



The Travel Journey to Healthcare Innovation

Strategie per una sanità efficiente:

proposte di riforma per l'accesso ai farmaci in Italia

PREMESSA

Il sistema sanitario italiano è riconosciuto per l'alta qualità e l'innovazione della sua industria farmaceutica, ma affronta sfide significative nella gestione dell'accesso ai farmaci. Le procedure burocratiche, i ritardi nell'approvazione e rimborso, e le disuguaglianze regionali sono ostacoli che penalizzano l'efficacia complessiva del sistema, ritardando l'accesso alle cure per migliaia di pazienti. Questo documento intende proporre una serie di riflessioni orientate a migliorare l'efficacia, l'equità e la sostenibilità del sistema di accesso ai farmaci, con l'obiettivo di porre l'Italia tra i Paesi leader in Europa per innovazione e accessibilità.

OBIETTIVI GENERALI DELLA PROPOSTA

I punti chiave della proposta mirano a garantire un accesso uniforme, rapido ed equo ai farmaci attraverso i seguenti obiettivi:

1. **Ridurre i tempi complessivi di accesso** ai farmaci essenziali, soprattutto per i pazienti che necessitano di terapie urgenti (oncologiche, malattie rare).
2. **Eliminare le disuguaglianze regionali**, garantendo uniformità di accesso e criteri di approvazione e rimborso validi a livello nazionale.
3. **Rendere più efficiente il processo amministrativo**, rimuovendo le duplicazioni e semplificando le procedure.
4. **Allineare i percorsi diagnostici e terapeutici** in modo che il processo prescrittivo sia integrato con i percorsi diagnostici (PT – note – centri prescrittori/prescrizioni – test diagnostici/biomarcatori).
5. **Ripristinare la leadership dell'Italia a livello europeo**, sviluppando un modello di accesso rapido, efficiente e innovativo ai farmaci.

ANALISI DEI PROBLEMI ATTUALI E CONTESTO D'INTERVENTO

1. Disomogeneità regionali

- Le differenze tra le Regioni generano disuguaglianze significative nell'accesso ai farmaci. Attualmente, ogni Regione gestisce autonomamente le approvazioni e i rimborsi, causando ritardi e variabilità nell'accesso alle cure per i cittadini.

2. Opportunità di miglioramento nei tempi di approvazione

- Sebbene l'Italia abbia compiuto progressi significativi, esistono ulteriori margini di miglioramento per accelerare l'accesso dei pazienti alle terapie innovative. Semplificare i processi burocratici e rafforzare la collaborazione tra le diverse istituzioni coinvolte potrebbe contribuire a ridurre ulteriormente i tempi di approvazione, offrendo benefici tangibili ai cittadini.

3. Valorizzazione strategica e obiettiva del farmaco

- I farmaci, spesso considerati principalmente come una voce di spesa, potrebbero essere invece valorizzati tenendo conto dei benefici a lungo termine che un accesso tempestivo può offrire, sia in termini di risparmi per il sistema sanitario sia di miglioramenti negli esiti clinici per i pazienti.

Un approccio più bilanciato nella valutazione potrebbe includere un maggiore coinvolgimento di clinici esperti che trattano direttamente i pazienti, integrando così una prospettiva pratica e mirata. Questo permetterebbe di dare il giusto rilievo ai dati di efficacia e ai benefici concreti per i pazienti, senza enfatizzare eccessivamente aspetti come i dati preliminari su sicurezza o eventi avversi (AE), garantendo una visione più completa e obiettiva del valore del farmaco.

4. Criteri di innovatività

- I criteri di innovatività attuali non sono adeguati ai progressi della ricerca e alle effettive esigenze dei pazienti e risultano poco flessibili per adattarsi rapidamente alle nuove esigenze terapeutiche. Nella **Legge di Bilancio, art. 49** si fa riferimento ai farmaci innovativi e i criteri che saranno definiti, lasciando margine per interventi più ambiziosi e impattanti a sostegno dell'innovazione.

