24ORE EVENTI Meet the leaders, share the experience

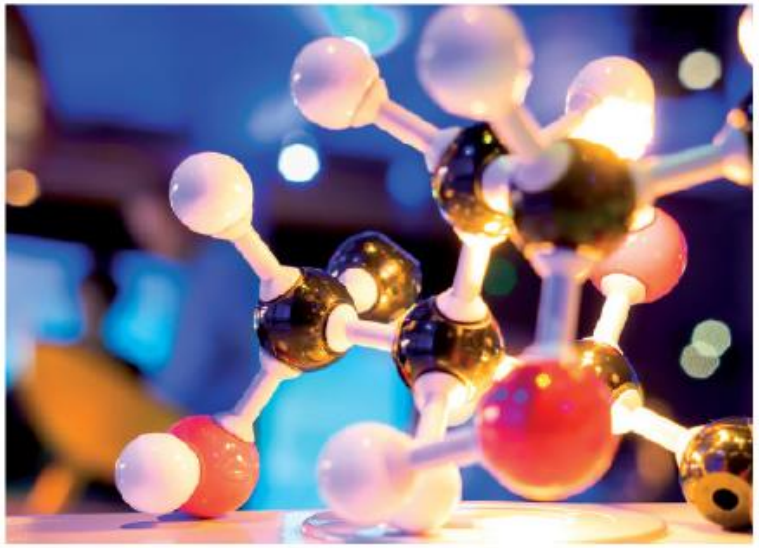
Il Sole 24 ORE

www.eventi.ilsole24ore.com/healthcare-2016

5° HEALTHCARE SUMMIT

LA SANITÀ DEL FUTURO

ROMA, 26 OTTOBRE 2016 - ORARIO: 9.00-17.00
ROMA EVENTI PIAZZA DI SPAGNA - VIA ALIBERT, 5A



Coniugare innovazioni e sostenibilità: la soluzione è il *value-based pricing*?

Nino Cartabellotta
Fondazione GIMBE

Disclosure

- La Fondazione GIMBE, di cui sono Presidente, eroga attività di formazione e coaching sui temi trattati dalla mia relazione
- Per la presente relazione non ho ricevuto alcun compenso
- Nessun altro conflitto da dichiarare

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

ANALYSIS

Why the drug development pipeline is not delivering better medicines

Despite the large number of new medicines entering the market every year, few offer important clinical advantages for patients. **Huseyin Naci**, **Alexander Carter**, and **Elias Mossialos** explain the reasons for this innovation deficit and offer some solutions

Huseyin Naci *assistant professor of health policy*[1], Alexander W Carter *policy fellow*[2], Elias Mossialos *professor of health policy*[1]

What is innovation?

- Patients and clinicians commonly understand innovation to mean a medicine that has transformed management and treatment, either by providing treatments for conditions with no current (satisfactory) remedies or by offering meaningful improvement over existing options.
- In recent years, however, we adopted other definitions to measure innovation

Measures of innovation

- **Number of new drug approvals**, used by regulators, drug companies, and policy makers
- **Technological and pharmacological novelties**, i.e. changes in pharmacokinetic properties that may or may not be clinically relevant
- **Number of patents associated with new medicines**, used alone or together with citations of new patents
- **Clinical superiority over existing alternatives**, increasingly measured using surrogate endpoints rather than outcomes relevant to patients

AIFA

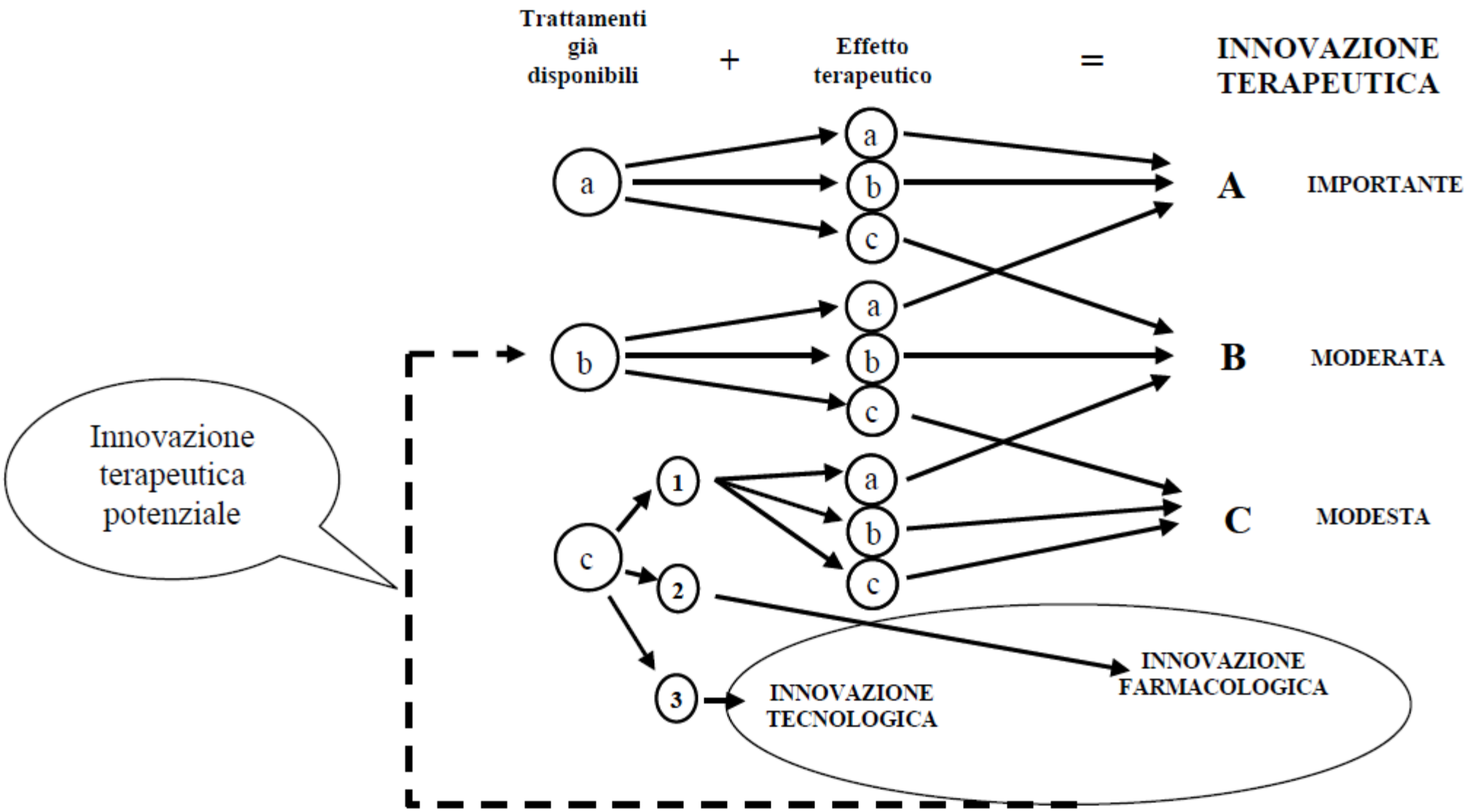
Gruppo di lavoro sull'innovatività dei farmaci

