

5° Congresso Nazionale SIHTA

Roma, 22 - 24 novembre 2012

L'ACCESSO AI NUOVI FARMACI: SARÀ UNA CACCIA AL TESORO?

Risultati di un sondaggio su un gruppo di pazienti italiani eleggibili al trattamento in triplice terapia.

Ivan Gardini¹, Rosanna Fontana¹, Marco Fumagalli¹, Massimiliano Conforti¹, Elena Paola Lanati²

¹ EpaC Onlus, Italian Liver Patient Association ² MA Provider S.r.l., Milan, Italy

BACKGROUND

Nonostante l'Italia abbia il più alto tasso di infezione da HCV in Europa (si stimano circa 1.500.000 infetti), l'approvazione della rimborsabilità dei nuovi inibitori della Proteasi virale (PI) per il trattamento dell'epatite C da HCV di genotipo 1 ancora non è stata concessa dopo 15 mesi dalla sottomissione dei dossier regolatori. Poiché si stima che il budget per la copertura di tutti i pazienti eleggibili al trattamento possa decuplicare, potrebbero essere applicate limitazioni o criteri di selezione dei pazienti. Inoltre, l'informazione ai pazienti è ancora scarsa e frammentaria, e la quasi totalità non conosce rischi, benefici, costi correlati e altre informazioni fondamentali utili a prendere la decisione di sottoporsi ad un trattamento antivirale od aspettare i nuovi regimi terapeutici "interferon-free". L'Associazione EpaC onlus, la più grande e rappresentativa dei malati di epatite italiani, si è posta il problema di come portare le necessità, i desideri e le aspettative dei pazienti ai tavoli di lavoro con Istituzioni pubbliche e Associazioni scientifiche. Il modo migliore di rappresentare i pazienti è quello di chiedere direttamente a loro una opinione su argomenti ritenuti di primaria importanza. Per questo motivo abbiamo deciso di scattare una "fotografia" sulle percezioni dei pazienti sull'accesso ai nuovi farmaci in un periodo di "pre-commercializzazione".

SCOPO

Ottenere il punto di vista di un campione di pazienti eleggibili al trattamento antivirale in triplice terapia sulle problematiche dei costi, della sostenibilità, e di possibili scenari correlati con una mancanza di risorse economiche. Usare successivamente i risultati per legittimare le prese di posizione dell'associazione e portare la voce dei pazienti nelle sedi istituzionali opportune.

METODI

EpaC onlus dispone sia di strumenti informatici adeguati per effettuare sondaggi su pazienti epatopatici disponibili a partecipare a qualsiasi forma di indagine li riguardi direttamente. Nel portale www.epac.it è stata allestita una pagina web con un form che conteneva alcune domande mirate a profilare e a conoscere l'opinione dei pazienti su alcuni precisi argomenti. Ad ogni domanda sono poi state assegnate alcune risposte. L'utente aveva l'obbligo di rispondere ad una sola opzione di risposta tra quelle prospettate. Il questionario era preceduto dalla descrizione di uno scenario che informava i partecipanti su alcuni punti: il possibile costo della terapia stimato in 25-35.000 € per paziente per ciclo, la disponibilità nel prossimo futuro di terapie "interferon-free", diverse possibilità di rimborsabilità (payment-by-results, tetti di spesa...). Nella premessa, l'associazione si è astenuta dall'esprimere pareri che avrebbero potuto condizionare le risposte, e si è cercato di riprodurre fedelmente lo stato dell'arte dei dibattiti con i vari stakeholder di sistema. È stato chiesto ai partecipanti di rispondere per mettere l'associazione nelle migliori condizioni di rappresentare il loro punto di vista.

RISULTATI

Numero di partecipanti - 763. Questionari validi: 727. Profilo dei partecipanti - Sesso: Femmine 237 (33%), Maschi 490 (67%) Fig.1. Età: il 75% dei pazienti intervistati corrisponde ad una fascia d'età compresa tra i 18 e i 60 anni, il restante 25% tra i 60 anni e gli 80 Fig. 2.

