

FARMACOECONOMIA e FARMACI INNOVATIVI

L. CAPRINO

Farmaci Innovativi : Qualità, Efficacia, Appropriatezza

Roma – 18 Dicembre 2009

**E' importante oggi correlare
l'innovatività di un farmaco al
valore Farmaco-economico per :**

selezionare i farmaci correlando beneficio al costo

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

LE REGIONI DEVONO OGGI AFFRONTARE I COSTI per :

•immissione nei prontuari di **farmaci**
altamente innovativi ad elevata tecnologia e
di prezzo molto elevato

Gli Studi di FARMACOECONOMIA sono volti

Ad indicare al "*Decision Maker*" la priorità di un trattamento farmacologico

A contribuire alla scelta dei farmaci per i Prontuari terapeutici

La FARMACOECONOMIA si propone di valutare un trattamento farmaco-terapeutico attraverso:

- Outcome 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*

Costi Diretti :

risorse direttamente impiegate nel trattamento della malattia

- ➔ **Farmaco e sua somministrazione**
(trattamento farmacoterapeutico)
- ➔ **Degenza ospedaliera**
- ➔ **Esami di laboratorio e strumentali**
- ➔ **Trattamento di eventuali effetti avversi**

Tipi di Outcome

- **PRIMARI**

(Hard endpoints)

- prolungamento della vita
- miglioramento della qualità di vita
- prevenzione o riduzione dell'incidenza di uno specifico esito patologico

- **SECONDARI**

(Surrogate endpoints)

- normalizzazione di un parametro coinvolto nel processo fisiopatologico di una malattia

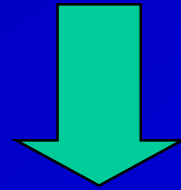
- Es.: ↓ Px Arteriosa
 ↓ Aggr. Piastrinica

Qualità di vita (QoL)

→ 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'indicatore più utilizzato per misurare la qualità di vita è il cosiddetto QALY (Quality Adjusted Life Years)



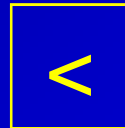
Corrisponde a un anno di vita guadagnato, **moltiplicato per un** coefficiente compreso tra 0 ed 1 **indicante il** livello di qualità di vita

VALUTAZIONE

Costo Terapia Farm. / QALY

Costo 1 – Costo 2

QALY 1 – QALY 2 *



Media ↑ Anni di vita popolazione

Un trattamento farmacoterapeutico (1) rispetto ad un altro (2) è economicamente valido se il rapporto tra la variazione dei costi / la variazione dei QALY è inferiore alla media dell'↑ degli anni di vita nella popolazione generale.

* QALY 1 > QALY 2
...QALY 1 ≠ QALY 2

Fonte: F. R. Lichtenberg (modificato)

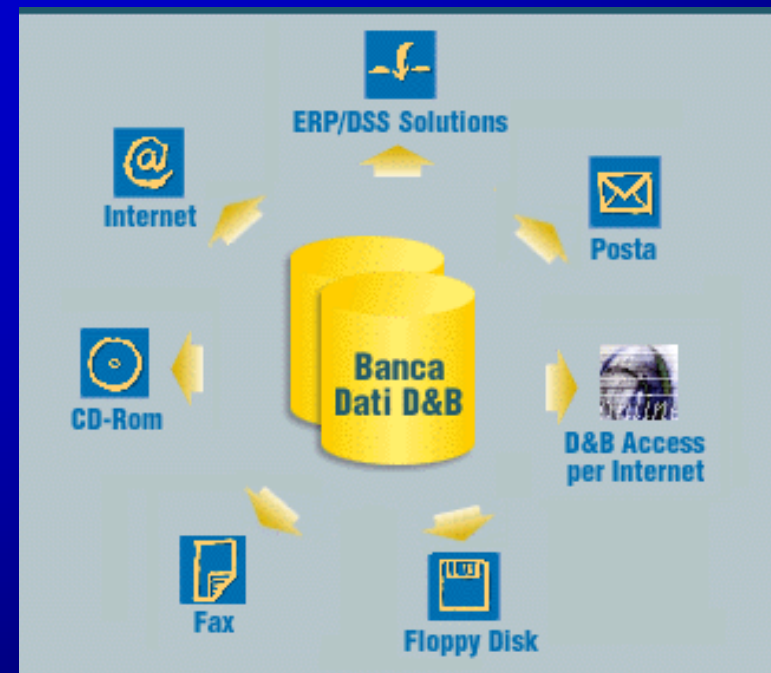
La FARMACOECONOMIA come strumento per il SS necessita di:

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'attività di ricerca su temi di farmacoeconomia è, in Italia, limitata

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

Motivi Strutturali: carenza di centri di ricerca specifici

Motivi Culturali: scarsa sensibilità ai problemi della farmacoeconomia

OGGI OCCORRE VALUTARE I COSTI per :

•immissione nei prontuari di **farmaci
altamente innovativi** ad elevata tecnologia e
di prezzo molto elevato

E' necessario correlare l'innovatività di un Farmaco al valore farmacoeconomico

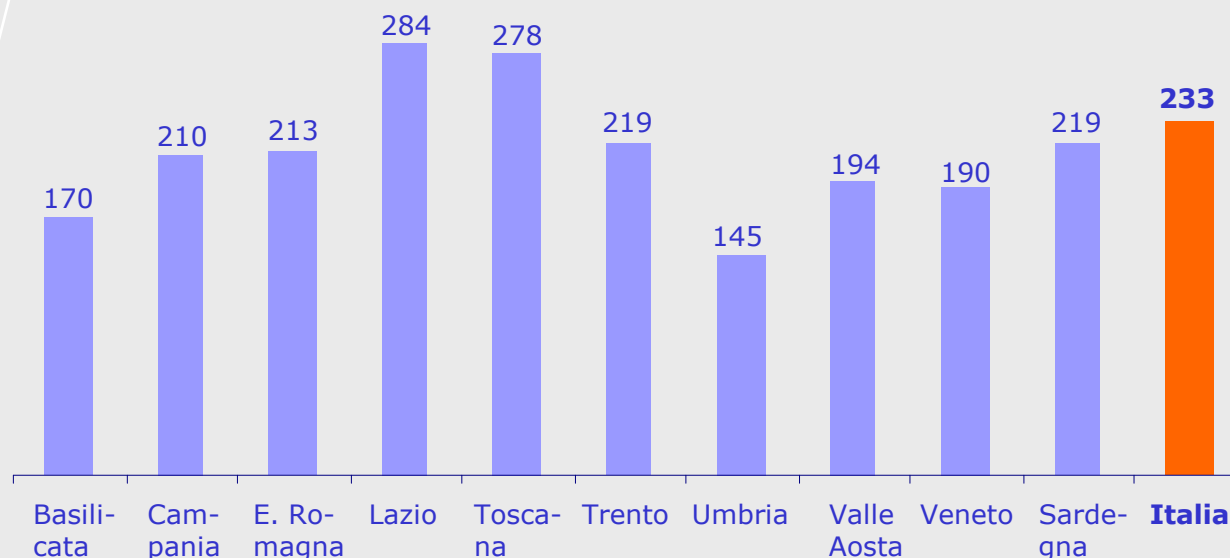
- Identificare l'innovatività (*valore numerico*) di un farmaco
- Utilizzare questo valore per correlarlo al valore farmacoeconomico.
- Definire l'acquisto; ovvero l'immissione nei prontuari Farmaceutici

