

XXI CONFERENZA NAZIONALE SULLA FARMACEUTICA

2-3 MARZO
2023

L'accesso ai farmaci:
i problemi sul tappeto

Focus Group

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



Focus group

FARMACI ORFANI

Coordinatrice – Viviana Ruggieri
*External Relations, Market Access &
Regulatory Director, Servier*



Partecipanti

- Francesca Caprari – *Alexion*
- Marco Sartori – *Beigene*
- Giampiero Geusa – *CSL Vifor*
- Valentina Straziota – *Daiichi-Sankyo*
- Paola Capellini – *GSK*
- Filippo Bresciani – *Ipsen*
- Mario Napoli – *Menarini*
- Roberto Florenzano – *Mirum Pharma*
- Eleonora Premoli – *Novartis*
- Francesca Coiana – *Novo Nordisk*
- Nicoletta Consorte – *Sanofi*
- Gianluca Ronci – *Sanofi*
- Manuela Marrano – *SIFI*
- Cristina Teruzzi – *SOBI*



FARMACI ORFANI: Situazione attuale #1

Il **16 dicembre 1999**, il Parlamento Europeo e il Consiglio Europeo hanno adottato il **Regolamento (CE) N° 141/2000** per i farmaci orfani. La Commissione ha inoltre adottato il **Regolamento (CE) N° 847/2000 del 27 aprile 2000** che stabilisce le disposizioni per l'applicazione dei criteri di designazione orfana, definendo i concetti di "**prodotto medicinale simile**" e di "**superiorità clinica**".

Un **medicinale** è designato **orfano** quando utilizzato per la **diagnosi, la prevenzione e il trattamento delle malattie rare**.

In Italia, la **Legge n. 175 del 10 novembre 2021** "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della **produzione dei farmaci orfani**", nota come "**Testo Unico sulle Malattie Rare**", introduce novità in termini di incentivi fiscali e finanziamento alla ricerca.

È di ieri l'approvazione di una mozione firmata da tutti i gruppi parlamentari relativi all'attuazione della Legge 175/2021 con particolare riferimento ai decreti attuativi relativi all'elenco delle patologie rare e relative prestazioni di immediata disponibilità di farmaci orfani a prescindere dalla classe di rimborsabilità, oltre alla programmazione sanitaria, sperimentazioni, gare e coinvolgimento di associazioni di pazienti a vari livelli.



FARMACI ORFANI: Situazione attuale #2

1. **Le tempistiche** per l'ottenimento del Prezzo e Rimborso dei Farmaci *overall* sono **> 14/15 mesi** (mediana 438 giorni) dalla sottomissione del Dossier alla pubblicazione in G.U. (Analisi su dati pubblici). Tali tempistiche sono coerenti – al netto delle differenze metodologiche delle due analisi - con quanto riportato anche da AIFA*.
2. Nel caso dei **Farmaci Orfani (FO)**, **tali tempistiche risultano anche superiori, nonostante:**
 - per legge i F.O. siano immediatamente eleggibili alla **procedura «100» gg**; o per quanto riguarda Farmaci per Malattie Rare - FMR, eventualmente eleggibili alla stessa procedura accelerata, previa valutazione CTS (*Legge «Balduzzi» n. 189/2012 e ss.mm.*)
 - l'accesso del paziente alla terapia è gravato anche dai processi loco-regionali, nonostante, in base alla normativa T.U. MRFO (legge n.175 del 10 novembre 2021) anche per l'accesso regionale e ospedaliero ci dovrebbe essere immediatezza con tempo max. di 6 mesi

*Fonte:

Report «Explorare Rare Disease Deep Dive & Proposals – 23 Febbraio 2023» e «Rapporto sulle tempistiche delle procedure di prezzo e rimborso dei farmaci nel quadriennio 2018-2021 - Area strat. ed economia del farmaco settore HTA ed economia del farmaco - Aprile 2022»



FARMACI ORFANI: Criticità #1

Sono state esplorate fondamentalmente tre dimensioni: il processo di accesso alla rimborsabilità a livello nazionale, il percorso regionale e gli aspetti normativi.

