



*Le sfide dell'accesso alla innovazione
farmaceutica e della sostenibilità*

Robert Nisticò
26 Novembre 2024



Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

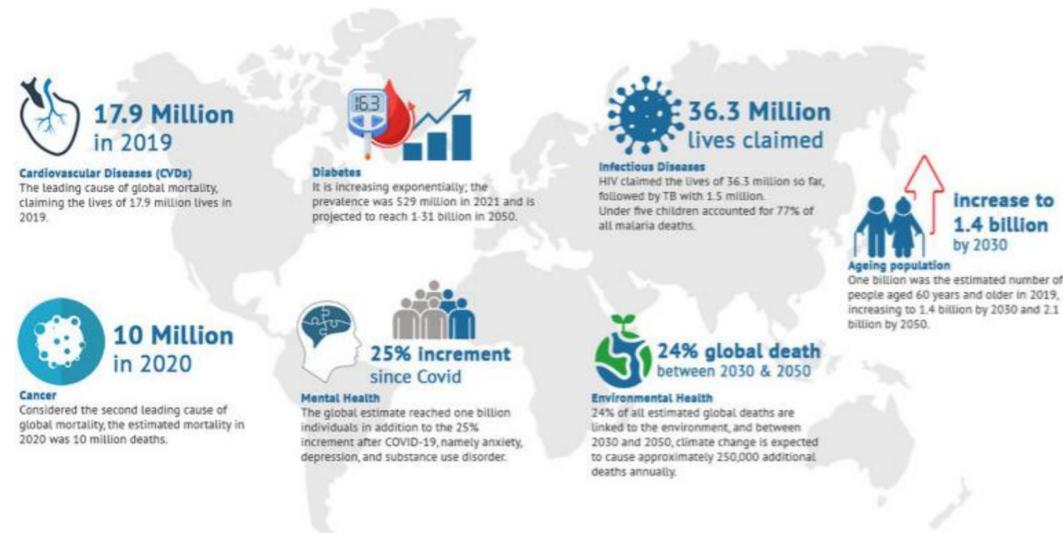
XInteressi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
INTERESSI DIRETTI:				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
INTERESSI INDIRETTI:				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Robert Nisticò**, secondo il Regolamento per la disciplina dei conflitti di interesse all'interno dell'Agenzia Italiana del Farmaco approvato dal CdA AIFA con Delibera n. 37 del 13 ottobre 2020.

N.B. <Per questo intervento non ricevo alcun compenso>



Quali sono le sfide sanitarie a livello globale?



Zaidan AM. The leading global health challenges in the artificial intelligence era. Front Public Health. 2023 Nov 27;11:1328918.



Previsione consumo globale di farmaci (2018-2028)



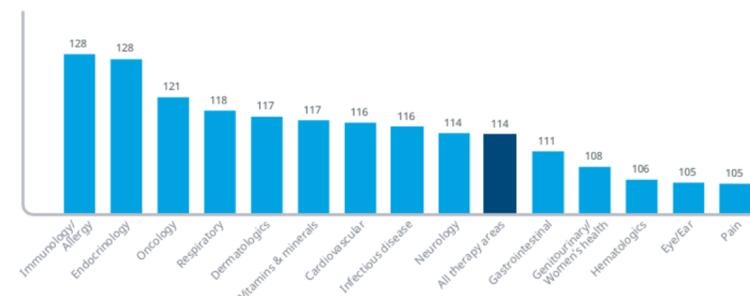
Si prevede che l'uso globale di medicinali raggiungerà quasi 3,8 trilioni di dosi medie giornaliere nel 2028, 400 milioni in più rispetto al livello del 2023

IQVIA- Global Use of Medicines 2024 OUTLOOK TO 2028



Consumi globali per aree terapeutiche (2018-2023)

Exhibit 6: Defined daily doses (DDD) in 2023 across select therapy areas indexed to 2018 values (2018 value = 100)



