

FRANCESCA VENTURINI

Il coinvolgimento delle Regioni nel processo valutativo dei nuovi farmaci

Nota: si consiglia di leggere queste presentazioni avendo a disposizione le relative slides scaricabili dal sito www.siar.it

[Antonio Addis]

È indubbio che sia le Agenzie Regolatorie, le nuove Agenzie Regolatorie, sia le industrie hanno il problema di gestire, di interpretare, di governare l'innovatività, quindi questo è un punto di vista importante per decifrare la realtà, i dati attuali.

Io passerei adesso alla prossima relazione, la dottoressa Venturini.

[Francesca Venturini]

Buongiorno a tutti, grazie ai moderatori, e grazie all'audience, io sono Francesca Venturini, parlo in questo contesto in quanto lavoro all'interno di un'Azienda Ospedaliera dove c'è una delle Unità del Centro Regionale per il Farmaco della Regione Veneto e quindi volevo portare un po' l'esperienza del nostro centro a livello regionale e discutere un po' sul ruolo delle Regioni nel processo valutativo. La mia presentazione ha quindi un duplice scopo, il primo quello di cercare di condividere con voi il percorso e le motivazioni del perché è importante che le Regioni partecipino attivamente al processo valutativo delle nuove tecnologie, e il secondo quello di farvi vedere un esempio di un centro che fa questo tipo di attività per poi fare delle considerazioni finali anche a livello sovra-regionale, nazionale, che sono già state ampiamente discusse e riportate nelle relazioni precedenti ma che possono essere a chiusura proprio di questa sessione visto che

mi trovo anche a essere l'ultima della stessa.

La prima è soltanto un inquadramento generale sul dire che le attività di valutazione delle nuove tecnologie o Technology Assessment in Italia vengono fatte appunto a diversi livelli, a livello regionale, provinciale locale e nazionale, e prendono diversi nomi. Hanno diversi aspetti, sono una semplice e pura valutazione fino ad una valutazione di impatto e anche ad una definizione di protocolli farmacoterapeutici per eventualmente correggere l'impatto dell'utilizzo delle nuove tecnologie che sono state immesse nel mercato.

Chi fa le valutazioni di farmaci innovativi e dispositivi medici innovativi? Abbiamo visto e abbiamo sentito che ci sono tante esperienze in Italia, qui ho riportato solo alcune delle esperienze di alcune Regioni che hanno già, attraverso le loro Commissioni Regionali per i prontuari, istituito un meccanismo di valutazione dei nuovi farmaci, che sono a titolo esemplificativo Emilia Romagna, Toscana e Veneto, che però appunto sono esempi di come un processo di valutazione non necessariamente uniforme neanche in queste tre regioni ma comunque con dei principi che sono condivisibili vengono portati avanti e rendono poi disponibili le tecnologie a livello della Regione stessa.

Un pochino più disomogenea è l'attività per quanto riguarda i disposi-

tivi medici, un'area che – anche se va un po' al di fuori di quella del farmaco – di cui come Aziende Sanitarie non ci possiamo dimenticare visto anche l'alto impatto di spesa di questa categoria di prodotti. Qui abbiamo una serie di istituzioni di diverso livello che operano attività di Technology Assessment, l'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali ha stabilito con un accordo con il Ministero della Salute di portare avanti una valutazione di HTA su tre nuovi dispositivi medici nell'arco di questo biennio. Ci sono esperienze a livello anche di Società scientifiche, la stessa SIFO con il suo Laboratorio di Farmacoeconomia ha iniziato a produrre dei report di valutazione di nuovi dispositivi medici attribuendo agli stessi un valore economico semplificato, applicando una nuova metodologia per valutarne l'impatto anche economico a livello dell'utilizzo. E anche la Regione Veneto con la istituenda Commissione Regionale per i dispositivi medici ha cominciato sempre attraverso il Centro Regionale a produrre i primi report di Technology Assessment sui dispositivi medici, quindi traslando quello che è un modello già sperimentato sui farmaci e adeguandolo alle caratteristiche diverse di questa tecnologia.

