



**QUADERNO DELLA SECONDA EDIZIONE DE:  
“FORUM POLITICHE FARMACEUTICHE REGIONALI”  
ROMA, 14 E 15 MARZO 2024**

## Sommario

|                                                                                                                                                                                     |           |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Gruppo di Lavoro 1: Equità di accesso alle terapie e variabilità de consumi dei farmaci .....</b>                                                                                | <b>3</b>  |
| Introduzione.....                                                                                                                                                                   | 3         |
| Esiti del Gruppo di Lavoro 1.....                                                                                                                                                   | 4         |
| <b>Gruppo di Lavoro 2: Uso compassionevole e Farmaci in Fascia C(nn) .....</b>                                                                                                      | <b>8</b>  |
| Introduzione.....                                                                                                                                                                   | 8         |
| Esiti del Gruppo di Lavoro 2.....                                                                                                                                                   | 10        |
| <b>Gruppo di Lavoro 3: Gestione degli acquisti di medicinali: strumenti e strategie per semplificarne la programmazione ed omogeneizzare la disponibilità dei farmaci .....</b>     | <b>12</b> |
| Introduzione.....                                                                                                                                                                   | 12        |
| Esiti del Gruppo di Lavoro 3.....                                                                                                                                                   | 13        |
| <b>Gruppo di Lavoro 4: Quali strumenti adottare nelle regioni per governare il comportamento prescrittivo e la spesa.....</b>                                                       | <b>16</b> |
| Introduzione.....                                                                                                                                                                   | 16        |
| Esiti del Gruppo di Lavoro 4.....                                                                                                                                                   | 17        |
| <b>Allegato 1 Governance di Progetto e Gruppi di Lavoro .....</b>                                                                                                                   | <b>21</b> |
| Componenti Gruppo di Lavoro 1: Equità di accesso alle terapie e variabilità dei consumi dei farmaci .....                                                                           | 22        |
| Componenti Gruppo di Lavoro 2: Uso compassionevole e Farmaci in Fascia C(nn) .....                                                                                                  | 23        |
| Componenti Gruppo di Lavoro 3: Gestione degli acquisti di medicinali: strumenti e strategie per semplificarne la programmazione ed omogeneizzare la disponibilità dei farmaci ..... | 24        |
| Componenti Gruppo di Lavoro 4: Quali strumenti adottare nelle regioni per governare il comportamento prescrittivo e la spesa .....                                                  | 25        |
| <b>Allegato 2: Programma dei lavori.....</b>                                                                                                                                        | <b>26</b> |
| <b>Allegato 3: Sponsor del Forum .....</b>                                                                                                                                          | <b>29</b> |

## Gruppo di Lavoro 1: Equità di accesso alle terapie e variabilità de consumi dei farmaci

### Introduzione

Il percorso di accesso dei pazienti al farmaco include diversi passaggi successivi all'approvazione: rimborsabilità, eventuale inserimento nei prontuari regionali, acquisti ed indirizzi prescrittivi o altre politiche di indirizzo regionale. Tali passaggi possono limitare il numero di pazienti che accedono alla terapia rispetto al target definito dall'indicazione autorizzata ed essere pertanto fonte di un diverso accesso.

L'equità di accesso può essere declinata come equità orizzontale, ovvero "pari accesso per pari bisogno", e verticale, ovvero "diverso accesso per diverso bisogno":

- l'equità orizzontale è quella più spesso considerata e fa riferimento al confronto tra Paesi Europei rispetto all'indicazione approvata dall'European Medicines Agency (EMA) o al confronto tra Regioni rispetto all'indicazione rimborsata da AIFA;
- l'equità verticale è un concetto molto meno studiato ma altrettanto importante. Il "diverso" bisogno può far riferimento alla eleggibilità del paziente al trattamento (ad esempio uso per indicazione autorizzata rispetto ad utilizzo *off label*), al maggior bisogno assistenziale di alcuni pazienti (come nel caso di accesso prioritario ad innovazioni incrementali, come le nuove formulazioni, a pazienti che più possono beneficiarne), oppure all'urgenza del bisogno, che può portare ad una prioritizzazione dell'accesso per alcune categorie di farmaci come quelli orfani, a causa dell'elevato bisogno clinico insoddisfatto, o quelli innovativi.

In letteratura esistono contributi su tempi e *status* di approvazione al rimborso, nei Paesi Europei, di farmaci autorizzati da EMA, così come sono disponibili dati sui tempi di inserimento in prontuario dei farmaci approvati al rimborso da AIFA (dati che risentono del *bias* generato dal fatto che non tutte le regioni hanno prontuari regionali) o i tempi di primo acquisto degli stessi (informazione che però è impattata dalla mobilità interregionale che può generare una discrepanza tra regione di appartenenza del paziente e regione in cui viene misurato il primo acquisto). Non esistono invece evidenze sull'indicatore più completo di equità orizzontale, rappresentato dalla quota di pazienti eleggibili al trattamento che effettivamente inizia la terapia in un intervallo ragionevole di tempo. Tale indicatore richiede la disponibilità di informazioni: (i) sul consumo per indicazione, qualora il farmaco sia usato per più indicazioni; (ii) sulla popolazione eleggibile, che, anche in presenza di dati di prescrizione per farmaci già utilizzati sulla stessa indicazione, necessita di stime, che devono comunque tener conto del tasso di penetrazione atteso del farmaco nel tempo. Queste stime sono tipicamente incluse nei Dossier di P&R e possono essere parzialmente inficiate da un approccio tipicamente prudenziale / conservativo da parte delle imprese.

L'equità verticale è ancora più complessa come concetto in quanto tale e come raccolta dei dati atti a misurarla. Esistono ad esempio evidenze che in Europa la proporzione dei farmaci orfani rimborsati ed i tempi necessari per ottenere tale rimborso siano mediamente superiori rispetto agli altri farmaci, segno di una iniquità verticale, sei i farmaci orfani sono da prioritizzare sotto il profilo non solo regolatorio ma anche di accesso.

La relazione introduttiva ha tracciato poi, con riferimento alla variabilità dei consumi farmaceutici:

- gli indicatori finalizzati a valutare il consumo di farmaci (*Defined Daily Dosage* – DDD - come indicatore più utilizzato, anche se non necessariamente coincidente con la dose effettivamente prescritta e consumata);
- i fattori potenzialmente esplicativi, lato
  - domanda: fattori demografici ed epidemiologici, condizioni socioeconomiche, approccio culturale al consumo,
  - offerta: problematiche di accesso (tempi alla diagnosi, tempi di inserimento nei prontuari, limitazioni dei centri prescrittivi e dei prescrittori, ecc.), quota di inappropriatezza “evitabile” (diagnosi, quando non complessa), differenti “culture” prescrittive e politiche attivate a livello regionale (ad esempio, indirizzi prescrittivi);
- le tipologie di analisi effettuate sulla base di tali indicatori:
  - analisi finalizzate a identificare i fattori esplicativi della variabilità dei consumi;
  - analisi di impatto delle politiche.
- una ricognizione degli studi esistenti, che si sono focalizzati soprattutto sulla domanda.

Infine, sono state suggerite alcune questioni di interesse per la discussione del GdL, ovvero:

- se sia rilevante e prioritario tracciare le differenze interregionali su accesso dei pazienti per singolo farmaco e se sia importante farlo per tutti i nuovi farmaci / indicazioni o solo per aree di maggiore interesse (ad esempio, innovativi, orfani, ...);
- se sia utile realizzare un percorso di tracciatura dei consumi per indicazione, che utilizzi in prima battuta i Registri AIFA, e come sia possibile risolvere il problema della mobilità (i dati sono per struttura ospitante e non per paziente residente);
- in quali casi sia possibile l’uso dei consumi pro-capite come *proxy* e se sia opportuno ponderare il dato di consumo pro-capite;
- quale siano le informazioni più accurate per una stima della popolazione eleggibile al trattamento;
- nel caso si ritenga importante / prioritario valutare l’impatto di politiche regionali (in particolare sul comportamento prescrittivo) su accesso dei pazienti ai farmaci:
  - se sia possibile farlo attraverso i dati dell’Osservatorio sull’Impiego dei Medicinali (OsMed), utilizzando un approccio *panel* (più anni / più regioni),
  - se sia sufficiente usare come variabili di controllo quelle già disponibili nel database,
  - da quali iniziative regionali e per quali aree terapeutiche sia più importante cominciare.

### Esiti del Gruppo di Lavoro 1

Il GdL ha in primo luogo concordato alcuni *statement* di premessa alle raccomandazioni, a partire dalle riflessioni dell’intervento in plenaria, ed ha deciso di focalizzarsi sul tema dell’equità orizzontale (tralasciando quella verticale e le analisi di impatto delle politiche regionali del farmaco).

In primo luogo, si è trovato un’unanime accordo sull’importanza di studiare il fenomeno dell’equità dell’accesso alle terapie ed alle strategie terapeutiche sul territorio italiano, con una focalizzazione sull’equità orizzontale, andando oltre i tempi di accesso ai prontuari regionali ed al primo acquisto / prima movimentazione, su cui esistono dati consolidati. Non è invece rilevato sistematicamente l’indicatore, già identificato sopra come più significativo nel rilevare possibili iniquità di accesso, rappresentato dalla quota dei pazienti avviati al trattamento rispetto ai pazienti eleggibili.

A questo fine, la variabilità interregionale nei consumi, non spiegata da fattori collegati direttamente alla domanda (ad esempio diversità nell’epidemiologia regionale), può essere un indicatore di iniquità nell’accesso alle terapie.