L'Innovazione e la sua applicazione per la terapia: una strada "regionale" ancora in salita

*

Dopo l'autorizzazione da parte dell'AIFA, anche le commissioni regionali devono autorizzare il farmaco per procedere all'inclusione nei prontuari regionali

Tempi medi di inserimento dei farmaci nel primo prontuario successivo al PFN (numero di giorni)*



(*): momento a partire dal quale il farmaco può essere disponibile in regione

Fonte: Cerm, 2009



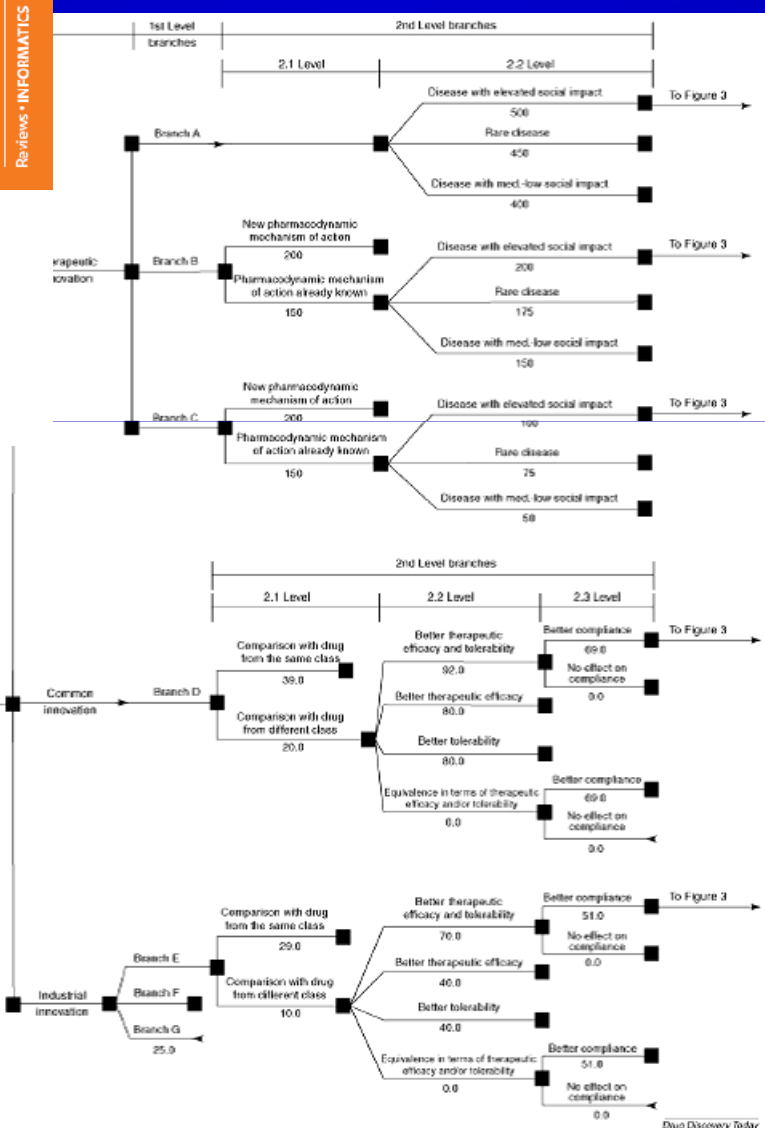
Developing a paradigm of drug innovation: an evaluation algorithm

