

# Highlights

## Terapie cellulari CAR-T: in Italia il superfarmaco contro i tumori

La rivoluzione è ormai alle porte: la terapia cellulare (Kymriah, tisagenlecleucel) contro i tumori sarà presto disponibile in Italia e offrirà una speranza di cura ai pazienti con leucemia linfoblastica acuta (bambini e giovani adulti fino a 25 anni di età) e linfoma diffuso a grandi cellule B.<sup>1</sup>

Ma come funziona questa terapia? In breve, vengono prelevate delle cellule di linfociti dal paziente, riprogrammate in laboratorio in modo da farle andare a caccia delle cellule tumorali, e infine re-infuse nel paziente. Per quanto concerne i meccanismi di rimborso, l'accordo sottoscritto dal CdA di AIFA fissa un prezzo (ex factory) pari a 320 mila euro per tisagenlecleucel.<sup>2</sup> Tale accordo prevede un pagamento basato sui dati di esito nel tempo (denominato *payment at result*) che si articola a scaglioni e prevede tre step: il primo, al momento dell'infusione (solamente una quota del prezzo stabilito sarà pagato al momento dell'infusione); il secondo, a 6 mesi se non vi è stata progressione e il terzo, a 12 mesi se il paziente risulta ancora

in remissione.<sup>3</sup> La differenza rispetto al *payment by result* è di forma: con quest'ultimo, il pagamento è comunque dovuto da parte del SSN e in caso di fallimento avviene il rimborso da parte dell'Azienda farmaceutica; con il *payment at result* no, se la terapia non funziona il pagamento non avviene e il farmaco sarà erogato a carico dell'Azienda farmaceutica. Dal punto di vista gestionale, tuttavia, il *payment at result* rende sicuramente più agevole il processo.

Tisagenlecleucel è stato classificato come farmaco innovativo, per cui entrerà di diritto nei prontuari regionali, ma su questo aspetto bisognerà attendere che le Regioni deliberino i centri autorizzati a trattare i pazienti. Sono ad oggi otto le Regioni che hanno deliberato sulle Car-T decidendo quali sono le strutture dove saranno trattati i pazienti: Liguria, Lombardia, Lazio, Toscana, Veneto, Abruzzo, Umbria e Emilia-Romagna. Riguardo invece agli attori coinvolti nel processo di gestione di queste terapie, il farmacista clinico è senza dubbio

coinvolto sia per quanto riguarda gli aspetti procedurali (la determina AIFA prevede che i centri di prescrizione e somministrazione siano accreditati JACIE, che indica gli standard necessari a una struttura sanitaria perché essa possa operare nell'ambito della raccolta, la manipolazione e l'utilizzo clinico delle cellule staminali), logistici (per il trasporto in azoto liquido), burocratici (notifiche di impianto e altri accreditamenti sui processi), clinici (trattamento e gestione degli eventi avversi) e di sostenibilità.

### Bibliografia:

1. EPAR, Kymriah. EMA (European Medicines Agency). Sito web: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kymriah>
2. Gazzetta Ufficiale Serie Generale n.188 del 12-08-2019. Sito web: <https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2019/08/12/19A05147/SG>
3. Quotidiano Sanità. Car-T: pronto il primo accordo per le nuove terapie. Sito web: [https://www.quotidianosanita.it/scienza-e-farmaci/articolo.php?articolo\\_id=76326](https://www.quotidianosanita.it/scienza-e-farmaci/articolo.php?articolo_id=76326)



## Introduzione

Alle soglie del settimo congresso nazionale SIFaCT, che sarà realizzato nella splendida cornice della città di Bologna, è tempo di bilanci in vista della prossima assemblea dei soci.

Come in occasione di tutti i congressi annuali, a maggior ragione in questo 2019 in cui verrà rinnovato il consiglio direttivo, è interessante valutare cosa è stato fatto dalla società e quali risultati sono stati raggiunti.

Il bilancio è certamente positivo considerando ad esempio il buon esito del convegno nazionale oncologico di giugno a Rimini che ha visto la partecipazione di più di 120 colleghi da tutta Italia e contenuti di ottimo livello. L'impegno consueto di SIFaCT nel settore della ricerca è una certezza come evidente dalle diverse pubblicazioni nelle riviste scientifiche internazionali (<http://www.sifact.info/joomla30/index.php/la-ricerca/la-produzione-scientifica>). La formazione, oltre ai due convegni nazionali, conta quest'anno due eventi ECM residenziali nel mese di settembre al CRO di Aviano (farmacista clinico nella gestione degli eventi avversi da target therapies) e Padova (metodiche orga-

nizzative in UFA) e una innovativa *winter school in farmacia clinica* in collaborazione con la Società Italiana di Medicina Interna (SIMI) e l'Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri di Milano.

