

Valutazioni economiche in sanità

Nozioni di base per l'accesso al mercato alle nuove tecnologie sanitarie

Luigi Angelo Fiorito

Farmacista dirigente -Policlinico Umberto I-Roma

L'OMS definisce “analisi farmacoeconomiche” l’insieme di metodologie di analisi finalizzate ad identificare, misurare e valutare i costi e le relative conseguenze (benefici/esiti) di due o più alternative terapeutiche. Sul piano tecnico, rientrano nell’ambito delle analisi farmacoeconomiche, le analisi dei costi (comprese le analisi di impatto sul budget), le analisi costo-beneficio, costo-efficacia, costo-utilità e costo-minimizzazione. Sebbene il criterio di costo-efficacia sia stato introdotto in riferimento alla negoziazione del prezzo e della rimborsabilità dei medicinali a carico del SSN fin dal 1997 (Delibera CIPE n°5, 30 gennaio 1997), poi successivamente richiamato anche dalla Delibera CIPE n°3, del 1° febbraio 2001 (abrogata con decreto del 2 agosto 2019), è solo a seguito dell’attuazione del Regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell’ordinamento del personale AIFA, definitivamente adottato con delibera 8 aprile 2016, n. 8, che le valutazioni economiche hanno avuto un’integrazione pratica nelle procedure di *assessment* da parte di AIFA a supporto dell’*appraisal* da parte delle commissioni CTS/CPR. **(materiale utilizzabile secondo Fonte Aifa)**





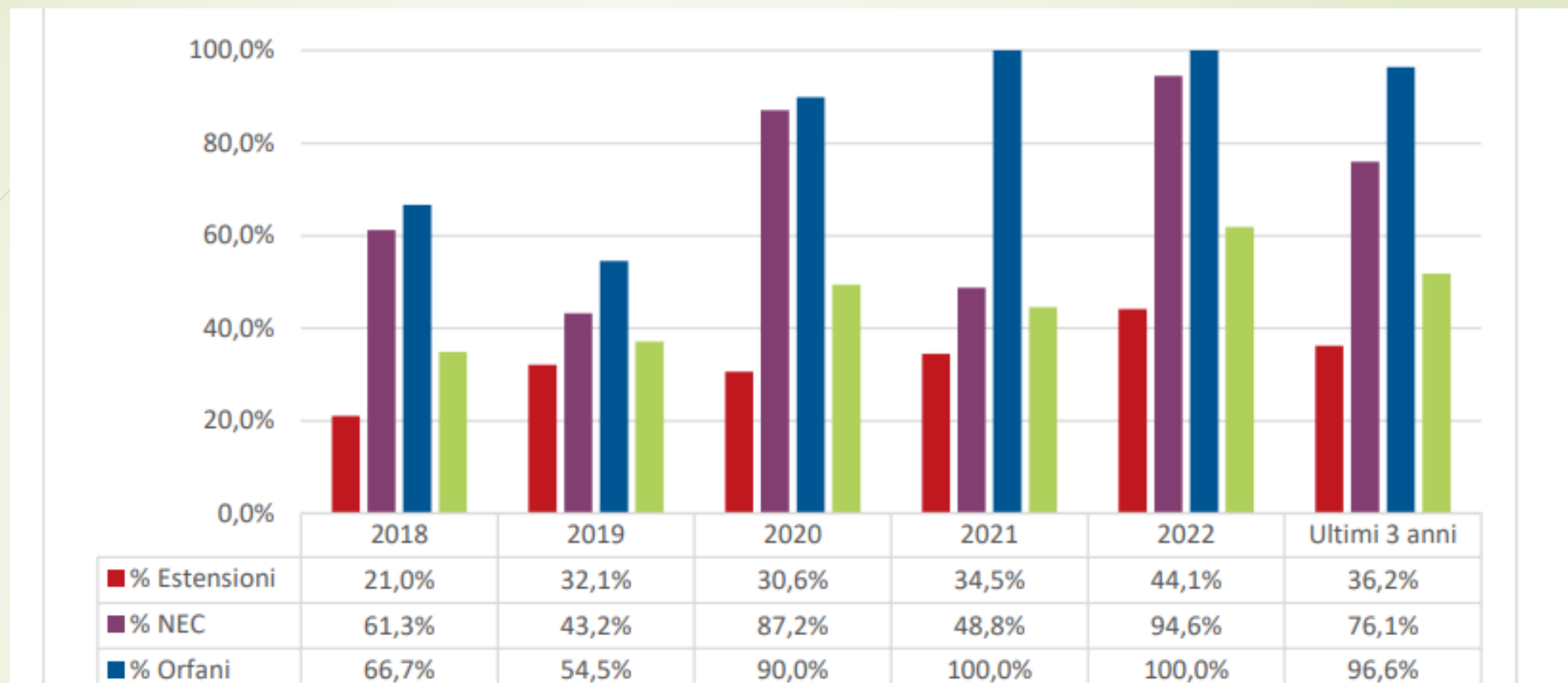
Valore : definizione

La definizione di “valore” è molto ampia, multidimensionale e comprende concetti provenienti da molteplici discipline, oltre quella economica. Nello specifico delle valutazioni economiche che prendono in considerazione nuovi medicinali, innovativi o meno, il valore è dato dall'utilità marginale che il paziente, il SSN e/o la società possono ottenere dalla sua acquisizione.

(Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA)

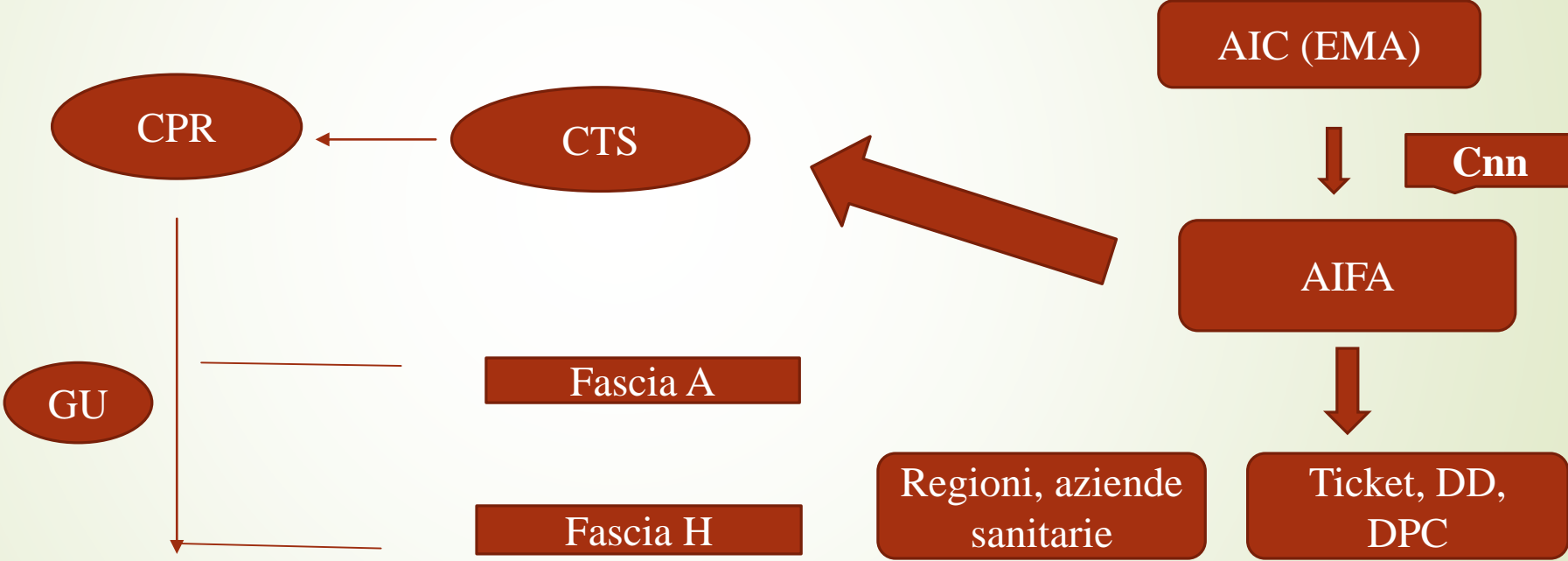


- Risorse sanitarie limitate
- Invecchiamento della popolazione
- Farmaci e tecnologie sanitarie altamente innovativi

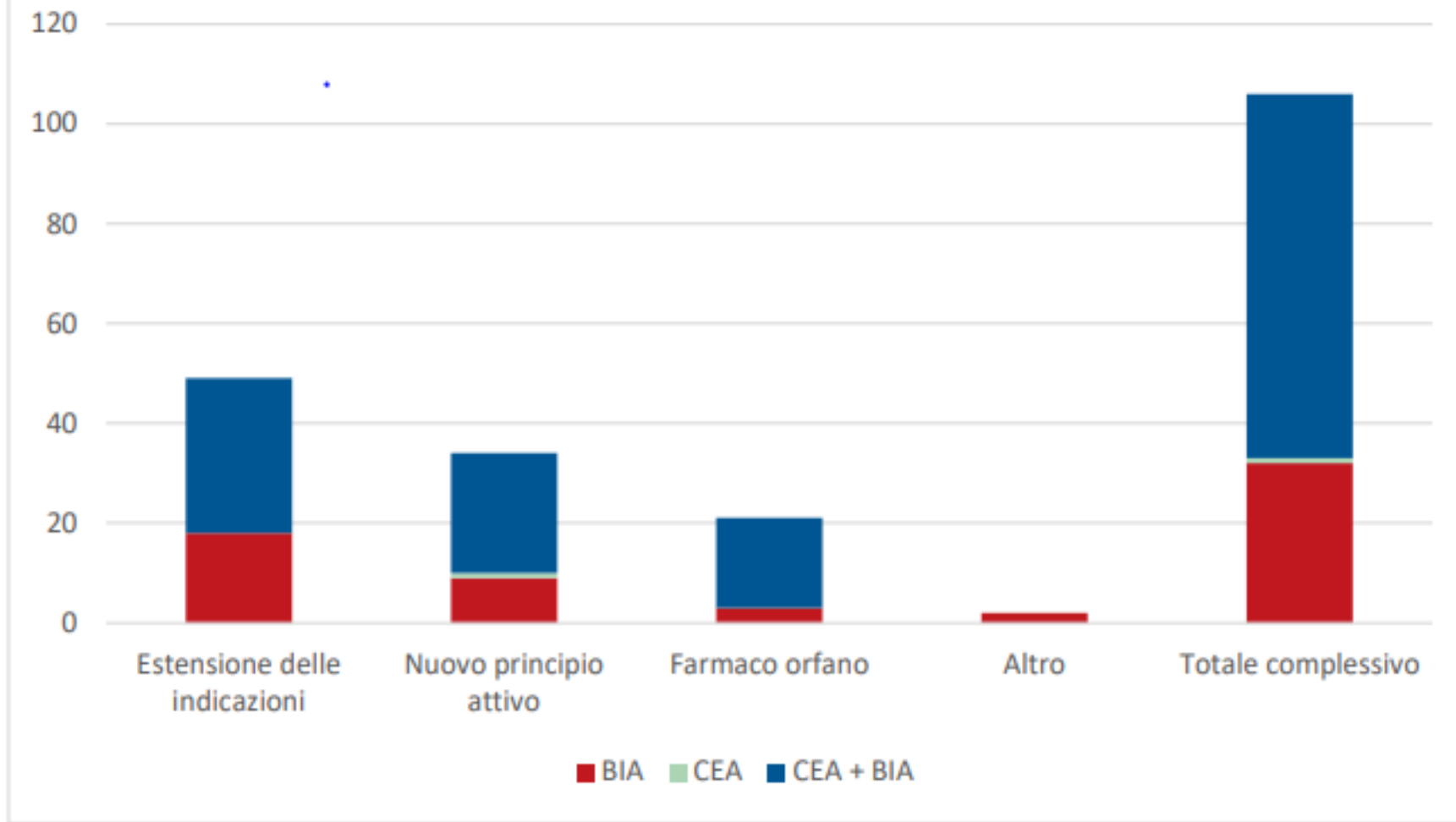


Rapportando il numero dei Dossier di P&R con presenza di analisi farmacoeconomiche e/o di impatto sul budget al totale dei Dossier P&R sottomessi ad AIFA, si evidenzia che nell'ultimo triennio tali analisi sono sottomesse in percentuale maggiore per le procedure negoziali relative ai farmaci orfani, con una conferma del 100% anche nel 2022, seguiti rispettivamente dai nuovi principi attivi e dalle estensioni delle indicazioni terapeutiche. (materiale utilizzabile secondo fonte AIFA monitoraggio anno 2022 pubblicato il 13/03/2023)

Il processo di Prezzo e Rimborso in Italia



Analisi farmaco-economiche sottomesse nei Dossier P&R nel 2022



BIA: Budget Impact Analysis; CEA: Cost-effectiveness analysis

Come si evince dal diagramma, la maggior parte dei dossier presentati avevano a supporto della richiesta di prezzo e rimborsabilità una combinazione di CEA + BIA (materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA Report monitoraggio: analisi farmaco-economiche e di impatto sul budget)

	BIA		CEA		CEA + BIA		Totale complessivo	
	n.	%	n.	%	n.	%	n.	%
Estensione delle indicazioni	18	36,7%	0	0,0%	31	63,3%	49	100,0%
Nuovo principio attivo	9	26,5%	1	2,9%	25	71,4%	35	100,0%
Farmaco orfano	3	14,3%	0	0,0%	17	85,0%	20	100,0%
Altro	2	100,0%	0	0,0%	0	0,0%	2	100,0%
Totale complessivo	32	30,2%	1	0,9%	73	68,9%	106	100,0%

BIA: Budget Impact Analysis; CEA: Cost-effectiveness analysis.

