

# IHPB

## ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF

OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

### QUANDO IL RISPARMIO MINA LA SOSTENIBILITÀ DEL SISTEMA SANITARIO IL CASO DEI BIOSIMILARI PER LA CURA DELLE MALATTIE IMMUNO-MEDIATE

#### AUTORE:

**Stefano Del Missier**, *Direttore Editoriale IHPB*

#### INTRODUZIONE:

Questa pubblicazione racconta lo sviluppo di un progetto advocacy riguardante un tema cruciale per la salute dei pazienti con malattie immuno-mediate e per l'equilibrio e la governance del sistema sanitario del nostro paese, che ha spinto le associazioni a lavorare insieme e a creare un movimento d'opinione che potesse porre al centro dell'agenda politica problemi di vasta portata.

Il percorso di tale progetto è stato avviato in Regione Lombardia da tre Associazioni di Pazienti impegnate nelle rispettive aree terapeutiche – (ALOMAR - Reumatologia, AMICI - Gastroenterologia e APIAFCO<sup>1</sup> - Dermatologia) per poi allargarsi su tutto il territorio nazionale: come previsto fin dall'inizio, si puntava a realizzare un progetto advocacy di largo respiro, che attraverso l'adesione su scala nazionale di altre Associazioni di Pazienti, rappresentanti delle istituzioni e Società Scientifiche, potesse portare all'attenzione del paese il problema della presa in carico delle malattie immuno-mediate, al fine di garantire equità d'accesso alle cure per tutti i pazienti. L'iniziativa sottolinea come l'accesso alle cure e alle terapie più efficaci debba avvenire nel pieno rispetto di obiettivi di sistema, ovvero il raggiungimento della parità di bilancio nelle aziende sa-

nitarie e, di conseguenza, nel Servizio Sanitario Nazionale. Si è dichiarato sin da subito che la sostenibilità dei Sistemi Sanitari è possibile pur aumentando e migliorando il livello di servizio ai pazienti. In questo percorso di allargamento della base di studio, di confronto e di consenso, le Associazioni di Pazienti hanno quindi coinvolto non solo altre Associazioni ma anche rappresentanti delle Istituzioni, clinici, manager e professionisti, consci che solo una condivisione del percorso possa far gradualmente maturare le decisioni necessarie a farsi carico di pazienti fragili.

Si è così formata la **Coalizione per l'Equità di Accesso alle Cure per le Malattie Immuno-mediate**, con lo scopo di redigere un **Documento Programmatico** che potesse rappresentare e porre nell'agenda politica non solo il COSA bisogna fare per rispondere ai bisogni dei pazienti con malattie immuno-mediate, ma anche il COME bisogna farlo, con l'ambizione di rappresentare un supporto ad una migliore definizione delle linee d'indirizzo nelle policy sanitarie. La Coalizione, quindi, attraverso la sottoscrizione del suddetto documento, ha approfondito temi come la digitalizzazione, l'accessibilità alle informazioni, l'aderenza alle terapie, l'efficienza del sistema di cura e l'utilizzo dei farmaci biosimilari mediante un accurato «carotaggio» - ideologico e tecnico - in grado di promuovere un sistema sanitario davvero efficace ed efficiente. Le proposte della Coalizione rappresentano un'interessante piattaforma di lavoro per la XIX Legislatura appena iniziata.

<sup>1</sup> Si veda IHPB n.6/2021, "Malattie immuno-mediate: sostenibilità e innovazione per il Sistema Sanitario Regionale Lombardo".

## IL PESO DELLE MALATTIE, LA VOCE DEI PAZIENTI, IL SILENZIO DEL SISTEMA SANITARIO

Le malattie infiammatorie croniche immuno-mediate, costituiscono un ampio gruppo di patologie accomunate da alterazioni del sistema immunitario, di natura autoimmune, responsabili di un processo infiammatorio che tende a cronicizzare: dermatite atopica, psoriasi, colite ulcerosa, malattia di Crohn, artrite reumatoide e lupus eritematoso sistemico sono soltanto alcune di queste, citate a titolo di esempio, e possono interessare ogni fascia d'età, dal bambino all'adulto.

Le malattie immuno-mediate, in sintesi, sono malattie croniche che comportano, per i pazienti che ne sono affetti, una vita in cui spesso anche le azioni più semplici sono rese difficoltose: la malattia, infatti, può complicare ogni situazione, alterandone la normalità in termini non esclusivamente clinici ma anche emotivi, sociali ed esistenziali. Si tratta, quindi, di condizioni di fragilità che rappresentano, nella loro evoluzione e crescita, un rilevante problema di politica sanitaria acclarato in tutti i paesi del mondo avanzato.

