

# I MEAs nella declinazione europea

**Prof. Francesco Saverio Mennini**

**Research Director, Economic Evaluation and HTA (EEHTA)**

**CEIS, Facoltà di Economia, Università degli studi di Roma «Tor Vergata»**

**and**

**Institute of Leadership and Management in Health, Kingston University, London, UK**

**Presidente Nominato e Vice Presidente Vicario, SiHTA**

**Past President, ISPOR Italy Chapter, Rome**

## MEAs

La classificazione delle possibili forme di MEAs può essere riferita allo scopo principale per cui è richiesta:

Accordi per gestire l'impatto del budget.

Accordi per gestire l'incertezza relativa al beneficio clinico e al rapporto costo / efficacia.

Accordi per gestire l'utilizzo e ottimizzare le prestazioni

Accordi per gestire l'impatto del budget: utilizzato nel caso in cui l'incertezza riguardi l'impossibilità di avere una previsione attendibile delle spese risultante dall'adozione di nuove tecnologie o in cui la spesa è considerata troppo remota per il sistema nel suo complesso.

Accordi per gestire l'incertezza relativa al beneficio clinico e al rapporto costo / efficacia: utilizzato se l'incertezza circa effectiveness ha una prospettiva a lungo termine. Gli strumenti di gestione adottati favoriscono, in questo caso, la raccolta di prove attraverso studi post marketing o registri di monitoraggio (*Coverage with Evidence Development*).

Accordi per gestire l'utilizzo e ottimizzare le prestazioni: utilizzato nel caso in cui sia necessario collegare l'adozione di nuove tecnologie a specifici vincoli di fornitura e misure di gestione volte ad individuare il gruppo specifico di pazienti.

Accordi di carattere prettamente finanziario  
*Financial Based Schemes* (CS, Capping, Prezzo  
Volume)

Accordi di condivisione del rischio basati  
sull'outcome *Performance Based* (PbR, RS, SF)

Combinazione delle due tipologie

Gli strumenti per gestire l'impatto sul budget includono PV, limiti di budget, limiti di dose, sconti, PF e corrispondenza del prezzo con il comparatore. La gestione dell'impatto del budget è uno dei principali obiettivi di MEA in Belgio, Repubblica Ceca, Francia, Italia, Lituania, Portogallo e Regno Unito.

