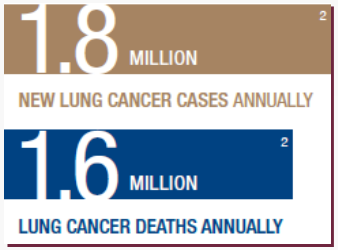
L'IMMUNOTERAPIA, PRIMO APPUNTAMENTO PER IL FARMACISTA OSPEDALIERO, IL POLMONE: INNOVAZIONE, EFFICACIA E SOSTENIBILITÀ

Torino, 29 marzo 2017

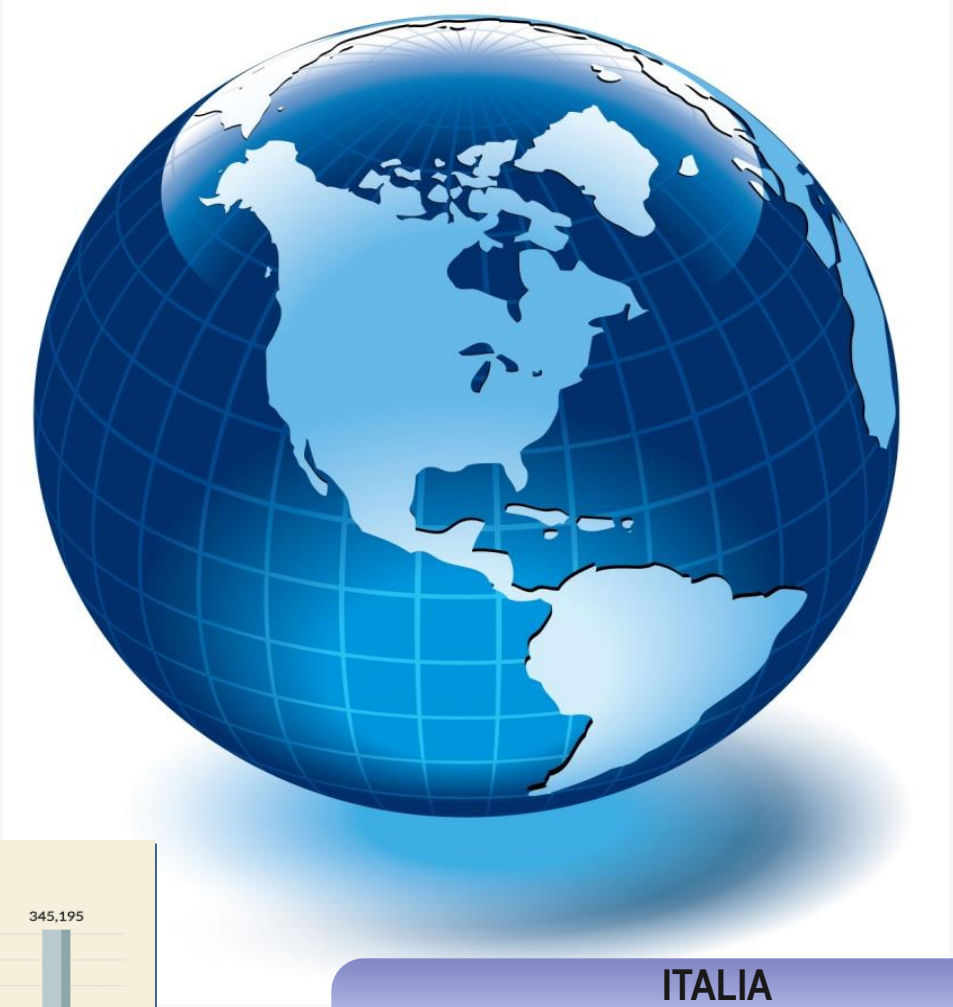
Stefania Vallone – WALCE Onlus

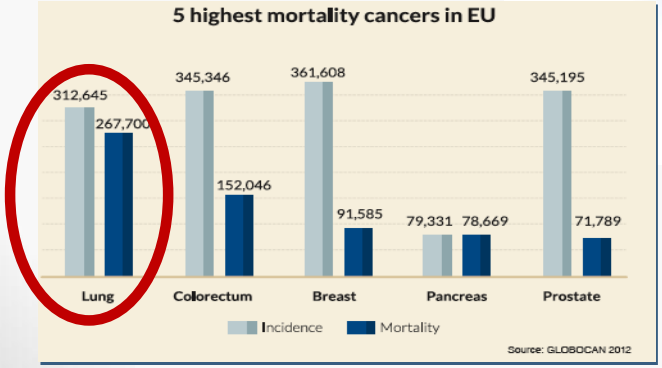
II SESSIONE:
INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ:
FONDO DEDICATO, VALORE ECONOMICO, RAZIONALIZZAZIONE DELLE RISORSE E IMPATTO SOCIALE

Il tumore del polmone rappresenta una sfida importante



2. Stewart W, Bernard, Wild P, Christopher. World Cancer Report 2014. Lyon. 2014; 19





ITALIA
38.000 nuove diagnosi
34.000 decessi

Fonte AIRTUM 2014

I "gap" di questa malattia:

- I sintomi sono diversi, ma **non specifici e la diagnosi è spesso tardiva**
- Il 70% dei pazienti viene diagnosticato in fase **avanzata o metastatica**
- E' considerato il "**big cancer killer"**
- Mentre i tassi di sopravvivenza da cancro sono in aumento, **nel tumore del polmone, l'aumento è ancora poco significativo!**

Per pazienti con NSCLC in fase avanzata **senza mutazione**
la chemioterapia rimane lo standard of care, ma:

I. *La durata della risposta è breve*

II. *Scarsa tollerabilità*

III. *Breve sopravvivenza, non più di 10 mesi*

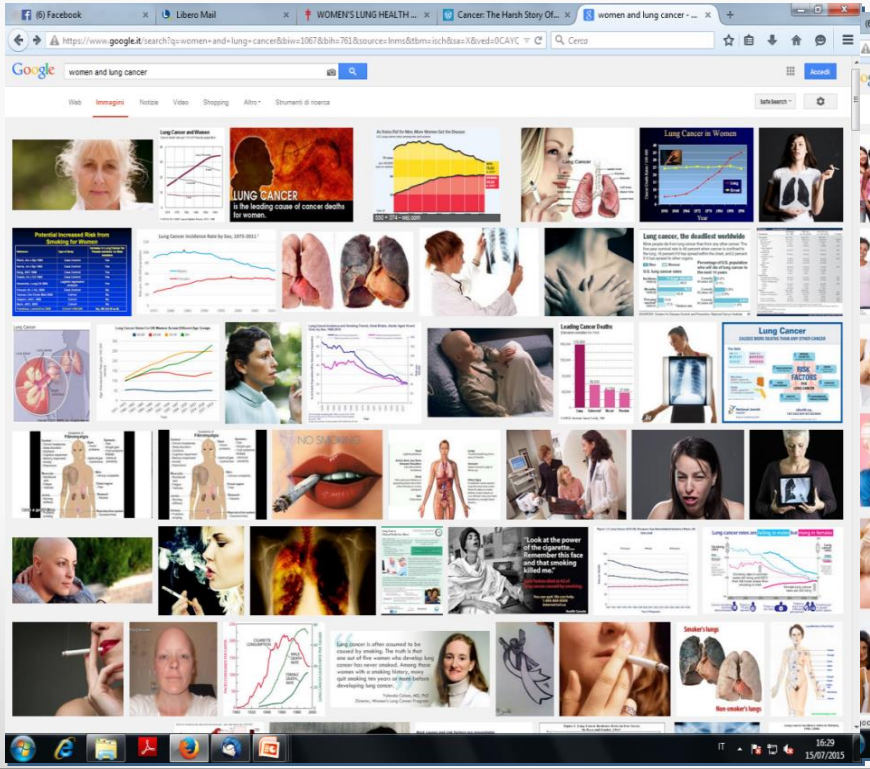
I pazienti con una mutazione genetica specifica possono beneficiare di Terapie a bersaglio molecolare che hanno dimostrato risultati significitativi.