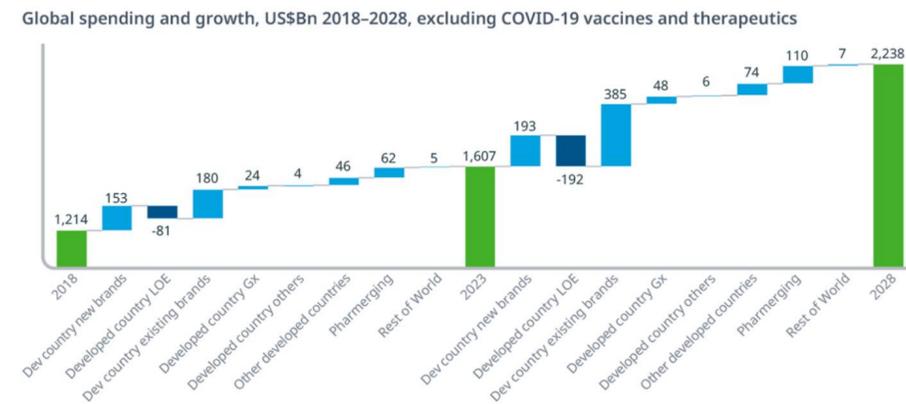
Source: IQVIA MIDAS, Jun 2022; IQVIA Institute, Dec 2023.

Immunologia, endocrinologia e oncologia hanno superato la crescita media globale del 14% nelle **dosi definite giornaliere** negli ultimi cinque anni.

IQVIA - Global Use of Medicines 2024 OUTLOOK TO 2028



Mercato globale Pharma (2018-2028)



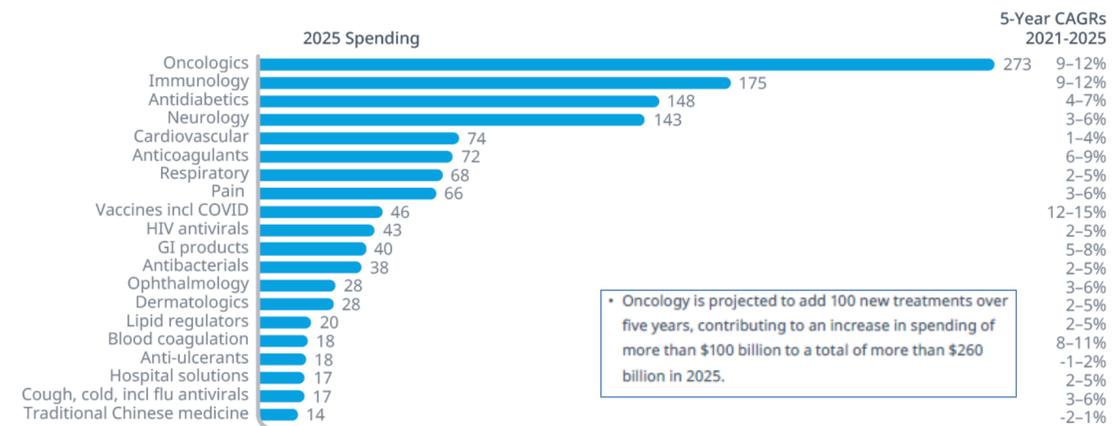
Si prevede che il mercato globale dei medicinali, utilizzando i livelli dei prezzi di listino, crescerà a un CAGR del 5-8% fino al 2028, raggiungendo circa 2,3 trilioni di dollari di dimensione totale del mercato.

IQVIA - The Global Use of Medicines 2024: Outlook to 2028, Jan 2024



Spesa globale per aree terapeutiche (2021-2025)

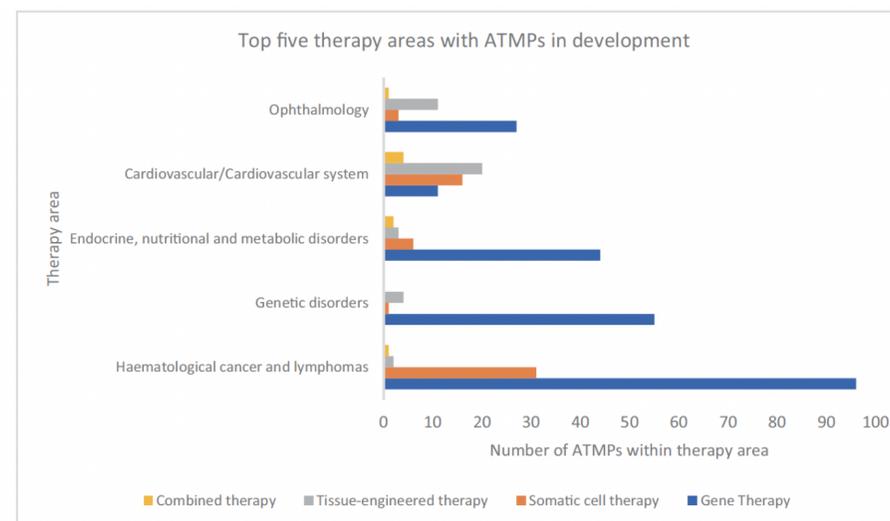
Top 20 Therapy Areas in 2025 in Terms of Global Spending with Forecast 5-year CAGRs, Const \$US