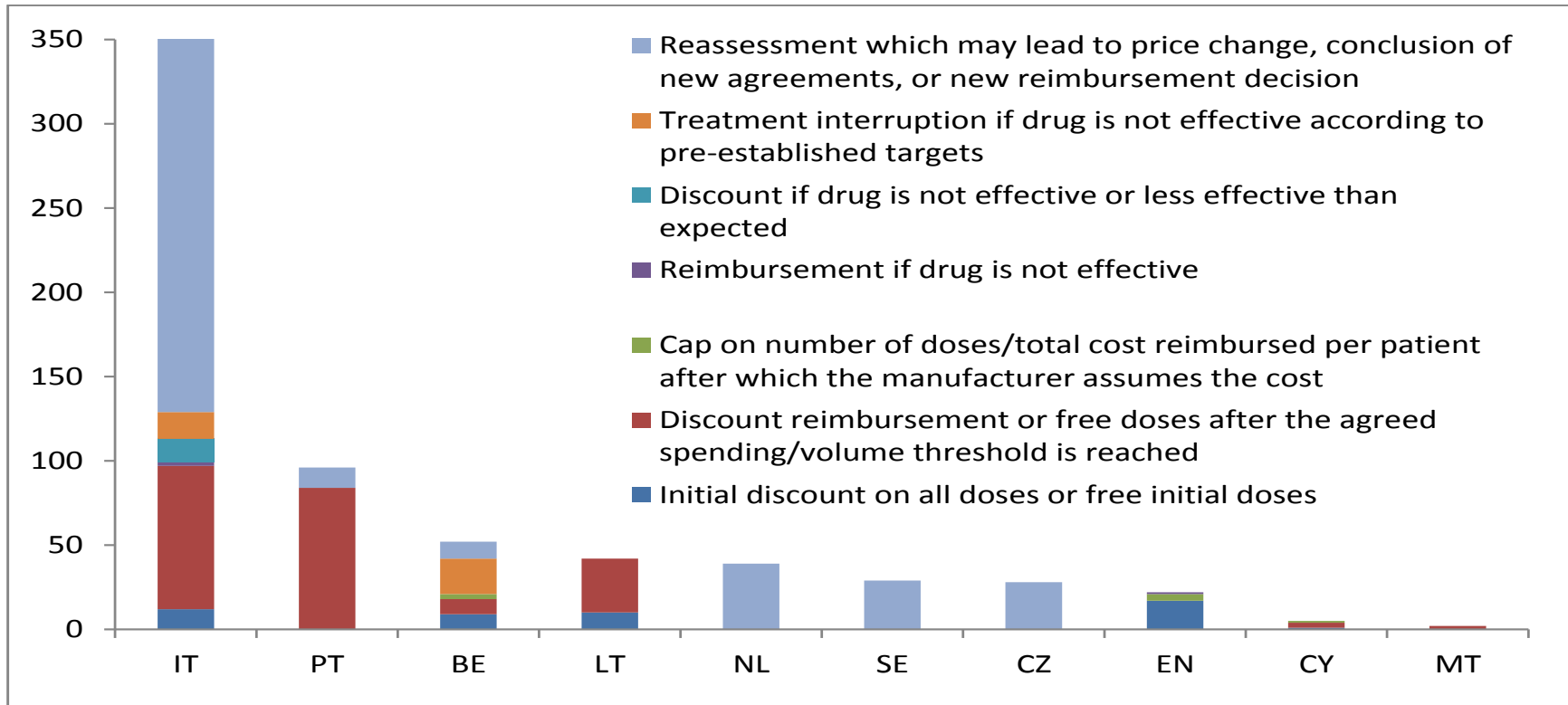
Sebbene questi schemi siano concepiti per affrontare l'impatto sul budget, .....in assenza di una corretta previsione di spesa correlata al fabbisogno reale rispetto alla spesa ottenuta, **non è possibile stabilire** se i programmi attuati **riescano a gestire l'impatto sul bilancio.**

Due modalità principali per affrontare l'incertezza relativa alla clinica e / o costo-efficacia.

- 1) concedere il rimborso per un periodo di tempo limitato durante il quale verranno raccolte ulteriori prove sull'efficacia del farmaco e aggiornare successivamente la decisione di rimborso in base ai nuovi risultati in termini di costo-efficacia.
- 2) Il secondo modo è quello di diminuire il prezzo o limitare l'utilizzo in modo che il rapporto costo-efficacia sia migliorato a causa dei costi inferiori. Questa opzione non affronta la questione di fondo dell'incertezza in termini di costo-efficacia e non garantisce accesso.

- 1) limitare la prescrizione e il rimborso a specifiche indicazioni terapeutiche e ai sottogruppi di pazienti. Gli strumenti utilizzati comprendono la limitazione della prescrizione a centri sanitari specializzati, l'uso di biomarker e la certificazione del medico che il paziente soddisfa i requisiti di idoneità e il monitoraggio.
- 2) Sebbene progettati per ottenere prestazioni di utilizzo ottimali, non è chiaro in che misura siano implementati nella pratica, cioè se riescono davvero a limitare il rimborso a specifici sottogruppi di pazienti.

# MEAs in EU



Notes: BE: Belgium, CY: Cyprus, CZ: Czech Republic, EN: England, IT: Italy, LT: Lithuania, MT: Malta, NL: Netherlands, PT: Portugal, SE: Sweden



- 1) Sulla base del disegno e delle caratteristiche dei MEA negli Stati membri, nel complesso sembra che questi accordi **siano ben attrezzati per raggiungere i loro obiettivi.**
- 2) Non sono da escludere le sfide di attuazione e solo un'analisi dell'impatto basata sui risparmi generati e le sfide incontrate nell'attuazione dei MEA (ad esempio difficoltà nell'ottenere rimborsi per i non rispondenti dal produttore, fattibilità del ritiro dei farmaci che si è rivelato non redditizio) **consentirebbe di stabilire il loro impatto reale.**

I MEA sembrano essere uno strumento di Policy comune data la complessità della fissazione dei prezzi e il rimborso dei farmaci.