Se in passato le opzioni erano limitate a poche soluzioni terapeutiche, con l'introduzione dei farmaci biotecnologici, queste malattie hanno subito una svolta nella loro presa in carico e gestione. Lo sviluppo poi, nel contesto dei farmaci biotecnologici, di farmaci biosimilari, ha permesso, a parità di efficacia e sicurezza delle terapie, una migliore sostenibilità del sistema, garantendo un più ampio ed equo accesso alle cure.

Sembrerebbe la classica situazione in cui "si trova la quadra" tra efficacia delle cure, e sostenibilità di sistema: ma tale equilibrio sembra essersi rotto nel momento in cui, nella definizione delle gare per l'approvvigionamento di farmaci, la continua (e sola) ricerca del ribasso del prezzo di acquisto ha creato le condizioni per l'uscita dal mercato di alcune aziende produttrici, la riduzione delle opzioni terapeutiche per i clinici prescrittori, la sfiducia e la scarsa aderenza terapeutica da parte dei pazienti. Tendenza, questa, che si contrappone allo spirito che ha animato il Legislatore nell'emanazione

della norma del 2016 che regola il procurement dei biosimilari, che ha garantito un delicato equilibrio tra la sostenibilità economica e l'autonomia decisionale del clinico nel prescrivere la terapia più appropriata per i propri pazienti, potendo scegliere tra uno dei primi tre prodotti classificati nella graduatoria dell'accordo quadro.

Di fronte a tale situazione, il ruolo delle Associazioni di Pazienti è quello di prendere parte ai processi decisionali pubblici per quanto riguarda la materia salute: si tratta ormai un'esperienza consolidata, tanto che la "voce" dei pazienti ha storicamente preso corpo in alcune decisioni politiche di sanità pubblica, fino ad essere interlocutori privilegiati nel contesto di specifiche alleanze multistakeholder<sup>2</sup>.

In questa particolare esperienza, alcune Associazioni di Pazienti affetti da malattie immuno-mediate hanno rivolto ai clinici e alle Istituzioni alcune incisive e puntuali richieste: aprontamento di una rete ospedale-territorio efficace; disponibilità di protocolli terapeutici condivisi; maggior accesso alle cure, potenziamento dei servizi di Medicina digitale e telemedicina; implementazione e standardizzazione di percorsi per la presa in carico del paziente e gestione della cronicità; e coinvolgimento strategico e decisionale a livello di politiche sanitarie.

Sono richieste che, allo stato attuale, restano in gran parte insoddisfatte, complice una diffusa "distrazione" da parte delle Istituzioni: richieste di due milioni di individui che, in Italia, segnalano di non voler più subire quotidianamente stigma, diffidenza ed emarginazione dalla collettività, di non voler essere considerati un peso per il SSN, ma una risorsa per il Paese.

Si pensi a quanto accade per i pazienti con psoriasi, qualificata nel 2014 dall'OMS (Organizzazione Mondiale della Sanità) come "malattia sociale", cui, per esempio, si associano spesso a gravose complicanze di natura psicologica, quali la depressione, a titolo esemplificativo.

I pazienti, quindi, chiedono sempre più di potersi se-

2. Dalle esperienze di progetti advocacy condotti da IHPB si ricordano, per esempio, i progetti *MIGRAINE*, nel quale la collaborazione tra pazienti e clinici ha portato alla stesura di una lettera d'interessi per invitare la politica al riconoscimento della cefalea cronica quale malattia sociale, cui ha fatto seguito il processo legislativo che ha visto l'approvazione di una Legge dello Stato che ha sancito tale riconoscimento; e *Fratture da fragilità*, nel cui ambito si è costituita la Coalizione FRAME, composta da 18

dere ai tavoli di confronto e/o di decisione e di poter collaborare con tutti gli attori coinvolti nella gestione e trattamento delle loro patologie. Per governare il SSN bisogna basarsi su dati di qualità, e le Associazioni di Pazienti, non solo ormai raccolgono sistematicamente informazioni e dati dalla *real life*, ma possono operare in partnership con i vari attori fornendo contributi significativi nei percorsi di corretta informazione, supporto e accompagnamento ai pazienti. Tutto ciò potrebbe avere un importante impatto sia sul sistema salute, con riduzione dei costi assistenziali e maggior appropriatezza delle cure a cui potrebbe accedere un maggior numero di pazienti, sia sui pazienti stessi, con miglioramento dell'aderenza terapeutica e, ancora una volta, contenimento della spesa sanitaria.

L'iniziativa delle Associazioni dei pazienti con malattie immuno-mediate, in questo caso, è di difesa, nel senso che si sono dovute organizzare e raccogliere per dare più forza alla loro voce perché, pur a fronte di uno scenario potenzialmente virtuoso quale quello descritto, le "conquiste" fino ad oggi ottenute rischiano di essere messe in discussione da scelte che puntano a perseguire la ricerca di un continuo ribasso di prezzi di acquisto e di un "risparmio" immediato a scapito di una gestione del paziente basata su valutazioni di carattere medico scientifico. Infatti, nello specifico delle malattie immuno-mediate, si registra un crescente numero di casi in cui si evidenziano problemi legati alla limitazione della libertà prescrittiva dei clinici e alla riduzione delle disponibilità terapeutiche.

