



FARMACI/ L'Authority pubblica i criteri necessari per il riconoscimento del requisito

L'innovatività firmata Aifa

Sotto la lente: bisogno terapeutico, valore aggiunto, qualità delle prove

Sono stati pubblicati i nuovi criteri dell'Aifa per individuare l'innovatività dei farmaci immessi in commercio. Se n'è parlato molto e il documento rispetta la scadenza dettata dall'ultima legge di bilancio che prevedeva proprio per questi giorni il pronunciamento in merito dell'Authority italiana.

Il documento finale è stato partorito a seguito delle riflessioni e degli approfondimenti fatti dalla Commissione tecnica dell'Aifa ma, quest'ultima, non è nuova al tentativo di trovare un sistema che possa etichettare su richiesta i nuovi medicinali che si affacciano sul mercato come innovativi.

È qui che troviamo la prima novità: chi si aspettava una formula o un'equazione capace di risolvere in pochi passaggi il quesito dell'innovatività rimarrà deluso.

L'agenzia infatti abbandona per sempre l'approccio ingegneristico su cui in passato sono stati versati fiumi di inchiostro (ricordate l'algoritmo Aifa?). Il nuovo approccio propone un metodo più simile a quanto viene già fatto in altri prestigiosi enti di Health technology assessment europei. Nel nuovo documento vengono inizialmente individuate le dimensioni di cui bisognerà tener conto prima di arrivare al giudizio finale: il bisogno terapeutico; il valore terapeutico aggiunto; la qualità delle prove.

Ognuno di questi temi viene poi declinato rispettivamente in cinque (i primi due) o in quattro (l'ultimo) categorie. Si va dal massimo fino ad assente passando per importante, moderato, scarso.

Per ognuna di queste categorie sono descritte condizioni ed elementi specifici che guideranno il giudizio per ogni nuovo farmaco. Per esempio, a seconda della presenza o meno di alternative terapeutiche e del livello di comparazione misurato rispetto alle alternative terapeutiche, sarà possibile spostarsi in giù o in su nella scala di valutazione.

Non ultimo sarà necessario pesare il livello di robustezza delle prove secondo un metodo già utilizzato a livello internazionale: il Grading of recommendations, assessment, development and evaluation (Grade).

Il risultato finale della valutazione sul bisogno terapeutico, il valore terapeutico aggiunto e la qualità delle prove porterà al giudizio di innovatività che sarà formulato in base al profilo derivante dall'insieme delle valutazioni dei suddetti parametri.

Potranno essere considerati innovativi i farmaci ai quali siano stati riconosciuti un bisogno terapeutico e un valore terapeutico aggiunto entrambi



Aborti illegali: nel 2016 trend in calo

Trend in discesa per le violazioni della legge 194 sull'interruzione volontaria di gravidanza. Sono 144 i procedimenti penali iscritti nel 2016 presso le procure (in calo dell'8,2% rispetto ai 157 del 2015) e 239 le persone indagate (in media 1,7 per procedimento), con una marcata incidenza degli stranieri (28,6%). E con 692 casi, quasi la metà del 2007, è in continua diminuzione anche il numero di richieste al Giudice tutelare di autorizzazione all'aborto da parte di donne minorenni, nei casi in cui sia mancato l'assenso delle persone che esercitano su di esse potestà o tutela (giurisdizione volontaria). È questo il quadro che emerge dalla Relazione annuale al Parlamento sul monitoraggio condotto dal ministero della Giustizia sulla legge 194 - «Norme per la tutela sociale della maternità e sull'interruzione volontaria della gravidanza» - per quanto riguarda le questioni di competenza del suo Dicastero.

Sotto il profilo delle violazioni penali, i numeri sono giudicati dal ministero «contenuti»: «I dati relativi agli anni 1995-2016 - si legge nella Relazione - mostrano che il fenomeno, a livello di giurisdizione penale, ossia di repressione delle violazioni delle disposizioni penali previste dalla legge, è di ridotte proporzioni». E in linea generale e a parte casi molto particolari, il ministero sottolinea anche che «non emerge dai dati raccolti che vi sia una qualche tendenza a eseguire aborti clandestini in modo organizzato presso strutture pubbliche o private».

