

Terapie avanzate, necessario un nuovo sistema di finanziamento pubblico per far fronte all'erogazione di queste cure

A livello globale entro il 2030 saranno trattati oltre 500.000 pazienti con queste innovative terapie (genica, cellulare e dei tessuti) con costi che si aggirano tra 1 e 3 milioni di euro a dose. Una nuova proposta di finanziamento per i farmaci di domani, in anteprima europea dal gruppo di lavoro dell'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS) - Facoltà di Economia dell'Università Cattolica, campus di Roma, insieme a LS CUBE Studio Legale e con il supporto non condizionato della coalizione #VITA, resa nota nel corso di un evento sul tema. Il messaggio del Ministro della Salute Orazio Schillaci.

Roma, 14 dicembre 2023 – Terapia genica, terapia cellulare e dei tessuti: sono solo alcune delle terapie avanzate (ATMP), medicinali biologici innovativi che contengono materiale genetico o cellule staminali sottoposte a un processo biotecnologico realizzato in laboratori altamente specializzati: è necessario un fondo dedicato a queste terapie con diversa contabilizzazione che consenta la rateizzazione del pagamento delle terapie, valorizzandone l'elemento di investimento per il sistema nel suo complesso. Si stima che oltre 500.000 pazienti a livello globale saranno trattati con le terapie avanzate entro il 2030. Si tratta di cure costose, che si aggirano tra 1 milione e 3 milioni di euro per terapia. Di certo avranno un impatto notevole sulla spesa del Servizio Sanitario Nazionale del mercato globale delle ATMP. È dunque indispensabile un cambio di paradigma nella contabilizzazione di alcune spese sanitarie per far fronte a questa rivoluzione terapeutica.

È la proposta resa nota nel corso dell'incontro "La valutazione della spesa per le Terapie Avanzate", in scena mercoledì 13 dicembre presso l'Università Cattolica, campus di Roma. La proposta nasce dallo studio condotto dall'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS) - Facoltà di Economia dell'Università Cattolica, diretta dal Professor Giuseppe Arbia, in collaborazione con LS Cube Studio Legale e con il supporto non condizionato della coalizione #VITA- Valore ed Innovazione delle Terapie Avanzate: Bristol-Myers Squibb, Gilead, Janssen, Novartis, Pfizer, PTC Therapeutics, Roche e Vertex. Durante l'incontro sono stati presentati i risultati di uno studio unico in Italia e in Europa, sulla valutazione della spesa per le terapie avanzate.

Si tratta della prima pubblicazione a livello europeo che affronta la tematica in modo così dettagliato, proprio con l'obiettivo di spiegare che quello delle terapie avanzate è un mondo diverso che chiama repliche diverse. Nel documento, per la prima volta, viene effettuata una analisi economica e contabile delle terapie avanzate, delineandone i tratti distintivi e unici rispetto ai farmaci tradizionali, che ne impongono un approccio sistemico completamente diverso.

Costituito nel 2020, il **Gruppo di Lavoro** che ha contribuito negli anni alla elaborazione e all'aggiornamento di questo lavoro, coordinato da LS CUBE, ha visto la partecipazione del Professor **Giorgio Alleva**, Ordinario di

Con il Patrocinio di:



Con il contributo non condizionante di





Statistica presso l'Università di Roma, La Sapienza, del Professor **Paolo Gasparini**, Coordinatore dei Clinici presso il Committee for Advanced Therapies (CAT) della

European Medicine Agency (EMA), del Professor **Mauro Marè**, Ordinario di Scienza delle Finanze presso l'Università della Tuscia e la Luiss Business School, del Professor **Eugenio Anessi Pessina**, Ordinario di Economia aziendale presso l'Università Cattolica e dell'Avvocata **Rosanna Sovani**, Partner di LS CUBE Studio Legale.

Al gruppo ha partecipato il Professor **Americo Cicchetti**, Ordinario di Organizzazione aziendale presso l'Università Cattolica di Roma, attualmente Direttore generale della programmazione sanitaria presso il Ministero della Salute.