Fig.1 Sesso

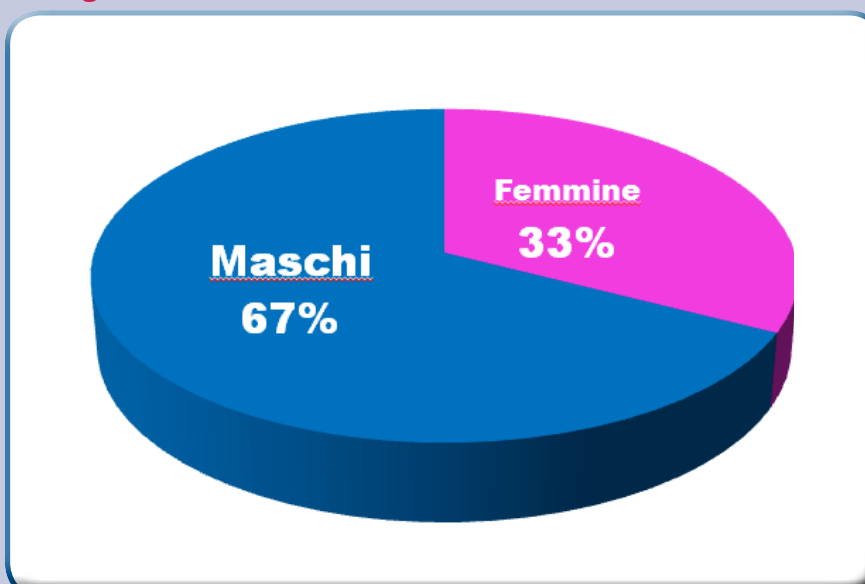
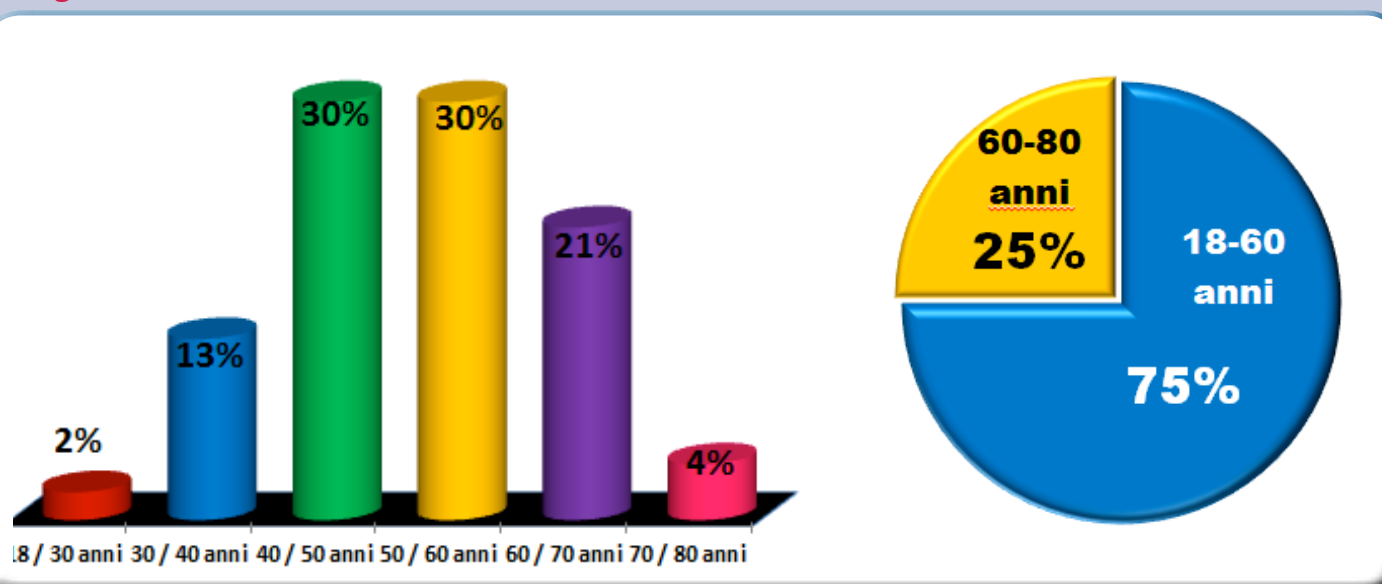


Fig.2 Età



Area di provenienza: tutte le regioni Italiane Fig.3. Condizione di salute: il 94% risulta avere un'epatite C cronica, il 3% è un paziente coinfecto (cin HBV o HIV) e il 3% trapiantato con recidiva Fig. 4.

