

Analisi delle tempistiche di introduzione nel mercato italiano di nuove entità chimiche/nuove indicazioni terapeutiche oncologiche e onco-ematologiche

L.Pivetta (1), F.Schmid (2), A.Ossato (2), M.Caeran (2), A.Martini (2), L.Dal Mas (2), G.Annaloro (1), G.Troiano (1), M.Font (3), R.Joppi (1).



1. Direzione Farmaceutico-Protesica-Dispositivi medici, Regione Veneto
2. Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi di Padova
3. UOC Assistenza Farmaceutica Territoriale, Azienda ULSS n. 9 Scaligera



Introduzione

In Italia, il processo autorizzativo delle NCE/NI ha inizio con la Marketing Authorization (MA) da parte dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) e termina con l'autorizzazione dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Una volta ottenuta la MA, le nuove entità chimiche (NCE)/nuove indicazioni (NI) sono valutate dalla Commissione Tecnico Scientifica (CTS) per la definizione dei criteri di rimborsabilità (in particolare la presenza di Registri di monitoraggio) e la decisione sull'eventuale innovatività; successivamente il Comitato Prezzi e Rimborso (CPR) ne decide il prezzo ed eventuali accordi di accesso condizionato al mercato (MEA).

Obiettivo

Analizzare, in termini di rimborsabilità, innovatività, monitoraggio AIFA e presenza di MEA, le NCE/NI oncologiche (O) e onco-ematologiche (OE), che hanno ricevuto la MA nel periodo 01.09.2019 – 31.08.2021.

Metodi

Le informazioni utilizzate nella presente analisi sono state ricavate consultando gli *European Public Assessment Reports* (EPAR), pubblicati sul sito dell'EMA, i verbali delle riunioni di CTS e CPR, disponibili sul sito di AIFA, e le determinazioni dell'Agenzia italiana, pubblicate in Gazzetta Ufficiale (GU). Le informazioni raccolte sono state successivamente sistematizzate e archiviate in un database *ad hoc*, realizzato su Microsoft Excel. I dati presentati sono aggiornati al 15.09.2021.

SPECIALITÀ	PRINCIPIO ATTIVO	SETTING	INDICAZIONE	MALATTIA RARA (SI NO)	AREA TERAPEUTICA (OE, ON, MR, TT)	CLASSIFICAZIONE (NCE, NI, FG, FB, NFF, A)	EU CHMP P.O. DATE	EU M.A. DATE	ANNO MA EMA per conteggio	TEMPISTICHE MA-GU	CTS (SI)	CPR (SI)	Data GU (SI)	Data per formula GU (SI)	CLASSE DI RIMBORSABILITÀ	GU Cnn	SINTESI STATO AIFA REGOLATORIO (CNN, CTS, CPR, GU, NP)	INNOVATIVITÀ SOLO GAZZETTA (SI, NO)	REGISTRO MONITORAGGIO SOLO GAZZETTA (SI, NO)	MEA (SI, NO)
Cyramza	ramucirumab	K al polmone non a piccole cellule metastatico	In combinazione con erlotinib per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con cancro al polmone non a piccole cellule metastatico con attivazione del fattore di crescita epidermico mutazioni del recettore (EGFR).	NO	ON	NI	12/12/2019	23/01/2020	2020	16	CTS (6, 7, 8, 9 e 12 Aprile 2021): Procedura conclusa	/	GU Serie Generale n.123 del 25-05-2021 (Determina n. DG/567/2021)	25/05/2021	NR		GU	NO	NO	NO
Cyramza	ramucirumab	K epatocellulare	Cyramza in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma epatocellulare avanzato o non resecabile che hanno un'alfa fetoproteina (AFP) sierica di >400 ng/ml e che sono stati precedentemente trattati con sorafenib	SI	ON	NI	27/06/2019	01/08/2019	2019	21	CTS: 6 - 9 e 12 aprile 2021		GU Serie Generale n.123 del 25-05-2021. Determina n. DG/567/2021	25/05/2021	NR		GU	NO	NO	NO

Risultati

Nel periodo 2019-2021 EMA ha approvato 227 farmaci, dei quali 75 sono O/OE (33%; 26 NCE, 49 NI).

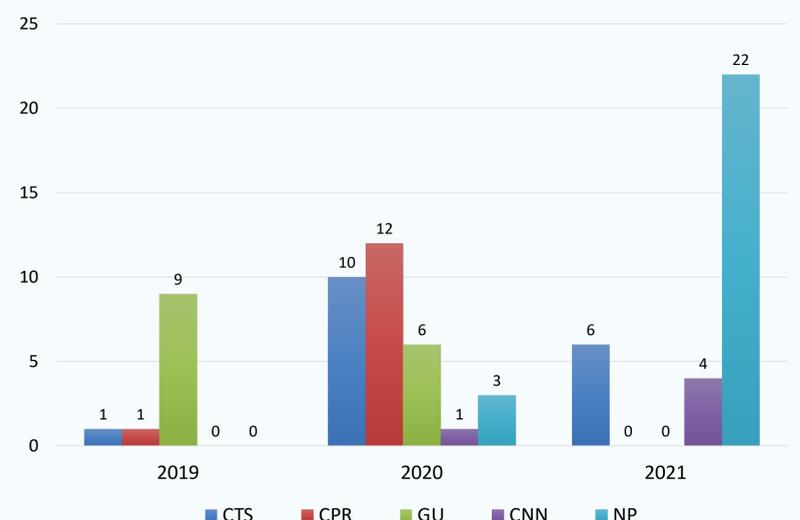
Anno	Approvazione EMA	CTS	CPR	CNN	GU	NP
2019	11	1	1	0	9	0
2020	32	10	12	1	6	3
2021	32	6	0	4	0	22
TOTALE	75	17	13	5	15	25

CTS: Comitato Tecnico Scientifico; CPR: Comitato Prezzi e Rimborso; CNN: classe C non Negoziata; GU: Gazzetta Ufficiale; NP: Non Pervenuto.

Delle 75 NCE/NI approvate da EMA, 15 sono state autorizzate anche in Italia e di queste ultime, quattro hanno ottenuto l'innovatività terapeutica, cinque hanno registro di monitoraggio, mentre per nessuna è previsto un MEA.

La mediana della tempistica tra la MA e la pubblicazione della determina AIFA è risultata pari a 12 mesi [IQR 10-13,5; NI=11 (IQR 10-12,8); NCE=13 (IQR 13-16)].

STATUS AIFA PER ANNO



Discussione e conclusioni

- Dei farmaci autorizzati da EMA nel periodo considerato un terzo sono O/OE, di cui il 65,3% NI con una tempistica mediana di rimborsabilità di 11 mesi (IQR 10-12,8) vs. i 13 mesi, rilevati per le NCE (IQR 13-16).
- La quasi totalità delle NCE/NI con MA nel 2019 ha ottenuto la determina AIFA di rimborsabilità e prezzo, la maggior parte di quelle autorizzate da EMA nel 2020 sono in valutazione da parte di CTS o CPR, mentre per la maggioranza delle NCE/NI con MA rilasciata da EMA nel 2021, l'iter autorizzativo in AIFA non risulta ancora avviato.

Referenze

Joppi R, Demattè L, Menti AM, Pase D, Poggiani C, Mezzalana L. Italian Horizon Scanning Project Group. The Italian Horizon Scanning Project. Eur J Clin Pharmacol. 2009 Aug;65(8):775-81.