

# Scegliere dove investire nell'interesse del paziente

Quando le priorità della ricerca privata incontrano i bisogni e le priorità dei cittadini



Intervista a  
**Annarita Egidi**

Market access  
director,  
Takeda Italia

**U**na delle funzioni fondamentali nelle aziende consiste nel prendere decisioni valide in modo efficiente e tempestivo. Quali criteri generali sovrintendono le vostre decisioni?

Tutte le decisioni prese all'interno di Takeda, in Italia e nel mondo, rispettano le quattro priorità globali: *patient, trust, reputation, business*. Proprio in quest'ordine. Nel prendere quindi una decisione, di qualunque genere, ci chiediamo quale impatto avrà innanzitutto sui pazienti e a seguire sulla fiducia della comunità in cui operiamo, sulla reputazione dell'azienda e infine sul business.

**Per un'azienda farmaceutica quali sono i principali fattori che determinano il priority setting nella ricerca?**

Gli *unmet medical needs*: le aziende devono focalizzare la ricerca negli ambiti in cui c'è forte necessità e dove è possibile porsi l'obiettivo di cambiare la vita delle persone. Ambiti in cui si possa modificare il corso di una malattia e riportare l'aspettativa di vita al livello delle persone sane. Un esempio è rappresentato dal mieloma multiplo: negli ultimi dieci anni la sopravvivenza a cinque anni è migliorata sensibilmente, raggiungendo oltre il 45 per cento grazie alla disponibilità di nuove opzioni terapeutiche. Una rivoluzione che potrà portare alla cronicizzazione di questa patologia alla quale il sistema deve prepararsi. Investire nella ricerca per le malattie rare significa dare una speranza a piccoli gruppi di pazienti con enormi problemi da gestire: dal burden della malattia, alla frustrazione di non avere una diagnosi e infine non avere una cura. E la centralità del paziente vuole dire dare voce anche a questi pazienti.

“Le aziende devono focalizzare la ricerca negli ambiti in cui c'è forte necessità e dove è possibile porsi l'obiettivo di cambiare la vita delle persone.”

Un fattore determinante è il know how che un'azienda può esprimere in una specifica area. Infatti, la conoscenza profonda di determinate aree terapeutiche aiuta l'azienda a comprendere meglio le patologie e a trovare soluzioni mirate alla loro cura. Takeda investe in ricerca quasi il 20 per cento del proprio fatturato e ha deciso di limitare il focus della sua ricerca in quattro aree: gastroenterologia, oncologia, cardio-metabolico e sistema nervoso centrale. Fondamentale è la partnership con le università, i piccoli gruppi di ricerca e le aziende in grado di sviluppare tecnologie innovative a supporto della terapia, come per esempio i sistemi di coniugazione degli anticorpi monoclonali che consentono di sviluppare *targeted therapy* e biomarcatori.

Un altro fattore è la possibilità di migliorare gli outcome clinici in aree già parzialmente soddisfatte. Se pensiamo ancora una volta alla centralità del paziente, diventa cruciale mirare la ricerca, e quindi gli investimenti, verso soluzioni efficaci che siano anche in grado di migliorare la gestione della malattia. Limitare il peso di una somministrazione infusionale che dura molte ore e costringe il paziente a recarsi frequentemente in ospedale è un grande valore. Una terapia oncologica orale gestibile a casa, efficace e sicura consente una maggiore aderenza alla terapia e quindi una conferma degli outcome clinici attesi; al contempo, rende la vita del paziente una vita normale, con l'affetto della famiglia e la tranquillità del proprio ambiente domestico. Ovviamente questo non è sempre ottenibile, tuttavia deve essere un elemento tenuto in forte considerazione nelle decisioni d'investimento anche per i benefici gestionali ed economici in grado di generare nel sistema.

