

## Quali valori devono guidare la definizione del prezzo dei farmaci?

Cosa intendere per valore di un farmaco? Quali aspetti dovrebbero essere considerati da enti regolatori e *policy maker* per stabilire prezzi basati sul valore? E quale impatto può avere una definizione più o meno ampia di valore nelle politiche di rimborso e prezzo dei farmaci? A queste domande prova a dare risposta il capitolo dedicato all'assistenza farmaceutica "Politiche del farmaco: approfondimento sul *Value Framework* per i farmaci", contenuto nel Rapporto OASI (Osservatorio sulle Aziende e sul Sistema sanitario Italiano), curato annualmente da Cergas-Bocconi per fotografare lo stato del SSN<sup>1</sup>.

Il capitolo inquadra innanzitutto i dati sull'andamento della spesa farmaceutica fra il 2001 e il 2023, per poi concentrarsi sul cosiddetto *value framework* e cioè le dimensioni che dovrebbero definire il valore di un farmaco. Gli autori hanno un'esperienza consolidata in ambito di politiche del farmaco, e, di conseguenza, la lettura è utile per chiunque voglia farsi un'idea su cosa intendere con *value framework*, e sul confronto fra questo modello e ciò che viene fatto in alcuni Paesi, come Regno Unito e Germania.

Relativamente all'andamento della spesa farmaceutica del SSN, gli autori propongono un'interpretazione rassicurante, secondo la quale "l'incidenza della spesa farmaceutica pubblica sulla spesa sanitaria pubblica è scesa dal 18,2% nel 2001 al 17,2% nel 2023"<sup>1</sup>. In effetti, in Italia, nonostante il SSN sia riuscito, negli anni, a garantire l'accesso universale a praticamente tutti i farmaci con un'efficacia clinicamente rilevante, la spesa è rimasta sostanzialmente sotto controllo. Ciò detto, non conviene però sbilanciarsi fino ad affermare che si sia ridotto nel tempo il peso della spesa farmaceutica, quasi a lasciare intendere che ci

siano margini per essere meno rigorosi nella selezione dei farmaci rimborsati e nella definizione del prezzo.

Ad esempio, per quanto riguarda il 2023, l'anno conclusivo del periodo considerato, il 17,2% di spesa farmaceutica fa riferimento agli acquisti che rientrano nei tetti di spesa, cioè i farmaci di fascia A e H rimborsati dal SSN nella farmaceutica territoriale e negli acquisti diretti delle strutture pubbliche. Non è quindi compresa la spesa dei farmaci innovativi (circa 850 milioni di euro), dei farmaci di fascia C acquistati dalle strutture SSN (circa 780 milioni), e dei farmaci di fascia A-H cosiddetti extra-tetto rimborsati alle strutture private (circa 660 milioni secondo una stima parziale)<sup>2</sup>. L'insieme di queste voci di spesa rappresenta l'1,8% della spesa SSN e non è indifferente la scelta di tenerne conto, o meno, nell'analisi degli andamenti temporali di spesa farmaceutica.

Relativamente al *value framework*, la riflessione origina da una proposta dell'Ispor (*International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes Research*) di includere 12 dimensioni nella valutazione del valore (di seguito i titoli delle dimensioni sono indicati in maiuscolo), estendendo così l'ambito di interesse oltre alle due che sono oggi maggiormente utilizzate: i QALY (*Quality Adjusted Life Years*) per esprimere il beneficio clinico, e i costi a carico dei servizi sanitari. Per completare le dimensioni del valore si va infatti dalla valutazione dell'impatto sulla Produttività a quello sull'Aderenza, dalla Riduzione dell'incertezza alla Paura del contagio, dal valore Assicurativo a quello della Speranza e a quello delle Opzioni reali, dalla Gravità della malattia all'Equità e allo *Spillover* scientifico (per un approfondimento delle singole componenti si rimanda al capitolo del Rapporto OASI). Si tratta di un approccio che appare condiviso anche dall'Aifa, la quale fa riferimento a otto delle dodici dimensioni considerate dall'Ispor, ma include una voce "Altri elementi", lasciando così spazio per l'inclusione anche di altre dimensioni.

