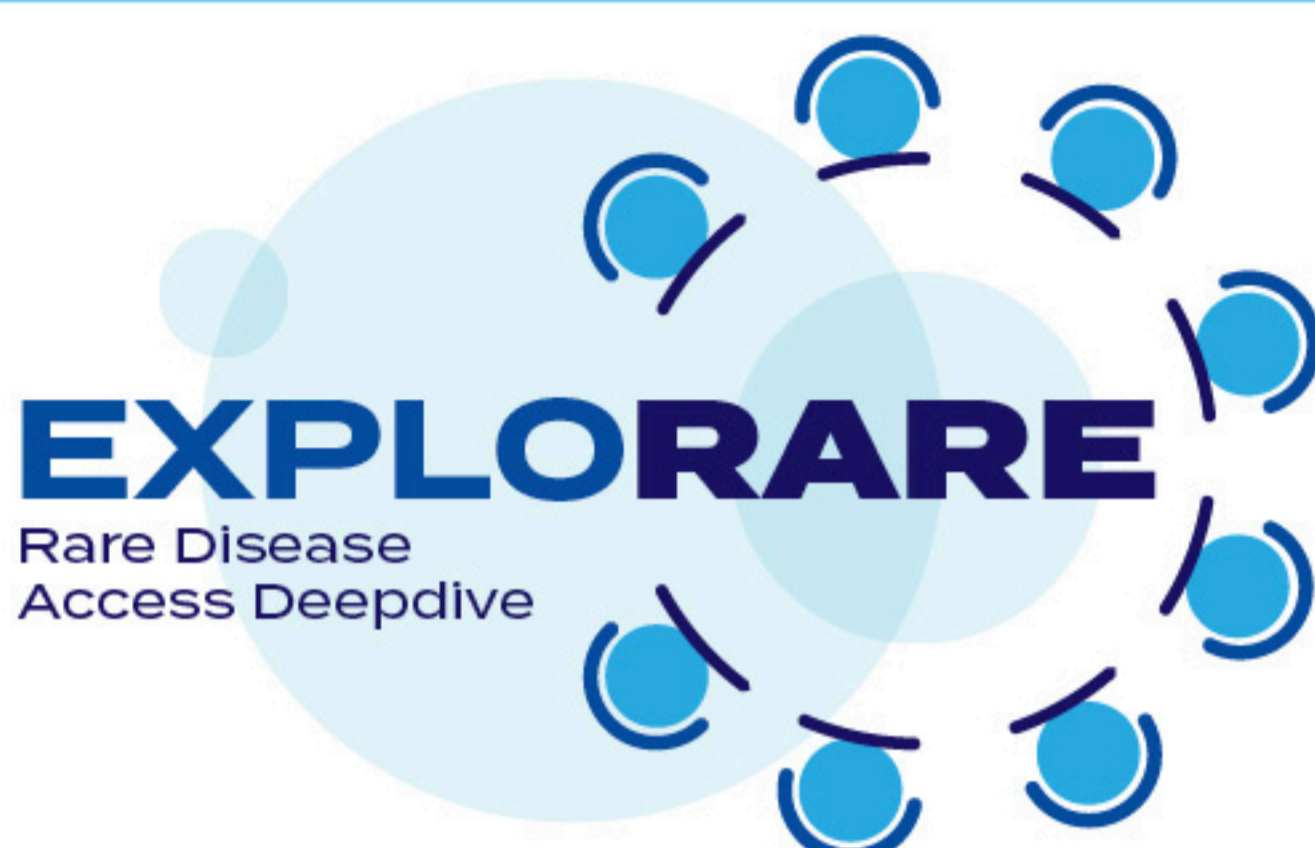


Analisi del processo di valutazione e rimborso dei farmaci per le malattie rare: progetto EXPLORARE

