

■ NOVITÀ REGOLATORIE

Aggiornato dall'Aifa l'elenco dei farmaci innovativi

L'AIFA aggiorna l'elenco dei medicinali che, a giudizio della Commissione Tecnico-Scientifica, possiedono il requisito di innovatività terapeutica piena o condizionata.

Contestualmente vengono resi disponibili i report di valutazione per il riconoscimento dell'innovatività, per ciascuna indicazione terapeutica.

► Farmaci innovativi: i criteri

La definizione di innovatività, la sua valutazione e il conferimento dello status di medicinale innovativo spettano all'AIFA e alla sua Commissione Tecnico Scientifica. Tale status presuppone la valutazione di tre elementi basilari: **bisogno terapeutico, valore terapeutico aggiunto e robustezza delle prove scientifiche** sottoposte dall'azienda a supporto della richiesta di innovatività.

L'AIFA ha previsto che la valutazione di tale attributo debba avvenire tramite un modello unico per tutti i farmaci, ma consente, qualora si rendesse necessario, l'utilizzo di ulteriori indicatori specifici.

Il modello di valutazione dell'innovatività prevede un approccio multidimensionale, che tenga conto di tre elementi fondamentali:

1. il bisogno terapeutico: condizionato dalla disponibilità di terapie per la patologia in oggetto, indica quanto l'introduzione di una nuova terapia

sia necessaria per dare risposta alle esigenze terapeutiche di una popolazione di pazienti. Può essere graduato in cinque livelli: massimo, importante, moderato, scarso, assente.

2. il valore terapeutico aggiunto: è determinato dall'entità del beneficio clinico apportato dal nuovo farmaco rispetto alle alternative disponibili, se esistenti, su esiti riconosciuti come clinicamente rilevanti e validati per la patologia in oggetto. Come il precedente può essere graduato in 5 livelli: massimo, importante, moderato, scarso, assente.

3. la qualità delle prove ovvero la robustezza degli studi clinici: per la valutazione di questo parametro l'AIFA decide di adottare il metodo GRADE (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation; <http://www.jclinepi.com/content/jce-GRADE-Series>). In base a tale valutazione, la qualità potrà risultare: alta, moderata, bassa, molto bassa.

L'aggiornamento include i seguenti farmaci a cui è stato riconosciuto il requisito d'innovatività terapeutica piena:

• **Enerthu** (trastuzumab deruxtecán): indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella HER2-low non reseccabile o metastatico, che hanno ricevuto precedente chemioterapia per malattia metastatica o

che hanno sviluppato recidiva della malattia durante o entro sei mesi dal completamento della chemioterapia adiuvante.

• **Tecartus** (Cellule CD3 + autologhe trasdotte anti-CD19): indicato per il trattamento di pazienti adulti di età pari o superiore a 26 anni con leucemia linfoblastica acuta (acute lymphoblastic leukaemia, ALL) a precursori di cellule B recidivante o refrattaria.

• **Upstaza** (eladocagene exuparvovec): indicato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 18 mesi con una diagnosi di deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC) confermata dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo.

L'elenco rappresenta i prodotti innovativi che devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali. Il riferimento all'inserimento in elenco è pubblicato in Gazzetta Ufficiale per ogni singola specialità in relazione all'indicazione in regime di rimborso Ssn. Tale elenco include anche il dettaglio dei prodotti che hanno accesso al fondo farmaci innovativi oncologici e non oncologici (art. 1, commi 402, 403 e 404, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 e ss.mm.ii).

Sono anche pubblicati i seguenti report relativi ai medicinali che hanno ottenuto esito negativo nella valutazione ai fini dell'innovatività:

• **Livmarli** (maralixibat): indicato per il trattamento del prurito colestatico in pazienti affetti da sindrome di Alagille (ALGS) di età pari e superiore a 2 mesi.