Il GdL ha raccomandato che tale rilevazione sia implementata insieme alle relative analisi volte ad identificare i fattori esplicativi della variabilità osservata e che tale rilevazione si traduca in un'azione di monitoraggio costante da parte di AIFA, che integri il monitoraggio dei consumi che già AIFA effettua in modo continuativo. Obiettivi di queste ulteriori attività di monitoraggio sarebbero sia la definizione di obiettivi di miglioramento dell'accesso a livello regionale sia l'elaborazione di azioni di indirizzo a livello nazionale per migliorare l'equità sul territorio italiano.

Relativamente ai potenziali fattori esplicativi della variabilità osservata, la discussione nel GdL è stata un'occasione per chiarire come la scelta dei centri prescrittori, molto diversi per numerosità a livello regionale, non sia di per sé e necessariamente una fonte di iniquità. Anzi, il rationale per la loro introduzione si fonda sulla necessità di assicurare l'uso più appropriato possibile dei farmaci attraverso la limitazione delle prescrizioni ai centri (e agli specialisti) che assicurano un livello adeguato di esperienza e competenza.

Con riferimento all'indicatore proposto dal GdL, sono state analizzate le tre criticità evidenziate nella presentazione di apertura:

- necessità di avere dati di consumo specifici per singola indicazione, nel caso di farmaci con indicazioni rimborsate multiple;
- difficoltà nella stima dei pazienti eleggibili al trattamento, a livello nazionale e, ancor più, regionale;
- l'impatto, difficilmente quantificabile, del fenomeno della mobilità.

Per quanto riguarda il tema dei farmaci con più indicazioni rimborsate, il GdL ha evidenziato l'importanza che le autorità centrali e regionali mettano a disposizione i dati di consumo per indicazione, ove disponibili, convogliandoli in una *repository* nazionale. Le possibili fonti informative di tali dati sono:

- i Registri farmaci, purché venga migliorato il sistema di estrazione dati;
- i Piani Terapeutici informatizzati (o *web-based*);
- i dati raccolti su iniziativa regionale, come il Registro dei farmaci biologici nel Veneto o il DBO (Database Oncologico) in Emilia-Romagna;
- i dati amministrativi regionali, se questi consentono di differenziare i consumi per indicazione.

L'altro tema particolarmente critico è rappresentato dalla stima dei pazienti eleggibili al trattamento. Possono essere disponibili stime, caratterizzate da una maggiore / minore precisione, dell'epidemiologia nazionale, mentre è più difficile che esistano stime a livello regionale. Il GdL 1, a questo proposito, ha concordato sul fatto che, nel caso in cui sia ragionevole assumere prevalenza ed incidenza omogenee per regione, si potrebbe procedere, ai fini della stima regionale, ridistribuendo le stime nazionali sulle regioni in base alla popolazione residente. Il GdL ha ritenuto quindi che eventuali differenze nei consumi di un determinato farmaco o di una classe di farmaci normalizzati per i dati di prevalenza regionali possano rappresentare un buon *proxy* di iniquità di trattamento.

Un aspetto che potrebbe invece introdurre delle distorsioni nella stima della variabilità regionale è la mobilità farmaceutica interregionale. Per questo tema il GdL ha convenuto sul fatto che la mobilità per la farmaceutica sia di entità limitata rispetto a quella esistente per altre prestazioni e che possa quindi essere considerata non rilevante. Ciò è vero anche perché nella maggior parte dei casi, e soprattutto per le terapie molto costose per le quali il problema dell'equità può essere di particolare impatto e rilevanza, se anche la prescrizione avesse origine fuori dalla regione di residenza del paziente, la distribuzione avverrebbe comunque nella regione di appartenenza per un motivo di attribuzione della spesa e necessità di rispetto dei budget farmaceutici (la stima indicata da uno dei partecipanti al GdL è di circa il 20%).

Un punto ampiamente discusso dal GdL è stato l'oggetto dell'analisi, in particolare se la verifica dell'equità sia da effettuarsi sul singolo farmaco o debba allargarsi alle classi terapeutiche. A fronte di una sostanziale difficoltà di definire i confini della "classe terapeutica" (l'indicazione terapeutica sembra essere il principale criterio di identificazione della classe, anche se alcuni hanno proposto una definizione più ristretta, rappresentata dallo stesso meccanismo di azione), la raccomandazione finale del GdL riguardo a questo tema è di lavorare sui entrambi gli aspetti in quanto concorrono a delineare il livello di equità complessivo del sistema fornendo informazioni tra loro complementari.

Il GdL ha quindi discusso alcune proposte concrete per le due analisi di interesse: farmaci singoli e classi terapeutiche.

Per quanto riguarda l'analisi dell'equità effettuata sui singoli farmaci, il GdL ha concordato sulla scelta di focalizzarsi su farmaci più tracciati e in qualche modo caratterizzati da "urgenza" di accesso, quali i farmaci innovativi, che dovrebbero avere priorità di accesso in quanto non soggetti a rivalutazione regionale ai fini dell'inserimento nei prontuari, e quelli a designazione orfana, in quanto caratterizzati da un *unmet need* elevato.

L'esistenza di un registro associato ad entrambe le tipologie di farmaci, permettendo di tracciare il consumo per singola indicazione, rappresenta un ulteriore elemento a supporto della scelta in quanto rende le analisi più praticabili e robuste, anche se rimane il problema della stima della popolazione eleggibile al trattamento. Viene invece proposto di escludere dall'analisi i farmaci per condizioni ultra-rare in quanto è probabile la concentrazione della prescrizione in pochi centri e solo in alcune regioni.

L'indicatore di equità di accesso ideale viene confermato nella quota di pazienti avviati al trattamento rispetto ai pazienti eleggibili a livello regionale. Si è poi considerato ragionevole un tempo di osservazione pari a 3 anni rispetto all'obiettivo dell'analisi. Questo permetterebbe di osservare sia le possibili disparità nella tempestività dell'accesso, sia possibili iniquità persistenti nel tempo e potenzialmente legate a temi più strutturali, quali possibili limitazioni organizzative del sistema sanitario regionale che vanno oltre il tema dell'accesso alle terapie.

Come già specificato, in condizioni di epidemiologia omogenea sul territorio nazionale, i consumi espressi come DDD per abitanti pro die rappresenterebbero un buon *proxy* per studiare le differenze di accesso regionali. Nel caso invece di condizioni patologiche che presentino difformità nella distribuzione sul territorio, si dovrebbero cercare le fonti migliori per stimare questa eterogeneità, utilizzando anche i dati disponibili nei Dossier per l'accesso regionale elaborati dalle aziende o le eventuali elaborazioni delle regioni stesse.

Con riferimento alle terapie caratterizzate dallo stesso bisogno, ovvero rimborsate in una specifica indicazione, valgono molte delle considerazioni già elaborate per il singolo farmaco.

Il GdL ha lavorato all'identificazione di una condizione che possa rappresentare un'adeguata area di sperimentazione per questo tipo di analisi. È stata proposta la Sclerosi Multipla in quanto area terapeutica con diverse terapie rimborsate, appartenenti a differenti classi terapeutiche, alcune rimborsate da molti anni e altre di recente introduzione nel prontuario nazionale, ma soprattutto perché i farmaci sono prevalentemente mono indicazione o con dosaggi specifici per la patologia in esame. Anche in questo caso si è confermata la proposta di utilizzare il consumo (DDD per 1000 abitanti pro die) come indicatore di equità e di analizzare un arco temporale di 3 anni. Tuttavia, è noto che la Sclerosi Multipla presenti una distribuzione disomogenea sul territorio italiano, con una prevalenza maggiore in alcune, in particolare la Sardegna, per cui la lettura ed interpretazione della variabilità dovrà considerare l'epidemiologia come fattore esplicativo di una parte della variabilità osservata.

Il GdL concorda sulla proposta di effettuare le analisi dei consumi sia a livello complessivo (indicazione macro) sia per linee di trattamento e, ancora, per classi terapeutiche diverse all'interno delle diverse linee (ad esempio, come sopra specificato, molecole caratterizzate dallo stesso meccanismo di azione).

La discussione in plenaria ha arricchito ulteriormente le considerazioni e proposte fatte dal GdL. In particolare, è stata sottolineata la necessità di un coordinamento strategico ed operativo da parte di AIFA, per evitare che le regioni debbano investire in attività aggiuntive *ad hoc* per la raccolta dei dati. Si dovrebbe quindi lavorare a livello AIFA ad una soluzione che permetta di utilizzare la grande mole di dati già raccolti routinariamente. Gli stessi Registri AIFA contengono molte delle informazioni necessarie ma tali informazioni non sono messe a disposizione delle Regioni e non coprono tutte le aree terapeutiche. Una possibile soluzione potrebbe essere l'inserimento dei dati dei registri nel Fascicolo Sanitario Elettronico (FSE) ma permangono i problemi di tutela della *privacy* ancora non risolti.

In sintesi, il GdL è stato concorde nel raccomandare:

- l'attivazione di un monitoraggio continuo dell'equità nell'accesso dei farmaci tra regioni diverse, da affiancare alle attività di monitoraggio dei consumi farmaceutici che AIFA già svolge, e basato su una valutazione a tre anni dell'incidenza dei pazienti effettivamente trattati su quelli eleggibili al trattamento;
- che l'obiettivo di questo monitoraggio sia la definizione di obiettivi di miglioramento dell'accesso a livello regionale ma anche analisi retrospettive delle cause della variabilità interregionale dei consumi e l'elaborazione di azioni di indirizzo a livello nazionale per assicurare una maggiore equità di accesso;
- di lavorare sia sull'analisi dell'accesso ai singoli farmaci ed alle diverse terapie per una specifica indicazione, concentrandosi inizialmente su farmaci/aree in cui non si ponga il problema delle indicazioni multiple o in cui questo problema sia in qualche modo gestibile grazie a fonti di informazioni aggiuntive esistenti (ad esempio i Registri AIFA);
- che l'obiettivo di medio-lungo debba essere quello di ampliare il raggio di azione del monitoraggio superando il problema della difficoltà di associare il consumo del farmaco alla diagnosi;
- che il livello centrale metta a disposizione delle Regioni i dati necessari ad effettuare queste analisi, così come altre valutazioni strategiche per le attività di programmazione e controllo, evitando di costringere le regioni ad attivare sistemi aggiuntivi di raccolta dati che risultano *time-consuming* per la regione stessa e per gli operatori.