CRITERI PER L'ATTRIBUZIONE DEL GRADO DI INNOVAZIONE TERAPEUTICA DEI NUOVI FARMACI

ed elementi per la integrazione del dossier per l'ammissione alla rimborsabilità

(documento approvato dalla CTS il 10 luglio 2007)

- (A) benefici maggiori su end-point clinici (riduzione della mortalità e della morbilità) o su end-point surrogato validati[1];
- (B) beneficio parziale sulla malattia (end-point clinici o surrogato validati) o evidenze limitate di un beneficio maggiore (risultati non conclusivi);
- (C) beneficio minore o temporaneo su alcuni aspetti della malattia (ad esempio, sollievo sintomatico parziale in una malattia grave).


Trattamenti già disponibili
+
Effetto terapeutico
=
INNOVAZIONE TERAPEUTICA
a
b
c
A
IMPORTANTE
B
MODERATA
C
MODESTA
1
2
3
Innovazione terapeutica potenziale
INNOVAZIONE TECNOLOGICA
INNOVAZIONE FARMACOLOGICA

Warning to clinical trials…

- …che non fanno riferimento a revisioni sistematiche
- …con outcome surrogati, di rilevanza clinica non provata
- …in cui lo sponsor mantiene la proprietà dei dati
- …vs placebo in presenza di trattamenti efficaci
- …con disegno di non-inferiorità
- …di disseminazione (*seeding trials*)

24 10 ore 20.00

DISEGNO DI LEGGE DI BILANCIO 2017

Titolo VI
Misure a sostegno del Servizio Sanitario Nazionale

Art. 60
(Efficientamento della spesa del Servizio sanitario nazionale)

6. Per gli effetti di quanto previsto al **comma 4** e al **comma 5**, con determina del direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), da adottarsi entro il 31 marzo 2017, sono stabiliti i criteri per la classificazione dei farmaci innovativi e a innovatività condizionata e dei farmaci oncologici innovativi. Con la medesima determina sono definite le modalità per la valutazione degli effetti dei predetti farmaci ai fini della permanenza del requisito di innovatività e le modalità per la eventuale riduzione del prezzo di rimborso a carico del Servizio sanitario nazionale. Nelle more dell'adozione della determina di cui al presente comma i nuovi farmaci potranno essere classificati innovativi solo provvisoriamente, salvo verifica e conferma entro 60 gg dalla data di adozione della determina medesima e sulla base dei criteri in essa definiti"

Presidente AIFA Melazzini in audizione al Senato sulla sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale

Comunicato Stampa 494

07/06/2016

"Occorre pertanto sostenere l'innovazione, eliminando ogni barriera e individuando modelli nuovi ad esempio un *Value-based Pricing* per i nuovi farmaci, ossia un prezzo medio per tutti i pazienti. Alla base vi deve essere una indispensabile collaborazione sinergica tra le Agenzie regolatorie europee e, in ambito nazionale, un'interazione coordinata tra innovazione, ricerca clinica, pratica clinica e politica sanitaria al fine di promuovere il nostro SSN solidaristico e universale e soddisfare i reali bisogni di salute dei cittadini. Bisognerà inoltre saper ragionare in un'ottica di omogeneità del Sistema Farmaco, anche con percorsi di confronto e condivisione con le Regioni, per garantire a ogni paziente il farmaco più appropriato e sostenibile".

ANALYSIS

Value based pricing: can it work?

From next year the UK will use value based pricing to determine what it pays for new drugs. **James Raftery** explains what this will mean for drug companies, NICE, and the NHS

James Raftery *professor of health technology assessment*

University of Southampton, Chilworth Science Park, Southampton SO16 7NS, UK

What Is Value in Health Care?