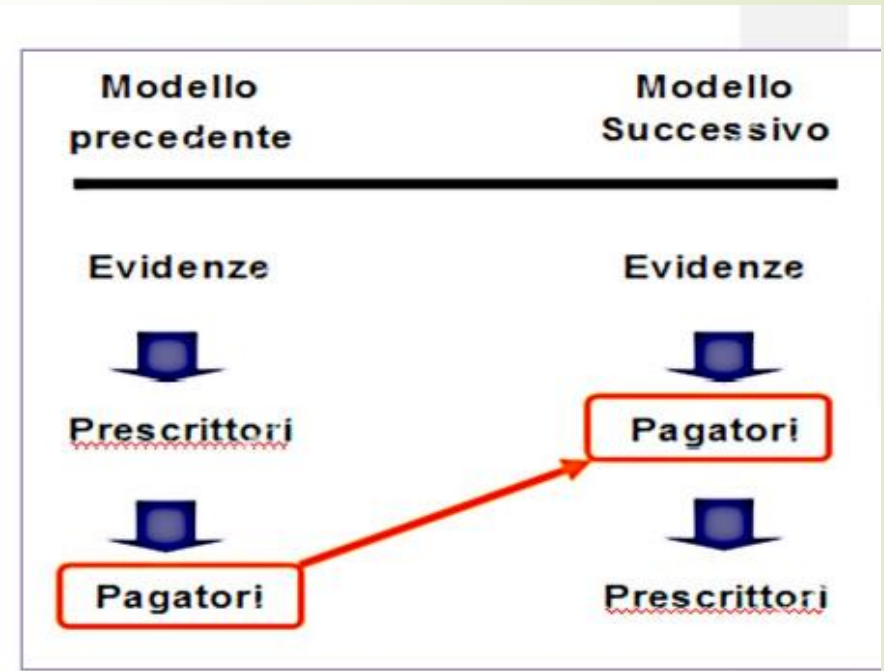
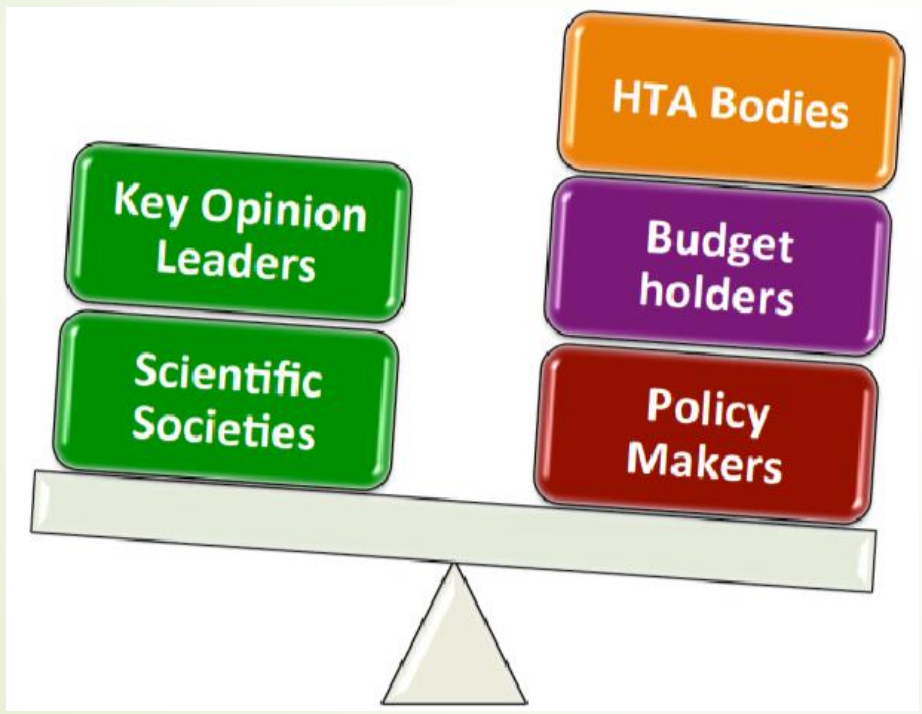
Materiale utilizzabile secondo fonte AIFA-report monitoraggio anno 2022



Perché questo?

- Fino ad ieri, l'efficacia e la sicurezza erano le condizioni necessarie e sufficienti per ottenere l'accesso al mercato con condizioni di prezzo accettabili .
- Attualmente , l'accesso al mercato è divenuto sempre più complesso e articolato per via di una serie di fattori:
- Contenimento della spesa sanitarie.
- Crescente ruolo dei Payers e delle agenzie regolatorie nella valutazioni finali
- Maggiore competizione nella stessa area terapeutica, pertanto è sempre più difficile dimostrare il beneficio aggiunto rispetto allo standard of Care (Soc)
- Regole per la Governance (es. HTA, BIA, CU, CE)
- Scadenza dei brevetti di farmaci.

Approccio value for money



Ruolo dei Payers nell'ambito sanitario

Sono diversi gli attori che intervengono e influenzano il processo decisionale. Negli ultimi anni, il peso delle istituzioni nel regolare l'accesso a nuove tecnologie sanitarie è cresciuto in maniera rilevante.

Quali sono gli attori coinvolti?



Scenario attuale

- Processo decisionale sempre più articolato.
- Risorse limitate
- Libertà prescrittiva dei medici e influenza dei KOL (Key opinion Leader) sono stati ridimensionati
- Le scelte prescrittive sottendono a decisioni di Aifa, regioni, Asl.

Le fasi di accesso al farmaco

Ema
Autorizzazione
immissione in
commercio

Efficacy &
Safety

Efficacy & safety
Financial Impact

AIFA rimborsabilità
e Prezzo

Efficacy & safety
Budget Impact analysis

Regioni/ASL
Inserimento nei
PTO/PTOR

Budget impact analysis
Real world evidence

Regioni/ASL
ulteriori limitazioni
d'uso

Strumenti che regolano l'accesso al mercato dei farmaci

Provvedimenti Nazionali

Provvedimenti regionali

Classe di
rimborsabilità

Inclusione nel
prontuario
regionale

Classificazione
dell'innovatività

Inserimento
Prontuario

Monitoraggio
farmaci

Inclusione PTO

Note

Definizione
Piano terapeutici

File F

Raccomandazioni
e linee guida



Quando un farmaco è definito Innovativo?

Chi lo definisce?.....

Su quali criteri?

- un farmaco è riconosciuto come innovativo quando offre un beneficio clinico aggiuntivo, ossia quando determina un guadagno in termini di efficacia (o meglio, in termini di beneficio/rischio) rispetto alle alternative disponibili
- Lo definisce AIFA
- 1. il bisogno terapeutico;
- 2. il valore terapeutico aggiunto;
- 3. la qualità delle prove ovvero la robustezza degli studi clinici.

(Materiale utilizzabile secondo fonte AIFA-Farmaci innovativi)

1. Bisogno terapeutico

- Il bisogno terapeutico è condizionato dalla disponibilità di terapie per la patologia ed indica quanto l'introduzione di una nuova terapia sia necessaria per dare risposta alle esigenze terapeutiche di una popolazione di pazienti.
- Ai fini del riconoscimento dell'innovatività, il bisogno terapeutico può essere graduato in cinque livelli:
- Massimo: assenza di opzioni terapeutiche per la specifica indicazione;
- Importante: presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione, ma che non producono impatto su esiti clinicamente rilevanti e validati per la patologia in oggetto;
- Moderato: presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione con impatto valutabile come limitato su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e/o con un profilo di sicurezza incerto o non del tutto soddisfacente;
- Scarso: presenza di una o più alternative terapeutiche per la specifica indicazione con impatto valutabile come elevato su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e con un profilo di sicurezza favorevole;
- Assente: presenza di alternative terapeutiche per la specifica indicazione in grado di modificare la storia naturale della malattia e con un profilo di sicurezza favorevole. **(Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA-farmaci innovativi)**

2. Valore terapeutico aggiunto

- ▶ Il valore terapeutico aggiunto è determinato dall'entità del beneficio clinico apportato dal nuovo farmaco rispetto alle alternative disponibili, se esistenti, su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e validati per la patologia in oggetto. Ai fini dell'innovatività, può essere graduato in cinque livelli:
- ▶ **Massimo:** maggiore efficacia dimostrata su esiti clinicamente rilevanti rispetto alle alternative terapeutiche (qualora disponibili). Il farmaco è in grado di guarire la malattia o comunque di modificarne significativamente la storia naturale;
- ▶ **Importante:** maggiore efficacia dimostrata su esiti clinicamente rilevanti, o capacità di ridurre il rischio di complicazioni invalidanti o potenzialmente fatali, o migliore rapporto rischio/beneficio (R/B) rispetto alle alternative, o capacità di evitare il ricorso a procedure cliniche ad alto rischio. Il farmaco modifica la storia naturale della malattia in una sottopopolazione di pazienti, o rappresenta comunque un vantaggio clinicamente rilevante, ad esempio in termini di qualità della vita e di intervallo libero dalla malattia, rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;
- ▶ **Moderato:** maggiore efficacia di entità moderata o dimostrata in alcune sottopopolazioni di pazienti o su esiti surrogati, e con effetti limitati sulla qualità della vita. Per condizioni nelle quali sia ammissibile l'assenza di un comparatore, disponibilità di evidenze suggestive di migliore efficacia clinica e profilo R/B più favorevole rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;
- ▶ **Scarso:** maggiore efficacia che, tuttavia, è stata dimostrata su esiti non clinicamente rilevanti oppure risulta di scarsa entità. Vantaggi minori (ad esempio via di somministrazione più favorevole) rispetto alle alternative terapeutiche disponibili;
- ▶ **Assente:** assenza di un beneficio clinico aggiuntivo rispetto alle alternative terapeutiche disponibili.

(Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA-farmaci innovativi)

3. Qualità delle prove

- ▶ La corretta valutazione del potenziale innovativo di un farmaco dipende dalla qualità degli studi clinici a supporto della richiesta. Per la valutazione di questo parametro l'AIFA decide di adottare il metodo GRADE (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation; <http://www.jclinepi.com/content/jce-GRADE-Series>). In base a tale valutazione, la qualità potrà risultare:
 - ▶ • Alta;
 - ▶ • Moderata;
 - ▶ • Bassa;
 - ▶ • Molto bassa.

(Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA-farmaci innovativi)



BJCP British Journal of
Clinical Pharmacology



ORIGINAL ARTICLE | [Free Access](#)

Using GRADE methodology to assess innovation of new medicinal products in Italy

Filomena Fortinguerra , Giovanni Tafuri, Francesco Trotta, Antonio Addis

First published: 27 October 2019 | <https://doi.org/10.1111/bcp.14138> | Citations: 15

 SECTIONS



PDF




TOOLS



SHARE

Using GRADE methodology to assess innovation of new medicinal products in Italy
[Filomena Fortinguerra](#), [Giovanni Tafuri](#), [Francesco Trotta](#), [Antonio Addis](#)

- 
- È disponibile l'elenco aggiornato dei medicinali che, a giudizio della Commissione Tecnico Scientifica, possiedono il requisito dell'**innovatività terapeutica piena o condizionata**, ai sensi dell'articolo 10, comma 2 della Legge n. 189/2012, come definito dall'art.1 comma 1 dell'accordo Stato Regioni del 18 novembre 2010 (Rep. Atti n.197/CSR).

L'elenco rappresenta i prodotti innovativi che devono essere resi **immediatamente disponibili agli assistiti**, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali. Nella Gazzetta Ufficiale è pubblicato per ogni singola specialità il riferimento all'inserimento nell'elenco, in relazione all'indicazione per la quale è previsto il rimborso a carico del Servizio Sanitario Nazionale. Tale elenco include anche il dettaglio dei prodotti che hanno accesso al **Fondo farmaci innovativi oncologici e non oncologici** (art. 1, commi 402, 403 e 404, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 e ss.mm.ii).

In Aifa sono presenti i **report di valutazione per il riconoscimento dell'innovatività**, per indicazione terapeutica, secondo quanto disposto dalla Determina AIFA n.1535/2017.

Sono anche pubblicati i report dei medicinali che hanno ottenuto esito negativo nella valutazione ai fini dell'innovatività

(Materiale utilizzabile secondo fonte AIFA- farmaci Innovativi)

Managed Entry Agreements (MEA)

I Managed Entry Agreements (MEA), lo ricordiamo, sono accordi di accesso condizionato al mercato per farmaci innovativi e/o ad alto costo che consentono di mettere a disposizione nuovi trattamenti per i pazienti, pur nell'incertezza data dalla mancanza di informazioni su benefici terapeutici o costi effettivi. Sono validi strumenti che consentono alle Autorità regolatorie di rispondere alla sfida di disporre di risorse sempre più limitate a fronte di un continuo aumento dei costi delle nuove terapie. (Fonte AIFA)

I MEA sono divisi in due principali categorie:

- **Performance-Based Risk**, accordi di condivisione basati sull'outcome (risultati)
- **Financial based schemes**, accordi di carattere prettamente finanziario.

(Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA)

Quali sono? Quali caratteristiche hanno?

Performance based risk

- Payment by result
- Risk sharing
- Success Fee

Financial Schemes

- Cost Sharing
- Capping

Managed Entry Agreements:

Accordi non basati sulla performance

COST SHARING

Sconti applicati ai primi cicli di terapia per tutti i pazienti eleggibili

CAPPING

Poste a carico dell'Azienda farmaceutica le confezioni erogate oltre al superamento della quantità del farmaco stabilito dall'accordo negoziale

Accordi basati sulla performance

PAYMENT BY RESULTS

Rimborso (100%) del costo dell'intero trattamento per i pazienti non-responders

RISK SHARING

Sconto in percentuale sul costo dell'intero trattamento per i pazienti non-responders

SUCCESS FEE

Rimborso a posteriori del 100% del successo terapeutico

Materiale utilizzabile secondo Fonte AIFA-diversi modelli di MEA e la loro applicazione

home > Prezzi e Rimborso > Registri farmaci sottoposti a monitoraggio > Archivio Registri > Comunicazioni Managed Entry Agreements (MEA)

Stato attuale delle procedure di rimborso

Aggiornamento del 06/03/2023 [0.02 Mb] [ODS] > 

Comunicazioni Managed Entry Agreements (MEA)

 27/03/2023

[Procedura di applicazione Managed Entry Agreement – CRYSVITA \(13-65 aa\) >](#)

 06/03/2023

[Procedura di applicazione Managed Entry Agreement - ELZONRIS >](#)

 03/01/2023

[Comunicazioni Managed Entry Agreements \(MEA\) - Registri \(UE\) >](#)

[Prezzi e Rimborso >](#)

[Negoziazione e rimborsabilità >](#)

[Valutazioni economiche >](#)

[Registri farmaci sottoposti a monitoraggio >](#)

[Supporto agli Utenti >](#)

[Strutture sanitarie abilitate dagli approvatori regionali >](#)

[Registri e Piani terapeutici >](#)

[Analisi registri di monitoraggio >](#)

In questa sezione di AIFA, troviamo gli aggiornamenti dei MEA

(Materiale utilizzabile secondo fonte AIFA-stato attuale procedure rimborso)

	A	B	C	D	E	F	G	H	I	J
	Registro (medicinale)	Principio attivo	Indicazione terapeutica sintetica	Azienda Farmaceutica	Data inizio MEA	Data fine MEA	Accordo MEA (fare riferimento allo schema MEA)	Procedura ordinaria	Procedura Cartacea	Procedura DNM
28	CAPRELSA	vandetanib	Carcinoma midollare della tiroide (MTC)	ASTRAZENECA	13/07/2013	ongoing	Accordo finanziario	Si	Si	No
30	CRYSVITA 1-12 aa	borosumab	IpfosfatemiaX-linked(XLH)	KYOWA KIRIN	06/09/2019	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
31	CRYSVITA 13-65 aa	borosumab	IpfosfatemiaX-linked(XLH)	KYOWA KIRIN	25/03/2023	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
32	CYRAMZA	ramucirumab	Carcinoma gastrico	ELI LILLY	28/10/2015	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
34	DACOGEN	decitabina	Leucemia mieloide acuta	JANSSEN CILAG	29/08/2018	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
37	ELZONRIS	tagraxofusp	NEOPLASIA A CELLULE DENDRITICHE PLASMACITOIDI BLASTICHE	STEMLINE THERAPEUTICS BV	04/03/2023	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
38	EPCLUSA	sofosbuvir/velpatasvir	Epatite C cronica	GILEAD	04/08/2020	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
46	GIOTRIF	afatinib	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	BOEHRINGER INGELHEIM	24/12/2014	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
50	HOLOCLAR	ex vivo expanded autologous human corneal epithelial cells containing stem cells	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali	CHIESI	11/03/2017	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
54	INLYTA	axitinib	Carcinoma renale	PFIZER	05/01/2014	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
71	MAVIRET	glecaprevir/pibrentasvir	Epatite C cronica	ABBVIE	28/09/2017	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
77	OXLUMO	lumasiran	IPEROSSALURIA PRIMITIVA DI TIPO 1	ALNYLAM	05/04/2022	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
88	SIGNIFOR	Pasireotide	Malattia di Cushing	Recordati Rare Disease	30/09/2014	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
96	STRIMVELIS	cellule CD34+	ADA SCID	GLAXO	16/08/2016	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
112	VARGATEF	nintedanib	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	BOEHRINGER	12/03/2017	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
123	VOSEVI	sofosbuvir/velpatasvir/voxilaprevir	Epatite C cronica	GILEAD	04/08/2020	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
136	ZELBORAF	vemurafenib	Melanoma	ROCHE	18/11/2015	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
137	ZELBORAF	vemurafenib	Melanoma	ROCHE	18/11/2015	ongoing	Accordo basato su outcome	Si	No	No
138	ZEPATIER	elbasvir / grazoprevir	Epatite C cronica	MSD	04/02/2017	ongoing	Accordo finanziario	Si	No	No
142										
143										
144										

(Materiale utilizzabile secondo fonte AIFA-stato attuale procedure rimborso)

Tipologia di paziente

- ❖ Procedura ordinaria: si riferisce al paziente nuovo
- ❖ Procedura DNM (dispensazione non monitorata) si riferisce a pazienti già in trattamento. In questo caso, ai fini dell'applicazione dei MEA, il sistema rilascerà una nuova scheda che dovrà essere compilata dal farmacista per reintegrare le confezioni dispensate.
- ❖ Procedura cartacea: si riferisce a pazienti che non sono stati mai registrati nell'anno 2013 oppure in trattamento prima.

Paziente nuovo

**Procedura ordinaria
(classica)**

Paziente già in trattamento

Procedura DNM

Trattamento cartaceo

**Procedura cartacea
(semplificata)**

Come viene definita l'economia?



L'economia studia la condotta umana come una relazione tra scopi e mezzi scarsi applicabili ad usi alternativi (Lionel Robbins)



► Che cosa vuol dire ciò?

Tutto ciò ci aiuta a stabilire delle **Priorità**, ci induce a fare delle scelte, in quanto le risorse non sono illimitate.

Pertanto l'acquisto di un bene, di una nuova tecnologia sanitaria, è preceduto da un atto valutativo, che sottende da una parte le risorse necessarie, dall'altro ciò che si vuole ottenere.

Quindi abbiamo Risorse... Costi... Benefici.....

Cerchiamo di dare delle definizioni!



Risorsa

Con il termine “risorsa” si intende tutto ciò cui è necessario ricorrere per soddisfare un bisogno: cioè personale, tempo, strutture, capitali, strumenti, energia ecc. Per acquistare i beni ed i servizi in genere si utilizza il denaro, ed è per questo che il termine “risorse” è spesso sinonimo di denaro

Beneficio


Con il termine “beneficio” si intende ciò che si guadagna soddisfacendo il bisogno che si è deciso di soddisfare

Costo

Il “costo” è l'insieme di risorse necessarie per soddisfare un determinato bisogno.

Prezzo

Entità di risorse necessarie all'acquisto di un bene o di un servizio



La Valutazione economica cerca di agevolare il processo decisionale rendendo esplicita la valutazione dei costi e dei benefici.



L'obiettivo è quello di ottenere l'efficienza, ovvero l'allocazione delle risorse in modo da ottenere il massimo beneficio con il minor impiego di risorse disponibili.



Il campo sanitario non sfugge a questa logica.....

- La differenza principale che le scelte che vengono effettuate non riguardano un bene materiale bensì lo stato di salute dell'individuo;
- Pertanto nella scelta non si possono escludere gli operatori sanitari, non solo perché essi sono coinvolti direttamente nell'attività clinica, ma soprattutto perché la stima economica avviene in funzione della valutazione di efficacia.
- **La salute non ha prezzo... ma ha dei costi!**