Luciano Caprino and Pierluigi Russo

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

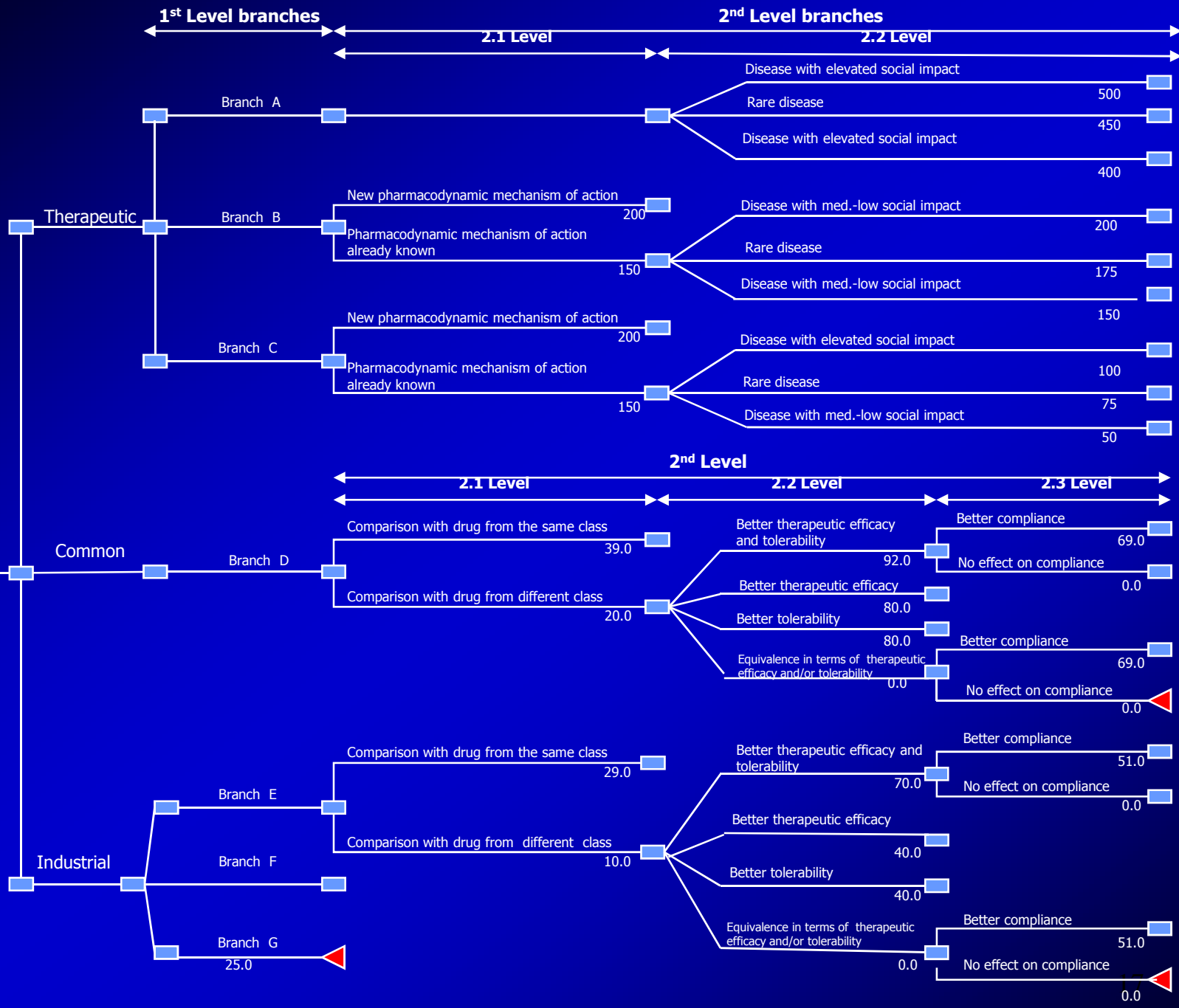
Assessment of drug innovation is a burning issue because it involves so many different perspectives, mainly those of patients, decision- and policy-makers, regulatory authorities and pharmaceutical companies. Moreover, the innovative value of a new medicine is usually an intrinsic property of the compound, 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 Discovery Today
Volume 11; n° 21-22; Nov 2006



Reviews • INFORMATICS

Types of Drug Innovativeness



IAA Innovation

A combination of several properties

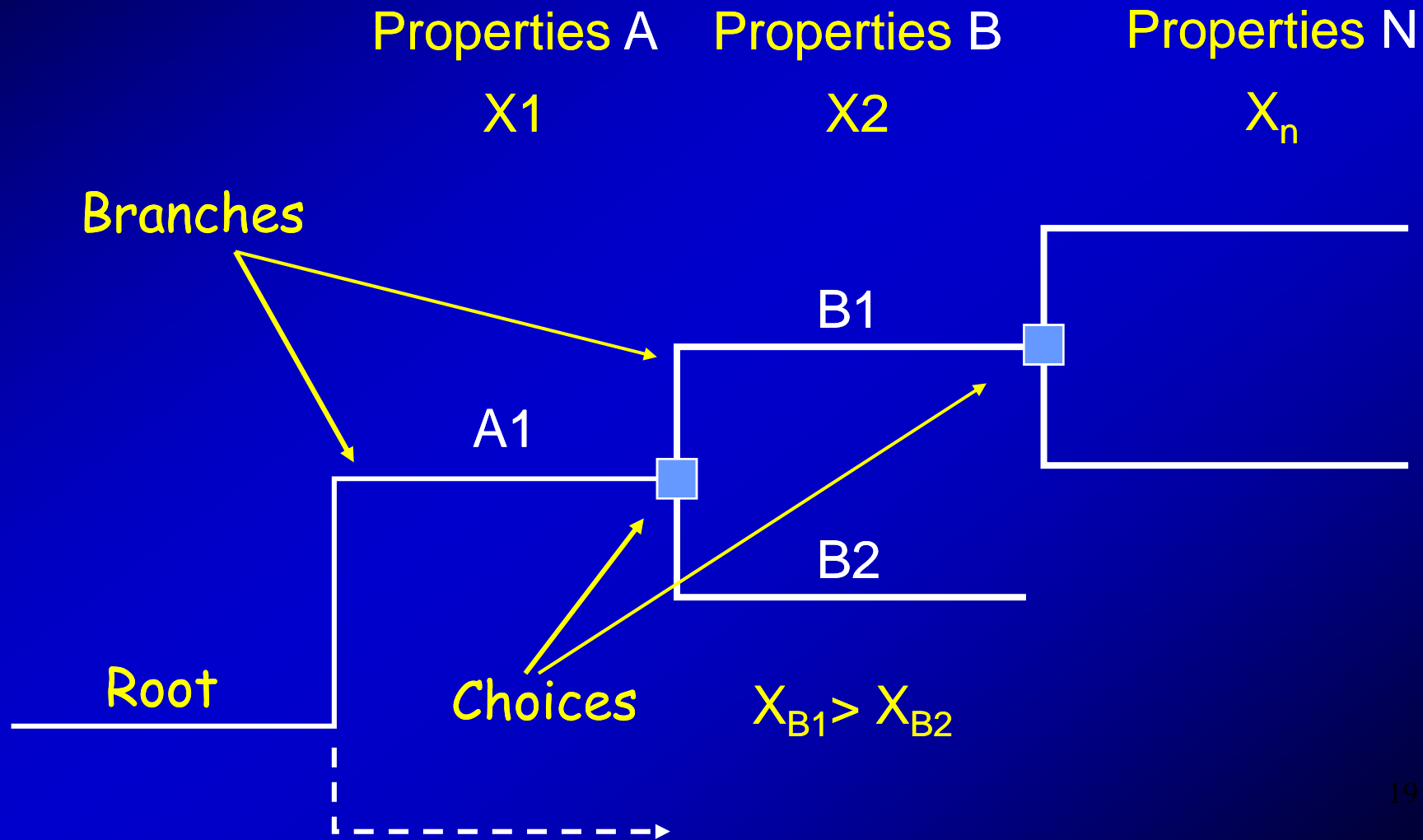
Different degrees of Innovation (*Roots*)

