

Farmacoeconomia e *Costo Sociale*

LUCIANO CAPRINO

Prof. Emerito di Farmacologia
Università La Sapienza - Roma

Presidente S.I.F.E.I.T

(SOCIETÀ ITALIANA per STUDI di ECONOMIA ed ETICA
sul FARMACO e sugli INTERVENTI TERAPEUTICI)

L. Caprino

TUTTI GLI STATI DEVONO OGGI AFFRONTARE il PROBLEMA

SPESE DELLA SALUTE ➔ RISORSE DISPONIBILI

Questo nasce dalla sommatoria di diversi fattori:

- **invecchiamento progressivo** della popolazione con conseguente aumento della morbidità
- immissione nel mercato di **farmaci innovativi, biotecnologici** molto **costosi**
- **Inoltre per quanto riguarda la spesa farmaceutica:**
Comportamento dell'Industria Farmaceutica, del medico e del paziente

**Il mondo economico è regolato dalla
Scarsità delle Risorse**

**Le risorse disponibili -anche in campo
sanitario- NON SONO INFINITE**



Importanza delle analisi farmaco-economiche

L. Caprino

**I compiti dell'esperto
in Farmacoeconomia sono:**

**indicare al "*Decision Maker*" una
valuta-zione dell'impatto
economico e della validità
prescrittiva di un farmaco in
rapporto alla patologia**

**contribuire alla classificazione dei
farmaci nelle varie fasce di
rimborsabilità**

L. Caprino

Per i farmaci Biotecnologici si valuta dal punto di vista Farmacoeconomico

- 📄 Le probabilità di successo
- 📄 I risultati ottenibili
- 📄 I costi dei risultati ottenuti → Pay back;
Tetto di spesa
- 📄 le ripercussioni sulla spesa sanitaria

L. Caprino

Rispetto ai Farmaci *non Biotecnologici* uno studio Farmacoeconomico deve valutare :

•Outcome/ risultati terapeutici:

- Prolungamento della vita e incremento della qualità di vita
 - Correzione di alcuni parametri patologici
 - Riduzione delle complicanze indotte dalla malattia



Costi d'acquisto e d'impiego di un farmaco

•Costo degli effetti avversi

•Costo della *non-compliance*

L. Caprino

**Tutte le analisi
Farmacoeconomiche sono
essenzialmente costituite
da un rapporto: costi/outcome**

RILEVAZIONE degli outcomes economici in
pratica clinica (effectiveness)

SIMULAZIONE degli outcomes economici
modello su dati di RCT (efficacy)

L. Caprino

Ricerca
clinica



Efficacy

Outcomes
research



Effectiveness

Farmaco
economia



Costo/effectiveness

L. Caprino

Misure dell'efficacy /effectiveness

Esiti primari (Hard endpoints)

prolungamento della vita

miglioramento della qualità di vita

**prevenzione o riduzione dell'incidenza
di un'esito patologico**

L. Caprino

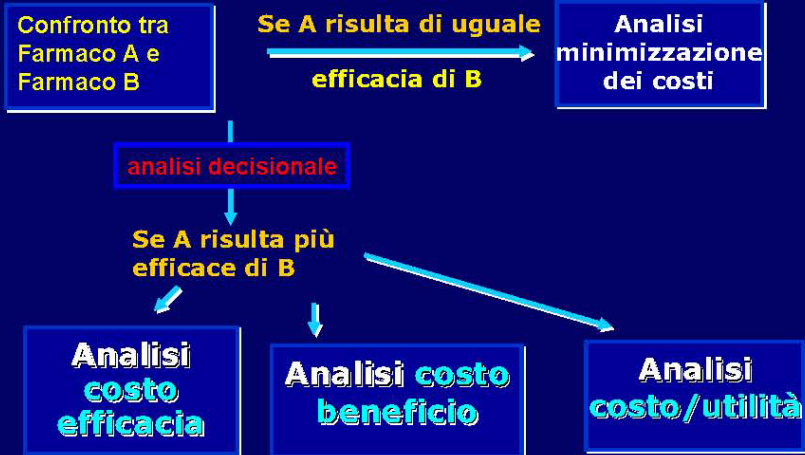
Misure dell'efficacy/effectiveness

Esiti intermedi (Surrogate endpoints)

➡ **normalizzazione di un parametro indicatore del processo fisiopatologico di una malattia**

L. Caprino

Modelli di analisi farmacoeconomica



L. Caprino

Analisi costo-efficacia

Misura i costi di un trattamento farmacologico in rapporto con l'efficacia terapeutica, espressa in unità cliniche / fisiche (OUTCOMES)

Viene misurato il costo per raggiungere un obiettivo, quale:

- anni di vita salvati
- evento evitato, etc..