Per agevolare la partecipazione dei colleghi abbiamo realizzato un bando *travel grant* per ogni tipo di iniziativa formativa, esempio concreto di impegno per favorire la partecipazione.

Tante le novità SIFaCT dell'ultimo periodo come l'iscrizione gratuita di tutti gli specializzandi e la

possibilità, per tutti i soci che lo desiderano, di iscriversi gratuitamente anche alla società europea di farmacia oncologica (ESOP).

SIFaCT è una società in continuo movimento e le opportunità sono numerose e originali. L'obiettivo è favorire l'aggiornamento e l'evoluzione della professione in un contesto in costante evoluzione come quello farmaceutico.

Oltre ai risultati tangibili di formazione e ricerca, ciò che conferma che la società sta crescendo nel modo giusto è il seguito in termini di iscritti. Nata un po' per scommessa da un piccolo nucleo di soci fondatori senior, oggi SIFaCT conta circa 800 soci. Grazie alle numerose iniziative focalizzate nei settori più recenti e innovativi della professione, l'età media dei soci è bassa e la partecipazione attiva è elevata.

Facciamo i migliori auguri al prossimo consiglio direttivo che avrà il piacere, ma anche la responsabilità, di gestire una società, ormai realtà importante per presente e futuro della professione del farmacista ospedaliero, all'insegna della continuità, visti i risultati, e con rinnovato slancio per affrontare le sfide future.

## Sommario

### INTRODUZIONE

### PROSSIME INIZIATIVE

Farmacia clinica 3.0: ritorno al futuro

### PAPER PUBBLICATI

HTA Metro Map: a patient centred model for optimizing the decision-making process

### PROGETTI IN CORSO

Dose Banding in oncologia

### HIGHLIGHTS

Terapie cellulari CAR-T: in Italia il superfarmaco contro i tumori





# Prossime iniziative

## Farmacia clinica 3.0: ritorno al futuro

Questo è il titolo del prossimo Congresso nazionale SIFaCT che si terrà a Bologna dal 24 al 26 ottobre 2019.

Il presidente Francesca Venturini, insieme al comitato scientifico, ha voluto sottolineare sin dal titolo l'area attorno alla quale ruoteranno le varie tematiche che verranno affrontate nelle 3 giornate formative.

La medicina è in continua evoluzione ed è necessario, per la nostra professione mantenere il paziente al centro, sempre più partecipe del suo percorso di cura, al quale viene offerta un'assistenza sanitaria sempre più personalizzata.

La farmacia clinica nasce dalla necessità della personalizzazione della terapia e dell'approccio orientato al singolo paziente e alle sue esigenze. Adesso è il momento di ridiscutere e modernizzare questo approccio, prevedendo un coinvolgimento più marcato nella parte clinica, per entrare a tutto tondo nel nuovo modello di cura come specialisti competenti e organizzati. La farmacia clinica entra nel nuovo modello di cura se offre professionisti preparati sia dal punto di vista tecnico che dal punto di vista gestionale e manageriale.

Il Congresso parte da questi presupposti, e dai filoni di ricerca sviluppati da SIFaCT nel passato recente e presenti nella pipeline, per approfondire sia aspetti tecnici e di conoscenza che modelli e programmi di farmacia clinica, attraverso sessioni plenarie e parallele, in queste ultime

favorendo l'interattività e il confronto con i discenti.

In particolare, per questo settimo Congresso nazionale sono previste sei sessioni plenarie, sei sessioni parallele interattive e, come consuetudine, sarà dato ampio spazio all'esposizione degli abstract sottomessi dai soci partecipanti. I 126 abstract sottomessi evidenziano l'impegno e il coinvolgimento dei colleghi verso SIFaCT; si conferma anche quest'anno la possibilità per i migliori contributi di essere presentati nell'ambito delle sessioni plenarie.

Da non perdere il 24 ottobre, dalle ore 13.30 quindi poco prima dell'inizio del Congresso, il tavolo pregressuale sulla nuova governance farmaceutica che vedrà esponenti di spicco della sanità pubblica e di aziende private discutere sulle nuove politiche farmaceutiche in un contesto politico sempre molto movimentato.

Per maggiori informazioni sui contenuti congressuali, per le ultime novità e curiosità è stato creato il sito [www.congressosifact.com](http://www.congressosifact.com). Tramite la piattaforma sarà possibile anche iscriversi al congresso.

