

# **Procedure di P&R in Italia e confronti Europei**

## **Quali best practices?**

Giovanni Giuliani, Pricing and Reimbursement manager Roche SpA

Milano, 30 gennaio 2015



# Agenda

- Le sfide del sistema nell'accesso delle terapie innovative
- Opportunità dati dai registri AIFA e dalle analisi RWE
- Modello Italiano di accesso all'innovazione: esempi di accordi Value Based
- HTA in Europa: spunti per l'Italia
- Conclusioni

# I successi della ricerca farmacologica richiedono nuove modalità di accesso

## Sfide alla sostenibilità:

- Target therapies -> ≠ indicazioni ≠ valore
- Combinazioni biologici
- UNMET needs -> dati clinici limitati al lancio

## Continua pressione sui budget:

- Perdurare crisi economica e misure di rientro
- Nuovi farmaci (Hep C, Alzheimer) -> come gestire l'accesso?

- Modello di accesso in Italia: opportunità dati dai registri  
AIFA e dalle analisi RWE

# Il registro AIFA è stato sviluppato come uno strumento di governance della farmaceutica



The image shows the login interface for the AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) system. At the top, there is the AIFA logo and the text 'Registri Farmaci sottoposti a Monitoraggio'. Below this, there is a login form with two input fields: 'Inserisci username:' and 'Inserisci password:'. A blue 'accedi' button is positioned below the password field. At the bottom of the form, there are three links: 'Se non sei registrato [clicca qui](#)', 'Per effettuare il cambio password [clicca qui](#)', and 'Per effettuare il reset password [clicca qui](#)'.

## Ambiti:

- appropriatezza
- Gestione MEAs (managed entry agreements)
- Raccolta dati real practice
- Adaptive reimbursement?

## Informazioni raccolte:

- Caratteristiche pazienti
- Diagnosi
- Richiesta farmaco / dispensazione
- Outcome clinico

# Registri: transizione tra vecchia e nuova piattaforma

Limitate informazioni su storia paziente / caratteristiche e trattamenti associati

- Diagnosis
- Stage
- Site of metastases
- Drugs combined

Complete informazioni su storia paziente / caratteristiche e trattamenti associati

- Diagnosis
- Stage
- Istology
- Site of metastases
- Date of first diagnosis
- RAS (NRAS – KRAS) status (if evaluated)
- EGFR (if evaluated)
- Neoadjuvant treatments
- Adjuvant treatments
- Surgery
- Previous metastatic treatments
- Patient characteristics (detailed) including tumor markers

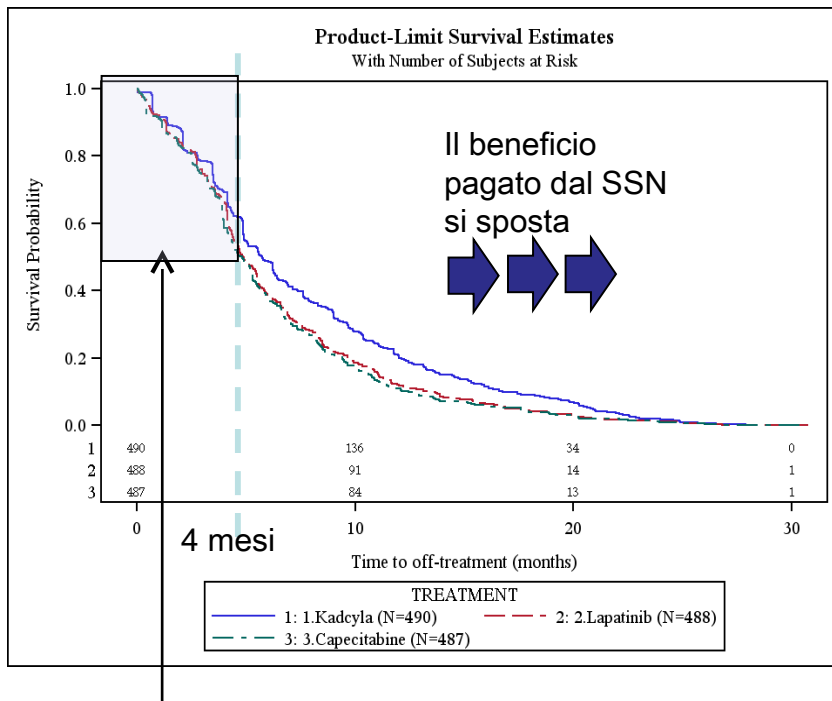
Stesso set di informazioni raccolte per tutti i trattamenti CRC