Perché è importante fare Technology Assessment a livello regionale? Vediamo un attimo i pro e i contro di condurre questo tipo di valutazione ai diversi livelli.

Il livello macro, il livello regolatorio nazionale, ha dalla sua parte quella di avere un'omogeneità di indirizzo e di principi, se si fa Technology Assessment a livello nazionale si fa un po' distaccati da quella che è la realtà dell'utilizzo proprio dell'ultimo utilizzatore, però è utile perché ha una valenza di linea guida su come il Technology Assessment debba essere condotto dopo, ai vari livelli, quindi ha il pro di dare questa omogeneità di principi e di indirizzo. Le cose che sono non a favore del fare Technology Assessment a livello nazionale è quello di perdere quell'aspetto organizzativo e strategico organizzativo a livello locale, ma questo perché chiaramente un report di HTA condotto a livello nazionale non può essere applicato in tutti i singoli contesti che hanno delle peculiarità organizzative. Questo perché possono esserci a livello delle diverse Regioni delle disomogeneità di politiche sanitarie, il territorio può essere disomogeneo, e quindi anche qui a livello organizzativo una tecnologia può avere un impatto diverso rispetto ad un altro contesto, e c'è anche una difficoltà di monitoraggio dell'applicazione della nuova tecnologia a livello locale.

Quindi il contesto migliore dovrebbe essere proprio quello a livello di singola USL o di Azienda Ospedaliera. Questo perché in questo caso recuperiamo l'autonomia strategica e gestionale della singola azienda, e quindi in qualche maniera sappiamo esattamente di cosa stiamo parlando e quali sono i confini del nostro territorio. Charamente a contro di questo tipo di strategia c'è che condurre valutazioni complesse di Technology Assessment su tutte le nuove tecnologie che possono entrare in commercio, in utilizzo, è un dispendio di energie e costi per la singola azienda sanitaria, senza considerare che c'è anche una necessità di formazione di personale che sia adeguato a condurre

questo tipo di valutazioni. Sappiamo che il Technology Assessment è una disciplina che coinvolge molti e diversi professionisti sanitari e non, quindi in questo contesto un'Azienda Sanitaria potrebbe avere delle difficoltà nel condurre delle attività di Technology Assessment così capillari.

Ecco perché la conclusione è che con molta probabilità il contesto più adeguato per condurre una valutazione di Technology Assessment è il contesto regionale. Questo perché innanzitutto le Regioni hanno una responsabilità finanziaria di quello che spendono, a livello regionale vengono fatte scelte strategiche, scelte gestionali che vengono distribuite a pioggia sul contesto regionale dove c'è appunto una omogeneità di politica sanitaria. La dimensione del territorio è ottimale perché è un mix tra strutture complesse e semplici alle quali, appunto a livello organizzativo, ci si può ricondurre per anche strategicamente organizzare l'accesso alle singole tecnologie in una maniera più coordinata, ma non troppo allargata, in modo da poter comunque controllare il sistema.

Vi porto quindi l'esempio di quella che è una valutazione, un percorso ancora in itinere ma iniziato alcuni anni fa, sulla valutazione delle nuove tecnologie a livello della regione veneto. L'UVEF è stato già menzionato precedentemente, fra i vari obiettivi dell'unità c'è quello di condurre delle valutazioni delle nuove tecnologie in ambito sanitario, quindi sia farmaci che dispositivi medici. Questa attività valutativa si è molto incrementata nel tempo, basti pensare che solo nell'ultimo anno sono stati condotti praticamente un quarto di tutte le valutazioni che sono state condotte, parlo solo di farmaci in questo specifico contesto, di tutte le valutazioni che sono state condotte nei sei anni di attività di UVEF, quindi con un incremento sicuramente quantitativo ma anche qualitativo, perché come si diceva prima c'è