**Quanto pesa il fattore tempo nella decisione di sviluppare o meno una linea di ricerca o una molecola?**

I tempi della ricerca rappresentano certamente un aspetto importante da considerare nelle decisioni di allocazione degli investimenti. Tuttavia, rispetto ad alcuni anni fa – e in particolare nello sviluppo clinico dei farmaci innovativi – i tempi della ricerca cominciano a ridursi, grazie a nuove metodologie statistiche applicate agli studi clinici e soprattutto a una maggiore precisione nella diagnosi molecolare dei pazienti più indicati a un certo trattamento. Ne consegue che gli stessi costi possono andare incontro a contrazioni più o meno sensibili, dal momento della fase I all'eventuale commercializzazione.

Rimangono comunque alti sia l'impegno economico complessivo sia quello necessario, spesso in parallelo e quindi addizionale, a sfoltire da una rosa di composti attivi in laboratorio quelli effettivamente utili; pertanto a tutt'oggi la decisione *go/no go* è senza dubbio un milestone “drammatico” per un'azienda farmaceutica.

**Se lo *shared decision making* è sempre più al centro dei processi decisionali aziendali, quali funzioni aziendali vi sono coinvolte ed in che misura?**

Attore principale nei processi decisionali strategici di un'azienda globale legati alla ricerca è senza dubbio il dipartimento ricerca e sviluppo, ma non si può prescindere dal supporto delle funzioni di *market access, medical affairs* e anche *government affairs*. L'interazione tra funzioni diverse consente di valutare tutti i possibili aspetti legati all'investimento, inclusa la compatibilità con le priorità e gli obiettivi di salute dei governi. Tempi di sviluppo, sequenza di studio delle possibili indicazioni, disegno degli studi, valutazioni sulla situazione di mercato che si genererà al momento del lancio del

nuovo farmaco, evoluzione dei meccanismi di accesso nei vari paesi sono alcune delle valutazioni necessarie ai fini delle decisioni aziendali.

**Nelle vostre decisioni di carattere strategico, tenete anche conto del parere dei pazienti?**

Come già specificato sopra, il beneficio per i pazienti è l'elemento prioritario nelle decisioni aziendali. Di conseguenza, l'interazione con i *patient advocacy group* riveste un ruolo molto importante nei processi decisionali: l'obiettivo è comprendere cosa i pazienti si aspettano dalle terapie che siamo in grado di mettere a loro disposizione e quali siano i loro bisogni e le loro priorità. Per questa ragione oltre agli investimenti sui farmaci sono sempre di più le aziende che supportano i *patients support program*.

Monitoraggio dell'aderenza e degli effetti della terapia, consegna a domicilio dei farmaci e counselling sono solo alcuni dei servizi che possono migliorare gli outcome clinici del trattamento e consentire al paziente una buona esperienza di terapia. Compatibilmente con la normativa vigente in Italia (e nel resto del mondo), sta diventando frequente anche il coinvolgimento dei pazienti sin dalla fase di disegno degli studi clinici al fine di studiare con attenzione anche gli outcome clinici importanti per loro e l'impatto sulla qualità della vita, parametro sempre più rilevante anche nelle valutazioni di tipo regolatorio. Diventa quindi auspicabile che i pazienti siano sempre più coinvolti anche nelle decisioni dei payer e dei policy maker.

“Il dialogo con i payer diventa l'elemento decisivo di collaborazione sugli aspetti di sostenibilità.”

**Quali fattori determinano di più la decisione del prezzo di un vostro farmaco?**

Si tratta di un processo complesso, che coinvolge numerose funzioni aziendali ed è mirato innanzitutto alla valutazione del reale valore aggiunto che il nuovo farmaco produrrà per il sistema, utilizzando le tecniche e i modelli più accreditati in termini di *health technology assessment*. Il prezzo che proponiamo tiene inoltre conto del confronto con i farmaci già disponibili e dell'impatto sul budget del servizio sanitario nazionale. Il dialogo con i payer diventa poi l'elemento decisivo di collaborazione sugli aspetti di sostenibilità. ■