



Forum Risk Management

obiettivo sanità & salute

18

21-24 NOVEMBRE 2023
AREZZO FIERE E CONGRESSI

Fulvio Luccini

Managing Director Pharmalex Italy e Comitato Direttivo ATMP Forum

DAL VI REPORT ITALIANO SUGLI ATMP

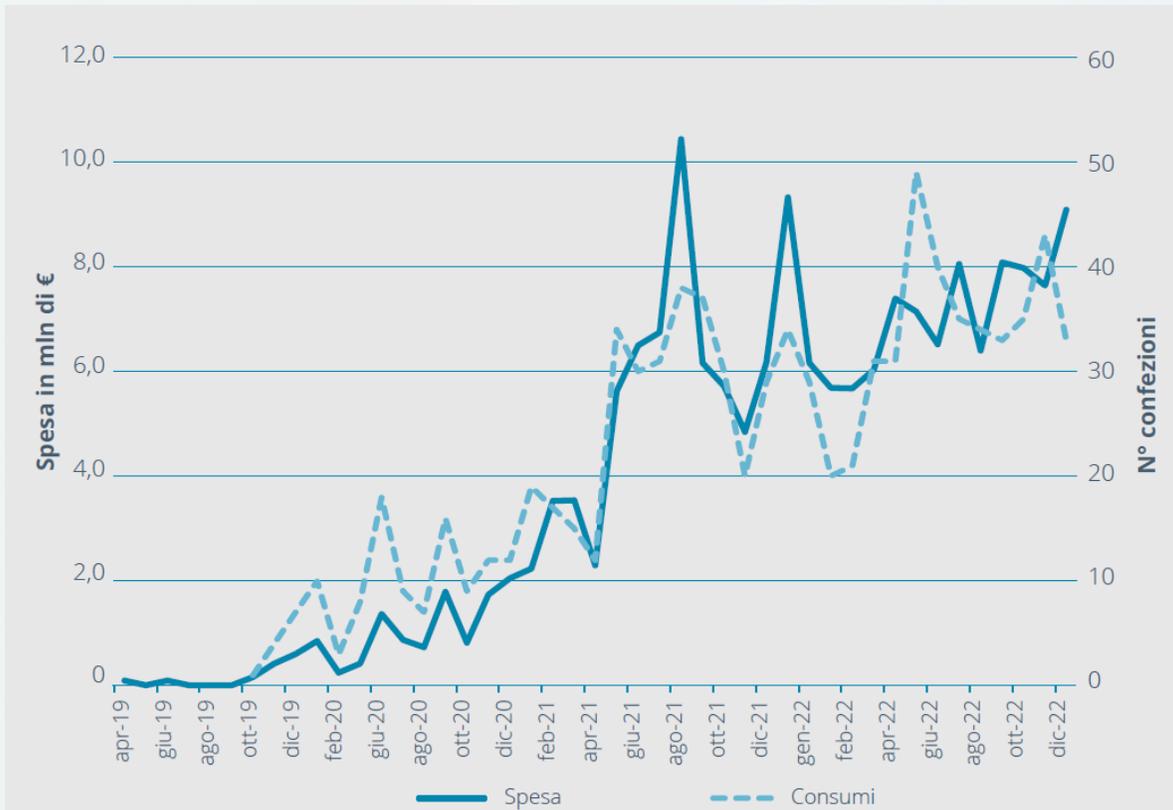
Risorse necessarie per il rimborso di terapie avanzate