Fig.3 Provenienza geografica

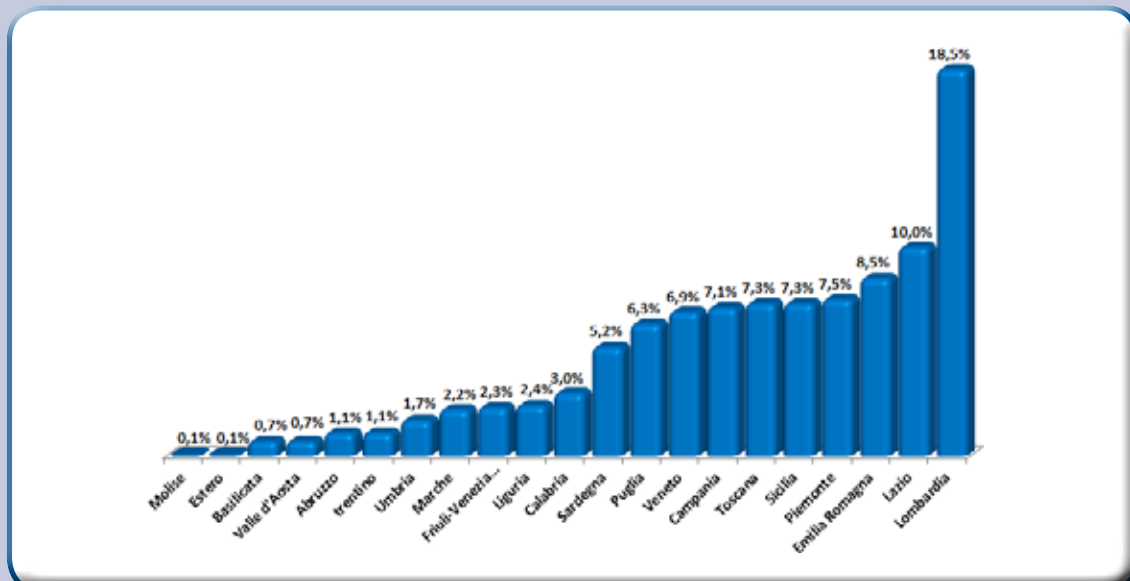
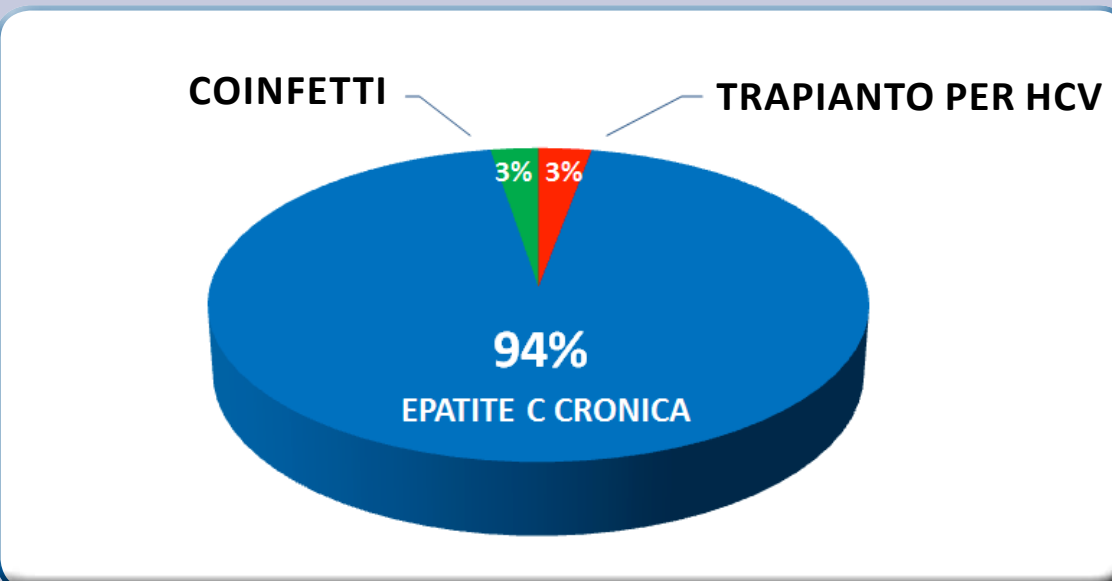


Fig.4 Stato di salute



Fibrosi: nell'insieme, i pazienti con grado di fibrosi Medio/Avanzato (F3-F4) sono il 53%, e con fibrosi Assente/Lieve (F0-F1-F2) il 47% Fig. 5. Genotipo: il 77% appartiene al genotipo 1, il 6% non conosce il proprio genotipo, il restante ai genotipi 2,3 e 4 Fig. 6. (piccola parte di pazienti che, si presume, hanno voluto partecipare pur consapevoli di non essere eleggibili al trattamento antivirale). Va sottolineato che non è stato possibile effettuare un riscontro sulla gravità della fibrosi in quanto ci si è basati sulla conoscenza diretta del paziente sul suo stato di salute.