Art. 49 (Misure in materia di farmaci innovativi, antibiotici reserve e farmaci a innovatività condizionata)

- **Valutazione dell'innovatività:** *L'innovatività di un farmaco è determinata da fattori quali tecnologia di produzione, meccanismo d'azione, modalità di somministrazione, efficacia clinica, sicurezza, impatto sulla qualità della vita e implicazioni organizzative per il sistema sanitario.*
- **Criteri di innovatività:** *Un farmaco è considerato innovativo in base a risultati di efficacia e sicurezza rispetto alle alternative disponibili nel prontuario nazionale per una specifica indicazione terapeutica.*
- **Fondo per farmaci innovativi:** *Le risorse del Fondo (istituito dalla Legge 232/2016) sono destinate a favorire l'accesso a farmaci innovativi per malattie gravi e a medio-basso impatto epidemiologico, con specifiche procedure.*

- **Utilizzo del Fondo:** Le risorse non utilizzate confluiscono nel finanziamento sanitario nazionale. L'eventuale eccedenza di spesa per farmaci innovativi è soggetta a specifici tetti e meccanismi di ripiano.
- **Definizione dei criteri:** Entro il 31 marzo 2025, l'AIFA stabilirà criteri per attribuire l'innovatività terapeutica e consentire il finanziamento tramite il Fondo.
- **Durata e ambiti:** L'innovatività terapeutica, valida per 36 mesi, è attribuita se il farmaco dimostra benefici significativi (es. guarigione, rallentamento malattie, miglioramento qualità della vita). Sono inclusi aspetti specifici per malattie rare.
- **Monitoraggio AIFA:** I farmaci innovativi sono soggetti a monitoraggio tramite registri AIFA. Il requisito di innovatività non è applicabile a farmaci senza copertura brevettuale.

8-9. Farmaci a innovatività condizionata e antibiotici reserve: Dal 2025, accedono al Fondo con limiti di spesa annuali (300 milioni per farmaci condizionati; 100 milioni per antibiotici reserve e critical secondo WHO).

La definizione di innovatività non si applica agli antibiotici di cui al comma 9 (reserve e nella lista (critical) secondo WHO.

- **Limite complessivo del Fondo:** Dal 2025, il Fondo per farmaci innovativi ha un limite massimo di 900 milioni di euro annui.

DOVE INTERVENIRE

Area di Intervento	Politici / Ministero	AIFA	Regioni	Cittadini / Pazienti	Università / Società Scientifiche
Ricerca	- Regolamentazione - Creazione di incentivi fiscali per la ricerca. - Riforma degli IRCCS per favorire la ricerca clinica e sostenere l'innovazione		- Obiettivi etici - KPI per monitorare la ricerca		- Advocacy per sostenere la ricerca
Autorizzazioni & Early Access	- Supporto per autorizzazioni semplificate (648/326/CNN) - Nuove regole per early access - Percorsi preferenziali per farmaci innovativi.	- Integrazione e gestione trasparente dei percorsi di accesso rapido - Produzione di nuove regole per migliorare l'accesso		- Advocacy per accesso equo	
Percorsi Diagnostici	- Creazione di linee guida unificate per i percorsi diagnostici. - Migliorare l'accesso a test diagnostici e biomarcatori.	- Criteri per accesso prioritario - Monitoraggio dell'efficacia	- Prioritizzazione dei percorsi per pazienti - Dialogo e condivisione di dati	- Partecipazione attiva nel monitoraggio	- Supporto metodologico per la definizione dei percorsi
Rimborso e Innovatività	- Nuovo Decreto 2 agosto 2019 - Definizione di criteri chiari per l'innovatività.	- Semplificazione delle procedure di rimborso. - Prioritizzazione Dossier - Criteri per l'innovatività.	- Rispetto delle norme nazionali - Trasparenza sui criteri	- Chiarezza delle informazioni ricevute	- Collaborazione per evidenze scientifiche - Metodologia

