

15.00 **Tavola rotonda**
IL CONTRIBUTO NELLA GESTIONE DA
PARTE DEI PRINCIPALI SOGGETTI
COINVOLTI

Moderatori: **G. Rezza, L. Saggiocca**

Partecipano:

Nicola Braggio (Farindustria)

Maria Teresa Bressi (Cittadinanzattiva)

Anna Maria Marata (Regione Emilia Romagna)

Maria Grazia Pompa (Ministero della Salute)

Odile Tchangmena Befeuka (AIFA)

16.15 Discussione generale

16.45 Conclusioni
G. Traversa

17.00 Chiusura del Convegno

Anna Maria Marata

10 luglio 2014



AGENZIA SANITARIA E SOCIALE REGIONALE

EMILIA ROMAGNA

Alcune azioni delle regioni (1)


ASSESSORATO POLITICHE PER LA SALUTE
L'ASSESSORE

REG. DEL. TPO ANNO NUMERO
PG 120/14 230046
06 106120/14

Al Coordinatore
degli Assessori alla Sanità
Luca Coletto
Regione Veneto

OGGETTO: Imminente immissione sul mercato italiano del farmaco sofosbuvir (Sovaldi®, Gilead) per il trattamento dell'epatite C cronica.

Caro Assessore,

sottopongo alla tua attenzione il tema particolarmente rilevante dell'imminente immissione sul mercato italiano del farmaco sofosbuvir (Sovaldi®, Gilead) per il trattamento dell'epatite C cronica, in relazione alle importanti ricadute sul Servizio Sanitario Nazionale.

Premessa
Sofosbuvir è il primo di una serie di farmaci antivirali che nei prossimi mesi arriveranno sul mercato, con indicazione nel trattamento della epatite cronica C in associazione a interferone e ribavirina.
L'indicazione prevista per il farmaco è generica e non tiene conto del livello di danno istologico epatico, un elemento clinicamente cruciale per la stadiazione della gravità della malattia.
L'epatite C cronica ha normalmente una evoluzione asintomatica o paucisintomatica che porta a un progressivo peggioramento della fibrosi epatica verso la cirrosi, che costituisce un significativo fattore di rischio per lo sviluppo di epatocarcinoma.
Poiché la prevalenza nazionale media stimata della epatite C cronica è del 2,8-3%, i pazienti potenzialmente affetti in Emilia Romagna sono circa 130.000. Secondo le stime correnti il numero di persone affette sul territorio nazionale varia da 1.200.000 a 2.000.000 (la prevalenza segue un gradiente geografico, con aumento da nord a sud). Poiché la

Viale Aldo Moro 21 tel 051 527 7150-7151 sanita@regione.emilia-romagna.it
40127 Bologna fax 051 527 7050 www.regione.emilia-romagna.it



malattia è asintomatica fino alle fasi avanzate, è impossibile stimarne la reale prevalenza, a meno di eseguire uno screening di popolazione.

Situazione attuale

Abbiamo attualmente disponibili per i clinici 2 antivirali: bocoprevir e telaprevir Costo: 20.000 – 26.000 euro a paziente rispetto ai quali la RER ha fatto una linea guida terapeutica che definisce chi trattare in base al quadro di fibrosi e quindi alla gravità della malattia rispetto alla sua evoluzione. Questi antivirali sono da somministrare in associazione ad interferone e ribavirina.

Nel gennaio 2014 è stato approvato da EMA un nuovo antivirale, il sofosbuvir (il prezzo in Germania per un trattamento è 49.000 €, in Svezia è di 39.000 €, negli Stati Uniti circa 60.000 €), che presenta dati di efficacia molto importanti ed una migliore tollerabilità rispetto ai precedenti. Sono in studio anche schemi terapeutici senza interferone

AIFA ne sta negoziando la rimborsabilità in questi giorni, (è stato all'ordine del giorno di CTS e CPR) e ci si attende una decisione a breve.

Alcune considerazioni

AIFA sembra intenzionata ad attribuire al farmaco la innovatività terapeutica. Questo significa che ogni regione dovrà renderlo immediatamente disponibile;

In Germania lo Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG), sulla base delle evidenze scientifiche disponibili, ha dichiarato che non esistono i presupposti per attribuire al sofosbuvir un generico valore terapeutico aggiunto rispetto alle terapie disponibili (interferone+ ribavirina), soprattutto in relazione ai dati disponibili per i diversi genotipi virali (carenti per quanto riguarda pazienti con infezione da genotipo 1, 3, 5, 6).

Le recenti dichiarazioni del Ministro della salute lasciano supporre che il nostro sistema sanitario garantirà una disponibilità illimitata del farmaco ai malati.