IQVIA - Global Medicine Spending and usage trends. 2025 -



ATMPs: studi clinici in corso

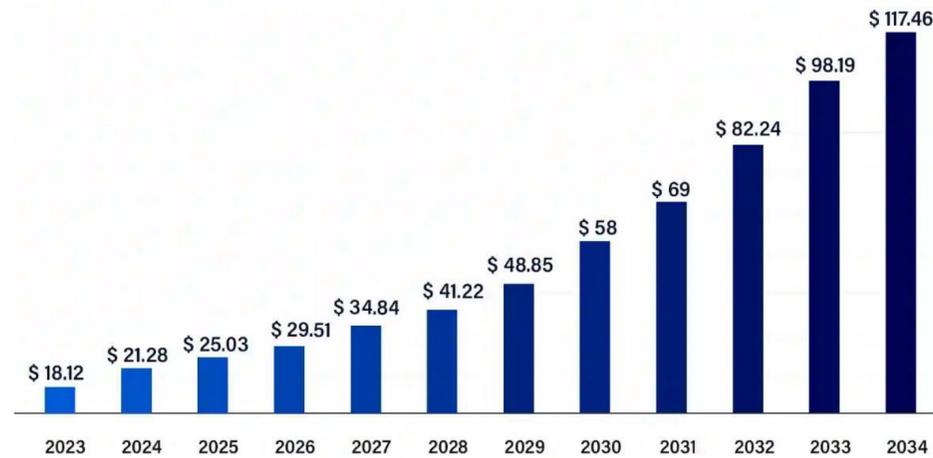


Drug Discovery Today

Drug Discovery Today Volume 28, May 2023



ATMPs: previsione di spesa globale (2023-2034)



Source: <https://www.precedenceresearch.com/cell-and-gene-therapy-market>



IT: secondi in EU per disponibilità di farmaci centralizzati

The **rate of availability**, measured by the number of medicines available to patients in European countries as of 5th January 2024. For most countries this is the point at which the product gains access to the reimbursement list[†], including products with limited availability.



European Union average: 72 products available (43%) [†]In most countries availability equates to granting of access to the reimbursement list, except in DK, FI, LU, NO, SE where some hospital products are not covered by the general reimbursement scheme. ^{*}Countries with asterisks did not complete a full dataset and therefore availability may be unrepresentative. ^{**}In Spain, the WAIT analysis does not identify those medicinal products being accessible earlier in conformity with Spain's Royal Decree 1015/2009 relating to Medicines in Special Situations



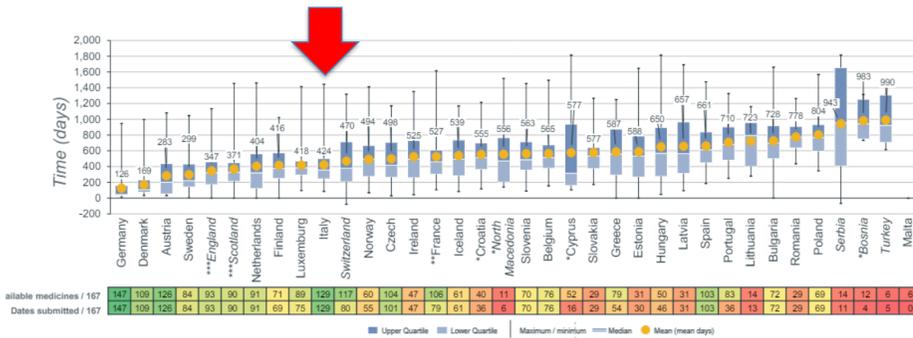
EFPIA Patient W.A.I.T.
 Indicator 2023 survey – June 2024



IT: tempo medio di accesso al mercato

Time from central approval to availability (2019-2022)

The **time from central approval to availability** is the days between marketing authorisation and the date of availability to patients in European countries (for most this is the point at which products gain access to the reimbursement list[†]). The marketing authorisation date is the date of central EU authorisation throughout.