🕒 *Giovedì 29 Settembre 2022* ✎ *Redazione*

La valutazione e il rimborso dei farmaci per le malattie rare e orfane non è sempre un percorso facile. ISPOR Italy - Rome Chapter, con la collaborazione di MA Provider, si ripropone di rivedere in senso critico e propositivo il percorso e le valutazioni che portano al rimborso dei farmaci per le malattie rare. Per contribuire a un accesso lineare e a una migliore definizione del valore dei farmaci, nasce il progetto EXPLORARE, Rare Disease Access Deepdive, grazie al contributo non condizionante di Sanofi, Alexion, Sobi, Chiesi Italia, Biogen, Takeda. Il progetto si svilupperà secondo tre fasi: creazione del board, discussione e analisi, condivisione dei risultati con gli stakeholders.



La valutazione e il rimborso dei farmaci per le malattie rare e orfane non è sempre un percorso facile. ISPOR Italy – Rome Chapter, con la collaborazione di MA Provider, si ripropone di rivedere in senso critico e propositivo il percorso e le valutazioni che portano al rimborso dei farmaci per le malattie rare. Per contribuire a un accesso lineare e a una migliore definizione del valore dei farmaci, nasce il **progetto EXPLORARE, Rare Disease Access Deepdive**, grazie al contributo non condizionante di Sanofi, Alexion, Sobi, Chiesi Italia, Biogen, Takeda. Il progetto si svilupperà secondo tre fasi: creazione del board, discussione e analisi, condivisione dei risultati con gli stakeholders.

La valutazione e il rimborso dei farmaci per le malattie rare e orfane non sempre è un percorso facile. Spesso le Autorità regolatorie si trovano di fronte a significative incertezze sul valore terapeutico del farmaco proposto e sulla sua valorizzazione che inevitabilmente si ripercuotono sui tempi della valutazione.

Queste incertezze possono dipendere dalla rarità e dalle caratteristiche della malattia e quindi dalla difficoltà nel produrre dati solidi, e, soprattutto nel caso delle malattie orfane, dalla mancanza di un riferimento terapeutico già disponibile a cui ancorare il prezzo del nuovo medicinale.

ISPOR-Italy Rome Chapter, in collaborazione con MA Provider (MAP) ha promosso il progetto EXPLORARE, Rare Disease Access Deepdive volto a comprendere come i diversi momenti del percorso valutativo di un farmaco per una malattia rara vengono condizionati dalle incertezze tipiche di questo ambito, e come ridurre tali incertezze durante la fase di valutazione tecnico scientifica e di prezzo e rimborso, anche riconsiderando il ruolo e l'adeguatezza delle valutazioni farmacoeconomiche.

Il progetto si avvale della collaborazione di un board composto da rappresentanti delle società scientifiche e dell'Accademia e con il coinvolgimento di **Uniamo**.

“Nella cornice del percorso valutativo attuale di terapie per malattie rare e spesso orfane, l’obiettivo è di trovare delle proposte per gestirne la complessità scientifica ed economica evitando che si generino ritardi nella disponibilità della terapia ai pazienti ed ottenendo risultati di prezzo e rimborso sostenibili e che rispecchino il reale valore della terapia. Explorare è un progetto in linea con il momento storico attuale e con gli obiettivi di Ispor” dichiara il prof. **Pier Luigi Canonico**, Presidente ISPOR Italy – Rome Chapter 2020-2023.

“Il progetto EXPLORARE si sviluppa in tre fasi: identificazione delle tematiche da approfondire da parte del board di esperti, sviluppo e approfondimenti dei temi e delle proposte di risoluzione delle tematiche, condivisione dei risultati con gli stakeholders. I lavori del board sono già partiti: il 31 Agosto 2022 si è tenuta la prima riunione che si è conclusa identificando 3 gruppi di approfondimento i cui lavori partiranno a breve” dichiara il Prof. **Andrea Marcellusi**, Presidente eletto ISPOR Italy – Rome Chapter 2020-2023.

I risultati del progetto verranno raccolti in un documento presentato e discusso in occasione di un evento finale.