Evoluzione del concetto di salute

Passato

Presente

*Assenza di
malattia*

*completo benessere psicofisico
dell' individuo*

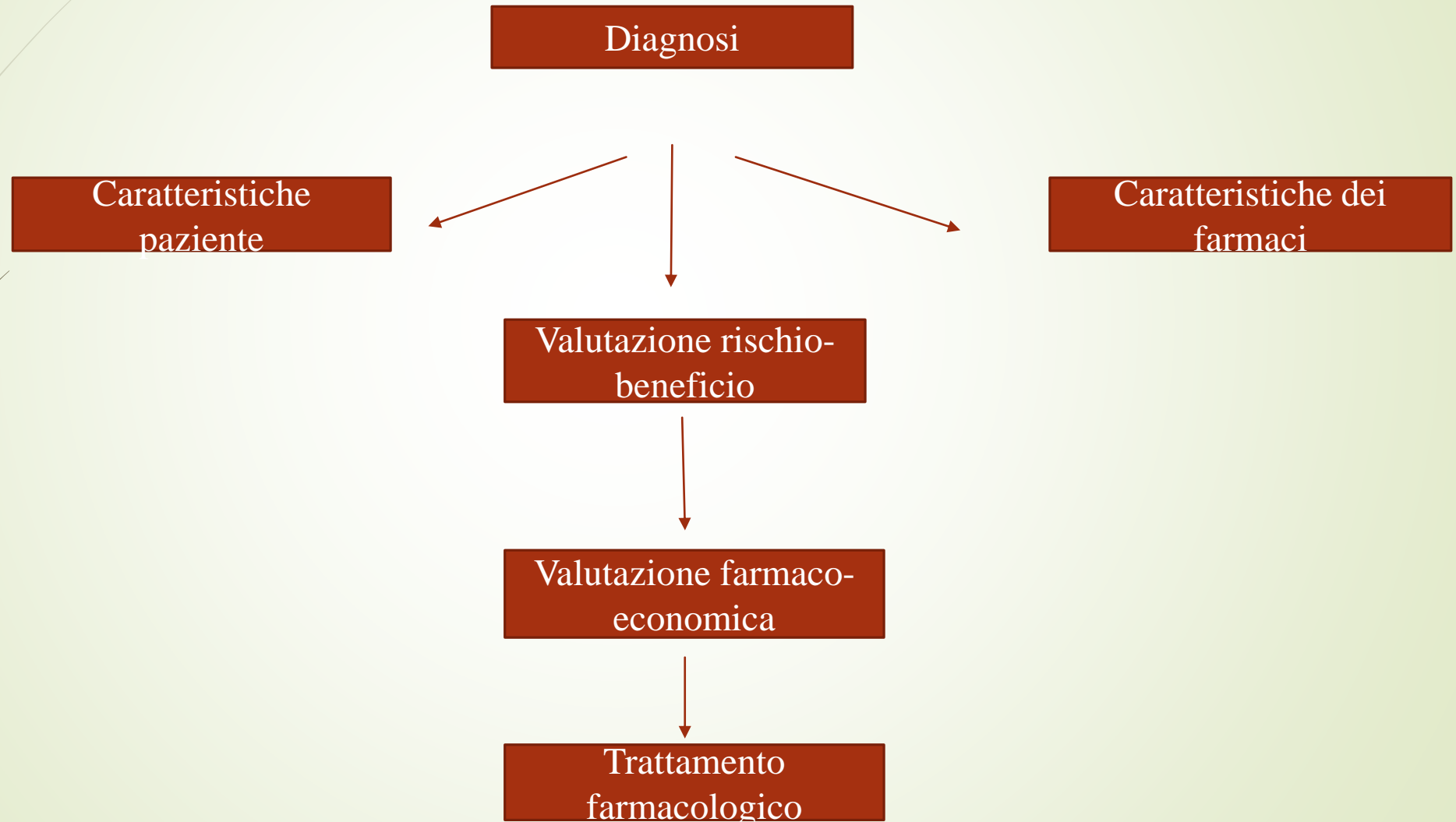


cura



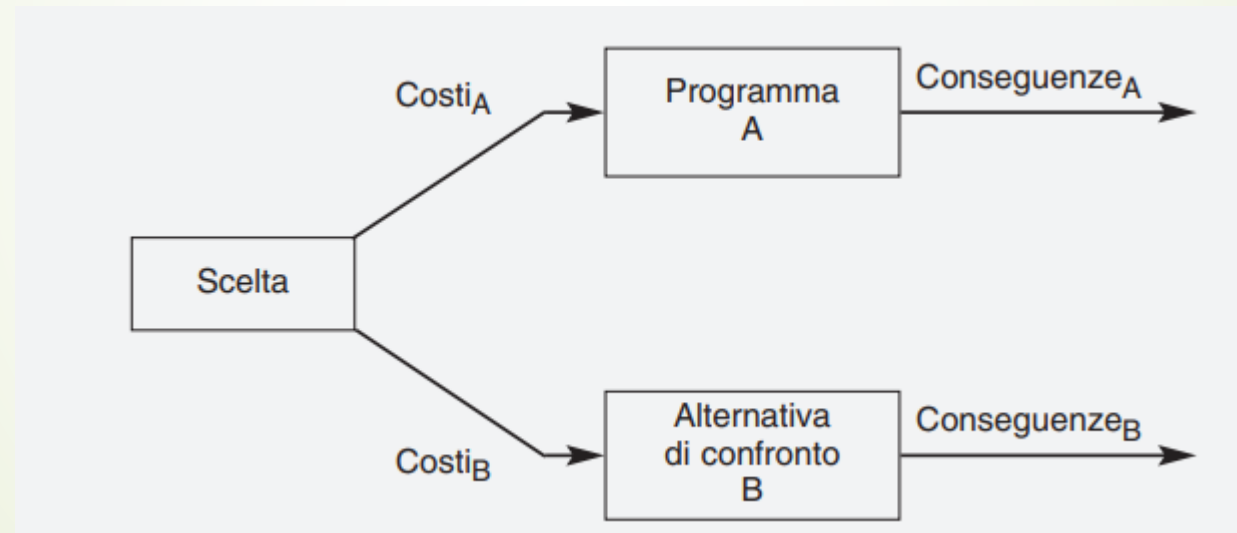
prevenzione

Dove si colloca la valutazione economica?



Che cos'è la valutazione economica?

- Un'analisi farmaco-economica compara sempre, almeno, due programmi sanitari (il trattamento standard vs nuovo trattamento)



(Materiale utilizzabile secondo *Metodi per la Valutazione economica dei programmi sanitari*. Drummond et Al.)

		SI ESAMINANO CONGIUNTAMENTE COSTI E CONSEGUENZE DI CIASCUNA ALTERNATIVA?	
		No	Si
Vi è un confronto tra 2 o più alternative?	No	Solo conseguenze 1A Valutazione parziale Descrizione dei risultati prodotti	Solo costi 1B Descrizione dei costi 2 Valutazione parziale Descrizione dei costi/risultati prodotti
	Si	3A Valutazione parziale Valutazione d'efficacia	3B Analisi dei costi 4 Valutazione economica completa <ul style="list-style-type: none"> • Minimizzazione dei costi • Analisi costi-efficacia • Analisi costi-utilità • Analisi costi-benefici

Concretamente, sulla base di queste due caratteristiche proprie di un'analisi economica, si possono distinguere e classificare molte delle diverse tipologie di studio presenti in letteratura. È stata sviluppata una matrice a sei caselle in cui sono inserite le diverse situazioni valutative, a seconda delle risposte fornite alle seguenti domande:

- vi è un confronto tra due o più alternative?
- per ciascuna alternativa vengono esaminati sia i costi che le conseguenze? (**Materiale utilizzabile secondo Drummond 1992**)

La prospettiva in Farmaco-economia



IL PAZIENTE

- Quality of Life (QoL)



IL PAGATORE

- Incremental Cost Effectiveness Ratio (ICER)



LA SOCIETA'

- Willingness to Pay (WtP)



Valutazione economica dei farmaci

- Tollerabilità (SAFETY)

Gli effetti collaterali sono accettabili?

- Efficacia (EFFICACY)

Migliora le condizione dei pazienti?

- Efficacia nella pratica clinica (EFFECTIVENESS)

Può essere impiegato nella pratica clinica?

Efficienza allocativa

Stiamo ottenendo il miglior risultato possibile in termine di salute, con queste risorse?

Quanti tipi di costo conosciamo?

Diretti


- ▶ Quest'ultimi sono divisi in sanitari e non sanitari:
- ▶ **Costi sanitari:**
- ▶ farmaci
- ▶ materiali per l'allestimento e la somministrazione
- ▶ tempo del personale sanitario per visite, allestimento e somministrazione
- ▶ ammortamento di eventuali apparecchiature
- ▶ prestazioni radiologiche e di laboratorio
- ▶ trattamenti degli effetti indesiderati (ADR)
- ▶ servizi di supporto direttamente correlati
- ▶ **Costi NON SANITARI**
- ▶ costi per prestazioni sociali o hotelieri
- ▶ costi per spostamenti e viaggi
- ▶ costi per diete speciali

Indiretti

- ▶ giornate di lavoro perse dei pazienti e di chi li assiste
- ▶ mancate opportunità di guadagno
- ▶ inabilità lavorativa permanente

- ▶ **Costi Intangibili**
- ▶ Dolore
- ▶ Stress

(Materiale utilizzabile secondo Elementi di valutazione economica per i professionisti della salute. Antonio Mario Lerario et Al.)

- 
- I costi possono essere distinti in base alle caratteristiche estrinseche in
 - Costo Marginale: costo aggiuntivo per produrre una unità di outcome
 - Costo incrementale: differenza tra i costi di programmi alternativi
 - Costo Totale: costo necessario per produrre una serie di outcomes
 - Costo fisso : costi che non variano (es. tariffe, affitti, salari)
 - Costo variabile: costi che variano con il variare degli outcomes (es. tempo, onere professionale)
 - Costo medio: costo medio per unità di outcome

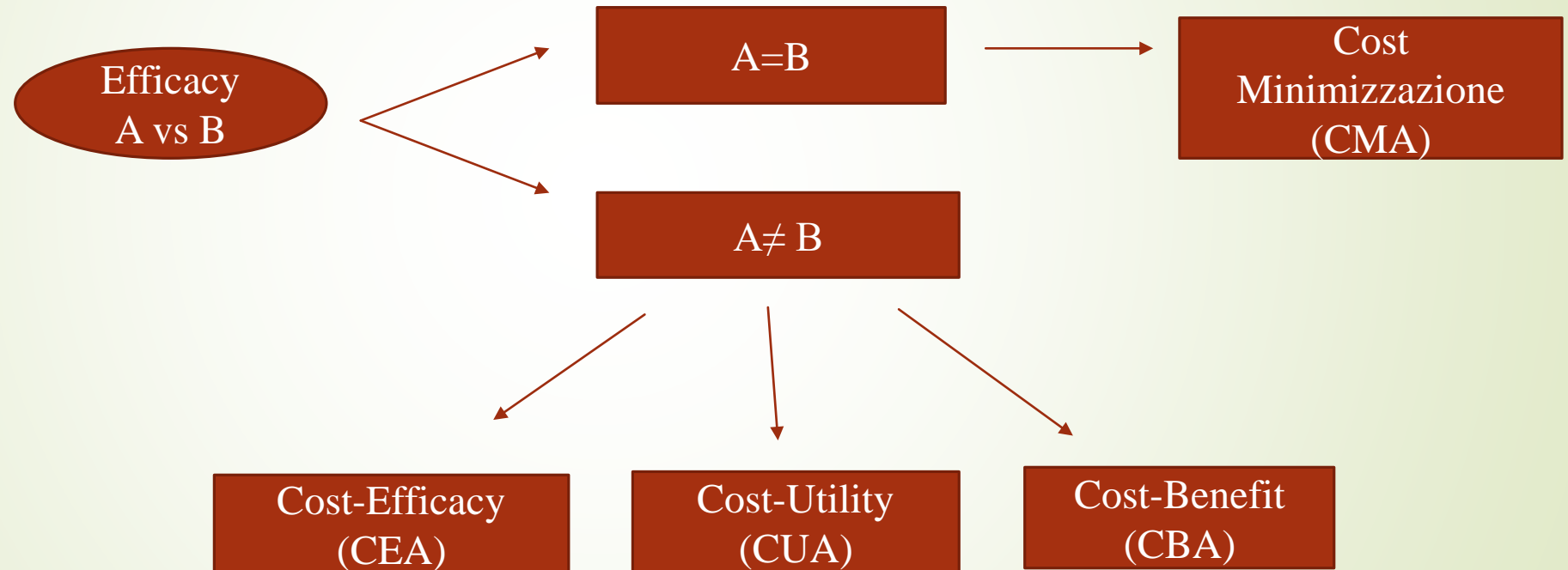


Ogni costo è allocato nel Centro di Costo



Reparti, Unità operative,

I tipi di valutazione economiche



Caratteristiche delle principali analisi farmaco-economiche

Metodo di analisi	Misura dei costi	Identificazione dei benefici	Misura dei benefici	Principali obiettivi
Minimizzazione dei costi (Cost Minimization Analysis - CMA)	Unità monetarie	Identici in tutti gli aspetti rilevati	Equivalenza dimostrata in gruppi di simili	Quanto costa? Qual è l'opzione meno costosa? Spesso utilizzato nella formulazione dei budget
Costo-efficacia (Cost Effectiveness Analysis - CEA)	Unità monetarie	Un unico risultato obiettivo, comune a tutte le alternative, raggiunto però in grado diverso	Unità fisiche (giorni di malattia evitata, casi di malattia evitati, vite salvate, punteggi su scale specifiche)	Individuazione dell'opzione meno costosa per raggiungere un determinato obiettivo. Si confrontano gli effetti di ogni singola alternativa in termini di unità fisiche. Quale prestazione risulta più conveniente in termini monetari?
Costo-utilità (Cost Utility Analysis - CUA)	Unità monetarie	Uno o più effetti non necessariamente comuni alle alternative e raggiunti con gradi diversi	QALY	Individuazione dell'opzione meno costosa per il conseguimento di un determinato obiettivo in termini di qualità della vita. Quanto "benessere" producono prestazioni alternative in relazione al loro costo?
Costo-beneficio (Cost Benefit Analysis - CBA)	Unità monetarie	Uno o più effetti non necessariamente comuni alle alternative e raggiunti con gradi diversi	Unità monetarie	Valutazione in termini monetari di tutti i costi e di tutti i benefici. La prestazione è conveniente? Qual è il rapporto monetario fra i costi ed i benefici per un dato intervento?