European Union average: 531 days (mean %). (Note: Malta is not included in EU27 average as no dates were submitted in total. In most countries availability equates to granting of access to the reimbursement list, except in DK, FI, NO, SE where some hospital products are not covered by the general reimbursement scheme. Countries with asterisks did not complete a full dataset and therefore availability may be unrepresentative. **For France, the time to availability is 537 days, 1179 dates submitted) includes products under the Accès précoce system (n=18 dates submitted) for which the price negotiation process is usually longer. If one considers that products under the Accès précoce system are directly available (time to availability = 0), the average time to availability is 424 days. ***In the UK, MHRA's Early Access to Medicines Scheme provides access prior to marketing authorisation but is not included within this analysis, and would reduce the overall days for a small subset of medicines.



EFPIA Patient W.A.I.T.
Indicator 2023 survey – June 2024



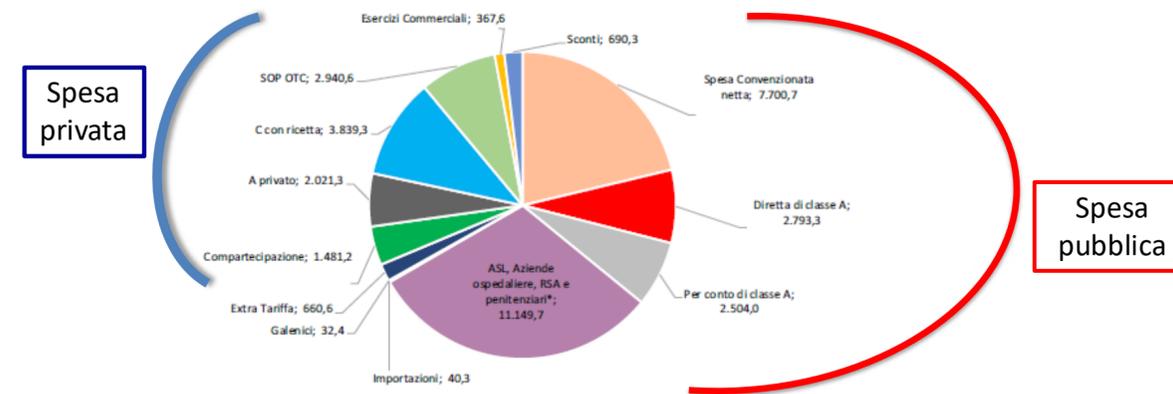
Rapporto OsMed 2023

L'Uso dei Farmaci in Italia
Rapporto Nazionale – Anno 2023





Composizione spesa farmaceutica 2023



La spesa complessiva (pubblica e privata) è stata pari a 36,2 miliardi in crescita rispetto al 2022 del 6,1%. E' per il 68,7% a carico del SSN e incide per l'1,9% sul PIL

OsMed 2023



Confronto prezzi Italia - EU

Figura 1.9.13 Confronto internazionale del prezzo dei farmaci nel 2023 (prezzi a realizzo industria): assistenza territoriale

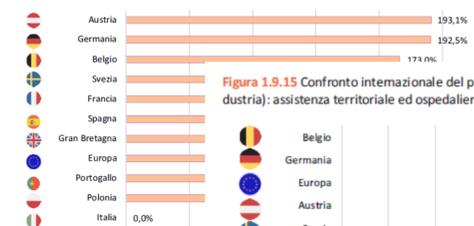
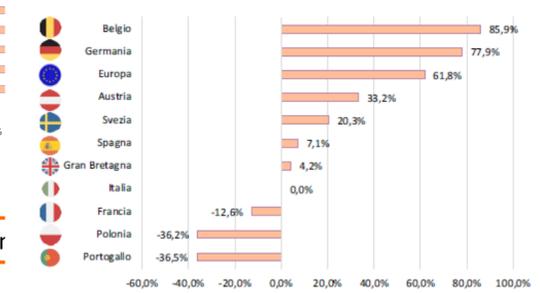