Il finanziamento.

Sarebbe importante capire come si pensa di finanziare la spesa per questo farmaco (dati riservati parlano di una previsione nazionale di spesa di 1 miliardo e 300 milioni all'anno).

Non è poi chiaro se il farmaco sarà messo in fascia A o H.

Se non si definisce un fondo aggiuntivo ad hoc per questi trattamenti, la spesa annuale potrebbe essere tutta parte dello sfondamento e quindi a carico dell'industria attraverso il sistema payback se il farmaco viene inserito in classe A o per il 50% a carico delle regioni se inserito in classe H.

Prospettive a breve termine

lo scenario che si presenta è quello di avere in commercio nei prossimi anni (1-2) nuovi farmaci antivirali sempre più efficaci e sempre meglio tollerabili, con la possibilità di schemi terapeutici semplificati (senza interferone) che garantirebbero una maggiore tollerabilità. Le conseguenze di ciò sono sia in termini economici (la concorrenza potrebbe produrre un sostanziale abbassamento dei prezzi), sia clinici (sta emergendo che chi si sottopone a un trattamento con sofosbuvir potrebbe non rispondere agli altri antivirali della stessa classe in arrivo a breve). Questo ultimo aspetto in particolare dovrebbe essere oggetto di adeguata informazione al paziente mediante un foglio informativo con consenso firmato, unico sul territorio nazionale. Questo aspetto che tocca in modo importante gli interessi dei cittadini richiede tempo per gli opportuni approfondimenti.

Alcune azioni delle regioni (2)



C'è invece un forte interesse dell'industria ad imporre l'uso dei farmaci attualmente disponibili perché è forte il rischio per loro di "bruciare" rapidamente questi farmaci.

L'organizzazione

Appaiono all'orizzonte seri problemi organizzativi legati alla distribuzione e alla somministrazione del farmaco. In assenza di un registro nazionale informatizzato efficiente si potrebbero verificare casi di migrazione da una regione all'altra e pazienti che richiedono il farmaco in regioni diverse. Dato l'elevatissimo costo del farmaco e la formulazione in compresse, ciò potrebbe anche comportare la nascita di un mercato illegale sommerso. Si creeranno poi problemi organizzativi legati a chi potrà selezionare i pazienti da trattare (centri epatologici qualificati), come si potrà programmare un corretto monitoraggio dei pazienti in relazione alla risposta terapeutica e al verificarsi di eventi avversi che rappresentano comunque ancora un problema clinico importante, soprattutto in relazione al grande numero di trattamenti prevedibile.

Proposta operativa

È quindi molto forte l'esigenza di definire una strategia condivisa fra le regioni ed AIFA rispetto alla gestione di questo grosso problema attraverso la organizzazione di un tavolo di confronto in cui vengano portati tutti gli elementi attualmente sul tappeto e per definire in modo condiviso i criteri di scelta dei pazienti da trattare e le priorità di trattamento. Considerata la lenta evoluzione della patologia e la prospettiva di avere a breve termine farmaci molto efficaci/più efficaci di quelli attuali e meno tossici, quindi più gestibili anche a livello organizzativo, potrebbe essere ragionevole cercare una strategia che cerchi di identificare i pazienti con un grado più avanzato di malattia che hanno bisogno di ricorrere ai nuovi trattamenti in tempi brevi per riservare ad un prossimo futuro la gestione dei pazienti con i quadri clinico/istologici meno avanzati e non in fase evolutiva per poter sfruttare al massimo i nuovi farmaci che arriveranno creando anche una concorrenza favorevole alla riduzione significativa dei prezzi.