Fig.5 Grado fibrosi

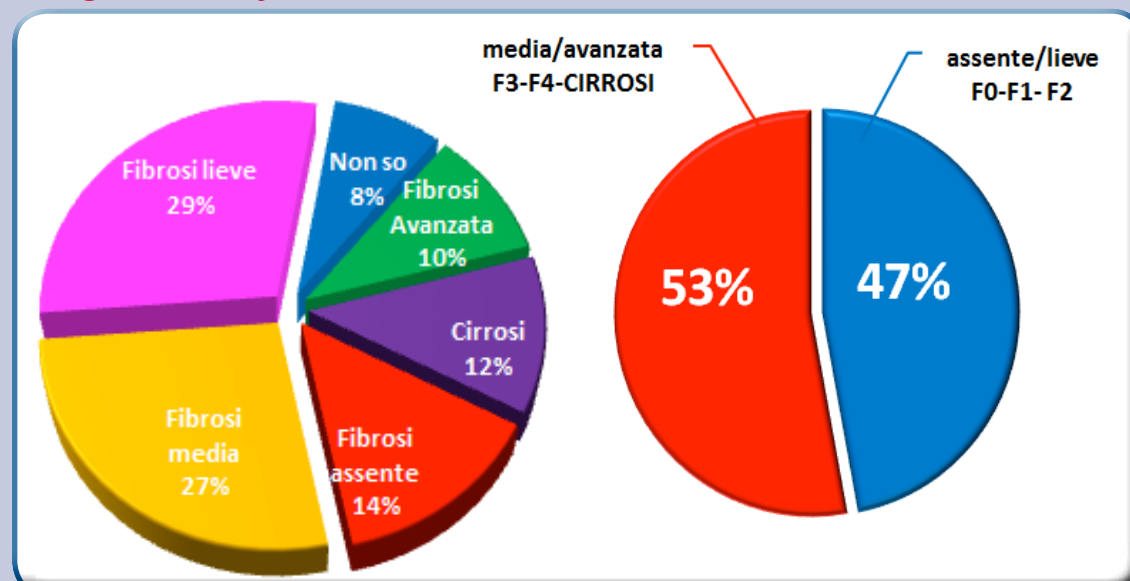
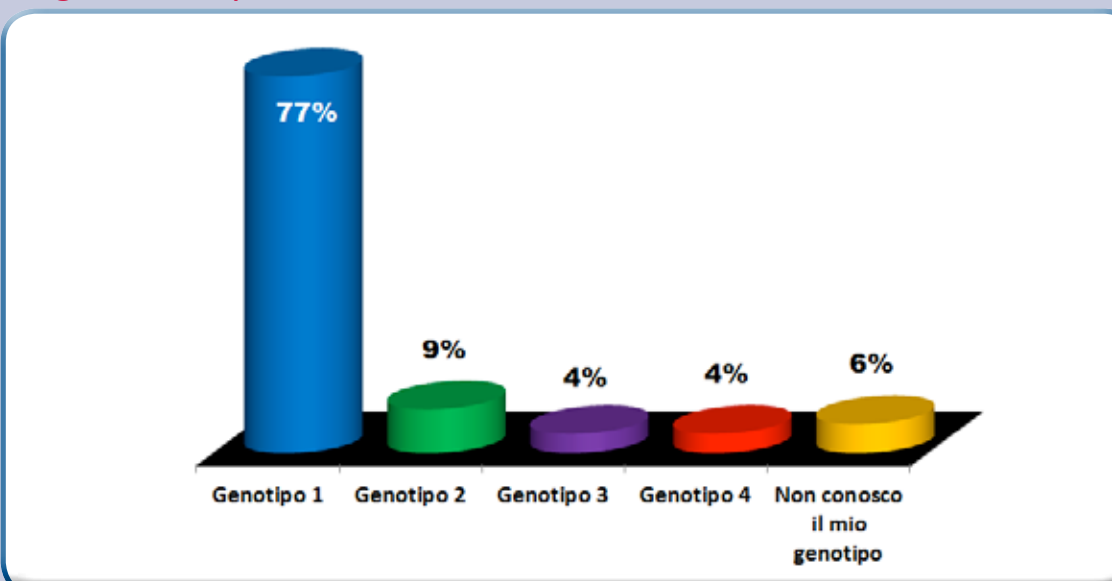
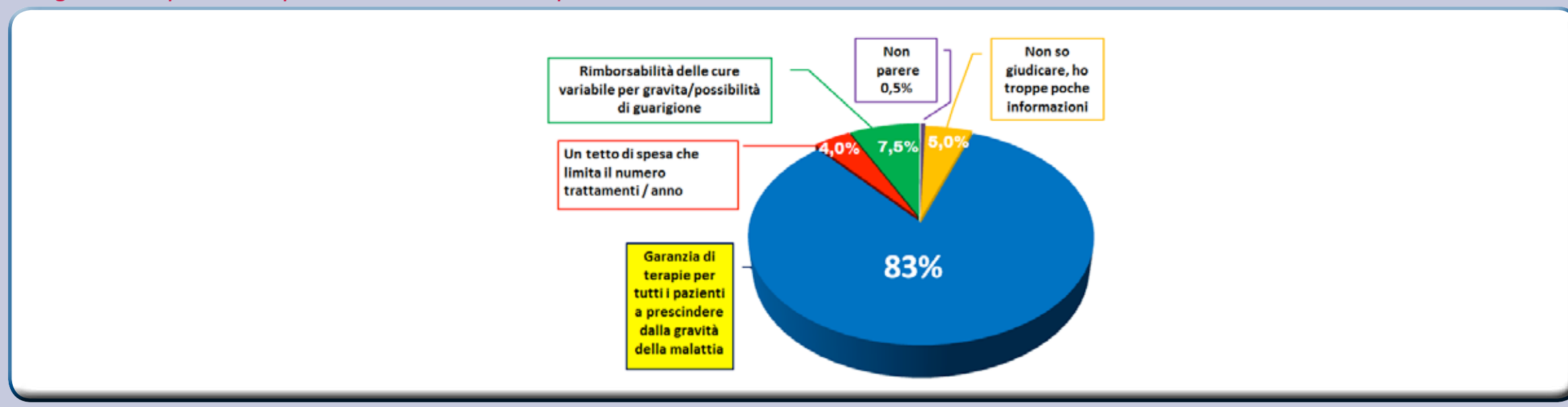


