

# XXI CONFERENZA NAZIONALE SULLA FARMACEUTICA

L'accesso ai farmaci:  
i problemi sul tappeto

**Focus Group**

**2-3 MARZO  
2023**

**Hotel Four Points Sheraton**  
Via Antonello da Messina, 45  
Aci Castello (CT)



Focus group  
**EARLY ACCESS**

**Coordinatrice – Anna Ponzianelli**  
*HTA Affairs Head, Novartis*



# Partecipanti

- Maria Azzurra Camassa – *AstraZeneca*
- Andrea Gervasi – *AstraZeneca*
- Elisabetta Brioschi – *Daiichi-Sankyo*
- Rosalba Gregorini – *Gilead*
- Riccardo Samele – *GSK*
- Alessia Brigido – *Ipse*
- Mario Calandriello – *MSD*
- Lucia D'Angioletta – *Novo Nordisk*
- Federica Demma – *Otsuka*
- Luca Tofani – *SIFI*
- Marco Soro – *VIFORPHARMA CSL*



# EARLY ACCESS: Situazione attuale #1

L'*early access* può essere considerato un insieme di strumenti normativi finalizzati a promuovere e garantire un accesso precoce a farmaci considerati necessari per importanti *unmet medical needs*, tali da giustificare un accesso che non può attendere il lungo percorso di autorizzazione dei farmaci.

In Italia diversi sono gli strumenti che permettono l'accesso alle cure con farmaci non ancora autorizzati quali: la **Legge n. 648/1996**, la **Legge n. 326/2003, art. 48** (Fondo AIFA 5%), **l'uso compassionevole (D.M. del 7 settembre 2017)**, **Legge 94/1998**, e l'**uso non ripetitivo ATMP (L. 16 gennaio 2015)**



# EARLY ACCESS: Situazione attuale #2

Ma gli strumenti di *early access* ad oggi presenti, davvero permettono un “*fast-track*” e sono governati da norme che tengono conto dei bisogni dei pazienti e di un’ottimizzazione dei tempi autorizzativi?

# EARLY ACCESS: Criticità #1

## 1. Legge 648/96: Peculiarità e criticità del processo negoziale delle indicazioni in Lista 648/1996

- Impossibilità di avanzare la richiesta di inserimento in Lista da parte dello sviluppatore
- Farmaci inseriti secondo il principio di economicità
- Fondo inadeguato (30 miliardi nel 96 → 15 milioni oggi)

## 2. Il Fondo AIFA 5+2%: dal finanziamento alle “novità” introdotte dal Testo Unico sulle Malattie Rare

- Possibilità di avvio di studi clinici *ad-hoc* finanziati con il 2% aggiuntivo → come viene allocato?
- Limitato all’uso non ripetitivo non cronico, ma c’è tanto sviluppo di innovazione in cronicità
- Incertezza del rimborso dell’anticipo di spesa da parte delle Aziende Ospedaliere



# EARLY ACCESS: Criticità #2

## 3. L'uso compassionevole: (DM 7.9.2017) a cavallo fra *reputation* e dovere sociale

- All'interno dei programmi di uso compassionevole non è possibile raccogliere i dati e il loro utilizzo da parte dello sviluppatore come RWE

## 4. Mancanza di un *early dialogue*:

- Considerata l'imminente implementazione del Regolamento HTA, necessità di ripristino di *Scientific Advice* e *Scoping meeting* locali



# EARLY ACCESS: Opportunità e Soluzioni

**Cosa possiamo fare ora con gli strumenti che abbiamo  
e a cosa dobbiamo tendere**

## Proposte

- A. Allineamento dei criteri dell'*early access*
- B. Dialogo strutturato
- C. Possibilità di raccolta e valorizzazione dei dati
- D. Report *assessment* come per l'innovatività
- E. Tracciatura semestrale anche dal punto di vista economico



# EARLY ACCESS: In conclusione...

## Nel medio-lungo termine

Sarà necessario definire uno strumento chiaro di *early access* in Italia funzionale all'accesso definitivo, mutuando dall'esperienza fatta fino ad ora insieme con gli esempi di altri paesi europei

