



5ª Commissione Bilancio Senato della Repubblica

Disegno di legge sulla proposta di legge di Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2022 e bilancio pluriennale per il triennio 2022-2024 (AS 2448)

La proposta di #VITA (Valore ed Innovazione delle Terapie Avanzate)¹

Il contesto

La pandemia da Covid-19, con i suoi risvolti tragici, ha dato forte evidenza all'importanza della tutela della salute umana e alla sua natura di bene pubblico fondamentale, mettendo altresì in evidenza l'importanza di **investire sulla salute dei cittadini**.

Investire in Salute significa, innanzitutto, investire nel futuro delle persone e dell'intero Paese, aumentarne la capacità di resistenza davanti ad ulteriori possibili criticità, liberare le persone dalle malattie e ottimizzare, altresì, essenziali risorse economiche per il SSN.

*“Negli ultimi decenni, i progressi raggiunti nello studio del Dna hanno radicalmente trasformato la modalità di trattamento delle patologie basate sul genoma, portando all'affermazione di nuove terapie geniche in grado di affrontare in modo promettente diverse malattie considerate non trattabili. La diffusione dell'epidemia e la spasmodica ricerca di un vaccino hanno reso chiaro che la salute, insieme all'ambiente, sono fattori decisivi che determinano in modo inequivocabile la sostenibilità economica e sociale di un paese”.*²

Nel **Policy Paper dell'Health & Life Sciences TF al G20** si dichiara la necessità di privilegiare gli investimenti in programmi di prevenzione e terapie adeguate che riducano la pressione su sanità e welfare. Ciò comporta la necessità di cambiare il *mindset*, **considerando la sanità non più come costo piuttosto come investimento al fine di rafforzare l'uso della tecnologia per migliorare la prevenzione, la previsione, la diagnosi precoce e il trattamento delle malattie**. Ciò deve essere sostenuto da valutazioni tecnologiche che riflettano l'intero costo umanistico, economico e sociale della malattia (o della mancata adozione della tecnologia). Le valutazioni economiche del sistema di erogazione dell'assistenza sanitaria, dunque, devono fondarsi su metriche che dovrebbero essere sviluppate con una **prospettiva sociale più ampia per garantire l'efficacia degli investimenti e dei fattori di costo nel sistema sanitario**.

Ciò comporta la determinazione di tutti i costi umanistici, economici e sociali della malattia (valore sanitario), con particolare attenzione al miglioramento delle valutazioni economiche per identificare con precisione gli impatti sul PIL.

Inoltre, vi sono diverse menzioni relative all'efficienza all'interno dell'ampio contesto del rafforzamento dei sistemi sanitari post-COVID. In particolare, nel recente **rapporto della “Commissione Monti” dell'OMS Europa** si propone uno **shift delle fiscal policies a favore dell'innovazione e dell'efficienza del Sistema**

¹ **#VITA** (Valore ed Innovazione delle Terapie Avanzate) è un gruppo di aziende farmaceutiche specializzate nel settore delle terapie avanzate (ATMP), che intendono promuovere la diffusione e la valorizzazione delle Terapie Avanzate avente le seguenti finalità: (a) diffondere in modo trasparente la conoscenza tra i vari stakeholders del valore innovativo e dei benefici terapeutici delle ATMP per i pazienti e cittadini; (b) assicurare che gli stessi stakeholders acquisiscano dati e fatti oggettivi in merito alle opportunità e alle criticità delle ATMP al fine di avviare un dialogo costruttivo per garantire ai pazienti ed alle strutture sanitarie un pronto accesso all'innovazione. Fanno parte di **#VITA**: Bristol Myers Squibb- Celgene, bluebird bio, Gilead, Pfizer, PTC Therapeutics e Roche

² Prof. Mauro Marè, *“I conti e la Sanità. Ci mancano attrezzi per investire”*, L'Economia edizione del 23 Novembre 2020.



sanitario, raccomandando che:

- il modo in cui vengono acquisiti i dati sulla spesa sanitaria cambi, in modo che vi sia una **distinzione più chiara tra la spesa sanitaria corrente, da un lato, e i cosiddetti investimenti** nella prevenzione delle malattie e nel miglioramento della l'efficienza dell'assistenza, dall'altro;
- vengano apportate modifiche al modo in cui vengono acquisiti i dati sulla spesa sanitaria in modo che vi sia una distinzione più chiara tra la spesa sanitaria corrente e gli investimenti. Ciò incoraggerà i paesi a investire di più nei servizi di prevenzione e probabilmente sosterrà l'innovazione, tanto necessaria, e che migliora l'efficienza dell'assistenza.