Fig.6 Genotipo



Alla domanda: accesso ai nuovi farmaci, qual è la presa di posizione più giusta che l'Associazione EpaC dovrebbe tenere pubblicamente? È stato risposto: L'Associazione deve chiedere sempre e comunque che siano stanziati i fondi per garantire le terapie per tutti i pazienti eleggibili alla cura, a prescindere dalla gravità della malattia 83%. Esprimersi a favore del tetto di spesa che limita il numero di trattamenti / anno 4%, Esprimersi a favore di criteri di rimborsabilità della cura variabili in base alla gravità della malattia o anche in base alla possibilità di riuscire a guarire 8%, Non so giudicare, ho troppe poche informazioni 5% Fig. 7

Fig.7 Presa posizione pubblica Associazione EpaC



Alla domanda Slittamento terapeutico: sei disposto a rimandare la terapia di 4-5 anni? È stato risposto: No, voglio tentare di guarire subito 35% - No, ho una malattia avanzata e devo bloccare l'evoluzione della malattia 20% - Sì, sono disposto ad aspettare perché non ho una malattia avanzata 31% - Sì, sono disposto ad aspettare perché non ho una malattia avanzata 4% - Non so giudicare, ho troppe poche informazioni 10% Fig. 8. Una sottoanalisi sulla risposta "no voglio tentare di guarire subito" rivela una percentuale molto elevata (>78%) di pazienti con fibrosi assente - media - lieve (F0-F1-F2) segno evidente che la motivazione dei pazienti a guarire non è basata solo sulla gravità della malattia ma che esistono altre motivazioni di tipo sociale che vanno tenuti in seria considerazione Fig. 9.