A prima vista, l'ampliamento delle dimensioni del valore potrebbe essere considerato

\*Giuseppe Traversa, Epidemiologo, Roma – giuseppettraversa24@gmail.com

## RICERCA IN PRATICA Quali valori devono guidare la definizione del prezzo dei farmaci?

favorevolmente. A un'analisi più accurata, tuttavia, emergono i diversi limiti di questo approccio. Il primo è che le dodici dimensioni di valore, raffigurate come petali di un fiore (si parla anche di *value flower*), inducono a pensare che l'importanza di ciascuna dimensione sia, tutto sommato, simile. Si ridimensiona in questo modo l'attenzione sull'aspetto indiscutibilmente più rilevante per i pazienti: chiarire il valore aggiunto di un nuovo farmaco rispetto alle terapie esistenti, sulla base di studi di qualità adeguata. Non a caso, in Paesi come il Regno Unito e la Germania, citati nel Rapporto, è centrale proprio la valutazione dell'entità del beneficio clinico aggiuntivo, anche in relazione alla gravità della malattia. Il tipo di beneficio clinico può ovviamente cambiare in rapporto alla specifica indicazione di un farmaco:

l'aumento della sopravvivenza e/o la riduzione della frequenza di eventi di salute associati alla prognosi della patologia (ad es., di ictus, fratture, trapianti, sintomi debilitanti), il miglioramento della qualità della vita e/o di singole scale di funzionalità (ad es., del dolore, del livello di depressione, dell'entità di disturbi cognitivi). L'aspetto comune, però, dal punto di vista dei pazienti trattati, è porre l'enfasi sul valore aggiunto di un farmaco, in termini di esiti clinici, rispetto alle alternative terapeutiche (se disponibili).

Il secondo limite è di inserire anche dimensioni di valore – come la Paura del contagio, il valore Assicurativo, il valore della Speranza, le Opzioni reali di cura – la cui applicazione pratica richiede un livello di discrezionalità così ampio, a causa della difficoltà di misurazione, da sconsigliarne l'inserimento nelle procedure di negoziazione pubblica.

Nell'elenco delle dimensioni da considerare, è poi presente l'equità nell'accesso ai farmaci, una dimensione centrale per sistemi sanitari che non garantiscono un accesso universale ai cittadini. Per il SSN, invece, l'equità di accesso è assicurata dall'inserimento in fascia A o H. Se, nonostante la copertura SSN, vi sono disparità di accesso al farmaco fra pazienti potenzialmente eleggibili, ad esempio in base al livello di istruzione, il

richiamo è al SSN di farsi carico del problema, e non a tenerne conto nel prezzo del farmaco.

Semmai, l'equità potrebbe essere minacciata da un'altra dimensione del *value framework*: quella che fa riferimento all'impatto sulla Produttività. Tale dimensione potrebbe, infatti, portare a privilegiare farmaci che, a parità di efficacia, siano prevalentemente utilizzati da chi contribuisce maggiormente al PIL di un Paese.

Lo *Spillover* scientifico, infine, rappresenta un potenziale effetto esterno di qualunque ambito di produzione di conoscenza, come risultato della continua interazione fra settori di ricerca; non sarebbe ragionevole concentrarsi sulle ricadute che la ricerca farmaceutica ha su altri ambiti, senza considerare anche gli effetti positivi che arrivano al farmaco dalla ricerca svolta in altri ambiti.

In conclusione, è utile continuare ad approfondire la discussione e riflettere sulle dimensioni di valore dei farmaci da utilizzare nella definizione del prezzo. Tuttavia, è importante evitare di fare passi indietro rispetto a ciò che già oggi viene fatto nei Paesi che garantiscono un più ampio accesso ai farmaci efficaci in un contesto di sostenibilità della spesa. Per una definizione del prezzo basata sul valore, una dimensione deve avere un peso superiore a tutte le altre: quella del valore terapeutico aggiunto su esiti clinicamente rilevanti per i pazienti. Se si deroga su questo principio, si rinuncia al principale ancoraggio per garantire la sostenibilità della spesa farmaceutica, e al principale incentivo per fornire ai pazienti farmaci con un valore terapeutico aggiunto rispetto alle alternative.

### BIBLIOGRAFIA

1. Armeni P, Cavallaro L, Costa F, Malandrini F, Otto M. Politiche del farmaco: approfondimento sul Value Framework per i farmaci. In Cergas-Bocconi (a cura di). Rapporto OASI 2024. Disponibile su: [https://cergas.unibocconi.eu/sites/default/files/media/attach/00\\_Oasi\\_2024\\_Rapporto\\_OASI\\_2024.pdf](https://cergas.unibocconi.eu/sites/default/files/media/attach/00_Oasi_2024_Rapporto_OASI_2024.pdf)
2. Osservatorio nazionale sull'impiego dei medicinali (Osmed). L'uso dei farmaci in Italia - Rapporto nazionale anno 2023. Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2024. Disponibile su: <https://www.aifa.gov.it/-/uso-dei-farmaci-in-italia-rapporto-osmed-2023>