stata un'evoluzione anche del contenuto e comunque dell'attenzione che la Regione Veneto - attraverso la Commissione per il prontuario - ha dato quello che erano gli elementi sostanziali per prendere decisioni a livello regionale, e soprattutto si è dato più risalto nell'ultimo periodo a quelle che sono le valutazioni più prettamente del tipo di impatto economico e guardando appunto anche a quello che potrebbe essere un impatto di budget relativamente proprio alla regione stessa e quindi alla parte più di economia sanitaria. Questo perché inizialmente l'UVEF lavorava a supporto di quella che è la Commissione Regionale per il Prontuario Ospedaliero, ma anche per poter supportare quelle che possono essere attività a livello più locale quindi a livello delle singole commissioni terapeutiche ospedaliere. Proprio per ovviare anche a quello che il dottor Lapeyre sottolineava prima, cioè il fatto che comunque esiste sempre un ritardo rispetto a quella che è una decisione regionale a livello locale, si è pensato quindi di continuare chiaramente a fare questo tipo di attività valutativa per la Commissione per il Prontuario, quindi per le richieste che vengono dalla Commissione, ma anche di anticipare un po' i tempi valutando e selezionando quelli che possono essere i nuovi farmaci e i dispositivi medici che stanno per essere immessi sul mercato, con un occhio sicuramente non così precoce come l'HORIZON, che inizia la sua valutazione molto tempo prima rispetto alla marketing authorization, ma per quei farmaci che di fatto hanno già una marketing authorization e che quindi ci aspettiamo avere a disposizione sul mercato italiano nell'arco di un tempo che è relativamente breve. Quindi questo obiettivo allargato a questo aspetto ha appunto anche lo scopo di avere a disposizione delle informazioni, in maniera un po' più precoce rispetto a quella che è la registrazione.

Questo è quello che è un po' lo schema di attività appunto dell'UVEF che si ritrova a redarre un report di valutazione dei nuovi farmaci sia perché appunto per il farmaco è stato richiesto un inserimento in PTORV, sia perché appunto vengono valutati i verbali della Commissione Europea e viene fatto uno screening di questi farmaci che sono stati appena registrati a livello europeo. Dopo di che il report viene in qualche maniera refertato da una parte dalla commissione per il PTORV che è comunque una commissione di clinici esperti in materia e dall'altra da referee che costituiscono una rete di riferimento per l'UVEF e dopo di che il report viene diffuso attraverso canali abbastanza consueti che sono un bollettino e soprattutto il nostro sito web.

Questi sono appunto i criteri con i quali vengono scelte le molecole su cui fare i report, e come vi dicevo anche l'attività sui dispositivi medici è iniziata da qualche anno coordinata dalla collega Paola Marini e adesso si sta incrementando e anche qui vengono valutati e fatti dei report di Technology Assessment su dispositivi, chiaramente soprattutto di utilizzo ospedaliero-specialistico per patologie gravi dove non vi siano particolari alternative terapeutiche che hanno un presumibile elevato impatto di spesa.

Questo è il nostro sito, vi riporto brevemente soltanto i contenuti di due report, per darvi l'idea di quale possa essere il contenuto di un report di Technology Assessment per poi passare alle considerazioni finali.

Questo è l'esempio di un farmaco particolarmente costoso per un sottogruppo di pazienti, cioè i pazienti con beta-talassemia major, quindi in questo caso è stata fatta una revisione di tutti gli studi clinici disponibili al momento della valutazione e parallelamente una revisione di tutti gli studi di farmaco-economia pubblicati e che risultavano disponibili in letteratura, questo per avere un quadro regionale da un

punto di vista clinico e da un punto di vista farmaco-economico.

Per quanto riguarda poi l'impatto a livello regionale è stato raccolto il numero di potenziali pazienti che potevano essere interessati dalla nuova tecnologia ed è stato fatto un calcolo dei costi diretti, cioè dei costi del farmaco, dei costi della somministrazione del farmaco e del monitoraggio dello stesso, tenendo conto appunto della nuova tecnologia e delle alternative terapeutiche già disponibili nel prontuario regionale, considerando che in questo caso particolare i due farmaci avevano anche dei costi diretti medici un po' diversi in quanto si trattava in un caso di un farmaco orale, nell'altro caso di un farmaco da somministrare tramite pompa quindi con dei costi anche di accesso ospedaliero diversi e anche dei costi di device necessari diversi.

