

<http://www.aslrma.com/auslromaa/>

farmaAnotizie

Periodico mensile di informazione della ex ASL ROMA A su argomenti di farmacoepidemiologia/farmacoeconomia/farmacovigilanza
Settembre 2016 – anno 7° – n° 9

Registri AIFA: informazioni sui dati dei trattamenti con i nuovi farmaci per la cura dell'epatite C

L'AIFA fornisce in maniera sistematica, tramite aggiornamenti settimanali, dati pubblici circa i trattamenti con i nuovi farmaci ad azione antivirale diretta di seconda generazione (DAAs) per la cura dell'epatite C cronica raccolti dai Registri di monitoraggio della Agenzia stessa.

Con l'obiettivo finale di favorire l'accesso alle nuove terapie per tutti i pazienti affetti da epatite C cronica e garantire al tempo stesso la sostenibilità del SSN, si è reso inizialmente necessario individuare una strategia di accesso modulata sulla base dell'urgenza clinica al trattamento.

Di conseguenza, l'AIFA, tramite la Commissione Tecnico Scientifica (CTS), ha individuato i criteri di rimborsabilità prioritaria al trattamento con i nuovi DAAs sulla base dei risultati emersi dai lavori del Tavolo tecnico epatite C istituito presso l'Agenzia.

I criteri di prioritizzazione individuano i seguenti gruppi di pazienti:

- Pazienti con cirrosi in classe di Child A o B e/o con HCC con risposta completa a terapie resettive chirurgiche o loco-regionali non candidabili a trapianto epatico nei quali la malattia epatica sia determinante per la prognosi.

- Epatite ricorrente HCV-RNA positiva del fegato trapiantato in paziente stabile clinicamente e con livelli ottimali di immunosoppressione.

- Epatite cronica con gravi manifestazioni extra-epatiche HCV-correlate (sindrome crioglobulinemica con danno d'organo, sindromi linfoproliferative a cellule B).

- Epatite cronica con fibrosi METAVIR F3 (o corrispondente Ishack).

- In lista per trapianto di fegato con cirrosi MELD <25 e/o con HCC all'interno dei criteri di Milano con la possibilità di una attesa in lista di almeno 2 mesi.

- Epatite cronica dopo trapianto di organo solido (*non fegato*) o di midollo con fibrosi METAVIR ≥2 (o corrispondente Ishack).

- Epatite cronica con fibrosi METAVIR F0-F2 (o corrispondente Ishack) (solo per simeprevir).

Al fine di garantire il più ampio accesso a questi trattamenti innovativi, l'AIFA è comunque impegnata in una continua e tempestiva verifica delle nuove evidenze scientifiche e delle possibilità di una rimodulazione dei vigenti criteri di eleggibilità al trattamento con i DAAs.

Fonte Bibliografica: AIFA

LA SOSTENIBILITA' ECONOMICA IN PATOLOGIE CRONICHE: UN ESEMPIO - LA SCLEROSI MULTIPLA

MARCO SPINOSI, CHIARA DI SCIASCIO
U.O.C.D. Farmacia Ospedaliera,
Ospedale «Giuseppe Mazzini», Teramo

Oggi il nostro Sistema Sanitario Nazionale è messo a dura prova dai continui tagli alla sanità e spesso l'arrivo di nuove opzioni terapeutiche sul mercato è condizionato da queste ristrettezze economiche che in questo periodo storico caratterizzano la maggior parte delle aziende sanitarie italiane.

È necessario quindi stabilire dei criteri per utilizzare al meglio le limitate risorse ad oggi disponibili.

L'analisi di costo-efficacia è una tecnica farmaco-economica che stima il costo incrementale di un'unità aggiuntiva di efficacia, espressa sulla base di parametri clinici oppure degli anni di vita salvati. Poiché ogni situazione di malattia viene valutata attraverso parametri clinici differenti, è stato necessario individuare un indicatore che li rendesse confrontabili.

L'indicatore **QUALY** (*Quality-Adjusted Life Years*) tiene conto non solo della sopravvivenza (anni di vita guadagnati) ma anche della qualità della vita.

Il **QUALY** è calcolato moltiplicando la sopravvivenza per un indice di utilità che esprime la percezione che un soggetto ha del proprio stato di salute.

Vediamo ora, sia pure in grande sintesi, come i concetti espressi in precedenza possano essere applicati allo studio di una importante patologia cronico - degenerativa in campo neurologico, quale è la sclerosi multipla (SM). La Sclerosi Multipla (SM) è una patologia ad elevato impatto sociale ed economico.

La SM interessa 2,3 milioni di persone nel mondo (*National Multiple Sclerosis Society*).