Le politiche di acquisto regionali, tramite basi d'asta sempre più ridotte, se da una parte determinano il continuo abbassamento del prezzo dei biosimilari con un risparmio nel breve per le casse regionali, dall'altra mettono in discussione, nel medio-lungo termine, l'intero mercato dei farmaci biotecnologici e, di conseguenza hanno effetti che si ripercuotono su tutti gli attori del sistema, pazienti compresi, a tutti i livelli. Stiamo parlando di limitata libertà prescrittiva del clinico e di switch multipli di terapia per i pazienti (messi

in difficoltà al punto da abbandonare le terapie), così come della potenziale messa in crisi dei meccanismi di mercato e di detrimento degli effetti positivi della concorrenza, con evidenti problemi di sostenibilità del sistema sanitario nel medio-lungo periodo.

Nel silenzio di un'inerzia negativa del sistema verso una deriva economicistica, la voce dei pazienti si è dunque levata, prima su base locale e poi su base nazionale, per richiamare l'attenzione a comportamenti che, in apparenza orientati al raggiungimento di obiettivi positivi, rischiano di fare danni irreparabili.

### UNA PRIMA "VOCE" IN REGIONE LOMBARDIA

Vale la pena ricordare che la prima iniziativa delle Associazioni dei pazienti per le malattie Immuno-mediate, come detto, è avvenuta in Regione Lombardia, dando vita ad un momento di confronto a porte chiuse con lo scopo di avere uno spazio d'interlocuzione con le istituzioni e poter dare voce alle istanze dei pazienti. L'iniziativa nasce in Lombardia anche a partire dalle considerazioni di quanto quella regione avesse subito l'impatto della pandemia di Covid-19 (come, probabilmente, nessuna altra Regione al mondo) e come sia stata tra le prime a dover affrontare il problema con dimensioni senza eguali, almeno in Italia. Tra pandemia e processi di riforma del sistema sociosanitario regionale, la Lombardia si è ritrovata, quindi, a dover ripartire sulla base di alcuni forti asset di politica sanitaria e si è trovata, almeno in sede politica, particolarmente sensibile alle istanze dei pazienti. E così, a partire da un Forum a porte chiuse, sono stati definiti i punti di un'azione di policy più ampia e condivisa da proporre in sede istituzionale al fine di realizzare un tavolo multi-stakeholder che potesse proporre spunti di miglioramento per la gestione dei pazienti con malattie immuno-mediate.

I primi spunti da inserire nell'agenda politica<sup>3</sup> riguardavano:

- il rapporto ospedale-territorio e le modalità di inte-

Associazioni di Pazienti, 6 Società scientifiche, 2 ordini professionali, il cui impegno congiunto ha condotto alla stesura e al formale riconoscimento da parte dell'ISS delle Linee Guida di diagnosi, trattamento e stratificazione del rischio per le fratture di fragilità.

3. Per una disamina approfondita, si veda IHPB n.6/2021, ib.

- grazione dei percorsi diagnostico-terapeutici;
- il consolidamento (dove esistente) e la creazione (dove mancante) di reti di patologia;
- la continuità terapeutica nella gestione della cronicità;
- l'aggiornamento degli strumenti di governo del sistema;
- l'apertura sistematica a dare voce ai pazienti.

Le tematiche hanno dato vita ad un movimento d'opinione di tale interesse per la discussione politica che è stata fatta un'Audizione in Consiglio Regionale - Commissione III "Sanità e Politiche Sociali" – di un rappresentante delle Associazioni di Pazienti e di uno degli specialisti clinici e, di seguito, è stata generata una piattaforma di lavoro con suggerimenti di policy sanitaria utili al recepimento dell'innovazione e al mantenimento della sostenibilità del sistema sanitario regionale.