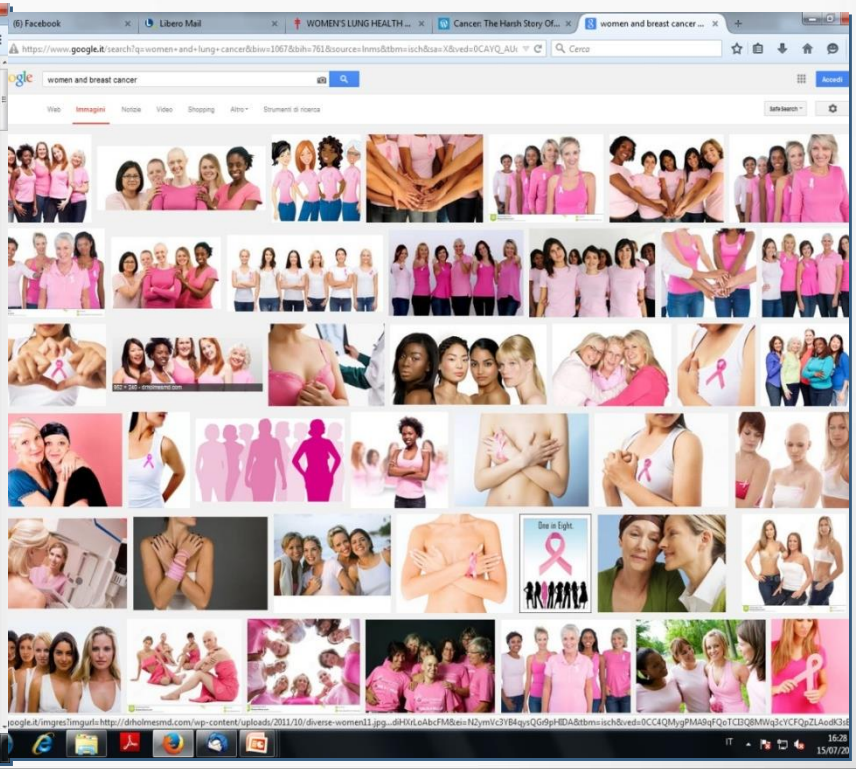
I. *Queste terapie sono "selettive" e offrono un beneficio se vi è **un'alterazione***

II. *L'acquisizione della **resistenza a queste terapie** è un **challenge clinico***

NONOSTANTE TUTTO……..

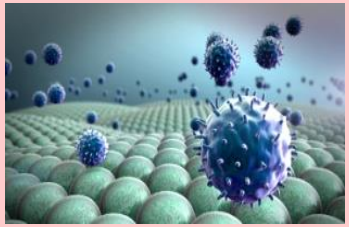
- Molti pazienti riferiscono ancora situazioni di stigmatizzazione
- Vi è poca partecipazione a livello sociale
- Poco interesse mediatico
- Poco supporto da parte delle persone note
- Ci sono poche organizzazioni di pazienti, specifiche per questa patologia
- Anche i fondi allocati sono inferiori a quelli per altre patologie oncologiche





Negli ultimi 10 anni ci sono stati progressi nel trattamento di questa neoplasia, dalla **chemioterapia, alle terapie mirate** e alla recente **immunoterapia**.

