

Flessibilità e rigidità del sistema di valutazione dei nuovi farmaci

Non è difficile rintracciare all'interno di comunicazioni scientifiche e di convegni sui farmaci i primi due sostantivi del titolo di questo breve pezzo. Sono in molti a chiedere un sistema accelerato e più *flessibile* nel valutare le innovazioni farmacologiche in modo da evitare ogni possibile ritardo all'accesso alle cure. Allo stesso tempo, e spesso da parte degli stessi richiedenti, viene posto il problema di come sviluppare un sistema di valutazione che giudichi le innovazioni con criteri certi e prevedibili (quindi più *rigidi*), in modo da assicurare una coerenza tra una decisione regolatoria e un'altra.

Secondo alcuni le nuove terapie personalizzate dovrebbero mettere in discussione gli attuali standard (*troppa rigidità*) usati per capire se un medicinale è abbastanza sicuro ed efficace in modo da consentirne un accesso rapido ai pazienti, prevedendo eventualmente una verifica in itinere della reale efficacia nella pratica clinica (*più flessibilità*). Coloro che sostengono quanto appena detto sono però gli stessi che denunciano meccanismi di prezzi e rimborsi troppo diversificati tra le diverse realtà territoriali (*troppa flessibilità*), e sono contrari a che principi attivi diversi, che pure sono stati approvati senza un confronto diretto e con studi di non-inferiorità, siano clinicamente considerati sovrapponibili (*poca rigidità*).

Potrei continuare nella combinazione dei due termini modificando la prospettiva da cui si guarda lo stesso problema ed elencando i tentativi di combinare all'interno dello stesso sistema entrambi i due sostantivi. Ciò che sembra chiaro è che un governo delle innovazioni farmaceutiche universale e pubblico non può essere al tempo stesso flessibile nel giudizio ma rigido nella valutazione del costo.

Un esempio concreto di flessibilità e rigidità del processo regolatorio è rappresentato dai farmaci approvati con clausole di eccezionalità o specifiche condizioni da parte dell'European

Medicines Agency (*under exceptional circumstances or conditional approval*): per quanto io sia riuscito a ricostruire, nessuna di queste è stata revocata direttamente dalla stessa agenzia sulla base del riesame programmato annualmente al momento dell'autorizzazione. Nel caso di ritiro dal commercio, si è trattato sempre di un atto volontario da parte dell'azienda produttrice.

Il tentativo di trovare l'origine della coesistenza di queste due anime mi fa pensare che il tutto possa avere a che fare con l'assurda speranza di fare in modo che una valutazione tecnico scientifica possa essere calata senza traumi all'interno di regole confezionate per agire come norme e piccole leggi.

La valutazione scientifica ha bisogno di poter essere posta a continua verifica e quindi confutata in ogni momento: gli stessi dati dello studio che oggi valuto come sufficienti per ritenere il farmaco utile, domani potrebbero non convincermi più e portarmi a decisioni contrarie. Un approccio legale, invece, non tollera questo modo di valutare le cose e ha bisogno di mantenere una coerenza tra una decisione e l'altra (*common law*), impedendomi di tornare su quanto già stabilito e costringendomi ad adattare ogni nuova decisione a quanto fatto in precedenza.

Chiunque abbia avuto esperienza di consulenza tecnico-scientifica in commissioni per la scelta appropriata, il rimborso o la stesura di prontuari di farmaci potrà raccontarvi quante volte si è sentito dire che, per ragioni "regolatorie", la decisione presa, per quanto erronea, non possa essere modificata senza correre il rischio di contraddire decisioni già prese.

Il rischio di non definire correttamente i confini dei termini in gioco è quello di avere commissioni tecnico-scientifiche imbrigliate tra veti normativi così come dettare regole incapaci di valutare l'innovazione con la necessaria flessibilità data da un'analisi tecnica adeguata.

Antonio Addis

Dipartimento di Epidemiologia,
Regione Lazio
a.addis@deplazio.it

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