

Un farmaco utile, efficace ed economico: non usiamolo

Chi lo avrebbe detto che un farmaco potenzialmente utile per un mercato non trascurabile come quello legato alla degenerazione maculare negli anziani non sarebbe stato messo a disposizione per decisione della stessa Azienda che lo produce? Si tratta di un caso che nel settore farmaceutico attraversa effettivamente l'intero orizzonte "dalla via Emilia al West".

Nonostante i risultati di uno studio importante pubblicato lo scorso maggio sembrano dimostrare come l'efficacia del bevacizumab (Avastin®) e del ranibizumab (Lucentis®) siano sostanzialmente sovrapponibili, solo quest'ultimo possiede l'indicazione terapeutica registrata dalla *Food and Drug Administration* (FDA) e dall'*European Medicine Agency* (EMA)^{1,2}. I due farmaci sono stati sviluppati dalla stessa Azienda (Genetech) con un mercato mondiale diviso tra due colossi farmaceutici: la Roche e la Novartis. Indipendentemente dalle licenze d'uso, gli specialisti da tempo utilizzano il bevacizumab per la degenerazione maculare, spinti soprattutto dal fatto che il costo del farmaco ranibizumab è circa 25 volte più elevato. Ciò che stupisce è che nonostante questa larga propensione all'uso e la presenza di evidenze di efficacia del farmaco, la Roche non sembra avere nessuna intenzione di lanciare il bevacizumab sul mercato, lasciando generosamente ai suoi concorrenti l'intero campo per il trattamento della degenerazione maculare nell'anziano. In contrasto, la Novartis si appella alla tanto vituperata rigidità del sistema regolatorio per far valere sui sistemi di rimborso dei medicinali, i timori legati all'utilizzo off-label di un medicinale. In questo caso la mancanza di flessibilità di un sistema nel riuscire a riconoscere indicazioni terapeutiche al di fuori di quelle ufficialmente approvate viene difesa dai suoi più frequenti detrattori in quanto, per una volta, utile a difendere i vantaggi legati alla licenza d'uso.

Il fatto ha meritato molta attenzione sia per quanto riguarda il tema dell'utilizzo dei farmaci off-label in genere e i possibili meccanismi di rimborso, sia per ciò che riguarda la sicurezza collegata all'esposizione a medicinali per indicazioni non approvate. Inoltre sulla spinta di questo caso gli aspetti legali a cui i prescrittori vengono incontro

quando decidono un utilizzo di farmaco fuori indicazione hanno riacquisito molto interesse. Insomma, ci sono tutti gli ingredienti per innescare una discussione ripresa dalle maggiori testate scientifiche a livello nazionale e internazionale³.

Anche per le autorità regolatorie regionali scegliere di perseguire una strada piuttosto che un'altra ha avuto conseguenze importanti. In particolare, la Regione Emilia-Romagna in passato aveva deciso di mettere a rimborso il bevacizumab anche per l'uso off-label nella degenerazione maculare nell'anziano. Come c'era da aspettarselo la Novartis si è appellata al Tribunale Regionale Amministrativo chiedendo la sospensione di questo provvedimento. Il tribunale però recentemente ha dato ragione alla Regione circa le iniziative intraprese, riconoscendole legittime all'interno degli spazi di manovra possibili per il governo della spesa farmaceutica ed accettando le eccezioni sollevate che rimandano il tutto ad una decisione da parte della Consulta⁴.

Non si tratta certo dell'ultima puntata della saga. Le aziende lamentano infatti che un uso off-label di questo tipo espone ad un maggior rischio di reazioni avverse di cui il prescrittore dovrà prendersi carico. Ancora una volta saranno le agenzie regolatorie nazionali e internazionali ad essere chiamate ad esprimere un parere. Se sul tema dei costi è infatti nota la propensione dell'EMA e della FDA a rimanere fuori dall'arena del contendere, nell'ambito della sicurezza dei farmaci sarà più difficile non prendere una posizione chiara. Insomma, un altro bel test per discutere come e se i *regulator* sono arbitri imparziali o giocatori schierati.

Antonio Addis

Governance della ricerca
Agenzia Sanitaria
Emilia-Romagna
aaddis@regione.emilia-romagna.it

BIBLIOGRAFIA

1. Godlee F. Avastin versus Lucentis BMJ 2012; 344: e3162.
2. Torjesen I. Why using avastin for eye disease is so difficult? BMJ 2012; 344: e3012.
3. Beyond cost consideration Nature Medicine 18; 835 Nature Medicine doi:10.1038/nm.2842
4. Perrone M. Off label: decide la consulta. Sole 24 Ore Sanità 5-12 giugno 2012.

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