Data anche la pressione sulle autorità per garantire l'accesso anticipato ai farmaci, nonché nuove sfide dovute a nuovi meccanismi terapeutici, i.e. immunoncologia, i **MEA rappresentano oggi un buon strumento.**

**Ma.....**

L'esperienza del passato mostra tuttavia che per sfruttare i vantaggi di MEA relativi all'accessibilità per i pazienti, alla convenienza economica per la società e alla redditività delle aziende farmaceutiche, **è necessario tenere conto delle dinamiche del mercato al momento della creazione di MEA** e della **nuova tipologia di trattamenti** che arriveranno in un futuro prossimo.

Durante gli ultimi 30 anni si è assistito a progressi notevoli nelle scienze biologiche: Cuori artificiali; nuovi farmaci; trapianti di organo, che hanno permesso un innalzamento della QoL.



..... vivremo in un mondo in cui potremmo prendere di mira le cellule cancerose con autentica precisione, respirare con polmoni trapiantati da animali di allevamento e somministrare cure mediche dai migliori H del mondo. **Genomica:** riuscendo a districare i 3mld di coppie di base che costituiscono il nostro DNA e decodificando chi siamo a livello molecolare..riusciremo a capire perché e come si è sviluppato un cancro (1)

(1) National Human Genome Institute, Oct 2010.



**E' un cambio di prospettiva radicale: non più un orizzonte temporale limitato.**

.....impone lo sviluppo di nuovi strumenti statistici per la valutazione degli effetti dei trattamenti, strumenti finalizzati a descrivere la distribuzione dei benefici in termini di sopravvivenza e non solo il loro valore mediano e la riduzione “media” del tasso di mortalità (HR).....

**Ma anche strumenti di Valutazione Economica e Finanziaria**

## Nuovo Paradigma

Occorrono regole e strumenti chiari che definiscano e tutelino l'innovazione.

## Come fare?

I Paesi EU stanno utilizzando una varietà di strumenti per affrontare l'incertezza derivante dalla mancanza di informazioni sull'impatto del bilancio, sull'efficacia dei costi, sull'utilizzo nella vita reale e sull'accesso.

Nonostante il numero non trascurabile di accordi attuati, **sono disponibili poche informazioni sull'impatto (costi diretti ed indiretti)** di questi regimi e sulla loro conformità ai loro obiettivi.

Ancora, **la scarsa quantità di informazioni disponibili** nel pubblico dominio ostacola l'apprendimento tra paesi e la capacità dei pazienti di impegnarsi nel processo.



Necessario valutare i maggiori costi che il sistema sanitario e quello economico nel complesso sosterebbero in assenza dei farmaci efficaci correntemente disponibili.

La spesa sanitaria pubblica si attesterebbe su valori superiori o inferiori?

Quale impatto sul PIL?

**COSTO OPPORTUNITA'**

Il valore non è coincidente con il prezzo, che rappresenta solo la quantificazione iniziale dell'offerta da parte del venditore, bensì è il frutto della composizione della curva della domanda con quella dell'offerta. Tale composizione può essere del tutto teorica e potrebbe anche non produrre, nei fatti, uno scambio.

.....l'utilità marginale che l'acquirente può ottenere dall'acquisizione del bene.

Farmaco?


Coniugare il **valore “terapeutico” del farmaco con il suo valore economico e sociale**, un esercizio cui sono chiamati i decisori del settore sanitario, i medici, gli operatori sanitari ..... ma anche i pazienti, e tutti i decisori coinvolti (Min Economia, INPS, INAIL) .



