
Con il Patrocinio di:     

Il paziente al centro e la Rete al suo fianco: Dubbi tra aspettative di vita e sostenibilità

Torino, 19 settembre 2018



Aula Lenti - Medicina Interna
AOU Città della Salute e della Scienza di Torino
Corso Bramante 88, Torino

Valutazione dei farmaci, accesso e sostenibilità: quale ruolo del pazienti

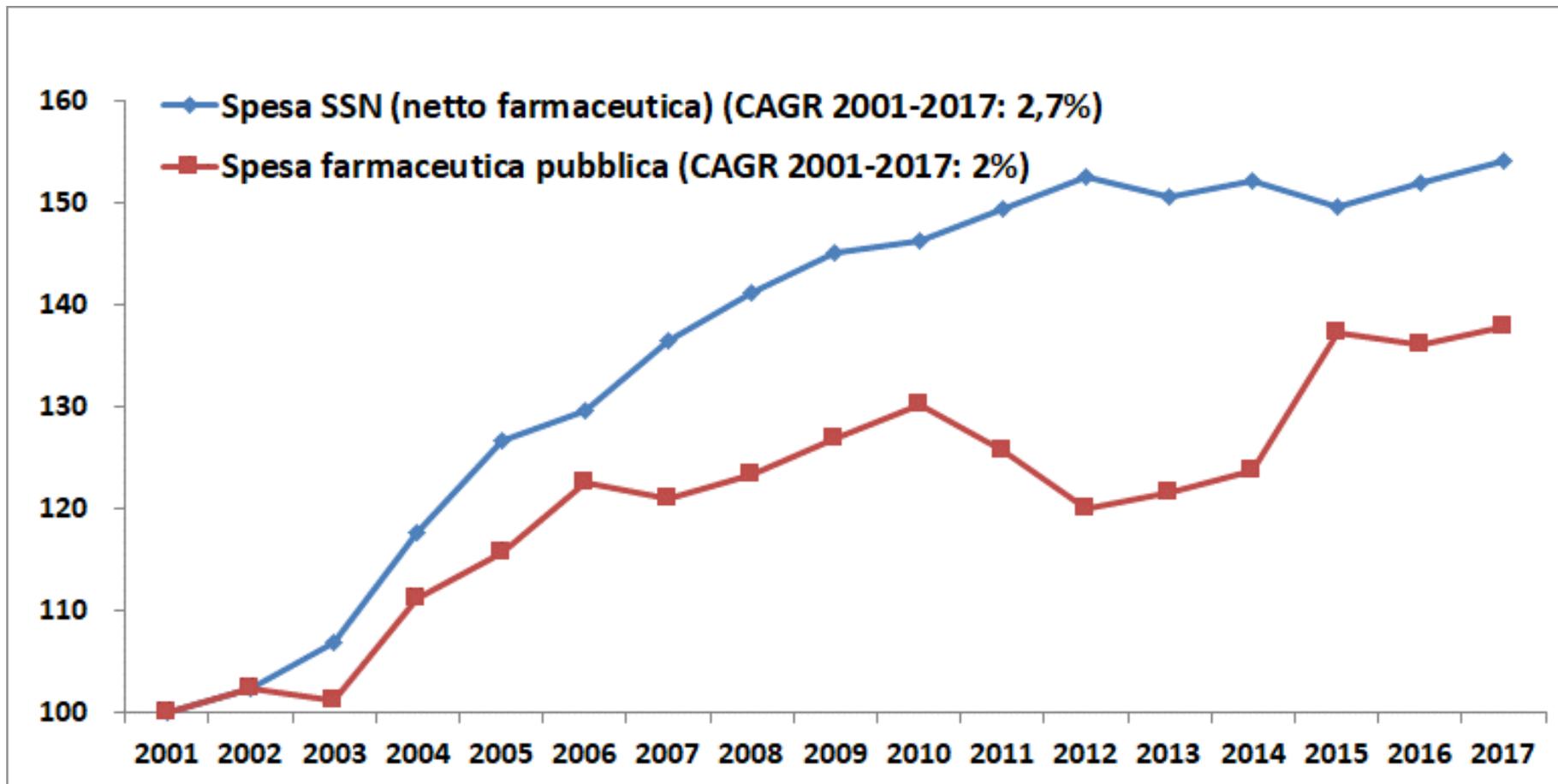
Claudio Jommi
Università del Piemonte
Orientale e Bocconi

19 Settembre 2018

Agenda

- Sostenibilità della spesa farmaceutica: uno sguardo ai dati
 - Valutazione dei farmaci per l'accesso: come e quale ruolo potenziale dei pazienti
 - Quale la situazione in Italia rispetto ad altri paesi
-

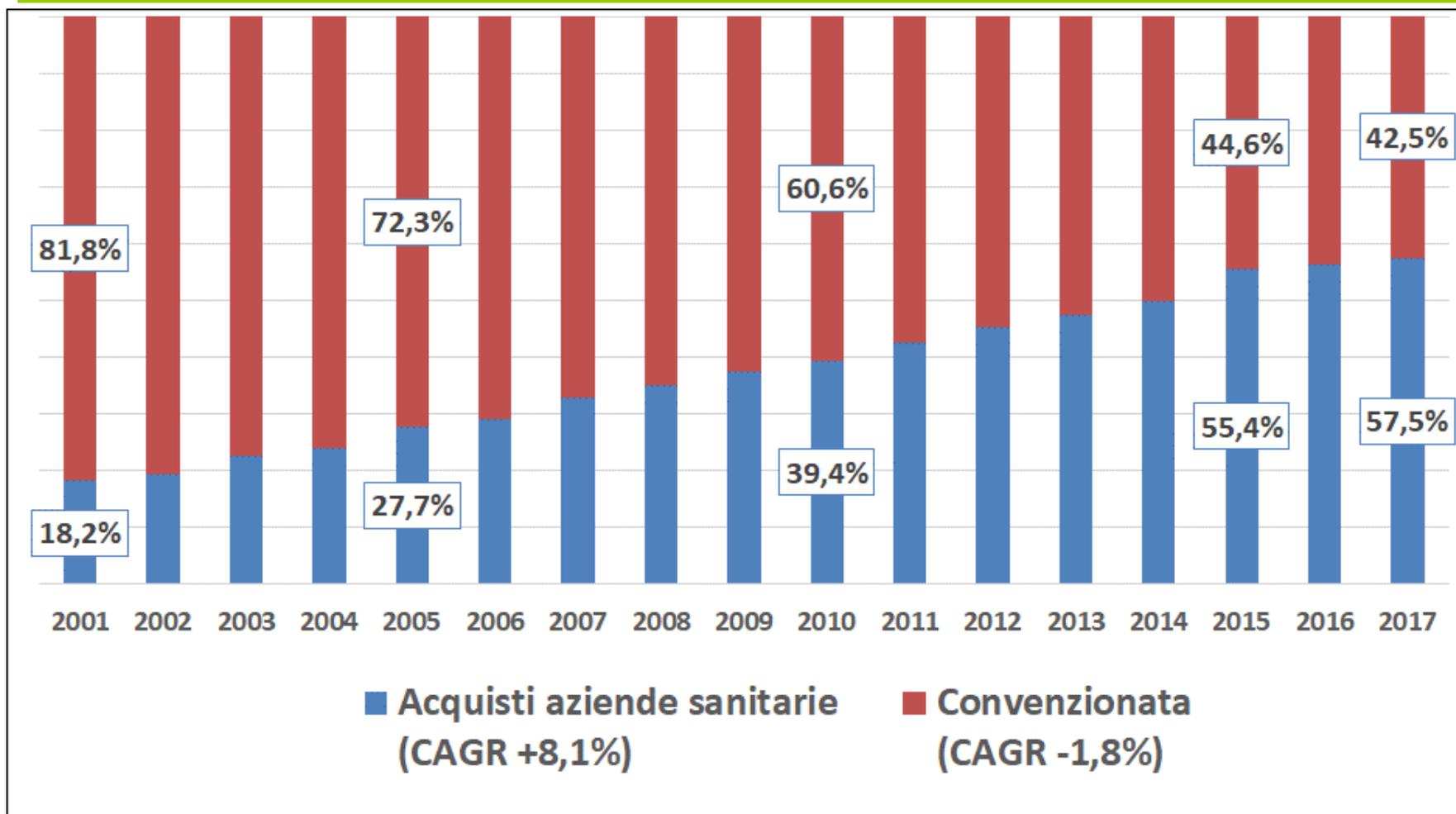
Spesa farmaceutica pubblica e Spesa totale SSN (netto farmaci) (2001-2017; 2001=100)



Nota: Il dato di spesa farmaceutica pubblica non include i payback delle imprese per sfondamenti dei tetti di spesa ed accordi outcome-based in ambito oncologico