## Gruppo di Lavoro 2: Uso compassionevole e Farmaci in Fascia C(nn)

### Introduzione

L'Uso Compassionevole (CU) e la Classe C(nn) costituiscono due delle diverse forme di accesso "precoce" al farmaco, che includono anche quelle previste dalla Legge 648/96 (Lista 648), dalla Legge 94/98 (Legge "Di Bella"), dalla Legge 326/2003 (Fondo 5%), dal D.M. 11 febbraio 1997 (Importazione di medicinali dall'estero).

Il CU (D.M. 7 settembre 2017) consente, per pazienti affetti da malattie gravi o rare che si trovino in pericolo di vita e quando, a giudizio del medico, non esistono valide alternative terapeutiche, l'utilizzo di un farmaco non ancora autorizzato e sottoposto a sperimentazione clinica, o, ai fini della continuità terapeutica, per pazienti già trattati con beneficio clinico nell'ambito di una sperimentazione clinica almeno di Fase II conclusa. Come specificato, il medicinale in CU deve essere già oggetto, nella medesima indicazione terapeutica, di studi clinici sperimentali, in corso o conclusi, di Fase III o, in casi particolari di condizioni di malattia che pongano il paziente in pericolo di vita, di studi clinici già conclusi di Fase II. In caso di malattie rare e tumori rari devono essere disponibili studi clinici sperimentali almeno di Fase I, già conclusi e che abbiano documentato l'attività e la sicurezza del medicinale, ad una determinata dose e schedula di somministrazione, in indicazioni anche diverse da quella per la quale si richiede il CU; in tali casi, la richiesta deve essere fondata in base al meccanismo d'azione ed agli effetti farmacodinamici del medicinale. I CU di coorte (programma di CU o *expanded access*) e nominale richiedono il parere favorevole da parte del Comitato Etico (CE) a cui afferisce il centro clinico che presenta la richiesta (e la notifica ad AIFA da parte delle imprese di apertura e chiusura del programma di CU), previa conferma della disponibilità alla fornitura gratuita del medicinale da parte dell'azienda farmaceutica produttrice. Il richiedente assicura che i pazienti che vi prendono parte abbiano accesso al nuovo medicinale anche durante il periodo che intercorre tra la Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) e l'"accesso" al mercato che può arrivare fino all'inclusione nei prontuari regionali/ospedalieri.

Con la Legge 189/2012 è stata istituita in Italia la Classe di farmaci C(nn): la funzione di tale classe è di consentire l'immediata commercializzazione di un prodotto in attesa della negoziazione di P&R in AIFA ed è stata introdotta, tra le altre motivazioni, per evitare sanzioni europee per i ritardi nella messa a disposizione dei farmaci, essendo prima della Legge 189/2012 la AIC contestuale alla pubblicazione della Determina di P&R. Il farmaco è inserito in Classe C(nn) se autorizzato da EMA ma non è ancora concluso il processo di negoziazione di P&R in AIFA. La collocazione di un medicinale in classe C(nn) è determinata dalla pubblicazione del relativo provvedimento nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana (GU), che riporta la/e confezione/i autorizzata/e, il numero di AIC delle confezioni interessate ed il regime di fornitura, individuato con parere della Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) (comprensivo degli eventuali specialisti autorizzati alla prescrizione). In attesa dell'esito della procedura negoziale di P&R da parte di AIFA, l'azienda farmaceutica titolare dell'AIC può decidere se commercializzare o meno il farmaco. Qualora decida di farlo, è tenuta a comunicare obbligatoriamente ad AIFA il prezzo *ex-factory* o, ove applicabile, il prezzo al pubblico del medicinale, che diviene così acquistabile. L'eventuale acquisto avviene quindi prima che AIFA si sia espressa sulla rimborsabilità a carico del SSN e senza che siano stati definiti il prezzo SSN e le eventuali altre condizioni negoziali e/o limitazioni alla prescrizione (sconti, eventuali MEA, registri di monitoraggio, note limitative, centri e specialisti autorizzati alla prescrizione). La Legge 118/2022 ha previsto, per evitare un'eccessiva latenza dei farmaci in C(nn), che, nel caso di mancata presentazione della domanda di P&R entro trenta giorni dal rilascio dell'AIC del medicinale,

l'AIFA sollecita l'azienda titolare della AIC a presentare la suddetta domanda entro i successivi trenta giorni. Decorso inutilmente tale termine, è data informativa nel sito internet istituzionale dell'AIFA ed è applicato l'allineamento al prezzo più basso all'interno del quarto livello del sistema di classificazione Anatomico-Terapeutico-Chimico (ATC).

In linea di principio un farmaco in C(nn), non essendo ancora conclusa la negoziazione di P&R, è a carico del paziente. Non essendo accettabile che questo avvenga per farmaci ad alto prezzo e per i quali l'accesso è rilevante, sono state introdotte diverse iniziative / accordi tra imprese e soggetti acquirenti. Tali accordi

- prevedono la fornitura a prezzo simbolico ad 1 € (prevalenti) o fornitura a prezzo di cessione comunicato ad AIFA, con eventuale previsione di un *payback* in caso di prezzo SSN inferiore a quello comunicato;
- possono prevedere una fornitura di farmaco, attraverso l'accordo negoziato in C(nn) per un periodo limitato (in genere 1-3 mesi) successivamente al rimborso;
- in genere, non prevedono specifiche in caso di classificazione del farmaco in Fascia C o il rimborso con criteri di eleggibilità più ristretti di quanto previsto dall'indicazione EMA;
- a volte prevedono dei target di numerosità dei pazienti.
- I centri erogatori vengono raramente identificati dalle regioni e più frequentemente individuati dalle imprese stesse.

L'eterogeneità degli eventuali accordi commerciali e di eventuali interventi strutturati a livello regionale e della scelta dei centri rappresenta un elemento critico e sollecita una riflessione su come rendere più equo ed omogeneo l'accesso ai farmaci in C(nn) a livello regionale.

La tematica dell'equità dell'accesso nell'ambito delle due iniziative di accesso precoce, insieme alla valutazione di impatto economico di tali iniziative per il SSN ed ai sistemi di garanzia della continuità terapeutica (fino ad effettiva disponibilità a livello regionale, che richiede l'inserimento nei prontuari e l'individuazione dei centri di riferimento per la prescrizione) sono stati il *fil rouge* delle riflessioni del GdL.

A queste riflessioni di carattere generale si sono aggiunti spunti specifici per la riflessione del GdL.

- Per quanto concerne il CU:
  - la non omogeneità della documentazione richiesta dai CE e i tempi per l'espressione del parere;
  - la tracciatura potenzialmente onerosa dei farmaci in contesto non sperimentale;
  - l'individuazione di centri nell'ambito di *expanded access* che poi non vengono identificati come centri prescrittori successivamente alla Determina di P&R;
  - lo scarso utilizzo come fonte informativa *real life* del profilo di sicurezza, durata e, se previsto in modo specifico, efficacia.
- Per i farmaci classificati in C(nn):
  - l'impossibilità per le Regioni in Piano di Rientro di stipulare accordi su farmaci, che, non essendo ancora rimborsati, non sono entro i Livelli Essenziali di Assistenza (LEA);
  - l'importanza di monitorare l'utilizzo e raccogliere dati di esito (rischio/beneficio) ed utilizzare tali informazioni in fase negoziale;
  - l'impossibilità di ottenere compensazione in caso di mobilità interregionale, dato che i farmaci in C(nn) non possono essere inseriti in mobilità sanitaria;

- l'ingresso in C(nn) per farmaci equivalenti e biosimilari.

## Esiti del Gruppo di Lavoro 2

Il GdL si è dato come obiettivo quello di identificare delle proposte per la migliore gestione dei farmaci in Classe C(nn) e in programmi di CU, integrandole con riflessioni sull'uso dei farmaci in Fascia C utilizzati in ambito ospedaliero, nel quadro degli obiettivi sopra specificati: equità / omogeneità di accesso; valutazione di impatto economico; garanzia di continuità terapeutica.

Con riferimento alla Fascia C(nn), il GdL ha concordato che rappresenti un'opportunità di accesso anticipato rispetto alla formalizzazione delle condizioni di P&R, che è rilevante nel caso di un farmaco con valore terapeutico importante e in un contesto di tempi di accesso non programmabili. Nel caso invece di farmaci appartenenti alla stessa classe terapeutica di farmaci già esistenti sul mercato e per i quali non si intravede un valore terapeutico aggiunto, l'inserimento in C(nn) può configurarsi come un'opportunità di risparmio "anticipato" per la regione, ma non possono essere trascurati gli effetti distorsivi sul mercato.

