

Caimi Stefano

Master DRMKA

Abstract Italiano e Inglese per PREMIO SIARV

Titolo Tesi:

L'influenza della tipologia di Marketing Authorisation a livello europeo sull'iter approvativo e di rimborso a livello nazionale in Italia: Un'Analisi Retrospettiva quinquennale con focus sulla Conditional Marketing Authorisation

ABSTRACT ITALIANO:

L'accesso tempestivo ai farmaci innovativi rappresenta una priorità strategica per i sistemi sanitari, in particolare in contesti caratterizzati da elevata pressione sulla sostenibilità economica e da un'accelerazione dei processi regolatori. In Europa, l'introduzione di strumenti quali la Conditional Marketing Authorisation (CMA), il programma PRIME e l'Accelerated Assessment mira a ridurre i tempi di autorizzazione, soprattutto per medicinali destinati a bisogni clinici non soddisfatti. Tuttavia, resta aperta la questione se tali meccanismi producano benefici concreti anche nella fase di accesso e rimborso a livello nazionale.

Questa tesi analizza l'influenza delle diverse tipologie di Marketing Authorisation europee sulle tempistiche di approvazione e di rimborso dei medicinali in Italia, attraverso un'analisi retrospettiva quinquennale (2019–2024) di 230 farmaci approvati tramite procedura centralizzata EMA e valutati dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). L'analisi integra dati regolatori europei con informazioni nazionali su negoziazione del prezzo, rimborsabilità e riconoscimento dell'innovatività.

I risultati evidenziano che, sebbene gli strumenti di accelerazione regolatoria riducano efficacemente il time-to-approval a livello europeo, tali vantaggi non si traducono sistematicamente in una riduzione del time-to-reimbursement in Italia. In particolare, i medicinali autorizzati tramite CMA presentano tempistiche di rimborso comparabili o superiori rispetto ai farmaci approvati con procedura standard, suggerendo che l'incertezza delle evidenze cliniche rappresenti un elemento critico nelle valutazioni di valore e nelle negoziazioni economiche. Analogamente, il riconoscimento dell'innovatività non emerge come un driver determinante di accelerazione dell'accesso.

Lo studio identifica l'assessment economico come principale fattore determinante delle tempistiche nazionali e sottolinea la necessità di un maggiore allineamento tra percorsi regolatori europei e processi decisionali italiani. I risultati forniscono spunti rilevanti per il dibattito regolatorio e HTA, contribuendo alla riflessione su modelli di accesso ai farmaci che coniughino rapidità, solidità delle evidenze e sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale.

ENGLISH ABSTRACT

Timely access to innovative medicines is a strategic priority for healthcare systems, particularly in settings facing increasing pressure on economic sustainability and rapid regulatory evolution. In Europe, regulatory tools such as Conditional Marketing Authorisation (CMA), the PRIME scheme, and Accelerated Assessment aim to shorten approval timelines, especially for medicines addressing unmet medical needs. However, whether these mechanisms translate into tangible benefits at the national reimbursement level remains an open question.

This thesis investigates the impact of different European Marketing Authorisation pathways on approval and reimbursement timelines in Italy through a five-year retrospective analysis (2019–2024) of 230 medicines centrally authorised by the European Medicines Agency (EMA) and subsequently assessed by the Italian Medicines Agency (AIFA). European regulatory data were integrated with national information on pricing and reimbursement negotiations and innovativeness assessment.

The results show that, although accelerated regulatory pathways significantly reduce time-to-approval at the European level, these advantages do not consistently lead to shorter time-to-reimbursement in Italy. In particular, medicines authorised under CMA display reimbursement timelines comparable to, or longer than, those of medicines approved through standard procedures, highlighting how uncertainty in clinical evidence may hinder value assessment and pricing negotiations. Similarly, the recognition of innovativeness does not emerge as a decisive driver for faster access.

Economic assessment appears to be the main determinant of national reimbursement timelines, underscoring the need for stronger alignment between European regulatory strategies and Italian HTA and reimbursement processes. Overall, this study provides policy-relevant insights for regulators, HTA bodies, and pharmaceutical stakeholders, contributing to the discussion on how to improve efficiency, transparency, and sustainability in access to innovative medicines within the Italian National Health Service.