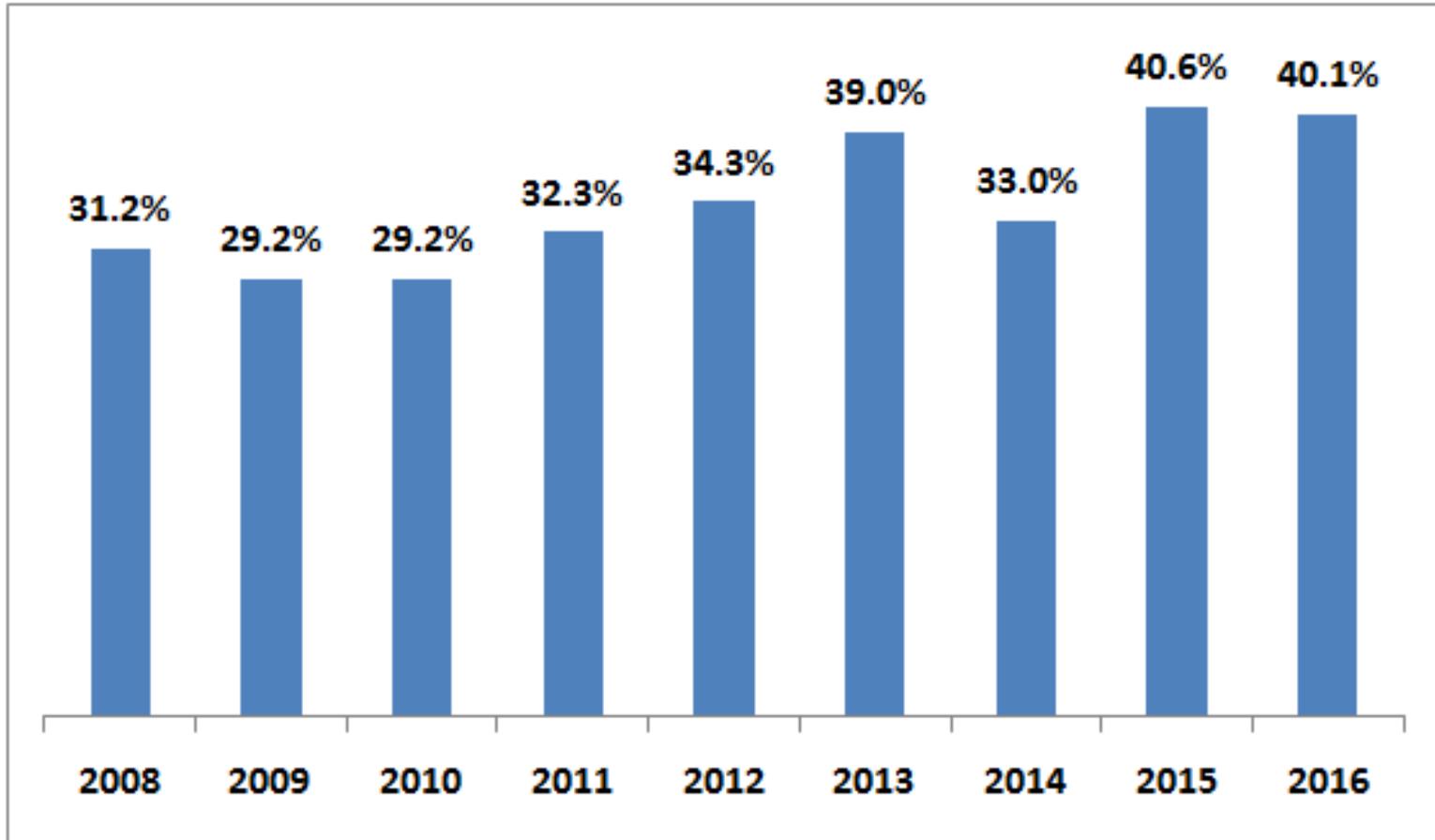
Fonte: Nostre elaborazioni su dati Conti Economici e Aifa. CAGR: Compound Annual Growth Rate

Mix Spesa farmaceutica SSN



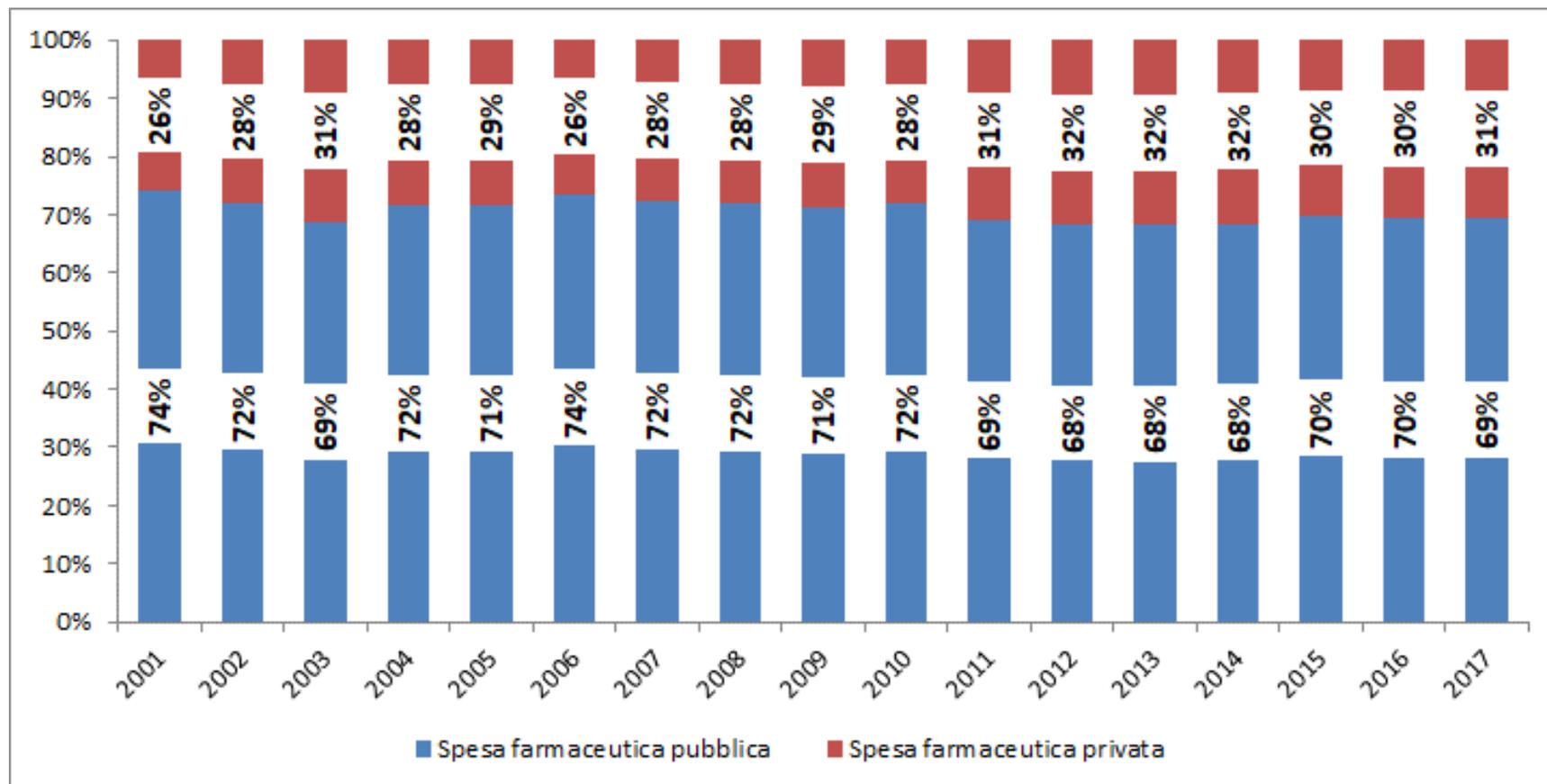
Fonte: Nostre elaborazioni su dati Conti Economici e Aifa. CAGR: Compound Annual Growth Rate

Spesa per farmaci oncologici su totale spesa farmaceutica ospedaliera



Fonte: Nostre elaborazioni su dati Aifa e CORE

Incidenza spesa privata su totale spesa farmaceutica

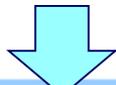


L'andamento della spesa rispetto ai due tetti (2017: farmaceutica convenzionata)



Riunione CdA - 28 Maggio 2018

Tabella 6 Verifica del rispetto del tetto di spesa programmato (7,96%) nel periodo gennaio-dicembre 2017

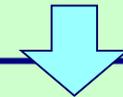


	Spesa convenzionata	FSN	Tetto spesa programmata (7,96%)	Scostamento assoluto	% su FSN
Convenzionata * (€)	8.430	111.856	8.904	-473,30	7,54

Adempimenti modificati e acquisiti dal tracciabilità

L'andamento della spesa rispetto ai due tetti (2017 spesa per acquisti farmaci aziende sanitarie)

		Spesa	FSN	Tetto spesa programmata (6,89%)	Scostamento assoluto	% su FSN
Spesa Acquisti diretti al lordo della spesa per farmaci Innovativi Oncologici e Non Oncologici al netto dei Pay Back		9.845	111.856	7.707	2.138	8,80%
Monitoraggio Adempimento AIFA ai sensi della L. 231/2007 modificata dalla L. 231/2016, art. 10, comma 1, lettera c) per la tracciabilità del farmaco acquisito dalle Regioni	Spesa Acquisti diretti *	9.292	111.856	7.707	1.585	8,31%
	di cui:					
	di cui Spesa per farmaci innovativi non coperta dai fondi per farmaci innovativi oncologici e non oncologici	0	111.856	7.707		0,00%
	di cui Spesa al netto dei farmaci innovativi	9.292	111.856	7.707	1.585	8,31%



Il sotto-dimensionamento del tetto acquisti diretti

Legge	Territoriale	Ospedaliera	Totale	Note / Payback	Dati di spesa anno precedente variazione tetti
L 405/2001	13,00%	-	-		
L 326/2003	13,00%	-	16,00%	16% come target	
L 222/2007	14,00%	2,40%	16,40%	Payback su sfondamento territoriale (filiera)	Spesa territoriale 2008 (non disponibile 2007) all'11,6% Spesa ospedaliera 2008 (non disponibile 2007) al 5,6%
L 102/2009	13,30%	2,40%	15,70%		Spesa territoriale 2009 al 13,3% Spesa ospedaliera 2009 al 5%
L 135/2012	11,35%	3,50%	14,85%	Payback anche su ospedaliera (industria, 50%)	Spesa territoriale 2012 all'11,1% Spesa ospedaliera 2012 al 4,2%
L 190/2014	11,35%+0,46% (Innovativi)	3,50%	15,31%		
Legge	Convenzionata	Acquisti diretti	Totale	Note / Payback	Dati di spesa anno precedente variazione tetti
L 232/2016	7,96%	6,89%+0,9% (Innovativi)	15,75%		Spesa convenzionata 2016 al 7,84% Spesa acquisti diretti 2016 all'8,75%

Fondi innovativi *on top* dedicati

- 500 milioni per gli innovativi non oncologici
- 500 milioni per gli innovativi oncologici