A confermare questa valutazione ci sarebbe il ristretto numero medio di persone iscritte per procedimento ex articolo 19 (aborto clandestino) e propensione all'associazione. Di rilievo è sempre la marcata incidenza degli stranieri, che nel 2016 è stata del 28,6 per cento. Un'incidenza piuttosto elevata, soprattutto se si pensa che la popolazione straniera residente al gennaio 2016 costituisce solo l'8,3% circa dell'intera popolazione residente in Italia (dati Istat). Incidenza molto più alta, pari al 60,2%, se si considerano le sole persone che hanno commesso delitti di tipo esclusivamente doloso.

di livello massimo o importante, e una qualità delle prove alta.

L'innovatività non potrà invece essere riconosciuta in presenza di un bisogno terapeutico e/o di un valore terapeutico aggiunto giudicati come scarso o assente, oppure di una qualità delle prove giudicata bassa o molto bassa. Situazioni intermedie saranno valutate caso per caso, tenendo conto del peso relativo dei singoli elementi considerati.

Il documento prevede poi una valutazione particolare nel caso di farmaci oncologici dove, per quanto il gold standard rimanga la sopravvivenza globale, è possibile tener conto di altri tipi di esiti anche se meno robusti.

Un altro tipo di riguardo è posto nei confronti delle malattie rare in quanto si riconosce la difficoltà in alcuni casi di condurre sperimentazioni complete e su larga scala.

Anche in questo caso i criteri saranno utilizzati con una lettura attenta a fare in modo di tener conto delle difficoltà oggettive che si riscontrano per patologie che colpiscono solo pochi pazienti.

Il prodotto finale sarà quindi una breve relazione sviluppata sui temi sopraesposti che, promette l'Aifa, verrà resa pubblica in ogni caso sul sito dell'Agenzia anche se al netto dei dati sensibili.

I possibili esiti della valutazione sono:

- innovatività (per 36 mesi) con inserimento nel fondo dei farmaci innovativi, i benefici economici previsti dalla legge e l'inserimento nei Prontuari regionali;
- innovatività condizionata (o potenziale), che comporta unicamente l'inserimento nei Prontuari regionali (18 mesi);
- mancato riconoscimento dell'innovatività.

Il documento lascia in sospeso la valutazione verrà effettuata per farmaco o per indicazione. Ovviamente non si tratta di una differenza banale.

Infine, per quanto riguarda i medicinali che appartengono alla stessa classe del primo medicinale riconosciuto come innovativo, verrà riconosciuta l'innovatività per il periodo residuo all'interno dei primi 36 o 18 mesi già riconosciuti al «first in class».

Insomma, si tratta certamente di un passo in avanti che necessita ovviamente di essere sperimentato sul campo. Agenzie quali quella francese (Has) fanno questo tipo di lavoro già da tempo con risultati apprezzati da molti. Chiusa l'epoca della meravigliosa macchina algoritmica sembra che ci siamo finalmente messi a studiare.

L'ANALISI DEL DPCM

Nuovi Lea e vecchi merletti

Il ministro Lorenzin ha definito il 18 marzo 2017 una data «storica per la sanità italiana», salutando la pubblicazione in Gazzetta Ufficiale del Dpcm sui nuovi livelli essenziali di assistenza (Lea) come l'occasione concreta di «creare un servizio sanitario nazionale sempre al passo con le innovazioni tecnologiche e scientifiche e con le esigenze dei cittadini».

La pubblicazione dei nuovi Lea in Gazzetta Ufficiale conclude un iter atteso da quasi 10 anni: grande merito al ministro Lorenzin per aver raggiunto un successo politico mancato dai suoi predecessori Turco e Balduzzi. Tuttavia, sfumata l'onda di entusiasmo mediatico, è doveroso rilevare che l'accessibilità alla maggior parte delle prestazioni incluse nei nuovi Lea è ancora un lontano miraggio per cittadini e pazienti, senza necessariamente voler entrare nel merito della copertura finanziaria.

Nell'ambito delle attività dell'Osservatorio per la sostenibilità del Sistema sanitario nazionale, la Fondazione Gimbe ha effettuato un'analisi scrupolosa del Dpcm e dei relativi allegati: in particolare i commi 1-5 dell'articolo 64 (Norme finali e transitorie) fanno emergere un Dpcm «orfano» di indispensabili documentazione tecniche che rimanda a ulteriori atti legislativi dalle tempistiche in parte ignote e imprevedibili, in parte note ma difficilmente applicabili in tutte le Regioni secondo le scadenze previste.