Area di Intervento	Politici / Ministero	AIFA	Regioni	Cittadini / Pazienti	Università / Società Scientifiche
Accesso Regionale	- Uniformità di accesso regionale - Rispetto norme - Monitoraggio parte amministrativa	- Condivisione e trasparenza delle informazioni	- Condivisione e trasparenza delle informazioni - garanzia accesso locale in tempi brevi	- Trasparenza sulle informazioni	
Post-Accesso e Monitoraggio	- Stabilire set minimo di informazioni condivise	- Monitoraggio continuo della sicurezza - Trasparenza e pubblicazione dei dati	- Coinvolgimento nella gestione del monitoraggio a livello regionale	- Accesso ai dati di monitoraggio	- Partnership nella ricerca per innovazione

COME INTERVENIRE

1. Ottimizzazione del processo di approvazione

- **Sistema di Triage per i farmaci:** Stabilire una procedura di triage per le nuove terapie, differenziando i percorsi di accesso in base a urgenza clinica, innovatività e impatto sul paziente. Questo approccio può aiutare a gestire in modo più efficiente il processo di approvazione e accesso, dando priorità ai farmaci che:
 - **Trattano condizioni gravi o malattie rare.**
 - **Hanno un elevato valore terapeutico o innovativo.**
 - **Rispondono a bisogni clinici non coperti da altre terapie.**
- **Classificazione e percorsi differenziati:** Definire percorsi di approvazione diversi in base alla tipologia del farmaco (innovativo, generico, rinnovo di confezione). Quelli con priorità alta possono seguire un **percorso accelerato** per l'approvazione, mentre quelli con priorità bassa possono seguire un iter standard. Implementare percorsi di approvazione e monitoraggio che siano flessibili e adattabili alle esigenze cliniche.
- **Allocazione delle risorse:** Le risorse amministrative e cliniche vengono concentrate sulle terapie con maggiore impatto e necessità immediata.

2. Ridefinizione dei criteri di innovatività (Nella Legge di Bilancio **art. 49** si fa riferimento a *Misure in materia di farmaci innovativi, antibiotici reserve e farmaci a innovatività condizionata*)

- **Coinvolgimento degli stakeholder** come rappresentanti di pazienti, clinici e società scientifiche nella definizione dei criteri di innovatività per rispondere meglio alle esigenze cliniche e terapeutiche.

- Promuovere l'adozione di criteri basati sul valore aggiunto per i pazienti e il sistema.
- Aggiornare i criteri regolarmente in base ai feedback e all'evidenza scientifica.
- **Valorizzazione del farmaco:** Definire chiaramente il valore del farmaco secondo un approccio di Health Technology Assessment (HTA), tenendo in considerazione gli aspetti economici, organizzativi, sociali, legali ed etici dei farmaci per orientare le scelte di approvazione e rimborso.

3. Decreto Prezzi e rimborso

Decreto moderno e condiviso: Il nuovo decreto dovrebbe essere formulato in modo tale da essere chiaro, comprensibile e condiviso da tutti gli attori coinvolti, inclusi AIFA, Regioni, e altri stakeholder sanitari.

- **Esiti delle negoziazioni:** Stabilire processi trasparenti e prevedibili per le negoziazioni di prezzo e rimborso dei farmaci, assicurando che le tempistiche e le procedure siano ben definite.
- **Prevedibilità delle decisioni:** È fondamentale che i criteri di approvazione e rimborso siano trasparenti e prevedibili, in modo che le aziende farmaceutiche possano anticipare i requisiti e i tempi necessari per l'accesso al mercato.
- **Modello di Health Technology Assessment (HTA):** Implementare un modello di Health Technology Assessment (HTA) basato su criteri di **valore, dati e impatto clinico**. Questo approccio permette di determinare il valore aggiunto dei farmaci, valutandone l'efficacia relativa, gli aspetti economici, organizzativi, sociali, legali ed etici, facilitando decisioni di approvazione e rimborso informate e orientate al paziente.

