

INNOVAZIONE E DIRITTO ALLA SALUTE

MODELLI DI GOVERNANCE EQUA E SOSTENIBILE

L'attuale modello regolatorio e di governance a livello centrale, che fino ad oggi è stato in grado di governare la spesa farmaceutica territoriale, si sta mostrando incapace ed inadeguato a governare la spesa farmaceutica ospedaliera con il conseguente sfondamento dei tetti di spesa. La previsione è che nel periodo 2014-2016 il settore farmaceutico registrerà uno sfioramento del tetto programmato di spesa pari a 3,8 miliardi di euro, aspetto particolarmente critico soprattutto per le Regioni sotto piano di rientro. A livello regionale allo stesso tempo si assiste ad una modalità gestionale altamente eterogenea che rischia di introdurre diseguità e ritardi nell'accesso dell'innovazione ai pazienti.

In quest'ottica risulta necessario rivedere gli attuali modelli di governance a livello centrale e regionale, cercando nuovi modelli che permettano una corretta allocazione delle risorse disponibili per preservare l'universalità del diritto alla salute e la sostenibilità economica del Servizio Sanitario Nazionale. Di questo tema si parla in questo dossier grazie ai contributi di esperti del settore.

Innovazione e accesso alle cure

A colloquio con **Giovanni Monchiero**
XII Commissione (Affari Sociali), Camera dei Deputati

Le politiche di razionalizzazione della spesa farmaceutica stanno iniziando a dare i primi risultati. Quali strategie andrebbero ora applicate per liberare risorse in grado di garantire a tutti l'accesso a terapie migliori?

Qualsiasi considerazione in tema di spesa sanitaria non può prescindere da qualche riflessione sull'esistente. La realtà dei costi del nostro Servizio Sanitario Nazionale è molto lontana da come viene rappresentata e percepita dall'opinione pubblica e, talvolta, persino dagli operatori del settore e dai decisori politici. Questo postulato vale anche per la spesa farmaceutica. Reiterate misure di contenimento dei costi hanno ricondotto sotto controllo quella che, anni fa, sembrava una variabile impazzita fino ad ottenere risultati più che soddisfacenti.

La spesa farmaceutica pro capite è ampiamente nella norma dei Paesi europei e lo stesso costo medio dei farmaci, che molti ritengono anormalmente elevato, è tra i più convenienti che vengono praticati nei Paesi dell'OCSE, al punto che l'incremento dei prezzi dei farmaci è sensibilmente inferiore al dato dell'inflazione generale.

A dare forza cogente ai vari 'tetti' stabiliti per legge viene applicato, da anni, il 'payback', vale a dire l'obbligo per le case farmaceutiche di rimborsare alle Regioni il 50% del superamento dei budget stabiliti. Sul piano teorico e giuridico misura assolutamente iniqua, ma di grande efficacia pratica che ha concorso ai risultati complessivamente positivi che citavo prima.

C'è, naturalmente, il rovescio della medaglia. Nello sforzo di contenere la spesa farmaceutica Aziende sanitarie e Regioni hanno attuato misure di razionalizzazione che talvolta hanno assunto i connotati del razionamento; di ciò hanno fatto le spese principalmente l'effettiva possibilità di accesso ai farmaci innovativi quasi sempre più costosi di quelli che sono chiamati a sostituire. Le associazioni dei pazienti da tempo denunciano una situazione di fatto che tende a procrastinare la diffusione dei farmaci nuovi, con la conseguente limitazione del diritto del paziente ad usufruire delle migliori opzioni terapeutiche.

Sorge spontanea la domanda su come evitare tali distorsioni. Da un lato applicando anche ai farmaci i principi dell'Health Technology Assessment, cominciando dall'AIFA cui si chiede ormai di produrre valutazioni autonome che sappiano integrare quelle degli altri regolatori internazionali con un obiettivo esame del rapporto costo/efficacia di ogni nuovo farmaco. Fermo restando che non si può rinunciare all'innovazione. Lo richiede il diritto alla tutela della salute di ogni singolo paziente, ma lo richiede anche il progresso scientifico e tecnologico che trova stimolo nella concreta possibilità di tradurre ogni conquista scientifica in una occasione di successo economico.