(Materiale utilizzabile secondo *Elementi di valutazione economica per i professionisti della salute*. Antonio Mario Lerario et Al.)

Analisi Costo Utilità: come è definita? Quando utilizzarla? Cosa valuta?

- Dal punto di vista dell'economia sanitaria l'utilità indica lo stato di benessere che l'individuo è in grado di ottenere dall'utilizzazione di un servizio sanitario.
- LA CUA (Analisi costo-utilità) si utilizza nel momento in cui la scelta di un determinato intervento deve essere fatta non solo in funzione dell'obiettivo quantitativo raggiunto ma in funzione di quello qualitativo (misura dell'utilità). Per esempio valutare due programmi alternativi per il trattamento delle problematiche renali; in questo caso non andremmo a valutare la mortalità, piuttosto su come i due programmi comportano un miglioramento fisico, psichico e sociale.
- La CUA permette di valutare programmi diversi appartenenti ad aree terapeutiche altrettanto diverse
- La CUA valuta il QALY (**Quality-Adjusted Life-Year**)

Come si misura i QALY?

Tramite UTILITY, ovvero quel valore numerico che esprime la qualità di vita.

- L'UTILITY viene calcolata viene valutata interrogando direttamente il paziente con interviste basate su diversi criteri e scale di misurazione (es. RATING SCALE, STANDARD GAMBLE, Time TRADE OFF) delle risposte, e viene espressa con valori che variano da 0 (MORTE) a 1 (PERFETTA SALUTE).

$$\text{QALY} = \text{Anni di vita} \times \text{Utility}$$

Quali caratteristiche hanno i Test?

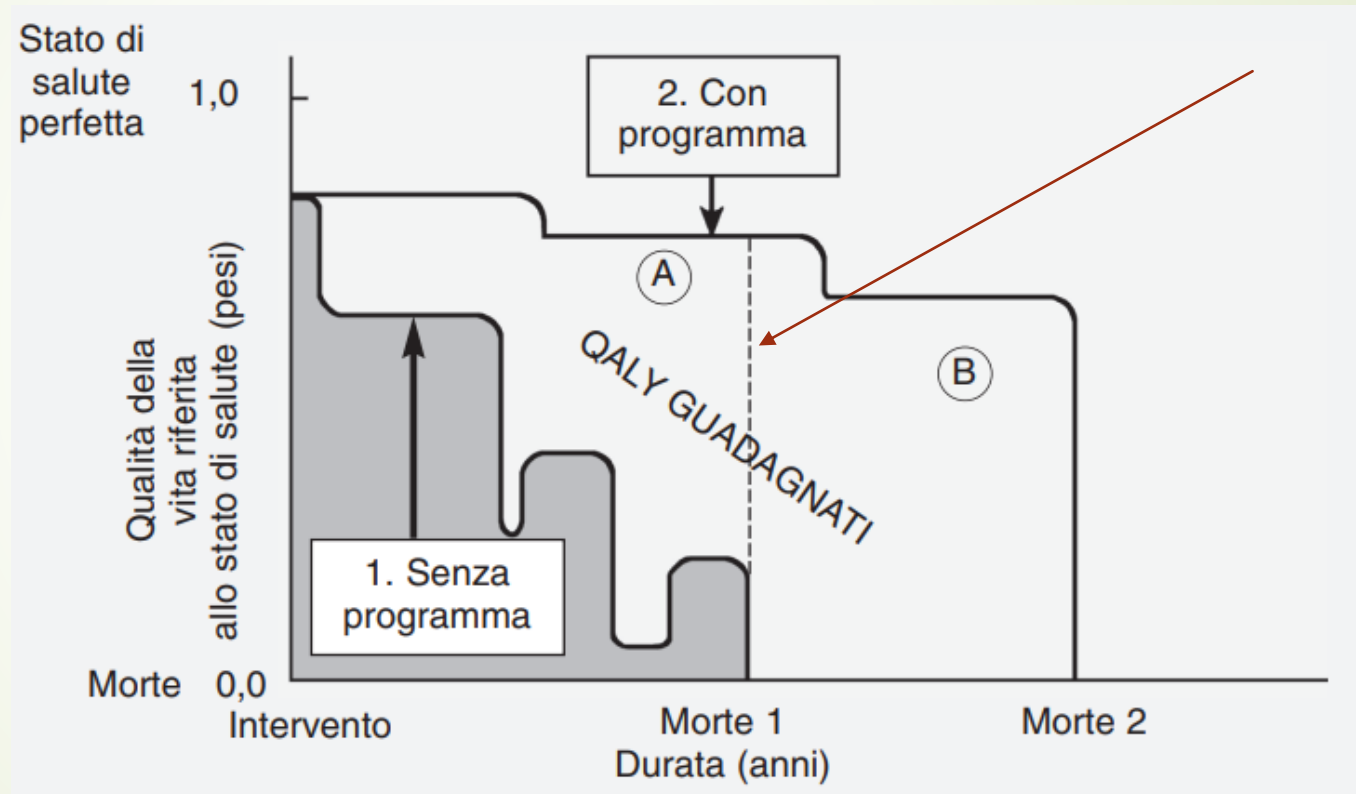
- ▶ il *time trade off*, in cui agli individui malati intervistati viene chiesto di scegliere tra il permanere nella condizione di malattia per un certo numero di anni o l'essere guariti e riportati a condizioni di buona salute, ma avendo un'aspettativa di vita minore;
- ▶ lo *standard gamble*, in cui ai malati intervistati viene chiesto di scegliere tra il permanere nelle condizioni attuali o sopportare un intervento chirurgico che ha probabilità di farli morire o ripristinare uno stato di buona salute;
- ▶ il *rating scale*, o *visual analogue scale*, in cui agli intervistati è chiesto di assegnare un valore tra 0 (morte) a 100 (salute) alle diverse malattie.
- ▶ Vi sono poi questionari basati su sistemi standard di descrizione dei diversi stati di salute, come l'*EuroQol EQ-5D*, che classifica le patologie tenendo conto delle diverse dimensioni su cui impattano (mobilità, dolore, ansia, ecc..).

Valori di UTILITY

Alcune utilità disponibili in letteratura:

PERFETTA SALUTE	1,00
SINTOMI DI MENOPAUSA	0,99
IPERTENSIONE	0,95
ANGINA MODERATA	0,90
TRAPIANTO DI RENE	0,84
ANGINA ACUTA	0,70
DIALISI OSPEDALIERA	0,60
ANGINA GRAVE	0,50
DEPRESSIONE	0,45
MORTE	0,00

QALY guadagnati grazie ad un intervento sanitario:
L'area sottesa tra le due curve rappresentano i QALY guadagnati



Facciamo qualche esempio!

	Attesa di vita (N anni)	Qualità di vita (Utility)	QALY
Dialisi domiciliare	2	0,8	1,6
Dialisi ospedaliera	2,2	0,6	1,32

$$0,8 \times 2 = 1,6$$
$$2,2 \times 0,6 = 1,32$$

Drummond et Al. 1989

Pertanto nell'analisi Costo/Utilità l'unità di misura degli outcome è il QALY e si dovrà individuare il costo specifico per QALY, ovvero per QALY guadagnato. Il QALY è l'espressione di una duplice valutazione degli esiti sia sotto l'aspetto quantitativo (sopravvivenza) che sotto l'aspetto qualitativo.

$$\frac{C_A}{Q_A} \quad \text{Costo medio dell'unità di outcome (QALY) per paziente}$$
$$\text{ICER} = \frac{C_A - C_B}{Q_A - Q_B} \quad \text{Aumento medio dei costi per paziente e per QALY guadagnato}$$

ICER: Incremental Cost Effectiveness Ratio

I 3 elementi dell'analisi costi utilità

Costi-----al numeratore

Attesa di vita-----al denominatore

Valore attribuito dal paziente (utilità)-----al denominatore

Incremental Cost Effectiveness Ratio (ICER)

Confronto costi	Confronti efficacia	Scelta
$C_A \geq C_B$	$E_A < E_B$	Programma B domina su programma A
$C_A \leq C_B$	$E_A > E_B$	Programma A è cost saving
$C_A > C_B$	$E_A > E_B$	Programma A è cost effective



**Programma B
mantenuto**



**Programma A
adottato**



$$\text{ICER} = \frac{C_A - C_B}{E_A - E_B}$$

Facciamo un esempio!!!

- **1.Valutazione dei due trattamenti A B**
- Programma A: 4 anni di vita guadagnati con un utilità di 0,7
- Programma B: 2 anni di vita guadagnati con un utilità di 0,5 + 2 anni di vita guadagnata in piena salute.
- **Comparazione**
- Programma A: $4 \times 0,7 = 2,8$ QALY
- Programma B: $2 \times 0,5 + 2 \times 1 = 3$ QALY
- Pertanto il programma B permette di guadagnare 0,2 QALY rispetto ad A

➤ Programma A (costi) euro 52.800

CeA: $52.800/2,8 \text{ QALY} = 18.857/\text{QALY}$

➤ Programma B (costi) euro 78.200

CeB: $78.200/3,0 \text{ QALY} = 26.066/\text{QALY}$

$$\text{ICER} = \frac{\text{€ } 78.200 - 52.800}{\text{QALY } 3 - 2,8} = \frac{25.400}{0,2} = 127.000 \text{ €}/\text{QALY}$$

Analisi Costo-Efficacia (CEA)

- ▶ L'Analisi Costo/Efficacia è un tipo di analisi che stabilisce il costo, in termini monetari, dell'efficacia di una terapia. Più precisamente individua il rapporto Costo/Efficacia ovvero il costo medio dell'unità di outcome della terapia stessa, che possiamo definire come costo specifico dell'efficacia.

$$\frac{C_A}{E_A} = \text{Costo medio dell'unità di outcome per paziente}$$

- ▶ La CEA trova applicazione per risolvere problemi di ottimizzazione con riferimento a due situazioni diffuse in ambito sanitario:
 - Procedere all'allocazione del budget, scegliendo tra i diversi programmi alternativi, avendo come obiettivo quello di massimizzare i benefici.
 - Raggiungere la maggiore efficacia con il minor costo possibile.