Sotto il profilo organizzativo / di processo, il GdL ha proposto che:

- a livello regionale:
  - sia definita una linea di indirizzo per la gestione dei farmaci inseriti in C(nn), con l'indicazione di requisiti minimi per la stipula dei contratti con le imprese,
  - siano identificati i centri prescrittori,
  - sia valutato l'impatto organizzativo, con una stima del numero di pazienti potenzialmente eleggibili al trattamento ed una valutazione delle complessità generate dalla modalità di somministrazione,
  - siano raccolti i dati di dispensazione, distribuzione, utilizzo e spesa dei farmaci in C(nn), anche al fine della programmazione della spesa, una volta che il farmaco sarà formalmente rimborsato;
- le aziende sanitarie:
  - stipolino i singoli contratti, secondo le linee di indirizzo regionali,
  - verifichino l'appropriatezza prescrittiva,
  - raccolgano i dati circa l'utilizzo del farmaco che forniranno alle regioni;
  - valutino la sostenibilità dei trattamenti;
- le imprese farmaceutiche siano coinvolte con l'obiettivo di fornire dati utili alla programmazione a livello regionale e di azienda sanitaria, comunicando (quando disponibili) i dati epidemiologici e il numero di trattamenti disponibili in C(nn).

Per quanto riguarda gli aspetti contrattuali, il GdL ha proposto che:

- nel caso in cui il farmaco sia classificato in Fascia C, per mancanza di accordo sul prezzo, le imprese forniscano il farmaco per almeno 12 mesi, in attesa di ulteriori sviluppi negoziali o di *switch* a terapia alternativa rimborsata;
- in caso di farmaco venduto al prezzo comunicato da imprese, si preveda sistematicamente un *payback* qualora il prezzo SSN sia inferiore a quello in C(nn);
- in caso di cessione a prezzo simbolico di 1 euro, che la fornitura venga assicurata per almeno 90 giorni dalla pubblicazione in GU (60 gg per i farmaci a designazione orfana).

Il GdL ha infine affrontato il tema dell'uso di farmaci in C(nn) nelle regioni in Piano di Rientro, identificando due possibili soluzioni al problema sopra evidenziato, ovvero che tali regioni non

possono fornire prestazione extra-LEA: prevedere accordi a prezzo di cessione simbolico (1 euro) o consentire a tali regioni di acquistare farmaci in C(nn) come deroga alla regola secondo cui non possono erogare prestazioni extra LEA.

Con riferimento al CU il GdL, pur concordando che la normativa sia ben definita, ha individuato ambiti di miglioramento.

Un primo suggerimento è che i dati disponibili presso le aziende sanitarie (almeno il numero di pazienti inclusi nei programmi di CU per farmaco ed indicazione terapeutica) siano comunicati semestralmente alle regioni.

Rispetto al tema della continuità terapeutica, il GdL ha raccomandato che le imprese si impegnino, nella dichiarazione di disponibilità alla fornitura del medicinale e consentendo l'utilizzo di farmaco giacente in scorta presso la struttura sanitaria, ad assicurare il medicinale:

- per un arco temporale di almeno 12 mesi nel caso in cui l'indicazione rimborsata sia più restrittiva rispetto ai criteri di eleggibilità dei pazienti arruolati nel CU o il farmaco venga classificato in Fascia C / C(nn);
- per un massimo di 90 gg dalla data di pubblicazione in GU e per un massimo di 60 gg per farmaci orfani a seguito del rimborso e nel caso in cui l'indicazione rimborsata sia corrispondente ai criteri di eleggibilità del programma di CU.

Come sopra indicato, il GdL ha affrontato anche il tema dei farmaci in Fascia C di gestione ospedaliera. La Fascia C comprende i farmaci per i quali non si è raggiunto un accordo negoziale di P&R o l'impresa stessa chiede l'inserimento in Fascia C (ad esempio, mezzi di contrasto, anestetici). La rimborsabilità di tali farmaci in ambito ospedaliero è in generale decisa dalle Commissioni Terapeutiche Aziendali e la loro copertura finanziaria può essere garantita dalle tariffe vigenti per le prestazioni di ricovero o ambulatoriali.

Il GdL propone che un farmaco di Fascia C, per il quale non si sia raggiunto un accordo negoziale di P&R (e quindi non nel caso in cui l'azienda abbia richiesto espressamente la non rimborsabilità) e a cui venga riconosciuto un valore terapeutico importante sia inserito in Lista 648 al massimo per 12 mesi, in attesa di una ri-sottomissione del Dossier di P&R con dati aggiornati.

## Gruppo di Lavoro 3: Gestione degli acquisti di medicinali: strumenti e strategie per semplificarne la programmazione ed omogeneizzare la disponibilità dei farmaci

### Introduzione

Sebbene sia previsto che AIFA provveda al governo della spesa farmaceutica e gestisca il processo negoziale in modo che siano rispettati i tetti di spesa, la determinazione di questi ultimi non dipende da una valutazione degli effetti di nuovi ingressi sul mercato e delle scadenze brevettuali, ma dalla determinazione complessiva delle risorse per il SSN, che dipende essenzialmente dalle compatibilità macroeconomiche. Sono quindi di fatto le regioni a dover attivare specifici interventi per assicurare l'assistenza farmaceutica, compatibilmente con i finanziamenti disponibili.

In particolare, la spesa per farmaci acquistati direttamente dalle aziende sanitarie rappresenta ormai una quota di spesa superiore al 60% della spesa farmaceutica a carico del SSN ed è quasi esclusivamente erogata direttamente da strutture pubbliche. Il relativo acquisto di farmaci è preceduto dallo svolgimento di procedure pubbliche e dalla conseguente stipula di contratti di fornitura tra struttura pubblica e azienda farmaceutica.

La procedura di acquisto di un medicinale non deve essere interpretata come mero atto amministrativo, ma quale strumento essenziale per esercitare uno degli strumenti di governo del Servizio Sanitario Regionale (SSR) e, in particolare dell'assistenza farmaceutica.

La relazione introduttiva, nella presentazione del caso So.Re.Sa. S.p.A., società strumentale costituita da Regione Campania per la realizzazione di azioni strategiche finalizzate alla razionalizzazione della spesa sanitaria regionale e, in particolare, soggetto finalizzato a fungere da centrale acquisti dei prodotti destinati alle aziende sanitarie campane, ha evidenziato come interpretare gli acquisti come uno degli strumenti di governo del SSR significa:

- gestire un mercato caratterizzato da alta dinamicità;
- rispondere ad esigenze non sempre prevedibili in termini di fabbisogni (è stato citato il caso delle estensioni di indicazioni terapeutiche);
- sviluppare metodologie di analisi che consentano di comprendere rapidamente le variazioni del mercato in termini di domanda ed offerta e rispondere tempestivamente alle mutate esigenze;
- padroneggiare gli strumenti giuridici e tecnologici disponibili;
- mantenere un alto grado di progettualità e flessibilità, agendo anche in maniera creativa in situazioni non standardizzate, anche se specificamente normate (D.lgs. 36/2023 - Codice dei Contratti Pubblici).

La seconda relazione ha individuato alcuni elementi di interesse per il GdL, che rappresentano priorità per il futuro del sistema degli acquisti, con riferimento in particolare ai farmaci. Si tratta, nello specifico di:

- massimizzare le sinergie tra *stakeholder* (in particolare imprese e clinici) e soggetti istituzionali del SSR con la finalità di:
  - migliorare il metodo di stima del fabbisogno,
  - pianificare procedure mirate, anche per famiglie di farmaci: farmaci di sintesi, biologici, emoderivati, ecc.,
- ridurre progressivamente le tempistiche di espletamento delle procedure di gara:
  - adottando un approccio manageriale alla gestione degli acquisti ispirato all'applicazione di logiche di *Lean Project Management*,

- gestendo in parallelo delle attività;
- monitorare l'andamento delle procedure considerando indicatori chiave, quali:
  - la percentuale di lotti non assegnati rispetto al totale di quelli banditi,
  - il tasso di partecipazione alle gare da parte delle imprese;
- monitorare la fase di esecuzione contrattuale;
- implementare strumenti innovativi di *procurement*, in particolare in situazioni di carenza;
- favorire l'attivazione di collaborazioni tra regioni, fino ad arrivare, in alcuni casi (farmaci infungibili), alla centralizzazione degli acquisti a livello nazionale.

### Esiti del Gruppo di Lavoro 3

Il GdL ha pienamente condiviso le sollecitazioni della relazione introduttiva ed ha sottolineato come interpretare l'acquisto di farmaci come una delle azioni di governo regionale significa anche seguire, nella gestione degli acquisti, gli indirizzi espressi dagli organismi regionali deputati (servizio farmaceutico *in primis*) integrandosi con essi, ed operando per consentire alle aziende sanitarie di erogare l'assistenza farmaceutica, assicurandone contestualmente sostenibilità e tempestività.

Numerosi componenti del GdL hanno però evidenziato come in molte realtà regionali vi siano evidenti difficoltà di raccordo tra Centrali di acquisto e Strutture regionali di governo della spesa sanitaria.

Data la variabilità interregionale nell'assetto e nelle azioni di governo del SSR e delle aziende sanitarie nonché nella gestione stessa degli acquisti, il GdL ha condiviso che le raccomandazioni avrebbero scarso impatto se eccessivamente dettagliate e proposte singolarmente alle regioni. Il GdL ha inteso quindi discutere ed individuare proposte di indirizzo compatibili con i differenti assetti dei SSR, con il suggerimento di veicolarle *in primis* a livelli centrali o di coordinamento interregionale quali Ministero dell'Economia e delle Finanze (MEF), Ministero della Salute (MinSal), AIFA, ANAC (Autorità Nazionale Anticorruzione), Consip, per essere poi sottoposti al vaglio ed approvazione della Conferenza Stato-Regioni (CSR), con un approccio che limiti i suggerimenti di tipo tecnico ma proponga una metodologia di gestione dei processi di acquisto condivisa e realizzabile in modo omogeneo, nel rispetto delle differenze regionali.