L'altro fronte è la responsabilizzazione degli enti gestori dell'offerta, dalle direzioni generali sino al singolo prescrittore. Sono personalmente contrario ad ogni forma di sanzione o di ritorsione sui medici, che rischia di demotivare una categoria a cui stiamo chiedendo molto. Semplicemente auspico che in tutta la Pubblica Amministrazione, sanità ovviamente inclusa, sia ribaltata la logica dell'esasperazione normativa e del controllo repressivo, oggi dominante, a favore di una proposizione, in positivo, di modelli gestionali più efficienti al cui perseguimento deve essere collegato un meccanismo premiale. L'aziendalizzazione, incompresa e spesso male attuata, aveva proprio la finalità di costruire condizioni favorevoli al miglioramento dell'efficienza. Tagli lineari, neocentralismo regionale e interventi normativi sui singoli fattori produttivi, non sapendo distinguere le strutture efficienti da quelle che sono inefficienti, hanno punito le migliori, demotivato le une e le altre, costruito le condizioni di un diffuso malessere. Solo unendo logiche di appropriatezza dettate dall'HTA a logiche gestionali aziendali e non burocratiche sarà possibile reperire, tra le risorse assegnate al sistema sanitario, quelle necessarie per garantire l'accesso a cure innovative che per i pazienti oncologici, o affetti da patologie rare, rappresentano la speranza di guarigione.

■ ML

Innovazione: il ruolo delle Regioni

A colloquio con **Giuseppe Zuccatelli**
Presidente Agenas,
Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali

Quale ruolo dovrebbero avere le Regioni nei processi di governance della spesa farmaceutica?

L'introduzione di farmaci sempre più costosi sta rendendo oltremodo critica la ricerca dell'equilibrio tra diritto alle cure del paziente e sostenibilità economica del Servizio Sanitario Nazionale. La programmazione della spesa farmaceutica produce a livello nazionale sia riferimenti quantitativi, quali la definizione dei tetti per la farmaceutica territoriale ed ospedaliera, che qualitativi, a garanzia dell'appropriatezza prescrittiva, rappresentati dalle 'note' e dai registri AIFA. Su questo versante si valuta positivamente l'innovazione normativa del comma 570 della legge di stabilità (L. 208/2015).

In tale scenario la Regione dovrebbe inserirsi con la propria attività di programmazione/controllo, predisponendo una serie di punti qui di seguito esposti.

- Realizzazione di un programma strategico di dettaglio, che indichi per singola azienda sanitaria, in linea con le prescrizioni del richiamato comma 570, "le priorità di intervento, il numero dei pazienti potenzialmente trattabili e le relative previsioni di spesa". Tale dettaglio dovrebbe spingersi fino ad identificare la quota del budget farmaceutico per area terapeutica e, possibilmente, per specifico target (per esempio, mammella, pancreas, colon, etc.), enucleando, quantomeno, le risorse destinate ai farmaci ad alto costo/innovativi, la quota per farmaci di nuova registrazione ed eventualmente la quota per farmaci CNN (fascia C non negoziata).
- Elaborazione, con gruppi multidisciplinari, di linee guida/raccomandazioni d'uso dei farmaci, a partire da quelli ad alto costo/innovativi, con l'obiettivo primario di elevarne l'appropriatezza prescrittiva.
- Ridefinizione dei centri prescrittori. I farmaci innovativi dovrebbero essere prescritti solo da centri di consolidata esperienza, di eccellenza, con elevata casistica, in grado di ottimizzare il *drug day* per i farmaci iniettabili.
- Definizione di un sistema di indicatori di performance e del correlato sistema sanzionatorio/premiante.
- Ottimizzazione delle scorte di magazzino e, in generale, di tutta la logistica del farmaco.
- Tracciabilità informatica dell'intero processo d'uso dei farmaci innovativi ad alto costo: dalla prescrizione alla somministrazione fino alla rendicontazione degli eventuali rimborsi da *Managed Entry Agreements* (MEA). ■ ML

Sostenibilità della spesa: le nuove sfide da affrontare

A colloquio con **Enzo Chilelli**
Direttore Generale Federsanità ANCI

Quali problemi derivano, a livello locale, dall'attuale modello di governance della spesa farmaceutica pubblica, caratterizzato da un'estrema frammentazione a livello regionale?

Il nostro Servizio Sanitario Nazionale rappresenta dalla sua istituzione nel 1978 una garanzia per l'accesso alle cure e all'assistenza di tutti i cittadini, grazie all'applicazione dei livelli essenziali di assistenza.

Non dobbiamo dimenticarci, però, che quando si parla di farmaci spesso si parla di molecole molto costose che possono determinare problemi di sostenibilità economica.

