

Farmaci innovativi in Cardiologia: rapporto costo/reale beneficio

M. Uguccioni

Nella medicina attuale uno degli aspetti di maggiore criticità è rappresentato dalla necessità di mediare tra accessibilità e sostenibilità delle cure e bilanciare l'impatto della innovazione sulla soddisfazione dei bisogni di salute da un lato e sulla spesa sanitaria dall'altro.

Ciò vale in primo luogo per le innovazioni tecnologiche (nuovi device o nuove tecniche chirurgiche o invasive) ma vale anche per le nuove terapie farmacologiche, come dimostra il continuo incremento della spesa farmacologica totale, che nei primi nove mesi del 2016 è stata di circa 21.9 miliardi di euro, dei quali il 75% circa rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale.

In ambito di farmaci innovativi, pur non avendo il peso economico delle nuove terapie oncologiche o antiretrovirali, anche le terapie innovative in cardiologia contribuiscono in modo significativo al carico economico.

Sulla base della Health Technology Assessment (HTA) per poter valutare i benefici di una terapia innovativa, è necessario analizzare una serie di parametri con particolare riferimento al valore terapeutico aggiuntivo rispetto alla malattia, alla gravità della malattia stessa ed alle evidenze scientifiche consolidate relative alla stessa terapia innovativa.

Più in dettaglio, tre sono gli elementi di cui tener conto nella valutazione dei farmaci innovativi:

- 1 - il bisogno terapeutico
- 2 - il valore terapeutico aggiuntivo
- 3 - la qualità delle prove

Prendiamo a riferimento tre diverse condizioni morbose in cardiologia per le quali sono stati sviluppati farmaci innovativi ad alto costo.

1 – Ipercolesterolemia – rappresenta come è noto il principale determinante causale per la malattia aterosclerotica e coronarica in particolare ed una condizione molto diffusa nella popolazione occidentale. Possiamo dunque affermare con certezza che vi è un reale e diffuso bisogno terapeutico. Possiamo anche aggiungere che la qualità delle prove è forte, dal momento che qualunque terapia che riduca in modo significativo e costante i livelli di colesterolo LDL circolante determina una riduzione degli eventi cardiovascolari.

Ma qual è il valore terapeutico aggiuntivo delle nuove terapie farmacologiche ipolipemizzanti? È sostanzialmente basso, perché disponiamo già di terapie potenti ed a basso costo che sono sufficienti ad ottenere efficaci risultati nella grande maggioranza dei pazienti e se tali terapie non raggiungono i risultati potenzialmente raggiungibili, ciò è legato ad una ridotta aderenza terapeutica. Pertanto, occorre considerare in tale condizione morbosa che i farmaci innovativi ad alto costo aggiungono un beneficio aggiuntivo in una fascia esigua di pazienti, che per intolleranza alla terapia statinica o per elevatissimi livelli di colesterolo LDL al basale necessitano di una terapia sostitutiva o aggiuntiva ai farmaci tradizionali.

È dunque cruciale in tale patologia valutare e identificare con precisione i soggetti per i quali vi è un reale valore

terapeutico aggiuntivo al netto di ogni altra considerazione.

2 – Scompenso cardiaco – anche questa è una condizione morbosa diffusa e grave per la quale sono emerse nuove opzioni terapeutiche che hanno mostrato grandi benefici soprattutto in termini prognostici, come ad esempio gli SGLT-2 inibitori. E tali benefici sono aggiuntivi a quelli già ottenibili con le terapie farmacologiche tradizionalmente disponibili. In questo caso, ci troviamo dunque di fronte ad un bisogno terapeutico reale in una condizione morbosa grave, con forti evidenze scientifiche ed un valore terapeutico aggiuntivo rispetto all'esistente.

Appare pertanto opportuno un inserimento ampio di tali terapie nella pratica clinica, verificando prescrizione e rimborsabilità attraverso specifici meccanismi di controllo, ma autorizzando al tempo stesso la possibilità prescrittiva in un vasto numero di centri.

3 – Amiloidosi cardiaca – si tratta di una malattia rara, ma progressiva e fatale per la quale non esiste ad oggi una terapia specifica ed efficace. È oggi disponibile per una delle sue forme cliniche, l'amiloidosi transtiretinica (ATTR), una terapia farmacologica ad alto costo, il tafamidis, in grado di ridurre il deposito di sostanza amiloide a livello

cardiaco rallentando in maniera anche significativa la progressione della malattia. Ci troviamo di fronte in questo caso ad una condizione morbosa che ha un altissimo bisogno terapeutico, non essendoci ad oggi terapie tradizionali efficaci, con una buona qualità delle evidenze scientifiche. In tal caso la scelta migliore potrebbe essere quella di affidare la prescrizione terapeutica e la gestione clinica a pochi centri altamente qualificati se possibile distribuiti omogeneamente sul territorio nazionale.

Sono stati brevemente descritti tre esempi di possibile utilizzo di farmaci innovativi in cardiologia in condizioni morbose profondamente diverse tra loro.

Appare, in ultima analisi, evidente che quando ci si trova di fronte a farmaci innovativi occorre valutare l'effettivo vantaggio terapeutico nella specifica condizione clinica, la gravità e la diffusione della malattia stessa, gli eventuali rischi e l'impatto nel modo reale al fine di ottimizzare il rapporto tra costi reali e benefici effettivi.

Prof. Massimo Uguccione, già Primario Cardiologo, AO San Camillo-Forlanini, Roma

Per la corrispondenza:
muguccioni1@gmail.com