Michael E. Porter, Ph.D.

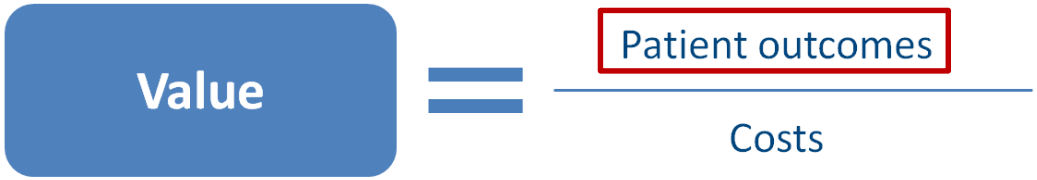
N ENGL J MED 363;26 NEJM.ORG DECEMBER 23, 2010

$$\text{Value} = \frac{\text{Patient outcomes}}{\text{Costs}}$$

Quali outcome?

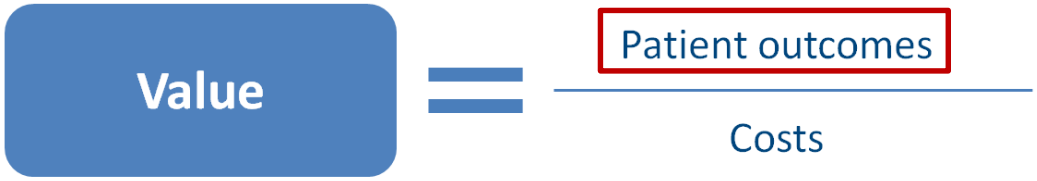
Nella sua originale formulazione il concetto di outcome include esclusivamente esiti rilevanti per il paziente:

- riduzione della mortalità e delle complicanze
- miglioramento della prognosi di malattia
- riduzione dei sintomi e del dolore
- miglioramento della qualità di vita e della funzionalità
- riduzione degli effetti avversi



Quali outcome?

- Produttori di farmaci e tecnologie vogliono estendere i “criteri di inclusione” del numeratore, considerando outcome non strettamente correlati alla salute del paziente
- Governi e Istituzioni espandono i “criteri di inclusione del denominatore”, includendo non solo i costi diretti, ma anche quelli indiretti, inclusi quelli ambientali



2013 Policy Forum

HTA and Value:
Assessing value, making value-based decisions, and sustaining innovation

3 – 5 February 2013
Hotel Miramar Barcelona
Barcelona, Spain

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

Stakeholders

- Patient and/or group of patients
- Caregivers/families
- At-risk/vulnerable populations
- Clinicians
- Professional associations
- Health delivery organizations
- Health system
- HTA bodies/systems
- Academia/Researchers
- Payers (national/regional health authority, health plan, insurance company)
- Government
- Regulators
- Technology developers (device and pharmaceutical industry)
- Generic manufacturers
- Public/society
- Non-health sector stakeholders & programs (employers, workforce, EI, pensions, taxes, penal system, education system, etc.)

Whose perspective counts?

Which criteria count?

Examples of Value Measures

Health outcomes (population and individual health outcomes)

- Increased effectiveness, including level of certainty of outcome or heterogeneity of treatment effect.
- Increased safety

Other patient, caregiver and/or population health benefits

- Reduction of uncertainty (e.g. following diagnosis)
- Reduced caregiver burden/early return to normal activities and work (productivity)
- Technology meets unmet need
- Greater treatment choice
- Improved access to service
- Greater equity

Health system benefits

- Decreased net cost of delivery per patient
- Lesser budget impact
- Fewer sunk and other costs (e.g., operating costs)
- Greater economies of scale or scope
- Greater ease of incorporating technology into current system (and ease of future disinvestment)
- Improved administration/delivery

Benefits beyond the health system

- Decreased costs to other areas of government (e.g., education, penal system)
- Greater political acceptability
- Positive social impact (e.g., increased societal productivity, more environmentally friendly "greener")

International Journal of Technology Assessment in Health Care, 29:4 (2013), 353–359.

doi:10.1017/S0266462313000378

THEME - HTA and Value

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT, VALUE-BASED DECISION MAKING, AND INNOVATION

Chris Henshall
University of York

Tara Schuller
Health Technology Assessment International

On behalf of the HTAi Policy Forum

	Australia	Canada	France	Germany	Netherlands	Sweden	UK
	PBAC	CADTH	HAS	IQWiG	Health Care Insur. Bd., CHF	TLV	NICE
Types of technologies/ interventions assessed							
• Drugs	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
• Devices		✓	✓				✓
• Procedures, diagnostics, tests, surgeries			✓				✓
• Public health interventions			✓				✓
• Systems/services/delivery		✓					
Information requirements		Clinical benefit; health economic information required to establish value for money. Other evidence on equity, public health, and budget impacts may be submitted.	Clinical benefit; health economic information recommended, but not required, to establish value for money. Other evidence on public health impact, innovative characteristics, and budget impact may be submitted.	Clinical benefit; health economic information only considered when a manufacturer and the GKV-SV cannot reach agreement regarding price, at which time IQWiG may conduct an economic assessment. Other required information includes additional benefit in relation to appropriate comparator therapy and budget impact.	Clinical benefit; health economic information required to establish value for money. Other evidence on innovative characteristics and budget impact may be submitted.	Clinical benefit; health economic information required to establish value for money. Other evidence on disease burden/severity and equity impacts may be submitted.	Clinical benefit; health economic information required to establish value for money. Other evidence on societal preferences, equity impacts, innovative characteristics, and budget impact may be submitted.
Assessment of therapeutic value (preferred/required approach)							
• QALY	✓	✓			✓	✓	✓
• SMR/ASMR			✓				
• Benefit assessment categorization				✓			
Assessment of economic value (preferred/required approach)							
• CUA	✓	✓			✓	✓	✓
• CEA	In some cases	✓	✓		In some cases	In some cases	In some cases

