

# Valutazione delle richieste di accesso al Fondo AIFA 5% nel Policlinico S.Orsola-Malpighi di Bologna con particolare interesse per i farmaci onco-ematologici



M.R. Battaglia<sup>(1)</sup>, I. Martens<sup>(1)</sup>, C. Lucidi<sup>(1)</sup>, A. Stancari<sup>(1)</sup>, M. Morotti<sup>(1)</sup>

(1) Farmacia Clinica, Policlinico S.Orsola-Malpighi, Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna



n°61

## INTRODUZIONE

La Legge 326/2003 ha previsto l'istituzione presso l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) di un Fondo nazionale per l'uso di farmaci orfani per trattare gravi e particolari patologie per le quali non sono ancora in commercio, ma che possono rappresentare una speranza di cura per i pazienti. AIFA destina al Fondo il 50% del contributo che le case farmaceutiche versano ogni anno ovvero il 5% delle spese annuali per le loro attività di promozione.

La procedura di accesso al Fondo prevede che il clinico compili il modulo di richiesta di accesso con allegata la relazione clinica del paziente e la letteratura a supporto. AIFA valuta la richiesta ed esprime un parere; se positivo, emette una pre-autorizzazione che consente l'inizio del trattamento. La farmacia invia ad AIFA il relativo preventivo di spesa, provvede all'acquisto del farmaco e alla richiesta di rimborso, solo dopo la formalizzazione della determina di autorizzazione.

L'obiettivo di questo lavoro è stato valutare le diverse tipologie di prescrizioni di farmaci che hanno avuto accesso a questo fondo e il relativo impatto economico.

## MATERIALI E METODI

Sono state valutate tutte le autorizzazioni di accesso al Fondo AIFA 5% per l'Azienda Ospedaliera Universitaria S.Orsola-Malpighi di Bologna nel periodo Maggio 2018 - Agosto 2019 registrate in un database Excel aziendale relativo al Fondo stesso.

Il focus è stato posto sui medicinali onco-ematologici e sulla relativa spesa ad oggi sostenuta. In particolare, è stata posta attenzione sul farmaco di maggiore utilizzo ed interesse clinico il Venetoclax<sup>a</sup> di cui sono stati esaminati alcuni parametri (Fig. 1)



Fig. 1 Parametri valutati per il Venetoclax



## RISULTATI

AIFA ha espresso parere favorevole per tutte le richieste inviate relative a 55 pazienti, di cui il 93% sono onco-ematologici.

I farmaci onco-ematologici utilizzati e la relativa percentuale di pazienti trattati sono: Venetoclax 74%, Pembrolizumab 12%, Ibrutinib 6%, Blinatumomab 4% e Nivolumab 4% (Fig. 2).

