



II GIORNATA  
**FARMACI INNOVATIVI**  
**QUALITA' EFFICACIA APPROPRIATEZZA**  
Garanzia dell'Universalità delle Cure sul Territorio Nazionale

**Tra Consumismo e Appropriatezza nei 21 Sistemi Diversi di Accesso:  
Miracolo o Miraggio**

Venerdì 18 dicembre 2009 ore 08.30 – 14.00

**CAMERA DEI DEPUTATI**  
Palazzo Marini – Sala delle Conferenze  
Roma

**PROBLEMI DI ACCESSO AI NUOVI FARMACI ONCOLOGICI**

**Prof. Francesco Saverio Mennini**

Docente di Economia Sanitaria e Politica Economica, Università "Tor Vergata" e Università "La Sapienza" – Roma

L'impatto a livello mondiale dei farmaci oncologici è pari a ca. US \$ 48 miliardi, e questa è la prima classe terapeutica, con le vendite più elevate e con un tasso di crescita rilevante del 11,3% (nel 2008) (IMS Health, 2008). Lo scenario attuale si è palesato dopo il 2005, quando la ricerca e sviluppo (R & S) nel settore delle malattie oncologiche ha portato all'introduzione di nuove terapie *target*.

L'Italia è il quinto mercato farmaceutico mondiale (EFPIA, 2009), con una spesa complessiva di oltre € 24 miliardi di euro e con un impatto dei farmaci oncologici di circa € 1,3 miliardi (AIFA, 2009). Nonostante la rilevante spesa farmaceutica, l'ammontare degli investimenti per la R & S in Italia è al quinto posto in Europa con un valore di circa tre volte inferiore a quello del quarto paese (3 miliardi di € della Svizzera - EFPIA, 2009).

Inoltre, il contesto italiano è caratterizzato da una disciplina rigorosa per l'introduzione di farmaci (OCSE 2008). In particolare, tra i paesi Europei, in Italia c'è un potere legislativo centrale (che definisce sia la rimborsabilità che il prezzo dei farmaci per il SSN italiano) e un ruolo regionale, che a livello locale deve organizzare la fornitura dei farmaci quale fornitore finale per la cura dei pazienti.

Una recente indagine internazionale (Jonsson & Wilking, 2008) ha mostrato che l'Italia, tra i paesi sviluppati, è quello con il più basso numero di nuovi farmaci oncologici introdotti ed è il paese con il più lungo tempo tra il lancio e l'accesso al paziente.

Molteplici fattori concorrono a determinare l'accessibilità ad un farmaco: di cui alcuni dipendenti da chi è direttamente coinvolto nella ricerca e sviluppo del farmaco, altri dipendenti dagli organismi regolatori coinvolti nella sua valutazione, altri infine dipendenti dallo specifico contesto organizzativo dell'assistenza sanitaria nonché dal paziente stesso.

I primi risultati di una analisi condotta in questi mesi in Italia (Russo PG, Mennini FS et al., 2009) evidenziano come il processo di valutazione che conduce all'accessibilità al paziente, anche nel caso di farmaci importanti come quelli indirizzati al trattamento di malattie oncologiche, sia un processo complesso, *time-consuming* e verosimilmente *cost-consuming*. La durata complessiva che intercorre tra il completamento della ricerca e sviluppo di un farmaco oncologico e l'accessibilità per il paziente è stato rilevato essere di circa 2,3 anni (857 giorni).

# Accessibilità ai farmaci oncologici in Italia

*Mennini F.S.*

*CEIS Sanità, Facoltà di Economia,  
Università di Roma "Tor Vergata"*

I risultati mostrati in questa sezione coincidono in parte con quelli contenuti nel manoscritto dal titolo: *"Time to market and patient access to new oncology products in Italy: a multistep pathway from European context to Regional healthcare providers"* di P. Russo, F. S. Mennini, P. D. Siviero, G. Rasi, in fase di valutazione per la pubblicazione sulla rivista *Annals of Oncology*.

L'impatto a livello mondiale dei farmaci oncologici è pari a **US \$ 48 miliardi**, tali farmaci oltre a rappresentare la prima classe terapeutica in termine di spesa e anche quella che presenta il maggiore tasso di crescita (**pari al 11,3% nel 2008, IMS Health, 2008**). L'attuale scenario si è palesato proprio dopo il 2005, quando la ricerca e sviluppo (R&D) nel settore delle malattie oncologiche ha portato all'introduzione di nuove terapie target.

L'Italia è il quinto mercato farmaceutico mondiale (EFPIA, 2009), con una spesa totale di più di **€ 24 miliardi** con un impatto dei farmaci oncologici pari a circa **€ 1.3 miliardi (AIFA, 2009)**. L'ammontare degli investimenti per la R&D posiziona l'Italia al quinto posto in Europa con un valore di circa **tre volte più basso del quarto Paese** (€ 3 miliardi della Svizzera - EFPIA, 2009).

**Jonsson & Wilking (2008) hanno evidenziato come l'Italia, all'interno dei Paesi maggiormente sviluppati, è quello con il più basso numero di nuovi farmaci oncologici introdotti e, allo stesso tempo, con quello con i più lunghi tempi di accesso per i pazienti.**

**Sulla base di questi presupposti, il contesto Italiano rappresenta un caso paradigmatico per l'esplorazione del peso relativo delle varie fasi tra la fine della R&D e l'accesso dei pazienti ai farmaci oncologici.**

## Selezione dei farmaci oncologici

Le specialità medicinali di farmaci oncologici sono state individuate sulla base di un criterio temporale progressivo dato dall'anno di completamento della procedura di autorizzazione centralizzata dell'EMEA.

