

# IMPLEMENTAZIONE DI UN NUOVO STRUMENTO REGIONALE DI GOVERNANCE DEI FARMACI AD ALTO COSTO PER IL TRATTAMENTO DI MALATTIE RARE

**Andretta M<sup>1</sup>, Menti AM<sup>1</sup>, Nocera S<sup>1</sup>, Scroccaro G<sup>2</sup>**

1. UOC HTA - Azienda Zero, Regione del Veneto, 2. Direzione Farmaceutico-Protetica-Dispositivi Medici, Regione Veneto

## BACKGROUND E OBIETTIVI

La maggior disponibilità di farmaci ha aumentato l'aspettativa e la qualità di vita dei malati con patologia rara. I costi di tali terapie, spesso croniche, è estremamente elevato. La mancanza di finanziamenti *ad hoc* e, in alcuni casi, anche solo di Registri di monitoraggio dell'appropriatezza d'uso rende necessario individuare a livello regionale specifiche strategie di *governance* per la sostenibilità dei farmaci orfani.

## METODOLOGIA

(i) Censimento dei farmaci orfani per patologia rara esente, rimborsati in Italia al 31.01.2018, con e senza Registro AIFA, suddivisi per area terapeutica. (ii) Identificazione dei farmaci e delle relative aree terapeutiche a maggior impatto di spesa regionale per cui non è prevista la compilazione del Registro AIFA. (iii) Implementazione di una scheda di monitoraggio per farmaci ad alto costo non soggetti a Registro.

## RISULTATI

(i) Sono stati identificati 75 farmaci per patologia rara con codice d'esenzione, di cui solo il 22,6% con Registro AIFA. (ii) Tra le aree terapeutiche identificate, quella relativa al trattamento delle malattie da accumulo lisosomiale rappresenta una tra le maggiori per impatto di spesa.

Le terapie enzimatiche sostitutive (ERT) e quelle di riduzione del substrato (SRT), elencate nelle Tabelle 1 e 2, hanno generato nel 2017 una spesa di circa 19,6 milioni di €. La spesa per ERT è stata di 18,6 milioni di € (Tabella 1), di cui solo il 16% attribuibile a farmaci con Registro AIFA (Tabella 2), mentre la spesa per SRT è stata di 929 mila €, determinata totalmente da farmaci senza Registro.

Tabella 1. Terapie enzimatiche sostitutive (ERT) e relativa spesa 2017

Patologia rara	Principio attivo	Registro AIFA	Spesa 2017, €
<b>Fabry</b>	agalsidasi alfa	No	4.030.403
	agalsidasi beta	No	1.831.527
<b>Gaucher</b>	tipo 1 e 3 imiglucerasi	No	3.079.315
	tipo 1 velaglucerasi alfa	No	621.217
<b>Pompe</b>	alglucosidasi alfa	No	3.965.573
<b>MPS</b>	II idursulfasi	Sì	2.892.339
	VI galsulfasi	No	1.344.042
	I laronidasi	No	617.226
	IVA elosulfase alfa	No	247.591