Therapeutic

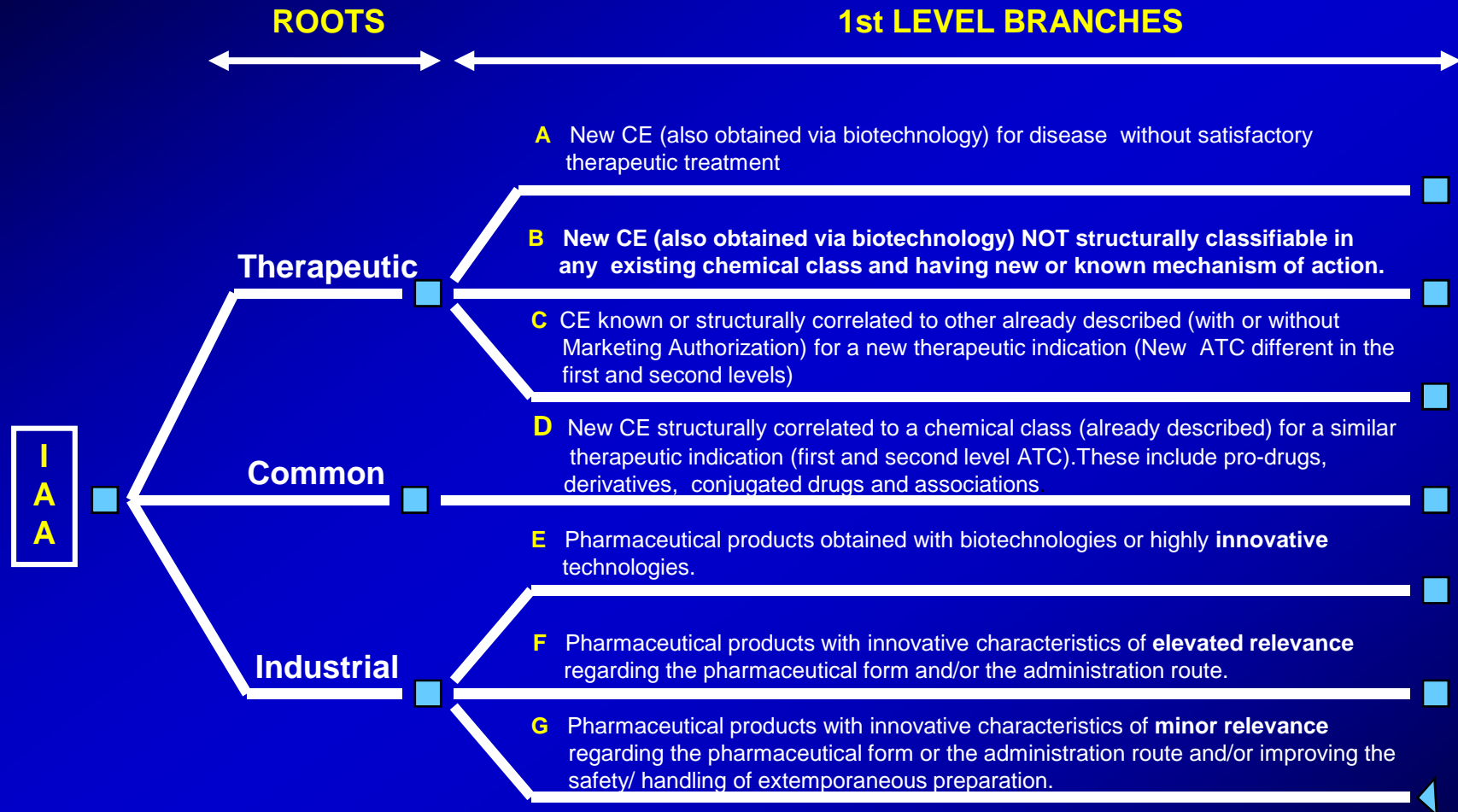
Common

Industrial

Each section is based on a decision tree-like structure

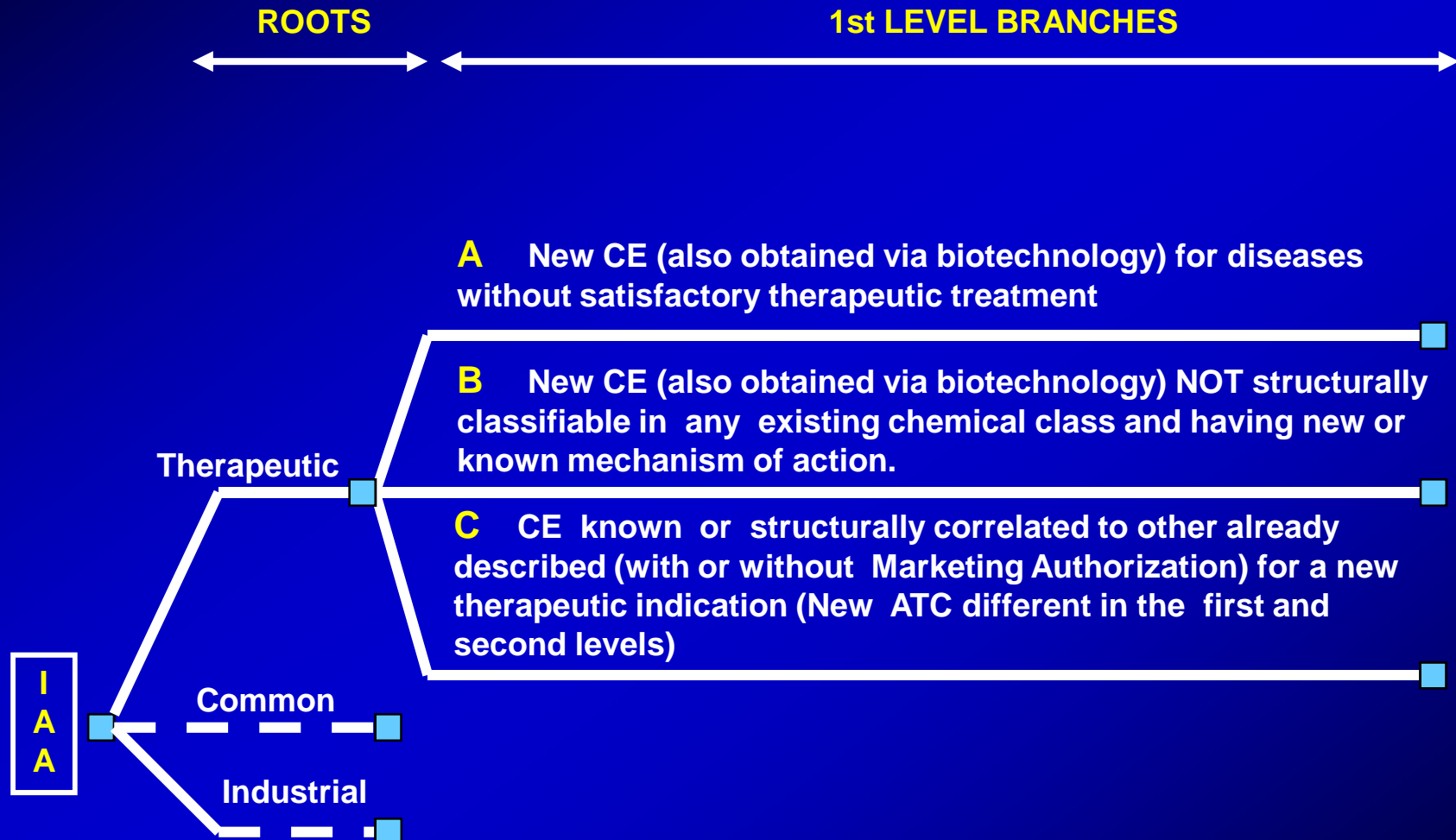


