

# Fondo AIFA 5% come risorsa terapeutica e economica per la gestione di malattie rare e gravi nella realtà operativa dell'AOU Ospedali Riuniti di Ancona

## FARMACOEPIDEMIOLOGIA E FARMACOECONOMIA

### AUTORI

Mura F. (1), Capone C. (1), Guglielmi S. (1), Bagagiolo S. (1), Marzi L. (1), Di Sarro A. (1), Vagnoni F. (1), Pompilio A. (1) 1) AOU Ospedali Riuniti di Ancona

## INTRODUZIONE

Il Fondo 5% è uno strumento di early access che assicura la fruizione di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza terapeutica per patologie gravi tramite la copertura totale dei costi, previa approvazione da parte dell'ente regolatore. A fronte delle richieste pervenute e delle attività interdisciplinari condotte dai farmacisti ospedalieri per l'identificazione dei trattamenti candidabili all'accesso al fondo e per la quantificazione della spesa, è stata condotta un'analisi in termini di vantaggio economico dei trattamenti approvati.

## OBIETTIVO

Valutare il risparmio economico ottenuto tramite l'accesso al Fondo AIFA 5% (Fondo 5%) dall'AOU Ospedali Riuniti di Ancona nel periodo da Aprile 2020 a Settembre 2021.

## METODI

Sono stati considerati tutti i trattamenti autorizzati da Aprile 2020 a Settembre 2021, di cui 1 trattamento con nintedanib (OFEV® 150mg 60cps) per malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica; 5 con elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor + ivacaftor per la fibrosi cistica (di cui 2 con TRIKAFTA® 100+50+75mg 56cpr + 150mg 28cpr e 3 con KAFTRIO® 100+50+75mg 56cpr + KALYDECO® 150mg 28cpr) e 2 con fenfluramina (FINTEPLA® soluzione orale 120ml 2,2mg/ml) per il trattamento di crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet nel setting pediatrico. E' stato calcolato il risparmio ottenuto dai trattamenti chiusi e stimato quello relativo ai trattamenti in corso in attesa di rimborso.

## RISULTATI

Per i trattamenti chiusi con OFEV® e TRIKAFTA® il rimborso ottenuto è stato rispettivamente di 10.850€ (corrispondente a 6 confezioni di OFEV®) e di 258.240€ (corrispondente a 12 confezioni di TRIKAFTA®), comportando un risparmio complessivo di 269.090€. Attualmente sono in corso i trattamenti con KAFTRIO® + KALYDECO® e con FINTEPLA®. Sono state acquistate 18 confezioni di KAFTRIO® e 18 di KALYDECO® al costo di 145.800€ e 292.410€ rispettivamente, e 12 confezioni di FINTEPLA® al costo di 24.456€. La spesa totale sostenuta e non ancora rimborsata è di 462.666€. Considerati tutti i trattamenti autorizzati da AIFA nel periodo indicato, il risparmio complessivo ottenuto dall'azienda ospedaliera è di 731.756€.

Farmaco	Patologia	N° Trattamenti	N° Confezioni	Costo
OFEV® 150mg 60cps	Malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica	1	6	10.850 €
TRIKAFTA® 100+50+75mg 56cpr	Fibrosi cistica	2	12	258.240 €
KAFTRIO® 100+50+75mg 56cpr	Fibrosi cistica	3	18	145.800 €
KALYDECO® 150mg 28cpr	Fibrosi cistica	3	18	292.410 €
FINTEPLA® soluzione orale 120ml 2,2mg/ml	Crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet nel setting pediatrico	2	12	24.456 €
<b>Totale risparmiato</b>				<b>731.756 €</b>

Tab. 1: Trattamenti autorizzati da AIFA per l'accesso al fondo da Aprile 2020 a Settembre 2021 e risparmio totale derivato

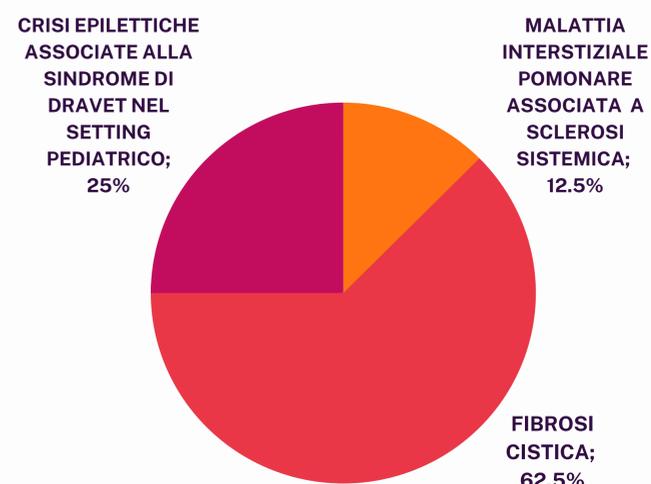


Fig. 1: Distribuzione per patologia dei trattamenti approvati da Aprile 2020 a Settembre 2021

## DISCUSSIONE E CONCLUSIONI

Il fondo 5% costituisce uno strumento bivalente: assicura l'accesso precoce al farmaco per patologie rare o gravi consentendo il contenimento della spesa sanitaria. Il farmacista ospedaliero rappresenta una figura essenziale per l'accesso al fondo discriminando fra altri canali di approvvigionamento e sovrintendendo ai costi legati al farmaco, sia durante l'iter autorizzativo (preventivo di spesa) sia all'atto della richiesta di rimborso. In questo scenario si inserisce la realtà operativa dell'AOU Ospedali Riuniti di Ancona in cui il farmacista ospedaliero è la principale figura di supporto al clinico nel trovare soluzioni terapeutiche clinicamente efficaci ed economicamente sostenibili, permettendo un'allocazione ottimale delle risorse.