Fulvio Luccini

22/11/2023

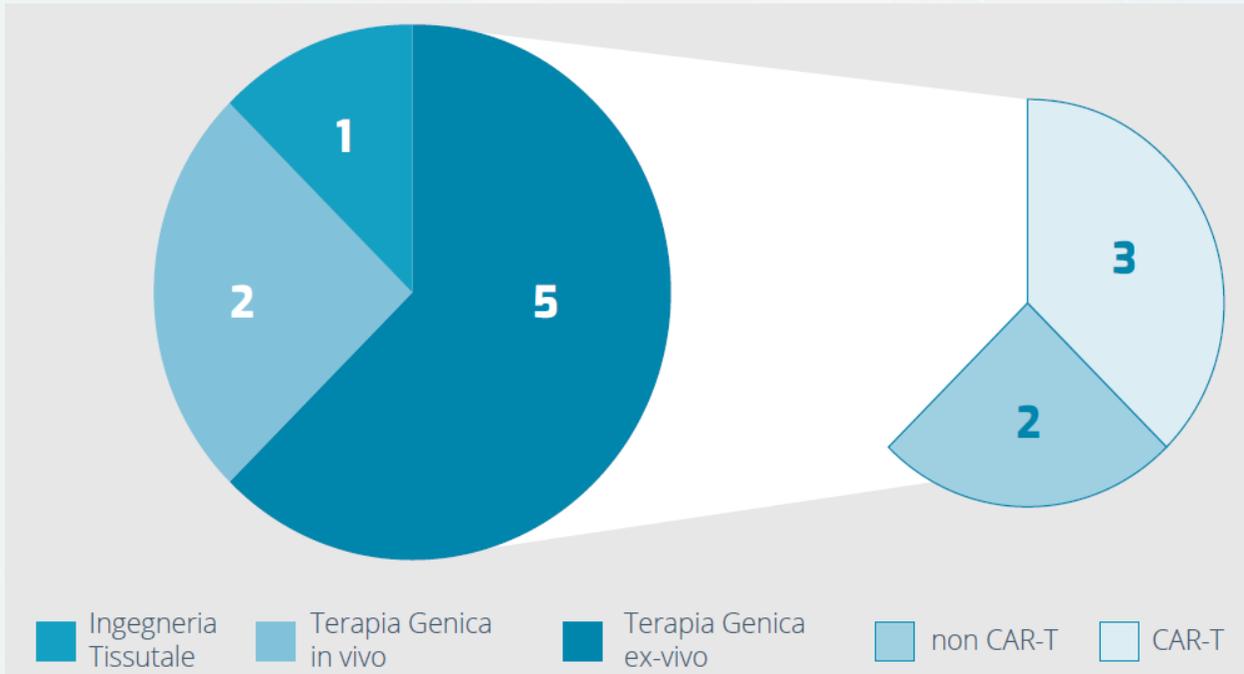


INQUADRAMENTO DI CONSUMI E SPESA



Anno	Consumi		Spesa	
	N° confezioni	Incidenza sul totale SSN (per 1 milione)	Spesa in milioni di euro	Incidenza sul totale SSN (per mille)
2016	0	0	0	0
2017	0	0	0	0
2018	0	0	0	0
2019	14	0	1,4	0,1
2020	140	0,1	16,7	0,7
2021	339	0,2	73,5	3,1
2022	405	0,3	85,7	3,4
Totale	898	0,1	177,3	1,1

- ATMP Rappresentano il **3,4 per mille del totale di spesa SSN** (25 miliardi di Euro) nel 2022
- Ancora meno se si considerano i consumi....