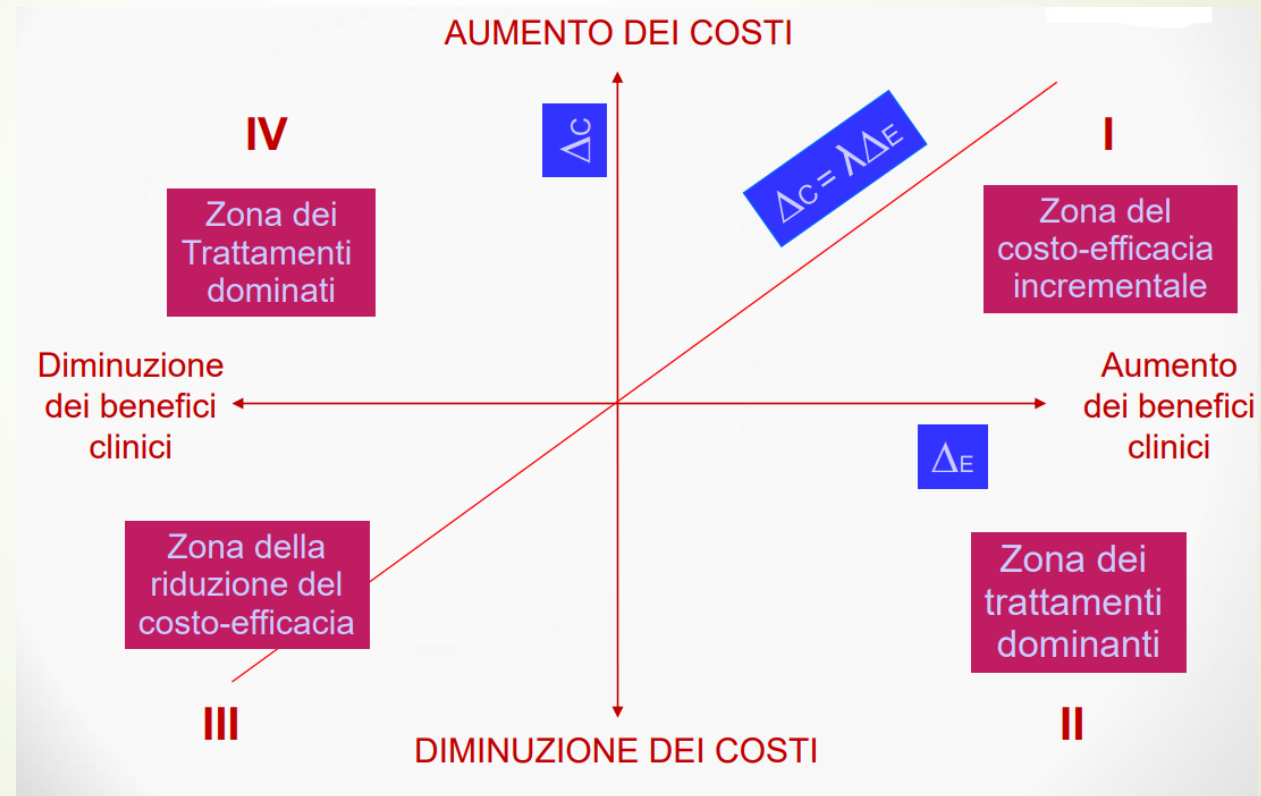
Analisi costo-efficacia (CEA)

- Spesso l'analisi, anziché valutare il rapporto tra i costi e l'efficacia complessivi di due o più trattamenti che raggiungono il medesimo obiettivo terapeutico, valuta il rapporto tra l'incremento dei costi e l'incremento di efficacia. L'analisi si chiama allora “**CEA incrementale**” ed il rapporto tra incremento dei costi ed incremento dell'efficacia prende il nome di **ICER (Incremental Cost Effectiveness Ratio)**.

$$\text{ICER} = \frac{C_A - C_B}{E_A - E_B}$$


- Esso rappresenta la pendenza di una retta ed indica l'aumento medio dei costi per paziente e per unità di effetto guadagnato, che possiamo definire come **costo specifico del guadagno di efficacia**.

Diagramma ICER




Analisi costo-beneficio (CBA)

- ▶ È un metodo di valutazione economica che mette in relazione i costi e i benefici, dei diversi interventi, considerandoli in valori monetari.
- ▶ Quando viene utilizzata? Soprattutto quando bisogna valutare se i benefici superano i costi da sostenere. L'obiettivo principale di tale analisi è il calcolo sistematico di tutti i costi e le conseguenze in termini monetari.
- ▶ Le metodologie utilizzate sono due: Willingness to Pay (disponibilità a pagare) e il Capitale Umano (HUMAN CAPITAL-HC), ovvero quanto reddito sarebbe in grado di produrre la persona nel tempo guadagnato aderendo al programma.
- ▶ Poiché tutto deve essere trasferito in termini monetari, La CBA non trova una grande applicazione in campo sanitario, in quanto non sempre è possibile valutare in costo monetari tutti i benefici.



Spesso tale processo non è sufficiente o è di difficile interpretazione e pertanto si ricorre ad **INMB (INCREMENTAL NET MONETARY BENEFIT)**, ovvero il beneficio incrementale netto. **$INMB = \lambda \Delta E - \Delta C$**

- $INMB = \lambda \Delta E - \Delta C$
- λ = valore soglia
- ΔE = incremento di efficacia ($E_A - E_B$)
- ΔC = incremento dei costi ($C_A - C_B$)
- Con $INMB > 0$ A prevale su B

- 
- L'ICER permette di valutare il profilo costo/efficacia dell'intervento di A rispetto a B, cioè il costo per unità di effetto guadagnato. In tal modo ci offre la correlazione tra risorse aggiuntive necessarie e vantaggi terapeutici che tali risorse ci permettono di ottenere, fornendo tutti gli elementi necessari ad adottare una scelta tra i due trattamenti. Questo percorso, di tipo meramente osservazionale, viene definito “percorso in marcia avanti”.
 - La conoscenza però del solo valore del costo incrementale è una condizione necessaria ma non sufficiente per una scelta razionale: occorre confrontarlo con valori - **soglia** (λ) di accettabilità e verificare la disponibilità delle risorse finanziarie necessarie per far fronte ai costi aggiuntivi che verranno generati dalla sua utilizzazione.
 - Il valore soglia (λ) può essere definito come valore limite dell'ICER – pesato, oltre il quale la nuova procedura terapeutica presa in esame presenta costi non sostenibili. E' l'espressione numerica della sostenibilità dei costi da parte di un Paese e delle preferenze della collettività e del “valore” che essa attribuisce alla salute, cioè della **DISPONIBILITÀ A PAGARE (Willingness To Pay - WTP)** per ottenere un dato risultato.

Esempi di VALORI SOGLIA (λ) suggeriti in alcuni Paesi
(aumento massimo dei costi accettato per anno di vita- QALY guadagnato)

AUSTRALIA: \$AU 42.000 (€ 25.000) - \$AU 76.000 (€ 45.000)

STATI UNITI : \$ 50.000

REGNO UNITO : £ 20.000 - £ 30.000 (NICE)*

ITALIA : € 12.000 - € 60.000

* National Institute for Health and Care Excellence

La presenza di un valore soglia rappresenta un approccio interventistico al processo decisionale, con un percorso in «Marcia indietro»

Che cosa fa il NICE?

Abemaciclib in Combination with Endocrine Therapy for Adjuvant Treatment of Hormone Receptor-Positive, HER2-Negative, Node-Positive Early Breast Cancer: An Evidence Review Group Perspective of a NICE Single Technology Appraisal


Giovany Orozco Leal¹ · Nigel Armstrong² · Ashleigh Kernohan¹ · Charlotte Ahmadu² · Diarmuid Coughlan¹ · Kevin McDermott² · Steven Duffy² · Susan O'Meara² · Tomos Robinson¹ · Luke Vale¹ · Jos Kleijnen²

Accepted: 23 February 2023

© The Author(s), under exclusive licence to Springer Nature Switzerland AG 2023

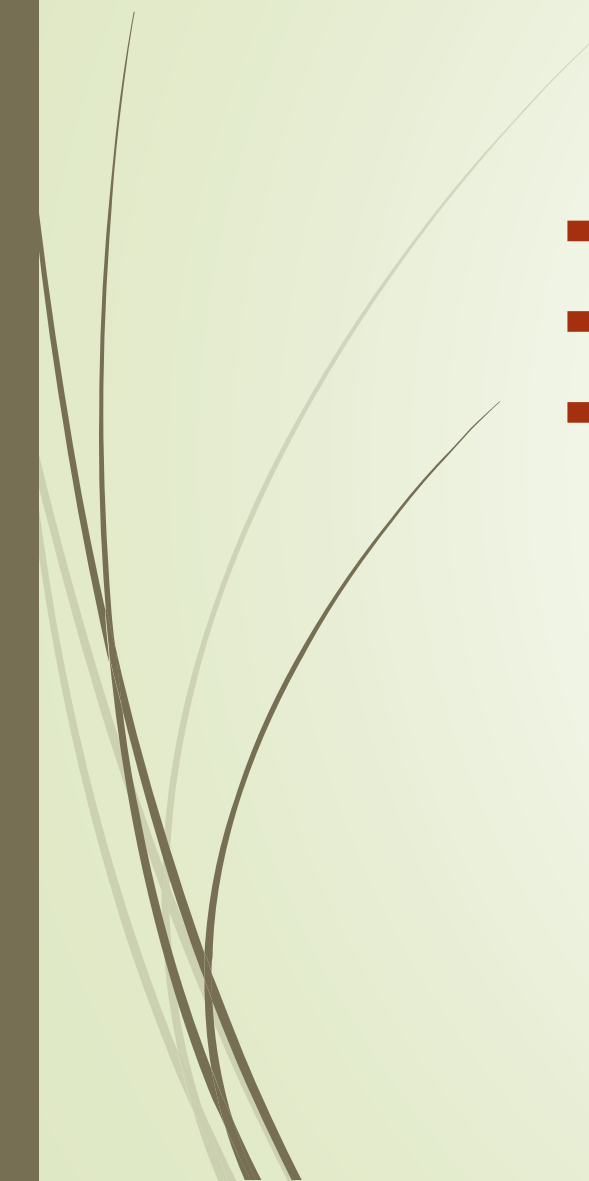
Abstract

The National Institute for Health and Care Excellence (NICE) invited the manufacturer (Eli Lilly) of abemaciclib (Verzenio) to submit evidence for the clinical and cost effectiveness of this drug in combination with endocrine therapy (ET) for the treatment of adult patients with hormone receptor (HR)-positive, human epidermal growth factor receptor 2 (HER2)-negative, node-positive early breast cancer at high risk of recurrence, as part of the Institute's Single Technology Appraisal (STA) process. Kleijnen Systematic Reviews Ltd, in combination with Newcastle University, was commissioned to act as the independent Evidence Review Group (ERG). This paper summarised the Company Submission (CS), presents the ERG's critical review of the clinical and cost-effectiveness evidence in the CS, highlights the key methodological considerations, and describes the development of the NICE guidance by the Appraisal Committee. The ERG produced a critical review of the evidence for the clinical and cost-effectiveness evidence in the CS and also independently searched for relevant evidence and modified the manufacturer decision analytic model to examine the impact of altering some of the key assumptions. A systematic literature review identified the MonarchE trial, an ongoing, open-label, randomised, double blind trial involving 5637 people comparing abemaciclib in combination with ET versus ET alone. The trial included two cohorts that used different inclusion criteria to define high risk of recurrence. The ERG considered Cohort 1 as an adequate representation of this population and the AC concluded that Cohort 1 was generalisable to National Health Service clinical practice. Trial results showed improvements in invasive disease-free survival for the abemaciclib arm, which was considered an appropriate surrogate outcome. The ERG believed that the modelling structure presented in the *de novo* economic model by the company was appropriate but highlighted several areas of uncertainty that had the potential to have a significant impact on the resulting incremental cost-effectiveness ratio (ICER). Areas of uncertainty included the extrapolation of long-term survival curves, the duration of treatment effect and treatment waning, and the proportion of patients who receive other CDK4/6 treatments for metastatic disease after receiving abemaciclib. ICER estimates were £9164 per quality-adjusted life-year gained for the company's base-case and £17,810 for the ERG's base-case. NICE recommended abemaciclib with ET as an option for the adjuvant treatment of HR-positive, HER2-negative, node-positive early breast cancer at high risk of recurrence.

- 
- ▶ Attraverso formula inversa dell' ICER che, in questo caso, diventa variabile nota perché fissata dal decisore come proprio “valore soglia”, si ricava il costo del trattamento in esame CA che contiene, come componente, il prezzo del farmaco che, in tal caso, è l’incognita definita come prezzo “suggerito”, dato quel determinato valore soglia, oscillante all’interno di un’ intervallo tra un valore minimo e uno massimo.
 - ▶ **CA = (EA – EB) x ICER + CB con: ICER (noto) = € / unità di outcome = “valore soglia”**
 - ▶ E’ consigliabile analizzare inizialmente i dati con il “percorso in marcia avanti” e giudicare se il profilo di costo/efficacia del trattamento A è “altissimo, quindi inaccettabile“, “troppo alto“, “alto”, “ai limiti”, o “accettabile” , e quindi integrare con una valutazione in marcia indietro che calcola, per il trattamento A, un prezzo “suggerito” con annessa la fascia di oscillazione.



