

Report: Orphan Drugs: Exploring the Challenges of Pricing, Reimbursement, and Funding

*Issue Panel and Workshop
ISPOR 20th Annual European Congress,
Glasgow, UK
6th November 2017*

Le malattie rare costituiscono uno dei problemi di salute pubblica più rilevanti dei nostri tempi sia per il loro impatto in termini di incentivi economici che per le questioni etiche che si sollevano attorno al tema dell'accesso alle terapie, diritto fondamentale dei sistemi sanitari moderni. Le malattie rare sono patologie gravi, invalidanti, che colpiscono un numero ridotto di persone. Secondo la definizione adottata dall'Unione Europea nel programma d'azione comunitario sulle malattie rare 1999-2003, s'intendono per malattie rare tutte quelle patologie che presentano una prevalenza inferiore a 5 casi ogni 10 000 persone. I cosiddetti farmaci orfani sono destinati alla cura delle malattie rare tuttavia le aziende farmaceutiche sono solitamente restie a sviluppare questi farmaci secondo le normali condizioni di mercato, poiché i capitali investiti per la ricerca e lo sviluppo dei prodotti non vengono recuperati attraverso le vendite a causa della scarsa domanda. Il regolamento comunitario del 2000 diffuse alcune misure al fine di stimolare la ricerca e lo sviluppo nel settore dei farmaci orfani e incentivare con ciò la commercializzazione di terapie innovative. Ad oggi, tuttavia, la legislazione europea non sembra aver dato tutti i risultati sperati in quanto il percorso di approvazione e di commercializzazione di un farmaco orfano rimane molto complesso e passa attraverso vari stadi: la sperimentazione clinica, che si conclude con la procedura di autorizzazione d'immissione in commercio (fase sovra-nazionale), a cui segue la richiesta di rimborsabilità pubblica (fase nazionale) e, infine, la farmacovigilanza. Inoltre, l'accesso a tali prodotti varia a seconda dei paesi nei quali si registrano diversi approcci in termini di valutazione del prezzo e procedure di rimborso.

Nel Marzo 2017, l'European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases (ORPH-VAL) ha pubblicato delle nuove linee guida per che rappresentano un nuovo approccio alla misurazione del valore e dei processi di finanziamento di tali farmaci. Durante la sessione del congresso, diversi interlocutori da più paesi, in particolare Francia, Germania, Olanda e Regno Unito hanno discusso di come tali principi potranno contribuire alla gestione corretta e sostenibile di tali malattie. Tra i panelist, Martina Garau, MSc, Office of Health Economics, London, UK ha introdotto la sessione con una panoramica sullo stato di approvazione dei farmaci orfani nell'UE e quindi sullo stato dell'arte alla luce dei vari interventi normativi messi in campo. Sin dal primo intervento normativo europeo, infatti, vi è stato un dibattito attorno alle tipologie di incentivi da implementare ed, in particolare, se corrispondere un premio alle aziende per il recupero parziale dei costi di R&D o se predisporre meccanismi di ponderazione alla soglia con cui una innovazione viene considerata costo efficace innalzando con ciò la disponibilità a pagare dei sistemi sanitari rispetto a quella usualmente adottata per le altre innovazioni terapeutiche. Su questo tema si è soffermato il Professor Michael Drummond, MCom, DPhil, University of York,

Heslington, York, UK il cui lavoro ha costituito la parte centrale della sessione. Drummond è partito da un assioma iniziale secondo cui sebbene la società possa valutare con favore la rinuncia a parte dei guadagni in termini di salute complessiva, la possibilità che le aziende produttrici di farmaci orfani registrino extra profitti rispetto ai competitor del mercato non sarebbe accettata con altrettanto favore. Alla luce di ciò, la definizione di un set di aggiustamenti normativi, nel senso economico del termine, da applicare al calcolo della soglia di disponibilità a pagare, potrebbe essere una soluzione per la definizione di un prezzo ragionevole. In particolare, la proposta del Prof. Drummond prevede un sistema di ponderazione tramite l'applicazione di un peso frutto del rapporto tra le dimensioni delle popolazioni trattate e le entità dei costi di R&D tra farmaci orfani e non. In questa maniera, l'ACET ossia la Adjusted Cost-Effectiveness Threshold, verrebbe aggiustata sia per l'entità dei costi di R&D che per i farmaci orfani sembra inferiore in quanto ai minori costi delle fasi III di sperimentazione, che per le dimensioni della popolazione target che per tali farmaci, invece, è inferiore per definizione.

A conclusione della sessione Saskia Knies, PhD, National Health Care Institute, Diemen, The Netherlands ha presentato un caso specifico sul sistema di rimborso olandese dei farmaci orfani mentre Ulf Staginnus, MBA ha rappresentato la prospettiva delle aziende illustrando i principali driver e rischi connessi allo sviluppo di farmaci per la cura di condizioni rare.

Gianluca Fabiano

*CEIS-EEHTA
Università di Roma "Tor Vergata"*