In particolare sono state selezionate tutte le specialità medicinali autorizzate con indicazioni terapeutiche relative al trattamento o alla prevenzione di malattie oncologiche, o al trattamento di effetti collaterali di terapie oncologiche, nell'intervallo compreso tra il **2006 e il 2008**.

Per il 90% delle specialità autorizzate a livello Europeo è iniziato l'iter di valutazione nazionale dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), e tale iter è stato completato nell'89% dei casi (i.e. 16 su 18).

Le componenti temporali che precedono l'accessibilità per il paziente sono state così definite:

**Tempo EMEA**

Tempo AIFA

**Tempo Azienda**

Tempo Regione

## Risultati

La durata complessiva all'accessibilità ai farmaci oncologici in Italia considerando il sottoinsieme comune di specialità medicinali è in media di **857 giorni (2,3 anni)**, con un *range min-max* compreso tra **1,4 e 3,9 anni**.

La componente con il maggior peso nel condizionare l'accessibilità è rappresentato dall'EMA, che assorbe il **31,8%** del tempo complessivo registrato.

La durata del processo valutativo AIFA è inferiore a quello EMA, incidendo per il 28,2%; tuttavia se consideriamo l'ulteriore tempo speso a livello regionale (160 giorni) l'intervallo all'accessibilità strettamente dipendente dal contesto nazionale Italiano rappresenta poco meno del **50% del tempo complessivo**, pari a 402 giorni in media.

## Risultati (2)

- Diverse componenti del processo concorrono a determinare questo tempo, in prevalenza rappresentato dagli organismi regolatori europei e nazionali, a cui seguono ulteriori componenti come quella data dall'azienda farmaceutica e dalle Regionali, **che assorbono ulteriore tempo per effetto di criticità organizzative e/o gestionali.**
- Gli elementi di variabilità che maggiormente incidono sulla durata del processo sono rappresentati da:.....



## Risultati (3)

- (a) **dal tipo di specialità medicinale considerata:** indubbiamente la solidità e la rilevanza delle evidenze scientifiche prodotte sono presupposti importanti nel determinare l'accesso, benché un prezzo “alto” (anche semplicemente in valore assoluto) possa rappresentare un ostacolo;
- (b) **dal ruolo svolto dalle Regioni nell'organizzazione dell'assistenza sanitaria e farmaceutica:** non tutti i farmaci autorizzati dall'AIFA sono poi successivamente dispensati, infatti circa l'86% delle specialità medicinali vengono poi movimentate verso una struttura assistenziale pubblica (12 su 14). Tuttavia ci sono Regioni nelle quali tale percentuale potrebbe scendere anche a meno della metà.
- (c) **dalla variabilità regionale nei tempi di attuazione della dispensazione al paziente.** Tale variabilità, benché appaia probabilmente più contenuta per una categoria importante come quella dei farmaci oncologici rispetto ad altre categorie di farmaci, è pur sempre presente e incide in media con un ulteriore prolungamento di 160 giorni. Su questo tempo incidono diversi fattori come la tipologia di farmaco (*orphan drug*), la presenza di un PTOR vincolante, il prezzo del farmaco.

**Tabella 1. Analisi della componente regionale nell'accessibilità ai farmaci oncologici: frequenza di accesso per il paziente per singola regione**

| Regioni               | N° specialità disponibili | % specialità con accesso per il paziente | % specialità con disponibilità stabile |
|-----------------------|---------------------------|--|--|
| Campania              | 12                        | 85,7%                                    | 85,7%                                  |
| Friuli Venezia Giulia | 12                        | 85,7%                                    | 85,7%                                  |
| Piemonte              | 12                        | 85,7%                                    | 85,7%                                  |
| Lombardia             | 12                        | 85,7%                                    | 78,6%                                  |
| Marche                | 12                        | 85,7%                                    | 78,6%                                  |
| Toscana               | 12                        | 85,7%                                    | 71,4%                                  |
| Veneto                | 12                        | 85,7%                                    | 71,4%                                  |
| Lazio                 | 11                        | 78,6%                                    | 78,6%                                  |
| Puglia                | 11                        | 78,6%                                    | 78,6%                                  |
| Abruzzo               | 11                        | 78,6%                                    | 71,4%                                  |
| Liguria               | 11                        | 78,6%                                    | 71,4%                                  |
| Calabria              | 10                        | 71,4%                                    | 57,1%                                  |
| Emilia Romagna        | 10                        | 71,4%                                    | 71,4%                                  |
| Sicilia               | 10                        | 71,4%                                    | 71,4%                                  |
| Umbria                | 10                        | 71,4%                                    | 64,3%                                  |
| Basilicata            | 9                         | 64,3%                                    | 57,1%                                  |
| Prov. Aut. di Bolzano | 9                         | 64,3%                                    | 42,9%                                  |
| Prov. Aut. di Trento  | 8                         | 57,1%                                    | 42,9%                                  |
| Sardegna              | 8                         | 57,1%                                    | 50,0%                                  |
| Molise                | 7                         | 50,0%                                    | 35,7%                                  |
| Valle d'Aosta         | 7                         | 50,0%                                    | 21,4%                                  |

Elaborazioni su dati AIFA 2009

# Francesco Saverio Mennini

[f.mennini@uniroma2.it](mailto:f.mennini@uniroma2.it)

**Prof. Francesco Saverio Mennini**

CEIS Sanità - Centre for Health Economics and Management (CHEM)

Faculty of Economics and Faculty of Science -University of Rome "Tor Vergata"

Faculty of Statistics, University of Rome La Sapienza

Via Columbia 2

00198 Rome - Italy

tel: +39 06 72595642

pers. ph.: +39 333 4991647

Fax: +39 06 233 245 53