In conclusione, ci aspettiamo un'ampia partecipazione e, per garantire a tutti i colleghi farmacisti del Servizio Sanitario Nazionale la possibilità di esserci, abbiamo confermato tutte le agevolazioni ovvero quote estremamente ridotte per l'iscrizione e *travel grant* per i 30 migliori abstract ricevuti.

Ci vediamo a Bologna il 24 ottobre!

# Paper pubblicati

**HTA Metro Map: a patient centred model for optimizing the decision-making process<sup>1</sup>. Questo è il titolo di una delle recenti pubblicazioni in ambito Health Technology Assessment in cui SIFaCT ha contribuito insieme ad altri autori internazionali. Arriva in un momento storico particolare perché è di recente pubblicazione la nuova definizione di HTA da parte della società scientifica internazionale di Health Technology Assessment International (HTAI):**

*«A multidisciplinary process that uses explicit and scientifically robust methods to assess the value of using a health technology at different points in its lifecycle. The process is comparative, systematic, transparent and involves multiple stakeholders. The purpose is to inform health policy and decision-making to promote an efficient, sustainable, equitable and high-quality health system».* I principi attorno a cui si sviluppano le valutazioni HTA sono ampiamente condivisi nell'ambito della farmacia clinica, a cominciare dalla multidisciplinarietà fino ad arrivare alla centralità del paziente nel percorso di cura.

L'articolo che abbiamo realizzato si sviluppa nell'ambito delle competenze necessarie per realizzare una completa valutazione di HTA. Il ruolo di SIFaCT è anche quello di supportare lo sviluppo delle competenze necessarie alla professione del futuro quindi questo spiega il forte coinvolgimento della società in questo tipo di progettualità che culmina con la realizzazione di articoli scientifici pubblicati in riviste scientifiche internazionali. Nel caso specifico di questo articolo, la rivista è *GMS HTA*, recentemente rinnovata dall'EuroScan, una rete di più di 80 associazioni e istituzioni europee per lo sviluppo dell'HTA in Europa (<https://www.egms.de/static/en/journals/hta/2019-15/hta000132.shtm1>).

In particolare, questo articolo ruota attorno a una figura che rappresenta una complessa cartina della metropolitana dove numerose linee (professionisti e istituzioni della sanità) si incrociano tra loro condividendo obiettivi e competenze per trattare il paziente posto al centro.

Ogni fermata rappresenta una conoscenza o un'abilità di uno stakeholder; le zone, dal livello sociale a quello ospedaliero, rappresentano la necessità di integrazione dell'acuto in ospedale con il cronico sul territorio. Infine, è stato integrato alla mappa anche il concetto di profondità perché HTA non è solo una valutazione di costi ed efficacia, ma può e deve tener conto degli aspetti organizzativi, etici, legali, sociali e ambientali, ove possibile.

La mappa è un modello flessibile e adattabile, non bisogna pensare possa essere uno schema preciso che tenga conto di migliaia di variabili; nell'articolo viene ampiamente dettagliato lo sviluppo di una mappa concettuale che cerca in maniera originale di mostrare il giusto approccio all'interno di un sistema complesso.

<sup>1</sup> Chiumente M, Kamal KM, Dauben HP, Gutierrez Ibarluzea I. HTA Metro Map: a patient centred model for optimizing the decision making process. *GMS Health Innov Technol* 2019;15:Doc02. doi: 10.3205/hta000132

# Progetti in corso

Per questa edizione del bollettino societario è stato scelto un approfondimento dell'area progettuale che potremmo genericamente identificare come "Dose Banding in oncologia".

Le bande di dosaggio (*dose banding*) sono dosi standard che di solito differiscono fino al 5% rispetto alla dose calcolata in base alla superficie corporea; alcuni autori hanno proposto intervalli più ampi (fino al 10%), anche sulla base delle indicazioni fornite dal *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE). Questo tipo di approssimazioni dei dosaggi mantiene le variazioni farmacocinetiche entro limiti clinicamente accettabili, il vantaggio di tale metodica è quindi a livello organizzativo.

Da mesi si sta lavorando su una progettualità complessa e articolata che include la partecipazione in primis di un gruppo di lavoro sulle metodiche organizzative in oncologia e quindi

sulla disponibilità a supportare il progetto di tutta la rete oncologica che conta più di 650 iscritti.

È in conclusione uno studio pilota, condotto all'interno dell'IRCCS Istituto oncologico veneto che ha lo scopo di calcolare i risparmi potenziali (in considerazione soprattutto dei costi di allestimento delle terapie) derivanti dall'utilizzo di bande di dosaggio autoprodotte in UFA o acquistate sul mercato. Il metodo sarà poi replicato in altre strutture con altre peculiarità in termini organizzativi e per quanto concerne la tipologia di pazienti afferenti alla struttura.