Nomenclatori specialistica ambulatoriale e protesica. Il cavallo di battaglia dei nuovi Lea risulta visibilmente «azzoppato» perché i nomenclatori sono stati pubblicati in Gazzetta Ufficiale senza le corrispondenti tariffe. Infatti, a ragion veduta, il Dpcm non utilizza mai il termine «nomenclatori tariffari» e i commi 2 e 3 dell'articolo 64 precisano che l'entrata in vigore dei nomenclatori dell'assistenza specialistica e protesica è subordinata all'operatività dei provvedimenti che fissano le tariffe massime delle prestazioni, ovvero un «decreto del ministro della Salute di concerto con il ministro dell'Economia e delle finanze, sentita l'Agenzia per i servizi sanitari regionali, previa intesa con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome».

La pubblicazione in Gazzetta Ufficiale dei nomenclatori «orfani di tariffe» configura un paradosso normativo ratificato dal comma 5 dell'articolo 64: infatti, se vero è che il Dpcm sui nuovi Lea sostituisce integralmente il precedente Dpcm 29 novembre 2001, di fatto i nomenclatori tariffari in vigore saranno abrogati solo quando sarà pubblicato in Gazzetta Ufficiale il decreto di cui sopra. Considerato che sono ancora in atto le consultazioni con varie categorie di stakeholder per la definizione delle tariffe delle prestazioni i tempi necessari per l'entrata in vigore dei nuovi nomenclatori della specialistica ambulatoriale e della protesica sono totalmente imprevedibili.

Malattie rare. Il Dpcm ha ampliato l'elenco inserendo oltre 110 nuove entità

tra singole malattie rare e gruppi di malattie; tuttavia il comma 4 dell'articolo 64 precisa che le disposizioni in merito entreranno in vigore 180 giorni dopo la data di pubblicazione del Dpcm. A Regioni e Province autonome basteranno sei mesi per adeguare le reti regionali per le malattie rare con l'individuazione dei relativi presidi e registri regionali? Ma soprattutto, quali azioni sono previste per tutelare i pazienti con malattie rare nelle Regioni inadempienti?

Modalità di erogazione delle prestazioni. La definizione di criteri uniformi per l'individuazione di limiti e modalità di erogazione delle prestazioni è rinviata a successivi accordi sanciti dalla Conferenza permanente per i rapporti tra Stato, Regioni e Province autonome, su proposta del ministro della Salute. Traducendo l'ineccepibile politichese con cui è redatto il comma 1 dell'articolo 64, la standardizzazione su tutto il territorio nazionale dei criteri di erogazione delle prestazioni dei nuovi Lea (dispositivi monouso, assistenza protesica, assistenza ambulatoriale, percorsi assistenziali integrati, etc.) viene ancora una volta rimandata ad atti successivi le cui tempistiche non sono definite dal Dpcm.

Commissione nazionale per l'aggiornamento dei Lea e la promozione dell'appropriatezza nel Servizio sanitario nazionale. Insediata l'11 ottobre 2016 con il compito di garantire il costante aggiornamento dei Lea

attraverso una procedura semplificata e rapida, la Commissione avrebbe dovuto formulare, entro il 28 febbraio 2017, una prima proposta di revisione da formalizzare entro il 15 marzo: entrambe le scadenze non sono state rispettate. Abbiamo ripetutamente rilevato anche in sedi istituzionali che l'assenza di una metodologia esplicita per l'inserimento/esclusione delle prestazioni dei Lea rappresenta il tallone d'Achille del Dpcm: infatti, tale carenza rende estremamente complesso effettuare l'aggiornamento annuale delle prestazioni in un contesto caratterizzato da risorse limitate, continuo turnover tecnologico e necessità di mantenere ampio consenso professionale e sociale.

Considerato lo straordinario traguardo politico ottenuto con la pubblicazione dei nuovi Lea, la Fondazione Gimbe chiede a Governo e Regioni di definire una precisa tabella di marcia per fornire certezze a cittadini e pazienti sulla reale fruibilità dei nuovi Lea in maniera uniforme su tutto il territorio nazionale. Infatti, rimandando ad atti successivi numerosi aspetti applicativi, il Dpcm li affida a una tanto leale quanto utopistica collaborazione Stato-Regioni: secondo la storia recente, infatti, quando si entra nel merito delle risorse in sanità, assistiamo impotenti a un acceso conflitto istituzionale che si ripercuote, oltre che su aziende e professionisti sanitari, su cittadini, pazienti e famiglie, soprattutto sulle categorie economicamente e socialmente più deboli.

Nino Cartabellotta
presidente Fondazione Gimbe

Ro.M.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Red.San.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

© RIPRODUZIONE RISERVATA