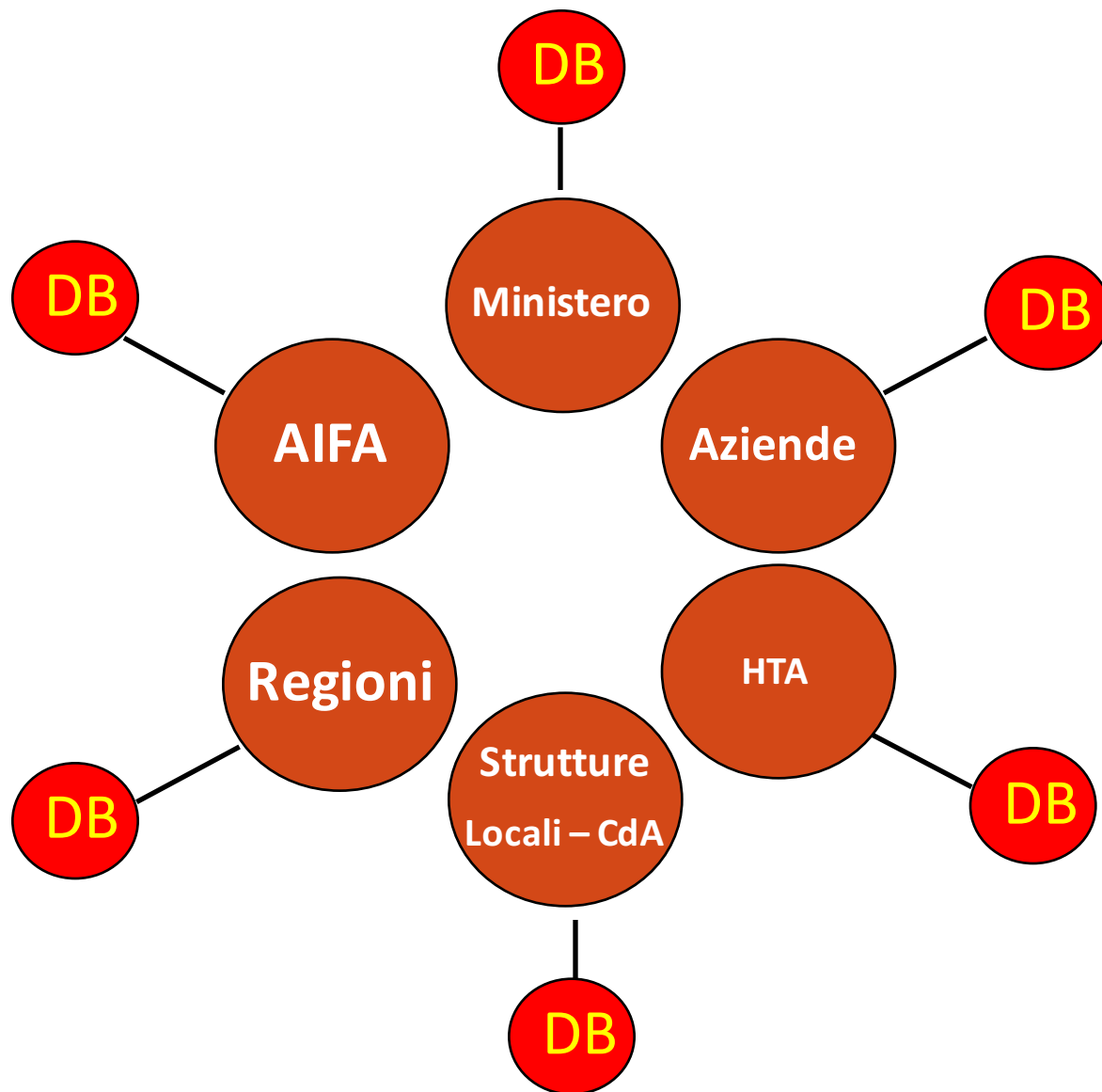
Per garantire un approccio proattivo in termini di valore del farmaco risulta cruciale il tema delle regole di accesso al mercato. Occorrono regole chiare che definiscano e tutelino l'accesso e l'innovazione.

