

## **Considerazioni sulle “Linee Guida per la compilazione del Dossier a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo”** (AIFA 30 dicembre 2020)

Società Italiana di Health Technology Assessment – Sihta (11 Gennaio 2021)

### Premesse

La revisione delle LG è sembrata quanto mai opportuna per aggiornare quanto previsto dalla Delibera CIPE del 7 febbraio 2001 ed aggiornato dal Decreto Ministeriale dell'8 agosto 2019 che contiene le indicazioni, attualmente seguite dalle aziende industriali, per la compilazione dell'Istruttoria a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo.

### Aspetti generali della LG

Il Consiglio Direttivo della Sihta ha apprezzato l'iniziativa dell'AIFA di sottoporre a revisione pubblica la propria proposta di aggiornamento delle LG, pubblicata il 16 Settembre 2020. Sihta, come molte altre associazioni di categoria ed Istituzioni, cogliendo lo spirito collaborativo ed aperto della iniziativa di AIFA ha aderito alla call pubblica, redigendo una propria analisi delle LG proposte e individuando alcuni punti di miglioramento in merito ad un provvedimento di cruciale importanza per tutti gli attori del SSN. Tuttavia, la revisione condotta da AIFA, sulla scorta delle osservazioni e dei pareri inviati dalla Sihta e dalle altre società scientifiche (43 contributi), pur avendo introdotto importanti modifiche al testo non sembra aver colto a pieno e risolto le criticità emerse dalla analisi di quanto pubblicato il 16.09.2020

Di seguito proveremo a sintetizzare le note positive e gli elementi di criticità a nostro avviso rimasti inevasi.

### Note Positive:

- Viene, finalmente, definito obbligatorio l'inserimento delle Valutazioni Economiche per le nuove entità chimiche, farmaci orfani e/o nuove indicazioni di principi attivi già commercializzati e estensione di indicazioni (TN1);
- Viene fornita una definizione corretta e completa dei Costi Indiretti quali, perdita di produttività a causa della malattia del paziente e/o del caregiver, costi previdenziali e sociali, con riferimento al BIM (Budget Impact Model) e alle Valutazioni Economiche;
- Viene mantenuta e riconosciuta la rilevanza dell'introduzione degli scoping meeting;
- Vengono, giustamente, evidenziati i temi legati alla RWE, economia sanitaria e VBH in un'ottica di HTA che supporti l'accesso delle terapie in termini sia di Assessment che di Appraisal (non trascurando il processo di accesso nella sua globalità dal livello nazionale a quello territoriale). Questo supporta anche la valutazione in termini di innovazione incrementale delle tecnologie sanitarie.
- È stato aggiunto un importante approfondimento sia relativamente alla necessità di prendere in considerazione le Linee Guida a livello di Sistema Nazionale per la definizione dello SoC (Standard of Care), sia alla importanza di qualificare/quantificare la sottopopolazione target (chiaro il riferimento alla Best Supportive Care - BSC)
- Viene prevista la possibilità per le aziende di anticipare la richiesta più idonea alla tipologia di farmaco in domanda in termini di MEA. Si chiede di descrivere brevemente le eventuali ulteriori proposte economiche ai fini della rimborsabilità (Schemi di rimborso condizionato, registro di monitoraggio, tetti di spesa, sconti, etc.).
- Sono stati introdotti approfondimenti utili con riferimento all'orizzonte temporale delle analisi (in particolare per i BIM), specificando che questo deve essere almeno di 2 anni e che in aggiunta, può essere considerato un orizzonte temporale più ampio. Questo approccio permette, finalmente, di superare la logica del breve periodo che non permette di catturare l'impatto complessivo dell'utilizzo di un farmaco sul SSN e sul sistema sociale nel suo complesso, comprensivo dei costi sanitari evitabili a fronte di un miglioramento degli outcome sanitari, non solo nel breve ma anche nel medio-lungo periodo.
- Specifico riferimento all'utilizzo dei DALYs. Nel documento si fa espresso riferimento al fornire informazioni utili alla valutazione dell'impatto della patologia in termini di mortalità, disabilità, anni di vita persi per disabilità e morte prematura (DALYs), qualità della vita dei pazienti e ogni aspetto caratterizzante l'impatto della condizione clinica sui pazienti e sulla società.