## Esempi di applicazione di accordi Value Based Pricing in Italia

# Innovazione: modelli di rimborso sostenibile

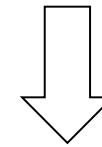
## Accordi payment by results

Curva di Kaplan-Meier della TTOT



**Costo sostenuto dall'azienda**

**Payment by results a 4 mesi**



**SSN sostiene costo solamente per successi a lungo termine**

**Il rapporto di costo beneficio migliora grazie all'accordo negoziale**



# Innovazione: modelli di rimborso sostenibile

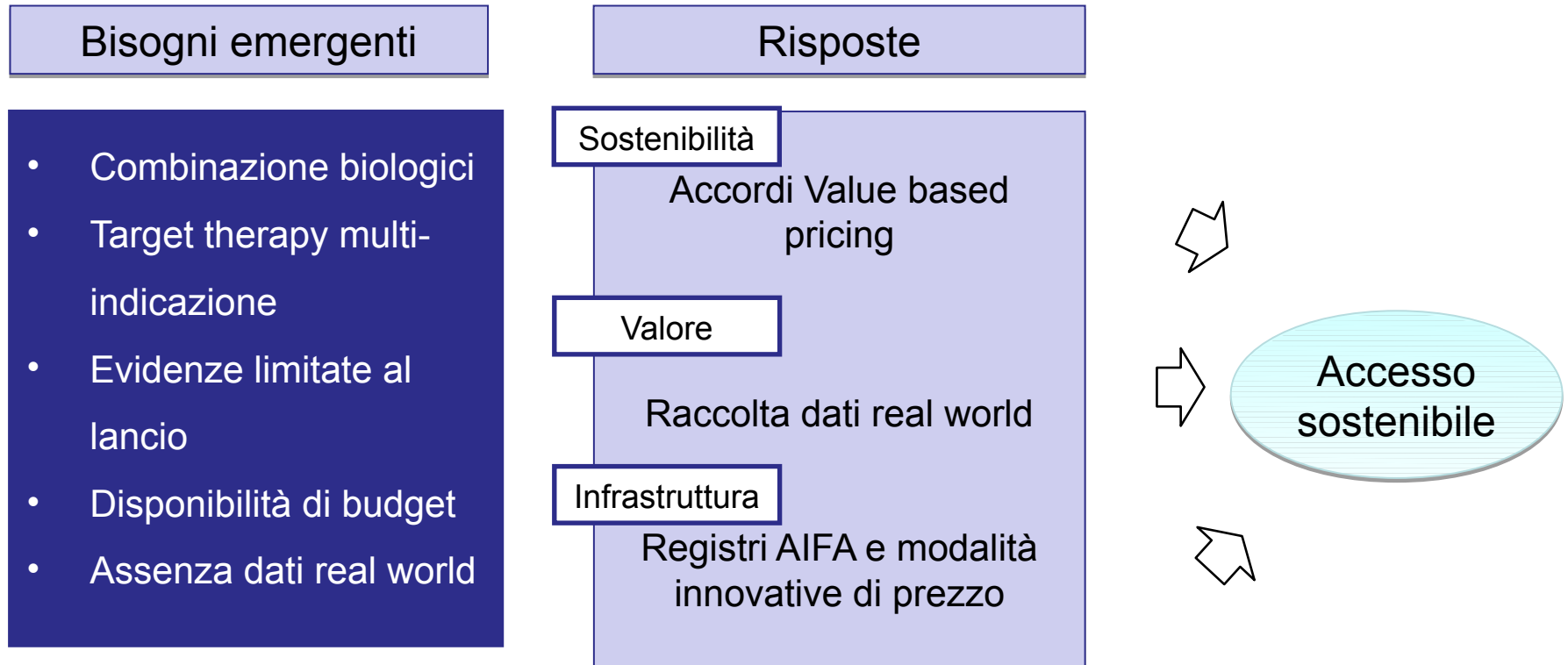
## Combinazione di biologici

- Combinazione di biologici: possibilità di negoziare un **prezzo basato sul costo terapia** con impatti significativi a livello di sostenibilità del sistema