4. Rafforzamento del ruolo degli stakeholder e condivisione delle responsabilità

- **Pianificazione delle attività:** Promuovere la generazione di evidenze e investimenti in ricerca clinica, coordinando le esigenze di pazienti e sistema sanitario.
- **Tavoli di consultazione permanente:** Creare tavoli di confronto tra AIFA, associazioni di pazienti, Regioni, aziende farmaceutiche e società scientifiche. L'inclusione di tutti gli attori migliorerà la trasparenza e consentirà decisioni più informate, ispirandosi alle best practice dell'EMA.
- **Integrazione delle prospettive dei pazienti:** Includere rappresentanti delle associazioni di pazienti nei processi decisionali per garantire che le loro esigenze siano ascoltate e considerate nelle fasi di valutazione.
- **Partnership Pubblico-Privato:** Incentivare collaborazioni tra enti pubblici e privati sviluppare o colmare gap di evidenze scientifiche e rafforzare

l'impatto delle terapie innovative. Coinvolgere il settore privato in progetti di ricerca condivisa e potenziare l'innovazione.

5. Riforma dell'AIFA e ottimizzazione delle risorse

- **Riorganizzazione delle priorità interne:** Adottare un sistema di triage interno per classificare le pratiche di approvazione in base alla gravità e al potenziale impatto terapeutico del farmaco.
- **Investimenti in data management e monitoraggio:** Sviluppare capacità avanzate di raccolta e analisi dei dati, per monitorare l'efficacia dei farmaci e aggiornare costantemente le linee guida terapeutiche.
- **Trasparenza e accessibilità dei dati:** Creare una banca dati pubblica che raccolga informazioni aggiornate sui farmaci approvati, accessibile a tutti gli stakeholder per promuovere un processo decisionale trasparente e informato.

PROPOSTA DI RIFORMA: stabilire un modello chiaro e inclusivo di accesso e rimborso

- **Modello di rimborso:** Creare un modello di rimborso che sia chiaro, inclusivo e allineato con i requisiti internazionali. Questo modello dovrebbe:
 - essere trasparente e comprensibile per tutti gli stakeholder, inclusi cittadini e pazienti.
 - includere una revisione sistematica dei criteri di accesso e rimborso, basata su evidenze scientifiche e sull'impatto dei farmaci.
- **Connessione con il mondo esterno:** il nuovo modello di accesso e rimborso deve essere integrato con standard internazionali, favorendo uno scambio di conoscenze e pratiche con altri Paesi per migliorare continuamente il sistema.

FASI DI IMPLENTAZIONE E MONITORAGGIO DELLA RIFORMA

1. **Coordinamento tra stato e regioni:** avviare un tavolo di lavoro per identificare le priorità e delineare le modalità operative, coinvolgendo Stato, Regioni, AIFA e altri stakeholder.
2. **Sviluppo di una piattaforma per la condivisione dei dati:** creare una rete digitale che consenta la condivisione immediata delle informazioni tra AIFA, Regioni e altri attori coinvolti, riducendo le duplicazioni e migliorando la coerenza delle decisioni.
3. **Monitoraggio e indicatori di performance (KPI):** stabilire KPI per valutare la qualità dell'accesso ai farmaci, i tempi di approvazione e la soddisfazione dei pazienti. I dati raccolti attraverso i KPI guideranno eventuali aggiustamenti delle politiche in tempo reale.

Al Think Tank ITHACA partecipa un team di esperti nelle scienze regolatorie e un selezionato gruppo i professionisti esperti in politiche di market Access che operano nelle aziende che sostengono l'iniziativa (AstraZeneca, Beigene, BMS, Boehringer Ingelheim, Csl Vifor, Merck, Pfizer, Servier, Vertex)