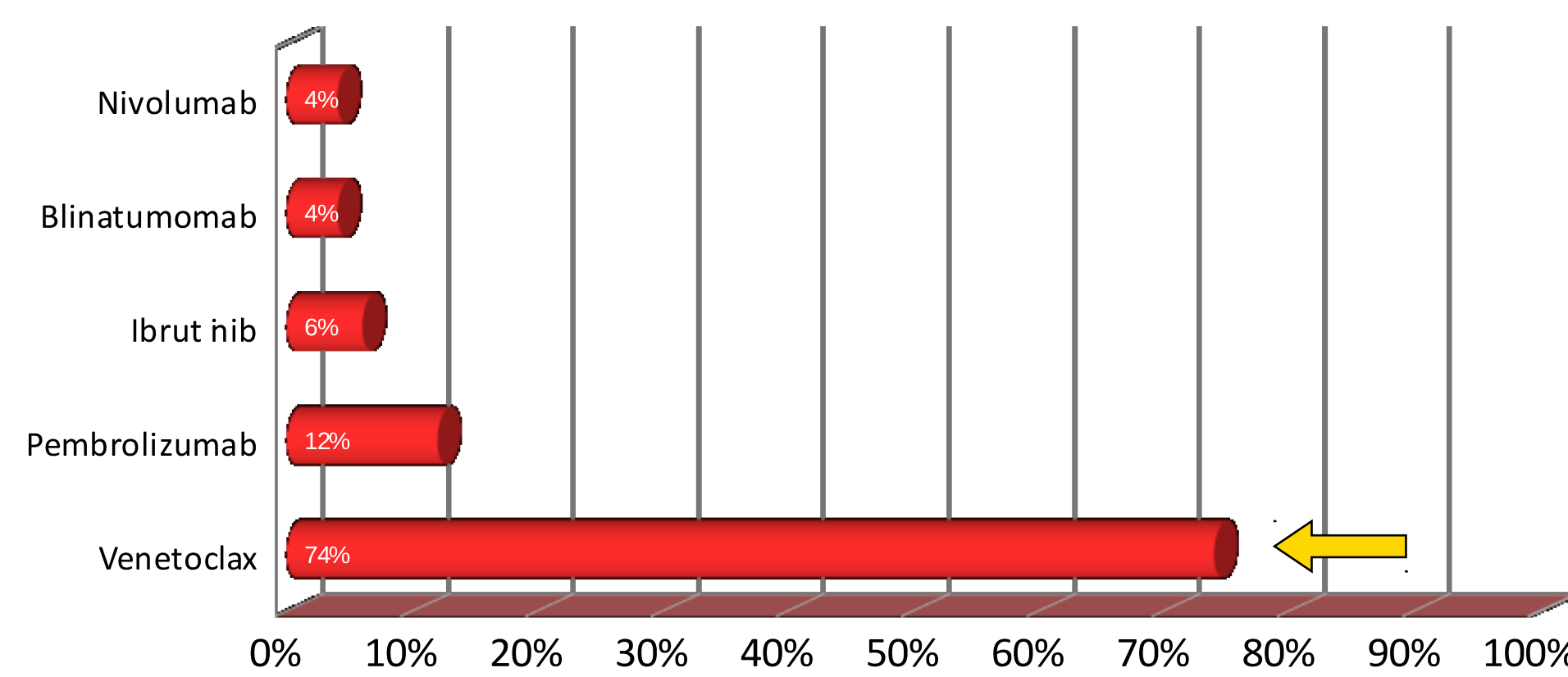


Fig. 2 Farmaci onco-ematologici

In particolare, il Venetoclax<sup>b</sup> è stato prescritto per: Leucemia Acuta Mieloide (LAM) (82%), Leucemia Acuta Linfoide (LAL) (8%), Sindrome Mieloproliferativa (SM) (8%) e Mieloma Multiplo (MM) (2%) (Fig. 3). Dei pazienti autorizzati: il 39% sono attualmente in trattamento, il 42% è deceduto, il 5% è stato avviato al TMO allogenico, il 5% ha sviluppato mutazione LFT3-positiva, il 3% è in remissione, il 3% ha rifiutato le cure e il 3% è in progressione (Fig. 4). Inoltre, solo il 5% ha completato il trattamento autorizzato, mentre il 18% non l'ha mai iniziato.

La spesa complessiva è di 1.600.000€ di cui per Venetoclax 320.000€.