- **Sono state offerte nuove opzioni terapeutiche ai pazienti**
- **E' cambiato l'approccio del trattamento**

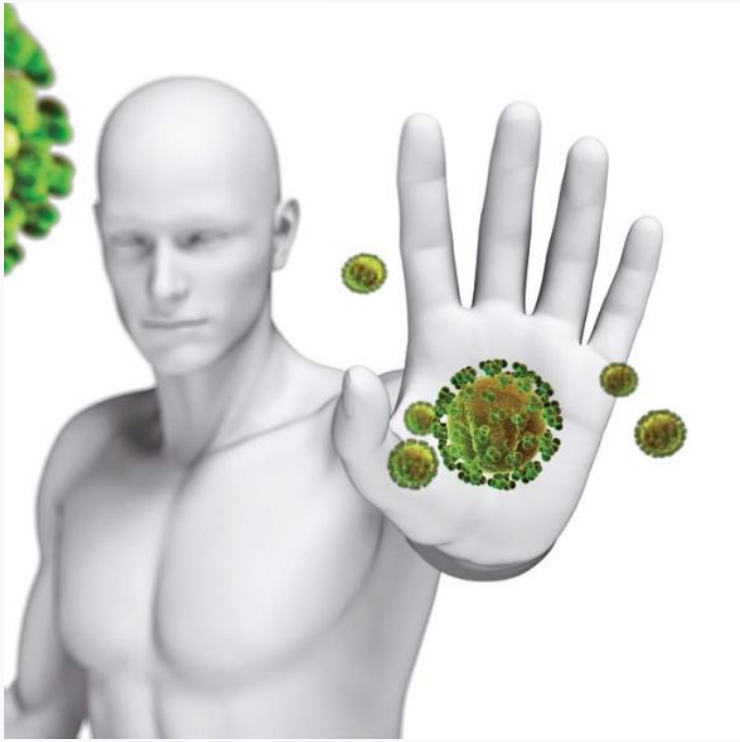


Gli oncologi, oggi, dispongono di una "medicina di precisione", che cerca di offrire la migliore terapia disponibile sulla base delle caratteristiche di ogni paziente.

Questo sembra aver dato <u>ottimismo e speranza</u> alle persone affette da questa malattia

Ma sono necessari ancora nuove terapie e nuovi approcci di trattamento per migliorare QoL dei pazienti e tassi di sopravvivenza.

I risultati dell'I-O, presentati per la prima volta ad ASCO nel 2015, sono il <u>vero punto di svolta</u> nella terapia di questa malattia.



Durante il meeting di ASCO 2016 sono stati presentati 246 lavori sull'Immunoterapia

LA STAMPA TORINO

SEZIONI EDIZIONI

La "scatola anti-fumo" che ci curerà scatenando il sistema immunitario

R.it

Nasce a Torino la italiana degli Urba

QN NEW

Il p can l'im

Studio i oncolog del 40% sopravv

HOMEPAGE > Cronac

di DANIEL

1,9mila

Cancro a batte la chemio

borazione con Aiom Associazione Italiana di Oncologia Medica

Salute&Benessere

NEWS | SPECIALI ED EVENTI | VIDEO | PROFESSIONAL | SALUTE BAMBINI | 65+

News | Sanità | Medicina | Associazioni | Alimentazione | Estetica | Stili di vita | Terme e Spa | Si può vincere

ANSA > Salute e Benessere > Medicina > Tumore polmone, con immunoterapia meno 40% rischio di morte

Tumore polmone, con immunoterapia meno 40% rischio di morte

Potrà sostituire chemio in categoria malati

09 ottobre, 16:39

G+1 7 | Tweet | Consiglia 3,1 mila

Indietro | Stampa | Invia | Scrivi alla redazione | Suggerisci ()