Fig.8 Sei disposto a rimandare la terapia di 4-5 anni?

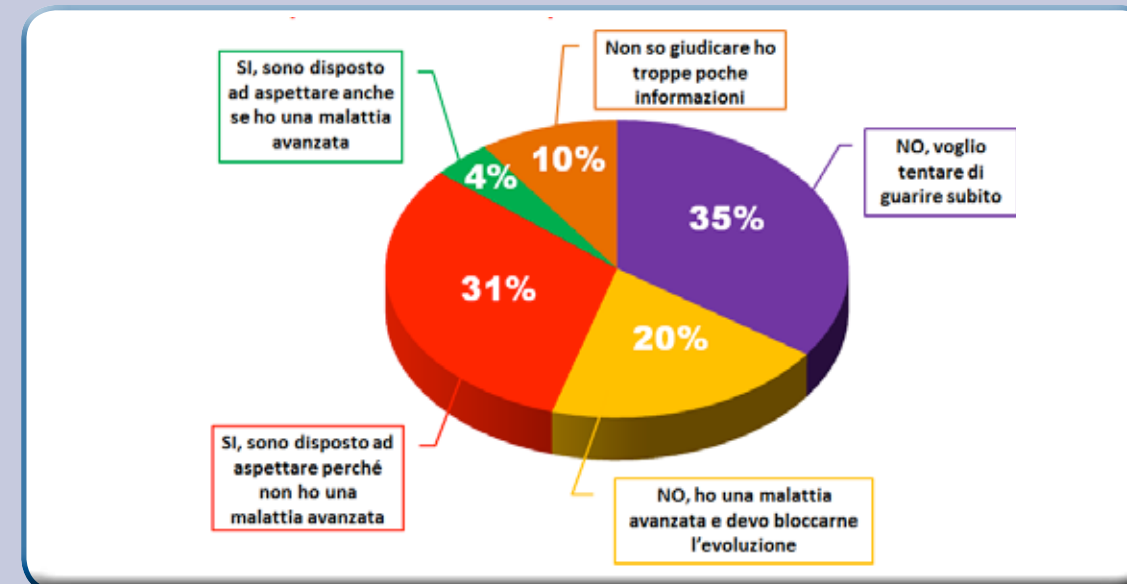
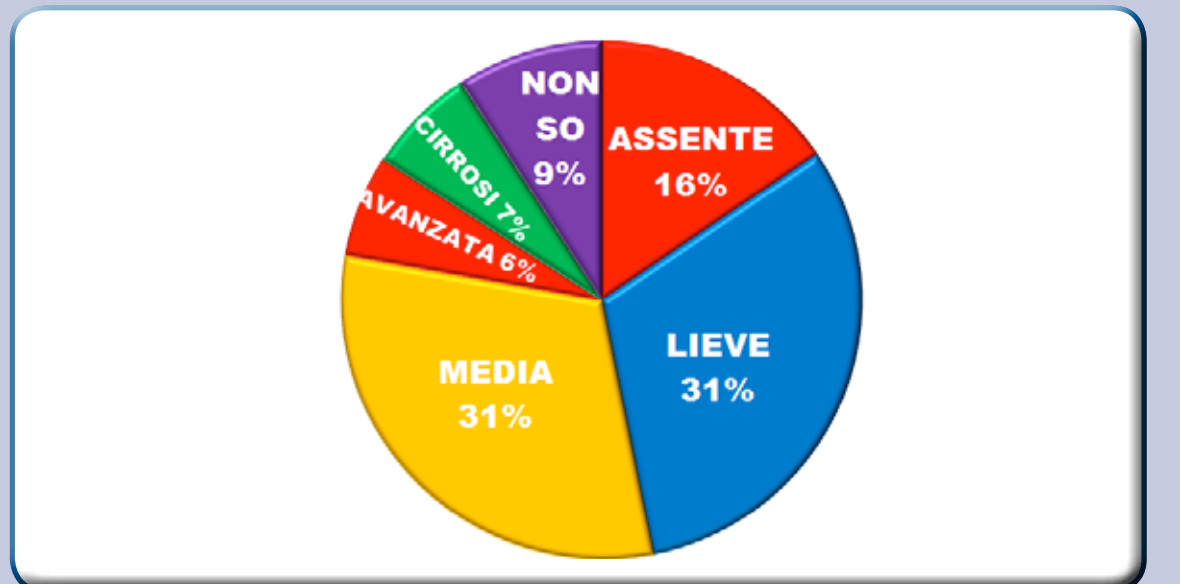
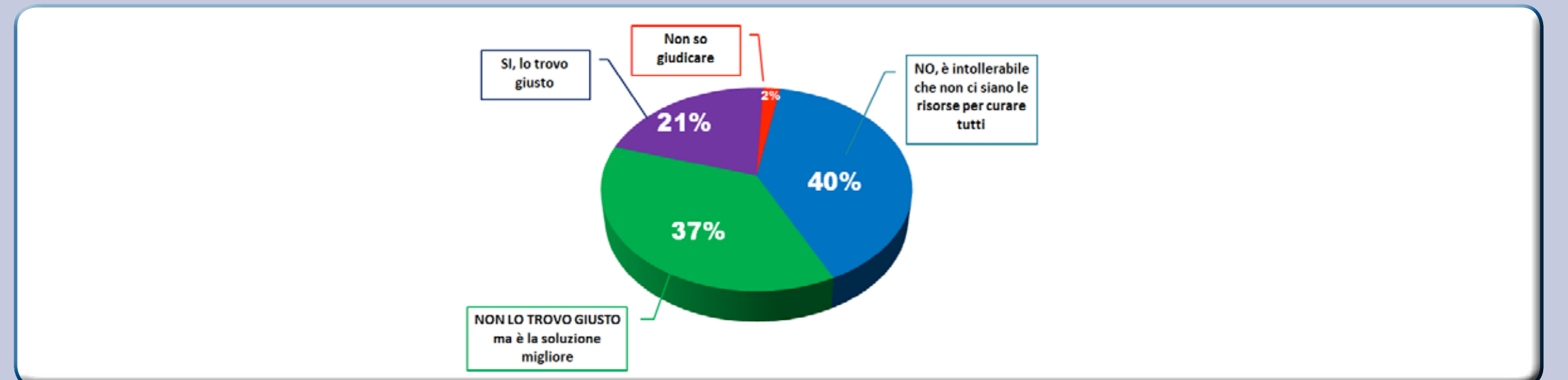