Il GdL, ricordando che ogni procedura di acquisto si compone di fasi sequenziali (programmazione, progettazione, espletamento ed esecuzione con relativo monitoraggio) ha condiviso che queste dovrebbero essere realizzate differentemente, a seconda della tipologia di farmaco, individuando due macro-categorie:

- farmaci a brevetto scaduto, che, ai fini del processo (ed anche della normativa di riferimento) di acquisto, possono essere suddivisi in:
  - farmaci derivati da sintesi chimica / equivalenti,
  - farmaci biologici / biosimilari (con normative specifiche sull'obbligo di procedere con Accordo Quadro in caso di presenza di più di tre concorrenti);
- farmaci esclusivi, che, ai fini del processo di acquisto, possono essere distinti in:
  - uso consolidato (da tempo in commercio e già contrattualizzati),
  - nuove entità terapeutiche, ovvero nuovi principi attivi (di recente commercializzazione e rimborsabilità, in attesa di contrattualizzazione).

Il GdL ribadisce che le procedure di acquisto in concorrenza, le cosiddette "gare", sono necessarie per i farmaci equivalenti e possono esserlo per i biosimilari (in conformità con la normativa di riferimento, a seconda delle scelte strategiche regionali e sulla base del farmaco specifico), mentre non lo sono per i farmaci esclusivi, per i quali è sufficiente realizzare una procedura negoziata. Pur

riconoscendo che le centrali di acquisto regionali non possono frammentare eccessivamente le procedure amministrative, è indubbio che le tempistiche di realizzazione di una procedura negoziata sono inferiori a quelle per una gara in concorrenza. Oltretutto incentivare le procedure negoziate significherebbe semplificare la gestione degli acquisti per farmaci (esclusivi) che costituiscono la netta maggioranza della spesa per acquisti diretti e che presentano un prezzo regolamentato a livello nazionale. Conseguentemente il GdL si è interrogato sull'utilità di effettuare singole procedure regionali per contrattualizzare farmaci esclusivi, che presentano il medesimo prezzo sull'intero territorio nazionale, portando ad una proliferazione di procedure che non determinano alcun risparmio, ma che possono costituire una delle principali cause di difformità nell'accesso regionale al farmaco, a causa delle differenti tempistiche di realizzazione.

Il GdL ha poi condiviso, in larga maggioranza, la considerazione che la problematica più stringente, cioè le differenze regionali tra tempistiche di realizzazione delle procedure di acquisto e la reale disponibilità del farmaco, si riferisce soprattutto ai farmaci di nuova introduzione in commercio (nuovi principi attivi), su cui dovrebbero quindi essere focalizzati gli interventi risolutivi.

Tra le principali criticità nell'approvvigionamento di farmaci sono state poi rilevate:

la difficoltà e mancanza di omogeneità dei criteri di definizione del fabbisogno (utilizzo dati storici, utilizzo dossier per l'inserimento dei farmaci nei prontuari regionali, ecc.), con una frequente errata definizione dello stesso, che causa ripercussioni in tutte le fasi successive del processo. Si va dal fabbisogno eroso rapidamente, con necessità di bandire nuovamente la procedura, ad un fabbisogno eccessivo e non rispondente alla reale necessità, per cui è un sempre più elevato il rischio di contestazioni da parte dei fornitori aggiudicatari;

un'errata definizione del prezzo base d'asta che non permette di espletare al massimo i vantaggi derivanti dalla competizione e può essere causa di lotti deserti: su questo aspetto è stato consigliato di scegliere come base d'asta non il prezzo più basso in assoluto, ma un valore medio dei prezzi dei prodotti soggetti a gara;

la carenza di capitolati standard a cui attenersi (ad esempio per tipologia di prodotto), che genera frequenti richieste di chiarimenti e contenzioso legale;

i tempi eccessivi di adesione ad una convenzione, stipulata dalla centrale acquisti, da parte dell'azienda sanitaria (Provveditorato, Codice Identificativo Gara - CIG), che causano ritardi nella disponibilità del farmaco.

Nello specifico, il GdL ha stilato cinque proposte, che vanno nella direzione della strategia sopra specificata e finalizzate ad affrontare le problematiche individuate.

#### *Proposta 1*

Per supportare ed accelerare le procedure di acquisto regionali, si è proposto che AIFA renda disponibile alle Regioni un Report di *Horizon Scanning*, con cadenza definita (infra-annuale), che anticipi informazioni inerenti:

- nuovi principi attivi;
- nuove indicazioni terapeutiche per farmaci già disponibili;
- scadenze brevettuali.

Per i nuovi principi attivi, l'AIFA dovrebbe poi anticipare alle Regioni alcuni dati selezionati, estratti dal Dossier di P&R, all'atto della ratifica da parte del Consiglio di Amministrazione (CdA) dell'AIFA del contratto con le imprese.

#### *Proposta 2*

Per documentare che l'effettiva difformità tra regioni nella disponibilità dei farmaci, già rilevata da ricerche indipendenti, sia anche motivata dalle differenze nei tempi di realizzazione delle procedure

di acquisto, si è suggerito che un organismo nazionale (come Consip) riceva dalle istituzioni (MEF) il compito di monitorare i singoli tempi regionali di contrattualizzazione, relativamente ai nuovi principi attivi, misurandoli dalla data di pubblicazione della Determina di P&R in GU alla data del provvedimento di aggiudicazione da parte della centrale di acquisto regionale. I risultati di tale analisi possono ulteriormente supportare l'utilità di realizzare la Proposta 3 (centralizzazione di alcune procedure di acquisto di nuovi principi attivi).

#### *Proposta 3*

Per assicurare tempestività di realizzazione del processo di acquisto, omogeneità nella messa a disposizione del farmaco ed equità di accesso e eventuali economie di scala si è proposto che per i farmaci esclusivi di nuova introduzione (non ancora contrattualizzati) venga realizzata una prima procedura di acquisto unica a livello nazionale tramite Consip, consentendo l'adesione diretta da parte delle aziende sanitarie.

Si tratterebbe di trasferire a Consip la gestione di circa un centinaio di procedure negoziate all'anno. A livello sperimentale si potrebbe partire con farmaci innovativi e a designazione orfana (circa 25 all'anno). Per la determinazione del fabbisogno, Consip utilizzerebbe i dati di popolazione presenti nel Dossier di P&R, eventualmente rivisto da AIFA. Trattandosi di farmaci esclusivi, Consip dovrebbe adottare una procedura negoziata rapida.

#### *Proposta 4*

Al fine di garantire la costante fornitura di un farmaco ed assicurare la continuità terapeutica, il GdL ha suggerito di promuovere la stipula di accordi quadro da parte delle centrali di acquisto regionali per i farmaci a brevetto scaduto. Nel caso degli equivalenti vi è l'abitudine storica di realizzare procedure in concorrenza che portano ad un unico aggiudicatario per lotto, sulla base del criterio del prezzo. L'esperienza di questi anni ha dimostrato che impegnare una singola azienda farmaceutica nella fornitura di un farmaco a brevetto scaduto a tutte le aziende sanitarie di una regione può risultare critico, soprattutto per le frequenti indisponibilità che inevitabilmente possono interrompere la continuità terapeutica. In questo caso la realizzazione di accordi quadro, con eventuale aggiudicazione frazionata ai primi aggiudicatari (secondo il prezzo più basso offerto), tutela l'azienda sanitaria nell'assicurare prontamente la disponibilità del principio attivo, senza compromettere la sostenibilità finanziaria. Le stesse considerazioni vanno estese per i biosimilari, per i quali la normativa attuale già prevede, come sopra specificato, l'obbligo di stipula di accordi quadro nel caso di disponibilità di più di tre prodotti.

#### *Proposta 5*

Le informazioni inerenti alle procedure di acquisto sui farmaci sono pubbliche ma reperirle è complesso e dispersivo, anche per gli stessi professionisti che operano in questo settore a livello regionale. Sarebbe invece utile che le centrali di acquisto regionali disponessero di informazioni facilmente accessibili. Si è proposto quindi che un soggetto centrale (ad esempio, ANAC) metta a disposizione delle regioni un Osservatorio Acquisti, di rapida e semplice consultazione, relativo a tutte le procedure di acquisto regionali attive, che potrebbe tradursi in una scheda informativa sintetica contenente dati salienti, quali: principio attivo/ATC, prodotto aggiudicato, forma contrattuale, durata del contratto, prezzo di aggiudicazione e fornitore.

## Gruppo di Lavoro 4: Quali strumenti adottare nelle regioni per governare il comportamento prescrittivo e la spesa

### Introduzione

Il governo del comportamento prescrittivo, inteso come il complesso delle azioni finalizzate a garantire l'appropriatezza e a indirizzare tra alternative terapeutiche è oggetto di dibattito, anche in relazione alla distribuzione delle competenze tra stato e regioni.

Il GdL ha avuto come obiettivo quello di proporre una struttura delle azioni al fine di garantire:

- l'appropriatezza prescrittiva;
- il governo della spesa farmaceutica.

La relazione introduttiva, oltre a riportare i risultati di una revisione di letteratura su tali azioni e sulle relative valutazioni di impatto, ha inquadrato gli strumenti di governo adottati dalle regioni, distinguendo tra iniziative collegate all'offerta ed alla domanda.

Le azioni regionali classificabili sul lato offerta sono rappresentate da:

- prontuari regionali, intesi come elenco selettivo di farmaci disponibili al rimborso a livello regionale;
- identificazione dei centri prescrittori e dei clinici prescrittori;
- politiche distributive, ovvero adozione di forme alternative alla distribuzione in regime convenzionale (Distribuzione Diretta, Distribuzione Per Conto - DPC);
- politiche di acquisto.

