

La sfida delle terapie avanzate e il modello italiano

Le terapie avanzate esistono, come categoria farmaceutica, dal 2007 quando sono state introdotte come classe a sé stante dal parlamento europeo. Cosa sono, come funzionano e perché sono importanti



di **FRANCESCA PASINELLI**

30 luglio 2019, 19:46



f SHARE

TWEET

 SHARE

TERAPIE AVANZATE

 SHARE

 MAIL

 SHARE

Chiunque avesse l'occasione di trascorrere anche una sola giornata insieme a una delle famiglie toccate da malattie che

causano disabilità importanti e per cui non esiste una cura, non avrebbe alcuna difficoltà a intuire l'impatto che l'applicazione di una terapia risolutiva, come può essere, per esempio, una terapia genica, possa produrre a tutti i livelli della vita dell'intera famiglia. Oltre all'incalcolabile valore in termini di qualità della vita - oppure di alternativa tra vita e non vita- l'accesso alla terapia significa minore necessità di usufruire dei servizi sanitari e sociali, la possibilità per entrambi i genitori di lavorare a tempo pieno e per il bambino di diventare un adulto attivo.

Nella pratica, questo calcolo oggi sfugge o è, più o meno significativamente, sottovalutato da chi deve prendere la decisione finale che consente l'accesso dei pazienti alle terapie avanzate. Ciò è anche dovuto alla sostanziale impermeabilità tra comparti sanitario e sociale che rende difficile arrivare a una stima esaustiva dell'impatto.

La sfida dell'accesso alle terapie avanzate

Le terapie avanzate esistono, come categoria farmaceutica, dal 2007 quando sono state introdotte come classe a sé stante dal parlamento europeo. Da allora 14 terapie avanzate sono

state registrate in Europa e 4 di queste -le prime ad arrivare alla registrazione- sono state poi ritirate dall'azienda produttrice principalmente per ragioni di scarsa convenienza.

La Alliance for Regenerative Medicine (ARM) - organo internazionale di advocacy a cui aderiscono centri di ricerca, società scientifiche, enti finanziatori, aziende farmaceutiche e biotech- ha presentato in questi giorni un rapporto che pone l'attenzione sugli ostacoli che possono interferire con l'accesso dei pazienti alle terapie avanzate e propone alcune raccomandazioni per superarli. Il documento parte dall'analisi di questi processi in Francia, Germania, Italia, Spagna, Svezia e UK e propone soluzioni declinabili in tutti i paesi europei. La registrazione di una terapia come farmaco è il primo fondamentale requisito per renderla fruibile ai pazienti, ma non è sufficiente. Per completare il percorso bisogna deve fare i conti con altri passaggi cruciali.

Il rapporto ARM parla di un vero e proprio "paradosso" per cui, sebbene l'iter regolatorio per queste terapie sia spesso facilitato in virtù del loro portato innovativo e dei bisogni medici insoddisfatti a cui si rivolgono, tale vantaggio viene spesso perso nella fase di accesso al mercato.

In questa fase entra in gioco il ruolo del cosiddetto "pagatore" che, con modalità diverse in base ai sistemi sanitari, valuta il bilancio costi/benefici dell'adozione della terapia e decide se e come introdurla nella pratica medica del proprio paese. E i metodi utilizzati finora per valutare i farmaci tradizionali non fotografano in modo adeguato l'impatto a lungo termine delle terapie avanzate che, tipicamente, richiedono un ingente esborso iniziale, anche a fronte di un complesso sistema di produzione e somministrazione, ma, nella maggior parte dei casi, cambiano definitivamente la vita del paziente e di chi si prende cura di lui.

Da dove partire

Le raccomandazioni proposte nel rapporto ARM per superare questo impasse derivano, oltre che dalla fotografia della situazione attuale, dal dialogo con i rappresentanti di tutti le parti coinvolte, quindi anche i pagatori e gli organi di Health Technology Assessment che sono deputati a svolgere proprio i "calcoli" di cui sopra.

Dall'indagine di ARM emerge l'esigenza di potenziare la raccolta dei cosiddetti "dati di vita reale" che permettono di analizzare nel tempo l'impatto globale delle terapie sulla vita dei pazienti. In altre parole, l'osservazione della vita quotidiana delle famiglie di cui parlavamo all'inizio deve tradursi in dati quantificabili e utilizzabili, quindi affidabili.

E le infrastrutture per la raccolta di questi dati dovrebbero essere, idealmente, predisposte al livello europeo in modo da ottenere informazioni omogenee da una popolazione più ampia possibile. Anche valorizzando anche gli strumenti già in uso come i registri di patologia e gli studi di storia naturale della malattia.

Nuovi modelli economici

La capacità di valutare l'impatto, complessivo e nel lungo periodo, delle terapie avanzate costituisce la base per l'elaborazione di modelli innovativi di pagamento specifici per le caratteristiche di queste terapie. L'obiettivo è costruire un sistema sostenibile e in grado di

assorbire anche le terapie che arriveranno a registrazione nei prossimi anni dagli oltre mille studi clinici attualmente in corso con strategie di questo tipo. A tale scopo il rapporto ARM propone anche la costituzione di fondi, nazionali ed europei, dedicati a sostenere l'accesso dei pazienti alle terapie avanzate.

Nel documento si sottolinea anche l'esigenza di rivedere la cornice legislativa e amministrativa che regola la mobilità dei pazienti all'interno del continente europeo, perché la complessità di produzione e somministrazione delle terapie avanzate fa sì che, nella maggior parte dei casi, queste siano disponibili solo presso pochi centri di riferimento.

L'esempio di Aifa

È interessante notare che tra le ricette da cui trarre ispirazione per sostenere l'accesso dei pazienti alle terapie avanzate alcune fondamentali proposte provengono proprio dal nostro paese. Le raccomandazioni del rapporto ARM fanno, infatti, riferimento a strumenti innovativi creati dall'Agenzia italiana del farmaco.

Tra questi si analizzano in particolare gli accordi che consentono la condivisione del rischio, tra produttore e pagatore, sulla base di obiettivi concordati relativi all'impatto delle terapie nel tempo, come il cosiddetto modello "pay by result", e la costituzione di un fondo dedicato ai farmaci innovativi che consente di gestire in modo rapido l'accesso a queste terapie senza distinzioni su base regionale.

Queste pratiche virtuose introdotte da AIFA sono nate anche nel contesto delle prime terapie avanzate sviluppate in Italia per malattie rare e neglette. Patologie per le quali vale sicuramente la pena di promuovere al livello europeo una valutazione ad hoc sulla gestione trans-nazionale dell'accesso alla cura.