



Il fattore TEMPO

Nuovi principi attivi, esperti Hta: Italia acceleri su valutazioni tecnologiche e apra a studi osservazionali

Sempre più veloci e basate sui dati di altri *trial* o sui dati successivi all'approdo in commercio di un medicinale: cambiano volto le approvazioni dei nuovi farmaci, come dimostra la Food & Drug Administration americana, che ha autorizzato un anticorpo anti-Covid in tempi record e qualche settimana fa un altro medicinale contro il tumore della mammella maschile su indicazioni giunte da studi osservazionali, di *Real world evidence* (Rwe). L'impatto di questi ultimi studi sulla valutazione delle tecnologie è stato al centro del webinar Edra "Dalla Real World Evidence all'Health Technology Assessment - Strategie per l'evoluzione di governance e sostenibilità", realizzato con il supporto Mylan e moderato dall'ex ministro della Salute Beatrice Lorenzin. Un incontro dal quale si evincono due spunti: in tempo di Covid c'è bisogno di decisioni che velocizzino la valutazione di nuove tecnologie da adottare in modo uniforme in tutto il Paese, e c'è bisogno di una cultura nuova.

L'INTEGRAZIONE DEI DATI

Tra i protagonisti dell'incontro, Luca Pani (Università di Modena-Reggio Emilia, Miami University) sottolinea come l'emergenza Covid abbia accelerato l'integrazione, che era già in corso, tra i dati degli studi osservazionali e quelli dei *trial* tradizionali. E cita alcuni scenari: l'Fda ha validato in estate con specifiche linee guida l'uti-

lizzo di informazioni acquisite in remoto, e ha dato l'ok a studi di farmacovigilanza con dati attinti da studi *real world* successivamente alla commercializzazione dei principi attivi in questione; l'agenzia europea Ema ha aperto all'intervento di comitati esterni di esperti per l'uso e la valutazione di dati *real world*.

Nello Martini (Fondazione Ricerca e Salute) sottolinea come gli ultimi cinquant'anni della ricerca clinica siano stati caratterizzati da tre fasi: una prima in cui enormi studi multinazionali su farmaci a basso costo ed enorme impatto hanno favorito i processi di rimborso nei servizi sanitari nazionali; una seconda in cui prevalgono farmaci sperimentati su popolazioni più piccole per patologie dove possono essere risolutivi, come gli anti-epatite o gli anticorpi monoclonali; di recente si è aperta una nuova pagina con le terapie dirette a geni che presiedono allo sviluppo di possibili patologie, come i tumori solidi, dove il reclutamento avviene su base genetica e non sulla patologia d'organo da curare; il problema è come ingegnerizzare i rimborsi in un contesto di risorse economiche limitate.

DA STUDI OSSERVAZIONALI AIUTO A SERVIZI SANITARI

Il presidente della Società italiana di farmacologia Giorgio Racagni sottolinea il boom di nuove linee di molecole (anticorpi, cellule





Car-T) e il possibile avvento a breve di terapie digitali. Ma la prima condizione per fruire dei frutti della ricerca è partecipare a essa. Non basta essere, come l'Italia è, leader produttivo: servono partnership pubblico-privato avanzate realizzabili in un quadro legislativo stabile e non ostile. «Gli studi osservazionali», dice Racagni, «potrebbero aiutare i servizi sanitari a rispondere a interrogativi generati dai limiti dei trial randomizzati; la Società di farmacologia ha pubblicato sugli studi Rwe un *position paper* che ne valuta l'impatto su sanità nazionali sempre più difficili da sostenere, e la loro capacità di integrarsi con i trial randomizzati in temi come patologie croniche, percorsi assistenziali, cura delle fragilità, approccio al Covid-19».

IL VALORE DELLA TECNOLOGIA

L'Italia in questa partita non è avanti. Come spiega Marco Marchetti, responsabile Centro nazionale Hta, per le valutazioni tecnologiche nel resto d'Europa ci sono grandi agenzie, in Inghilterra il *National*

Institute for Health Research ingloba i compiti della nostra Aifa; Francia e Germania si sono attrezzate con organi a livello centrale. Da noi c'è un dibattito in corso se dare competenze Hta al ministero della Salute o lasciarle alle Regioni o creare un'agenzia nazionale, tesi portata avanti dalla società scientifica Sihta, di cui è presidente Francesco Saverio Mennini. «Di Hta», dice Mennini, «si parla dai tempi delle esplorazioni spaziali, ma all'atto pratico nelle gare a livello locale non si prescinde dalla logica del minor prezzo. Oggi per l'acquisto dei farmaci biologici/biosimilari il nuovo Codice degli appalti consente di applicare una normativa, l'accordo quadro, tesa a favorire la concorrenza, ad aprire le gare alle aziende, a tener conto del valore della tecnologia messa a gara, a fissare percentuali di mercato da rispettare riferite ai farmaci primo, secondo e terzo classificato. Ma spesso le aziende sanitarie acquirenti si fermano alla prima classificata perché hanno finito il budget. Tutto a detrimento dello sviluppo

FDA ED EMA STANNO COMINCIANDO A INTEGRARE I DATI DEGLI STUDI TRADIZIONALI CON QUELLI REAL WORLD

tecnologico e dei pazienti, visto che in certi casi conservare una quota al farmaco *originator* con determinate caratteristiche in una gara vinta da un biosimilare concilierebbe garanzia di un intervento mirato su specifici pazienti e sostenibilità del sistema».

«La tensione centro-periferia innescata dal federalismo sanitario», spiega Antonio Addis, del dipartimento di Epidemiologia della Regione Lazio, «crea dispersione di informazioni utili alla valutazione sull'impatto delle nuove tecnologie. È necessaria una regia centrale». ●