Fig.9 Sottoanalisi risposta "voglio guarire subito"



Alla domanda Chi curare: se non ci sono i soldi per curare tutti, pensi sia giusto dare precedenza a chi ha una malattia più avanzata? È stato risposto: No, è intollerabile che non ci siano le risorse per curare tutti 40%, non lo trovo giusto ma è la soluzione migliore 37%, lo trovo giusto 21%, non so giudicare, ho troppe poche informazioni 2% Fig. 10.

Fig.10 Sottoanalisi risposta "voglio guarire subito"



Alla domanda Qual è la distanza massima che sei disposto a percorrere per recarti in un centro autorizzato a prescrivere la triplice terapia? È stato risposto: andrei ovunque 40%, Anche oltre i 100Km 14%, 60-100 Km 8%, 40-60 Km 8%, 20-40 Km 14%, 0-20 Km 16% Fig. 11. Una sottoanalisi sulla risposta "andrei ovunque" rivela che non ci sono differenze di residenza geografica né sulla gravità della fibrosi Fig. 12. In altre parole la volontà di andare ovunque è equamente distribuita tra pazienti nord-sud e per qualunque tipo di gravità patologica, evidenziando e confermando uno "zoccolo duro" consistente di pazienti che sono pronti a tutto pur di eliminare il virus e guarire.