# Modello sostenibile di accesso

Italia Paese di riferimento per Value Based Pricing



L'Italia è Paese di riferimento in Europa grazie alla flessibilità negoziale e al potenziale di raccolta dati consentiti dal sistema registri

## HTA in Europa – spunti di riflessioni per il sistema Italiano

# Modelli di HTA nel mondo: esiste il modello perfetto?

A Comparison of International Health Technology Assessment Systems – Does the Perfect System Exist? Kerr et al. ISPOR 2014

**A Comparison of International Health Technology Assessment Systems – Does the Perfect System Exist?**  
 Annette Kerr<sup>1</sup>, Carole Todd<sup>2</sup>, Koki Uryu<sup>3</sup>, Angus Hobson<sup>4</sup>,  
 Nicole Patten<sup>5</sup>, Daniela N. Laires da Silva<sup>6</sup>, Vito Ferraro<sup>7</sup>, F. Hoffmann-La Roche AG, Basel, Switzerland

**Introduction**

- There are a number of common elements considered good practice in health technology assessment (HTA) that are incorporated in sophisticated health and health technology assessment international (HTAI) frameworks.
- The European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA) has developed a public toolkit providing a comprehensive overview of good practice in HTA for the top 10 countries. Europe's HTA system has emerged from the combination of these approaches.
- The HTA system should be transparent, fair with clear processes for assessment and assessment, accept for program, appropriate and appropriate.
- HTA should consider measurement of clinical effectiveness with related values, impact and economic efficiency, as well as ethical judgments pertinent to individual population.
- There should be transparency in the methods used to assess the assessment, which must be credible and consistently applied, and the data criteria used to guide decision-making.
- There should be appropriate involvement (patients, patients, citizens, industry, academic) integrated into the process, with input into methodology and evaluation as well as technical findings.

**Methods**

A review was designed to collect information on the processes employed in countries with well-established HTA systems. The review aimed to identify key features of the HTA process that are common to all HTA systems and to allow independent systems to compare. The countries included were the United Kingdom (UK), Australia, Canada, France, Germany, Italy, The Netherlands, Portugal, Sweden, Canada, Australia, New Zealand (NZ), South Korea and Taiwan.

A list of key questions were identified, collecting information on process, methodology, data requirements, budget and transparency and the response process.

The review was completed by staff working in Roche affiliates with focused expertise covering submissions and writing HTA for HTA bodies in their country. The survey was widely completed between December 2013 and January 2014, with additional checks of data sources completed through July to September 2014.

**Results/Conclusions**

- In all HTA systems, an independent assessment committee or review committee (committee) is used, including the government (Health Ministry or a government department) that makes the final funding decisions for the public or private payers.
- There is a decision stage in the submission process where the final decision, government approval may be based on the results of the committee (Data and Evidence). Data are not required to be made available to the public in the case of a submission. In general, countries with a formal appeal mechanism allow submissions to be made to the committee (Data and Evidence).

**Figure 1: Overview of decision-making processes**

The majority of HTA systems use the same process for review of all drugs (Figure 1) although there is a distinction in a submission to a review committee (Data 1). In the UK, medicines for rare diseases may not be referred for appraisal, while the Netherlands requires a submission to a committee of experts (Data 2) and the UK and Taiwan are the only countries that have a separate process for all drugs.

In the UK, the Cancer Drugs Fund provides another mechanism for funding of cutting edge and high cost drugs. Clinical evidence is assessed against a threshold of cost effectiveness (QALYs) to allow funding. All other countries have a separate process for all drugs, but require more data for consideration of innovative drugs and technologies.

The majority of HTA systems have multiple layers of consultation when reaching funding decisions. The majority of countries (including Germany, France and Taiwan) submit initial data to the assessment process, although they only allow public input in Germany. The UK, Canada and Taiwan allow consultation at a number of stages throughout the process.