L. Caprino

Analisi costo utilità

**L'analisi costo-utilità incorpora
negli esiti clinici derivanti
da un trattamento Farmacologico
una stima della qualità della vita**

Utilità = quantità × qualità

Quantità= anni di vita guadagnati

L. Caprino

Qualità di vita

- **Rappresenta lo stato di benessere
o malessere di un paziente**
- **La sua misura è multi-dimensionale
ed è composta da fattori: fisici,
psicologici, funzionali e sociali**

L. Caprino

L'indicatore più utilizzato nell'analisi
costo-utilità
è il cosiddetto QALY
(Quality Adjusted Life Years)

Il QALY corrisponde ad
un anno di vita guadagnato, moltiplicato per
un coefficiente compreso
tra 0 ed 1 indicante il livello di qualità di vita

L. Caprino

La FARMACOECONOMIA come strumento per il SSN necessita di:

ESPERTI NEL SETTORE per:

- Impostazione, svolgimento e stesura di analisi di Farmacoeconomia
- Verifiche (su richiesta del *Decision Maker*) delle analisi condotte

BANCHE DATI SPECIFICHE PER STUDI FARMACOECONOMICI:

- Outcomes
- Farmacoutilizzazione
- Compliance
- Costi / rimborsabilità

L. Caprino



**È necessaria per i nuovi farmaci
(biotecnologici e non), una
valutazione dell'innovatività e
una continua valutazione dei
risultati terapeutici raggiunti in
rapporto a quelli ipotizzabili**

L. Caprino

Algoritmo di innovatività

*Developing a paradigm of drug innovation: an evaluation algorithm
(Drug Discovery Today 2006; 11, 21-22 : 999-1006)*

Permette di quotare

- ➡ *sulla base dei dati presenti nel dossier di registrazione*
- ➡ *utilizzando parametri numerici,*
il valore di innovatività e di confermarlo o modificarlo dopo l'introduzione in terapia.

L. Caprino

ELSEVIER

Developing a paradigm of drug innovation: an evaluation algorithm

Luciano Caprino and Pierluigi Russo

Department of Human Physiology and Pharmacology, University La Sapienza, Rome, 00185, Italy

Assessment of drug innovation is a burning issue because it involves so many different perspectives, mainly those of patients, decision- and policy-makers, regulatory authorities and pharmaceutical companies. Moreover, the innovative value of a new medicine is usually an intrinsic property of the compound, but it also depends on the specific context in which the medicine is introduced and the availability of other medicines for treating the same clinical condition. Thus, a model designed to assess drug innovation should be able to capture the intrinsic properties of a compound (which usually emerge during R&D) and/or modification of its innovative value with time. Here we describe the innovation assessment algorithm (IAA), a simulation model for assessing drug innovation. IAA provides a score of drug innovation by assessing information generated during both the pre-marketing and the post-