Le Terapie Avanzate

Nell'ambito di questo quadro, lo sviluppo delle **terapie avanzate** (ATMP: Advanced Therapy Medicinal Products) presenta nuove opportunità per il trattamento e la prevenzione di una varietà di patologie (le malattie geniche, quelle oncologiche e le malattie a lunga prognosi) o per ristabilire, correggere o modificare funzioni fisiologiche compromesse negli esseri umani, anche con la correzione di mutazioni acquisite su base genetica.

Le Terapie Avanzate consistono in una tecnologia medica molto complessa nella quale il genoma ricombinato è utilizzato come una sostanza farmaceutica. Vengono somministrate in **un'unica soluzione, intervengono in modo diretto sulle cause della malattia** e non sui sintomi, **sono in grado di curare o trasformare radicalmente la storia clinica di un paziente**, con un evidente disallineamento temporale tra costi effettivi, che ad oggi sono concentrati sostanzialmente nell'anno specifico in cui emerge l'esigenza finanziaria di spesa (esattamente come avviene per i **farmaci tradizionali che però non sono curativi della causa ma dei sintomi, con l'effetto che la spesa per il farmaco è perfettamente allineata con i benefici per il paziente, che permangono solo fintantoché lo stesso continua ad assumere il farmaco**³), e i benefici futuri, che – diversamente dai farmaci tradizionali - sono invece pluriennali ("*life time*")⁴.

Queste terapie hanno la peculiarità di produrre **benefici di tipo diretto e indiretto, che vanno adeguatamente considerati nel calcolo dell'impatto sui bilanci pubblici in un'ottica pluriennale**:

- ✓ **L'aumento della speranza di vita**
- ✓ **Il miglioramento della qualità della vita umana**
- ✓ **Il risparmio di cure, di consumo di farmaci e di servizi sanitari**
- ✓ **La riduzione dei costi relativi all'aumento della capacità lavorativa**
- ✓ **Ulteriori benefici in termini di recupero della produttività sul lavoro per lunghi periodi della vita che risulta migliorata nei suoi aspetti psicologici, relazionali e sociali**
- ✓ **L'incremento della redditività anche sociale (i.e. maggiore gettito fiscale)**

Nel prossimo decennio è previsto un aumento notevole del numero delle terapie avanzate. Entro il 2030, infatti, potrebbero essere **immesse nel mercato fino a 60** nuove terapie geniche e cellulari a livello globale, che potrebbero riguardare complessivamente circa **350.000 pazienti (circa 50.000 pazienti ogni anno**⁵).

³ Dunque, si tratta di spesa corrente perché riferita all'acquisto di beni e servizi la cui «utilità» economica si esaurisce nell'esercizio contabile in cui ha avuto luogo la spesa.

⁴ Dunque, si tratta di spesa in conto capitale perché riferita all'acquisto di beni e servizi quando l'effetto si ripercuote su più anni.

⁵ Estimating the Clinical Pipeline of Cell and Gene Therapies and Their Potential Economic Impact on the US Healthcare System - Casey Quinn, PhD, Colin Young, PhD, Jonathan Thomas, BSc, Mark Trusheim, MSc the MIT NEWDIGS FoCUS Writing Group, Center for Biomedical Innovation, Massachusetts Institute of Technology, Cambridge, Massachusetts, USA.



Per questo, appare urgente definire **apposite soluzioni sul piano dell'individuazione delle risorse con cui finanziarle**, che deve dunque essere affrontata oggi stesso per non arrivare nel prossimo futuro impreparati.