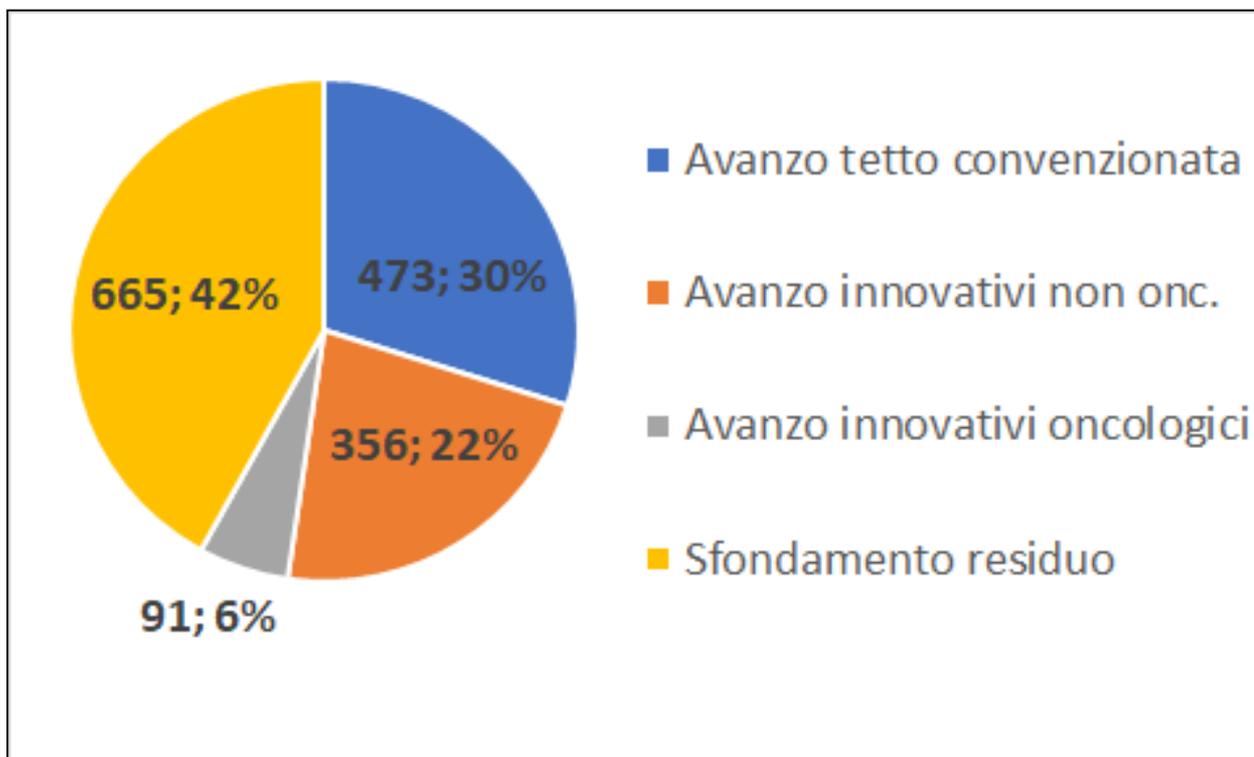
Entrambi fino al 2019 con una quota crescente (per i non oncologici) riallocata da fondi per obiettivi di piano sanitario

Dati 2017 (ultimo monitoraggio annuale)

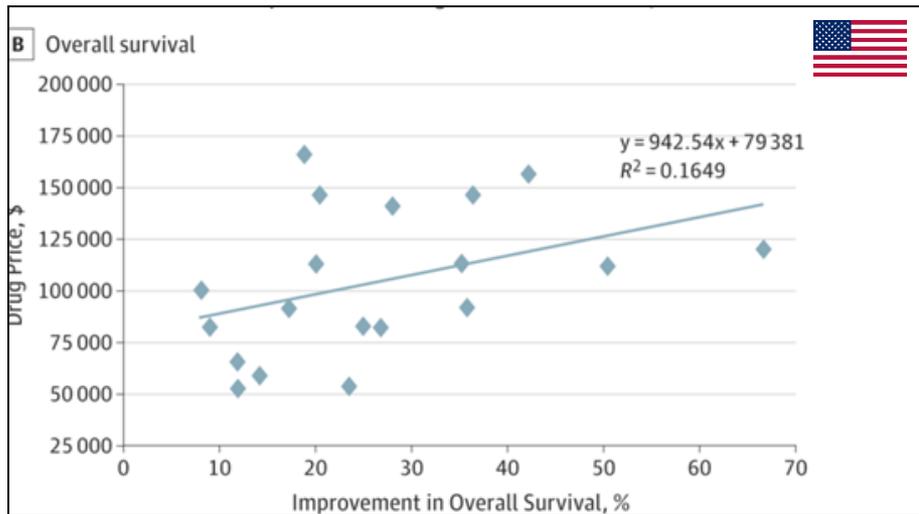
- Non oncologici: 144 spesi netto payback / 500
- Oncologici: 409 spesi netto payback / 500

Gli effetti della mancata compensazione tra tetti (2017)

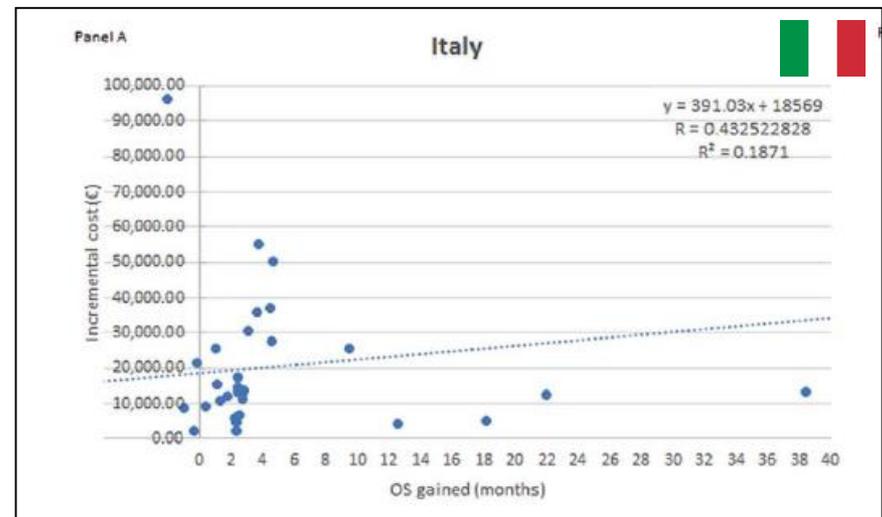
Se ci fosse compensazione tra tetti e fondi:
Da 1585 a 665 milioni di sfondamento del tetto su acquisti



Costi oncologici e Overall Survival



Fonte: Mailankody S e Prasad V, JAMA Oncol. 2015;1(4):539-540



Fonte: Mengato D e Messori A, The Adv Med Oncology, 2016, 8(4) , 309-311

thebmj

BMJ 2017;359:j4528 doi: 10.1136/bmj.j4528 (Published 2017 October 05) Page 1 of 2

EDITORIALS

 Check for updates

Do cancer drugs improve survival or quality of life?
You don't need to know, according to our broken regulatory system

Vinay Prasad *assistant professor of medicine*
Oregon Health and Science University, Portland, Oregon, USA

thebmj

BMJ 2017;359:j4543 doi: 10.1136/bmj.j4543 (Published 2017 October 05) Page 1 of 4

FEATURE

 Check for updates

DRUG REGULATION

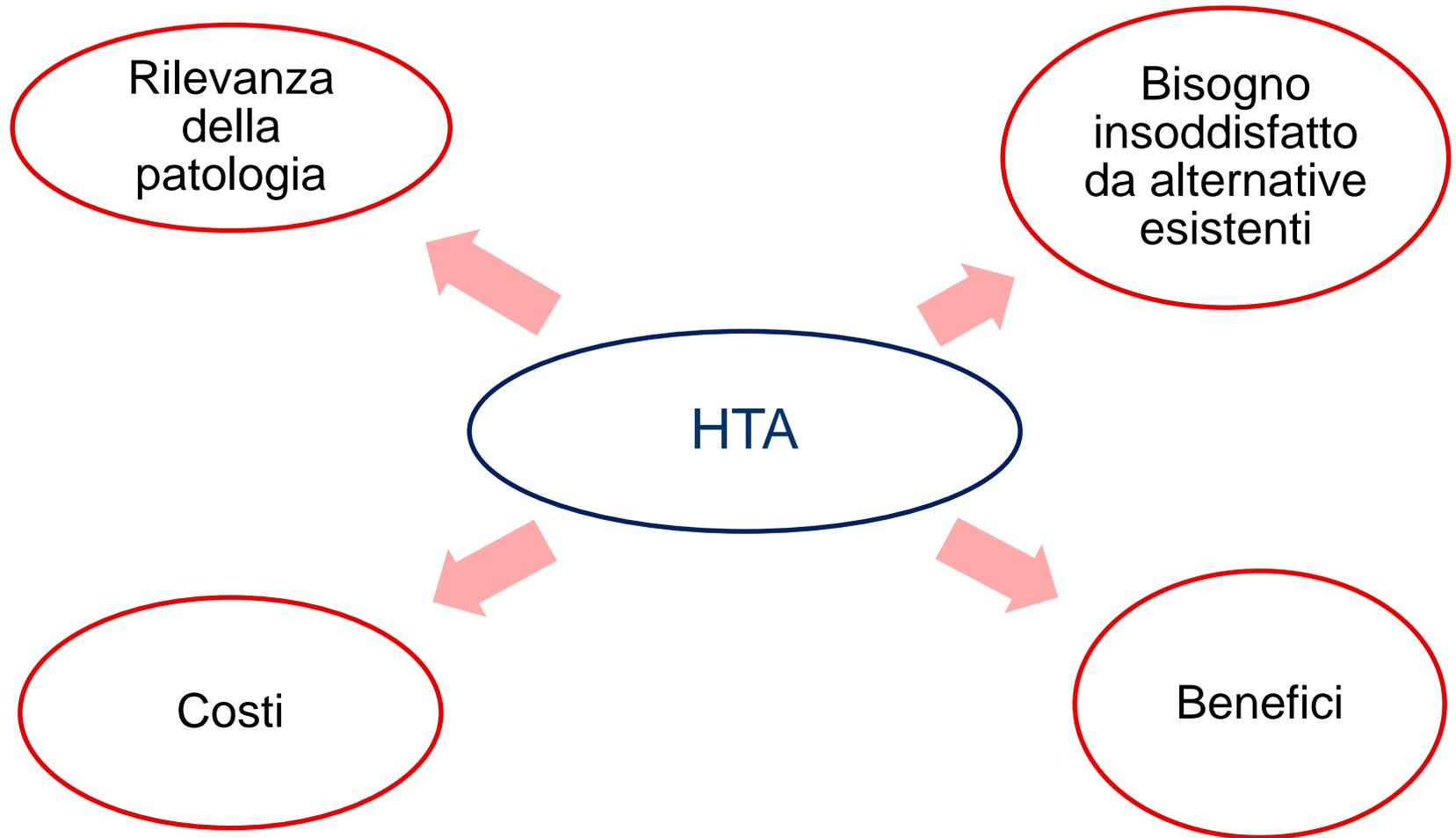
Cancer drugs: high price, uncertain value
A study published in The BMJ this week shows how most new cancer drugs are failing to deliver any clinically meaningful benefit. It's time for Europe to raise the evidence bar before market approval, finds **Deborah Cohen**

