

## LA SFIDA DELL'INNOVAZIONE E IL RUOLO DELL'AIFA

a colloquio con **Luca Pani**

*Direttore Generale Agenzia Italiana del Farmaco*

**L**a definizione dell'innovazione è un tema complesso e controverso. Con riferimento specifico ai farmaci, a che punto è il lavoro dell'AIFA?

L'AIFA ha elaborato un algoritmo – ora online in un'area riservata del sito perché è in fase di sperimentazione – che ha l'obiettivo di supportare i regolatori nella valutazione di un farmaco e nell'attribuzione della qualifica di 'innovativo'. È ancora imperfetto, perché definire l'innovatività non è semplice. È un problema che hanno tutti, e ci auguriamo che proprio dalla collaborazione che abbiamo instaurato con l'EMA per affrontarlo emerga qualcosa di positivo.

È molto complicato, ma speriamo di avere successo perché c'è una grande aspettativa da parte di tutti, anche dei pazienti. Il paziente va infatti tutelato rispetto all'innovazione. Deve sapere che sta assumendo un farmaco innovativo, perché l'aumento dei benefici può comportare anche un aumento dei rischi. Il paziente deve essere informato per sapere se vale la pena affrontare qualche rischio a fronte di grandi benefici.

**Che tipo di strategie possono mettere in campo i sistemi di salute pubblica per consentire da un lato la disponibilità di terapie sempre più efficaci e dall'altro l'accesso e la sostenibilità?**

Nel nostro Paese la spesa farmaceutica ospedaliera sistematicamente eccede il tetto di spesa definito, anche nelle Regioni virtuose. È quindi evidente come questo tetto sia sottostimato rispetto alle reali esigenze di cura. Potremmo forse iniziare a discutere di un tetto unico o di un fondo farmaceutico nazionale che sia staccato dalle percentuali di quello sanitario, o anche di

altre modalità di governo della spesa, ma non è questo il compito dell'Agenzia.

Il compito dell'Agenzia è fornire i dati e segnalare le tendenze. In particolare oggi si osserva che, in base ai dati OSMED, la spesa out of pocket (cioè quella che i cittadini sostengono di tasca propria) è raddoppiata in pochi anni, arrivando a un miliardo e mezzo. Contemporaneamente i farmaci generici hanno ormai esaurito la loro capacità di generare risparmio e quindi non riusciranno più a compensare la spesa per i farmaci innovativi. Fino a qualche anno fa la componente generica della spesa farmaceutica si attestava al 40-50% del totale. Ora siamo al 75-78%. Dove troveremo allora le risorse che servono a controbilanciare la quantità di innovatività in arrivo?

L'anticorpo monoclonale contro il colesterolo o il farmaco contro l'epatite C o quello per curare la fibrosi cistica non sono casi isolati. Stanno arrivando tanti nuovi farmaci nell'area oncologica, del sistema nervoso centrale e delle malattie infettive e tante nuove molecole che, innovative o no, si propongono di curare patologie rispetto alle quali non esisteva nulla (per esempio, la fibrosi cistica o il lupus, curato negli ultimi 50 anni solo con il cortisone).

Siamo pronti a questa sfida? Se dobbiamo utilizzare i modelli che avevamo precedentemente, non siamo ancora pronti.

Come agenzia tecnica, l'AIFA non ha un ruolo politico, ma è chiaro che bisogna ripensare la *governance* del farmaco. Per quanto riguarda l'epatite C, per esempio, si potrebbe provare a contabilizzare, certificandoli, i risparmi che si ottengono con il nuovo farmaco, misurando la percentuale di *health outcome* ottenuta, e decidere poi come rialimentare il fondo farmaceutico. Analogamente, dovrebbero trovarsi soluzioni innovative di governo della spesa per altre aree terapeutiche nelle quali oggi ci troviamo ad affrontare le mag-