	Australia	Canada	France	Germany	Netherlands	Sweden	UK
	PBAC	CADTH	HAS	IQWiG	Health Care Insur. Bd., CHF	TLV	NICE
Assessment of economic value (preferred/required approach)							
• CMA		✓	✓				
• CBA				✓			
Patient subgroup analysis required or considered	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
Aspects of value assessed							
• Size of therapeutic effect	✓	✓	✓	✓	✓	✓	✓
• Quality of clinical evidence				✓			
• Burden/prevalence of disease					✓	✓	
• Relevant clinical endpoints	✓	✓					
• Clinical uncertainty		✓	✓				✓
• Cost-effectiveness (and degree of uncertainty in economic analyses)	✓	✓			✓	✓	✓
• Quality of clinical and economic modelling evidence		✓					
• Budget impact	✓	✓	✓	✓	✓		
• Severity of disease	✓				✓	✓	
• Availability of treatment alternatives	✓				✓	✓	✓
• Public health impact			✓				
• Innovative characteristics			✓		✓		
• Legal/ethical/equity considerations					✓	✓	
• Patient affordability	✓						
• Social values/preference							✓
Decision threshold	None fixed. High would be AUS$50,000 (USD$49,000)	None explicit	No	No	None fixed. Examples around €20,000	None fixed. Examples around 500,000 SEK (USD$74,000)	Yes, approx. £20-30,000

Applicazione del value

- **Value-based pricing:** mira ad allineare i prezzi e i processi di innovazione con i bisogni rilevanti dei pazienti e più in generale della società

Indicatori di value

Analisi di costo-efficacia (CEA)

- Confronta tecnologie in relazione al costo netto richiesto per ottenere un'unità di miglioramento, di norma anni di vita guadagnati o patologie evitate
- Viene espressa come rapporto incrementale di costo-efficacia (ICER)

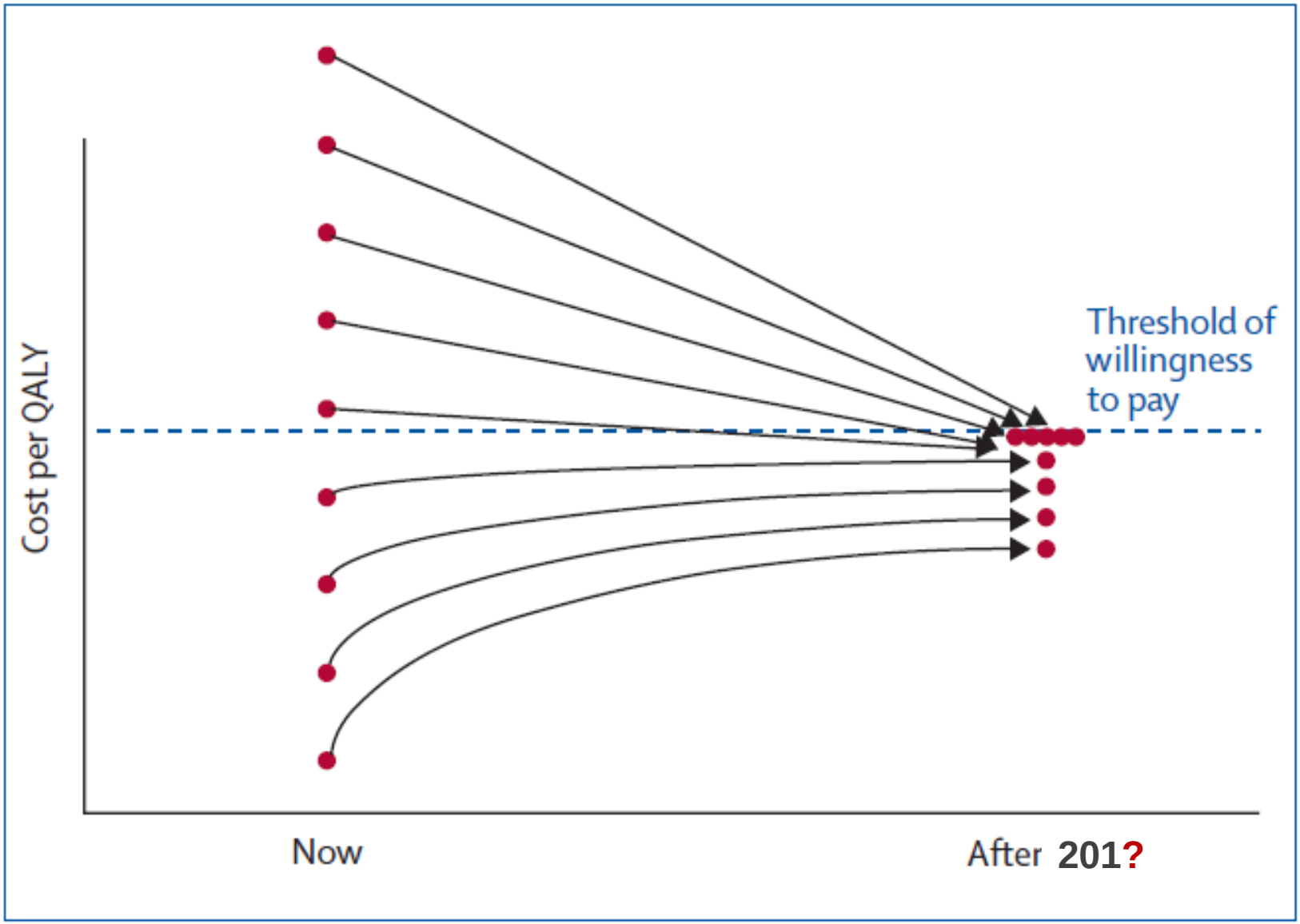
Analisi di costo-utilità (CUA)