Dall'audizione sono state infatti formulate cinque linee d'intervento per le policy sanitarie che potessero impegnare il governo regionale ad una più efficace governance del sistema, ovvero:

1. creare un tavolo di confronto regionale multistakeholder in materia di malattie immuno-mediate;
2. sviluppare il sistema di reti di patologia, consolidando la rete Reumatologia e dando vita alle reti di Gastroenterologia e Dermatologia in stretta e continua relazione tra loro, ampliando la partecipazione alle Reti e creando spazi di ascolto e di confronto con e tra le Associazioni di pazienti e i Medici di Medicina Generale, anche attraverso la costituzione di un Tavolo Regionale multistakeholder di confronto regolare tra le tre aree patologiche;
3. ampliare l'utilizzo dei farmaci biosimilari in modo omogeneo su tutto il territorio e per tutte le patologie invalidanti, attraverso l'utilizzo d'indicatori monitorati su base trimestrale;
4. considerare la partecipazione delle Associazioni di Pazienti nei gruppi di lavoro inerenti i capitolati di gara per l'approvvigionamento dei farmaci, la definizione dei PDTA di patologia, l'organizzazione

delle reti di patologia;

5. potenziare la possibilità di scambio di informazioni tra ospedale e territorio, tra specialisti e MMG coadiuvati da telemedicina e teleconsulto, e tra medici e pazienti, al fine di potenziare le visite, accedere alle informazioni, migliorare il livello di cura e ottimizzare i tempi e le rese di intervento.

L'obiettivo era quello di ottenere la più alta attenzione degli attori del sistema sanitario della Lombardia su queste tematiche in un dibattito pubblico, consci che il dialogo e il confronto con i pazienti aiutassero le istituzioni a definire scelte di politica sanitaria sempre più efficaci nel rispetto dell'appropriatezza medica e della sostenibilità economica. In Lombardia, paradossalmente, la libertà prescrittiva era tale che non si registravano ancora tassi di penetrazione dei biosimilari paragonabili a quelli di altre Regioni: in altri termini, c'era spazio per ampliare le coorti di pazienti in cura con farmaci biotecnologici.

In ogni caso, dalle considerazioni sul percorso fatto in Regione Lombardia, le Associazioni di Pazienti hanno deciso di fare l'ulteriore passo di sviluppo del proprio progetto, ovvero allargare la base delle associazioni su scala nazionale e coinvolgere le società scientifiche così come i rappresentanti delle Commissioni Salute delle principali Regioni italiane, in modo da offrire all'intera comunità nazionale le preoccupazioni sui trend in atto, forieri non solo d'interrompere l'incremento positivo dei percorsi terapeutici per le malattie immuno-mediate, ma anche destabilizzarne le condizioni con rischi di pericolose inversioni di tendenza.

## LA COALIZIONE E IL DOCUMENTO PROGRAMMATICO

La decisione di creare una *Coalizione per l'Equità di Accesso alle Cure per le malattie Immuno-mediate* è stato un primo step di un percorso per certi aspetti "visionario", con la prospettiva di promuovere momenti di comuni-

## COALIZIONE PER L'EQUITÀ DI ACCESSO ALLE CURE PER LE MALATTIE IMMUNO-MEDIATE

### NE FANNO PARTE:

- **AMICI Onlus**, Associazione Nazionale per le Malattie Infiammatorie Croniche dell'Intestino
- **ALOMAR Onlus**, Associazione Lombarda Dei Malati Reumatici
- **APIAFCO Onlus**, Associazione Nazionale Amici della Fondazione Natalino Corazza
- **ANMAR Onlus**, Associazione Nazionale Malati Reumatici
- **APMARR Onlus**, Associazione Nazionale Persone Malattie Reumatologiche e Rare
- **ALMAR Onlus**, Associazione Laziale Malati Reumatici
- **AAMAR Onlus**, Associazione Abruzzese Malati Reumatici
- **ACMAR Onlus**, Associazione Campana Malati Reumatici
- **CREI**, Collegio Reumatologi Italiani
- **ADOI**, Associazione Dermatologi Venereologi Ospedalieri Italiani

Figura 2 - composizione della Coalizione

cazione istituzionale (come, ad esempio, l'istituzione di una giornata annua dedicata alle condizioni immuno-mediate, con iniziative informative e campagne di comunicazione volte a sensibilizzare la cittadinanza circa l'impatto che tali condizioni hanno sulla qualità di vita di chi ne soffre) ma, soprattutto, con l'obiettivo di redigere un documento di consenso per il trattamento delle malattie immuno-mediate, prodotto attraverso processi di scrittura partecipativa "dal basso" e, dunque, con il

diretto coinvolgimento di pazienti e loro rappresentanti, che puntualizzasse le esigenze di cura, d'informazione e formazione e di presa in carico delle persone che affrontano tali condizioni. Si tratta, con ogni evidenza, di una visione del futuro coerente con gli obiettivi di empowerment ed engagement dei pazienti condivisi tra tutti gli attori di sistema.

Quello dei pazienti, infatti, è un ruolo "chiave": quale parte attiva del percorso decisionale essi possono infatti contribuire in maniera efficace e costruttiva alla crescita del sistema, migliorando gli outcome clinici e di conseguenza le performance economico-finanziarie che sono alla base della sostenibilità del sistema stesso.