### CAREregioni

*CAREregioni nasce come supplemento a CARE per approfondire tematiche sanitarie a livello di singole Regioni, con l'intento di fornire a medici, amministratori e operatori sanitari un'ulteriore opportunità di riflessione su come conciliare l'esistenza di risorse limitate con l'irrinunciabile esigenza di garantire al cittadino il diritto fondamentale all'assistenza.*

Supplemento a  
Care n. 4 luglio-agosto 2015

*Direttore Responsabile*  
Giovanni Luca De Fiore

*Redazione*  
Antonio Federici (editor in chief)  
Cesare Albanese,  
Giancarlo Bausano, Mara Losi,  
Maurizio Marceca

*Stampa*  
Ti Printing srl - Roma

*Progetto grafico*  
Doppiosegno - Roma

*Immagini*  
©2015 Dreamstime.com  
e Thinkstockphotos.it

Registrazione del Tribunale  
di Roma n. 00472/99  
del 19 ottobre 1999  
Periodicità bimestrale.

Finito di stampare settembre 2015

Il Pensiero Scientifico Editore  
Via San Giovanni Valdarno 8  
00138 Roma

E-mail: info@careonline.it  
Internet://www.careonline.it



“  
**Servono soluzioni innovative di governo della spesa per affrontare la sfida della sostenibilità economica di quelle aree terapeutiche che offrono oggi nuove e importanti opportunità di cura**  
 ”

giori sfide di sostenibilità economica a fronte di grandi opportunità terapeutiche cui bisogna garantire un accesso adeguato e tempestivo.

*Quella dell'innovazione è una sfida anche per chi si occupa di divulgare i risultati della ricerca scientifica. Che consigli si sente di dare al mondo dell'informazione?*

Oggi per un giornalista è molto facile capire se i risultati di una nuova ricerca sono innovativi e possono essere considerati una notizia. Basta verificare l'impact factor del giornale sul quale sono stati pubblicati. Se questo impact factor è superiore ad almeno 4 o 5 c'è la notizia, altrimenti si rischia solo di fare cattiva informazione.

È indispensabile un sempre maggiore senso di responsabilità da parte di chi si occupa di divulgare i risultati della ricerca in campo medico perché la risonanza di ogni notizia è oggi amplificata dai nuovi mezzi di comunicazione. Per fare un esempio banale, scrivere che il mal di testa può essere una spia di una qualsiasi grave patologia può comportare il rischio di riempire inutilmente i pronto soccorso con ripercussioni serie per quei cittadini che si trovano in quel momento a dover affrontare una situazione vera di emergenza sanitaria.

Anche riguardo al primo anticorpo monoclonale autorizzato recentemente dall'EMA per ridurre i

livelli elevati di colesterolo nel sangue in soggetti che non riescono a controllarlo nonostante l'assunzione di dosi ottimali di statine o che non possono assumere statine, bisogna essere cauti e chiedersi se questi pazienti non controllano i propri livelli di colesterolo per motivi fisiologici o perché non vogliono o si dimenticano di assumere le statine. Non solo, bisogna anche considerare che gli anticorpi monoclonali sono farmaci molto meno maneggevoli delle statine, dovendo essere somministrati per via endovenosa, e con un profilo di rischio-beneficio diverso da quello delle piccole molecole che si prendono per bocca. Sono tutti aspetti da non trascurare nel momento in cui si valuta l'innovazione di un nuovo farmaco.

Per evitare di aprire un fronte economicamente non sostenibile, sarà poi compito delle agenzie regolatorie, e quindi anche dell'AIFA, individuare le categorie di pazienti che possono veramente beneficiare di questo prodotto perché effettivamente non controllano il colesterolo, pur assumendo correttamente le statine.

E sono, allo stesso modo, aspetti che vanno opportunamente considerati anche quando si comunica e si forniscono informazioni sui nuovi farmaci, per evitare di alimentare false aspettative e/o semplificare eccessivamente tematiche complesse da considerare secondo prospettive differenti e complementari. ■ ML