Deborah Cohen *associate editor, The BMJ*

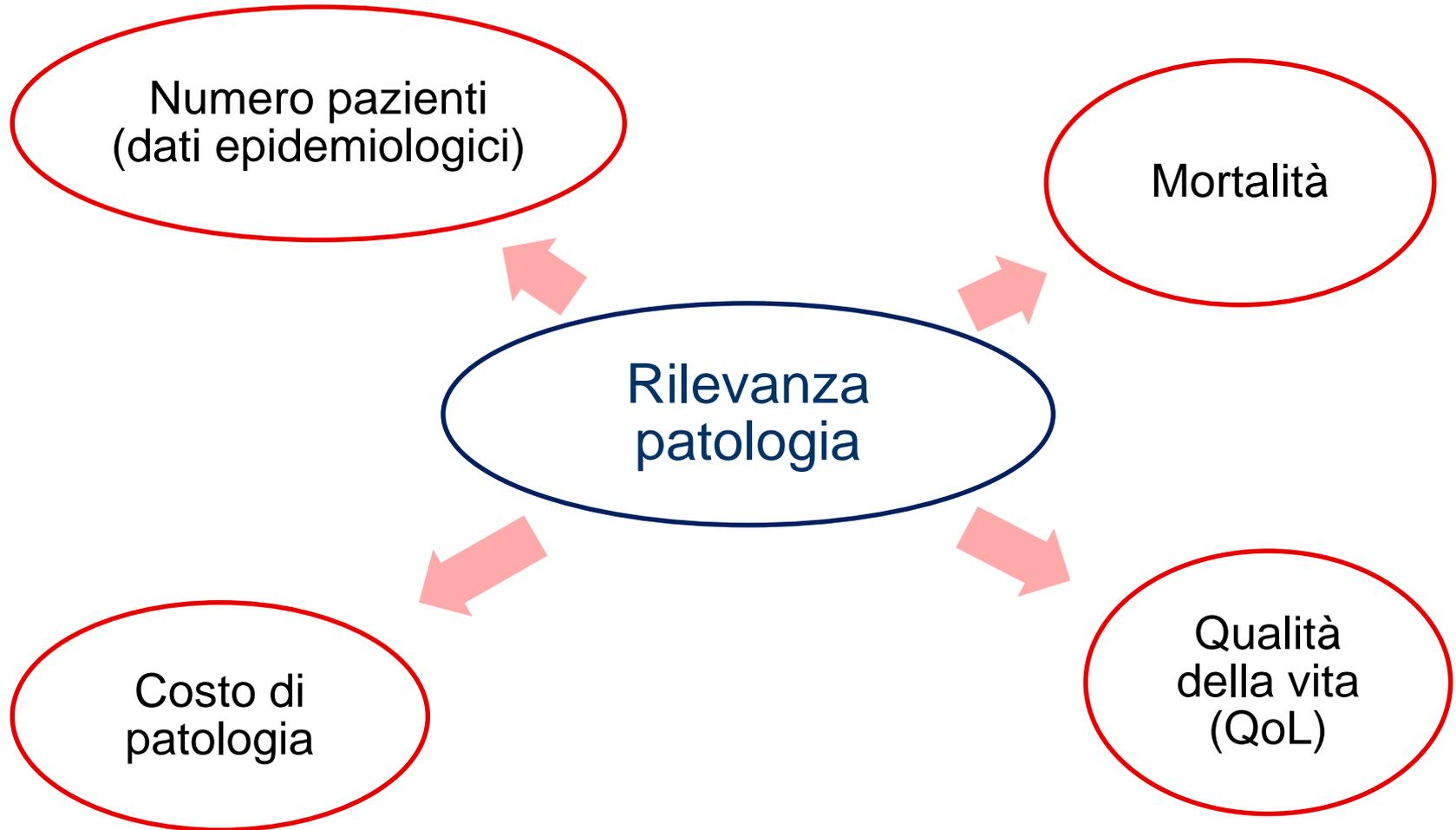
Agenda

- Sostenibilità della spesa farmaceutica: uno sguardo ai dati
 - Valutazione dei farmaci per l'accesso: come e quale ruolo potenziale dei pazienti
 - Quale la situazione in Italia rispetto ad altri paesi
-

I criteri di valutazione dei farmaci per l'accesso



Rilevanza della patologia



Costo patologia

*Prospettiva SSN
(solo prestazioni rimborsate)*

*Prospettiva Terzo Pagatore
(solo prestazioni rimborsate)*

- ❑ **Costi diretti sanitari**
 - ❑ Terapie farmacologiche
 - ❑ Visite specialistiche
 - ❑ Esami di laboratorio
 - ❑ Diagnostica strumentale
 - ❑ Degenza ospedaliera
 - ❑ Prestazioni riabilitative
 - ❑ Altro

- ❑ **Costi diretti non sanitari**
 - ❑ Trasporti pazienti
 - ❑ Servizi sociali
 - ❑ Assistenza informale

- ❑ **Costi indiretti (produttività persa)**
 - ❑ Assenza dal lavoro
 - ❑ Presenteism

*Prospettiva Paziente
(solo prestazioni sostenute
direttamente dal paziente)*

Prospettiva della società

I costi sociali dell'Artrite Reumatoide

Uno studio, realizzato dalla Scuola Superiore S. Anna evidenzia **costi sociali annui pari a 3,4 miliardi di euro** per il 2011 per un costo medio per paziente di circa **14.000 Euro**

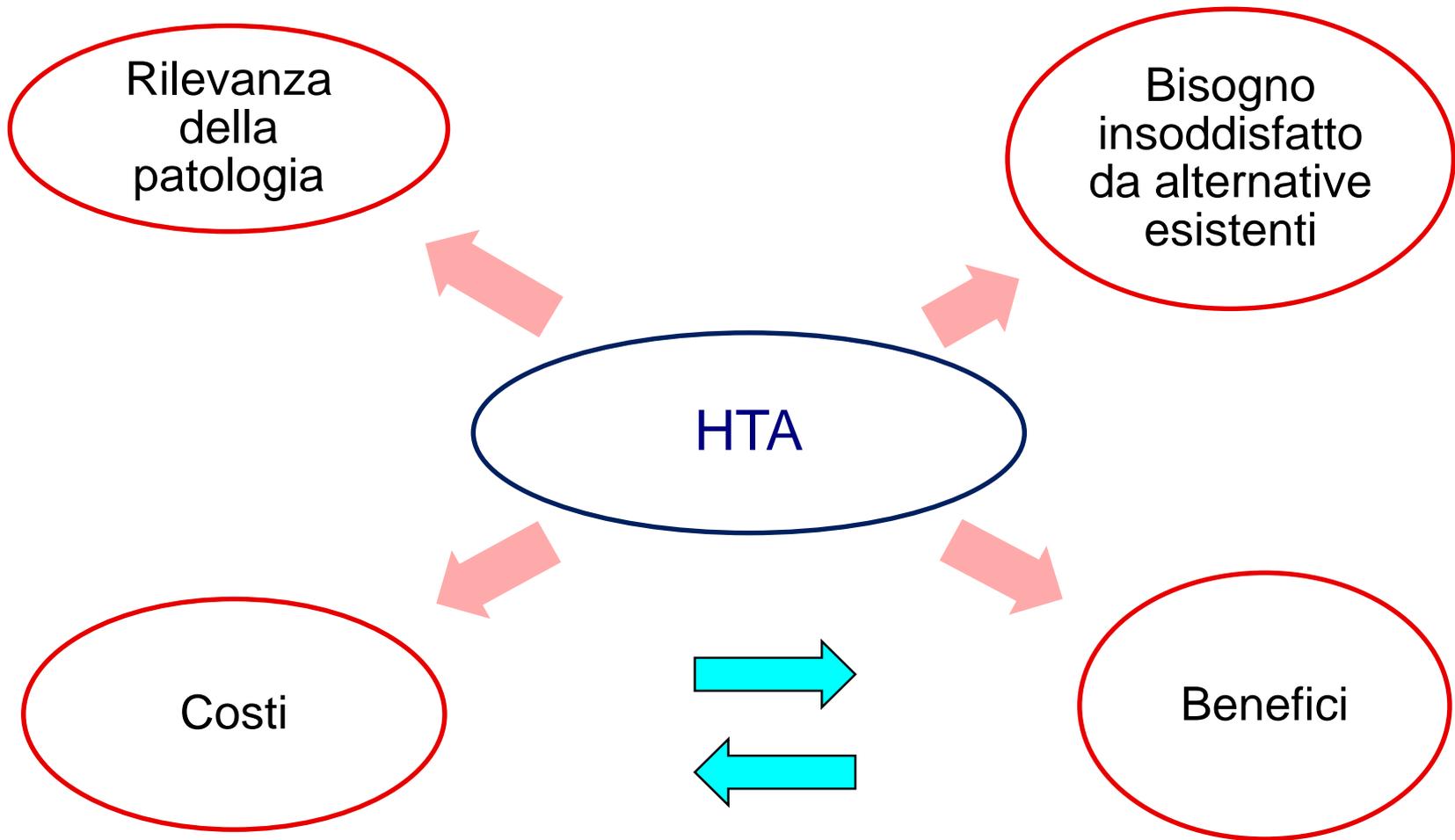
Il 20% dei costi è sostenuto per l'assistenza sanitaria. L'80% della spesa è legato a costi non sanitari, di cui il 50% per costi diretti non sanitari (spese di trasporto, assistenza domestica a pagamento, assistenza informale) e 30% per costi collegati alla perdita di produttività.