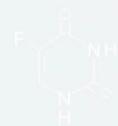
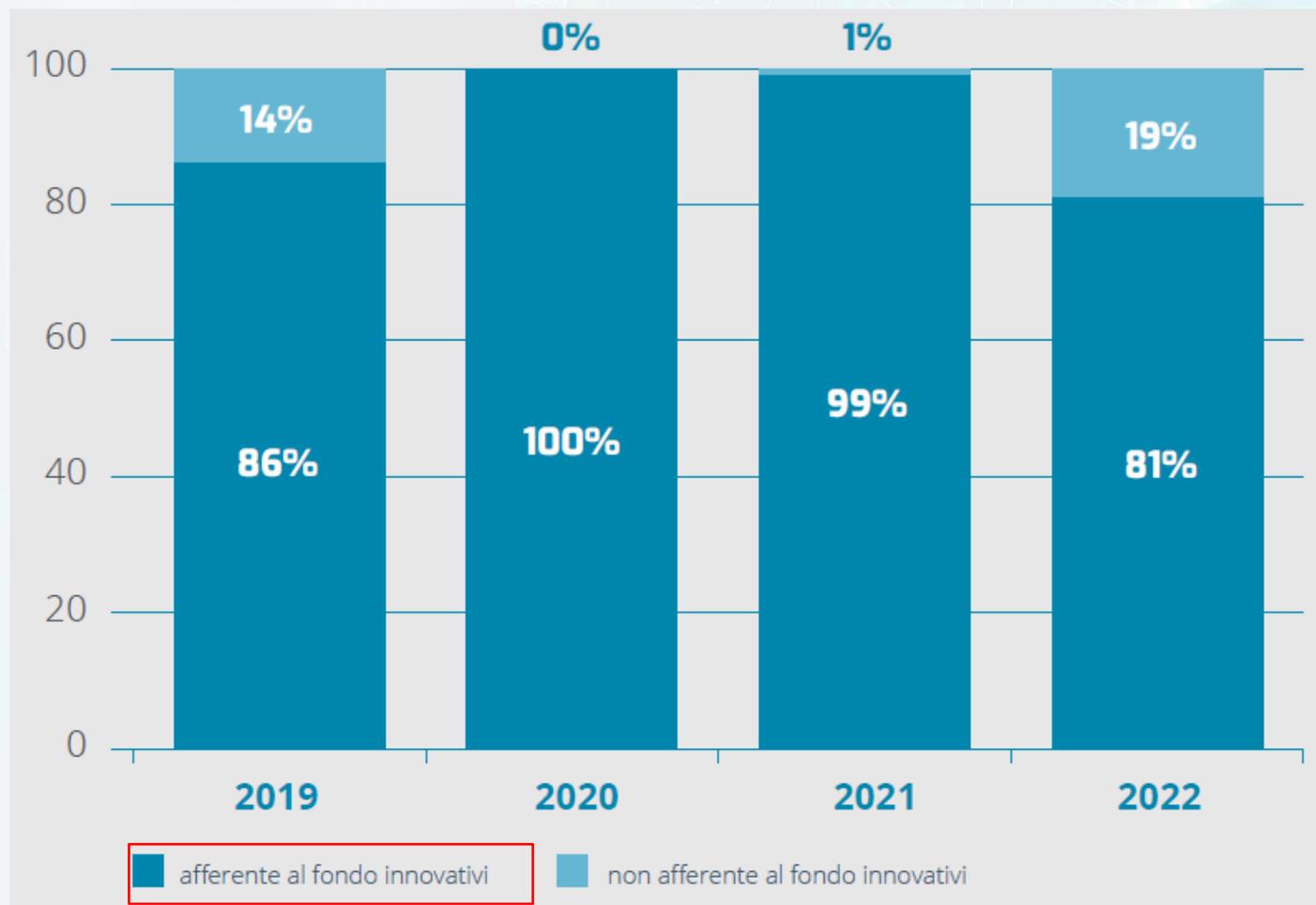


Anno	CAR-T				non CAR-T			
	Terapia genica <i>ex vivo</i>		Ingegneria tissutale		Terapia genica <i>in vivo</i>		Terapia genica <i>ex vivo</i>	
	N° confezioni	Spesa (mln €)	N° confezioni	Spesa (mln €)	N° confezioni	Spesa (mln €)	N° confezioni	Spesa (mln €)
2019	12	1,2	2	0,2	0	0	0	0
2020	140	16,7	0	0	0	0	0	0
2021	246	48,4	2	0,2	91	25	0	0
2022	335	70,3	2	0,2	68	15,3	0	0
Totale	733	136,6	6	0,6	159	40,3	0	0

- Il **63% degli ATMP rimborsati** sono **terapie geniche *ex vivo***, di cui più della metà sono **CAR-T**
- **CAR-T** rappresentano oltre **80% della spesa per ATMP nel 2022**.

INNOVATIVITA'

- **L'innovatività terapeutica** è stata riconosciuta a quasi tutte le indicazioni rimborsate
- La **spesa degli ATMP** è stata per la maggior parte **sostenuta** utilizzando il **fondo** destinato ai farmaci **innovativi**



Razionale
ancora valido

Scenario di **spesa per ATMP, plausibile** con le ipotesi ad oggi più coerenti con le informazioni disponibili, pur consapevoli che il percorso che rende le terapie disponibili è complesso e può incontrare significativi **cambi di aspettative**, come di fatto è avvenuto (ritiro di terapie, lo slittamento delle aspettative di lancio, il rallentamento nella curva di adozione ipotizzata).