IAA-efficacy 1st level branches detail



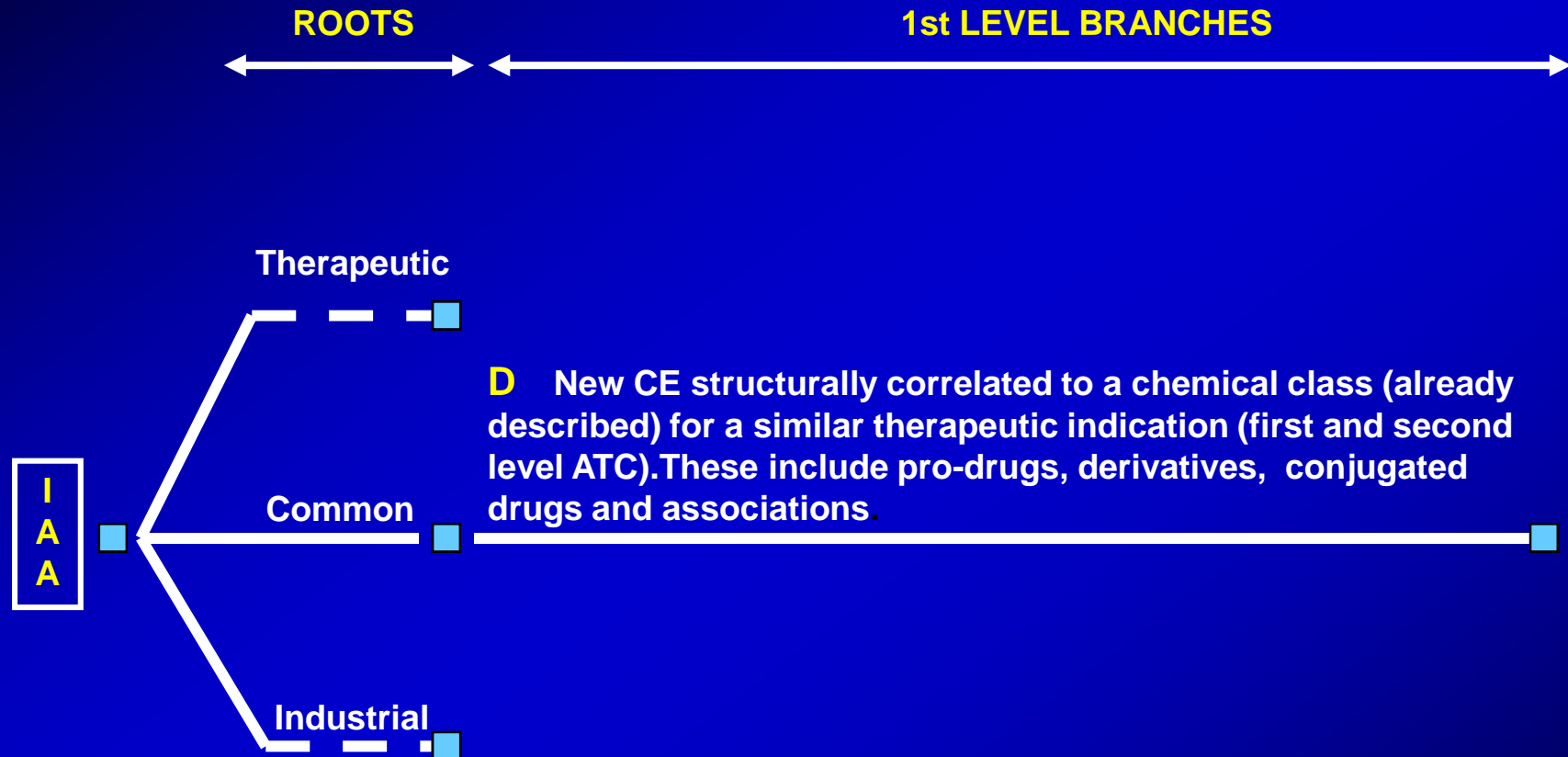
LEGENDA : CE = Chemical Entity; ATC = Anatomic Therapeutic Chemical