*Ma .....Non Solo.....*

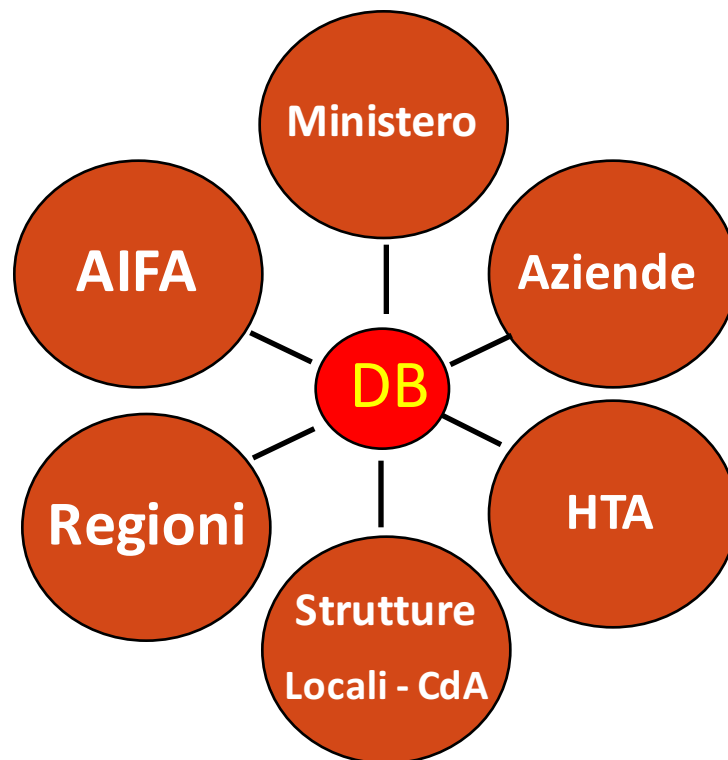
- Investimento (nuovi strumenti finanziari da affiancare ai MEA....);
- Utilizzo di modelli previsionali circa l'impatto tanto sulla spesa pubblica quanto sugli investimenti (*program evaluation* si pone l'obiettivo di valutare l'impatto di determinati interventi pubblici; microeconometria; .....costo opportunità....);

 I MEA non dovrebbero diventare una soluzione rapida per introdurre farmaci costosi, **ma essere integrati in un processo** di introduzione gestita di nuovi farmaci che parte dalle attività di *horizon scanning*, passa alle previsioni, alla valutazione HTA, ai prezzi e ai rimborsi e continua con studi post-marketing e sorveglianza.....**Programmazione Sanitaria.**

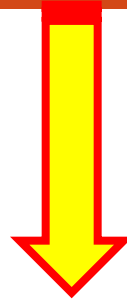
Da così.....



... a così !



....ma anche....EU



*Proposal for a  
REGULATION OF THE EUROPEAN PARLIAMENT  
AND OF THE COUNCIL on health technology  
assessment and amending Directive 2011 / 24 / EU*

31 Gennaio 2018

Gli Stati membri potranno utilizzare strumenti, metodologie e procedure comuni in materia di HTA in tutta l'UE, collaborando in quattro settori principali:

- 1) valutazioni cliniche congiunte incentrate sulle tecnologie sanitarie più innovative, dall'impatto potenzialmente più significativo sui pazienti;
- 2) consultazioni scientifiche congiunte grazie alle quali gli sviluppatori possono chiedere la consulenza delle autorità di valutazione delle tecnologie sanitarie;
- 3) individuazione delle tecnologie sanitarie emergenti al fine di riconoscere precocemente le tecnologie promettenti;
- 4) proseguimento della cooperazione volontaria in altri settori.

## EU Proposal (January 2018)

Come ci si comporterà in futuro se la Proposal dovesse avere seguito?

**Agreements to manage the budget impact:** ..... Qui siamo nell'area di spettanza dei singoli Stati membri..dunque influenza molto bassa se non inesistente.