In Italia sono colpite dalla malattia circa 75.000 persone e si stima che vengano diagnosticati 2000 nuovi casi ogni anno (*Associazione Italiana Sclerosi Multipla*).

Un esempio può essere rappresentato dallo studio *Kobelt e coll.* (1) sul *Dimetilfumarato* (DMF), terapia farmacologica orale che si utilizza nella Sclerosi Multipla Recidivante Remittente.

Questo studio è stato condotto su 921 pazienti italiani affetti da SM.

Si è osservato che al progredire della disabilità, valutato mediante punteggio EDSS (*Expanded Disability Status Scale*), peggiora l'utilità (fattore di ponderazione per calcolare il **QUALY**) e parallelamente aumentano i costi sanitari.

È intuibile che un intervento sanitario in grado di rallentare la progressione della disabilità consente una migliore qualità della vita al paziente e una diminuzione dei costi complessivi (disabilità, ricoveri, perdita di produttività, costi indiretti). Secondo la *Scottish Medicine Consortium* (2), la nuova opzione terapeutica DMF è costo-efficace rispetto alle opzioni terapeutiche fino ad oggi disponibili, inoltre risulta essere dominante (più efficace/meno costosa) rispetto all'Interferone Beta-1a (*IFN Beta-1a*) sottocute.

Anche il NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*) (3) in una recente analisi farmaco-economica ha valutato la costo-efficacia di questa terapia orale e dell'Interferone Beta-1a per il trattamento della SM, evidenziando che il Dimetilfumarato è costo-efficace rispetto alle altre terapie di prima linea.

Il vantaggio del DMF è stato confermato anche per la realtà italiana, utilizzando un modello messo a punto dal CESP (*Centro Studi Sanità Pubblica*).

É emerso dall'analisi dei dati che il Dimetilfumarato ha una maggiore probabilità di essere costo-efficace rispetto alle altre opzioni terapeutiche.

Inoltre DMF ha dimostrato di essere sostenibile a lungo termine per il SSN perché consente di mantenere i pazienti più a lungo in prima linea, con una terapia meno costosa rispetto a quella di seconda linea.

La sostenibilità delle nuove terapie da parte del Sistema Sanitario Nazionale oggi risulta essere un elemento fondamentale in uno scenario dove è necessario trovare la soluzione terapeutica migliore al miglior costo.

Bibliografia

(1) - Kobelt G, Berg J, Lindgren P. et al (2006)

Costs and quality of life of multiple sclerosis in Italy.

(2) - <http://www.scottishmedicines.org.uk/files/advice/>

(3) - Dimethyl fumarate for treating relapsing-remitting multiple sclerosis.

NICE technology appraisal guidance 320.

*Workshop EMA
Affrontare le sfide dei farmaci
innovativi immunoterapici per il
cancro.*

Il Comitato per le Terapie Avanzate (CAT) dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) dedicherà al tema un workshop che si terrà a Londra il 15 e 16 novembre.

L'immunoterapia è un tipo di trattamento del cancro che mobilita i meccanismi di difesa dell'organismo per combattere tale grave patologia.

I farmaci immunoterapici hanno notevolmente cambiato il panorama terapeutico, in particolare per il trattamento di pazienti con alcuni tipi di cancro, come quello polmonare o il melanoma.

L'immunoterapia a base di cellule T è un approccio innovativo in cui le cellule T del sangue di un paziente sono ingegnerizzate geneticamente in laboratorio per consentire loro di riconoscere le cellule tumorali attraverso recettori specifici.

Nell'organismo di un paziente, le cellule T modificate possono quindi identificare e distruggere le cellule tumorali.

I farmaci immunoterapici basati sulle cellule T sono stati sviluppati e sono attualmente in fase di sperimentazione in studi clinici per una varietà di tumori.

Riviste consigliate: [The Lancet Neurology](#)

Siti consigliati: American Journal of Gastroenterology
<http://www.nature.com/ajg/index.html>

Tuttavia, ci sono ancora molte sfide scientifiche e normative da superare prima che questi prodotti innovativi possano essere immessi sul mercato a beneficio dei pazienti.

Pertanto, il workshop aperto mira a facilitare il dialogo tra il CAT e gli sviluppatori dei farmaci dell'industria e del mondo accademico sulle tematiche prima esposte.

Fonte Bibliografica: AIFA

**Comitato di Redazione:
Dott. Luigi Bellante**

Dott. Riccardo Rivolta

Dott.sa Maria Rosaria Macripò

Dott.sa Patrizia Montinaro

Dott.sa Giovanna Riccioni