

Il valore-salute per AIFA

La strategia dell'ascolto qualificato per una più ampia cultura del farmaco

orientata l'attività nazionale che intende integrare tutti i sistemi informativi del SSN, anche quando gestiti da diverse amministrazioni dello Stato, ed alla **interconnessione** degli stessi su base individuale. Solo così si potrà pervenire ad una segmentazione della popolazione in relazione ai suoi bisogni e alla successiva definizione di percorsi individuali di assistenza.

Questo programma può realizzarsi senza sostegno all'innovazione?

In un contesto di risorse limitate, è indispensabile che l'ingresso dell'innovazione nel SSN sia disciplinato da un percorso che ne garantisca efficacia, sicurezza e sostenibilità, assicurando al tempo stesso la rivalutazione di interventi obsoleti in un'ottica di disinvestimento. Il paradigma del valore e la sua metrica trovano la loro piena applicazione in tale ambito, al fine di informare, secondo diversi elementi valoriali, tutte le tappe fondamentali del processo di Health Technology Assessment. Valutazione dell'innovazione e disinvestimento devono far sì che tutte le prestazioni a carico del SSN rispondano a criteri di efficacia e appropriatezza clinica e organizzativa. L'Italia ha recentemente deciso di istituire, presso il Ministero della salute, la Commissione nazionale per l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza a cui compete, tra le altre cose, la valutazione sistematica delle attività, dei servizi e delle prestazioni di assistenza sanitaria e socio-sanitaria già inclusi nei LEA, per valutarne il mantenimento e definirne condizioni di erogabilità o appropriatezza, l'acquisizione e la valutazione di proposte di inserimento nei LEA di nuove prestazioni e l'aggiornamento dei LEA. Il tema del valore riguarda pienamente l'esercizio ottimale di queste funzioni, tenuto conto che fino ad oggi molti interventi sanitari (escludendo i farmaci, che hanno procedure regolatorie definite) entravano nel sistema sanitario in modo spesso informale e talvolta non corroborato da prove scientifiche di efficacia. È necessario, dunque, che tutti gli interventi erogati dal Servizio Sanitario rispondano ad un meccanismo regolatorio codificato e si basino su prove scientifiche di efficacia e comparazioni costi/efficacia; è altrettanto necessario promuovere e coordinare, a livello centrale, la sperimentazione di interventi in presenza di valutazioni insufficienti. Questo equivarrebbe a prevedere un programma di Health Technology Assessment, nel cui ambito coordinare ed integrare tutte le attività di valutazione di efficacia e costo/efficacia di interventi innovativi o di interventi già inclusi nei LEA che non dispongono di adeguata documentazione scientifica di efficacia.

Nell'ambito del governo dei consumi dei Dispositivi Medici, il Ministero della Salute, avvalendosi di Agenas e AIFA e con il coinvolgimento delle Regioni, ha già avviato la messa a sistema di un percorso simile ad uso dei decisori nazionali (Commissione LEA), istituendo una Cabina di Regia, con Decreto del Ministro della Salute del 12 marzo 2015, cui compete (ai sensi della Legge di Stabilità 2016) sia la definizione delle priorità, sia la valutazione multidimensionale, sia la disseminazione degli esiti delle valutazioni stesse.

Tra le fasi più complesse del lavoro della Cabina di Regia credo vada sottolineata la definizione delle priorità per la valutazione, considerato che una pluralità di soggetti può essere interessata a formulare proposte di valutazione, che le risorse disponibili non sono sufficienti a valutare la totalità delle tecnologie che vengono introdotte ed utilizzate nel sistema sanitario e che non tutte le tecnologie meritano di essere valutate. In tale ambito, il Programma Nazionale di HTA dei Dispositivi Medici ha considerato fondamentali i principi della trasparenza, dell'indipendenza e dell'equità e si è dotato di specifici criteri che prenderanno in considerazione diversi elementi valoriali e differenti prospettive: la rilevanza del problema di salute, le caratteristiche tecniche della tecnologia, la sicurezza, l'efficacia teorica e pratica, l'impatto economico e finanziario, l'impatto organizzativo.

Vorrei sottolineare, infine, che la determinazione del valore della prestazione sanitaria risente, in misura peculiare nella sanità, dei fattori produttivi, con particolare riferimento ai professionisti del SSN, su cui andrebbero rimodulate alcune delle riflessioni sopra esposte. ▀

La salute come valore è un concetto complesso e dinamico ma soprattutto individuale e quindi, per definizione, impreciso e soggettivo. Di fondamentale importanza è quindi non solo essere in grado di misurare i risultati degli interventi sanitari in termini di efficacia della prestazione ma anche, e diremmo prima di ogni cosa, includere nella definizione stessa degli obiettivi di salute e nella loro valutazione, la percezione, le convinzioni, le aspettative del paziente.