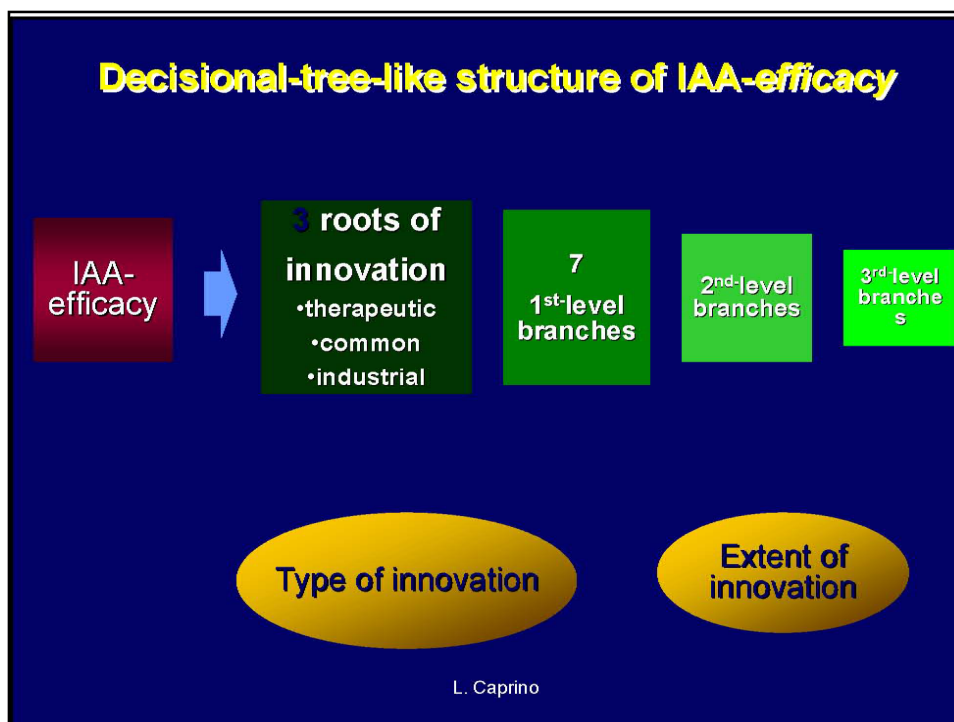
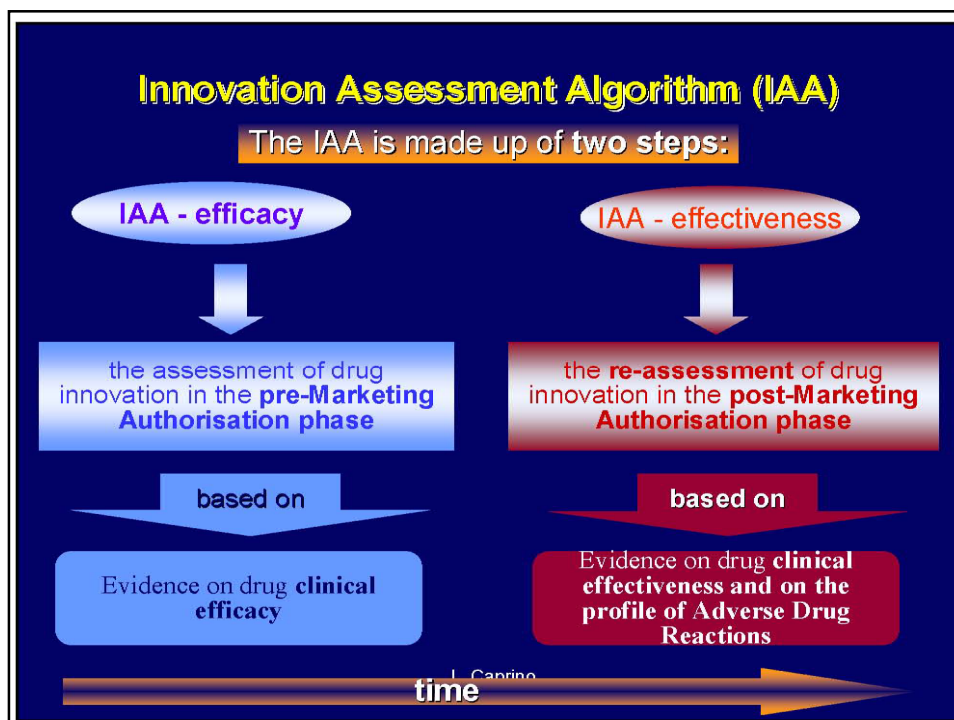
L. Caprino