Sono diversi gli strumenti utilizzati per governare, a livello nazionale e regionale, la spesa farmaceutica (ticket, centralizzazione degli acquisti, etc). Uno strumento di efficacia è stato il *payback*, che originariamente mirava a ridurre la pressione delle aziende produttrici e a migliorare l'appropriatezza attraverso la predisposizione di controlli sui processi di erogazione dei servizi. Ma il *payback* non è riuscito a indurre, in generale, un maggior controllo della spesa farmaceutica da parte di diverse Regioni (anche perché nel frattempo l'offerta di nuovi e più efficaci farmaci cresceva). Pertanto, dal 2013 si è deciso di assegnare solo il 20% delle risorse del *payback* in proporzione agli sfondamenti di spesa H nelle singole Regioni. Adesso siamo al giro di boa. Se nel campo clinico e farmaceutico sono stati compiuti progressi inimmaginabili nella diagnosi e nel trattamento di gravi malattie, che hanno registrato negli ultimi decenni una riduzione dei tassi di mortalità senza precedenti, è arrivato il momento che tutti gli attori del Sistema affrontino con responsabilità le nuove sfide della sostenibilità e della governance della spesa. Numerosi sono gli esempi di accordi innovativi per la



negoziazione del prezzo di farmaci ad alto costo a cui stanno lavorando da tempo i sistemi sanitari di tutta Europa, con l'obiettivo da un lato di garantire il principio universale di diritto alla migliore terapia e dall'altro di assicurare la sostenibilità del sistema di governance della spesa farmaceutica pur remunerando l'innovazione e gli investimenti che ne sono alla base. La promozione della ricerca pubblica attraverso investimenti privati ne è un esempio. In particolare proprio i farmaci oncologici, per le loro caratteristiche, sono il crocevia delle trasformazioni dei sistemi sanitari. Si tratta di prodotti innovativi, a elevato valore terapeutico e altrettanto elevato costo. Il loro utilizzo deve necessariamente confrontarsi con i problemi di sostenibilità della spesa sanitaria che in ogni sistema, sia con finanziamento a prevalenza pubblica che privata, diventano sempre più evidenti. Nel caso dell'Italia, queste difficoltà trovano due fattori di amplificazione, di natura strutturale: da un lato le condizioni della finanza pubblica, sulle quali pesano il debito pubblico e la bassa crescita dell'economia; dall'altro, il 'cantier' federalista che si stenta a chiudere e che implica, per la sanità, la mancanza di una governance unitaria, in particolare su quei capitoli di spesa, come i prodotti oncologici, che avrebbero urgenza di punti di riferimento chiari su come articolare il trade-off tra sostenibilità e adeguatezza delle cure. ■ ML

Oltre il 'costo per terapia': quali opportunità per l'innovazione?

A colloquio con **Sabina Nuti**

Ordinario di Economia e Gestione delle Imprese,
Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa

In un'ottica di governance efficace ed efficiente della spesa farmaceutica, quali vantaggi offrirebbe una lettura della spesa sanitaria che valuti il costo complessivo della gestione assistenziale?

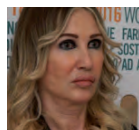
Ad una prima lettura, la risposta pare quasi scontata: è ben chiaro che ad una lettura frammentata del fenomeno vada in linea di massima preferita un'analisi di percorso, capace di tracciare il costo e l'efficacia complessiva di un trattamento. Emanciparsi dalla visione del mero "costo per terapia" permette di apprezzare appieno le opportunità offerte dall'innovazione farmaceutica nel ridisegnare radicalmente alcuni percorsi assistenziali. Penso, ad

FARMACI ONCOLOGICI INNOVATIVI: IL SERVIZIO SANITARIO A UN BIVIO

Per approfondire i temi discussi in questo dossier, vai su careonline.it e guarda le videointerviste ad alcuni dei protagonisti del workshop

Il governo dell'innovazione farmaceutica: modelli di governance equa e sostenibile dei farmaci oncologici innovativi ad alto costo organizzato il 18 gennaio 2016 a Roma da Motore Sanità con la collaborazione di Federsanità ANCI (Associazione Nazionale Comuni Italiani) e il sostegno non condizionato di MSD Italia.