“È sempre più diffuso l'interesse verso le terapie altamente innovative che possono rappresentare una speranza di guarigione per tanti pazienti affetti da malattie gravi, spesso rare e per le quali non esiste alternativa terapeutica, e per quanti convivono con patologie croniche che richiedono trattamenti periodici per tutta la vita – è questo il passaggio centrale del messaggio del **Ministro della Salute Orazio Schillaci**, indirizzato ai partecipanti dell'evento e letto in apertura dei lavori - . I possibili vantaggi che possono derivare sia per il paziente che per il sistema sanitario inducono a seguire con grande attenzione i progressi scientifici nell'ambito della medicina rigenerativa. Allo stesso tempo i costi elevati delle terapie avanzate, concentrati in un breve periodo di tempo, rappresentano una sfida per i sistemi sanitari che dovranno individuare modalità per misurare i benefici a lungo termine nonché conciliare l'accesso a tutti a cure innovative e la sostenibilità del sistema sanitario. Un approccio – ha concluso il Ministro Schillaci -, richiamato anche dal nuovo Regolamento HTA che vedrà come primi farmaci a essere valutati proprio quelli delle terapie avanzate insieme a quelli oncologici”. “Il settore farmaceutico sta attraversando importanti cambiamenti – sottolinea il Professor **Arbia** - è in arrivo una rivoluzione terapeutica per quei pazienti che non hanno ancora opzioni di cura; tecnologie completamente diverse dalla medicina tradizionale, con costi frontali per i SSN molto elevati e significativi benefici futuri sia clinici, sia sociali per pazienti con bisogni di cura insoddisfatti. Serve dunque ripensare nuovi modelli di sostenibilità – continua - affinché tutti i pazienti destinatari potenziali di queste terapie dal valore altamente innovativo, e in alcuni casi salva-vita, possano avere accesso ad esse”. “Per rispondere a questa esigenza ho presentato un emendamento, co-firmato da altri esponenti di maggioranza ed opposizione, al DL Anticipi per istituire un fondo sperimentale di 150 milioni di euro per la sostenibilità delle terapie avanzate convertito poi in un ordine del giorno che è stato accolto dal Governo, con impegno a costituirlo con il prossimo provvedimento utile – dichiara **Francesco Zaffini, Presidente della 10ª Commissione permanente (Affari sociali, sanità, lavoro pubblico e privato, previdenza sociale)- un fondo che valorizzi la natura di investimento di queste terapie per il sistema**, individuando per il suo utilizzo degli specifici criteri di accesso che tengano conto dei significativi effetti sulla qualità della vita dei pazienti con conseguente riduzione dei costi per il sistema, modelli di pagamento pluriannuali condizionati a risultati attesi, modelli di misurazione dei benefici attestati previdenziali ed economici nonché dei risparmi generato per il servizio sanitario nazionale dalla loro somministrazione, al fine di garantire un equo accesso a tutti i pazienti potenzialmente eleggibili, rendendone sostenibile la spesa per il Sistema Sanitario Nazionale”

BACKGROUND

Con il Patrocinio di:



Con il contributo non condizionante di



Le Terapie Avanzate (gli 'ATMPs') vengono classificate in quattro gruppi principali: **medicinali di terapia genica, di terapia cellulare somatica, di ingegneria tissutale e medicinali per terapie avanzate combinate**. Rappresentano una nuova e fondamentale opportunità per il trattamento e la prevenzione degli effetti di una varietà di patologie rare (le malattie genetiche, quelle onco-ematologiche e le malattie a lunga prognosi). Alcune di queste terapie consistono in una tecnologia medica molto complessa somministrata in pochissimi centri altamente specializzati. Tutte queste terapie hanno in comune il fatto che, intervenendo in modo diretto sulle cause genetiche della malattia, sono potenzialmente in grado di curare o trasformare radicalmente la storia clinica dei pazienti. In altri termini promettono di mantenere a lungo termine la loro azione curativa determinando un miglioramento permanente o comunque molto prolungato nel tempo, nello stato di salute e dunque nella vita affettiva e lavorativa delle persone. I dati più recenti già dimostrano la persistenza di effetti terapeutici per gli ATMP, i cui trial clinici e di conseguenza gli arruolamenti dei pazienti sono iniziati circa 20 anni fa.

Per esempio la terapia di editing genetico di recente approvata nel Regno Unito contro anemia falciforme e beta-talassemia dipendente da trasfusioni, consente ai pazienti la guarigione completa. In questo caso la terapia consiste in un prelievo di staminali del sangue del paziente dal midollo osseo; le staminali sono geneticamente modificate in laboratorio e poi reimmesse nel paziente.