The lack of public input in formal methods for the identification and weighting of data is a common feature in all systems and reduces transparency in how decisions are made.

In conclusion, despite the public consultation, through an independent committee (France and Portugal) or public, the majority of countries do not provide information on how costs are paid (Data 3) and are not transparent.

**Figure 2: Feasibility in the HTA process**

Table with 10 columns: Country, HTA body, HTA process, HTA process, HTA process, HTA process, HTA process, HTA process, HTA process, HTA process. Rows include UK, Australia, Canada, France, Germany, Italy, Netherlands, Portugal, Sweden, NZ, South Korea, Taiwan.

**Figure 3: Stakeholder consultation to establish decision-making criteria**

Flowchart showing the process from 'Public consultation' to 'Final decision'.

**Figure 4: Stakeholder involvement in individual funding decisions**

Flowchart showing the process from 'Public consultation' to 'Final decision'.

**Conclusion**

While all HTA systems require evidence generation, government involvement in decision making is common.

The Netherlands, France and Spain require multiple layers of consultation in the assessment process. There are also the only countries that require a submission to a committee of experts (Data 2) and the UK and Taiwan are the only countries that have a separate process for all drugs.

The UK has a separate body to assess innovative medicines (the Cancer Drugs Fund) and a separate process for all drugs.

There is a growing trend towards adoption of a different or more in-depth process for the treatment of rare diseases with low budget impact.

**References**

1. European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA). Public Toolkit. 2014.
2. Netherlands Health Care Insurance Board (Zorgverzekeringsraad). 2014.
3. United Kingdom (UK) National Institute for Health Research (NIHR). 2014.

Il recente Patto della Salute riprende la centralità di un modello HTA trasparenza per le valutazioni

Premesso che un modello perfetto non esiste, quali spunti possiamo prendere dai modelli esteri al fine di integrare il modello italiano?

# HTA: Quale modello l'Italia? Focus su collaborazione sovranazionale (1)

- Valorizzare ruolo scientifico EUnetHTA che da diversi anni favorisce la collaborazione tra organizzazioni Europee che si occupano di HTA
- Adottare fra le autorità UE valutazioni comuni (Joint Assessment) per evitare duplicazione a livello locale di richiesta evidenze cliniche
- Conciliare esigenze di sviluppo e accesso ai farmaci innovativi con attenzione a sicurezza di sostenibilità economica

## HTA: Quale modello l'Italia? Focus su partecipazione alla decisione (2)

- Nel Patto Salute, le valutazioni HTA sono affidate ad AIFA e sono finalizzate a *«caratterizzare ed individuare percorsi farmaco-terapeutici in grado di garantire l'impiego efficiente e costo-efficace delle risorse disponibili»*
- Le regioni saranno chiamate a partecipare alla valutazione centralmente, al fine di evitare approcci autonomi e disomogenei
- Coinvolgimento di tutti gli stakeholders (società scientifiche, ass. pazienti) nella fase di valutazione centrale

## HTA: Quale modello l'Italia? Focus su ruolo RWE (3)

- Le valutazioni andranno effettuate lungo tutta la vita del farmaco in termini di efficacia comparativa e ricadute sull'organizzazione in ottica di visione allargata del sistema
- Modello HTA per rivalutazione valore (dopo max 36 mesi) basato su dati di real world in termini di impatto organizzativo / economico e clinico delle nuove molecole.
- I dati di RW andranno condivisi con tutti gli interlocutori in modo trasparente

# Conclusioni - Quali problematiche immediate?

- Accelerare implementazione nuovi registri AIFA per non disperdere un'eccellenza italiana
- Valorizzare l'infrastruttura AIFA esistente e gli accordi negoziati per garantire la sostenibilità del sistema
- Forte collaborazione Classe Medica- Farmacisti Ospedalieri – Farmacologi – Payers – Aziende per raccogliere dati di real world evidence attraverso i registri e seguire un approccio di prezzo e rimborso basato sul valore nella pratica clinica, volto a migliorare la qualità delle cure e il beneficio per i pazienti