Con riferimento invece alle politiche di indirizzo della domanda sono state individuate:

- linee guida prescrittive e raccomandazioni;
- schede informative o report più strutturati di Health Technology Assessment (HTA), con specifica del posto in terapia, del valore comparativo e dei costi;
- tetti di spesa delle aziende sanitarie, intesi come target inseriti nei sistemi di governo delle aziende sanitarie;
- azioni di controllo dell'appropriatezza attraverso
  - analisi degli indicatori (finanziari, di appropriatezza e di esito) dei flussi amministrativi correnti,
  - controllo delle prescrizioni (*audit* su cartelle cliniche, registri, prescrizioni e piani terapeutici informatizzati);
- incentivi economici e non economici per i direttori generali delle aziende sanitarie, i responsabili di Unità Operativa Complessa (UOC) e, più in generale, i prescrittori;
- le compartecipazioni alla spesa regionali, in forma di quota fissa per ricetta / prescrizione
- le analisi e l'indirizzo del comportamento prescrittivo nell'ambito dei Percorsi-Diagnostico-Terapeutici-Assistenziali (PDTA).

Sono state quindi analizzate alcune iniziative regionali, a titolo esemplificativo, di schede informative sui farmaci (Regione Veneto), linee-guida e raccomandazioni (Gruppo Regionale Farmaci Oncologici – GreFO – dell'Emilia Romagna), tetti di spesa aziendali (Regione Veneto), indicatori di indirizzo finanziario, quali formulazioni a minor costo (Regione Veneto) o limiti di spesa farmaceutica pro-capite (Regione Toscana), indicatori di appropriatezza / aderenza alle Note AIFA (Regione Calabria).

Dall'analisi della letteratura e dalle esperienze regionali è emerso come

- gli studi sono limitati, descrivono l'impatto di strumenti già in uso a livello regionale e non ci sono evidenze chiare di quali siano i metodi/strumenti più efficaci;
- le Note AIFA (ed i Registri AIFA) vengono di fatto assimilati a raccomandazioni e le regioni ne valutano il tasso di aderenza;
- non esiste una raccolta sistematica e continuativa (tipo osservatorio) degli strumenti regionali adottati per governare il comportamento prescrittivo, ma gli interventi possono essere ricondotti a tre macroaree
  - produzione di linee-guida/raccomandazioni/informazioni,
  - misurazione dei consumi e della relativa variabilità,
  - misurazione dell'aderenza alle linee-guida/raccomandazioni e della relativa variabilità;
- produrre linee-guida/raccomandazioni a livello regionale (e di azienda sanitaria) richiede competenze, tempo e risorse dedicate. È quindi necessario che le regioni (e le aziende sanitarie) si dotino di strumenti informatici, sistemi di analisi efficienti e personale dedicato;
- sia più semplice (e diffuso) l'uso di indicatori di spesa degli indicatori di appropriatezza. Questi ultimi richiedono di definire/quantificare uno standard di consumo e la differenza tra pratica clinica e standard.

La presentazione in plenaria ha quindi indirizzato il GdL a riflettere su temi conseguenti al quadro delineato sulle azioni di governo regionale della prescrizione, ovvero la necessità / opportunità di:

- approfondire il grado di conoscenza degli strumenti adottati dalle regioni (attivazione di un Osservatorio);
- misurare le risorse dedicate a tali azioni;
- analizzare se sia possibile / attuabile un'azione di coordinamento a livello interregionale che preveda:
  - una «presa in carico» da AIFA di alcuni strumenti quali schede HTA sui farmaci ed analisi dei Registri AIFA,
  - la produzione ed adozione di linee-guida/raccomandazioni a livello interregionale, coinvolgendo le società scientifiche,
  - l'individuazione di nuovi indicatori OsMed con maggiore focus su quelli di appropriatezza;
- prevedere in prospettiva di inserire indicatori di appropriatezza farmaceutici nel sistema di misurazione dei LEA - Nuovo Sistema di Garanzia (NSG).

#### Esiti del Gruppo di Lavoro 4

Il GdL, ad integrazione di quanto discusso nella relazione introduttiva, ha evidenziato alcune ulteriori problematiche, ovvero che:

- andrebbe potenziato l'uso di flussi amministrativi ai fini della misurazione dell'appropriatezza, ma questo è reso complesso dalla impossibilità attuale di utilizzare il codice fiscale, pur pseudoanonimizzato, come *record linkage* tra i flussi di prestazioni (farmaceutica, prestazioni ambulatoriali, ospedalizzazioni);
- il monitoraggio dell'appropriatezza prescrittiva tramite Registri e Piani Terapeutici informatizzati è reso difficile dall'assenza di ritorno di dati aggregati di trend del comportamento prescrittivo. Tali strumenti potrebbero essere quindi meglio valorizzati come fonte informativa per la valutazione di appropriatezza;
- gli indicatori dovrebbero focalizzarsi anche sull'utilizzo di equivalenti e biosimilari, che presenta importanti differenze tra regioni;

- alla definizione dei PDTA spesso non segue un'effettiva implementazione per vari motivi sia di natura organizzativa sia correlati al percorso di patologia del paziente.

Essendo molto ampio il ventaglio delle azioni regionali, il GdL si è voluto focalizzare sulle due macroaree che rappresentano gli ambiti di maggiore complessità, ma anche di maggiore rilevanza nel governo del comportamento prescrittivo:

- gli strumenti / indicatori per la misurazione dell'appropriatezza;
- le linee-guida/ raccomandazioni e le schede HTA,

Con riferimento agli strumenti / indicatori per la misurazione dell'appropriatezza il GdL si è concentrato su PDTA, Registri e Piani Terapeutici elettronici e Dati amministrativi.

Il GdL ha raccomandato che gli indicatori di appropriatezza farmaceutica siano inseriti all'interno dei PDTA e, quindi, concordati con le reti cliniche e aggiornati nel tempo tenendo conto dei nuovi farmaci (ed in generale delle innovazioni introdotte in pratica clinica) e delle linee guida nazionali ed internazionali. Una particolare attenzione dovrebbe essere posta sulle malattie croniche, per le quali il disegno e l'applicazione dei PDTA è più complesso per effetto:

- della maggiore frequenza di pazienti con poli-morbilità e, quindi, di una maggiore articolazione dei PDTA in relazione alle caratteristiche di tali pazienti;
- di maggiori complessità di tipo organizzativo, essendo più servizi / professionisti coinvolti, che ne limitano l'effettiva implementazione.

Il GdL concorda che, ai fini del governo dell'appropriatezza prescrittiva, l'approccio più utile sia quello di privilegiare ed ottimizzare gli strumenti già esistenti, ovvero i Registri farmaci ed i Piani Terapeutici elettronici.

I Registri AIFA dovrebbero avere una durata definita, essere semplificati come strumento di monitoraggio delle tendenze di consumo e dell'appropriatezza prescrittiva, e permettere una maggiore possibilità di analisi a livello regionale mediante l'implementazione di un cruscotto di dati fruibili da parte delle regioni.

Con la semplificazione e lo spostamento di alcune classi di farmaci verso il canale della distribuzione in regime convenzionale (già avvenuta per gli antidiabetici orali) andrebbe favorita anche la semplificazione prescrittiva. I piani terapeutici oggi obbligatori anche per i Medici di Medicina Generale - MMG (come nel caso di Bronco Pneumopatia Cronico-Ostruttiva - BPCO, Nuovi Anticoagulanti Orali - NAO e Diabete) dopo un primo periodo in cui sono utili per la formazione/familiarizzazione con i farmaci, andrebbero eliminati.

In relazione ai dati amministrativi, si è concordato come la valorizzazione di indicatori di appropriatezza necessiti l'incrocio di tutti i flussi amministrativi. L'ideale sarebbe poterli elaborare a livello centrale (nell'ambito, ad esempio, di AGENAS - Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali) ma, come già evidenziato, persistono problemi legati alla *privacy*. Una possibile soluzione potrebbe essere rappresentata dalla definizione a livello nazionale degli indicatori e dei relativi algoritmi di calcolo, con il loro inserimento nel Rapporto OsMed. Questo garantirebbe una maggiore trasparenza e la possibilità per tutte le regioni di monitorare la propria situazione e confrontarsi con altre realtà regionali. In prospettiva, come già specificato, può essere previsto l'inserimento di tali indicatori nel sistema di misurazione LEA/NSG. Il GdL ha anche ricordato come il FSE possa essere una risorsa per la raccolta dei dati afferenti alla medicina generale.

Rispetto al tema delle linee-guida e raccomandazioni a livello regionale, si è osservata una grande eterogeneità e come in alcuni casi tali indirizzi al comportamento prescrittivo siano fortemente orientati al contenimento della spesa e non sufficientemente supportati da un razionale scientifico

condiviso con i medici. Il GdL suggerisce quindi, oltre alla creazione di un Osservatorio delle azioni di governo regionale del comportamento prescrittivo, che in prospettiva tali indirizzi:

- vengano definiti a livello nazionale da parte di AIFA, anche in collaborazione con referenti regionali, e con il coinvolgimento delle Società Scientifiche e delle Associazioni pazienti;
- tengano conto delle evidenze su valore e costi e non siano solo orientati da un contenimento della spesa.

Il GdL ha poi evidenziato un generale consenso sull'ottimizzazione dell'utilizzo dei farmaci a brevetto scaduto (attraverso liste di trasparenza, raccomandazioni, gare competitive).

Anche per le Schede HTA, il GdL ha ritenuto utile che sia AIFA a produrle, prendendo spunto dal Joint Clinical Assessment (JCA), integrate con i domini non coperti dal JCA (essenzialmente impatto economico ed organizzativo). Tali Schede potrebbero essere prodotte a conclusione della negoziazione P&R e rese disponibili il prima possibile alle regioni. Lo spostamento di molte azioni a livello centrale farebbe guadagnare alle regioni tempo e risorse che ad oggi sono impiegate nelle fasi di rivalutazione regionale.

