di azione, delle tempistiche d’efficacia e delle malattie target - necessita di metodi innovativi e dedicati di valutazione del valore.

A fronte dell’attesa dell’arrivo sul mercato di un numero crescente di terapie avanzate, il panel di esperti ha evidenziato la necessità di trovare un bilanciamento fra l’esigenza di garantire l’accesso a tutti i pazienti che ne hanno bisogno, la sostenibilità per il sistema ma anche condizioni non disincentivanti per le aziende che sviluppano, producono e commercializzano tali terapie.

I punti della Consensus sono stati presentati e discussi in un incontro a porte chiuse che si è tenuto a fine 2021 e che ha riunito il panel, i ricercatori che hanno sviluppato la ricerca da un punto di vista metodologico, un ampio numero di stakeholder, esperti del settore e le istituzioni. Partendo dalle criticità analizzate è stata quindi elaborata una serie di proposte di soluzione.

“Tra le varie necessità emerge in particolar modo dalla Consensus quella di instaurare un tavolo di lavoro permanente fra Agenzia regolatoria e Aziende per sviluppare una metodologia e fornire risposte a questa nuova complessità in ambito sanitario che potrebbe contribuire a fornire elementi utili per sviluppare una metodologia valutativa condivisa a supporto del processo di negoziazione del prezzo e rimborsabilità del farmaco; il progressivo consolidamento delle logiche valutative avrebbe la potenzialità di evitare inutili allungamenti dei tempi di negoziazione e conseguenti incrementi dei costi sociali”, ha affermato Barbara Polistena, C.R.E.A. Sanità, Università di Roma Tor Vergata.

“Sarebbe opportuno valutare se si possa promuovere una maggiore trasparenza sul rapporto esistente fra ‘livello’ del valore terapeutico e disponibilità a pagare, proponendo, per esempio, una associazione a priori fra ‘livelli’ di valore e possibili riconoscimenti in termini di prezzo - ha dichiarato Francesco Macchia, Coordinatore di Osservatorio Terapie Avanzate - OTA si propone come piattaforma di confronto e di dibattito su tematiche tecnico-scientifiche ed istituzionali, favorendo una sinergia tra il mondo accademico, imprenditoriale, istituzionale delle associazioni di pazienti, utile ad identificare le migliori strategie da mettere in atto nel nostro Paese”.

Il panel di esperti che hanno partecipato alla Consensus

Alessandro Aiuti – Vicedirettore Istituto San Raffaele Telethon per la Terapia Genica (SR-Tiget) e Direttore U.O. Immunoematologia Pediatrica presso IRCCS Ospedale San Raffaele di Milano, Professore ordinario in Pediatria all’Università Vita-Salute San Raffaele di Milano

Andrea Biondi – Direttore Clinica Pediatrica dell’Università di Milano-Bicocca, European Reference Network (ERN) PaedCan, EuroBloodNet, MetabERN, Fondazione MBBM – Ospedale San Gerardo di Monza

Arturo Cavaliere – Presidente Società Italiana di Farmacia Ospedaliera (SIFO)

Gilberto Corbellini – Professore ordinario di storia della medicina e bioetica, Dipartimento di Medicina Molecolare della Sapienza Università di Roma

Michele De Luca – Professore ordinario di Medicina Rigenerativa e Direttore del Centro di Medicina Rigenerativa “Stefano Ferrari” dell’Università di Modena e Reggio Emilia

Michela Gabaldo – Responsabile della gestione dei Progetti Traslazionali e degli Affari Regolatori, Fondazione Telethon

Claudio Jommi – Professor of Practice di Health Policy, SDA Bocconi School of Management di Milano

Maria Luisa Nalli – Membro del Board di Assobiotech ed EuropaBio

Anita Pallara – Presidente Famiglie SMA

Luca Pani – Professore ordinario di Farmacologia e Farmacologia Clinica presso l’Università di Modena e Reggio Emilia, Direttore Generale AIFA (2011-16)

Marcello Pani – Segretario Nazionale Società Italiana di Farmacia Ospedaliera (SIFO)

Davide Petruzzelli – Presidente “La Lampada di Aladino Onlus - Oltre il cancro”

Giulio Pompilio – Direttore Scientifico e Responsabile dell’Unità di Biologia Vascolare e Medicina Rigenerativa presso il Centro Cardiologico Monzino, già Delegato Alternato italiano presso il Comitato EMA per le Terapie Avanzate (CAT)

Pierluigi Russo – Direttore Uffici Registri di Monitoraggio e Valutazioni Economiche, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Federico Spandonaro – Presidente del comitato scientifico del Centro per la Ricerca Economica Applicata in Sanità (C.R.E.A. Sanità), Università San Raffaele Roma

Gianluca Trifirò – Professore ordinario di Farmacologia, Dipartimento di Diagnostica e Sanità Pubblica dell’Università di Verona