### Note Critiche:

- L'attenzione alle LG, che in alcuni casi almeno, considerano anche aspetti legati ai requisiti organizzativi del percorso di cura può essere un primo segnale di attenzione alla dimensione dell'organizzazione. Ma anche in questa nuova versione delle LG si conferma come nessun'altra dimensione di valutazione, tra quelle tipicamente adottate dall'approccio HTA (vedi EUNetHTACore Model<sup>®</sup>), viene considerata se non tangenzialmente e comunque non in maniera compiuta. In particolare, non viene data sufficiente rilevanza alle implicazioni organizzative (e il valore generato ad esempio in termini di miglioramento/efficientamento dei processi di assistenza e cura), sociali (es. QoL di pazienti e caregiver, implicazioni per la vita sociale e la produttività del lavoro di pazienti e caregiver, ecc.), etiche e legali
- Assenza di BIM, nella griglia introduttiva, in tutte le TN tranne che nella TN1.
- Con riferimento alle sezioni del Dossier, da compilare obbligatoriamente per tipologia negoziale, si segnala la raccomandazione, per quanto attiene l'impatto economico e finanziario (Sezione E), dell'utilizzo delle analisi farmaco-economiche per la Tipologia negoziale TN-1. Appare sorprendente la mancata segnalazione/raccomandazione dell'utilizzo delle analisi farmaco-economiche per le Tipologie negoziali TN-2 e TN-6.
- Status brevettuale, capacità produttiva e contributi e incentivi di natura pubblica sono elementi che non dovrebbero influenzare in maniera così sostanziale la richiesta (in questa versione sono approfonditi).
- Lo split delle procedure speciali e l'inserimento di richieste aggiuntive, sembrano far prevalere il legittimo obiettivo di controllare la spesa con l'introduzione di comparatori come farmaci in 648 e classe C rispetto all'obiettivo di garantire una valutazione appropriata rispetto al valore del medicinale introdotto così da garantire i pazienti e far sì che il Ssn possa garantire una corretta appropriatezza prescrittiva in base ai reali bisogni dei pazienti. Ancora, sarebbe importante valutare non solo il costo del singolo comparatore, ma confrontare il costo dei percorsi delle LG con quelli ipotizzabili con il nuovo farmaco.
- Continua a mancare, con riferimento agli aspetti del dominio "economico", un riferimento specifico all'utilità di studi di Cost-of-Illness (o socio-economic burden), indispensabili per esprimere un giudizio da parte dell'Agenzia sul "merito sociale" del prodotto in relazione all'area terapeutica al quale si riferisce.

L'appendice del documento continua ad essere strutturata molto bene e, con specifico riferimento alle "Modalità di sviluppo e presentazione delle valutazioni economiche e impatto economico-finanziario" e alla "Analisi costo-efficacia e costo-utilità", vede un approfondimento importante con specifico

riferimento agli aspetti metodologici che soltanto in maniera parziale (migliorativa rispetto alla prima versione: vedi specifica sui costi indiretti e inclusione delle valutazioni economiche nella griglia per i prodotti in TN1) vengono poi presi in considerazione nelle raccomandazioni iniziali.

Ancora poco, purtroppo, sembra essere stato preso in considerazione con riferimento ai contributi delle Società scientifiche, Associazioni e altri Stakeholder e questo ha comportato la redazione di una Linea Guida che, seppur richiedendo la presentazione di istruttorie più aggiornate, dall'altra rischia di non valorizzare l'innovatività portata alla luce dalla ricerca industriale.

### Conclusioni e sintesi

Sihta ha apprezzato l'iniziativa di AIFA di aprire, prima, un confronto sulla proposta di "Linee Guida per la compilazione del Dossier a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo" e di aver quindi pubblicato, una versione rivista alla luce delle osservazioni espresse dagli stakeholders che hanno aderito alla call. Nonostante questa revisione La proposta di LG, non sembra ancora adatte a rispondere alle nuove ed emergenti esigenze dettate da cambiamenti del contesto demografico, epidemiologico, socio- economico e tecnologico intervenuti nel SSN. In un contesto globale che cerca di garantire innovatività, sostenibilità ed accessibilità alle cure per tutti nel solco del "valore", questa proposta di LG non sembra ancora contribuire pienamente alla sfida di implementare l'approccio del value based pricing.

Continua a venire meno una chiara connessione tra l'analisi del valore e le condizioni di prezzo e rimborso in termini di trasparenza ed evidenza pubblica per metodi usati e risultati della valutazione, ottenuti nei diversi momenti del ciclo di vita delle tecnologie (investimento e disinvestimento). Ulteriore criticità si riscontra nella non terzietà della componente valutativa (HTA) da quella autorizzativa e di negoziazione del prezzo. Al di là degli incentivi economici crediamo che sia importante considerare il contributo sempre più rilevante che i dati raccolti nell'ambito dell'attività clinico diagnostica possono fornire allo sviluppo non solo di metodiche diagnostiche ma anche di farmaci. Si tratta di un patrimonio informativo prezioso per validare metodiche e individuare ambiti di applicazione di una tecnologia.

Sihta, attraverso gli esperti del suo direttivo, rimane sempre disponibile ad un confronto con AIFA nel più genuino spirito collaborativo con la finalità

di dotare il SSN e il sistema "Paese" nel suo insieme, di uno strumento in grado di garantire accesso tempestivo alle soluzioni di valore per pazienti e cittadini, garantendo continuità al SSN e sociale e competitività per il sistema economico circostante.