Ai pazienti si sono aggiunti da un lato i rappresentanti delle principali società scientifiche delle patologie trattate, ovvero ADOI - Dermatologia, CREI - Reumatologia e IG-IBD -Gastroenterologia, e dall'altro i Presidenti delle Commissioni Salute di sei Regioni (Abruzzo, Campania, Lombardia, Puglia, Sicilia, Veneto). Unitamente a professionisti di settore, si è così costituita la Coalizione, un tavolo di lavoro multistakeholder con forte imprinting socio-politico, per dare forma e visibilità alle principali tematiche di policy sanitarie riguardanti le malattie immuno-mediate: partendo dalle esperienze dei pazienti, si desidera rappresentare nel modo migliore gli ostacoli all'equità di accesso, formulando proposte concrete per rimuoverli con il contributo di tutti i soggetti in campo.

La Coalizione si è posta da subito obiettivi puntuali:

- interagire tra tutti i partecipanti in un dialogo costruttivo e capace di elaborare risposte in linea con la severità del problema;
- impedire che, attraverso gare a continuo ribasso di prezzo, venga messa a rischio la sostenibilità del mercato dei biosimilari, la cui potenziale scomparsa ridurrebbe le opzioni terapeutiche a disposizione dei clinici e danneggerebbe non solo i pazienti ma anche le casse del sistema sanitario;



- generare un dibattito nelle sedi scientifiche e istituzionali perché si aiuti il sistema a valorizzare il risparmio nel medio/lungo termine;
- individuare aree di miglioramento ed ipotizzare possibili soluzioni da suggerire in termini di policy sanitaria.

Attraverso momenti di lavoro comune, in cui il confronto ha approfondito le principali problematiche e ha dato luce alle possibili soluzioni in una prospettiva di larga condivisione, è stato elaborato un Documento Programmatico, che è stato pubblicamente presentato (si veda locandina dell'evento in Figura 3) e in cui si dà rappresentazione della coalizione, dei suoi obiettivi e, soprattutto, delle principali proposte di politica sanitaria per rendere più equo l'accesso alle cure da parte dei pazienti con malattie immuno-mediate.

Il Documento, infatti, si conclude con una "Call to action" che, a partire dal promuovere nuove policy per i pazienti con malattie infiammatorie Immuno-mediate, intende favorire l'accesso alle terapie, attivare un dialogo costante con le istituzioni, sottolineare le mancanze esistenti nei percorsi assistenziali e raccogliere sistematicamente dati e informazioni per far capire in quali condizioni vivano i pazienti. Azioni con il chiaro scopo di ottenere modifiche ed interventi normativi in linea con le istanze di cui questo il Documento Programmatico è portatore.

## IL SISTEMA DELLE REGOLE E LA SOSTENIBILITÀ DEL SISTEMA

Uno dei temi principali che dovranno essere trattati nel prossimo futuro è sicuramente quello della gestione delle terapie disponibili, proprio perché i comportamenti delle stazioni appaltanti hanno generato una situazione in cui molti lotti presenti in gara "vanno deserti" e in cui alcune industrie non trovano più conveniente rimanere nel mercato italiano o addirittura entrarvi. La continua corsa al ribasso dei prezzi, messa in atto

## INTERVISTA AL DOTTOR UGO TRAMA, Direttore Politiche del Farmaco della Regione Campania

**La Coalizione per l'Equità di Accesso alle Cure ha posto con forza il tema delle gare di approvvigionamento che, a loro dire, è una delle principali cause della carenza di farmaci biosimilari.**

### Cosa ne pensa?

*È un tema che è stato affrontato anche dal congresso nazionale della SIF, la Società Italiana di Farmacologia, ed è un tema particolarmente emergenziale. Oggi bisogna cambiare la tipologia di gara perché vi è il concreto rischio che a breve si possa arrivare, oltre ad avere un depauperamento delle risorse da parte delle aziende, anche ad un disinteresse nel produrre certi farmaci.*

### Cosa intende quando parla di "cambiare la tipologia di Gara"?

*Parlando concretamente, oltre a fare gare che si basino sul rapporto tra prezzo e qualità, nelle cose da ricercare vi è la necessità di garantire un minimo di approvvigionamento dei biosimilari. Si tratta, infatti, di risorse economiche che ottimizzano il servizio sanitario, visto che si ha un risparmio, ma che offrono anche risposte di altro tipo eppure a volte si registrano criticità per quello che concerne la messa a disposizione di questi farmaci. Andrebbero pensate gare diverse, che garantiscano magari un minimo alle aziende produttrici, che potrebbero avere così uno stimolo maggiore nel continuare la produzione.*

*La tendenza nelle gare, infatti, è che spesso finiscono per essere ordinati farmaci al minor costo, senza tener conto di molti altri elementi di tipo qualitativo. Se si riuscisse a garantire a tutti la messa a disposizione di un determinato farmaco, questo potrebbe essere quel valore aggiunto che le aziende potrebbero vedere come stimolo per garantirsi una quota di mercato.*