IAA-efficacy 1st level branches detail

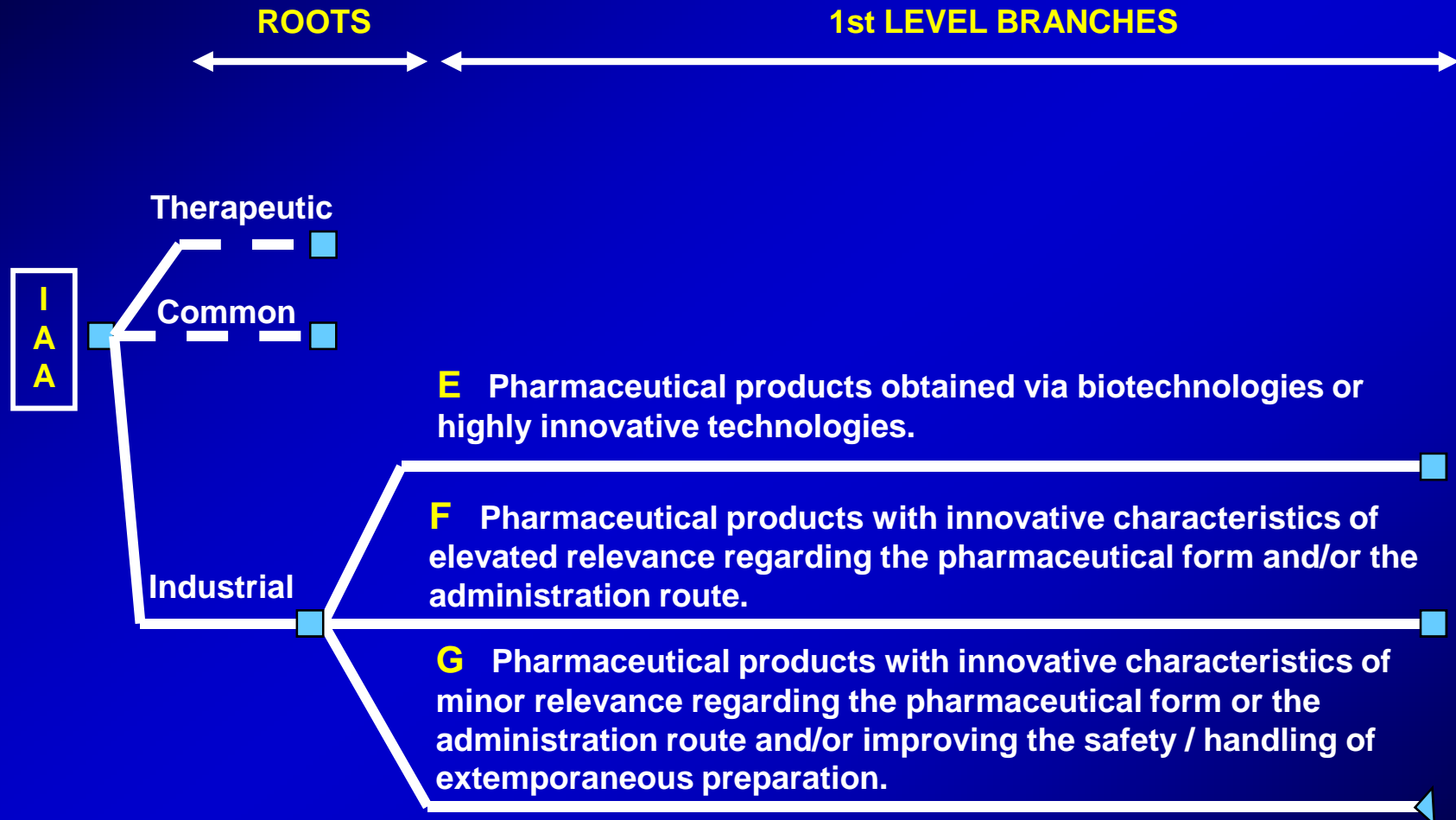


LEGENDA : CE = Chemical Entity; ATC = Anatomic Therapeutic Chemical

IAA-*efficacy* 1st level branches detail



IAA-efficacy 1st level branches detail



LEGENDA : CE = Chemical Entity; ATC = Anatomic Therapeutic Chemical

IAA-*efficacy* property ranking

- **Criteria to assess clinical outcomes** (*hard or surrogate endpoint, quality of life*)
- **Quality of the clinical trial's design**
- **Social impact of the disease** (*elevated social impact, rare disease, medium-low social impact*)
- **Number of therapeutic indications**
- **Type of therapeutic benefit** (*cure or control of the disease, symptom relief*)
- **Age class of population involved in clinical trials**

<http://www.sifeit.it/IAA.html>

Il punteggio da attribuire all'innovatività di un farmaco può essere facilmente calcolato tramite il software scaricabile dal website **SIFEIT** (*Società Italiana per Studi di Economia ed Etica sul Farmaco e sugli Interventi Terapeutici*)

NEW CHEMICAL ENTITY WITHOUT THERAPEUTIC TREATMENT

XY

Disease's Relevance

- Disease with elevated social impact
- Rare disease
- Diseases with medium-low social impact

information

450

Therapeutic Indication

- Multiple therapeutic indications in the field of the same 1st level ATC
- Unique therapeutic indication

information

52.5

Characteristics of Clinical Evaluation Quality of clinical evaluation

- | | |
|--|--|
| <input checked="" type="radio"/> Double blind RCT | <input checked="" type="radio"/> Excellent |
| <input type="radio"/> Blind or open RCT | <input type="radio"/> Sufficient |
| <input type="radio"/> Non Randomized Clinical Trials | <input type="radio"/> Poor |
| <input type="radio"/> Series of cases | |

information

87.5

Population Sample Involved

information

Algorithm's level

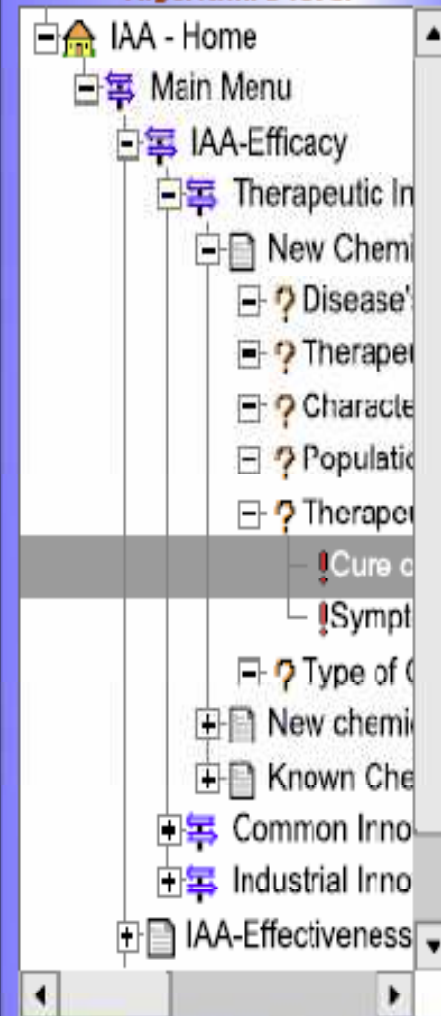
- IAA - Home
- Main Menu
- IAA-Efficacy
 - Therapeutic In
 - New Chemi
 - Disease'
 - Therape
 - Characte
 - Double
 - Blind c
 - Non R
 - Series
 - Populatio
 - Therape
 - Type of C
 - New chemi
 - Known Che
 - Common Inno