- Come la CEA, ma misura gli outcome in anni di vita aggiustati per la qualità (QALYs)
- Permette di confrontare direttamente i benefici di una tecnologia (es. QALYs guadagnati)

Value-based pricing of drugs in the UK

www.thelancet.com Vol 369 April 28, 2007

*David J Webb, Andrew Walker
Clinical Pharmacology Unit, Queen's Medical Research Institute, Edinburgh EH16 4TJ, UK (DJW); and Robertson Centre for Biostatistics, University of Glasgow, Glasgow, UK (AW)

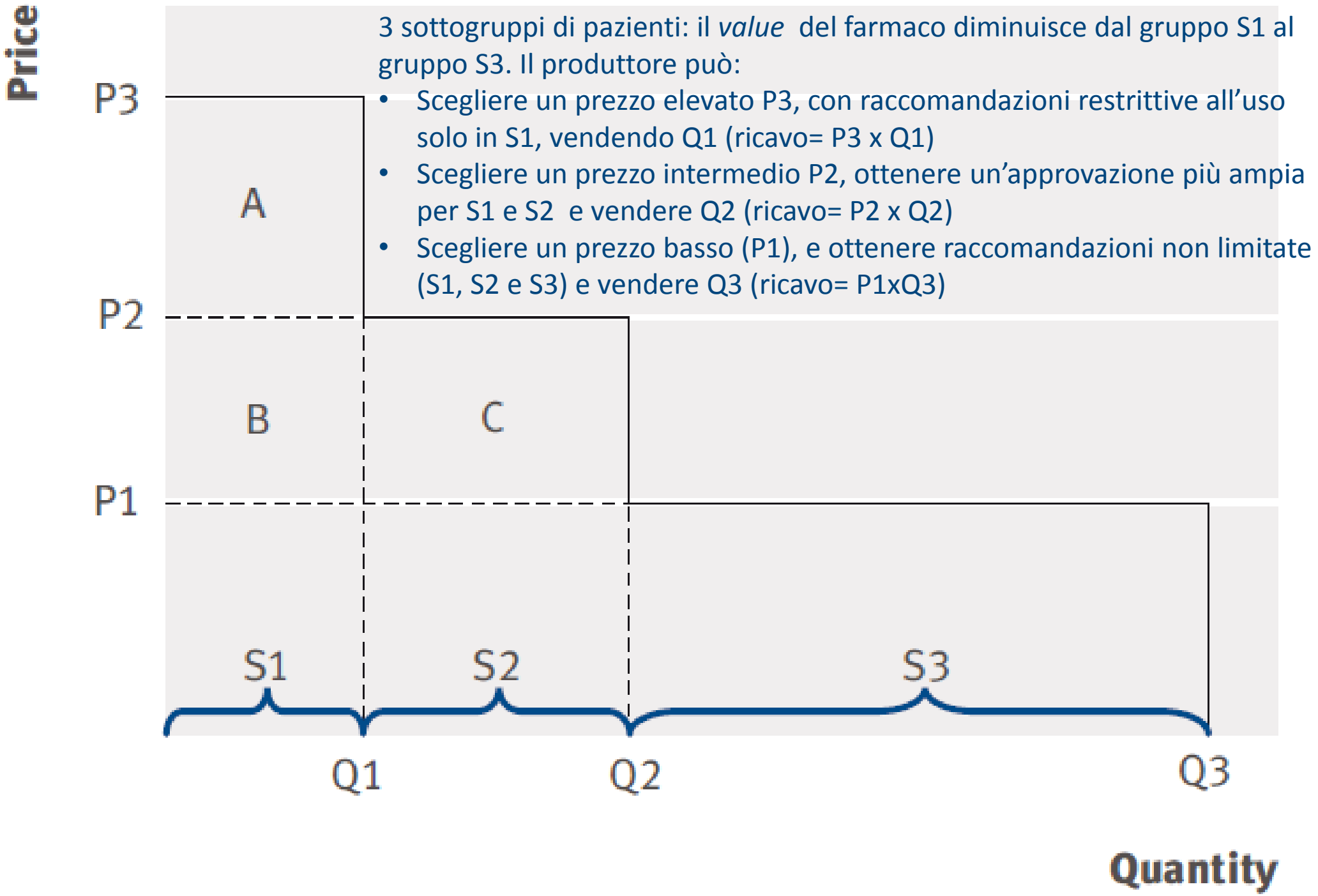


GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

Value based pricing for NHS drugs: an opportunity not to be missed?