*Molte volte le aziende abbandonano la commercializzazione di un prodotto perché non ne vedono più l'utilità economica.*

### **Il problema è che il mercato italiano si sta impoverendo...**

*Il contesto vede un progressivo ridimensionamento delle risorse pubbliche a fronte di un fabbisogno in continua crescita.*

*Dunque, la modalità di acquisto attraverso l'accordo quadro per la fornitura di farmaci biologici e biotecnologici può rappresentare un punto di forza.*

*Prevedere un'aggiudicazione a più fornitori, infatti, consente la messa a disposizione di più terapie al fine di soddisfare al meglio le necessità dei pazienti e al contempo di non rinunciare al perseguimento di obiettivi di reale risparmio e razionalizzazione della spesa farmaceutica.*

### **Ci sono già esperienze in atto, magari per particolari patologie?**

*In Campania abbiamo delle esperienze molto importanti con la sclerosi multipla e con la reumatologia. Abbiamo creato con i clinici un patto condiviso che non vada ad impattare sul risparmio economico, ma*

*che porti al risparmio economico in appropriatezza. Quindi oggi abbiamo degli Statement per l'uso dei farmaci per le malattie reumatologiche.*

*Da questo sta nascendo la rete reumatologica Campania con PDTA correlati: abbiamo avuto il massimo grado di soddisfazione da parte degli assistiti e dei clinici nel dare la cura più appropriata raggiungendo un obiettivo che spesso viene trascurato: che è quello dell'aderenza terapeutica".*

### **La vostra Regione, da tempo, è laboratorio di innovazione nelle scelte di politica sanitaria: cosa state facendo sul piano del coinvolgimento delle associazioni pazienti?**

*In Campania stiamo lavorando fortemente con le associazioni dei pazienti e con i clinici su questi grandi obiettivi, cosa che poi stanno facendo anche altre realtà a livello regionale: per esempio, la Regione Lazio ha fatto un bellissimo progetto di Valutazione Partecipativa che vede allo stesso tavolo assistiti, associazioni e clinici.*

*In tutte le Regioni come unico obiettivo si ha quello di garantire le cure in maniera appropriata. È inutile avere centri d'eccellenza se poi in quei centri di eccellenza non si raggiunge la cura farmacologica. Occorre guardare allora all'intero percorso assistenziale quando si parla di assistiti con malattie immunologiche e che hanno anche fragilità molto spinte: avere un tavolo condiviso permette di avere percorsi sempre più soddisfacenti anche alla luce di quanto ci stiamo mettendo in campo con il DM77 e l'assistenza territoriale. Quindi bisognerebbe trasferire una parte delle assistenze dall'ospedale, che diventa sempre punto d'eccellenza, sul territorio che dovrà essere sempre più di prossimità per gli assistiti. E su questo stiamo lavorando.*

dalle politiche di acquisto regionali tramite basi d'asta sempre più ridotte, da una parte determina il continuo abbassamento del prezzo dei biosimilari con un risparmio nel breve per le casse regionali, mette a rischio nel medio-lungo termine l'intero mercato dei biosimilari: tale fenomeno crea condizioni di potenziale mancanza di prodotti sia per pazienti naive che per quelli già in trattamento. È condivisibile l'alert sull'ormai prossimo impoverimento del mercato causato dalle attuali modalità di gara e di approvvigionamento dei farmaci? A parere di chi scrive la risposta è affermativa, e sarebbe il caso di concentrarsi per capire quali siano le soluzioni da adottare per scongiurare tale rischio.

Difficile oggi individuare esperienze in grado d'indicare una gara disegnata con l'obiettivo di realizzare un risparmio nel medio-lungo termine, guardando alla sostenibilità del sistema: ripensare le modalità con cui si attua l'acquisto pubblico di farmaci biologici è una necessità ormai comunemente riconosciuta (si veda, a tal proposito, l'intervista in BOX 1). La continua ricerca del "risparmio" nelle procedure d'acquisto ha dato vita a due fenomeni ascrivibili ad un unico fine, ma con effetti diversi sui processi di cura: la continua riduzione del prezzo delle basi d'asta (che ha un impatto sulle dinamiche di mercato e, di conseguenza, sulla disponibilità di terapie alternative) e - disattendendo una legge dello Stato<sup>4</sup> - l'orientamento alla prescrivibilità del solo primo aggiudicatario (che ha effetti sul multi-switch di terapie e, di conseguenza, sull'aderenza terapeutica da parte dei pazienti). Sono ormai diversi gli esempi in cui non solo non si hanno tre farmaci disponibili a seguito di una gara aggiudicata in Accordo Quadro, ma si hanno sempre più casi di "governance" prescrittiva verso il primo aggiudicatario (alias "invito" all'utilizzo del solo farmaco primo nella graduatoria di gara): un presunto principio di una presunta economicità che sovrasta la libertà prescrittiva, la continuità terapeutica e quindi la disponibilità di più farmaci per il paziente. E se non si persegue neanche l'obiettivo del rispetto delle regole

esistenti (nemmeno dalle Autorità giudiziarie<sup>5</sup>), difficile immaginare che si possa generare un - pur faticoso ma virtuoso - lavoro di recupero di un obiettivo legato a ricreare condizioni di gara rispettose delle condizioni di mercato.