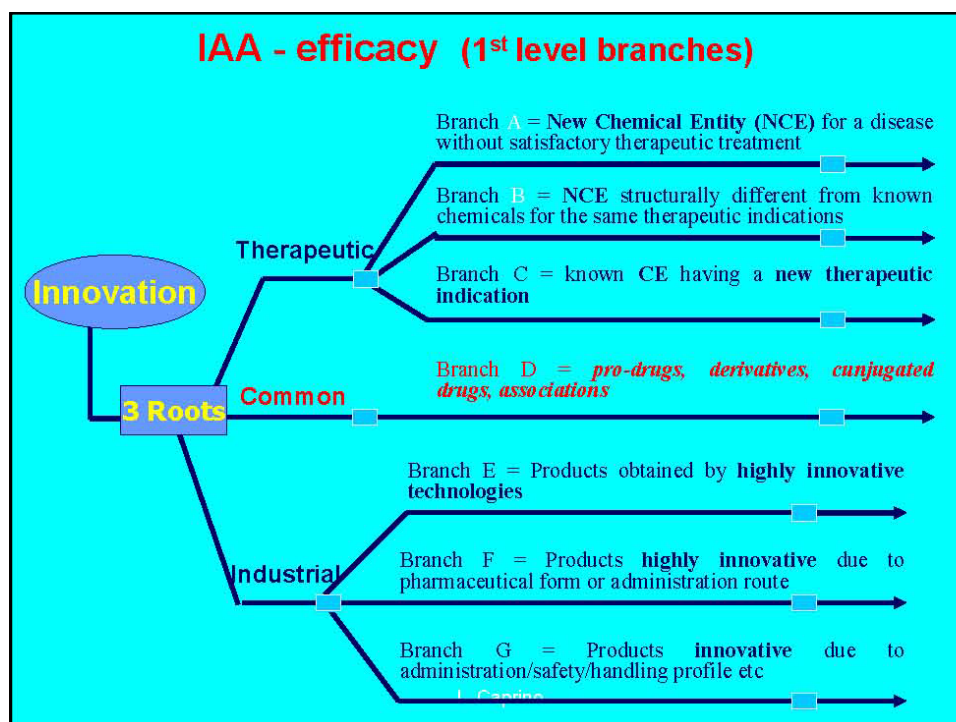
The Basic concepts:

- The model integrates **different properties** of drug innovativeness
- The model provides a **numeric score** evaluating drug innovativeness
- The drug score is not definitive and can be **reassessed over time**



Innovation Assessment Algorithm (IAA)





**Lo Stato può sostenere la spesa solo in caso di
successo terapeutico?**

Nuovi farmaci: **Anticorpi monoclonali**
→ 1.000-3.000 euro a fiala



Risultati terapeutici prevedibili positivi:

per l'industria **50%**

per la comunità scientifica **30-35%**

Tetto della spesa farmaceutica/ pay back

Oggi risulta importante per gli studi di Farmacoeconomia il ***COST of ILLNESS (COI)***

- ➔ **Analisi peso economico sopportato dalla collettività per una determinata malattia**
- ➔ **Stima dei risparmi conseguenti alla scomparsa della malattia**

L. Caprino

Per i ***COST of ILLNESS***



identificare:

- **l'impatto economico di una malattia sulla spesa sanitaria / spesa farmaceutica**
- **i costi complessivi** (diretti, indiretti)
- **Totale risorse che sarebbero disponibili per impieghi alternativi in assenza della patologia**

L. Caprino

Rilevare possibili risparmi
da guarigione o controllo dell'evoluzione di una
malattia

→ **Risparmio di Risorse per il SSN**

→ **Risparmio Risorse di attività assi-
stenziali *non* a carico del SSN**

→ **Risparmi di Risorse del malato / familiari**



RIDUZIONE *Cost of Illness*

- **Industria farmaceutica:** considera il farmaco da una parte un *prodotto etico*, dall'altra un bene da vendere come un qualsiasi altro *bene di consumo*
- **Medico:** considera il farmaco uno *strumento terapeutico*, un bene *che non paga di tasca sua* e del cui *abuso o cattivo uso* *non risponde*
- **Paziente:** aspira ad avere tutti i farmaci, gratuitamente, ma spesso (bassa *compliance*) *li spreca*
- **Società:** considera il farmaco un contributo sociale alla salute, ma il suo costo è un *peso*

I metodi di valutazione Farmacoeconomica non sono **mai o quasi mai d'interesse** per **l'industria farmaceutica**, ma **lo sono** per **le strutture sociali**

Molti tendono a considerare le analisi farmacoeconomiche **mezzi promozionali e NON tecniche** di **ricerca scientifica**