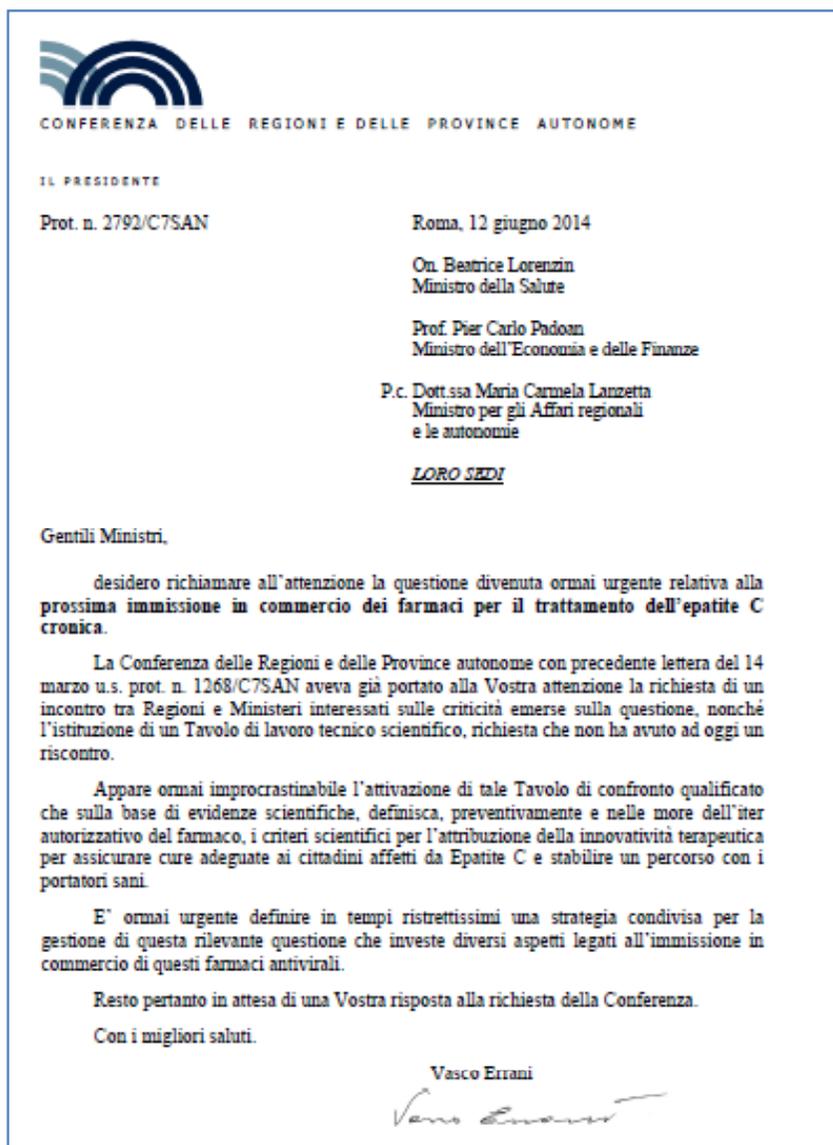
Ti chiedo pertanto di inserire all'ordine del giorno della prossima Commissione Salute l'esame delle questioni che ti ho evidenziato, chiedendoti altresì di far partecipare all'incontro nostri tecnici regionali che si stanno occupando del tema.

Ringraziando per la collaborazione ti invio i più cordiali saluti.



Carlo Lorenzi

La richiesta ai Ministri



Appare ormai **improcrastinabile** l'attivazione di tale **Tavolo di confronto** qualificato che sulla base di evidenze scientifiche, definisca, preventivamente e nelle more dell'iter autorizzativo del farmaco, i **criteri scientifici** per l'attribuzione della innovatività terapeutica **per assicurare cure adeguate** ai cittadini affetti da Epatite C e stabilire un percorso con i portatori sani. E' ormai urgente **definire** in tempi ristrettissimi **una strategia condivisa** per la gestione di questa rilevante questione che investe diversi aspetti legati all'immissione in commercio di questi farmaci antivirali.

Cosa stiamo facendo in Emilia Romagna obiettivo: chi trattare entro il 2014

Censimento dei pazienti in stadio F4 Metavir seguiti dai Centri della Regione E-R

U.O.:.....Azienda sanitaria.....

Prof./Dr.....

Genotipo	Tipologia pazienti		candidabili a SOF + RBV	candidabili a SOF + IFN+ RBV	candidabili a SOF + SIM /DACLA/ledipasvir compassionevole	Numero pz.	
1	<u>Trattati con BOCE/TELA</u>	Non-responder			✓		
	<u>Non trattati con BOCE/TELA</u>	Scompensati naive			✓		
		Compensati che non hanno tollerato BOCE/TELA		✓ (12 sett.)			
		Scompensati non-responder a IFN-RBV				✓	
		Compensati non-responder a IFN-RBV (non prioritari)				✓	
Totale:							
2, 3, 4, 5, 6	Naive		✓*				
	Scompensati non-responder IFN-RBV		✓*				
	Compensati non-responder IFN-RBV (non prioritari)		✓*				
	Scompensati che non hanno tollerato IFN-RBV		✓*				
	Compensati che non hanno tollerato IFN-RBV (non prioritari)		✓*				
Totale:							
Tutti i genotipi	Scompensati in lista per trapianto		✓				
	Trapiantati con recidiva		✓				
	Crioglobulinemia sintomatica		✓				
	Linfoma		✓				
Totale:							

*la durata della terapia varia a seconda del genotipo: se genotipo 2 è di 12 settimane; per tutti gli altri genotipi (3-6) è di 24 settimane