

# ABOUTPHARMA

---

## AND MEDICAL DEVICES



**Storie di azienda**

**Donne, uomini e algoritmi**  
**Polifarma cent'anni dopo**



Sanità

**Nuovo governo**

Vecchie questioni

pag. 18

Non solo Fentanyl!

**Il lato oscuro**

delle medicine

pag. 62



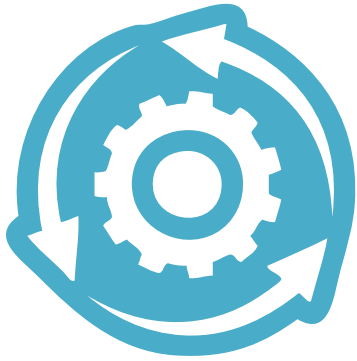
Ricerca spaziale

**Biomed, anche l'Italia**

va in orbita

pag. 70

# AFFARI REGOLATORI



A cura di  
**Intexo Regulatory Affairs  
& Market Access Solutions**  
www.intexo.it

## La prima terapia CAR-T innova anche la prassi di rimborso

Con la ratifica dell'accordo fra il Comitato prezzi e rimborsi e Novartis, titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio della specialità medicinale Kimryah (nome commerciale di tisagenlecleucel), l'Agenzia Italiana del Farmaco ha dato il via libera alla rimborsabilità e di fatto all'accesso in Italia della prima terapia avanzata a base di cellule CAR-T (Chimeric antigen receptor T-cell). Dopo una fase negoziale durata diversi mesi, l'accordo è stato infatti sancito dal CdA di Aifa ed è stata pubblicata nella Gazzetta ufficiale del 12 agosto 2019 la determina Aifa sul regime di rimborsabilità e di prezzo del medicinale Kimryah. Questa prima terapia genica è indicata ed è rimborsata dal Ssn sia per pazienti pediatrici e giovani adulti fino a venticinque anni di età con leucemia linfoblastica acuta (Lla) a cellule B che è

refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva, e anche per pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (Dlbcl) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica. Essendo un medicinale per terapia avanzata, come stabilito dal Regolamento Ce n 726/2004, la valutazione del profilo di qualità, sicurezza ed efficacia e quindi il rapporto beneficio/rischio è stata effettuata dall'Agenzia europea dei medicinali attraverso la procedura centralizzata, al termine della quale il Chmp (Committee for medicinal products for human use) supportato dall'attività svolta da Cat (Committee for advanced therapies) ha adottato un parere positivo all'autorizzazione all'immissione in commercio, rilasciata poi il 22 agosto 2018 dalla Commissione europea. Prima della valutazione del dossier registrativo, già nel 2014, a seguito dei primi dati clinici ottenuti durante la sperimentazione è stata chiesta e concessa dal Comp (Committee for orphan medicinal products) la designazione di medicinale orfano, in quanto tisagenlecleucel era ed è destinato alla terapia di una affezione che comporta una minaccia per la vita e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nell'Unione europea. Kimryah è stato inoltre il primo farmaco ad entrare a far parte del programma Priority Medicines (PRIME) lanciato dall'EmA per migliorare il sostegno allo sviluppo di medicinali destinati a soddisfare esigenze mediche non risolte. Questo schema, basandosi su una migliore e precoce interazione fra l'EmA e gli sviluppatori di medicinali "promettenti", consente di ottimizzare i piani di sviluppo farmaceutico, clinico e di accelerare la valutazione della domanda di Aic, con lo scopo quindi di aiutare i pazienti a beneficiare il prima possibile di terapie, come quelle CAR-T, che possano migliorare significativamente la loro

qualità di vita. Oltre all'innovazione terapeutica di Kimryah, considerato un game changer nella lotta contro alcuni tipi di tumori, a essere innovativa è anche la formula del rimborso, ossia il pagamento al risultato (payment at result) utilizzato per la prima volta da Aifa e che è si presenta come un "nuovo" accordo fra quelli attualmente presenti basati sull'outcome (Performance-based risk sharing). Con il nuovo modello di "payment at result" il Ssn pagherà le terapie solo se queste dimostrano chiaramente, attraverso i dati reali della pratica clinica, di funzionare. Con il sistema più noto di "payment by result" invece il pagamento del farmaco da parte del Ssn è comunque dovuto e solo dopo, se si dimostra che la malattia è progredita, l'azienda deve restituire il prezzo del farmaco. La terapia proprio grazie all'innovazione e alla modalità del payment at result potrà quindi garantire l'accesso ai pazienti eleggibili alla terapia preservando l'obiettivo comune della sostenibilità di sistema. Kimryah, come da indicazioni dell'EmA, sarà fornito solo agli ospedali e ai centri associati che sono qualificati e quindi l'iter prevede ora, dopo la pubblicazione in Gazzetta dell'accordo, che le Regioni identifichino i centri ematologici autorizzati a erogare la terapia. Nello specifico servirà la certificazione del Centro nazionale trapianti in accordo con le Direttive Ue, un laboratorio per la criopreservazione con personale qualificato e adeguatamente formato, un centro di aferesi, l'accreditamento per il trapianto allogeneico, la disponibilità di un'unità di terapia intensiva, e ovviamente un team multidisciplinare adeguato alla gestione clinica delle possibili complicanze che abbia completato il programma educativo.

**Riccardo Nescatelli**  
riccardo.nescatelli@intexo.it