

L'ACCESSO DELLE ATMP IN ITALIA: tra Valore e Hta

Le Advanced Therapies Medicinal Products, rappresentano oggi l'avanguardia della farmacologia, delle biotecnologie e dei processi gestionali che *trainano* la medicina verso confini inesplorati

—
di ANNA PONZIANELLI, NICOLÒ BENDINELLI

Nei prossimi anni assisteremo ad un progressivo ampliamento degli ambiti di applicazione di tali soluzioni terapeutiche in termini di eterogeneità delle patologie target ma anche di numerosità dei soggetti candidabili. Questo, compatibilmente con gli obiettivi di sostenibilità dei paesi, rispecchierà anche la

capacità dei servizi sanitari di ampliare e anticipare le campagne di screening in un'ottica di prevenzione. Le Aziende Farmaceutiche si inseriscono in questo scenario per garantire l'evoluzione delle competenze dei professionisti sanitari coinvolti nell'erogazione di questi farmaci ed il rispetto degli standard qualitativi della tecnologia, delle strutture

e dei processi logistici e di manipolazione.

Ad oggi, Ema ha approvato 18 Atmp, di cui sette sono rimborsate in Italia. A nostro avviso due sono i punti di riflessione ricorrenti nella discussione con gli interlocutori Italiani. Il primo riguarda la necessità di abbandonare modelli di gestione "stagna" delle risorse; il secondo riguarda invece la neces-

sità di consolidare modelli di dialogo precoce fra tutti gli stakeholder coinvolti nell'ecosistema delle Atmp. Un esempio che, a nostro parere, ha toccato entrambi gli aspetti di questa discussione è quello delle Car-T Cell in ambito onco-ematologico. La nuova terapia immunocellulare "tisagenlecleucel" ha, infatti, spianato la strada ad una serie di

innovazioni (accordi e processo) il cui "uptake" è stato fortemente influenzato dalla capacità delle parti di collaborare su più aspetti. Anche grazie questo approccio collaborativo gli stakeholder del Ssn hanno acquisito consapevolezza sul potenziale terapeutico delle Car-T ancora prima della conclusione del suo iter negoziale. Oltre alla natura innovativa dell'accordo che ha previsto un sistema di "Payment at Result", l'esperienza è iniziata con un programma di uso compassionevole; l'erogazione anticipata dei primi trattamenti ha impattato sulle successive attività di "capacity building", selezione dei centri e identificazione dei Drg più appropriati per la rendicontazione dei costi. Ad oggi sono stati trattati oltre 200 pazienti, ma continua la revisione dinamica dei criteri di accesso alle cure in ottica di sostenibilità del Sistema Salute. Anche spostandosi dall'ambito onco-ematologico in quello delle malattie ereditarie, troviamo Atmp gestite con forme di accesso anticipato alle cure. È stato questo il caso di voretigene neparvovec, prima terapia genica in ambito oftalmologico commercializzata con il nome Luxturna®. Il farmaco è stato reso disponibile prima della

conclusione dell'iter P&R attraverso lo strumento del Fondo 5%.

Sulla scia di questa e di altre esperienze, sarà importante favorire la discussione e l'avvio di progettualità che garantiscano la 'programmabilità' degli interventi e dei fabbisogni e stesso.

Da un punto di vista regolatorio, in Europa si sta aprendo uno scenario completamente nuovo basato sulla raccolta di evidenze in "Real Life" con iniziative 'mandatorie' e programmi di supporto che facilitano lo scambio di informazioni fra clinici, regolatorie e caregiver. Relativamente agli aspetti salienti del processo P&R delle terapie innovative ed avanzate l'elemento più innovativo è da iden-

Nell'ottobre 2017 la Commissione europea e l'EMA hanno pubblicato un piano d'azione congiunto sulle Atmp, che mira a semplificare le procedure e ad affrontare meglio i requisiti specifici degli sviluppatori di Atmp.



tificarsi nell'applicazione del sistema delle "annuities" ma anche in questo caso in un approccio che ha comportato ad un accesso alla cura prima della conclusione dell'iter P&R attraverso la legge 648.

Sebbene Aifa abbia dimostrato, soprattutto nelle esperienze sopra citate, professionalità, flessibilità e lungimiranza nei processi valutativi di medicinali di terapia avanzata, questi restano un chiaro elemento di criticità per le Agenzie di molte altre realtà Europee. **Il rischio è quello di un ritardo sostanziale e generalizzato nella presa in carico di tecnologie che, oltre a offrire risposte terapeutiche dirompenti, sono la base per un ammodernamento dei processi valutativi.** In tal senso, il Regolamento Europeo dell'Hta, adottato nel gennaio 2022, sostituisce l'attuale sistema basato sulla rete volontaria delle Autorità Nazionali con un quadro permanente di lavoro che identifica proprio le Atmp, insieme ai medicinali orfani e ai vaccini, come uno dei target preferenziali per le valutazioni cliniche con-

giunte. Le relazioni che verranno prodotte a partire dal 2025 nell'ambito dei "Joint Clinical Assessment" non conterranno alcun giudizio circa il valore terapeutico aggiunto ma si limiteranno a una descrizione dell'analisi scientifica di aspetti quali il grado di certezza degli effetti terapeutici, dei punti di forza e dei limiti delle evidenze disponibili. Riguardo gli orientamenti metodologici delle valutazioni, molto è già stato fatto in seno alle Joint Action di EUnetHTA che, dopo la sua riorganizzazione ha già rinnovato la chiamata a sottomettere richieste di valutazione congiunta, e non vincolante, di medicinali oncologici e terapie avanzate per le quali non esistono linee guida definite per lo sviluppo clinico. L'obiettivo di questa e altre progettualità pivotali che seguiranno prima del 2025, è quello di plasmare un contesto collaborativo favorente lo sviluppo di medicinali quali le Atmp attraverso percorsi di consulenza sui piani di generazione delle evidenze e sui processi di sviluppo delle stesse.

“ AD OGGI, EMA HA APPROVATO 18 ATMP, DI CUI 7 SONO RIMBORSATE IN ITALIA ”