<http://careonline.it/2016/01/incontri-e-confronti/farmaci-oncologici-ad-alto-costo-modelli-di-governance-equa-e-sostenibile>



Cabina di Regia per l'HTA e sostenibilità del sistema

A colloquio con **Marcella Marletta**, Direttore Generale dei Dispositivi Medici e del Servizio Farmaceutico del Ministero della Salute



Tavolo sulla farmaceutica e nuovi modelli di governance

A colloquio con **Paolo Bonaretti**, Consigliere per le politiche industriali del Gabinetto del Ministro dello Sviluppo Economico e Responsabile del Tavolo sulla farmaceutica



Per una gestione assistenziale complessiva delle patologie

A colloquio con **Mario Marazziti**, Presidente XII Commissione Affari Sociali della Camera dei Deputati



Farmaci innovativi e accesso alle cure

A colloquio con **Emilia Grazia De Biasi**, Presidente della XII Commissione permanente Igiene e Sanità del Senato



Una tassa di scopo per il Fondo nazionale dei farmaci oncologici innovativi

A colloquio con **Stefania Gori**, Presidente eletto dell'Associazione Italiana di Oncologia Medica



Tre proposte per sostenere la sfida delle terapie innovative

A colloquio con **Nicoletta Luppi**, Presidente e Amministratore Delegato MSD Italia



esempio, ai nuovi farmaci per il trattamento dell'epatite C: ad un costo maggiore nel breve periodo potrebbe eventualmente fare eco un risparmio complessivo nel medio/lungo periodo. Ben vengano, dunque, gli studi di HTA che percorrano trasversalmente i processi assistenziali e che valutino il costo-efficacia dei trattamenti nel modo più completo possibile.

D'altro canto, quello che credo di avere imparato nella mia esperienza professionale è che non esiste una strategia di valutazione buona 'in sé', quanto piuttosto una valutazione buona 'per sé': un lavoro di monitoraggio e di valutazione è appropriato e utile nella misura in cui concorre ad attivare percorsi di miglioramento della pratica assistenziale e questo è possibile solo se si concentra su fenomeni che siano al tempo stesso rilevanti e manovrabili.

In merito al primo punto, mi riferisco alla rilevanza, sarebbe senza dubbio interessante andare a rilevare il costo e l'efficacia della gestione assistenziale complessiva del percorso oncologico, per esempio, per indagare se l'adozione di farmaci apparentemente più costosi non si traduca in realtà in un risparmio nel medio o nel lungo periodo. E, d'altro canto, la valutazione ha a sua volta un costo e in termini di rilevanza è innegabile che il costo del farmaco, in un percorso simile, ha un impatto preponderante e crescente: da qui la necessità di integrare la valutazione trasversale del processo con carotaggi specifici, focalizzati sui singoli tasselli del processo stesso.

In merito al secondo punto, mi riferisco alla manovrabilità, un indicatore è utile nella misura in cui va a fornire un'informazione rilevante a quei professionisti che siano effettivamente responsabili del risultato e che quindi possano azionare le leve per miglio-

rarlo. Non possiamo nasconderci che, in parte probabilmente per retaggi e inerzie organizzative, la responsabilità reale dei percorsi assistenziali non è in carico ad un tutor che risponda del trattamento complessivo, quanto piuttosto ai singoli specialisti che intervengono nel percorso di cura. Questo si traduce nella necessità di fornire informazioni rilevanti ai singoli attori che puntellano il processo e si tratta quindi necessariamente di informazioni mirate, quali il costo per il trattamento.

Voglio concludere questo ragionamento così: una valutazione di percorso assume un senso pregnante nella misura in cui è la presa in carico ad essere di percorso e non iperspecialistica. In altri termini, quando tutti gli anelli della catena del valore – valore sanitario, nel nostro caso – abbracciano una visione *population-based*. Il processo di responsabilizzazione dei professionisti sull'impatto che le loro scelte clinico-organizzative hanno sullo stato di salute della popolazione richiede necessariamente delle informazioni affidabili sulla costo-efficacia dei percorsi assistenziali nel suo complesso. Voglio, però, sottolineare la portata dirompente che una prospettiva *population-based* avrebbe, se abbracciata nel suo senso più profondo; il riferimento alla 'popolazione' e non ai 'pazienti' chiama lo stesso settore della farmaceutica ad un rinnovato sforzo di *public accountability*: dobbiamo essere consapevoli che il processo di valutazione di costo-efficacia è l'infrastruttura informativa sulla quale impiantare un processo di riallocazione delle risorse, sia in seno al settore sanitario sia tra i diversi settori della Pubblica Amministrazione, finalmente giustificato dalle evidenze scientifiche e non dai rapporti di potere dei professionisti. ■ ML

Una tassa di scopo per finanziare il Fondo dei farmaci oncologici innovativi

A colloquio con **Carmine Pinto**

Presidente Nazionale Associazione Italiana di Oncologia Medica

Lo scorso dicembre l'AIOM ha proposto l'istituzione di un Fondo nazionale dedicato esclusivamente ai farmaci oncologici innovativi. Un Fondo autonomo che potrebbe essere finanziato con il gettito derivante dal tabacco, un centesimo in più a sigaretta, con il duplice obiettivo di reperire risorse aggiuntive e di contrastare il tabagismo. Ci può spiegare in dettaglio la proposta?

