

ISPOR Italy-Rome Chapter 2022 Abstract

USO COMPASSIONEVOLE E *TIME TO REIMBURSEMENT* IN ITALIA

Xoxi E^{1,2,3}, Prada M⁴, Rossi L⁴, Mariano EE⁴

¹Senior Scientific Advisor, Intexo SB Rome Italy, ²Postgraduate School of Health Economics and Management (ALTEMS), Università Cattolica del Sacro Cuore, Rome, Italy, ³RWE4Decisions Scientific Steering Committee member, ⁴Patient Access Unit, Intexo SB Milan Italy

BACKGROUND E OBIETTIVI: In Italia l'uso compassionevole (UC) rappresenta lo strumento normativo che stabilisce le procedure e le modalità di accesso alle terapie farmacologiche sperimentali, al di fuori della sperimentazione, in pazienti che siano affetti da malattie gravi o rare o che si trovino in pericolo di vita. Tale strumento permette ai pazienti un accesso rapido a terapie in caso di alto bisogno terapeutico. Inoltre, visto il processo regolatorio in essere e quello successivo di prezzo e rimborsabilità, sembra importante analizzare il *time to reimbursement* (TTR) per farmaci che precedentemente sono stati utilizzati in UC. L'obiettivo è quello di valutare eventuale impatto dell'UC sulla valutazione AIFA per i medicinali per i quali è stato avviato un programma di UC dal 2017 al 2021. Il focus primario è sul TTR.

MATERIALI/METODI: Sono stati estratti i medicinali presenti nell'ultimo aggiornamento AIFA Lista UC periodo: 2017-2021 (1) e ad oggi rimborsate dal SSN con procedura di negoziazione TN1 (prima autorizzazione). Per ogni medicinale è stato riportato eventuale status di innovazione, fornito dall'elenco dei farmaci innovativi (2) e determinazioni AIFA pubblicate in GU. In accordo con la definizione AIFA (3), il TTR è stato calcolato dalla data del CHMP alla data della pubblicazione della determinazione AIFA in Gazzetta Ufficiale (GU). Sono in corso analisi per sottogruppo estendendo anche il campione presente.

RISULTATI (preliminary analysis): Sono 29 medicinali che prima della negoziazione PR (TN1) hanno avuto in Italia un UC nel periodo: 2017-2021. A settembre 2022, 19 di questi medicinali erano rimborsati da AIFA con TTR 568 giorni (range 302-926, SD 162), 5 sono in fase di negoziazione e i rimanenti sono in C(nn)/fase di valutazione per inserimento in C(nn). 8 farmaci rimborsati sono orfani (n=8/19, TTR 523, range 350-703, SD 101), e 7/19 sono stati riconosciuti innovativi (piena/condizionata) (n=7/19, TTR 501, range 302-703, SD 119).

CONCLUSIONI: I risultati preliminari costituiscono uno spunto di miglioramento dell'estrazione e ottimizzazione dell'analisi dei dati. Se teniamo in considerazione il dato AIFA per i non-generici, periodo 2018-2021(4), il TTR medio è 727,6 giorni, sembrerebbe che i farmaci negoziati da AIFA con procedura TN1 e che erano precedentemente inclusi in un *compassionate early access*, abbiano un TTR più breve. Per capire più nel dettaglio il fenomeno, sono in corso analisi per sottogruppo: trattamenti oncologici, ATC, tipologia di approvazione EMA, tipologie di accordi negoziali, etc. includendo anche altri strumenti di *early access* come la lista 648/96 e il Fondo 5%.

BIBLIOGRAFIA:

1. Lista AIFA Uso Compassionevole 2022. Available at: <https://www.aifa.gov.it/farmaci-a-uso-compassionevole> (Accessed September 1, 2022);
2. National Report on Drug Utilisation 2020 (OsMed). Available at: <https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1740782/Rapporto-OsMed-2021.pdf> (Accessed September 1, 2022);
3. Lista AIFA dei farmaci innovativi 2022. Available at: <https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi> (Accessed September 1, 2022);
4. AIFA 2022. Rapporto sulle tempistiche delle procedure di Prezzo e Rimborso dei farmaci nel quadriennio 2018-2021. Available at: https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1628560/2022.04.13_Rapporto_procedure_prezzi_rimborso_farmaci_quadriennio_2018-2021.pdf (Accessed September 1, 2022).