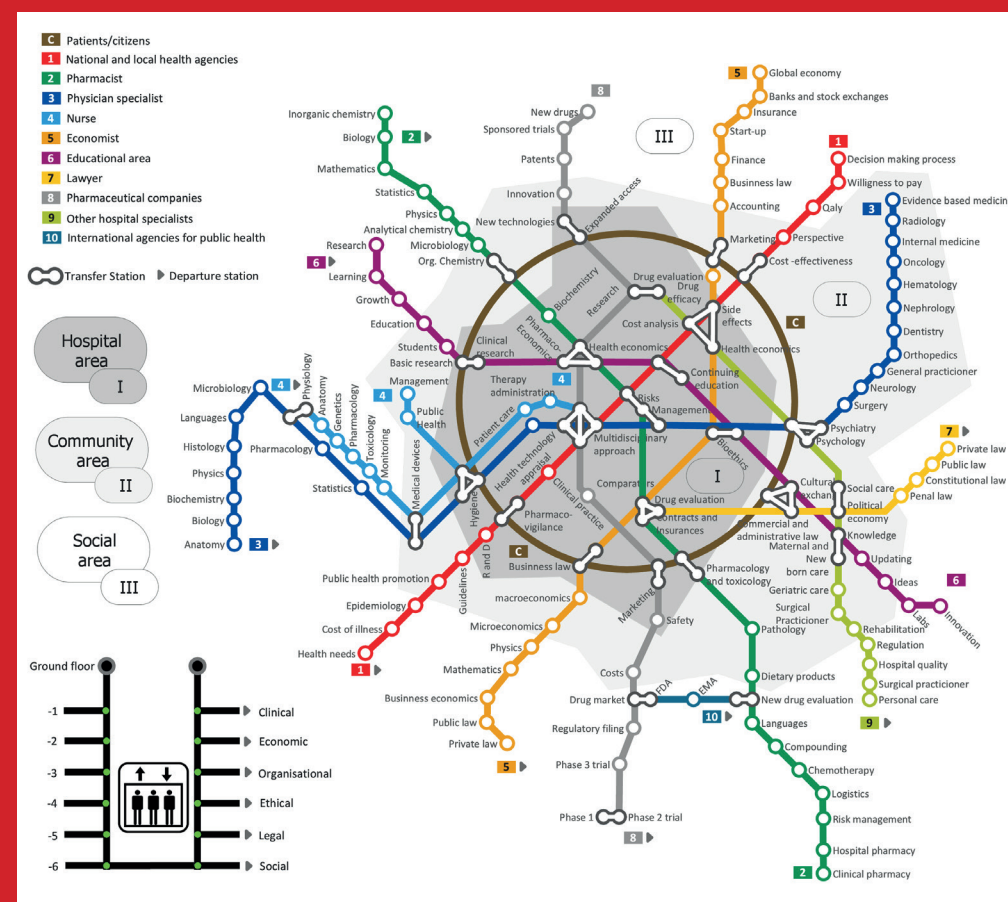
Parallelamente è stata condotta una survey per indagare tra i farmacisti SSN la conoscenza degli esiti dell'utilizzo di bande di dosaggio sia a livello di efficacia e sicurezza, che a livello organizzativo.

È noto che l'approssimazione della

dose è possibile solo con la collaborazione attiva dello specialista clinico prescrittore. È stato quindi organizzato da SIFaCT per il 30 settembre 2019 un corso di formazione presso l'azienda ospedaliera di Padova in cui prenderanno parte anche esponenti delle principali società scientifiche di medici oncologi ovvero AIOM (Associazione Italiana di Oncologia Medica) e CIPOMO (Collegio Italiano dei Primari Oncologi Medici Ospedalieri).

La survey sulla conoscenza del *dose banding* sarà divulgata anche tra i clinici, insieme a una sintesi delle risposte ottenute finora solo dai farmacisti.

La complessa progettualità in ambito *dose banding* è un chiaro esempio di formazione finalizzata alla ricerca, alla multidisciplinarietà e infine all'aggiornamento della pratica professionale che comporterà risparmi e maggiore efficienza.



### REDAZIONE A CURA DI:

Marco Chiumente  
Alessia Salvador  
Dario Maratea  
Francesca Venturini

### CONTATTI

Via Carlo Farini, 81 · Milano  
Tel. 02/668.02.323  
[segreteria.sifact@gmail.com](mailto:segreteria.sifact@gmail.com)  
[www.sifact.info](http://www.sifact.info)