Lo Stato ricava circa 11 miliardi di euro dalle accise del tabacco e impiega queste risorse in vario modo. Ne basterebbe una piccolissima parte, anche solo il 5%, per garantire pieno accesso ai tanti farmaci innovativi che arriveranno sul mercato e che potrebbero cambiare le aspettative di vita dei pazienti italiani.

L'AIOM, insieme alle associazioni dei pazienti, ha proposto al Governo l'istituzione di un Fondo autonomo dedicato ai farmaci oncologici innovativi, che potrebbe essere finanziato proprio con il gettito derivante dal tabacco, un centesimo in più a sigaretta. Così potremmo lavorare per garantire a tutti i pazienti le cure più innovative ed efficaci. Ogni ora in Italia vengono individuati più di 40 nuovi casi di cancro. Sono 363.300 le diagnosi stimate nel 2015. In diciassette anni (1990-2007) le guarigioni sono aumentate del 18% per gli uomini e del 10% per le donne. La ricerca scientifica ha reso disponibili armi sempre più efficaci come l'immuno-oncologia e le terapie target personalizzate, che potrebbero consentire di cronicizzare diverse malattie neoplastiche anche molto aggressive e in fase avanzata. Parallelamente all'arrivo sul mercato di queste grandi innovazioni, è cresciuto l'impatto economico delle terapie anticancro che sono aumentate dal 23,7% al 39% tra il 2007 e il 2013. È quindi necessario individuare nuove risorse. La razionalizzazione della spesa, secondo i principi dell'appropriatezza e del riordino dei percorsi assistenziali in oncologia, con l'istituzione dei PDTA (Percorsi Diagnostico-Terapeutici Assistenziali) e delle reti oncologiche regionali, e la precisa definizione quali-quantitativa dell'innovazione sono importanti strumenti, ma non bastano al fine di rendere sostenibile per il Sistema Sanitario Nazionale quanto si prospetta nei prossimi anni come innovazione in oncologia.

Il Governo italiano nel 2015 ha individuato le prime risposte alle sfide dell'innovazione farmaceutica con l'istituzione di un Fondo di 500 milioni di euro all'anno nel biennio 2015-2016 per i trattamenti innovativi, in particolare per la cura dell'epatite C. Il 2016 potrebbe segnare una vera svolta con un intervento nazionale sul cancro: istituire un Fondo ad hoc che contribuisca al rimborso alle Regioni dei farmaci oncologici a forte carattere innovativo. ■ ML

Accesso alle cure e trasparenza sulle decisioni

A colloquio con **Antonio Gaudioso**

Segretario Generale Cittadinanzattiva

Cosa sarebbe necessario perché i pazienti oncologici possano fruire delle opzioni terapeutiche più avanzate in tempi più rapidi ed omogenei su tutto il territorio nazionale?

L'accesso alle cure, comprese quelle farmacologiche innovative, rappresenta un banco di prova per l'unitarietà e l'equità del Servizio Sanitario Nazionale verso i cittadini, in particolare quelli affetti da patologie oncologiche e croniche, ed è per questo che chiediamo al Governo un provvedimento nazionale di riordino del settore, con cui si chiariscano con esattezza ruoli, funzioni, tempistiche, responsabilità e partecipazione delle associazioni di cittadini e pazienti nel processo, mettendo a sistema sia il ruolo dell'EMA, sia quello nazionale, regionale e aziendale, a garanzia della trasparenza sulle decisioni.

È fondamentale giungere ad una chiara e strutturata definizione di innovazione, in modo da quantificarne l'impatto e il beneficio ottenibile dalle cure farmacologiche innovative da un lato e dall'altro promuovere una capillare attività di informazione e comunicazione rivolta ai pazienti sulle diverse opportunità terapeutiche a disposizione, operando nella rimozione di tutte quelle condizioni che mettono in discussione il principio di uguaglianza ed universalismo nell'accesso alle cure. ■ ML

