

Marco Marchetti,¹ Valeria Cacciato,² Irene Urbina³

¹Responsabile Unità di Valutazione delle Tecnologie ed Innovazione, Policlinico A. Gemelli, Roma

¹Responsabile Laboratorio di HTA SIFO

²Laboratorio di HTA SIFO

³Unità di Valutazione delle Tecnologie ed Innovazione, Policlinico A. Gemelli, Roma

Coverage under evidence development: *Case Studies*

Le incertezze nelle decisioni di prezzo e rimborso delle tecnologie sanitarie innovative in termini di evidenza clinica, costo-efficacia, *budget impact*, valore/prezzo e appropriatezza, hanno portato alla necessità di sviluppare politiche per la loro introduzione nei sistemi sanitari. Un'opportunità è data dal *coverage under evidence development* (CED). I programmi CED consentono di creare una *partnership* tra i sistemi sanitari e le aziende produttrici di tecnologia per mezzo della quale in un fase iniziale, per consentire la produzione di evidenze a supporto di una successiva decisione di rimborsabilità, la tecnologia viene introdotta e rimborsata all'interno di un programma di controllato per la generazione della evidenza clinica.¹ Tramite i programmi CED è possibile indirizzare le risorse verso tecnologie appropriate ed efficaci, accedere in modo più veloce alle nuove tecnologie e aumentare i benefici per i pazienti. Il CED comporta però anche il rischio di: investire in tecnologie potenzialmente non costo-efficaci, sostenere costi extra per il monitoraggio dell'evidenza e per la raccolta e analisi dei dati, difficoltà per dismettere tecnologie che risultino non costo-efficaci, possibile accesso a tecnologie inefficaci o in cui gli svantaggi superino i vantaggi, rischi legati all'utilizzo di tecnologie non pienamente valutate o raccomandate da linee guida nonché un potenziale incremento delle rivalse legali.² Secondo l'International Society For Pharmacoeconomics and Outcomes Research,³ sono due le modalità di CED:

CED only with research: la tecnologia viene utilizzata su tutti i pazienti che possono essere trattati e le evidenze generate raccolte attraverso studi osservazionali o registri. Normalmente questi programmi vengono avviati e condotti in setting specifici quali ad esempio network di strutture sanitarie selezionate.

CED only in research: la tecnologia viene utilizzata solo all'interno di programmi di ricerca specifici e solo i pazienti che rientrano nei criteri di inclusione degli studi possono essere trattati con la nuova tecnologia.

CASE STUDIES

A livello nazionale

Stati Uniti

In *Medicare & Medicaid*, l'obiettivo del CED è fornire dati per le eventuali decisioni di rimborso a livello nazionale da parte dei Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS).⁴

Strumenti: Studi clinici interventistici/osservazionali o registri.

Esempio: Nel 2013, PET con ¹⁸fluorodesossiglucosio (FDG) per il trattamento della disabilità cognitiva lieve attraverso il Metabolic Cerebral Imaging in Incipient Dementia (MCI-ID).⁵

Germania

Per mezzo della nuova legge § 137h del *Sozialgesetzbuch SGB V* (2015), dal 2016 vi è la possibilità di *coverage under evidence development* per i dispositivi medici innovativi in categoria di alto rischio (IIB/III) o impianti attivi invasivi il cui beneficio non sia dimostrato, a patto che siano «un'alternativa di trattamento potenzialmente necessaria».

La valutazione viene eseguita dall'agenzia di HTA tedesca (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen - IQWiG); l'organo decisore è il Federal Joint Committee (G-BA).⁶

In seguito all'approvazione, l'evidenza verrà raccolta nel giro di 2 anni. I costi della ricerca sono condivisi (industria e assicurazione nazionale GKV). La decisione finale sul rimborso si baserà sui risultati degli studi clinici.

Francia

Articolo L165-1-1 del Codice di Previdenza Sociale «*Forfait innovation*» (2009), consente possibilità di *coverage under evidence development* per i dispositivi medici innovativi su richiesta dell'industria indipendentemente oppure in collaborazione con associazioni di medici o con un ospedale.⁷

Organo decisore: Haute Autorité de Santé (HAS).

Possibili progetti di ricerca:

- Studio clinico comparativo.
- Studio di minimizzazione dei costi a parità di equivalenza clinica.

Costi: Fondi di ricerca del Ministero della Salute.

A livello ospedaliero

Hôpitaux de Paris (Francia)

È possibile eseguire studi clinici condotti in partnership con l'industria (co-finanziati) su dispositivi medici con marchio CE per i quali ci sia evidenza insufficiente e non siano previsti altri rimborsi (solo DGR). La richiesta viene effettuata da parte dei clinici.

Team per la valutazione:

- Unità di HTA.
- Dipartimento di strategia medica.
- Dipartimento finanziario.
- Sponsor istituzionale per la ricerca.

Fondazione Policlinico Universitario 'Agostino Gemelli' (Italia)

In seguito alla richiesta d'inserimento di dispositivi medici da parte dei clinici, viene eseguita una valutazione da parte dell'unità di HTA, ne scaturisce una discussione e raccomandazione da parte della Commissione per la Farmaco Terapia e Dispositivi Medici (COFT-DM) ed infine la decisione da parte della direzione.

Se l'evidenza è insufficiente si procede all'accettazione con riserva e si richiede ai clinici la compilazione di un registro.

RIFERIMENTI BIBLIOGRAFICI

1. Eichler HG, Oye K, Baird LG, Abadie E, Brown J, Drum CL, Ferguson J et al. Adaptive licensing: taking the next step in the evolution of drug approval. *Clin Pharmacol Ther* 2012;91(3):426-37.
2. Hutton J, Trueman P, Henshall C. Coverage with Evidence Development: An examination of conceptual and policy issues. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 2007;23(4):425-35.
3. Garrison LP Jr, Towse A, Briggs A, de Pouvourville G, Grueger J, Mohr PE, Severens JL, et al. Performance-based risk-sharing arrangements-good practices for design, implementation, and evaluation: report of the ISPOR good practices for performance-based risk-sharing arrangements task force. *Value Health* 2013;16(5):703-19.
4. Daniel GW et al. Coverage With Evidence Development for Medicare Beneficiaries Challenges and Next Steps. *JAMA Intern Med* 2013;173(14):1281-2.
5. Foster NL et al. Coverage with evidence development: what to consider. *JAMA Neurol* 2014;71(4):399-400.
6. Sauerland S. Bewertung neuer Medizinproduktmethoden nach §137h SGB V: Methodik. Informationsveranstaltung des G-BA zu § 137h SGB V Berlin, 20.05.2016.
7. Ministère des Affaires Sociales et de la Santé. Le forfait innovation. <http://social-sante.gouv.fr/> 26.07.16