L. Caprino

La maggior parte delle ricerche di Farmacoeconomia sono realizzate (direttamente o indirettamente) dall'industria farmaceutica

Le industrie farmaceutiche sponsorizzano ricerche farmacoeconomiche per:

- **Sostenere la domanda di registrazione**
- **Motivare le richieste di prezzo con dimostrazioni di convenienza.**
- **Promuovere l'acquisto (da parte di enti pubblici e privati) per convenienza economica**
- **Stimolare la prescrizione da parte della classe medica**

L. Caprino

Ricerche di farmacoeconomia all'estero
➔ **situazioni diverse da quelle italiane**



**Il trasferimento dei risultati di lavori
attuati all'estero non può essere
automatico.**

L. Caprino

IL MERCATO delle MALATTIE....

DISEASE MONGERING is the **selling of sickness** that
widens the boundaries of illness and **grows the markets**
for those who sell and deliver treatments....

... **vendita di malattie** attraverso l'allargamento dei delle patologie



cosicché

... **↑ il numero delle malattie** e si **alimenta il mercato** dei farmaci

Moynihan R, Henry D *The Fight against Disease Mongering: Generating Knowledge for Action*. PLoS Med 2006; 3(4): e191 L. Caprino

**Si devono razionalizzare gli interventi
farmaco-terapeutici e si deve stabilire una
scala di priorità basata sulla stima di:**

- beneficio terapeutico ottenibile,
- potenziali danni (*ADR*),
- costo e importanza del risultato
(*ad esempio vita salvata*)

Avendo presente le esigenze di carattere etico

L. Caprino

Comportamento dell'industria farmaceutica

L'industria cattura l'attenzione del medico :

- rafforzando la "fede" nel progresso scientifico (di cui fa partecipe il medico stesso)
- sottolineando la praticità di impiego del farmaco
- evidenziando la figura di padre che il medico svolge presso il paziente
- minimizzando i pericoli di ADR (*Adverse Drug Reactions*)

L. Caprino

**Si devono razionalizzare gli interventi
farmaco-terapeutici e si deve stabilire una
scala di priorità basata sulla stima di:**

- beneficio terapeutico ottenibile
- potenziali danni (*ADR*),
- costo e importanza del risultato
(*ad esempio vita salvata*)

Avendo presente le esigenze di carattere etico

L. Caprino

Comportamento dell'industria farmaceutica

L'industria cattura l'attenzione del medico :

- rafforzando la "fede" nel progresso scientifico (di cui fa partecipe il medico stesso)
- sottolineando la praticità di impiego del farmaco
- evidenziando la figura di padre che il medico svolge presso il paziente
- minimizzando i pericoli di ADR (Adverse Drug Reactions)

L. Caprino

Comportamenti del medico condizionanti la spesa farmaceutica

- ➡ Scelta basata sulle “sollecitazioni dell’industria”
atto di seduzione
- ➡ Scelta basata sull’esperienza personale: sembra che
funzioni o dovrebbe funzionare: *atto di induzione*
- ➡ Scelta basata sulle “raccomandazioni degli esperti”
atto di abdicazione