Maggiore
esperienza

Dopo 7 anni dalla prima approvazione in Italia di un ATMP, possiamo rivedere alcune assunzioni sulla base di una **maggiore esperienza** e **benchmark** con quanto si è effettivamente realizzato

Molte
Incertezze

Esiti dei trial clinici per le terapie ancora in fase II e III, e probabilità che la terapia arrivi poi effettivamente alla commercializzazione nel semestre stimato

Nuove aree terapeutiche, difficoltà di stimare la popolazione eleggibile

Nuove terapie, **nuove tecnologie**, complessa identificazione proxy di prezzo

Tasso di trattamento ancora dipendente da molti fattori organizzativi

Si precisa che:

- ✓ **tutte le assunzioni inglobate nel modello, non derivate da dati pubblici ed oggettivi, sono state elaborate in totale autonomia decisionale dal team ATMP Forum.**
- ✓ **le assunzioni non sono in alcun modo anticipatorie dei pareri e delle decisioni degli organismi regolatori europei e nazionali.**



ATMP considerati
nell'analisi e relative
indicazioni di
malattia



Lancio in Italia
(semestre)

ASSUNZIONI ED IPOTESI DEL MODELLO

Inclusi:

- ATMP rimborsate o in fase di valutazione/negoziazione con AIFA
- ATMP in valutazione CAT (aggiornamento al 30 Agosto 2023)
- *Pipeline* aziendali in nota fase di sviluppo più avanzata (fase II-II/III o studi pivotali)
- ATMP per i quali l'azienda titolare ha richiesto l'iscrizione al programma PRIME

Raggruppati per area di patologia o indicazione.

Esclusi:

- ATMP con assenza di sufficienti elementi pubblici o deducibili (ipotesi di lancio in Italia non prevedibile per ritardi noti delle sperimentazioni o ritiro da valutazioni, o con dati di popolazione eleggibile non rilevabili, etc)
- Per farmaci già rimborsati: data della GU italiana di rimborso e prezzo
- Negli altri casi, assumendo 12 mesi per MA europea + 12 mesi per il rimborso in Italia.
- La **produzione di effetti economici** per ATMP su nuove aree terapeutiche è stata spostata con inizio dal semestre successivo a quello di previsione dell'ottenimento della rimborsabilità