Il 75% dei costi diretti sanitari è rappresentato da farmaci (con un costo medio per paziente di circa **2.100 Euro**)

I benefici



I costi ed il rapporto costi-benefici



I costi ed il rapporto costi-benefici

Value for money
Stiamo allocando
bene i soldi?



Costo-efficacia
 $\Delta C / \Delta B$ (RICE*)
**(30 000 € anno di
vita salvato)**

Sostenibilità
Quanto spenderemo
in più?



**Budget Impact
Analysis (BIA)**
**(30 milioni € nei
prossimi tre anni)**

* Rapporto incrementale di costo-efficacia.

Value for money ed accesso: i due approcci

Legame diretto



RICE + Valore-soglia
 $\Delta B = \Delta \text{QALYs}$



Legame indiretto

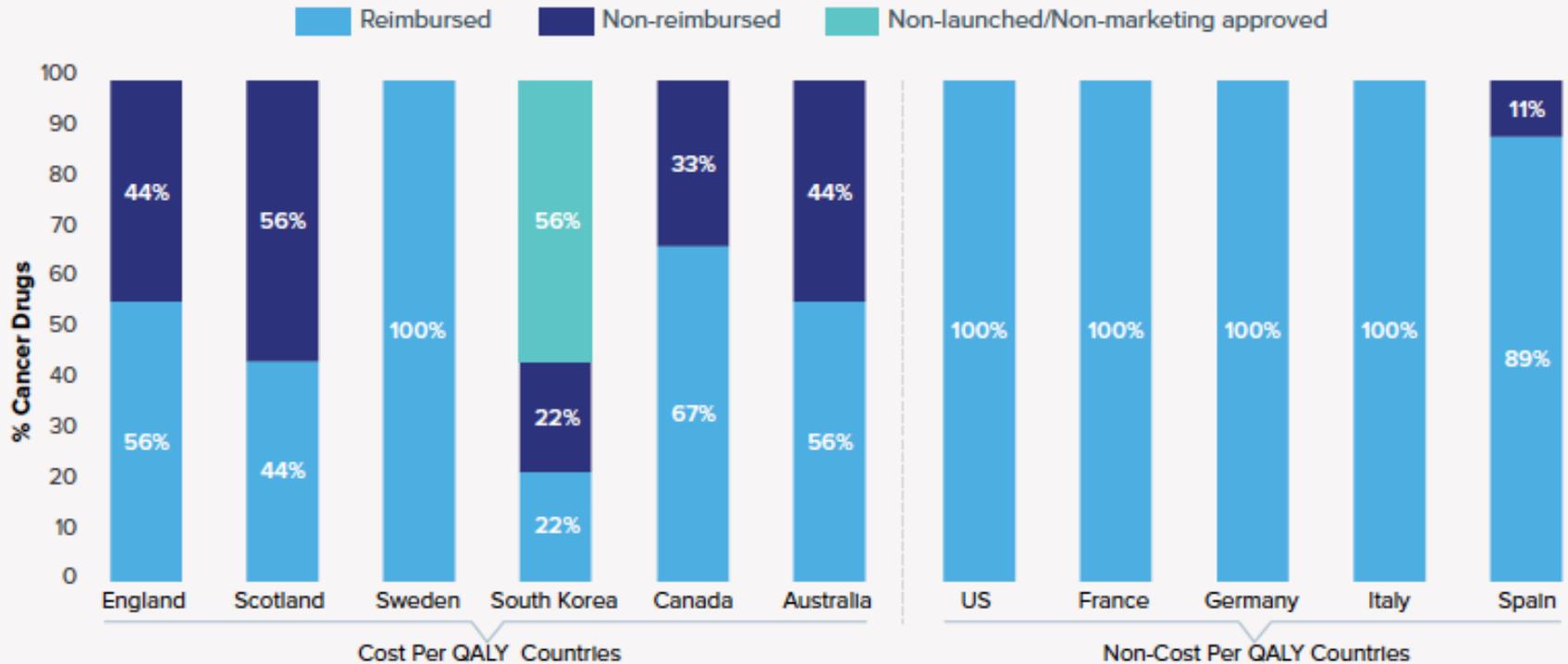


**Prima ΔB poi si
negozia ΔP
“coerente”**



Approccio "diretto" è più selettivo

National Reimbursement Status



Sources: National Institute for Health and Care Excellence (NICE) (England), Scottish Medicines Consortium (SMC) (Scotland), The Dental and Pharmaceutical Benefits Agency (TLV) (Sweden), Reimbursement status listed for Ontario, British-Columbia and Alberta (Canada), Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) (Australia), Base des Médicaments et Informations Tarifaires, eVidal (France), Federal Joint Committee (GBA) (Germany), Italian Drug Agency (AIFA), paginesanitaria (Italy), BotPLUS (Spain)

HTA: perché coinvolgere i Pazienti?

- Trasparenza, legittimità e equità dei processi decisionali correlati all'introduzione dei farmaci
- I pazienti sono «esperti» della patologia di cui sono affetti e sono «preziose» fonti di dati
- Coinvolgere prima delle scelte significa avere meno conflitti dopo
- Pazienti hanno funzione «segnalatica» di problematiche di accesso

Ruolo “informativo” dei pazienti

- Impatto sui costi “indiretto” di malattia
- Valutazione qualità della vita
- Valutazione degli elementi di convenienza / preferenza
 - » Modalità di somministrazione
 - Orale vs Parenterale
 - Sottocute vs Endovena
 - Combinazione fissa vs più pillole
 - » Schedule che prevedono intervalli senza trattamento
 - » Terapia one-shot vs terapia continuative
 - » Interazioni

Agenda

- Sostenibilità della spesa farmaceutica: uno sguardo ai dati
 - Valutazione dei farmaci per l'accesso: come e quale ruolo potenziale dei pazienti
- Quale la situazione in Italia rispetto ad altri paesi
-

HTA e Pazienti: come e dove?

Health Policy 105 (2012) 236–245

Contents lists available at ScienceDirect

Health Policy

Journal homepage: www.elsevier.com/locate/healthpol

Stakeholders involvement by HTA Organisations: Why is so different?

Marianna Cavazza^{a,*}, Claudio Jommi^b

^a CERIS (Centre for Health and Social Care Management), Università Bocconi, Via Roeggen 1, 20136 Milan, Italy
^b Dipartimento di Farmacologia, Università del Piemonte Orientale, Novara, Italy

ARTICLE INFO

Article history:
 Received 23 September 2011
 Received in revised form 23 January 2012
 Accepted 24 January 2012

JEL classification:
 I180
 O38

Keywords:
 HTA
 Healthcare system
 Policy-making
 Stakeholders
 Administrative tradition

ABSTRACT

Objective: To investigate stakeholder involvement by Health Technology Assessment Organisations (HTAOs) in France, Spain, England and Wales, Germany, Sweden, and The Netherlands and to examine whether this involvement depends on (i) the administrative tradition and the relevant conception of the relationship between state and society (contractarian and corporative vs. organic), (ii) the general structure of the healthcare system (HCS) (Bismarckian vs. Beveridgean system), and (iii) the role of Health Technology Assessment (HTA) and HTAOs in the HCS.

Methods: Given the exploratory nature of the study, we considered interviews based on semi-structured questionnaires the most appropriate data-gathering technique. The interviews were administered to 16 key personnel in the HTAOs concerned. We have also carried out a literature review on HTAOs and stakeholders (1999–2011) using PubMed, Ebsco, JSTOR and Wiley Science.

Results: In contractarian and (to a lesser extent) Bismarckian models, stakeholders are more involved. The administrative tradition and the HCS appear less important when the HTA is binding and used for regulatory purposes. In such situations, stakeholders are more intensively involved because their participation provides an opportunity for HTAOs to achieve consensus and legitimacy in advance.

Conclusions: Despite the limitations of the research (we did not conduct multiple interviews for each HTAO, and key informants were not always available) and its exploratory nature, we can conclude that models of stakeholders involvement cannot easily be transferred from one country to another due to the importance of national administrative traditions and the characteristics of HCSs.

© 2012 Elsevier Ireland Ltd. All rights reserved.

