

## Nuove regole per l'innovatività dei farmaci

La nuova legge di bilancio annuncia delle importanti novità che riguardano la procedura con cui nel nostro Paese vengono classificati e poi resi accessibili i farmaci cosiddetti innovativi. Vale la pena ricordare che in passato la discussione riguardo ai percorsi regolatori di medicinali particolarmente promettenti, per tempi di approvazione, valorizzazione e accesso, si è arricchita di approcci e tentativi diversi tra loro. Algoritmi, definizioni e meccanismi di incentivazione oltre alle tempistiche di valutazione hanno sempre animato questa discussione e trovano ora nell'articolo 49 della nuova manovra finanziaria 2024/25 un nuovo capitolo.

Innanzitutto cominciamo con ciò che verrebbe modificato subito, a partire dal 1° gennaio 2025, rispetto allo stato attuale: sparirebbe la distinzione tra farmaci innovativi e farmaci "potenzialmente" innovativi, almeno nei vantaggi riconosciuti a questo tipo di medicinali. Quindi il livello più o meno grande di incertezza non è più un carattere distintivo per accedere alle agevolazioni regolatorie. La versione attuale inseriva i primi in un fondo specifico mentre i secondi hanno come reale vantaggio quello di rientrare da subito nei prontuari regionali. All'interno dello stesso fondo, 100 milioni di euro vengono ora destinati ai farmaci antibiotici "reserve" classificati secondo lo schema Aware dell'OMS. In generale, diventa più decisiva l'identificazione dell'innovatività per singola indicazione terapeutica rendendo quindi ancor più necessario associare queste approvazioni a dei registri di monitoraggio AIFA.

Le novità però non si fermano qui, anche se probabilmente ne sapremo di più quando entro il 31 marzo del 2025 la nuova CSE definirà in nuovi criteri di valutazione. La commissione non potrà comunque non tener conto di come questa norma primaria già definisce alcuni termini per l'innovatività. Infatti, se in passato era chiaro che le componenti selezionate di questa definizione

riguardavano il *bisogno terapeutico*, il *valore terapeutico aggiunto* e la *qualità delle prove* ora il primo comma dell'articolo parla di tutt'altro. Secondo la nuova impostazione ciò che rende innovativo un farmaco può essere anche la *tecnologia di produzione*, il *meccanismo di azione*, la *modalità di somministrazione* al paziente, gli *effetti sulla qualità della vita* e le *implicazioni sull'organizzazione dell'assistenza*. Insomma, oltre a efficacia e sicurezza, la lista delle caratteristiche che promuoveranno un nuovo medicinale come innovativo potrebbe essere molto più lunga.

È interessante notare anche che sparisce del tutto il riferimento alla qualità delle prove di efficacia. Fino ad oggi è stato utilizzato un approccio che traeva dal sistema internazionale GRADE molte delle indicazioni necessarie per capire se le prove di efficacia e sicurezza presentate al momento della richiesta di riconoscimento dell'innovatività si basano su dati più o meno affidabili in termini di metodologia tenendo conto della riproducibilità del dato e della sua generalizzabilità.

Colpisce leggere anche alcuni esiti su cui verrà misurata la presunta innovatività dove vengono elencati la guarigione, la riduzione dei rischi di complicazioni letali o potenzialmente tali, il rallentamento della progressione di malattia o il miglioramento della qualità di vita.

Si tratta di un importante ridimensionamento delle regole del gioco che di fatto – a parte i farmaci generici – permetterà a quasi tutti i nuovi medicinali di trovare una ragione per definirsi "innovativi". Non va trascurato l'impatto che tale allargamento potrà avere in termini di gestione degli acquisti, misurazione del rispetto dei tetti ed eventuale calcolo del pay-back nel caso di sfioramento da parte delle amministrazioni regionali.

A mio avviso in tutto questo la buona notizia è quella che si riprende finalmente – pur senza un'analisi critica di ciò che è avvenuto fino ad ora – a discutere di come governare l'innovatività in quest'area. Invece la notizia cattiva è che, con questi nuovi criteri, l'innovatività tra i medicinali non sarà più possibile vederla.

*Le opinioni espresse dall'autore sono personali e non riflettono necessariamente quelle dell'istituzione di appartenenza.*

\*Antonio Addis, Dipartimento di Epidemiologia, Regione Lazio – a.addis@deplazio.it