Dimensione della popolazione

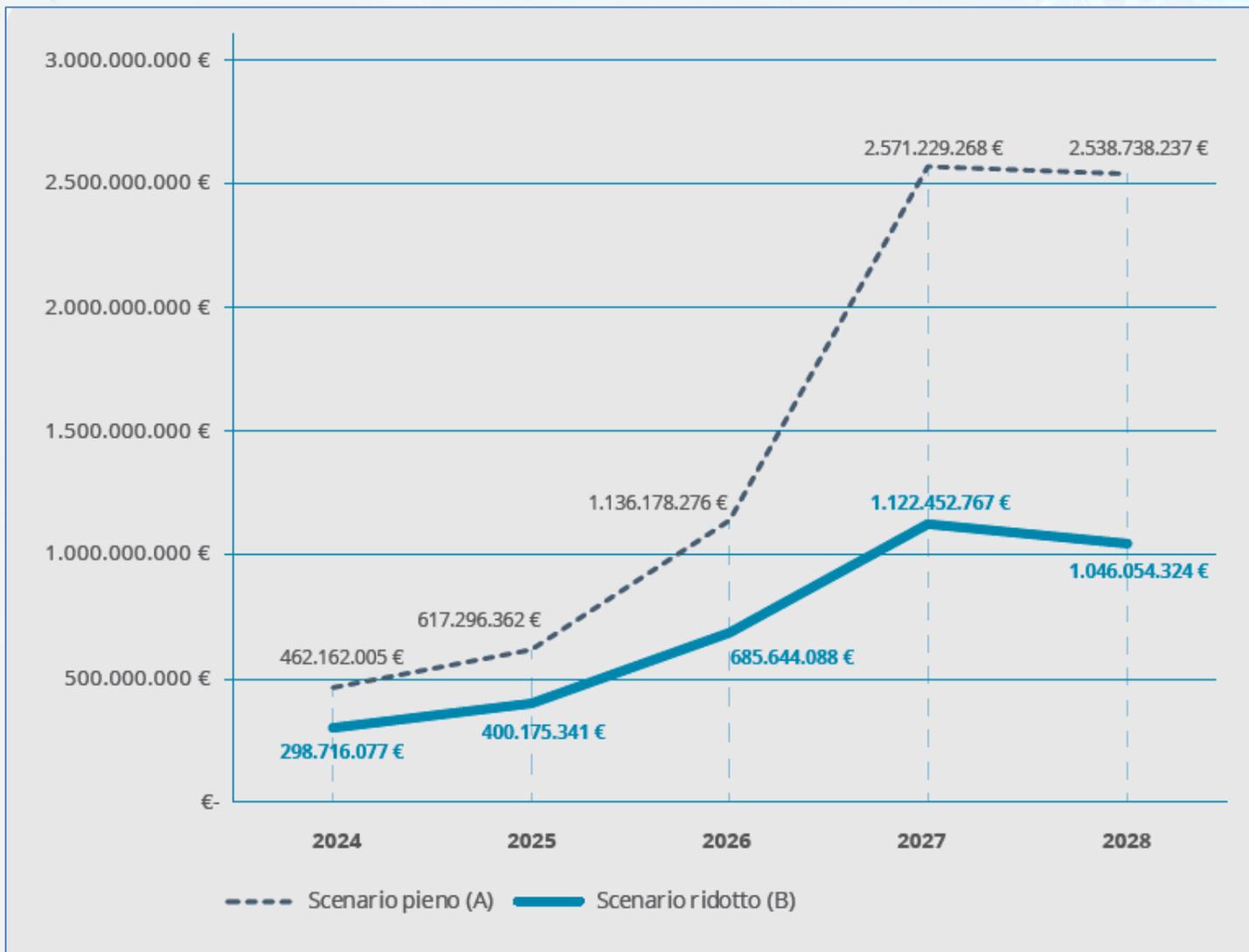


Costo/Trattamento per paziente

ASSUNZIONI ED IPOTESI DEL MODELLO

- **Stime epidemiologiche** (analisi di letteratura, esperti dell'area terapeutica, consultazione criteri di arruolamento degli studi di fase II e III)
- **Tasso di trattamento** stimato in funzione delle dimensioni epidemiologiche e del tasso di mortalità (i.e. per patologie con una mortalità molto elevata, un tasso di trattamento più elevato pur in presenza di dimensioni epidemiologiche più ampie)
- Prezzo *ex-factory* italiano, al lordo di eventuali condizioni negoziali (non pubbliche), se già disponibile
- Il prezzo o la media dei prezzi di ATMP con popolazione target simile in Italia
- Il prezzo concordato negli USA in caso di approvazione FDA, ridotto del 22% sulla base della media delle differenze calcolate per ATMP approvati sia da AIFA che da FDA
- Per tecnologie nuove, su patologie target diverse, ma con una alternativa terapeutica o SOC noto, prezzo = stima del costo di trattamento alternativo *one shot* o per 3 anni
- Per ATMP indirizzati al trattamento di patologie oncologiche per i quali non è stato possibile applicare alcun altro *benchmark*, la media di prezzo attesa per farmaci oncologici (2020)
- Per le patologie oculari, è stato ipotizzato il trattamento di entrambi gli occhi