Prendendo spunto dall'esito del GdL 4 della sesta edizione dei Seminari di Mogliano (2023), sono state analizzate alcune informazioni che AIFA potrebbe comunicare con anticipo alle Regioni, indicando in modo più specifico quando questo potrebbe avvenire:

- informazioni che potrebbero essere fornite una volta conclusa la valutazione, con esito accettato dalle imprese:
  - alternative terapeutiche considerate (comparatori) e relativi dosaggi/consumi,
  - valutazione sull'innovatività,
  - giudizi su *unmet need*, valore terapeutico aggiunto e qualità delle prove, estesi a tutti i farmaci / indicazioni approvati,
  - dimensione della popolazione target;
- informazioni che potrebbero essere fornite al momento del perfezionamento dell'accordo negoziale o, al più tardi, all'approvazione del CdA:
  - impatto sulla spesa farmaceutica (e sanitaria, laddove nota) a carico del SSN,
  - le schede dei Registri farmaci, non appena disponibile la versione definitiva.

La tempistica di rilascio del documento andrà comunque rivalutata alla luce della nuova governance AIFA e della CSE: realisticamente si può ipotizzare un anticipo delle attività regionali inerenti all'accesso di circa 2 mesi rispetto alla pubblicazione in GU della Determina di P&R.

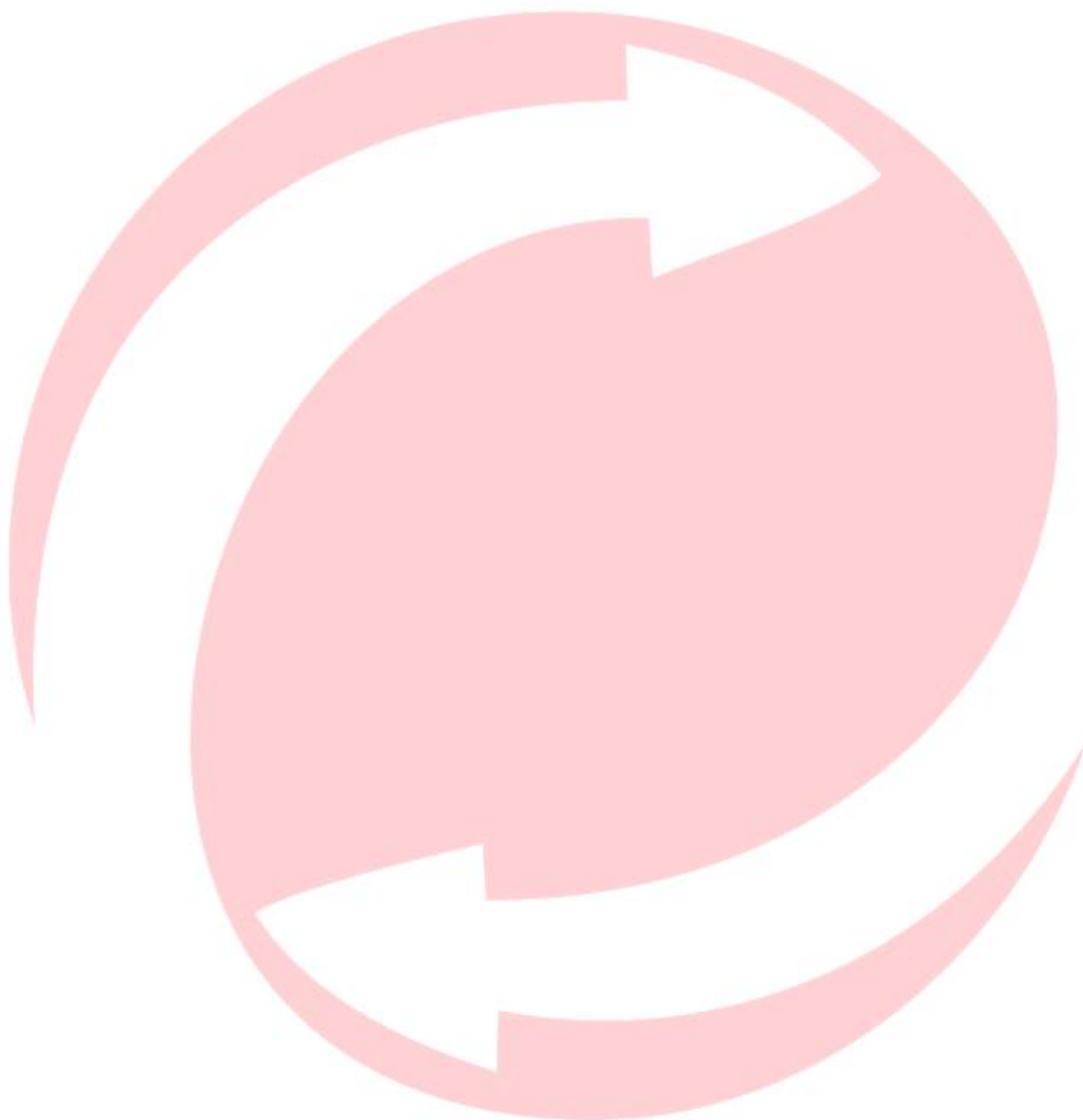
Per quanto il GdL abbia sottolineato la necessità di rendere più omogenee le politiche di governo del comportamento prescrittivo e, comunque, di procedere con un monitoraggio sistematico di tali politiche, è stato evidenziato come rimanga ancora aperta la questione della distribuzione delle competenze nelle politiche di indirizzo prescrittivo ovvero se tale indirizzo sia di competenza di AIFA o debba rimanere in capo alle regioni. Nello specifico è stato dibattuto caso di farmaci che presentano lo stesso livello di evidenza scientifica nelle linee guida nazionali ed internazionali e valutazioni del JCA, a parità di indicazioni.

Sono stati nello specifico individuati due scenari:

- nel caso in cui l'AIFA attuasce sistematicamente l'allineamento dei prezzi/costi terapia su tali farmaci, la necessità di raccomandazioni regionali che promuovono l'utilizzo del farmaco a minor costo tra le alternative potrebbe ridursi. Questa considerazione potrebbe essere applicata sia ai farmaci maturi sia ai farmaci più recenti, purché siano tenute in giusta considerazione enel rispetto di alcune condizioni (stessa indicazione, come sopra specificato, vantaggi per il paziente ed organizzativi, presenza/assenza di validità di brevetto). Le singole regioni potrebbero tuttavia scegliere di indirizzare la scelta anche nei confronti di prodotti

che presentano un costo terapia più elevato, nel caso in cui tali farmaci riducano effettivamente i costi organizzativi;

- mantenere in capo alle regioni la competenza di produrre tali raccomandazioni in assenza di un allineamento dei prezzi/costi terapia a livello centrale.



## Allegato 1 Governance di Progetto e Gruppi di Lavoro

Massimo Medaglia- Dephaforum S.r.l.

Giovanna Scroccaro- Regione Veneto

### **Comitato Promotore**

Mattia Altini- Regione Emilia-Romagna

Alberto Bortolami- Regione Veneto

Elisa Crovato- Chiesi Farmaceutici

Claudio Jommi – Università Degli Studi del Piemonte Orientale

Lorella Lombardozzi – Coordinatore Servizi Farmaceutici Regionali

Paolo Stella – Regione Puglia

Ugo Trama – Regione Campania

### **Advisory Committee**

Giuliano Buzzetti – Dephaforum S.r.l.

Arturo Cavaliere – Asl Viterbo, Presidente SIFO

Valeria Fava – Cittadinanzattiva

Carmine Pinto – AUSL IRCCS Reggio Emilia

Gennaro Sosto – Direttore Generale ASL di Salerno

Francesco Trotta – AIFA

## Componenti Gruppo di Lavoro 1: Equità di accesso alle terapie e variabilità dei consumi dei farmaci

Coordinatori: C. Jommi, S. Marangoni, F. Trotta,

Relazione introduttiva: C. Jommi

Rapporteur: C. Pinto

Facilitatore Dephaforum: C. Bianchi

- Giovanni Alquati- Gilead
- Sabrina Baldanzi- Grünenthal
- Claudia Baldestein- Jazz Pharmaceuticals
- Lorenza Candian- Advanzpharma
- Beatrice Cantini- Otsuka
- Pierluigi Carullo- Amarin
- Arturo Cavaliere- Asl di Viterbo, Presidente SIFO
- Stefano Cavallo- Daiichi-Sankyo
- Raffaella Ciucci- Lundbeck
- Bianca Esposito- UCB
- Valeria Fava- Cittadinanzattiva
- Yosra Kamel- GSK
- Francesca Leonardi- Roche
- Matteo Macilotti- Università degli Studi di Trento
- Pierparlo Mangia- Chiesi
- Walter Marrocco- FIMMG
- Giacomo Massardo- Servier
- Federica Parretta- Abbvie
- Francesco Perrone- Alexion
- Carmine Pinto- AUSL IRCCS Reggio Emilia
- Maria Rosa Puzo- Regione Basilicata
- Maurizio Rattazzi- Astellas
- Arianna Rova- Boehringer Ingelheim
- Elisa Sangiorgi- Regione Emilia-Romagna
- Gennaro Sosto- Asl di Salerno
- Valentina Straziota- Daiichi-Sankyo
- Maurizio Tardi- Beigene