Certo, la recente pronuncia congiunta dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) e della Rete dei Capi delle Agenzie dei Medicinali (HMA)<sup>6</sup> sull'intercambiabilità dei farmaci biosimilari nell'Unione Europea, crea una situazione di ulteriore preoccupazione, data anche l'inerzia del sistema di approvvigionamento dell'ultimo periodo e la difficoltà ad aprire una riflessione quale quella che la Coalizione ha voluto sottoporre alle principali istituzioni governative, oltre che all'opinione pubblica. Sottolineare l'intercambiabilità dei farmaci biosimilari non significa avallare la loro sostituibilità automatica con uno stesso prodotto di riferimento: se così fosse, il mercato dei biosimilari verrebbe meno. Infatti, se da un lato l'intercambiabilità che storicamente si è avuta tra originator e biosimilari, ha consentito un accesso sostenibile ai farmaci biologici ad una platea progressivamente sempre più ampia di pazienti non sembra invece corretto che diventi una modalità "amministrativa" con cui si limita la libertà prescrittiva dei clinici e si riduce l'aderenza terapeutica dei pazienti (sottoposti a continui switch di farmaci a causa dell'intercambiabilità automatica).

Il problema risiede sempre nella capacità del sistema di mantenere fede a principi e regole di buon governo. Se è chiara la necessità di utilizzare al meglio le risorse pubbliche, altrettanto chiara è la necessità di favorire la disponibilità di più terapie e la continuità nelle cure per pazienti con malattie gravi e invalidanti: pur se in sede politica questi aspetti sono ben conosciuti e condivisi<sup>7</sup>, la vita di tutti i giorni purtroppo ha una narrazione ben diversa, fatta di gare al continuo ribasso di prezzo, con risultati di breve periodo (nelle sempre più rare situazioni in cui si verificano) che pagheremo nel medio-lungo.

4. Si fa riferimento alla Legge n.232, del 11 Dicembre 2016, "Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2017 e bilancio pluriennale per il triennio 2017-2019", che prevede lo strumento dell'Accordo Quadro, ovvero la prescrivibilità dei primi tre aggiudicatari di una Gara, creando le condizioni minime non solo per la disponibilità di più alternative terapeutiche per i prescrittori, ma anche per una presenza di più produttori sul mercato. - 5. Il 7 dicembre 2021, il Consiglio di Stato si è pronunciato contro il ricorso di una casa farmaceutica, esclusa da un Accordo Quadro in quanto la propria offerta eccedeva la base d'asta, lasciando l'accordo quadro con due prodotti invece dei tre previsti dalla Legge n.232/2016: in questo modo, si è sancito che è preferibile privilegiare le offerte sulla base dell'offerta economica che garantire la presenza di almeno tre opzioni terapeutiche per i prescrittori. - 6. European Medicine Agency & Heads of Medicines Agencies, "Statement on the scientific rationale supporting interchangeability of biosimilar medicines in EU", 19 September 2022.



## CONCLUSIONI

I pazienti colpiti da malattie immuno-mediate avevano salutato con entusiasmo l'avvento dei farmaci biosimilari vedendolo come una svolta fondamentale nella loro vita, immaginando una maggiore equità e semplicità di accesso alle cure nella lotta a queste severe patologie.

Questi farmaci, grazie ad un importante contenimento dei costi, avrebbero dovuto consentire un accesso equo e agevole alle terapie per una platea sempre più ampia di pazienti. Purtroppo, oggi, si profila una realtà che rischia di essere molto diversa da quella sperata.

I punti di richiesta della Coalizione formata da pazienti, clinici e rappresentanti delle istituzioni, firmatari del Documento Programmatico di cui si è voluto dare pubblica conoscenza con questo editoriale riguardano sia il miglioramento dei percorsi di cura che una più ampia disponibilità all'accesso dei farmaci biosimilari. Questi ultimi dovrebbero essere usati maggiormente e uniformemente su tutto il territorio, al fine di garantire la maggior disponibilità possibile di opzioni terapeutiche; mentre, al contrario, sembrano diventare un fattore divisivo e foriero di contenziosi.