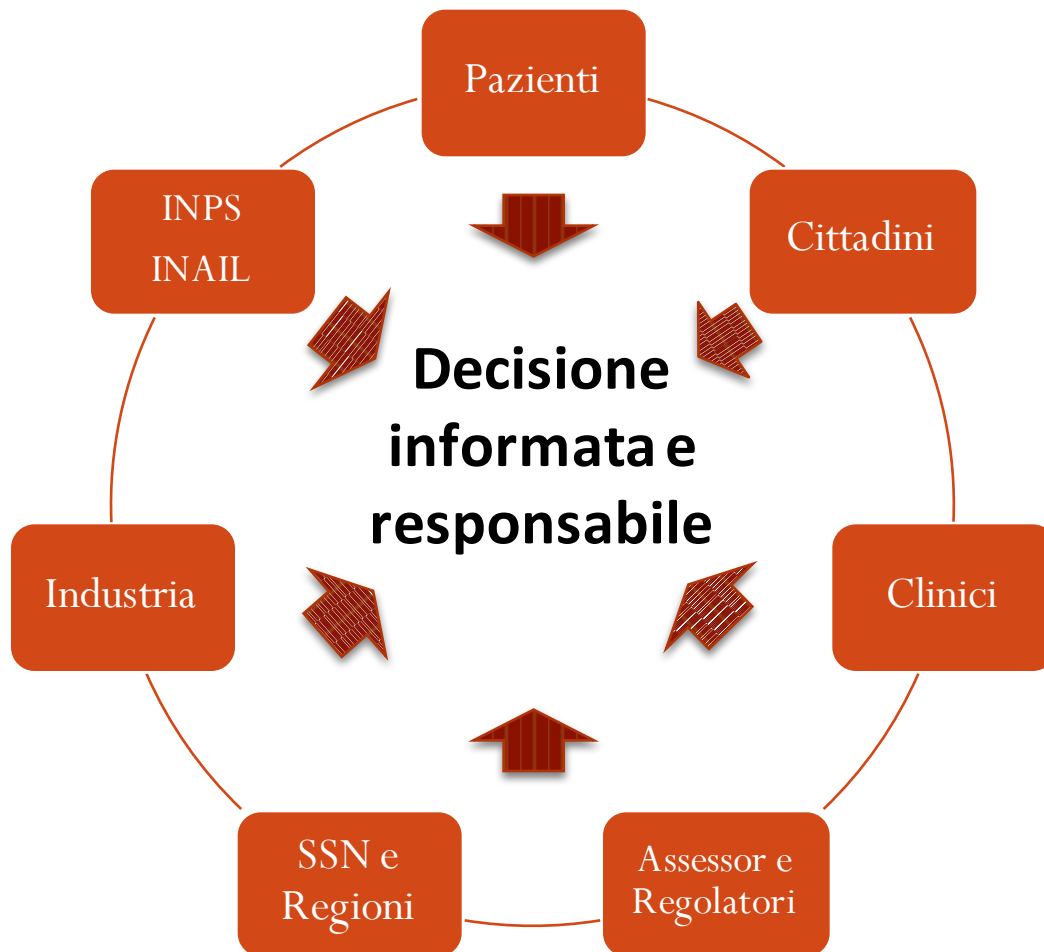
**Agreements to manage the uncertainty concerning the clinical benefit and cost/effectiveness ratio:** qui sicuramente la Joint Clinical Assessment avrà un ruolo predominante anche in relazione all'utilizzo dei MEA.....

**Agreements to manage the use and optimize performance:** ..... Anche qui si profila un impatto significativo.....

- a) La responsabilità della valutazione degli **aspetti non clinici** (i.e.: **economici, sociali, etici**) delle tecnologie sanitarie e delle decisioni in materia di fissazione dei prezzi e di rimborso continuerà a **incombere sui singoli paesi dell'UE**".
- b) Si prevede che, una volta adottata ed entrata in vigore, **sarà applicabile dopo tre anni**.



- A. Identificazione di fattori concreti di successo (compresi politica sanitaria, fattori legali, normativi e politici) per schemi contrattuali, guardando gli esempi esistenti e definendo le condizioni generali necessarie per garantire regimi chiari, equi e raggiungere un accesso efficace e tempestivo ai pazienti.
- B. Esplorare i modi in cui i sistemi di raccolta dei dati esistenti a livello nazionale ed europeo possono essere ulteriormente sfruttati in Europa.
- C. Identificare gli ostacoli del sistema di fissazione dei prezzi e dei rimborsi all'accesso, in particolare per quanto riguarda l'impatto della referenziazione internazionale dei prezzi.



- Chiaro **quadro istituzionale**;
- Pazienti e associazioni consapevoli del proprio **ruolo**;
- Conoscenza del quadro e **competenze** utili a fornire un contributo alla fase di prioritizzazione e di “giudizio”

**NEVER GIVE UP**

**Economic Evaluation and HTA (EEHTA)**

# **Prof. Francesco Saverio Mennini**

**Research Director**

Economic Evaluation and HTA (EEHTA), CEIS, Faculty of Economics, University of Rome «Tor Vergata»  
Institute of Leadership and Management in Health, Kingston University London, UK

**Presidente Nominato, SiHTA**

**Past President, ISPOR Italy Chapter, Rome.**

**GRAZIE PER L'ATTENZIONE**

[f.mennini@uniroma2.it](mailto:f.mennini@uniroma2.it)

Web: <http://www.ceistorvergata.it/area.asp?a=626>