The policy debate about price, value, and innovation in pharmaceuticals is at a critical stage for the NHS. **Karl Claxton and colleagues** describe the key principles of value based pricing and consider some of the concerns about such a scheme

BMJ | 2 FEBRUARY 2008 | VOLUME 336



3 sottogruppi di pazienti: il *value* del farmaco diminuisce dal gruppo S1 al gruppo S3. Il produttore può:

- Scegliere un prezzo elevato P3, con raccomandazioni restrittive all'uso solo in S1, vendendo Q1 (ricavo= P3 x Q1)
- Scegliere un prezzo intermedio P2, ottenere un'approvazione più ampia per S1 e S2 e vendere Q2 (ricavo= P2 x Q2)
- Scegliere un prezzo basso (P1), e ottenere raccomandazioni non limitate (S1, S2 e S3) e vendere Q3 (ricavo= P1xQ3)

- Il SSN guadagna netti benefici di salute dall'innovazione farmacologica solo se il prezzo è stabilito al livello del sottogruppo P1 (raccomandazione senza restrizioni)
- Il produttore ottiene maggiori ricavi scegliendo l'opzione "prezzo inferiore-copertura maggiore"

VIEWPOINT

Utility of Cancer Value Frameworks for Patients, Payers, and Physicians

Amitabh Chandra, PhD
Harvard University, Cambridge, Massachusetts.

Jason Shafrin, PhD
Precision Health Economics, Los Angeles, California.

Ravinder Dhawan, PhD
Merck, Kenilworth, New Jersey.

JAMA May 17, 2016 Volume 315, Number 19

Table. Detailed Comparison of Value Frameworks

	ASCO	ESMO	ICER	MSKCC	NCCN
Step 1: Health Benefit Components					
Efficacy outcomes measured	RR for overall, progression-free, and disease-free survival	HR for overall, progression-free, and disease-free survival; minimum absolute gain in months	Typically synthesizes evidence using QALYs	Improvement in survival	End points vary, assessed by expert opinion
Toxicity	Grade 3-4 adverse events	Significantly less toxicity (multiple definitions)	Serious adverse events	Grade 3-4 adverse events; treatment discontinuation	End points vary, assessed by expert opinion
Other factors considered	Cancer-related symptoms, treatment-free interval	Quality of life	Early return to work, disease unmet need, QALY	Treatment novelty, R&D cost, health burden, treatment duration	End points vary, assessed on case-by-case basis
Step 2: Quality of Evidence					
Trial sample size taken into account	No	Yes[a]	Yes	Yes	Yes
Number of trials influences evidence	No	No	Yes	No	Yes
Step 3: Calculate Aggregate Value					
Formulaic vs relies on expert judgment	Formulaic	Formulaic	Formulaic and expert based	Formulaic	Expert based
Accounts for patient preferences?	No	No	No	Yes	Yes
Step 4: Cost					
Cost measures	Drug acquisition cost, patient out-of-pocket cost	Not specified, left for payers to evaluate	Cost per person, total cost to payers[b]	Average sale price, average wholesale price	Total treatment cost[c]
Measures patient out-of-pocket costs	Yes	No	No	No	No

Abbreviations: ASCO, American Society of Clinical Oncology; ESMO, European Society for Medical Oncology; HR, hazard ratio; ICER, Institute for Clinical and Economic Review; MSKCC, Memorial Sloan Kettering Cancer Center; NCCN, National Comprehensive Cancer Network; QALY, quality-adjusted life year; R&D, research and development; RR, relative risk.

[a] Indirectly through lower bound of 95% CI of the efficacy measure.

[b] Total cost to payers = cost per patient × treatment uptake.

[c] Includes all pharmacy and medical cost.

EDITORIAL

Toward a Patient-Centered Value Framework in Oncology

Ethan Basch, MD

JAMA May 17, 2016 Volume 315, Number 19

Approccio patient-centered

1. Including real-world data in calculations and encouraging such evidence development in conditions in which it is lacking
2. Prominently considering patient-reported outcomes in calculations, and penalizing drugs that do not provide such information
3. Incorporating information on low-grade (and not just high-grade) toxicities
4. Including patient representatives in consensus processes to assign weights and overall value to specific drugs

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

Registrati | Login

IL RAPPORTO | CONSULTAZIONE PUBBLICA | RASSEGNA STAMPA

Rapporto GIMBE sulla sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale 2016-2025