Analisi costo-minimizzazione (CMA)

- Tipo di analisi che prevede l'individuazione due o più trattamenti identici
 - L'unica differenza sono i costi
 - Si considera tra i vari trattamenti quello presenta il costo più basso.
- 

Riassumendo.....

<p>Analisi Costo-Minimizzazione</p> <p>Si può utilizzare quando l'effetto di differenti trattamenti è identico.</p> <p>l'aspetto relativo ai costi è fondamentale</p>	<p>Analisi Costo-Beneficio</p> <p>L'esito viene misurato in termini monetari</p> <p>Metodi utilizzati: "Willingness to pay" e Capitale Umano</p>
<p>Analisi Costo-Efficacia</p> <p>Confronta due alternative terapeutiche differenti per costi e/o l'efficacia</p> <p>Valuta l'esito in unità misurabili (vite salvate, anni di vita guadagnati, infezioni evitate)</p>	<p>Analisi Costo-Utilità</p> <p>Misura in QALY – anni di vita guadagnata.</p> <p>Consente di includere nella valutazione gli aspetti della qualità della vita</p>

Analisi di sensibilità e incertezza nella valutazione economica


- ▶ In farmaco-economia viene effettuata un'analisi di sensibilità ogni qual volta risulti necessario verificare se le conclusioni (risultati) possano cambiare al variare di fattori critici quali le assunzioni strutturali e le stime numeriche. Nel caso in cui, al variare di questi fattori critici, le conclusioni della valutazione economica non cambiano in modo sensibile si raggiunge un risultato stabile; al contrario se le conclusioni variano sensibilmente allora diviene necessario soffermarsi con maggiore attenzione su come sono stati determinati e quantificati i fattori critici dell'analisi.
- ▶ L'analisi di sensibilità rappresenta il metodo attraverso il quale gli analisti hanno introdotto l'incertezza nelle valutazioni economiche e questo accade perché una grande quantità di dati che viene usata negli studi di farmaco-economia è di natura deterministica.
- ▶ Le fonti di incertezza possono essere di diversa natura: (I) può capitare che alcuni dati, necessari al processo di valutazione, non siano disponibili con la conseguente necessità di determinare delle stime (come ad esempio accade nel caso di nuove e non provate tecnologie sanitarie), (II) oppure esistono i dati, o quanto meno possono essere disponibili, ma possono essere caratterizzati da valutazioni imprecise (come ad esempio nel caso della determinazione del costo per giornata di degenza in regime ospedaliero) e (III) infine possono nascere problematiche relative alla metodologia utilizzata. È alla luce di queste problematiche legate all'incertezza dei dati o meglio alle stime dei dati che si vuole verificare la sensibilità dei risultati dello studio rispetto a determinate variabili (parametri critici)

(Materiale utilizzabile secondo Ravasio – editoriale Pharmastar)

Come si articola il test di sensibilità?

- Il test di analisi di sensibilità dei risultati di una valutazione economica si articola, generalmente attraverso tre fasi:
- 1) identificazione dei fattori incerti,
- 2) definizione dei range nel quale si ritiene che essi possano variare,
- 3) ricalcolo dei risultati dello studio lungo tali range (stime più conservative e meno conservative).
- Per quanto riguarda il primo punto possiamo dire che in linea generale tutte le variabili che riguardano un'analisi, o meglio una valutazione economica, possono essere considerate dei fattori critici per il test di sensibilità. È quindi difficile a priori identificare delle linee guida per l'identificazione dei parametri incerti. L'unico approccio valido che si potrebbe seguire è quello di escludere i parametri la cui stima è conosciuta con assoluta certezza, oppure quei valori che non determinano un impatto rilevante sui risultati.
- L'individuazione di un range ragionevole di variazione rappresenta forse il punto debole del processo di analisi di sensibilità, nella maggior parte delle valutazioni che sono pubblicate non vengono fornite valide spiegazioni sui range di variazione che sono usati.
- In letteratura si ritiene, invece che sia possibile determinare un range valido rivisitando la letteratura scientifica disponibile, consultando le opinioni degli esperti, oppure per i dati stocastici (casuale e probabilistica) utilizzando un intervallo di confidenza che ruoti intorno al valore medio del parametro che si vuole indagare.

(Materiale utilizzabile secondo Ravasio – editoriale Pharmastar)


- 
- Infine il calcolo dei risultati di uno studio può essere fatto attraverso diversi approcci.
 - Il metodo più semplice che viene usato nell'analisi di sensibilità è *l'analisi ad una via*. Con questo approccio i fattori ritenuti critici vengono fatti variare singolarmente al fine di investigare come si modificano i risultati.
 - Un secondo approccio, più sofisticato, è *quello dell'analisi a più vie*. In questo caso si fanno variare simultaneamente più fattori ritenuti critici. Senza ombra di dubbio questo approccio è più realistico del precedente a patto che non vengano inclusi parametri incerti o numeri di combinazioni dei parametri troppo elevati, tali da rendere non veritieri o poco comprensibili le valutazioni del test di sensibilità.
 - Un terzo approccio è costituito *dall'analisi di scenario*. In questo caso viene costruita una serie di scenari, rappresentanti un sottoinsieme di potenziali analisi a più vie. Tipicamente, gli scenari includeranno uno scenario base (la migliore ipotesi), uno scenario ottimista (il caso migliore) ed uno pessimista (il caso peggiore).
 - Infine come quarto ed ultimo approccio si considera *l'analisi di soglia*. In questo caso viene identificato un valore di un parametro (valore di soglia) al di sopra/di sotto del quale il programma sanitario non risulterebbe accettabile.

(Materiale utilizzabile secondo Ravasio – editoriale Pharmastar)

Problematiche nella trasferibilità dei risultati delle valutazioni

- ▶ I risultati degli studi spesso provengono da contesti molto diversi fra loro, e infatti a volte chi deve prendere delle decisioni ha bisogno di capire se i risultati di una valutazione economica sono applicabili al proprio contesto di interesse. Alcuni dati scientifici sono sicuramente trasferibili. Ad esempio è molto probabile che l'efficacia dei farmaci sia simile in paesi diversi;
- ▶ I dati economici di una valutazione di norma invece non sono trasferibili da un contesto a un altro; infatti può capitare che un nuovo farmaco abbia un rapporto di costo/efficacia vantaggioso in un paese e svantaggioso in un altro. I motivi che rendono i dati economici difficilmente trasferibili sono svariati.
- ▶ Ad esempio i fattori demografici (età della popolazione) o l'epidemiologia delle malattie (incidenza) sono elementi che possono fortemente influenzare una valutazione economica. Anche la differente disponibilità di risorse sanitarie influisce sui risultati di uno studio, infatti ad esempio la disponibilità di importanti tecnologie diagnostiche può variare da un luogo ad un altro.
- ▶ Un altro fattore che può condizionare una valutazione economica è la variabilità nella pratica clinica. I medici, infatti, sono spesso condizionati nello svolgere la propria attività dalle risorse disponibili, che ovviamente possono differire da luogo a luogo. In particolare modo si deve ricordare però che è soprattutto il livello dei prezzi sia dei farmaci che di altre risorse sanitarie, spesso diverso da paese a paese, a non consentire la trasferibilità dei risultati di una valutazione economica da un contesto ad un altro.

(Materiale utilizzabile secondo Ravasio – editoriale Pharmastar)



L'analisi farmaco-economiche non riguardano solo i farmaci ma qualsiasi tecnologia sanitaria, tra cui i dispositivi medici.... Come vengono definiti ? E come sono classificati?

- ▶ Un dispositivo medico, secondo la definizione del **Regolamento (UE) 2017/745**, è qualunque strumento, apparecchio, apparecchiatura, software, impianto, reagente, materiale o altro articolo, destinato dal fabbricante a essere impiegato sull'uomo, da solo o in combinazione, per una o più delle seguenti destinazioni d'uso mediche specifiche:
- ▶ diagnosi, prevenzione, monitoraggio, previsione, prognosi, trattamento o attenuazione di malattie,
- ▶ diagnosi, monitoraggio, trattamento, attenuazione o compensazione di una lesione o di una disabilità,
- ▶ studio, sostituzione o modifica dell'anatomia oppure di un processo o stato fisiologico o patologico,
- ▶ fornire informazioni attraverso l'esame in vitro di campioni provenienti dal corpo umano, inclusi sangue e tessuti donati, e che non esercita nel o sul corpo umano l'azione principale cui è destinato mediante mezzi farmacologici, immunologici o metabolici, ma la cui funzione può essere coadiuvata da tali mezzi.

(Materiale utilizzabile secondo la fonte del Ministero della Salute)

- **I dispositivi medici sono classificati in quattro classi** in funzione del rischio legato al dispositivo stesso e al tipo (e durata) di contatto con il corpo umano:
- **Classe I:** *Dispositivi meno critici*, quali la gran parte di quelli non attivi e non invasivi (all'interno della classe I sono individuabili 3 sottoclassi: la classe I sterile – quelli forniti in stato sterile –, la classe Im – quelli che svolgono una funzione di misura – e la classe Ir – che comprende i ferri chirurgici riutilizzabili)
- **Classe IIa:** *Dispositivi a rischio medio*, quali alcuni dispositivi non attivi (invasivi e non) e dispositivi attivi che interagiscono con il corpo **in maniera non pericolosa**
- **Classe IIb:** *Dispositivi a rischio medio/alto*, quali alcuni dispositivi non attivi (specie invasivi) e dispositivi attivi che interagiscono con il corpo in maniera pericolosa
- **Classe III:** *Dispositivi ad alto rischio*, quali gran parte di quelli impiantabili, quelli **contenenti farmaci o derivati animali** e alcuni dispositivi medici che agiscono sulle funzioni di organi vitali
- I dispositivi medici possono essere immessi in commercio nel territorio dell'UE previa apposizione della **Marcatura CE**.
- La **presenza del marchio CE** attesta che il prodotto è stato sottoposto a procedure di **valutazione di conformità** atte a dimostrarne la rispondenza ai requisiti essenziali della direttiva o regolamento di riferimento.
- La marcatura CE, per i DM di classe superiore alla classe I, può essere apposta solamente dietro ottenimento di un **Certificato CE** di conformità rilasciato da **Organismi notificati** validamente designati. Il fabbricante può rivolgersi a qualsiasi Organismo Notificato accreditato, in Italia o in un altro paese europeo, a sua scelta.

(Materiale utilizzabile secondo la fonte del Ministero della Salute)

Perché così tanta attenzione ai costi? Perché esistono dei tetti di spesa ...



22.03.2023

Monitoraggio della Spesa Farmaceutica Nazionale e Regionale Gennaio-Novembre 2022

Adempimento AIFA ai sensi della Legge 222/2007 e della Legge 135/2012, successivamente modificata dalla L. 232/2016 e dalla L. 145/2018 condotto sulla base dei dati di spesa convenzionata e delle DCR acquisite dalle Regioni, nonché dei dati acquisiti dall'NSIS del Ministero della Salute, relativi alla tracciabilità del farmaco (DM 15 luglio 2004).

Andiamo nel dettaglio...

La spesa farmaceutica convenzionata netta a carico del SSN nel periodo Gennaio-Novembre 2022 calcolata al netto degli sconti, della compartecipazione totale (ticket regionali e compartecipazione al prezzo di riferimento) e del payback 1,83% versato alle Regioni dalle aziende farmaceutiche, si è attestata a 6.998,9 mln di € (tabella 1), evidenziando un aumento rispetto a quella dell'anno precedente (+79,4 mln di €), riportandosi ai valori del 2020. I consumi, espressi in numero di ricette (514,1 milioni di ricette), mostrano un lieve aumento (+2,0 %) rispetto al 2021; anche l'incidenza del ticket totale mostra lieve un aumento (+1,5%)

Tabella 1 Spesa farmaceutica convenzionata nel periodo Gennaio - Novembre 2022 rispetto allo stesso periodo del 2021

	Gennaio-Novembre 2021 (milioni)	Gennaio-Novembre 2022 (milioni)	Δ assoluta (milioni)	Δ %
Spesa lorda (€)	8.917,0	9.012,4	95,4	1,1
Spesa netta^a (€)	6.919,5	6.998,9	79,4	1,1
Spesa Convenzionata^b (€)	7.204,8	7.304,3	99,5	1,4
Ricette	503,9	514,1	10,3	2,0
Compartecipazione Totale^c (€)	1.350,5	1.370,3	19,8	1,5

^a Spesa a carico del SSN per farmaci erogati attraverso le farmacie aperte al pubblico, al netto del pay-back dell'1,83% versato dalle aziende farmaceutiche alle regioni, ai sensi dell'art. 11 comma 6 del D.L. 78/2010 convertito con modificazioni nella legge n. 122 del 30 Settembre 2010 (impatto PayBack 1,83 Gennaio-Novembre 2022 pari a 149,0 milioni di euro). Il payback 1,83 è calcolato al netto del payback 5% (dato effettivo Gennaio-Novembre 2022: 31,3 milioni di euro).