1 di 1

CONDIVIDI | CONDIVIDI | CONDIVIDI | CONDIVIDI

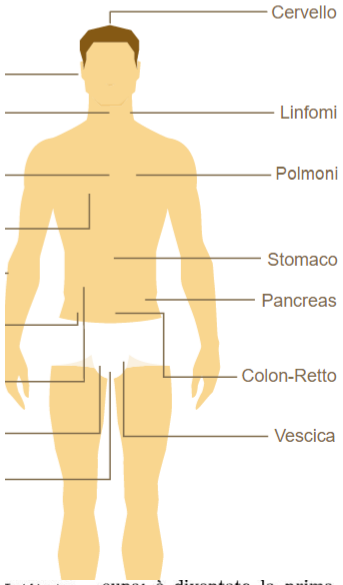
con l'obiettivo
, ma in modo
, l'obiettivo è
stema immuni-
mente contro le
E se finora l'ap-
rivelato incorag-

Istituto Nazionale dei tumori di Milano: «La maggiore efficacia di osimertinib - aggiunge - cam-

cupa: è diventato la prima causa di morte tra le donne europee e c'è chi teme che in pochi anni il sorpasso sul carcinoma della mammella avvenga anche in Italia. Alla base del trend la diffusione del fumo di sigaretta. Una situa-

PIÙ DIFFUSI

MO DONNA



1° Challenge:

Gestire le aspettative dei pazienti e delle loro famiglie, generate in gran parte dai media

L'I-O ha generato grandi aspettative tra le persone che contano su questi farmaci per continuare a SPERARE.
Molti pazienti arrivano dall'oncologo chiedendo una terapia, sapendone spesso poco o nulla.

Le aspettative ottimistiche, non sempre ben bilanciate dalla conoscenza di outcomes ed eventi avversi

↓

Importanza dell'educazione del paziente

www.womenagainstlungcancer.eu/diventa-volontario/#more 110%

Video

Video più recenti:

Intervista alla Prof.ssa Silvia Novello, Presidente di WALCE Onlus, in onda su TGR Piemonte del 13 febbraio, ore 14 (dal min. 07:22), sulla nuova stagione dei "Martedì Salute", in programma fino ad aprile alla GAM di Torino.

La puntata di Tg2 Medicina 33 del 16 novembre 2016, che vede ospite la Prof.ssa Silvia Novello, Presidente di WALCE Onlus

Medicina33
about 4 months ago

Domani a Medicina33 avremo in studio la Prof.ssa Silvia Novello, oncologia medica del dipartimento di oncologia dell' Università Di Torino per parlare di nuove #terapiemonoclonari e #immunoterapia.

Mercoledì 16 novembre a Medici...

Come poter accedere alle cure in Italia

TG2.RAI.IT

Contatti Lingua

con WALCE"

e serata per festeggiare insieme ad
viso con noi il percorso di questi
ssociazione | Guarda il video "10
fico

iacevole
ieme!

10 anni con WALCE...

Il video che celebra il percorso di questi primi 10 anni insieme della nostra Associazione.

leggi tutto

Video...

Video più recenti: Intervista alla Prof.ssa Silvia Novello,

RISORSE PER PAZIENTI/CAREGIVERS

Una **valida *risorsa* per il paziente** e un **valido *alleato* per il medico**

Tappe dell'Immunoterapia nel Tumore del Polmone

Luglio 2015: EMA approva il primo farmaco immuno-oncologico in *seconda linea* per pazienti con NSCLC avanzato o metastatico di *tipo squamoso,* esteso nell'aprile 2016 anche al ***tipo non-squamoso***

NOVITA'!

- Patologia difficile da trattare. Pazienti **fumatori** con comorbilità
- Nel tipo squamoso (25-30% di tutti i tumori del polmone) vi erano **poche chances** terapeutiche
- Nonostante le alterazioni molecolari, i progressi fatti nell'identificazione **markers** sono inferiori rispetto all'adenocarcinoma
- Informazioni specifiche sulla malattia difficili da reperire

E in Italia?