NEW CHEMICAL ENTITY WITHOUT THERAPEUTIC TREATMENT

XY

Population Sample Involved		information
<input type="radio"/> Adults		
<input type="radio"/> Elderly		
<input type="radio"/> Pediatric age		
<input checked="" type="radio"/> Adults + Elderly		
<input type="radio"/> Adults + Pediatric age		
<input type="radio"/> Elderly + Pediatric age		
<input type="radio"/> All age groups		71.0
Therapeutic Targets		information
<input checked="" type="radio"/> Cure of a disease and/or control of disease evolution		
<input type="radio"/> Symptomatic improvement		35.0
Type of Clinical Results Models	Quality of clinical results model	information
<input type="radio"/> Hard-endpoint+Qol	<input type="radio"/> Excellent	
<input type="radio"/> Quality of life (Qol)	<input type="radio"/> Sufficient	

Algorithm's level



NEW CHEMICAL ENTITY WITHOUT THERAPEUTIC TREATMENT

XY

- Adults + Pediatric age
- Elderly + Pediatric age
- All age groups

71.0

Therapeutic Targets

- Cure of a disease and/or control of disease evolution
- Symptomatic improvement

information

35.0

Type of Clinical Results Models

- Hard-endpoint+Qol
- Quality of life (Qol)
- End-point surrogates+Qol
- End-point surrogates
- Hard end-point