Download

Osservatorio GIMBE sulla sostenibilità del SSN

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

Osservatorio GIMBE sulla sostenibilità del SSN

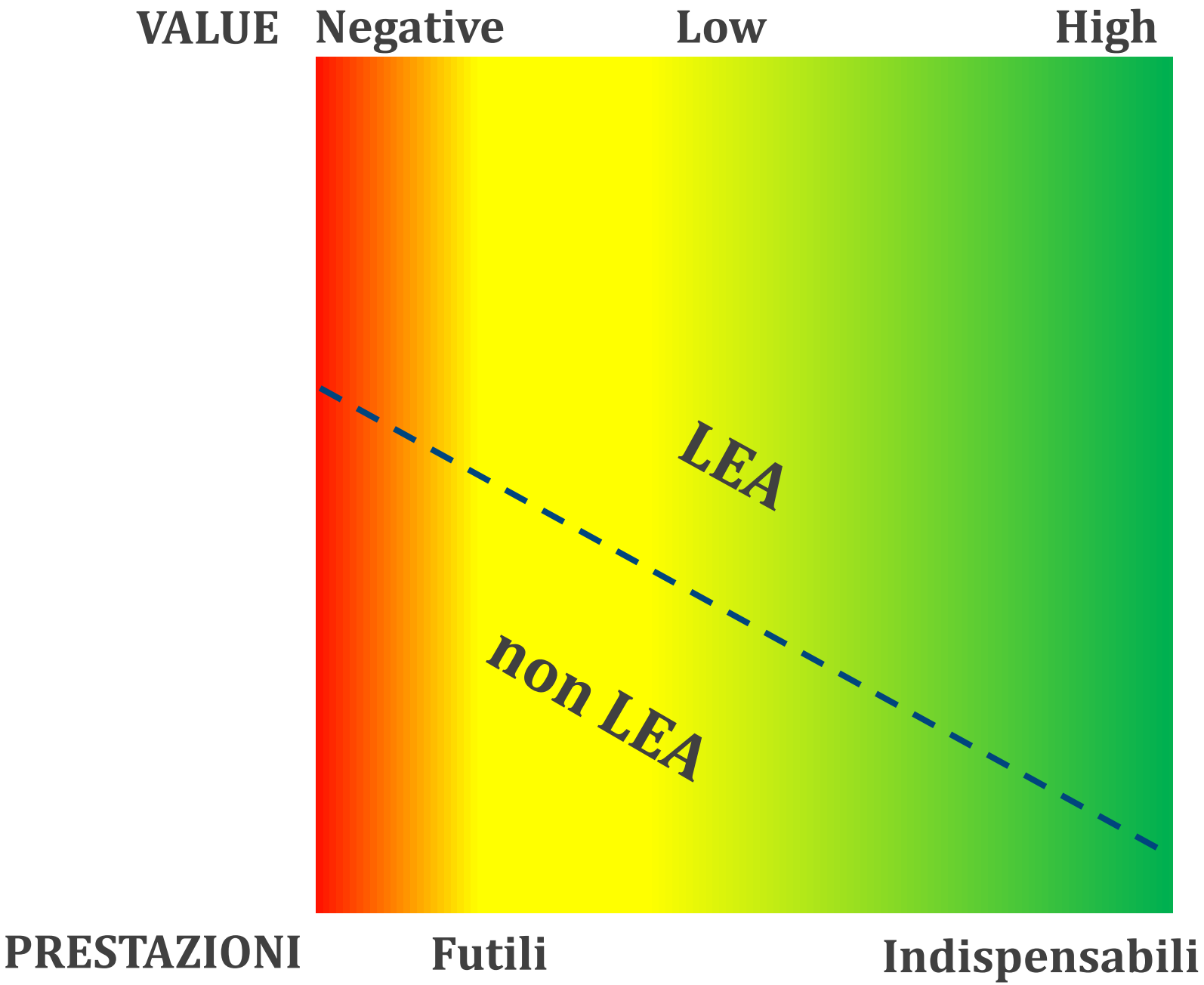
Monitoraggio continuo e indipendente di responsabilità e azioni di tutti gli stakeholders del SSN, con il fine ultimo di usare bene il denaro pubblico e tutelare la salute dei cittadini

Il differente valore (value) dei livelli essenziali di assistenza

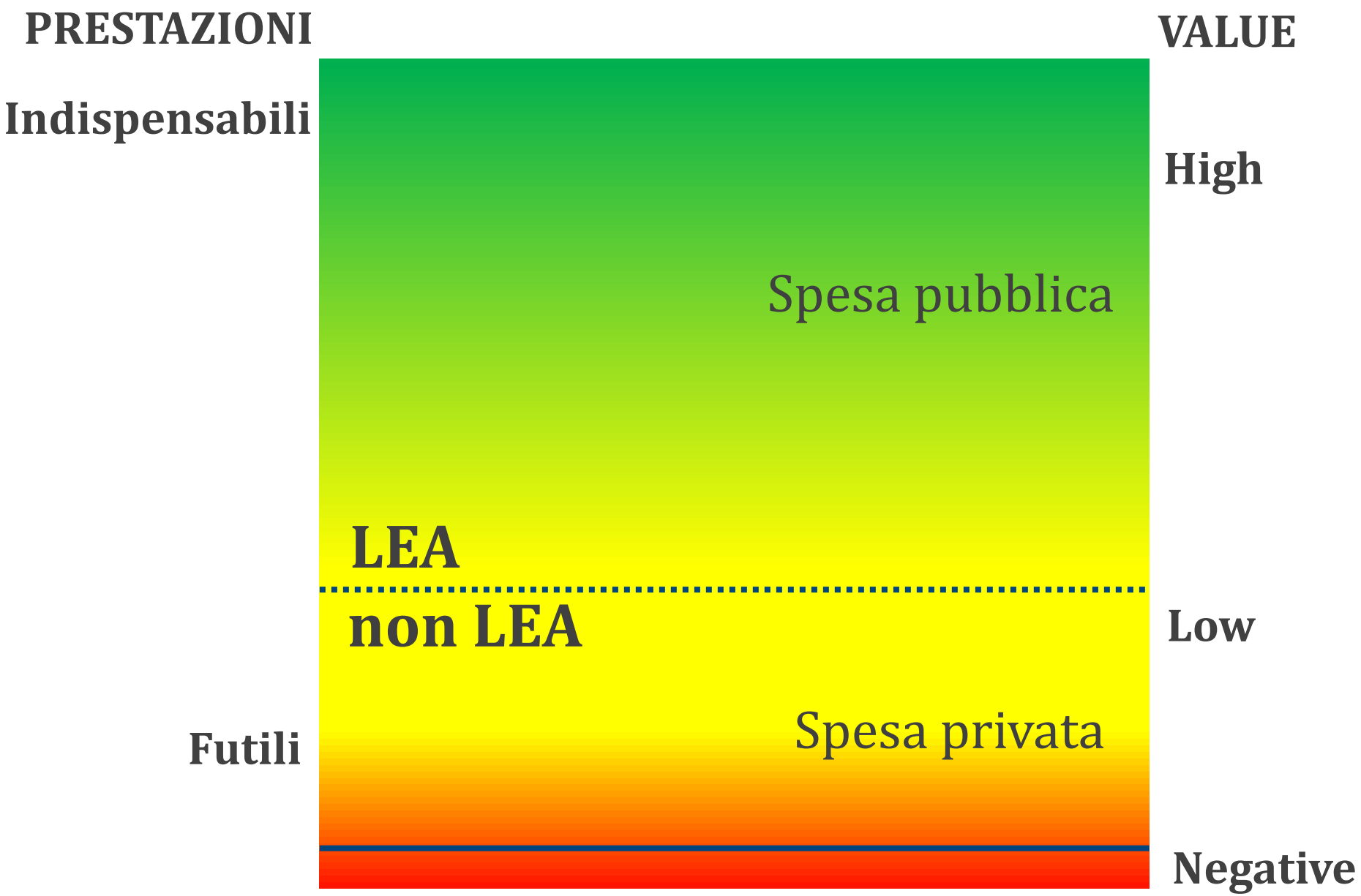
Inserito da Redazione SI on 10 ottobre 2016 – 10:22 Lascia un commento