1. Introduction

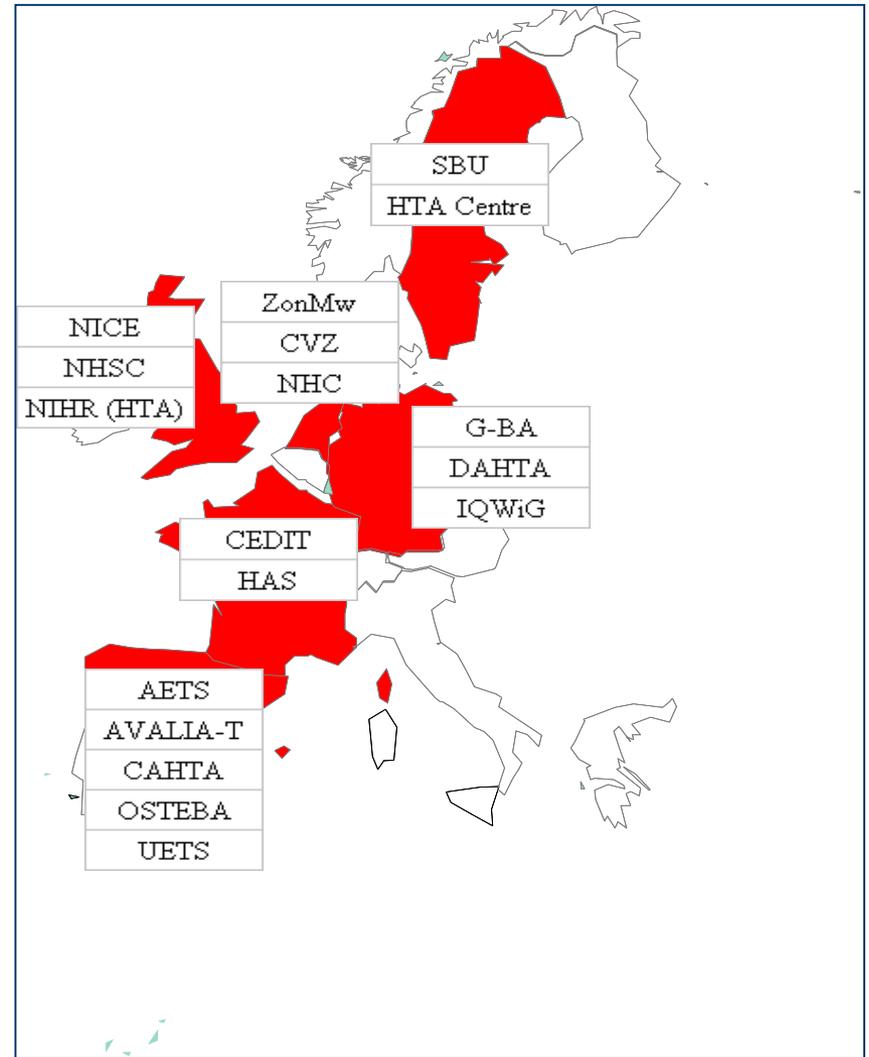
The introduction of new technologies into a healthcare system is regulated by policy makers [1], who are expected to promote allocative efficiency and to control costs. Health Technology Assessment (HTA) provides policy makers with the technical support required for their regulatory action [2]. Policy makers might not manage HTAs on their own and could depend on the support of HTA organisations

(HTAOs) [3,4]. Furthermore, the implementation of a HTA is a complex and multidimensional process [5]. Hence, unless HTAOs hold all the required competences and information internally, they require the technical support, information and expertise provided by stakeholders. The involvement of stakeholders could also guarantee the legitimacy of the final assessment and help prevent conflict after the technologies have entered the market [6,7].

The literature on HTAOs demonstrates (i) significant similarities among the HTAOs in the way they formally organise the assessment process and in the technical issues of decision making (e.g., the parameters used for setting priorities) and (ii) important differences among HTAOs in how the decision-making process is actually

* Corresponding author. Tel.: +39 02 5836 2664.
 E-mail addresses: marianna.cavazza@unibocconi.it (M. Cavazza), claudio.jommi@pharm.unipmn.it (C. Jommi).

0168-8510/\$ – see front matter © 2012 Elsevier Ireland Ltd. All rights reserved.
[doi:10.1016/j.healthpol.2012.01.012](https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2012.01.012)



HTA e Pazienti: come e dove?

- Elevata variabilità su grado e qualità del loro coinvolgimento
 - Elevati e formalizzati in UK (es. in NICE è stato creato un Public Involvement Programme - PIP)
 - Intermedi in Francia and Germania, dove
 - » Esiste un processo di accreditamento delle associazioni dei pazienti (es. Patient Involvement Act in Germania)
 - » All'industria è richiesto di rendere pubbliche le relazioni con i diversi portatori di interesse (incluse le associazioni di pazienti)
 - Bassi in Spagna
 - » I pazienti non sono quasi mai formalmente coinvolti
 - » Eventuali loro richieste di prioritizzazione o assessment devono essere trasmesse per tramite degli ospedali
 - Dibattito sul loro contributo e relazioni con gli altri stakeholder (in particolare, industria)
-

HTA e Pazienti: e in Italia?

Article

Patients' Associations and HTA for medicines: actual and future role in Italy

Claudio Jommi, MSc^{1,2} and Arianna Bertolani, PhD²

Global & Regional Health Technology Assessment
Volume 2018: 1-11
© The Author(s) 2018
Reprints and permissions:
sagepub.com/journalsPermissions.nav
DOI: 10.1177/2046404818777964
journals.sagepub.com/home/grh
SAGE

Abstract

Introduction: This paper aims at investigating the role of Patients' Associations in drugs assessment and appraisal in Italy.

Methods: Information were gathered through a mostly structured (forced ranking) questionnaire. The questionnaire, once validated, was administered to two national HTA organisations (AIFA and ISS) and Therapeutic Committees / Departments of five regions (Lombardy, Veneto, Emilia Romagna, Latium, Sicily). The average rank and the Kendall rank correlation coefficient were calculated where respondents were forced ranking.

Results: The interactions with Patients' Associations are very different across HTA organisations, with only three respondents declaring a systematic relationship with these Associations and a focus on therapeutic targets more affected by new drugs launches. Patients' Associations are perceived more expert on the organisation of the Italian health care system and drugs reimbursement process than on technical issues (e.g. PROs – Patient Reported Outcomes). Respondents declared that fragmentation of relationships, with many associations involved, is the most important barrier to a systematic interaction with Patients' Associations and advocated for a stronger integration among them.

Discussion: The interaction between HTA organisations and Patients' Associations is expected to increase in the future. To make this interaction more useful, Patients' Associations should improve their knowledge on drugs assessment techniques - mainly PRO - and enhance their awareness on budget issues for payers: the latter may help Patients' Associations and payers agreeing on actions aimed at making drugs more sustainable.

Keywords

HTA, Patients' Associations, Medicines, Italy

Introduzione

L'Health Technology Assessment (HTA) è il processo multidisciplinare che utilizza la migliore evidenza disponibile per valutare le implicazioni cliniche, economiche, organizzative, sociali ed etiche delle tecnologie sanitarie, per produrre evidenze per i *policy maker* (1). Nella pratica reale dell'HTA non sempre però si valutano tutte queste dimensioni di impatto. In particolare, un aspetto poco approfondito, ma non per questo poco importante, è quello relativo all'impatto della tecnologia sul paziente, che nell'HTA Core Model di EUnedHTA (European network for Health Technology Assessment) rientra nel dominio "Patients and Social Aspects" (2).

Il tema del coinvolgimento dei pazienti nelle diverse fasi dell'HTA è stato ed è tuttora oggetto di riflessione e dibattito nel contesto internazionale. I principali motivi

¹Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale, Novara, Italy

²Carpi (Centro di Ricerca sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale), SDA Bocconi School of Management, Milano, Italy

Corresponding author:

Claudio Jommi, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università del Piemonte Orientale, Largo Dorsaghi 2, Novara, 28100, Italy.
Email: claudio.jommi@uniupo.it

 Creative Commons Non-Commercial CC BY-NC. This article is distributed under the terms of this Creative Commons Attribution-NonCommercial 4.0 License (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc/4.0/>) which permits non-commercial use, reproduction and distribution of the work without further permission provided the original work is attributed as specified on the SAGE and Open Access pages (<http://us.sagepub.com/en-us/nam/open-access-at-sage>).

Obiettivo : indagare come i soggetti istituzionali preposti alla valutazione dei farmaci (**AIFA**) o più in generale alla valutazione delle tecnologie sanitarie (**Istituto Superiore di Sanità e Regioni**)

- si siano relazionati finora con le **Associazioni dei Pazienti (AP)**
- percepiscano il ruolo ed il contributo atteso delle Associazioni dei Pazienti
- intravedano lo sviluppo futuro di tali relazioni

Interlocutori intervistati

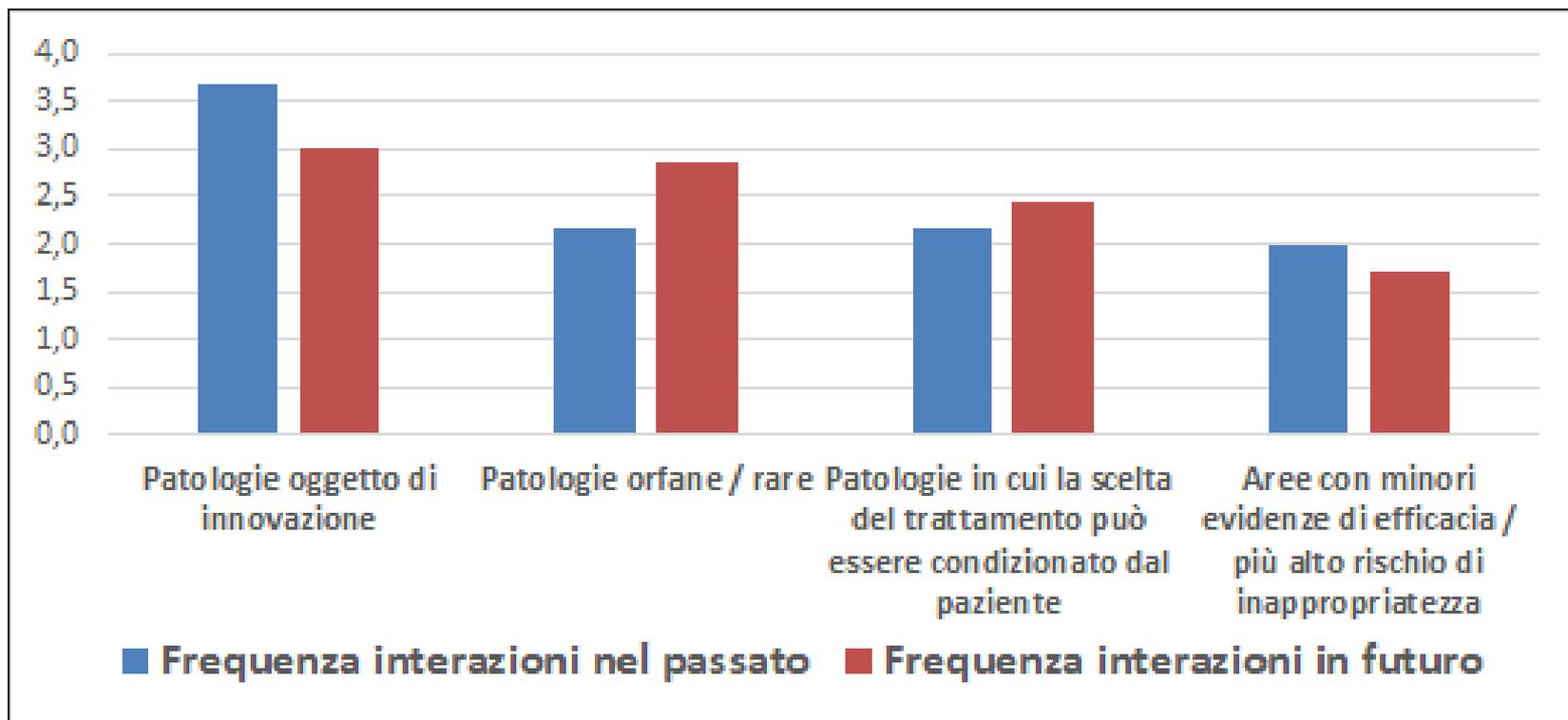
AIFA	Mario Melazzini
ISS	Marco Marchetti
Regione Veneto	Giovanna Scroccaro
Regione Lombardia	Massimo Medaglia; Maurizio Bersani
Regione Lazio	Antonella Lombardozzi
Regione Emilia Romagna	Anna Maria Marata
Regione Sicilia	Gianluca Trifirò

