

Health Technology Assessment di Tisagenlecleucel: promosso o bocciato dai principali enti regolatori Europei?

Caputo R ¹, Asprea M ¹, Giovannetti L ¹

(1) Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera – Università degli Studi di Firenze

Introduzione

Ad agosto 2019 l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha approvato la rimborsabilità per tisagenlecleucel (Kimriah®), prima terapia a base di cellule CAR-T (Chimeric Antigen Receptor T-cell) in Italia. Questo farmaco rappresenta una svolta per il trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) in pazienti adulti e della leucemia linfoblastica acuta a cellule B (ALL) in bambini e adulti fino a 25 anni di età. In Europa questa terapia ha un costo pari a 320.000 €. L'Health Technology Assessment (HTA) rappresenta un valido approccio multidisciplinare per governare la spesa di nuove tecnologie sanitarie, supportando la corretta allocazione delle scarse risorse economiche. Scopo del presente lavoro è comprendere come le principali agenzie europee di HTA abbiano valutato le Car-T.

Risultati

Il NICE ha approvato tisagenlecleucel per ALL mediante il Cancer Drugs Fund. Per DLBCL dopo un iniziale rifiuto, il farmaco è stato approvato come trattamento di fine vita grazie a dati di efficacia provenienti da uno studio di estensione. HAS considerando il rapporto costo-beneficio ha attribuito un ASMR III cioè un beneficio moderato per ALL e un ASMR IV ossia un beneficio minore per DLBCL; sono stati richiesti dati di real world evidence per una rivalutazione annuale. L'IQWiG per entrambe le indicazioni trattandosi di farmaco orfano ha riconosciuto un beneficio clinico, anche se non quantificabile, poiché i dati clinici non sono stati giudicati robusti. L'SMC ha approvato il farmaco solo per ALL come trattamento di fine vita, ma rifiutando DLBCL dato l'incerto rapporto costo-efficacia.

Materiali e metodi

Sono stati consultati i siti web dei più autorevoli enti che a livello europeo si occupano di HTA, ovvero National Institute for Health and Care Excellence (NICE) per l'Inghilterra, Haute Autorité de santé (HAS) per la Francia, Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) per la Germania e Scottish Medicines Consortium (SMC) per la Scozia, per verificare la pubblicazione di report di valutazione su entrambe le indicazioni terapeutiche di tisagenlecleucel. Successivamente è stata eseguita un'analisi dei report recuperati.

Conclusioni

Da questa analisi appare chiaro che i principali enti europei che si occupano di HTA riconoscono l'innovatività di tisagenlecleucel e quindi l'importanza di rimborsare il trattamento. D'altro canto appare palese che le evidenze di efficacia clinica attualmente disponibili non siano sufficienti a dimostrare il beneficio clinico nella real practice medicine, soprattutto per il trattamento a lungo termine.