



Il valore del farmaco

Documento di posizione

*a cura del Gruppo di lavoro Farmaco Biotech,
sottogruppo Market Access*

Lo scenario di riferimento

Assobiotech, l'Associazione Nazionale per lo sviluppo delle biotecnologie, che fa parte di Federchimica, rappresenta oltre 130 associati (tra imprese e parchi scientifici e tecnologici) attivi in Italia nel campo delle biotecnologie.

Uno dei comparti nel quale le biotecnologie hanno maggiormente dimostrato il proprio potenziale è quello della salute: i prodotti biotech costituiscono infatti a livello mondiale il 20% dei farmaci in vendita, il 40% dei nuovi farmaci registrati e il 50% dei farmaci in via di sviluppo. Le biotecnologie rappresentano dunque il vero incubatore dei prodotti innovativi per l'industria farmaceutica.

Questi farmaci sono caratterizzati da un elevato tasso di innovatività e sono in larga misura rivolti al trattamento di patologie invalidanti e ad alto impatto sociale (malattie auto-immuni, epatiti, tumori liquidi e solidi, malattie neurologiche), spesso orfane di cura.

Negli ultimi decenni le scienze della vita hanno conosciuto un enorme sviluppo in termini di conoscenze ed applicazioni: il progresso scientifico, lo sviluppo di nuove strumentazioni e di tecnologie innovative e le scoperte della ricerca farmaceutica hanno determinato un netto miglioramento della qualità e un innalzamento delle aspettative di vita.

Nell'attuale contesto socio-sanitario ed economico, tuttavia, caratterizzato dal progressivo invecchiamento della popolazione e da risorse decrescenti da destinare al finanziamento della ricerca e dell'innovazione, è divenuta ormai improcrastinabile la ridefinizione di strategie e azioni volte ad assicurare un Sistema Sanitario realmente efficiente, equo e sostenibile nel medio - lungo periodo.

In questo contesto, l'attribuzione del valore dei farmaci è un argomento di grande attualità e riguarda, a diverso titolo, tutti gli stakeholder.

Il farmaco, a differenza di altre tecnologie, è sottoposto a diversi livelli di valutazione che ne verificano l'efficacia, la sicurezza e la qualità ai fini dell'autorizzazione alla commercializzazione e che, successivamente ad essa, verificano nel tempo il rispetto del profilo rischio/beneficio. Tutto questo processo, anche se molto sistematico, può non essere sufficiente a documentare in modo esaustivo il valore che essi possono avere nell'ambito del Sistema Sanitario.

Per questa ragione, ogni Paese che intenda di fatto sostenere la ricerca e sviluppo pubblica e industriale, e che sia dotato di un sistema sanitario che voglia soddisfare criteri di equità nei confronti della popolazione, ha il dovere di definire una "politica del valore del farmaco" alla quale ispirarsi.

L'assenza di una chiara politica circa il valore del farmaco e le sue determinanti, o la scarsa chiarezza rispetto alle responsabilità, tempi e metodi di valutazione, comporta, in aggiunta, due gravi conseguenze per il sistema industriale:



1. l'incertezza nell'indirizzo degli investimenti nella R&S, che per i propri tempi di realizzazione richiede stabilità e coerenza nel sistema;
2. la riluttanza dei sistemi industriali a livello internazionale nell'assicurare alle proprie compagnie locali il finanziamento di specifici piani di ricerca primaria e secondaria quando essi siano indirizzati a soddisfare requisiti di valutazione poco chiari nella teoria oppure di fatto non applicati nella pratica.

La posizione di Assobiotec e piano d'azione

Assobiotec rispetto al tema del "valore del farmaco" considera rilevanti e prioritari i seguenti punti da sviluppare con tutti gli stakeholder:

- La valutazione sistematica degli "unmet medical need" della popolazione e del "burden of diseases"
- La determinazione delle priorità di ricerca nei prossimi 5-10 anni da parte del mondo industriale e delle imprese biotecnologiche al fine di aumentare e/o accelerare lo sviluppo dei nuovi farmaci biotecnologici attraverso:
 - finanziamenti e/o incentivazioni fiscali e la stabilità degli stessi
 - semplificazione degli iter amministrativi ed approvativi della ricerca e sviluppo
 - un processo snello e trasparente (fast track) sia sui prezzi sia sulle modalità di rimborso
- La stabilità legislativa e il rispetto dei Regolamenti e delle Direttive Europee che garantiscono l'utilizzo delle terapie valutate nel modo più rigoroso. L'emergenza economica non deve rappresentare un alibi per modifiche legislative a livello nazionale che vadano a detrimento delle terapie innovative e mettano a rischio di sottoporre i pazienti a terapie non ottimali
- La determinazione e la condivisione di una politica sull'innovazione e sul valore del farmaco che comprenda:
 - Una definizione condivisa con gli stakeholder (autorità regolatorie, istituzioni, industria, cittadini, comunità scientifica, associazioni pazienti)
 - Una chiara attribuzione delle responsabilità e di processi di valutazione e giudizio trasparenti
 - Una messa a punto di un sistema di "rewarding" dell'innovatività e del valore ai fini delle condizioni di prezzo e rimborso e del completo e rapido accesso dei pazienti alle cure
 - Identificazione e valorizzazione di:
 - strumenti e programmi che possano aiutare il sistema a valutare gli effetti dell'innovatività dei farmaci, nel contesto terapeutico disponibile, dopo l'immissione in commercio, attraverso l'utilizzo di dati provenienti da database sanitari, registri, e da programmi ad hoc di valutazione dell'*effectiveness*, dell'impatto clinico economico e organizzativo
 - strumenti e programmi che consentano la valutazione dell'impatto del farmaco innovativo sui costi dell'assistenza socio-sanitaria nel suo complesso (onde evitare ragionamenti a compartimenti stagni) per la quantificazione delle risorse complessivamente liberate dall'atto terapeutico



- La condivisione dei dati relativi ai principali indicatori di qualità e performance del sistema quali:
 - Dati sulla ricerca e sviluppo
 - Monitoraggio dei giudizi di innovatività
 - Dati su prezzi e rimborsi e su adozione e effetti delle condizioni negoziali accessorie (registri, tetto, Managed Entry Schemes)
 - Osservatorio delle valutazioni e dell'impatto post commercializzazioni attraverso i dati disponibili, studi ad hoc, e schede di monitoraggio AIFA

Assobiotec su questi temi si impegna a:

- facilitare, tra gli associati, un approccio omogeneo e di qualità in modo coerente con i modelli europei di riferimento
- sostenere occasioni di studio e di confronto tra le parti che facilitino il percorso di evoluzione che coinvolge il sistema regolatore e il sistema sanitario nel suo complesso, per l'individuazione di modelli tesi alla ottimizzazione delle risorse e alla definizione del costo sanitario nella sua definizione più ampia
- essere presente, come interlocutore proattivo e competente, in tutte le occasioni di discussione regolatorie, scientifiche e istituzionali, per rappresentare la posizione tecnica dell'industria biotecnologia su questo tema, sperimentando le soluzioni identificate
- contribuire in collaborazione con gli esperti alla messa a punto di modelli di riferimento di carattere metodologico (es. confronti indiretti) che possano produrre le basi per la definizione di standard di riferimento
- promuovere lo sviluppo di un punto di vista competente da parte dell'industria biotecnologica sui principali temi di discussione e disseminarlo attraverso la discussione pubblica e trasparente con le parti interessate e la messa a punto di documenti di posizione sui diversi temi trattati