

MEDICINA

Terapie combinate: quanti ostacoli alla loro diffusione



L'uso delle terapie combinate ha una lunga storia nella medicina moderna. Dagli agenti chemioterapici come trimetoprim e sulfametossazolo o amoxicillina e acido clavulanico, le combinazioni terapeutiche si sono estese a numerose aree.

Le applicazioni spaziano dalle malattie dismetaboliche come diabete mellito e dislipidemie, alle patologie neuropsichiatriche quali malattia di Parkinson, epilessia e psicosi. Sono ampiamente utilizzate anche nell'anestesia e analgesia, nelle malattie cardiovascolari - dall'ipertensione all'insufficienza cardiaca congestizia o coronarica - e nelle malattie del sistema immunitario, respiratorie e dell'apparato digerente. Particolarmente rilevante è l'utilizzo in oncologia e oncoematologia, dove si sono registrati notevoli progressi nell'integrazione di immunoterapia, chemioterapia e terapie target.

Evoluzioni che hanno interessato anche il trattamento dell'Hiv, dove si è passati da regimi complessi con molteplici compresse giornaliere, alle attuali Single Pill Combinations (SpC), che hanno migliorato significativamente l'efficacia e ridotto gli eventi avversi oltre alla compliance. Analogamente, per l'epatite C, gli antivirali ad azione diretta (Daa) somministrati in combinazione hanno rivoluzionato il trattamento, mentre per il diabete

di tipo 2, le terapie combinate hanno permesso un migliore controllo glicemico e cardiovascolare.

Sfide regolatorie e di accesso

Nonostante i numerosi benefici, l'accesso alle terapie combinate incontra importanti complessità. Il Report "ComboConnect - Bridging access gaps in combination therapies" che ha analizzato le 149 terapie combinate approvate al 30 aprile 2024, di cui 82 sono state selezionate per l'analisi, mette in luce diverse problematiche, a partire dall'assenza di procedure definite per attribuire e riconoscere il valore delle combinazioni. Si riscontra infatti, una mancanza di criteri chiari per determinare il contributo delle singole componenti, con conseguenti difficoltà nell'implementare un approccio di Value-Based Pricing. A ciò si aggiunge la complessità del processo negoziale, in particolare quando i medicinali hanno titolarità differenti, complicato ulteriormente dalle limitazioni dei dati clinici comparativi disponibili, spesso insufficienti a supportare la richiesta di un premio di prezzo. Le incertezze nel dimensionare accuratamente efficacia e sicurezza delle combinazioni si riflettono nelle valutazioni economiche, quali analisi di impatto sul budget (Bia) e analisi di costo-efficacia (Cea),

nonché nelle valutazioni di Hta da parte delle Agenzie Regolatorie, che estendono il raggio di valutazione ad ulteriori aspetti, con il rischio di un'allocatione delle risorse non ottimale.

Una call to action per tutti gli stakeholder

Il Report del progetto "ComboConnect - Bridging access gaps in combination therapies", realizzato grazie al contributo non condizionante di Astellas, Roche, GSK e Otsuka, rappresenta un primo passo verso la creazione di un framework regolatorio più efficace. Il documento è il risultato di un progetto ideato da More Than Access (Mta) Srl Società Benefit e ha visto una discussione tra esperti di varia estrazione in merito all'attuale disponibilità di terapie combinate in Italia e a dati sui processi di valutazione e negoziazione. L'analisi ha permesso quindi di individuare azioni per ridurre la complessità e favorire l'accesso ai pazienti.

È fondamentale una collaborazione sinergica tra tutti gli attori coinvolti - pazienti, aziende, autorità regolatorie e il Ssn nel suo complesso - per affrontare queste sfide e individuare percorsi condivisi e sostenibili che garantiscano ai pazienti l'accesso tempestivo a terapie combinate innovative ed efficaci.