Perciò come su altre iniziative AIFA ha scelto la strada dell'ascolto qualificato, del dialogo e del coinvolgimento. Lo ha fatto, tra l'altro, con gli incontri Open AIFA, con le consultazioni pubbliche e con l'audizione dei rappresentanti delle associazioni in Commissione Tecnico-Scientifica.

La partecipazione attiva e informata del paziente – dalle sperimentazioni cliniche ai tavoli tecnici in cui si valutano i profili di beneficio/rischio dei nuovi farmaci, alla farmacovigilanza – è infatti una risorsa fondamentale e un'opportunità per raggiungere obiettivi migliori in tempi più brevi.

Iniziative come l'accordo di collaborazione con l'Accademia europea dei pazienti sull'Innovazione Terapeutica (EUPATI) dimostrano l'attenzione rivolta dall'AIFA all'*empowerment* del paziente.

D'altra parte nuovi paradigmi regolatori impongono a tutti, agenzie regolatorie *in primis*, di confrontarsi anche con profili etici e responsabilità diversi rispetto al passato. I nuovi modelli di autorizzazione accelerata presuppongono un maggiore grado di

“... l'Agenzia Italiana ha scelto di utilizzare registri di monitoraggio disegnati ad hoc che consentono un livello di sorveglianza in tempo reale e ha creato un algoritmo per la valutazione dell'innovatività dei farmaci di nuova autorizzazione...”

incertezza rispetto ai percorsi autorizzativi tradizionali e richiedono quindi non solo un maggior coinvolgimento del paziente nei processi decisionali per comprendere quale livello di incertezza sia disposto ad accettare, ma anche il rafforzamento della collaborazione tra regolatori, prescrittori, pazienti e soggetti pagatori per potenziare gli strumenti in grado di produrre evidenze e rendere più efficace il monitoraggio, in tempo reale, a supporto delle decisioni. In tale ambito l'Agenzia Italiana ha scelto di utilizzare registri di monitoraggio disegnati *ad hoc* che consentono un livello di sorveglianza in tempo reale e ha creato un algoritmo per la valutazione dell'innovatività dei farmaci di nuova autorizzazione, ritenendo



Luca Pani* e Mario Melazzini**

*Direttore Generale; **Presidente Agenzia Italiana del Farmaco

che lo sviluppo di un sistema di valutazione trasparente e *online* del miglior trattamento disponibile possa facilitare l'accesso dei pazienti a medicinali salvavita, ridurre errori e sprechi e permettere di ottenere costi dei farmaci più vantaggiosi.

I dati di utilizzo e di *effectiveness*, raccolti anche mediante i Registri di monitoraggio, devono essere portati entro al massimo un biennio a supporto delle rivalutazioni clinico-economiche assunte dall'Agenzia al momento dell'immissione in commercio di nuovi farmaci e possono comportare la rinegoziazione del prezzo sulla base delle effettive condizioni di impiego del farmaco e dei risultati prodotti.

L'ondata di molecole innovative ad alto impatto sul Servizio Sanitario Nazionale destinate a malattie rare o a bisogni di salute insoddisfatti rende sempre più delicata la gestione dell'informazione e della comunicazione su questi temi. Per tale ragione l'AIFA intende continuare a perseguire il massimo rigore scientifico nell'analisi delle fonti, nello studio e nell'incrocio dei dati e nell'elaborazione dei messaggi. È con questo approccio che l'Agenzia negli ultimi anni ha cercato di favorire una più ampia "cultura" del farmaco, introducendo – proprio nel concetto di valore salute – temi e riflessioni legati alla sostenibilità, all'innovazione, ai nuovi scenari della medicina e quindi alle corrette modalità di gestione di questa risorsa che è tale solo se amministrata con razionalità, sia clinicamente sia in termini di *governance* sanitaria. ▀

— Bach PB, Pearson SD. Payer and Policy Maker Steps to Support Value-Based Pricing for Drugs. *JAMA* 2015;314:2503-4.

— Montilla S, Xoxi E, Russo P, Cicchetti A, Pani L. Monitoring Registries at Italian Medicines Agency: fostering access, guaranteeing sustainability. *Int J Technol Assess Health Care* 2015;31:210-3.

— Eichler HG, Baird LG, Barker R, et al. From adaptive licensing to adaptive pathways: delivering a flexible life-span approach to bring new drugs to patients. *Clin Pharmacol Ther* 2015;97:234-46.

— Lauera MS, Krumholz HM, Topol E. Time for a prepublication culture in clinical research? *Lancet* 2012;386:2447-9.