PROCESSO DI ACCESSO NAZIONALE

1. **Fase valutativa** (ad es. studi a supporto della definizione della popolazione, evidenze cliniche, identificazione del comparatore, codifica delle malattie, applicazione dei modelli di costo efficacia, dichiarazione di conflitto di interesse per il coinvolgimento dell'esperto)
2. **Fase amministrativa** (ad es. necessità di ottimizzazione dei tempi sia in fase istruttoria che in fase di pubblicazione in GU)

PROCESSO DI ACCESSO REGIONALE

1. Modello di organizzazione/identificazione dei centri di riferimento che ha un alto impatto finanziario
2. **L'accesso alle terapie** con i farmaci orfani oggi **disomogeneo**, anche a causa dei vari step regionali e locali di valutazione del farmaco (*listing*)
3. Gare vs procedura negoziata



FARMACI ORFANI: Criticità #2

ASPETTI NORMATIVI

1. L'inserimento di tutte le **malattie rare ad oggi previste nell'elenco dei LEA** e relative codifiche anche per la presa in carico del paziente a livello del territorio e relativa definizione delle tariffe
2. Revisioni del «Decreto Prezzi» (2 agosto 2019) e relative linee guida per la compilazione del dossier
3. **Implementazione** nella pratica della **procedura 100 giorni**
4. **Strumenti di early access** (Legge 648/96, Legge 326/3003, DM 07 settembre 2017, ecc.)



FARMACI ORFANI: Opportunità e soluzioni #1

PROCESSO DI ACCESSO NAZIONALE

- Incrementare l'**awareness** su patologia orfana e nuove possibilità di cura
- Percorsi di **horizon scanning** per programmare la spesa dei FO
- **Early dialogue** e istituzione di **scoping meeting multistakeholder** con gli uffici AIFA nella fase *pre submission* del dossier
- Co-creazione AIFA-Aziende di una **Linea Guida di supporto alla definizione dei dati da inserire all'interno dei dossier** e all'identificazione di eventuali comparatori tesi a risolvere in anticipo alcuni limiti intrinseci dello sviluppo e dell'epidemiologia delle malattie rare/tumori rari
- Dare **evidenza** alle **valutazioni dell'HRQoL**, laddove le analisi su QoL siano determinanti per la comprensione del valore terapeutico aggiunto di un farmaco orfano, percepito dal paziente.
- **Definizione di una soglia economica**, valutazione della modifica del prezzo in funzione del cambio della numerosità della popolazione
- **Limitare le rinegoziazioni di estensione** in caso di nuove indicazioni orfane laddove i tassi di incidenza/prevalenza marginali rispetto all'esistente indicazione rimborsata



FARMACI ORFANI: Opportunità e soluzioni #2

PROCESSO REGIONALE

1. **Definizione anticipata dei percorsi di diagnosi** e cura dedicati alla presa in carico dei pazienti con malattie rare che facilitano un accesso equo su tutto il territorio nazionale
2. **Anticipare alle Regioni** l'informativa relativa all'avvenuta **chiusura dell'iter negoziale** subito dopo la firma del CdA per favorire una veloce identificazione dei centri prescrittori e dei bisogni di approvvigionamento
3. Ampliamento in modalità *hub and spoke* dei centri prescrittori per ridurre il carico finanziario attualmente concentrato su poche strutture
4. Applicare la procedura negoziata, per i farmaci in esclusiva, rispetto alla procedura di gara
5. Dare seguito alla norma del 2021 che prevede l'inserimento automatico nei prontuari di farmaci per malattie rare/tumori rari

ASPETTI NORMATIVI

1. **Revisione del «Decreto Prezzi» del 2019** e relativa Linea Guida alla luce dell'esperienza degli ultimi anni per rimuovere alcuni freni valutativi tra cui l'utilizzo dei comparatori sulla base della Lista dei farmaci di uso consolidato/ L. 648/96.
2. Revisione degli strumenti di **early access** e ottimizzazione del potenziale utilizzo di dati (ad es. registri già in questa fase)
3. **Implementazione del Testo Unico dei farmaci orfani e malattie rare** e prevedendo anche una presa in carico del paziente affetto da queste malattie che includa anche l'eventuale **domiciliarizzazione dei FO**.