^b Spesa farmaceutica convenzionata= Spesa Lorda - Sconti - Compartecipazione del cittadino - pay-back 1,83 - Altri pay-back.

^c Somma del ticket per ricetta e dell'eventuale quota di compartecipazione sul prezzo del farmaco a brevetto scaduto rispetto al prezzo di riferimento.

(Materiale utilizzabile secondo il Monitoraggio della spesa farmaceutica Nazionale e regionale Gennaio-Novembre 2022-AIFA)

L'abbiamo rispettato.....???

Tabella 7 Verifica del rispetto del tetto di spesa programmato (7,00%) nel periodo Gennaio - Novembre 2022

	Spesa	FSN(*)	Tetto spesa programmata (7,00%)	Scostamento assoluto	% su FSN
Convenzionata ^f	7.304,3	114.493,5	8.014,5	-710,2	6,38

Dati in milioni di €

*** Fsn 2022 provvisorio comunicato dal Ministero della Salute il 24/10/2022**

^f Spesa farmaceutica al netto dei pay-back delle Aziende Farmaceutiche a beneficio delle Regioni. Spesa farmaceutica netta è così ottenuta (Cfr Tabella 7bis).

Spesa farmaceutica convenzionata = Spesa Lorda - Sconti - Compartecipazione del cittadino - pay-back 1,83 - Altri pay-back.

1. Payback relativo alla sospensione della riduzione di prezzo del 5 per cento per medicinali di fascia A erogati in regime di assistenza convenzionata e non convenzionata, ai sensi dell'art. 1 comma 796, lettera g della legge 27 dicembre 2006, n. 296, e successive proroghe (dato effettivo Gennaio-Novembre 2022: 31,3 milioni di euro)

2. Payback dell'1,83 per cento sulla spesa farmaceutica convenzionata a prezzi al pubblico al netto dell'imposta sul valore aggiunto ai sensi dell'art.11 comma 6 del decreto legge del 30 maggio 2010, n.78, convertito con modificazioni dalla Legge n.122 del 30 luglio 2010, e attuato con Determinazione AIFA del 18 febbraio 2011 (impatto Gennaio-Novembre 2022 pari a 149,0, milioni di euro);

3. Tetti di prodotto Gennaio-Novembre 2022: sono presenti i payback pubblicati in GU nel periodo indicato con dettaglio regionale (seguendo il criterio di cassa). Per quanto riguarda il calcolo del Payback qualora si tratti di farmaco in fascia A si imputa il payback alla spesa convenzionata, qualora in classe H o in fascia A-PHT agli acquisti diretti (impatto Gennaio-Novembre 2022 pari a 26,2 milioni di euro).

4. Importi relativi ai payback 2022 ai sensi dell'art. 48, comma 33-bis, del D.L. 269/2003, conv. dalla L. 326/2003 e ss.mm.ii. ai sensi dell'art. 11, comma 1, del D.L. 158/2012, conv. dalla L. 189/2012 (cd. "payback di manovra"). Per quanto riguarda il calcolo del PayBack qualora si tratti di farmaco in fascia A si imputa il payback alla spesa convenzionata, qualora in classe H o in fascia A-PHT agli acquisti diretti (impatto Gennaio-Novembre 2022 pari a 16,5 milioni di euro).

(Materiale utilizzabile secondo il Monitoraggio della spesa farmaceutica Nazionale e regionale Gennaio-Novembre 2022-AIFA)



Quanto costa l'innovazione? Budget Analysis Impact (BIA)

- La BIA è una valutazione economica che stima le conseguenze finanziarie di una nuova tecnologia sul budget
- La BIA è realizzata dalla prospettiva del pagatore e viene fatta a breve termine
- La BIA identifica una popolazione campione che sarà oggetto della nuova tecnologia sanitaria in un periodo limitato di tempo (es. 3-5 anni)
- La BIA è focalizzata su i costi diretti.



Definizione dei costi del trattamento



Costi di acquisizione



Costi di preparazione



Test monitoraggio efficacia/sicurezza



Costi delle complicanze



Costi del fallimento terapeutico

BIA vs CEA

	BIA	CEA
Domande	È sostenibile?	È appropriato?
Obiettivo	Impatto finanziario	Migliorare l'allocazione delle risorse
Health outcome	NON INCLUSI	Inclusa (QALY)
Costi	Solo costi diretti	Costi diretti, indiretti, intangibili
Misura	Spesa totale	ICER
Time Horizon	1-5 anni	Lifetime

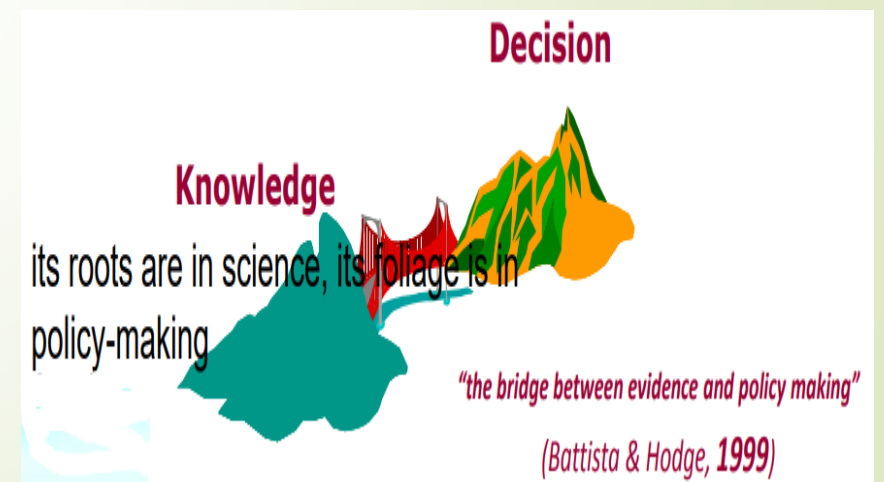
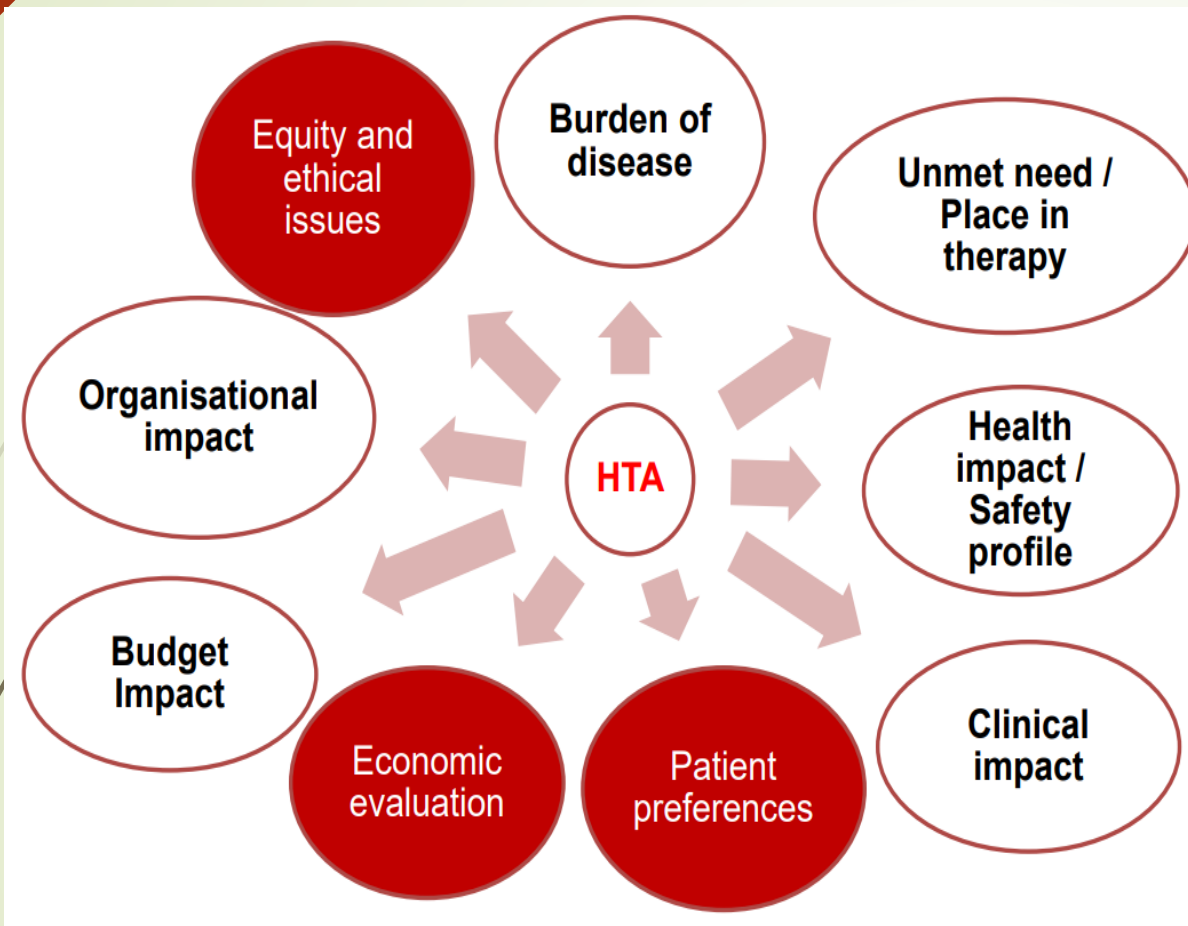
HTA (Health Technology Assessment)

- ▶ La valutazione delle tecnologie sanitarie (Health Technology Assessment) è un processo multidisciplinare che utilizza la migliore evidenza disponibile, onde valutare le implicazioni mediche, sociali, etiche, organizzative ed economiche derivanti dall'introduzione della tecnologia nel sistema.
- ▶ L'HTA è uno strumento di politica sanitaria che esamina sistematicamente le conseguenze a breve e lungo termine, in termini di consumo di risorse sanitarie, dell'applicazione di tecnologie sanitarie (Henshall et al, 1997)
- ▶ Tecnologia sanitaria è intesa come l'insieme di tutti gli strumenti, le attrezzature, i farmaci e le procedure utilizzati nell'erogazione dei servizi sanitari (Office of Technology Assessment – OTA, USA 1978)

HTA: Livelli di applicazione

L'HTA è un processo multidisciplinare che avviene a vari livelli:





Grazie per avermi ascoltato



Dobbiamo essere pronti...

Horizon Scanning

Rapporto 2023



79
gennaio
dicembre
2022

**sono compresi i prodotti per le terapie avanzate*

Al momento della stesura del Rapporto, sulla base delle richieste di AIC pervenute all'EMA è atteso nel 2023 un parere per 92 nuovi medicinali: 61 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 28 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 33 medicinali non orfani), 14 medicinali biosimilari e 17 medicinali equivalenti. Nonostante la maggior parte dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione siano antineoplastici (n= 19 pari al 31,1%), risulta rilevante anche la quota in valutazione per altre aree terapeutiche, con particolare riferimento ai medicinali per il sistema nervoso e sensoriale (n= 9 pari al 14,8%) e ai medicinali immunosoppressori e immunostimolanti (n= 8 pari al 13,1%). Infine, tra i 28 medicinali orfani attualmente in valutazione, 1 è per terapie avanzate, lenadogene nolparvovec, per il trattamento della neuropatia ottica ereditaria di Leber.



92
gennaio
dicembre
2023

**sono compresi i prodotti per le terapie avanzate*