Contatti con Associazioni

AIFA	Contatto sistematico, ma specifico su patologie (Epatite C)
ISS	Contatti estemporanei/rari, ma volontà di renderli sistematici
Regione Veneto	Contatto sistematico: presenza di Associazioni dei Pazienti in tutte le commissioni che forniscono raccomandazioni non solo su farmaci, ma anche su dispositivi medici e assistenza protesica
Regione Lombardia	Contatti frequenti (ma non per inclusione in Prontuario Regionale che non esiste) con associazioni «più organizzate»
Regione Lazio	Contatti frequenti (Epatite, HIV e Diabete)
Regione Emilia Romagna	Contatto sistematico (Gruppi di lavoro con Associazioni; Gruppo di lavoro su malattie reumatiche su tema biosimilari)
Regione Sicilia	Contatti estemporanei/rari (con la Commissione del PTOR, supportando le Società Scientifiche nella richiesta di modifica della decisione di non inserire un farmaco nel prontuario regionale)

Aree terapeutiche sulle quali il responder si è maggiormente relazionato e si relazionerà in futuro con le AP

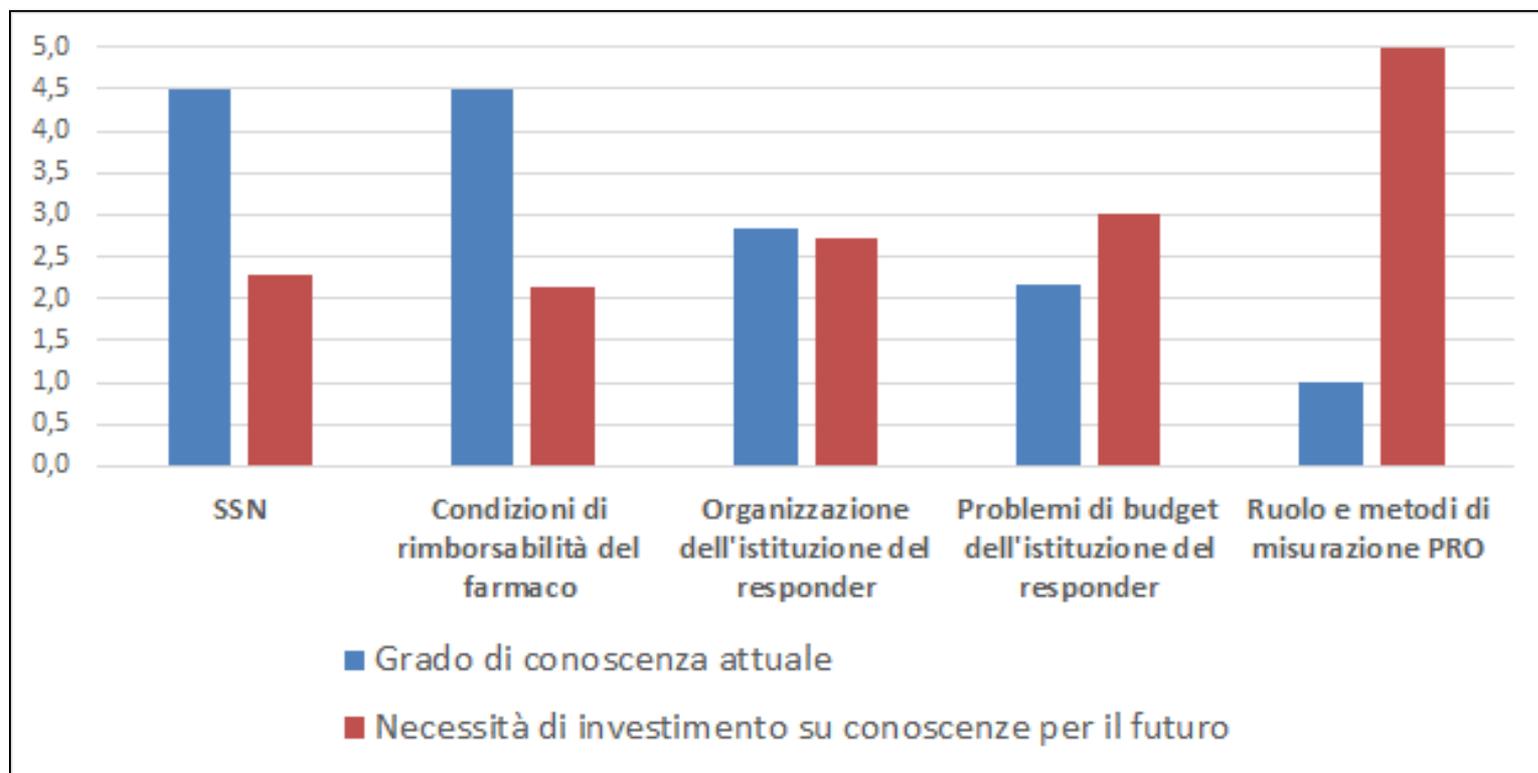
Ordinamento da 4 (più frequente) a 1 (meno frequente)



Indice W di Kendall: 24% per il passato, 11% per il futuro

Percezione sul grado di conoscenza delle AP su alcune tematiche rilevanti e conseguente necessità di investimento in futuro per migliorare la conoscenza

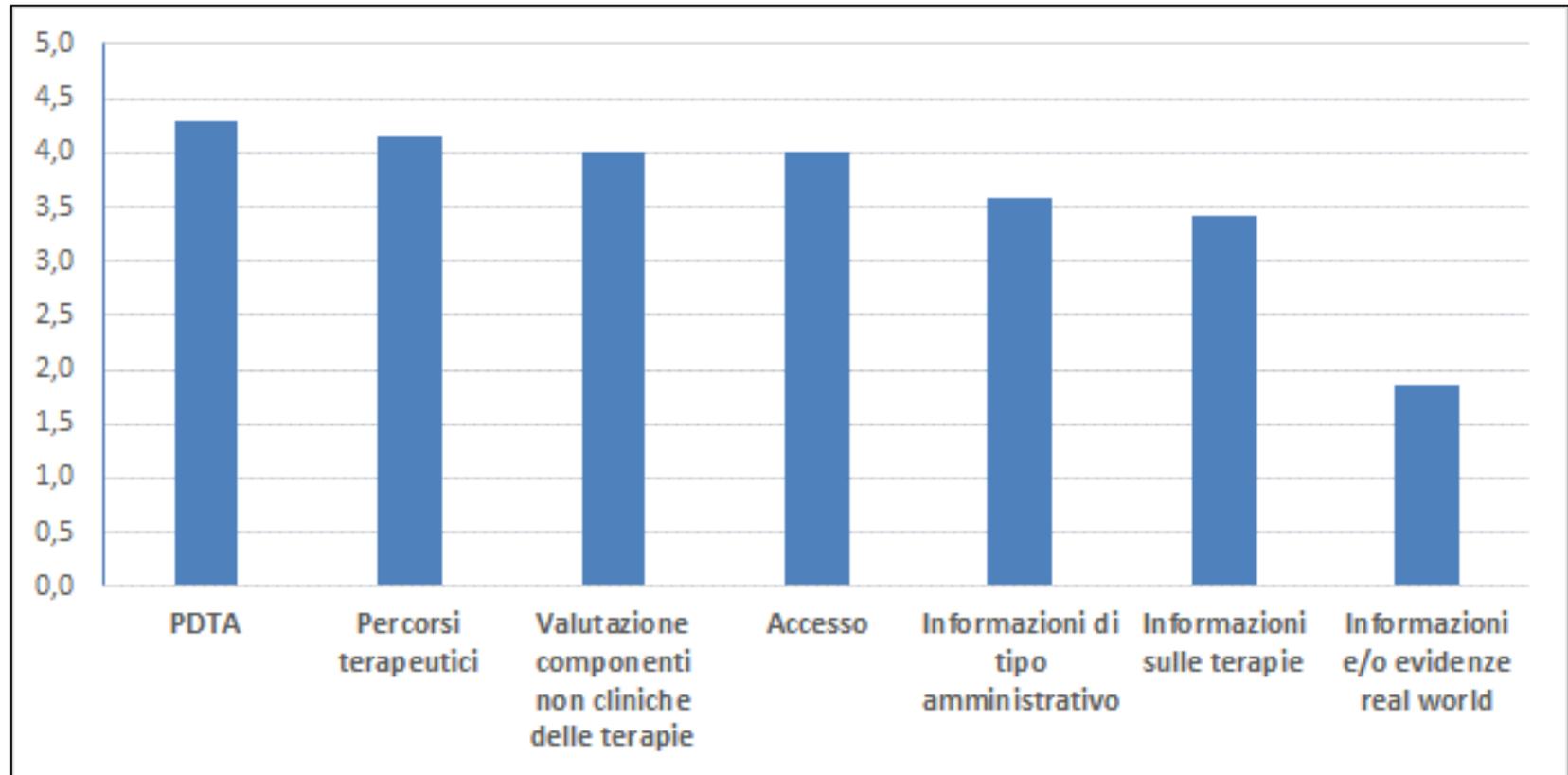
Ordinamento da 5 (maggiore conoscenza percepita / maggiore necessità di investimento per migliorare la conoscenza) a 1 (minore conoscenza percepita / minore necessità di investimento per migliorare la conoscenza)



Indice W di Kendall: 76% per il grado di conoscenze attuali, 37% per la necessità di investimento in futuro

Opinione su aspetti per cui le AP possono fornire un contributo utile al SSN

Ordinamento da 7 (maggiore importanza percepita) a 1 (minore importanza percepita).