La situazione del territorio nazionale, come in tutti gli ambiti riguardanti la sanità nel nostro paese, non è per niente omogenea: ci sono Regioni che, in modo virtuoso ed equilibrato, si muovono col principio di difendere la libertà prescrittiva dei medici; e ci sono regioni "miopi" che spingono solo sull'economicità di breve termine, spingendo sul principio di concorrenza tra biosimilari come se tale processo non avesse mai fine, con tutti i rischi di cui si parla e che rendono alla fine ininfluenti i risparmi.

La sostenibilità del sistema sanitario va considerata nel suo complesso, e questa complessità non può essere ridotta alla sola ricerca di riduzione dei prezzi di

acquisto. Una gara pubblica deve garantire la sostenibilità nel tempo, e questa è possibile se si garantisce ampio accesso alle terapie da parte dei pazienti, disponibilità di opzioni terapeutiche per i medici prescrittori, e un sano e corretto sviluppo concorrenziale del mercato in grado di mantenersi nel tempo e di investire in innovazione. Attualmente si vive invece il paradosso per cui la ricerca del risparmio immediato sta minando le basi della sostenibilità del sistema sanitario.

Gli spazi d'intervento, in questa situazione, sono ormai chiari a tutti: non altrettanto lo sono le modalità attraverso le quali tali spazi vadano riempiti in una prospettiva di sistema che possa mantenersi in equilibrio nel tempo.

Un dato appare certo ai più: le prossime scelte d'intervento sulla governance del sistema sanitario e sulle conseguenti modalità di accesso, di funzionamento e di gestione dei processi di cura non possono che essere condivise tra tutti gli stakeholder di sistema: istituzioni, clinici, management e professioni ai vari livelli, e, soprattutto, pazienti.

**Il Documento Programmatico della Coalizione per l'Equità di Accesso alle Cure per le malattie immuno-mediate** è un punto di partenza, in un momento storico che, con un paragone suggestivo, potrebbe richiamare quello del 1978, ovvero la fondazione del Sistema Sanitario Nazionale.

Allora politici di diversi schieramenti, in un momento di crisi globale e con enormi problemi di tenuta sociale, riuscirono a compiere un'impresa a favore dei cittadini di questo paese. Oggi, questi cittadini sono più presenti e consapevoli della vita pubblica, sono propositivi e hanno solo bisogno d'interlocutori seri per rendere sempre più efficace, equo e sostenibile il nostro sistema sanitario.

Uno spazio d'innovazione civile che la nuova Legislatura parlamentare non può perdere.

7. Si veda Atto Camera dei Deputati (Mozione 1-00211, presentato da On. Fabiola Bologna il 25/6/2019, modificato e approvato in data 3/3/2022, seduta n.650 della XVIII Legislatura), con cui tutte le forze del parlamento impegnano il Governo a "...*adottare iniziative, per quanto di competenza, per assicurare quanto previsto dall'articolo 1, comma 407, della [Legge di Bilancio 2017], per mantenere in equilibrio la razionalizzazione di spesa per il servizio sanitario nazionale con la garanzia a fornire un'ampia disponibilità di terapie, tutelando il diritto alla continuità terapeutica per i pazienti e alla non sostituibilità automatica del farmaco di riferimento con il suo biosimilare, né tra biosimilari, monitorando altresì, in collaborazione con [le Regioni], affinché tali principi siano applicati in modo conforme su tutto il territorio nazionale, per evitare disomogeneità nell'accesso alle cure con farmaci biologici ed innovativi e, in particolare, assicurando che la costruzione e l'implementazione delle gare escludano meccanismi che limitino la libertà prescrittiva del medico*".

---

## **Italian Health Policy Brief**

Anno XII  
Speciale 2022

***Direttore Responsabile***  
Walter Gatti

***Direttore Editoriale***  
Stefano Del Missier

***Direttore Progetti Istituzionali***  
Marcello Portesi

## ***Editore***



ALTIS Omnia Pharma Service S.r.l.

Segreteria di Redazione  
Ivana Marcon

Tel. +39 02 49538303

[info@altis-ops.it](mailto:info@altis-ops.it)  
[www.altis-ops.it](http://www.altis-ops.it)

---

Tutti i diritti sono riservati, compresi quelli di traduzione in altre lingue. **Nota dell'Editore:** nonostante l'impegno messo nel compilare e controllare il contenuto di questa pubblicazione, l'Editore non sarà ritenuto responsabile di ogni eventuale utilizzo di questa pubblicazione nonché di eventuali errori, omissioni o inesattezze nella stessa. Ogni prodotto citato deve essere utilizzato in accordo con il Riassunto delle Caratteristiche di Prodotto (RPC) fornito dalle Case produttrici. L'eventuale uso dei nomi commerciali ha solamente l'obiettivo di identificare i prodotti e non implica suggerimento all'utilizzo.

---

Aut. Trib. Milano 457/2012 - Numero di iscrizione al RoC 26499

---

Realizzato con il supporto di Biogen