*“Una parte crescente dei nuovi protocolli sanitari produce in modo indiscutibile effetti sistemici di medio e lungo periodo. L'epidemia ha messo in evidenza che una parte rilevante della spesa sanitaria (dai vaccini alle terapie geniche) presenta **caratteristiche certe di investimento in grado di produrre benefici su un arco temporale pluriennale**. Per le terapie geniche, ad esempio, si tratta di un nuovo paradigma”⁶.*

La necessità di considerare la componente di investimento in alcune spese pubbliche è emersa già da tempo nel sistema dei conti nazionali dell'ONU e dell'UE (ESA 2010). **La spesa sanitaria e quella per l'ambiente hanno una componente di investimento indiscutibile**, che influenza il capitale umano e la produttività e che andrebbe adeguatamente considerata.

Sul piano dell'analisi economica, le nuove tecnologie, come le terapie geniche, rappresentano una sfida per i sistemi sanitari pubblici, che dovranno valutare la loro sostenibilità, date le risorse disponibili, e soprattutto i criteri adeguati per misurare il processo finanziario, contabile e di pagamenti.

Il volume delle risorse necessarie per accedere a queste terapie e le modalità di finanziamento sono in prospettiva lo snodo decisivo, perché determineranno la minore o maggiore disponibilità dei sistemi sanitari a sostenerne il costo. Le ATMP, infatti a causa della loro enorme complessità, presentano dei costi economici importanti, che si aggirano tra 1 milione e 2 milioni di euro per somministrazione, che riflettono i costi di produzione (in particolare, quelli di ricerca e sviluppo), di delivery e gestione e la sostenibilità commerciale di queste terapie.

La proposta di #VITA

Alla luce delle caratteristiche intrinseche delle ATMP e della emergente conoscenza e consapevolezza da parte dei pazienti che sta facendo emergere una domanda crescente, il SSN sarà sempre più messo di fronte a scelte non facili di carattere economico e morale, con la conseguenza inevitabile di un ritardo all'accesso alla terapia da parte dei potenziali pazienti **e la limitazione dell'uso della stessa a sottogruppi di pazienti, all'interno dell'indicazione approvata.**

Risulta, quindi, quanto mai importante proporre un nuovo metodo di finanziamento (frazionato e rateizzabile oltre l'anno finanziario e outcome based). Tale modello prevede un **meccanismo di condivisione del rischio tra SSN e aziende produttrici dei possibili risultati clinici**: se in qualunque momento del periodo di rateizzazione la terapia non dovesse risultare efficace, il SSN non dovrà versare le successive rate annuali che saranno così a carico delle aziende produttrici.

Con questo metodo di rateizzazione il SSN sarebbe nelle condizioni di **compensare la spesa annuale con il risparmio per il SSN generato dalla terapia nello stesso anno corrente** e garantire l'accesso alle terapie ad un numero elevato di pazienti potenzialmente eleggibili.

Da ciò ne deriva la **possibilità di costruire una norma ad hoc recante una specifica autorizzazione di spesa a carattere pluriennale con competenza giuridica e competenza economica allineate, anche in termini di copertura finanziaria.**⁷

⁶ Prof. Mauro Marè, “I conti e la Sanità. Ci mancano attrezzi per investire”, L'Economia edizione del 23 Novembre 2020

⁷ Le Commissioni riunite Bilancio e Politiche UE, nonché la Commissione Igiene e Sanità hanno approvato uno specifico punto all'interno della propria relazione inviata al Governo in merito all'esame del Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza con il quale si impegna il Governo ad inserire quale ulteriore obiettivo di rilievo nell'ambito della missione 6 la definizione di nuove forme di finanziamento e sostenibilità in grado di garantire l'accesso alle terapie innovative al più ampio numero di pazienti potenzialmente eleggibili, individuando nuovi modelli di accesso per quelle terapie che hanno anche una evidente componente di investimento per il servizio sanitario.



Commissioni riunite Bilancio e Politiche UE, punto 6.6.3

https://www.senato.it/japp/bgt/showdoc/18/SommComm/0/1210387/index.html?part=doc_dc-allegato_a

Commissione Igiene e Sanità, punto 13

https://www.senato.it/japp/bgt/showdoc/frame.jsp?tipodoc=SommComm&leg=18&id=1209886&part=doc_dc-allegato_a