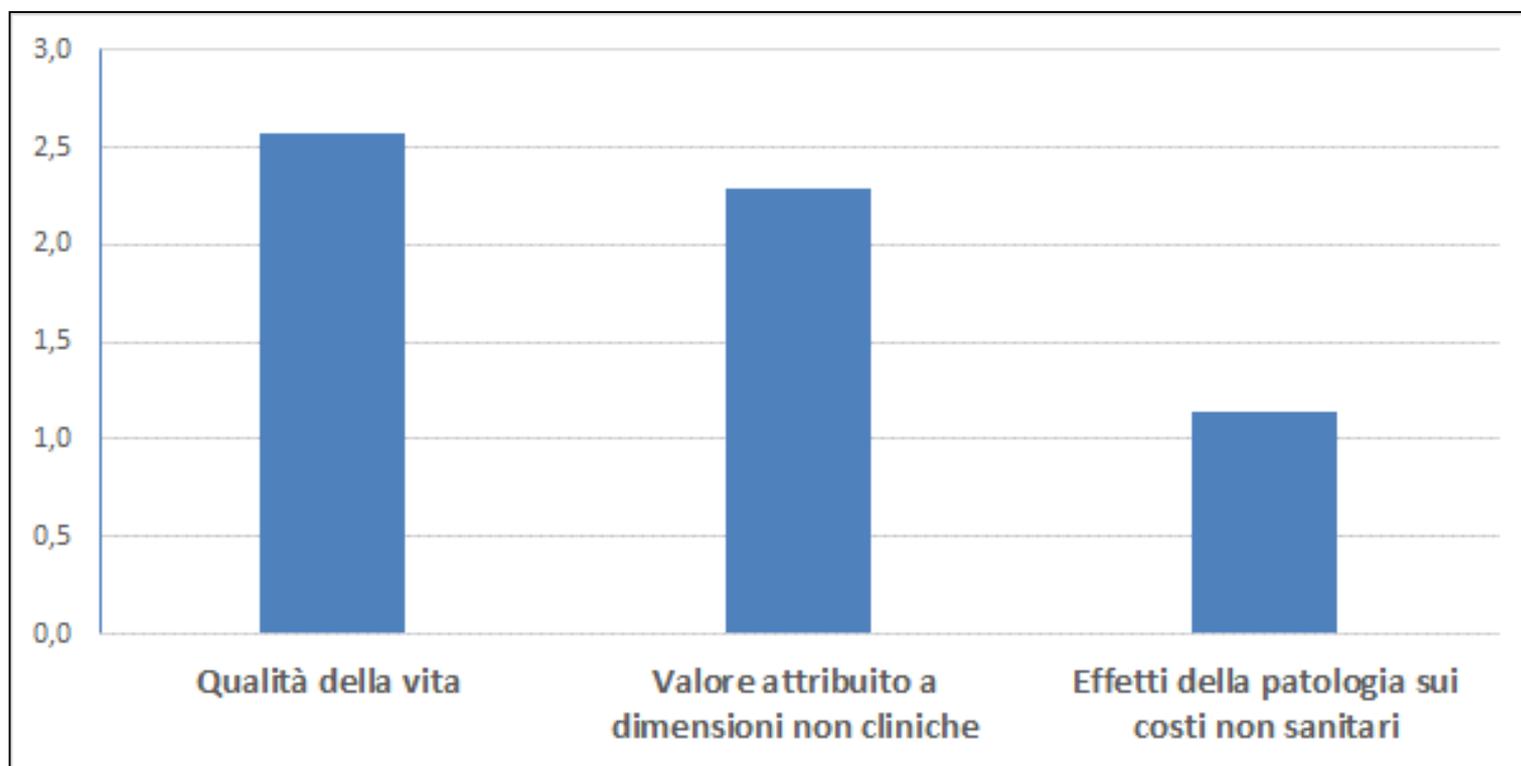


Indice W di Kendall: 15%

PDTA = Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali

Percezione su utilità delle AP nel supporto alla valutazione dei farmaci / tecnologie sanitarie

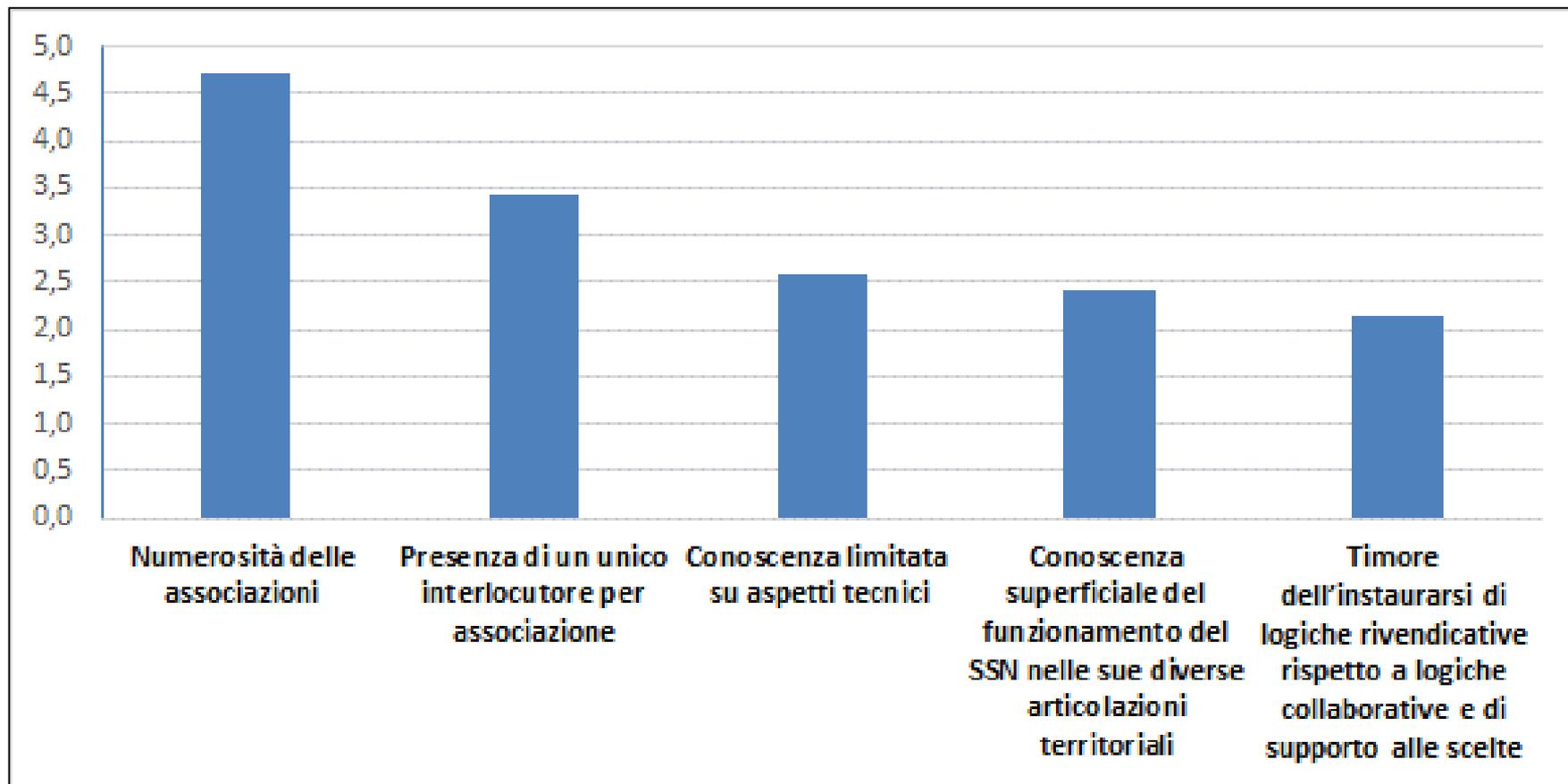
Ordinamento da 3 (maggiore utilità percepita) a 1 (minore utilità percepita)



Indice W di Kendall: 22%

Principali ostacoli ad un'interazione più strutturata con le Associazioni Pazienti

Ordinamento da 5 (maggiore ostacolo percepito) a 1 (minore ostacolo)



Indice W di Kendall: 30%

Prospettive future / richieste

- Percezione è che ruolo AP **sia destinato ad aumentare in futuro**
- Richiesta di integrazione tra associazioni su tematiche comuni o aree terapeutiche omogenee, per **evitare una frammentazione** non facilmente gestibile
- AP dovrebbero attivarsi, in ordine di priorità percepita, su
 - progettualità di **formazione** finalizzate ad aumentare le proprie competenze e contribuire quindi ad una corretta valutazione dei farmaci, ad una gestione appropriata degli stessi e ad una maggiore aderenza al trattamento
 - iniziative di **comunicazione** ai propri pazienti sulle regole di accesso ai farmaci, per contribuire anche con tali iniziative, ad una gestione appropriata delle terapie
 - progetti di **ricerca** finalizzati a valutare l'impatto dei farmaci, soprattutto in fase post marketing
- Due regioni hanno posto come elemento aggiuntivo di riflessione il tema dell'accreditamento delle AP e del conflitto di interessi

**Grazie per l'attenzione !!!
(claudio.jommi@unibocconi.it
claudio.jommi@uniupo.it)**