SCENARI DI SPESA PER ATMP



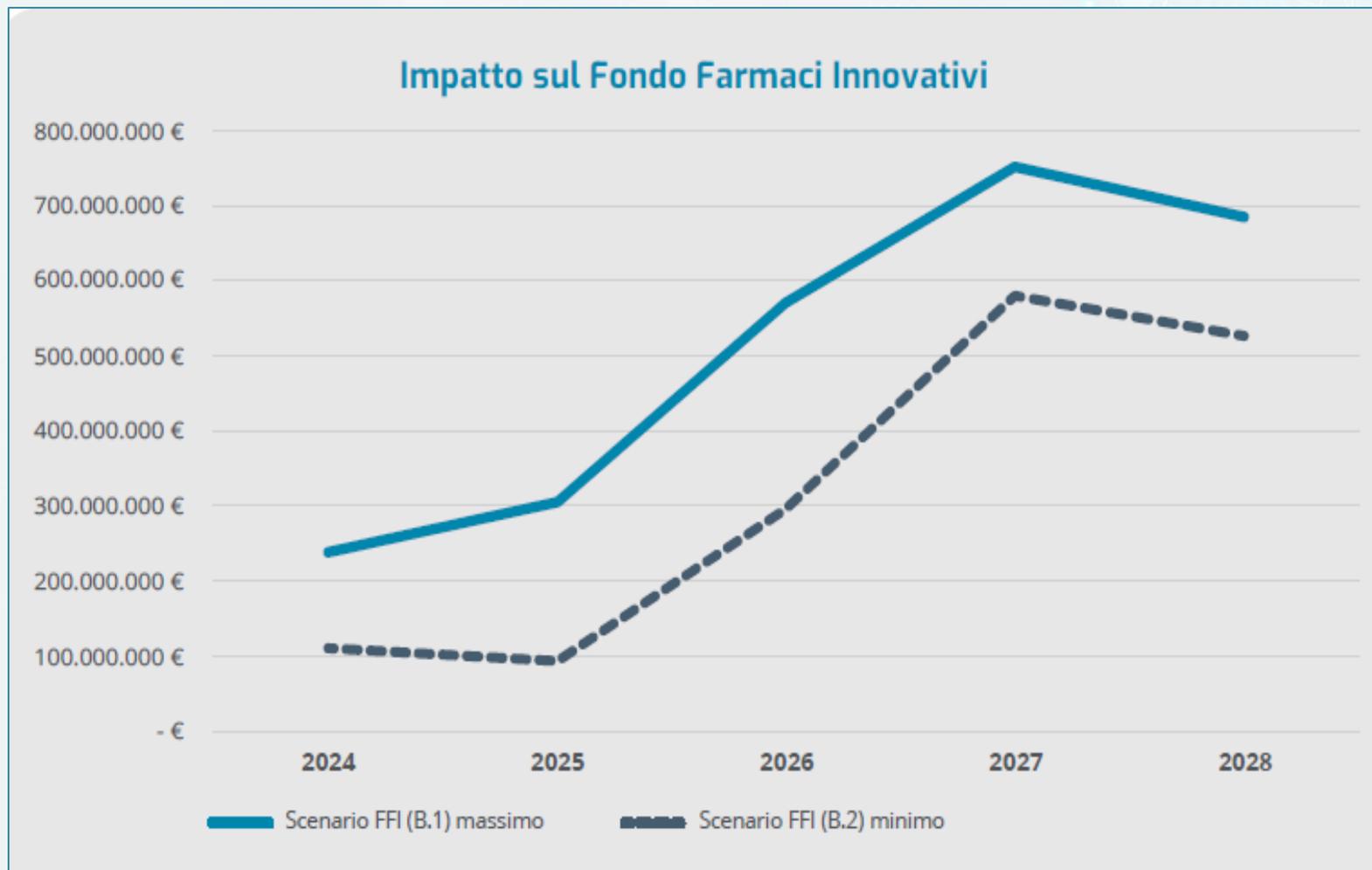
Scenario pieno (A): - - - - -

- valori espressi come fatturato *ex-factory* al lordo di sconti e condizioni negoziali e accordi confidenziali
- probabilità del 100% che gli ATMP vengano effettivamente approvati e rimborsati entro 2028

Scenario ridotto (B): —————

- riduzione del 30% sulla spesa per tutte le patologie/indicazioni (incorpora anche un'ipotesi di applicazione di sconti confidenziali);
- ulteriore riduzione del 20% su aree terapeutiche dopo almeno 24 mesi dalla rimborsabilità del primo ATMP (presumibile rinegoziazione)
- ulteriore riduzione del 50% della spesa su aree terapeutiche con un primo ATMP previsto dal IV anno del modello (riflette l'incertezza nella probabilità di lancio)