Questi sono solo a titolo esemplificativo i costi per paziente delle tre alternative. Sono state fatte poi delle analisi per vedere quanto sarebbe stato l'impatto a livello di budget regionale trattare tutti i pazienti con la nuova tecnologia, trattare metà dei pazienti con la nuova tecnologia o il 75%, per dare alla Commissione appunto uno strumento per avere un'idea anche di questo aspetto e non solo degli aspetti – importantissimi chiaramente – di efficacia clinica e sicurezza.

Un altro esempio di un report, in questo caso di dispositivo medico, questo compare periodicamente nel nostro bollettino, in questo caso si trattava di una protesi vascolare, e anche qui viene inquadrato il nuovo prodotto, capite che qui è molto più difficile anche l'inquadramento in quanto anche la raccolta di informazioni non è così semplice come succede per i farmaci. Viene fatto anche qui un background dell'analisi degli studi clinici, sempre di confronto, una parte relativa all'analisi economica, quindi a quanto si ritrova in letteratura sulle evidenze in ambito di economia,

dispositivo-economia, e lo stesso anche quali sono le strategie di rimborso di questo tipo di protesi a livello di alcune regioni italiane per dare in questo caso anche uno sguardo extraregionale, e i costi diretti legati alla nuova tecnologia verso il trattamento di confronto, e il rapporto di questi costi con quello che è il DRG che viene poi rimborsato a livello di Servizio Sanitario Regionale, sempre per darvi un'idea di come e dove se l'impatto della nuova tecnologia è sempre e comunque compreso all'interno dei rimborsi oppure no. E anche qui una considerazione finale dei report che sono sicuramente utili per dare un contesto conclusivo.

Le ultime diapositive sono di considerazione di qual è la complementarità con le valutazioni precoci. In questo senso – come dicevo prima – ci si colloca come tempistica più avanti nel tempo, quindi la tipologia di informazioni disponibili dovrebbe essere più completa anche per avere un impatto a livello pratico su quello che è l'impatto della nuova tecnologia, soprattutto perché ci si concentra sulla parte proprio di impatto di spesa e ricaduta economica per quella specifica regione, e anche perché avendo più conoscenze ed essendo appunto a livello regionale si possono anche pianificare delle strategie di verifica, nel momento in cui si decide di inserire o meno a certe condizioni una certa tecnologia, quindi queste sono le complementarità con le valutazioni precoci.

È chiaro che – come si diceva prima – noi siamo un esempio assolutamente valido come altri, un modello come altri modelli, è necessario però che queste valutazioni siano in qualche maniera omogenee perlomeno nei loro presupposti e nella loro qualità. Abbiamo visto che diverse regioni già lavorano come noi, però ci sono dei percorsi un po' diversi, delle tempistiche diverse, e appunto fra di loro le Regioni, fino ad adesso,

non si sono mai parlate su questo specifico obiettivo.

Riprendo questa diapositiva solo per ricordare appunto il progetto che ha già ricordato Mara Vezzani stamattina e anche il dottor Folino poco fa, che il fatto di creare comunque una rete di Centri Regionali, che in qualche maniera condividono sia le metodiche che le strategie di valutazione delle nuove tecnologie, può sicuramente aiutare a ridurre le problematiche che venivano riportate prima di ritardo, di

disomogeneità, di problematiche a livello dell'ultimo passaggio a livello in cui le Regioni devono prendere delle decisioni.

Quindi come conclusioni della mia presentazione è che il livello regionale a mio avviso costituisce il setting ottimale per attuare un processo di valutazione delle nuove tecnologie, di concerto con il livello di indirizzo nazionale e il livello più specifico a livello locale condotto solo quando una specifica tecnologia ha talmente alta peculiarità che

ognuno deve proprio studiarsela a casa sua, che c'è una necessità di armonizzazione di queste attività e di queste metodiche, e che bisogna dare poi particolare attenzione, oltre a questo grande processo di valutazione, non dimentichiamoci mai che poi tutto il processo di valutazione ha bisogno di una verifica a valle e quindi particolare attenzione deve essere data anche alla verifica dell'esito di queste valutazioni, di queste decisioni, nella pratica clinica.