MPS: mucopolisaccaridosi

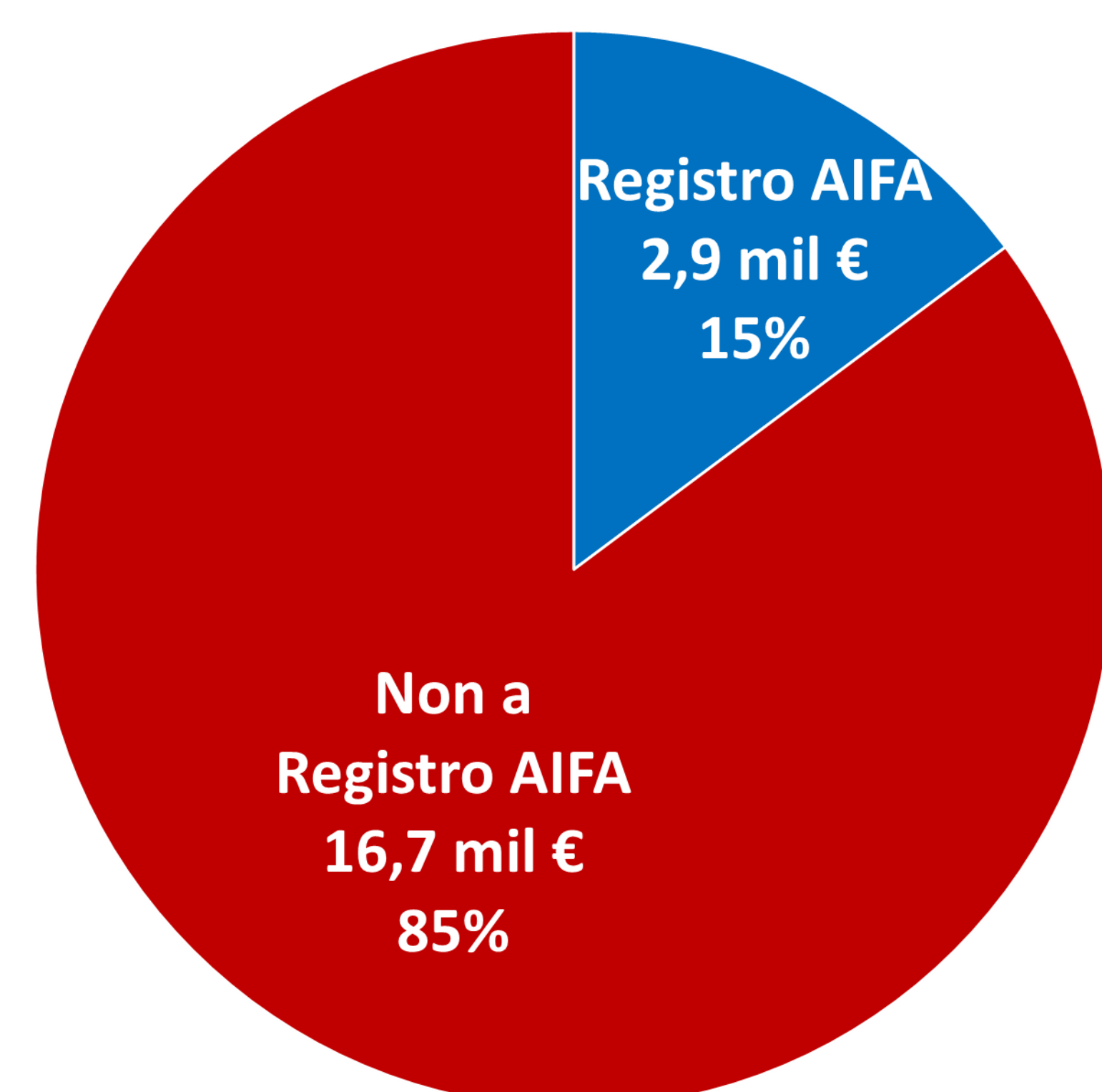
Tabella 2. Terapie di riduzione del substrato (SRT) e relativa spesa 2017

Patologia rara	Principio attivo	Registro AIFA	Spesa 2017, €
<b>Gaucher tipo 1/ Niemann-Pick tipo C</b>	miglustat	No	873.239
<b>Fabry</b>	migalstat*	No	39.117
<b>Gaucher tipo 1</b>	eliglustat°	No	16.563

\*Rimborsato da marzo 2017 (GU 56/2017); ° Rimborsato da novembre 2017 (GU 254/2017)

L'analisi dei dati di spesa di ERT/SRT per il 2017 ha permesso di stimare che circa l'85% della spesa sostenuta per il trattamento delle malattie da accumulo lisosomiale non è governata dalla presenza di Registro (Figura 1).

Figura 1. Confronto tra la spesa per i farmaci sottoposti a registro AIFA vs non sottoposti a registro AIFA



(iii) Gruppi di esperti regionali, supportati dall'Unità regionale di HTA, definiranno per i farmaci ad alto costo sprovvisti di Registro, un modello di scheda che preveda dei criteri di eleggibilità, sulla base delle indicazioni terapeutiche e delle condizioni di rimborsabilità, e delle schede di monitoraggio, vincolanti ai fini della erogazione del farmaco, costruite sulle più recenti evidenze di efficacia clinica disponibili in letteratura. Le prime schede ad essere definite riguarderanno i farmaci per le malattie da accumulo lisosomiale e saranno implementate nel Registro regionale delle malattie rare.

## CONCLUSIONI

Questo sistema si configura come strumento di *governance* per i farmaci ad alto costo destinati al trattamento di patologie rare da accumulo lisosomiale, con l'obiettivo di appropriatezza d'uso dei farmaci e uniformità di accesso alle cure.