POSSIBILE IMPATTO SUL FONDO FARMACI INNOVATIVI

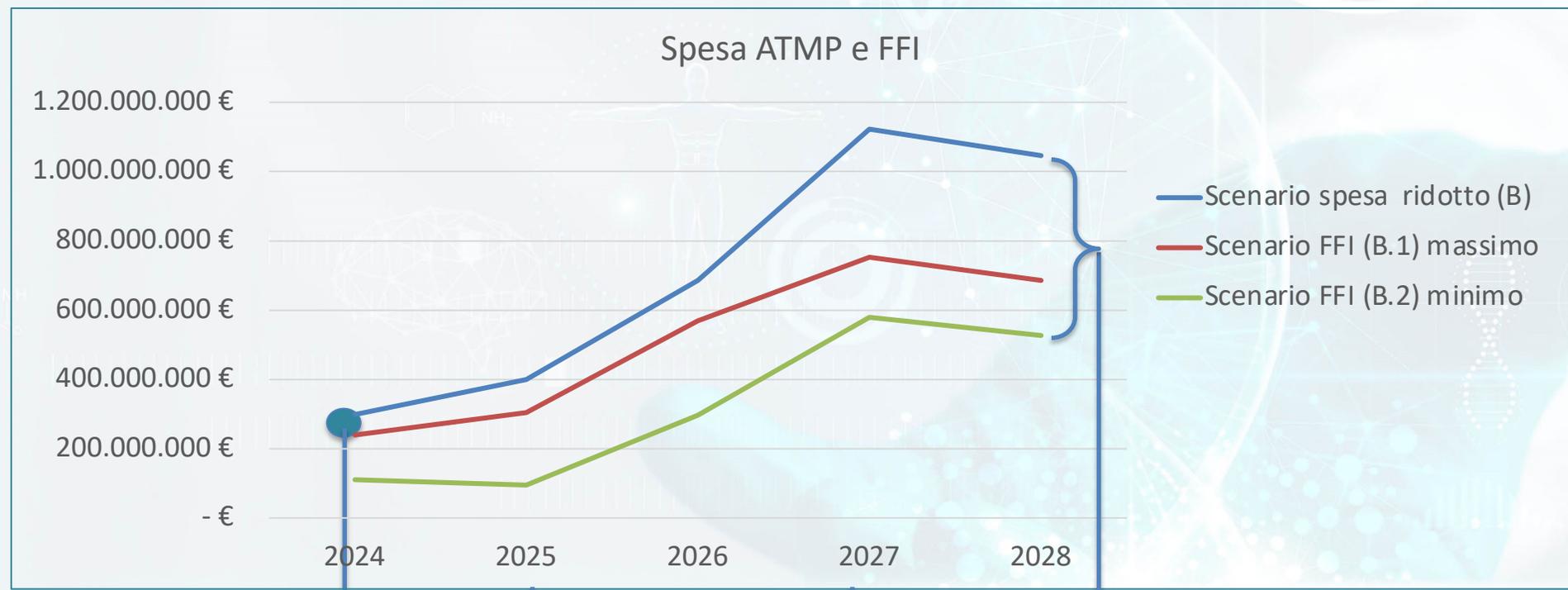


Scenario B.1

- per aree di patologia con ATMP già commercializzati:
 - spesa inclusa nel FFI se concessa innovatività piena alla prima ATMP e per il periodo effettivo (fino ad un massimo di 36 mesi dalla GU).
 - per le aree di patologia che raggruppano diverse indicazioni /ATMP sia innovativi che non innovativi, 50% di accessibilità al FFI
- per aree di patologia/indicazioni nuove, spesa inclusa nel FFI per un periodo massimo di 3 anni.

Scenario B.2

Esclude ATMP che potrebbero non soddisfare totalmente tutti i criteri per la concessione dell'innovatività piena

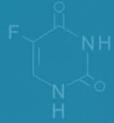


E' plausibile?

Crescita evidente del numero di ATMP

Quota di spesa non coperta dal FFI (spesa corrente)

GRAZIE



PUL SE 82

SBD 125

CONTENUTI



VI
REPORT ITALIANO
sugli ADVANCED THERAPY
MEDICINAL PRODUCTS
- OTTOBRE 2023 -

- **12 mesi di ATMP**
- **La ricerca e la sperimentazione degli ATMP: tra innovazioni, sfide ed opportunità**
- **Status regolatorio e di accesso degli ATMP in Europa (update 2023)**
- **Terapie avanzate: uso, accesso e disponibilità in Italia**
(a cura di AIFA, settore HTA e Politiche del Farmaco)
- **La programmazione e la gestione regionale dell'accesso agli ATMP**
(Esiti del Regional ATMP Forum, con la collaborazione di SIFO)
- **Il coinvolgimento del paziente sui percorsi di cura con ATMP**
(Esiti del Patient ATMP Forum, con la collaborazione di UNIAMO e La Lampada di Aladino – FAVO)
- **La proiezione di spesa per gli ATMP in Italia nei prossimi 5 anni**

Si ringrazia per la collaborazione:

- **AIFA** (l'Agenzia Italiana del Farmaco) - Settore HTA ed economia del farmaco
- **Assobiotec** (Associazione nazionale di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie)
- **Associazione Lampada di Aladino con FAVO** (Federazione Italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia)
- **SIFO** (Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie)
- **UNIAMO** (Federazione Italiana Malattie Rare)

È tutti gli altri esperti (**ricercatori, professionisti sanitari, regioni, associazioni pazienti, aziende produttrici, associazioni di categoria, economisti, farmacologi**) che hanno contribuito alla raccolta delle informazioni necessarie alla stesura del Report.



VI
REPORT ITALIANO
sugli ADVANCED THERAPY
MEDICINAL PRODUCTS

- OTTOBRE 2023 -