## Componenti Gruppo di Lavoro 2: Uso compassionevole e Farmaci in Fascia C(nn)

Coordinatori: V. Acciai, A. Bortolami

Relazione introduttiva: A. Bortolami

Rapporteur: V. Ladisa

Facilitatore Dephaforum: I. Marzona

- Roberto Banfi- Regione Toscana
- Alessandra Bianchi- GSK
- Luca Bolognese- AstraZeneca
- Annalisa Campomori- APSS Trento
- Rosario Chimirri- Otsuka
- Marzia Colani- Bayer
- Francesco D'Elia- Advanzpharma
- Guido Di Donato- Pfizer
- Umberto Dretta- Galapagos Alfasigma
- Maria Elena Filippini- Abbvie
- Fabrizio Fiore- Novartis
- Federica Gelmini- Boehringer Ingelheim
- Alberto Giovanzana- Teva
- Eugenia Livoti- Regione Liguria
- Lorella Lombardozzi- Coordinatore Servizi Farmaceutici Regionali
- Francesco Mazza- Farindustria
- Roberto Pala- Menarini
- Marcello Pani- Policlinico Universitario A. Gemelli, Segretario SIFO
- Michele Panzera- Viatris
- Francesco Perrone- Alexion
- Barbara Rebesco- Regione Liguria
- Silvia Sansone- Servier
- Daniela Settesoldi- AIFA
- Alessio Sharifi- Eli-Lilly
- Francesca Venturini- Azienda Ospedale -Università di Padova
- Fabrizio Zocchi- Almirall

## Componenti Gruppo di Lavoro 3: Gestione degli acquisti di medicinali: strumenti e strategie per semplificarne la programmazione ed omogeneizzare la disponibilità dei farmaci

Coordinatori: N. Ruffini, A. Cristinziano, S. Amore

Relazione introduttiva: N. Ruffini, A. Cristinziano

Rapporteur: M.E. Soffientini

Facilitatore Dephaforum: M. Medaglia

- Irma Aruta Improtà- Amgen
- Fausto Bartolini- Regione Umbria
- Francesca Futura Bernardi- Regione Campania
- Filippo Bresciani- Ipsen
- Fabio Callegaris- Servier
- Francesco Catavittello- Galapagos Alfasigma
- Donato Cavallo- Agenzia regionale dell'Abruzzo per la Committenza
- Paolo Conforti- Beigene
- Alberto Costantini- Asl Pescara
- Lorenzo Cultrona- Lundbeck
- Antonio Foresta- Eli-Lilly
- Fausto Galanti- Bayer
- Eleonora Grando- Viatris
- Germano Lo Dico- Amarin
- Marta Meloncelli- Alexion
- Mariuccia Milani- Advanzpharma
- Walter Musella- Roche
- Francesco Oliva- Daiichi- Sankyo
- Luca Paoles- Farmindustria
- Luigi Patregnani- Regione Marche
- Diego Perrotta- Daiichi-Sankyo
- Alessia Pisterna- Ospedale Maggiore di Novara
- Nicola Salvaggio- Biogen
- Paolo Serra- Asl Oristano
- Maria Elena Soffientini- Pierre-Fabre
- Paolo Torrico- ESTAR Toscana
- Ugo Trama- Regione Campania
- Michele Vannucci- Chiesi
- Adriano Vercellone- Asl Napoli 3
- Alessio Vitullo- AstraZeneca

## Componenti Gruppo di Lavoro 4: Quali strumenti adottare nelle regioni per governare il comportamento prescrittivo e la spesa

Coordinatori: G. Scroccaro e G. Valenzano

Relazione introduttiva: G. Scroccaro

Rapporteur: G. Valenzano

Facilitatori Dephaforum: M.C.Carena, S. Fagnani

- Francesco Albertini- Otsuka
- Mattia Altini- Regione Emilia-Romagna
- Emanuela Arcangeli- Amarin
- Francesco Attanasio- Regione Toscana
- Roberto Banfi- Regione Toscana
- Silvia Bosi- UCB
- Ovidio Brignoli- SIMG
- Francesca Caprari- Alexion
- Filippo Casale- Roche
- Francesca Ceccotti- Organon
- Francesco Crescente- Daiichi-Sankyo
- Elisa Crovato- Chiesi
- Danilo De Spirito- Bayer
- Francesco Dentali- FADOI
- Antonio Di Fiore- Ipsen
- Viviana Gatti- Lundbeck
- Marcello Girardini- Pierre-Fabre
- Filippo Lotito- Grünenthal
- Marcello Migliorati- Beigene
- Mario Napoli- Menarini
- Stefano Palcic- Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina
- Gianni Pampaloni- Eli Lilly
- Domenico Pancrazzi- Jazz Pharmaceuticals
- Francesco Pavone- Biogen
- Luca Piccoli- Regione Veneto
- Patrizia Ponzi- Boehringer Ingelheim
- Stefania Pulimeno- Teva
- Francesca Randon- Novartis
- Paola Rossi- Regione Friuli-Venezia Giulia
- Ahmed Shannah- Daiichi-Sankyo
- Alessandra Sinibaldi- Galapagos Alfasigma
- Federico Spandonaro- C.R.E.A. Sanità
- Flavio Spezia- Almirall
- Cristian Stefenoni- Pfizer
- Claudia Vescovi- Abbvie

## Allegato 2: Programma dei lavori



### Razionale

#### 2° FORUM POLITICHE FARMACEUTICHE REGIONALI 2024

Come avvenuto nella prima edizione 2023, anche quest'anno Dephaforum organizza il Forum dedicato alle politiche farmaceutiche regionali, supportandone il Comitato Promotore nella consapevolezza che l'accesso al mercato dei farmaci, inizialmente regolamentato da AIFA, si attua in concreto a livello delle Regioni.

Le autonomie regionali hanno espresso virtuose esperienze locali, ma la notevole eterogeneità può sfociare in importanti differenze, che provocano un disomogeneo accesso del paziente all'assistenza farmaceutica.

Le finalità del Forum sono di proporre e realizzare:

- Uno spazio per far conoscere criticità e opportunità della farmaceutica regionale
- Un momento di discussione multidisciplinare «tra pari» su temi di farmaceutica regionale, con
  - > istituzioni regionali
  - > professionisti sanitari ed esponenti di società scientifiche
  - > economisti sanitari
  - > rappresentanti dell'industria farmaceutica
  - > rappresentanti dei pazienti
- Un laboratorio di idee per discutere e condividere modelli specifici tra Regioni

I temi scelti per questa edizione possono essere così sintetizzati: **come monitorare il concreto accesso dei pazienti ai farmaci; come limitare le differenze di accesso a farmaci C/Cnn; come semplificare e omogeneizzare le procedure di acquisto dei farmaci; quali azioni per migliorare l'appropriatezza prescrittiva**, e verranno sviluppati tramite il consueto format che vedrà protagonisti i Gruppi di Lavoro multidisciplinari, al fine di supportare le stesse regioni e AIFA/MinSal tramite la proposizione di raccomandazioni operative, condivise da una ampia comunità tecnico-scientifica, che possano ispirare i decisori nelle future scelte strategiche, allo scopo di omogeneizzare l'accesso dei pazienti ai farmaci sul territorio nazionale, limitando le differenze di accesso regionale.

## 2° FORUM POLITICHE FARMACEUTICHE REGIONALI 2024

14 Marzo 2024

- 11.00** Introduzione ai lavori ed obiettivi del seminario  
G. Scroccaro e M. Medaglia
- 11.15** Saluti Istituzionali  
A. Adduce e P. Russo\*
- I SESSIONE IN PLENARIA: RELAZIONI INTRODUTTIVE**  
**Moderatori: A. Cavaliere e C. Pinto**
- 11.30** Equità nell'accesso ai farmaci e fattori esplicativi della variabilità dei consumi di farmaci: quali indicatori e quali fonti dei dati - **C. Jommi**
- 12.00** Come uniformare a livello regionale l'accesso ai farmaci di fascia C/Cnn ed uso compassionevole - **P. Stella**
- 12.30** Gestione degli acquisti di medicinali: strumenti e strategie per semplificarne la programmazione ed omogeneizzare la disponibilità dei farmaci  
**N. Ruffini e A. Cristinziano**
- 13.00** Quali strumenti adottare nelle Regioni per governare il comportamento prescrittivo e la spesa: esperienze e prospettive - **G. Scroccaro**
- 13.30** *Lunch*

\* invitato

ROMA, 14/15 MARZO 2024

- 15.00** **II SESSIONE: QUATTRO GRUPPI DI LAVORO PARALLELI**  
Analisi del contesto, discussione e proposta dei contenuti
- Coordinatori:**
- GDL1** C. Jommi e S. Marangoni
- GDL2** P. Stella e V. Acciai
- GDL3** A. Cristinziano, N. Ruffini e S. Amore
- GDL4** G. Scroccaro e G. Valenzano
- 17.30-18.00** *Coffee Break*
- 19.30** Conclusione prima giornata
- 20.30** *Cena*

15 Marzo 2024

- 08.30**      **III SESSIONE: QUATTRO GRUPPI DI LAVORO PARALLELI**  
Condivisione dell'output e predisposizione del documento di sintesi
- 11.00**      *Coffee Break*
- IV SESSIONE CONCLUSIVA IN PLENARIA**  
**Moderatori: M. Altini e F.S. Mennini**
- 11.30**      Presentazione dei risultati e discussione  
Rapporteur GDL 1  
Rapporteur GDL 2
- 13.00**      *Lunch*
- 14.00**      Presentazione dei risultati e discussione  
Rapporteur GDL 3  
Rapporteur GDL 4
- 15.00**      Take home message - G. Scroccaro e M. Medaglia
- 15.30**      Next Steps - Comitato Promotore
- 16.00**      Termine dei Lavori

## Allegato 3: Sponsor del Forum

2°  
FORUM POLITICHE FARMACEUTICHE REGIONALI 2024

Sponsor

Platinum Sponsor

  
Daiichi-Sankyo

 Daiichi-Sankyo | AstraZeneca 

ROMA, 14/15 MARZO 2024

Gold Sponsor

Silver Sponsor

29

Forum Politiche Farmaceutiche Regionali - Seconda Edizione