Fig.11 Distanza massima per recarsi a un centro

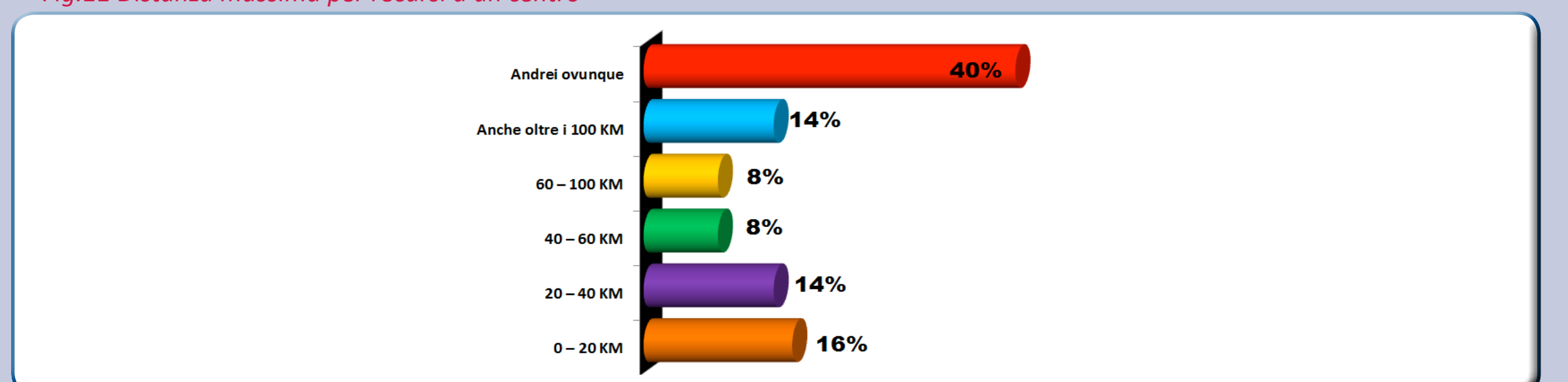


Fig.12 Sottoanalisi risposta "andrei ovunque"



CONCLUSIONI

Questo questionario è stato l'unico effettuato sull'argomento su di un campione rappresentativo di pazienti italiani. I pazienti si aspettano che l'Associazione chieda alle Istituzioni parità di accesso alle nuove terapie per tutti, indipendentemente dalla gravità della malattia. Oltre la metà dei pazienti (55%) non è disponibile a rimandare la terapia. Tale decisione può variare dopo discussione con lo specialista. La maggior parte dei pazienti (77%) non tollera la mancanza di risorse che potrebbe portare a curare per primi i malati più gravi. Tuttavia metà di essi la considerano la soluzione più accettabile. Il 40% dei pazienti andrebbe ovunque per curarsi e il 14% è disponibile a percorrere oltre 100 km. I pazienti che hanno risposto avevano gradi di malattia dal più grave al più lieve, e residenti su tutto il territorio nazionale. Questo suggerisce che potrebbero avvenire importanti migrazioni di pazienti alla ricerca del centro specializzato che ha i fondi disponibili per curare. Sarà una caccia al tesoro?

DISCUSSIONE

Non ci sono dubbi che poter contare su pacchetti corpi di sondaggi effettuati direttamente sui pazienti è molto utile per le associazioni che devono rappresentare i pazienti e confrontarsi con altri stakeholder di sistema. Vantaggi: vengono garantite e tutelate rappresentatività e democrazia, e di conseguenza sono limitati al massimo protagonismi o scelte individuali dei cd. "rappresentanti dei pazienti" che discutono a tavoli di lavoro, o congressi in nome e per conto dei diretti interessati che spesso non consultano. Inoltre, in questi sondaggi i pazienti sono coinvolti in prima persona e chiamati ad esprimersi sul loro futuro ovvero ad assumersi delle responsabilità, sia pur teoriche. La cosa interessante è che vengono informati su cosa li aspetta e questo li pone in una posizione più decisionista, piuttosto che puramente passiva di chi lascia la scelta terapeutica esclusivamente al medico curante. Infine, le informazioni raccolte da associazioni di pazienti sui pazienti stessi possono avere una valenza predittiva ed avere la loro utilità anche per i decisori istituzionali e per le comunità scientifiche per riflettere su alcune scelte da fare sulla gestione dell'accesso ai farmaci innovativi per la cura dell'epatite. Limiti dell'indagine: la popolazione consultata è costituita da una fascia di pazienti con caratteristiche specifiche, (es. più informati sulla loro patologia, un livello di istruzione superiore alla media, confidente con gli strumenti informatici, ecc.) che non necessariamente potrebbe rappresentare le opinioni di tutta la comunità dei pazienti. Inoltre, le scelte e quindi le opinioni espresse in risposta ad alcune domande poste, possono variare anche sensibilmente dopo che il paziente effettua un colloquio con il medico curante, con particolare riferimento alla possibilità di rimandare le terapie di alcuni anni. In altre parole, una maggiore informazione ai pazienti e una maggiore esperienza dei medici nel maneggiare le nuove molecole, consentirà ai malati, nel tempo, di costruirsi idee e opinioni forse un po' diverse da quelle fornite ora in una fase di pre-commercializzazione.