Quality of clinical results model

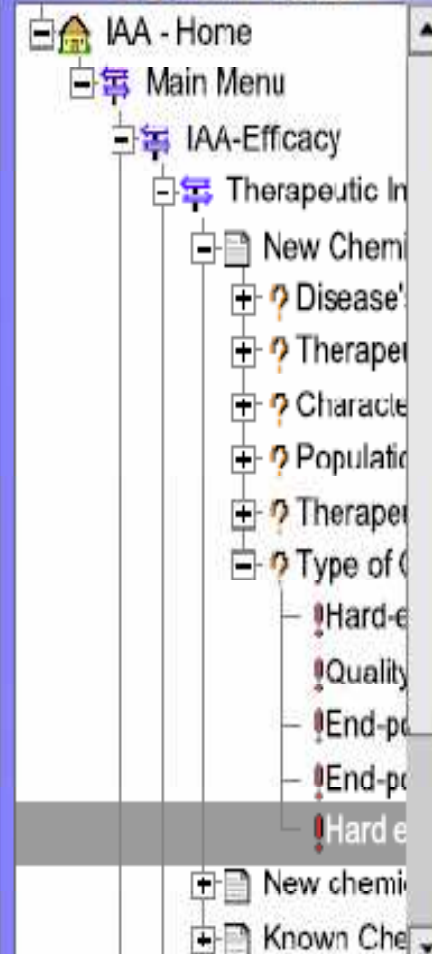
- Excellent
- Sufficient
- Poor

information

92.4

SAVE IAA-Efficacy score

Algorithm's level



XY

**FINAL EVALUATION OF THE INNOVATIVE NATURE OF A
DRUG**

Drug's name:	XY
IAA-Efficacy:	788
IAA-Effectiveness:	0
Adverse Effects:	0

DRUG'S INNOVATION VALUE: 788

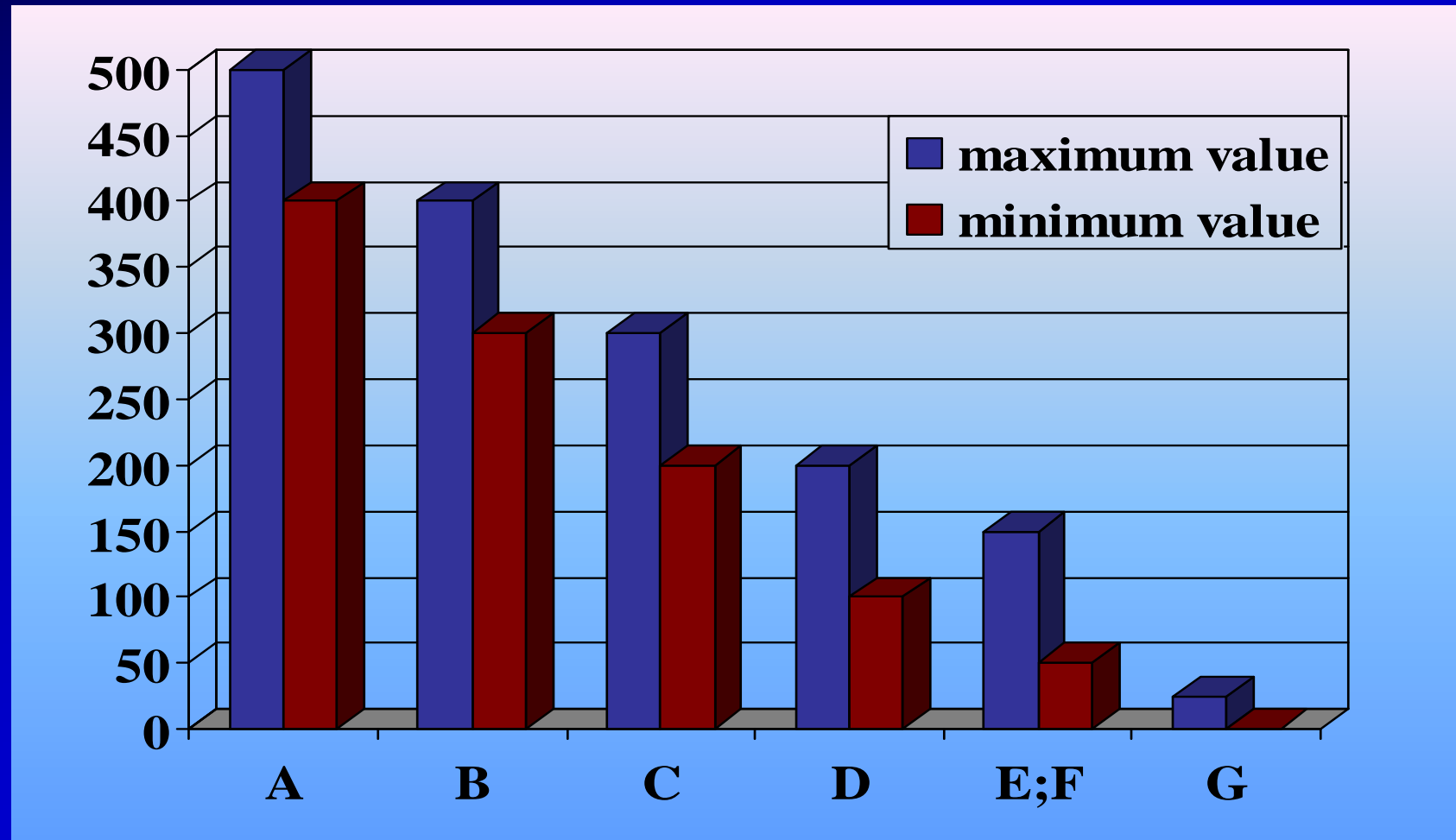


do you want to modify IAA-EFFICACY data?

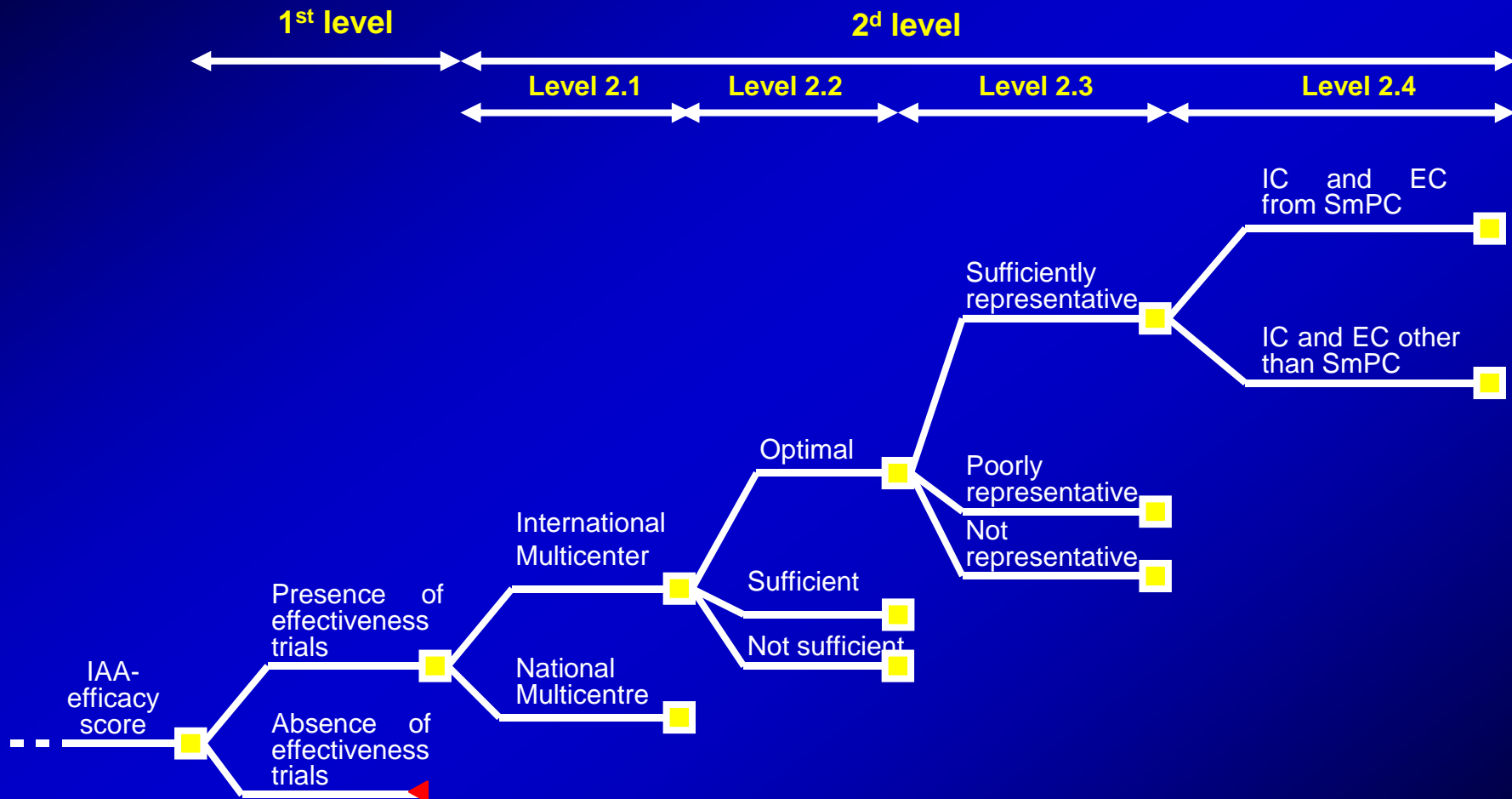


do you want to evaluate IAA-EFFECTIVENESS?

IAA-*efficacy* 1st level branches score



IAA-effectiveness branches detail



LEGENDA : IC = Inclusion Criteria; EC = Exclusion Criteria; SmPC = Summary of Product Characteristics

At present the IAA is being revised by a group of experts from SIFEIT, the pharmaceutical industry and SSFA (*Società di Scienze Farmacologiche Applicate*).

Re-assessment of the weights of each single property to avoid any flattening of final scores

IAA Validation

The algorithm will be validated by testing medicinal products recently authorized (*Centralized Procedure*) on the basis of clinical trials and European assessments

Conclusioni

L'algoritmo proposto permette, attraverso un valore numerico, di identificare e valutare un farmaco innovativo.

Il valore numerico potrebbe essere utile per studi di farmaco-economia.

I risultati di questi studi sarebbero di aiuto a livello regionale per contrattare il prezzo d'acquisto e l'inserimento nei prontuari farmaceutici

N.B. L'algoritmo è impostato per rivalutare nel tempo (post-marketing phase) l'innovatività terapeutica di un Farmaco