Figura 1.9.15 Confronto internazionale del prezzo dei farmaci nel 2023 (prezzi a realizzo industria): assistenza territoriale ed ospedaliera



Assister

Assister

Assister

Assister

OsMed 2023



Principali risultati OsMed 2023

- Divario regionale nei consumi (non supportato da dati farmaco-epidemiologici)
- Scarso utilizzo farmaci equivalenti (eterogeneità territoriale)
- Migliorare appropriatezza prescrittiva e aderenza terapeutica (ad es. politerapie)
- Utilizzo antibiotici in crescita
- Incremento dei farmaci di fascia C vicino al 10%

OsMed 2023



Il nuovo volto di AIFA

- Ruolo della Commissione Scientifico Economica del farmaco
- Nuovo regolamento di organizzazione
- Semplificazione procedure/sburocratizzazione
- Velocizzare i tempi di accesso all'innovazione
- Maggiore trasparenza / comunicazione
- Tavoli tecnici (Revisione delle note e PT; Medicina di Precisione)
- Maggiore sinergia con le Regioni



Accesso al farmaco e sostenibilità

- Legge Bilancio 2025 Art. 49 **Comma 5: Modifica dei criteri di valutazione dei farmaci innovativi**
- **Comma 10: Suddivisione del Fondo per farmaci innovativi**
La nuova legge di bilancio suddivide il Fondo per i farmaci innovativi, introducendo più categorie di farmaci che possono accedere alle risorse ma senza aumentare il totale complessivo del fondo che rimane di 1,3 miliardi di euro dal 2024.
 - 900 milioni di € per i farmaci con innovatività piena,
 - 300 milioni di € per i farmaci con innovatività condizionata,
 - **100 milioni di € per antibiotici "reserve" contro infezioni multiresistenti.**
- Le **terapie avanzate one-shot** come spesa di **investimento** (pagamento rateizzato *outcome-based*) → condivisione del rischio tra SSN e aziende produttrici
- Proposta di **accesso precoce fast track** per patologie progressive, debilitanti, senza alternativa di cura



Programmi di accesso precoce: *driving forces*

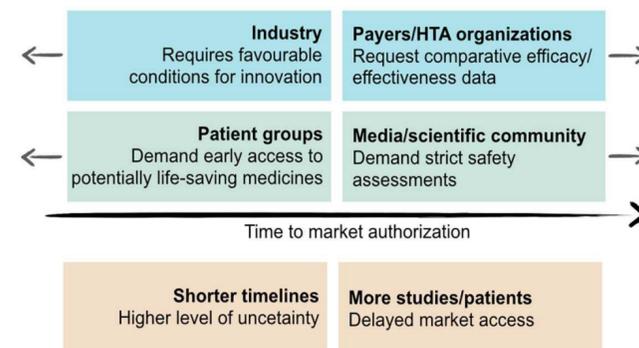


Figure 1. Different driving forces in the Price & Reimbursement (P&R) process, leading to market authorisation, adapted from Eichler et al. (2008)

Unmet need and a presumed favorable risk–benefit profile are common as selection criteria for all EAP in the EU (France, Germany, Spain, UK)

JOURNAL OF PHARMACEUTICAL POLICY AND PRACTICE 2024, VOL. 17, NO. 2377697. <https://doi.org/10.1080/20523211.2024.2377697>



Accesso precoce: un peso o un risparmio?

Table 1. Total costs attributable to progression of cancer progressions occurring during the negotiation process in Italy.

Drug name	Cost increase (€)	Avoidable cases (N)	Total costs (€, mln.)
<i>Breast cancer*</i>			
Abemaciclib	6993.0*	7102 ^P	49.7
<i>Hepatocellular carcinoma^o</i>			
Atezolizumab + bevacizumab	3285.7	461 ^P	1.5
<i>MSI colorectal cancer^x</i>			
Pembrolizumab	9052.6	404 ^P	3.7
<i>Non-small cell lung cancer^r</i>			
Osimertinib	6207.7 ^o	651 ^P	4.0

mln. = million; p = progression; r = recurrence.

*Costs derived by Mennini et al. (2021); ^ocosts derived by Buja et al. (2021); ^xcosts derived by Francisci et al. (2013); ^ocosts derived by Colombo et al. (2015).