Nino Cartabellotta

Nel corso degli anni non è mai stata utilizzata alcuna metodologia rigorosa ed esplicita per definire l'inserimento di una prestazione nei LEA, troppo spesso sdoganata solo in presenza di un elevato consenso sociale e/o professionale. Di conseguenza, oggi con il denaro pubblico vengono rimborsate numerose prestazioni dal *value* basso o addirittura negativo, ovvero dal profilo rischio-beneficio sfavorevole. Al tempo stesso, numerose prestazioni dall'elevato *value* non rientrano nei LEA per il ritardo accumulato nell'aggiornamento degli elenchi delle prestazioni.



GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH



GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

The Economist Intelligence Unit

A report from The Economist Intelligence Unit

Value-based Health Assessment in Italy

A decentralised model

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

According to Nino Cartabellotta, president and founder of the Italian group for evidence-based medicine, the GIMBE Foundation, "there is adequate co-ordination between the central bodies—AGENAS, AIFA and the Istituto Superiore di Sanita [the National Institute of Health, the country's leading public technical-scientific body]—without any overlapping of functions or activities". However, he adds that "these central bodies are unable to appropriately exercise their influence on regional health policies. Regions often only provide data streams for national reports and monitoring activities, but the two-way communication is largely insufficient."

As Mr Cartabellotta points out, this results in many regions failing in their provision of healthcare procedures and treatment that previous assessments had deemed essential, including timely surgery for femoral neck fractures, overly high Caesarean section rates (up to 50% in the region of Campania), or lack of home-care services and beds in hospices in most regions of southern Italy.

Cos'è l'innovazione?

- Pazienti e medici con questo termine intendono generalmente un farmaco che trasforma gestione e trattamento, fornendo trattamenti per condizioni che non hanno attualmente (soddisfacenti) rimedi o offrendo un significativo miglioramento rispetto alle opzioni esistenti.
- Recentemente tuttavia sono state adottate altre definizioni per misurare l'innovazione

Indicatori di innovazione

- **Numero di approvazioni di nuovi farmaci**, utilizzati da autorità regolatorie, aziende farmaceutiche e policy makers
- **Novità tecnologiche e farmacologiche**, ad es. modifiche alle proprietà farmacocinetiche, che possono o meno essere clinicamente rilevanti
- **Numero di pazienti associati ai nuovi farmaci**, utilizzato da solo o insieme alle citazioni di nuovi pazienti
- **Superiorità clinica rispetto alle opzioni esistenti**, sempre più misurata attraverso end-points surrogati piuttosto che con outcome rilevanti per i pazienti

Approccio patient-centered

1. Includere dati del mondo reale nei calcoli e incoraggiare lo sviluppo di nuove evidenze per le condizioni che non ne hanno
2. Considerare principalmente gli outcome riportati dai pazienti nei calcoli e penalizzare i farmaci che non forniscono questo tipo di informazioni
3. Incorporare informazioni sulle tossicità di basso livello (ande non di livello elevato)
4. Includere rappresentanti dei pazienti nei processi di consenso per assegnare peso e soprattutto *value* a farmaci specifici

Measures of economic value

Cost-effectiveness analysis (CEA)

- Compares technologies according to the net cost required to achieve a unit improvement in benefit, usually life-years gained or illness avoided.
- Expressed as an incremental cost-effectiveness ratio (ICER)

Cost-utility analysis (CUA)

- Same as CEA, but measures the outcomes in quality-adjusted life years (QALYs)
- Allowing the benefits offered by a technology (i.e. QALYs gained) in one disease area to be directly compared to others.

GIMBE
EVIDENCE FOR HEALTH

HTAi