MALATTIE RARE

I malati rari, in Italia, sono tra i 2,2 milioni e i 3,5 milioni e per la diagnosi si aspetta mediamente fino a 4 anni. Le malattie rare sono di origine genetica, legate cioè a una modifica genetica (mutazione) che porta a una disfunzione. Oggi, e nel prossimo futuro, gli ATMP costituiranno sempre più la nuova frontiera per la cura di alcune patologie rare, molte delle quali mettono in serio rischio la vita del paziente.

L'ECONOMIA DELLE TERAPIE AVANZATE

Le terapie avanzate si distinguono dai farmaci tradizionali per produrre un evidente disallineamento temporale tra costi effettivi, concentrati nel breve periodo, e **benefici futuri**, diffusi su un più lungo orizzonte temporale; avere **costi di investimento elevati**, ma anche **notevoli benefici** in termini clinici, terapeutici, sociali ed economici per i sistemi sanitari e la salute dei pazienti.

Il volume delle risorse necessarie per accedere a queste terapie e le modalità di finanziamento è in prospettiva lo snodo decisivo, perché determinerà la **minore o maggiore disponibilità dei sistemi sanitari a sostenerne il costo**.

Gli ATMP, infatti a causa della loro enorme complessità, presentano dei **costi elevati** che si aggirano tra 1 milione e 3 milioni di euro per somministrazione.

La **rilevanza di queste terapie innovative** le pone, dunque, **al centro della discussione sulla salute e le scelte di politica sanitaria del futuro e la sostenibilità del servizio sanitario**. Questo porrà problemi di scelta e di razionamento molto delicati sul piano dell'accesso alle cure per i pazienti, che **potrebbe comportare** il trattamento di un numero di pazienti inferiore rispetto a quelli eleggibili.

Il gruppo di lavoro, quindi, ha deciso di studiare e capire bene come si può risolvere questo problema economico.

“Le terapie avanzate sono il primo caso di spesa di farmaco con caratteristica di spesa di investimento, piuttosto che una spesa corrente – spiegano i professori Arbia e Cicchetti. Nei farmaci tradizionali lo Stato deve

Con il Patrocinio di:



Con il contributo non condizionante di



anticipare la spesa – sottolineano -; nel caso delle terapie avanzate dobbiamo adottare modelli di pagamento e finanziamento assolutamente nuovi”.

La proposta che conclude il documento è di costituire in via sperimentale un fondo dedicato alle terapie avanzate con diversa contabilizzazione che consenta la rateizzazione del pagamento delle terapie valorizzandone l’elemento di investimento per il sistema nel suo complesso, spiegano.

“In altri termini – aggiunge Rosanna Sovani - serve un nuovo patto Stato-industria: le terapie avanzate vanno gestite con un contratto di pagamento in cui, una volta onorata la prima rata, il restante verrà pagato dal Servizio Sanitario nazionale solo ed esclusivamente se produce i benefici attesi. Lo Stato, cioè, compra il valore a lungo termine della terapia. E questo approccio ben si inserisce nella discussione sulla nuova governance farmaceutica attualmente in atto a livello europeo e con la valutazione HTA alla quale saranno proprio le Terapie Avanzate ad essere sottoposte per prime nel 2025 ai sensi del Regolamento Europeo. Bisogna però immaginare una struttura finanziaria e contabile che lo consenta, esigenza già emersa – in termini più generali - nei documenti redatti nel corso del G20”.

Anche a livello europeo ci si sta muovendo in questa direzione: la Commissione Eurostat ha attivato **gruppi di lavoro** per la valutazione dei beni intangibili e la spesa sociale ; il nuovo **accordo quadro 2021-2024** firmato tra il Comitato **francese** P&R CEPS e l’associazione di categoria Leem ha introdotto il concetto di *annuity payment model outcome based*, specificando che sarà necessaria una modifica dell’assetto normativo nazionale; anche il **Belgio** sta studiando una soluzione per contabilizzare correttamente *l’annuity payment model outcome based*, concludono. “Non si può trattare la novità con strumenti regolatori e finanziari vecchi”.

Con il Patrocinio di:



Con il contributo non condizionante di