4 esempi di farmaci antitumorali innovativi: potenziale risparmio sui costi diretti dovuti alla natura progressiva della patologia

JOURNAL OF PHARMACEUTICAL POLICY AND PRACTICE 2024, VOL. 17, NO. 1, 2377697 <https://doi.org/10.1080/20523211.2024.2377697>





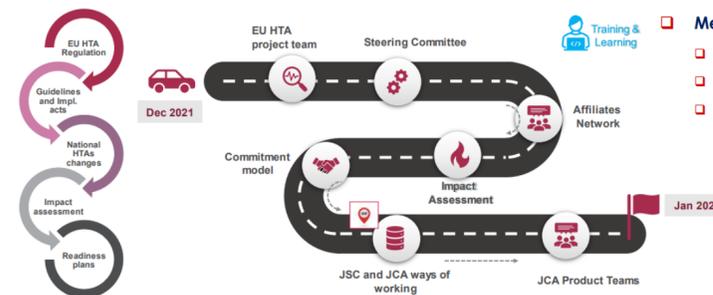
The European medicines agencies network strategy 2028

1. **Accessibility**
2. Leveraging data, digitalisation and AI
3. Innovation & competitiveness
4. Antimicrobial resistance & health threats
5. Availability & supply
6. Sustainability of the Network



Sfide: implementare il nuovo regolamento EU HTA

EU HTA REGULATION: A ROADMAP OF PEOPLE AND PROCESSES



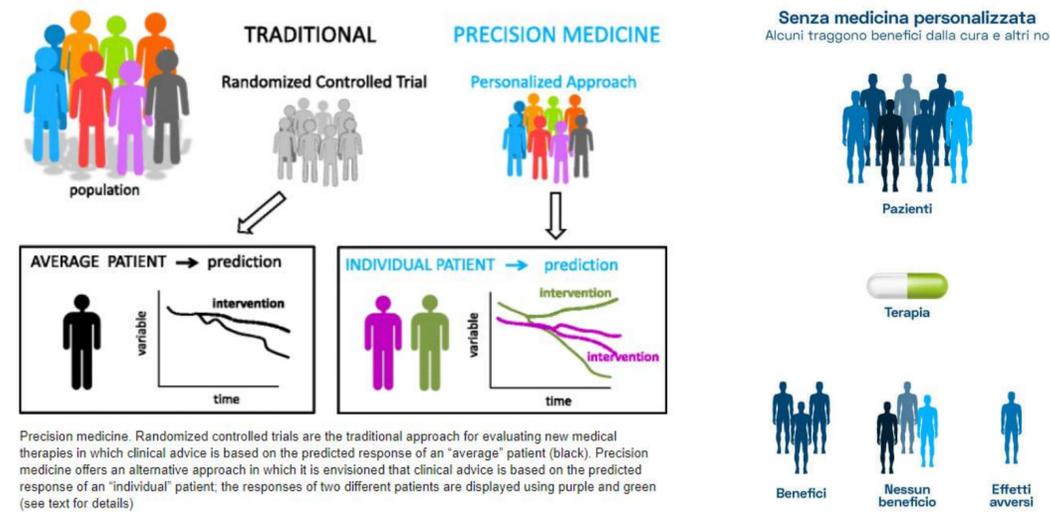
Joint Clinical Assessments (JCA) on:

- Medicines
 - first 3 years: cancer medicines and advanced therapy medicinal products
 - from January 2028: + orphan medicinal products
 - from 2030 : all medicines

- Facilitare l'accesso dei pazienti a trattamenti efficaci e sicuri
- Migliorare la qualità dei servizi sanitari e ridurre le disuguaglianze
- Promuovere il benessere generale della popolazione europea



Sfide: la Medicina di Precisione



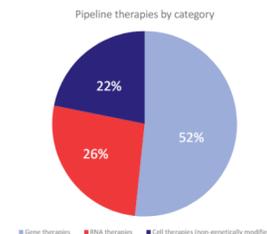


Sfide: nuovi farmaci e nuove tecnologie

Pipeline of gene, cell, and RNA therapies

4,002 therapies are in development, ranging from preclinical through pre-registration

- 2,093 gene therapies (including genetically modified cell therapies such as CAR-T cell therapies) are in development, accounting for 52% of gene, cell, and RNA therapies
- 885 non-genetically modified cell therapies are in development, accounting for 22% of gene, cell, and RNA therapies





GRAZIE