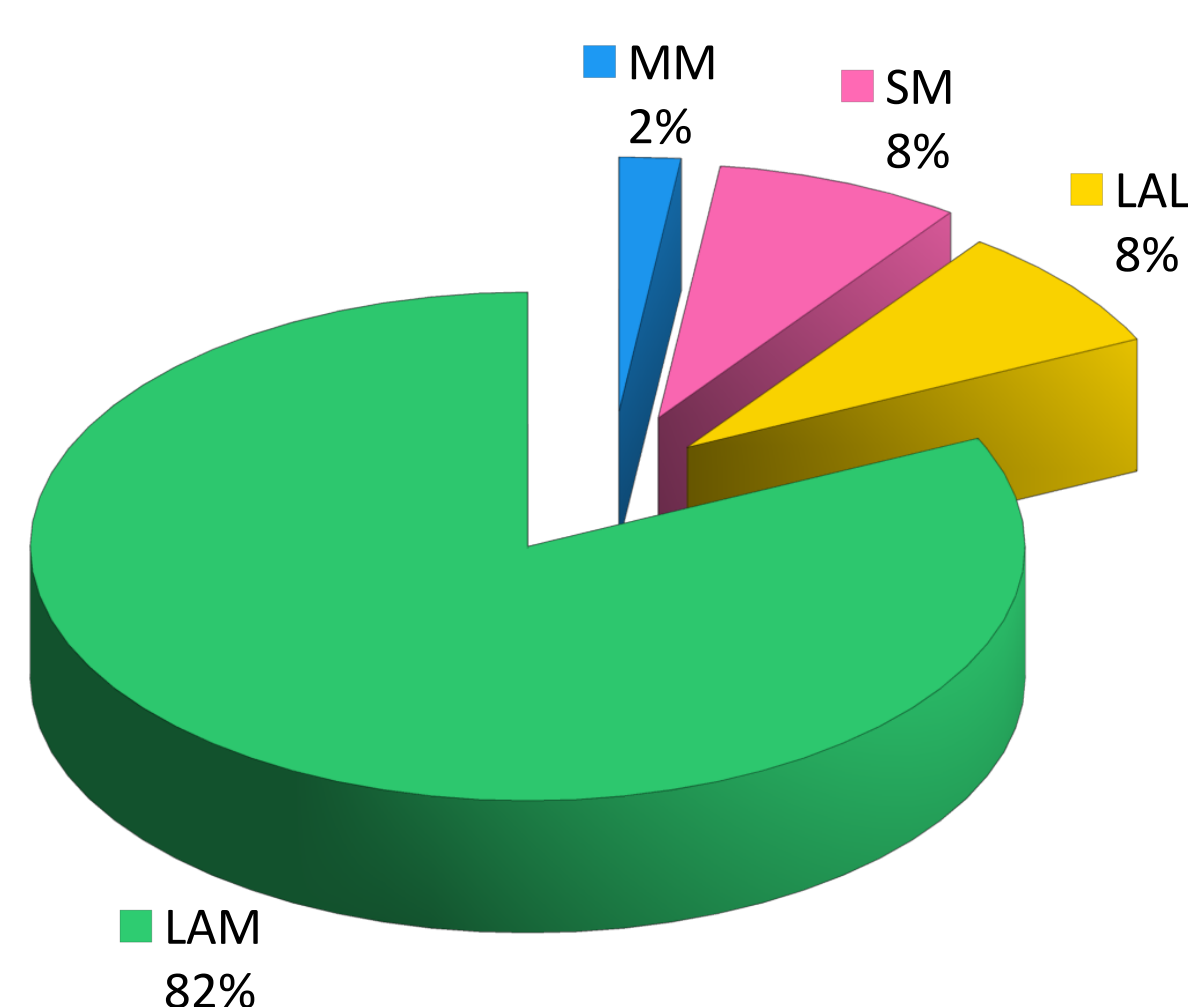


Fig. 3 Patologie per cui il Venetoclax è prescritto

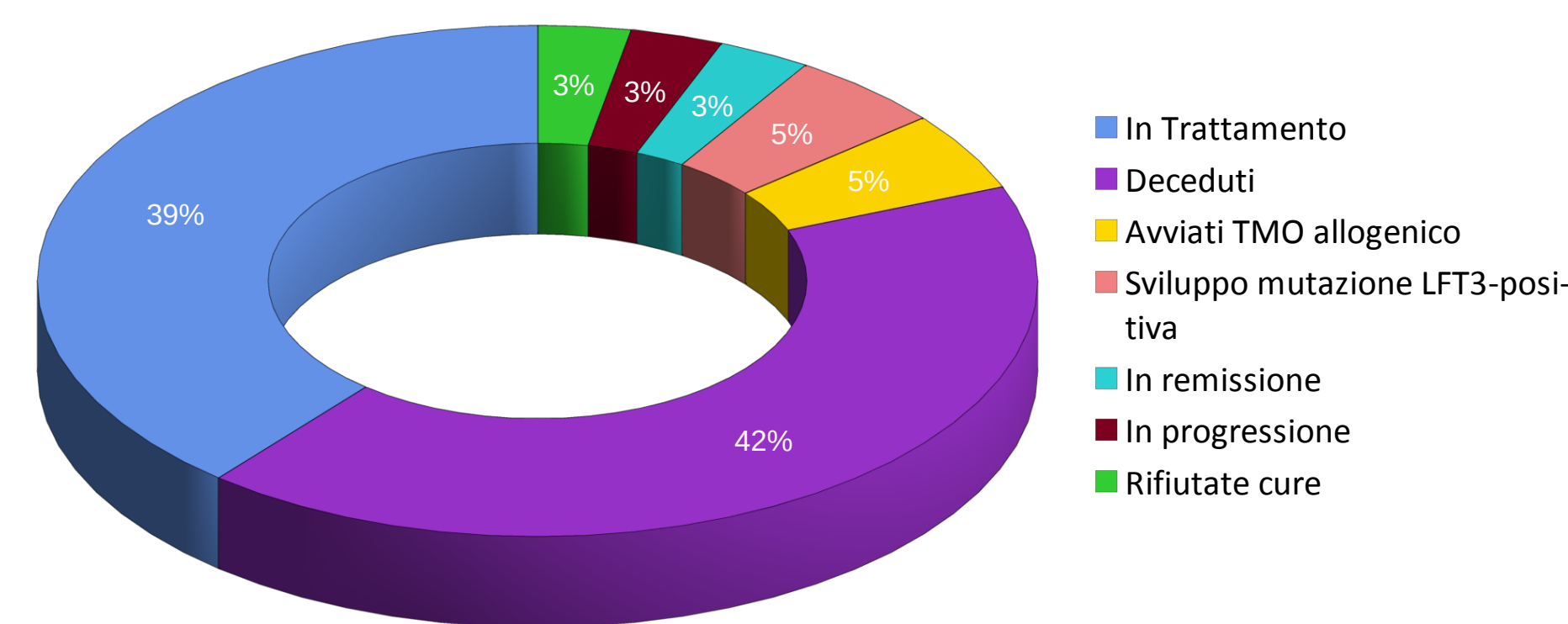


Fig. 4 Esiti dei trattamenti con Venetoclax

## CONCLUSIONI

Il Fondo AIFA 5% rappresenta una rilevante opportunità di accesso a cure innovative in un contesto di risorse limitate per il SSN, in particolare per il nostro Policlinico ad alta specializzazione con elevata casistica di pazienti a cui dare continuità di cura a seguito di studi clinici o usi compassionevoli.

L'iter autorizzativo e di rimborso è complesso e richiede tempi lunghi che possono pregiudicare la tempestività dell'inizio trattamento in qualche caso determinante ai fini della risposta terapeutica. Sarebbe, quindi, auspicabile valutare una possibile semplificazione del percorso e/o potenziamento delle risorse dedicate in attesa della commercializzazione per tali indicazioni.

## BIBLIOGRAFIA

<sup>a</sup> DiNardo, C. D. *et al.* "Safety and preliminary efficacy of venetoclax with decitabine or azacitidine in elderly patients with previously untreated acute myeloid leukaemia: a non-randomised, open-label, phase 1b study". *Lancet. Oncol.* 19, 216–228 (2018).

<sup>b</sup> Agarwal, S. K. *et al.* "Management of Venetoclax-Posaconazole Interaction in Acute Myeloid Leukemia Patients: Evaluation of Dose Adjustments". *Clin. Ther.* 39, 359–367 (2017).