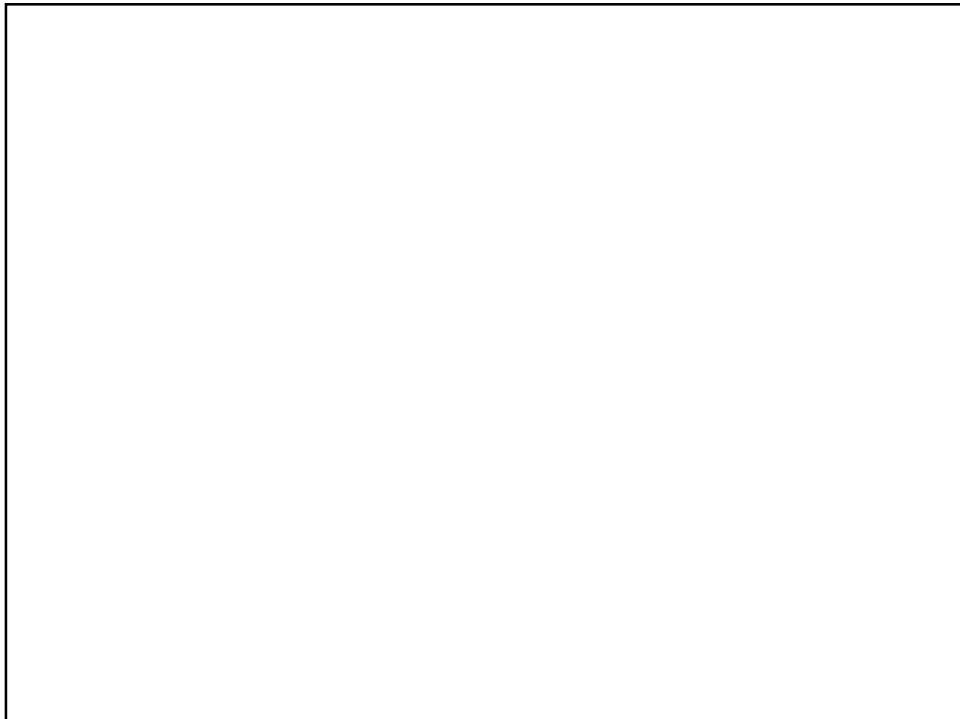
La scelta dovrebbe avvenire attraverso una
analisi critica dei dati di ricerche cliniche
atto di deduzione

L. Caprino

**È indispensabile che il medico acquisisca elementi
di Farmacoeconomia e compia un percorso
formativo critico su:**

- ❖ attività prescrittiva
- ❖ **ottimizzazione** delle risorse
- ❖ Partecipazione ed adesione alla stesura di *linee guida*
terapeutiche
- ❖ **Riduzione ed eliminazione dell'uso** *off-label*
- ❖ **Valutazione della** *compliance*

L. Caprino



SM. Grundy scrive:

(Circulation. 2005; 111:3016)

I medici dovrebbero avere la responsabilità di conoscere e comprendere il **profilo di sicurezza** e il **rapporto costo/efficacia** di ciascun medicinale affinché la **scelta** del farmaco e della **dose** possano bilanciare appropriatamente i **benefici** ed i **rischi**

Comportamento del paziente

il 50% NON segue la terapia

- I pazienti più informati in genere hanno una minore *compliance*
- Le donne **mostrano una compliance** minore degli uomini
- **Ampia variazione di compliance** a seconda della patologia
 - patologie meno sintomatiche (anche estremamente gravi) hanno *compliance* più bassa
 - sclerosi multipla - alta *compliance*
 - ipertensione - media *compliance*
 - depressione - bassa *compliance*

Una adeguata *compliance* determina sempre un **miglioramento dello stato di salute** ed una ↓ **della spesa sanitaria**

Studio condotto negli USA su 13000 pazienti)

L. Caprino

In sintesi gli studi di Farmacoeconomia si propongono di

Aiutare le Autorità Sanitarie a **selezionare** farmaci correlando il **beneficio** al **costo**

valutare il costo della malattia (**risparmio di risorse sanitarie**) in rapporto al **miglioramento** dello stato di salute

tenendo presente che il farmaco non è solo un costo, ma anche un **investimento di carattere socio-economico**

L. Caprino

In Italia, l'attività di ricerca su temi di farmacoeconomia è ancora limitata

Motivi di *Policy*: scarso peso delle ricerche economiche nel determinare le decisioni

Motivi *Srutturali*: carenza di centri di ricerca specifici

Motivi *Culturali*: scarsa sensibilità ai problemi della farmacoeconomia

L. Caprino

Inoltre sono necessari:

PER L'EFFETTUAZIONE DI ANALISI FARMACOECONOMICHE

Good Clinical Practice (GCP)



Good Pharmacoeconomic Practice (GFP)

MOTIVAZION : È possibile “indirizzare” uno studio farmacoeconomico in base a scelte/selezioni più o meno attente su:

- *Outcomes*
- *compliance*
- QALYs e criteri di misurazione
- *tipi di costi* da considerare
- *altro*

L. Caprino

PROPOSTA

Organizzare una *Tavola Rotonda* (AIFA -
Industrie Farmaceutiche) per stabilire:



Linee guida -per Studi di Farmacoeconomia-
da seguire in Italia a fini registrativi

L. Caprino