Aprile 2016:
approvato e rimborsato da AIFA solo per il tipo squamoso

TIPO NON SQUAMOSO:

- L'Azienda **aveva chiuso l'uso compassionevole**, **ma era ancora applicabile fino alla registrazione** delle nuove indicazioni terapeutiche
- L'Azienda a sua discrezione avrebbe potuto fornirlo, su base nominale, su richiesta specifica dell'oncologo curante
- In alternativa, **l'ospedale avrebbe potuto fare un acquisto diretto**, su richiesta dell'oncologo come off-label, anticipando la spesa e chiedendo il rimborso ad Aifa

Gazzetta n. 43 del 21 febbraio 2017

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO DETERMINA 16 febbraio 2017

Regime di rimborsabilità e prezzo a seguito di nuove indicazioni terapeutiche del medicinale per uso umano (Determina n. 252/2017)

Agosto 2016
la CE approva in **II linea**
un **altro farmaco immuno-oncologico**
per NSCLC avanzato o metastatico
che esprime PD-L1

Gennaio 2017
la CE lo approva
in **I linea**

Cosa significa per i pazienti?

80% casi: Chemioterapia standard of care per NSCLC **senza mutazioni**

Impatto modesto su sopravvivenza globale
Effetti collaterali rilevanti sulla qualità di vita

Rappresenterebbe **l'unica terapia anti-PD-1** approvata in Europa in **prima linea**

- La chemio non è più **l'unica opzione** terapeutica **in prima linea** per tumori non operabili
- Opzione al momento della diagnosi
- Anche *per il tipo non-squamoso*, **che rappresenta la grande maggioranza dei pazienti**

In Italia il farmaco è disponibile in studio clinico e vi sono altre molecole in fase di studio

2° Challenge:
Farmaci disponibili in studi clinici, non accessibili a tutti:

- *Criteri di inclusione:* **in alcuni studi in assenza di alti livelli di PDL-1 NON si viene ammessi allo studio**
- *Non disponibili in tutti i centri*
- *Pazienti residenti vicino a centri importanti hanno maggiori possibilità*
- *Frequenza somministrazione farmaco/visite da protocollo*

Fenomeno della *"migrazione sanitaria"* alla ricerca del percorso di cura migliore, con un disagio economico, sociale, lavorativo ed emotivo.

Non tutti i pazienti possono garantirsi questa possibilità

mpleto Studi Clinici

Studi clinici

Ricerca Studi Cl

Criteri di ricerca | **Studi trovati**

Sono stati trovati 2 Studi Clinici pe

Patologia: **Neoplasie del polmone**,
Farmaco: **PEMBROLIZUMAB**

TITOLO DEL PROTOCOLLO
CC-486-NSCL-001 Studio di fase 2, n doppio cieco per valutare la sicurezz somministrato in combinazione con placebo in soggetti con tumore del p metastatico precedentemente trattat Nord: *Aviano (PN), Milano,* Centro: *Roma* Sud e Isole: *Napoli, Catania*
Studio in doppio cieco, randomizzat con o senza pembrolizumab (MK-34 Cancro del Polmone Non a Piccole C Nord: *Milano, Orbassano (T* Centro: *Roma, Ancona, Perug* Sud e Isole: *Napoli, Catania*
Studio randomizzato, m con ipilimumab o placeb cellule in stadio esteso (I Nord: *Bologna* Centro: *Perugia*

Farmaco: **ATEZOLIZUMAB**

TITOLO DEL PROTOCOLLO	PATOLOGIE
GO29431 - Studio di fase III, in aperto, randomizzato di confronto tra il trattamento con MPDL3280A (anticorpo anti-PDL1) rispetto a Cisplatino o Carboplatino + Pemetrexed, in pazienti con espressione PD-L1 e non precedentemente trattati con chemioterapia, affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule, non squamoso di stadio IV Nord: *Meldola (FC), Rimini, Aviano (PN), Bergamo, Cremona, Monza (MB), Milano, Rozzano (MI)*	Neoplasie del polmo
GO29436 - "STUDIO DI FASE III, RANDOMIZZATO, IN APERTO SU ATEZOLIZUMAB (MPDL3280A,ANTICORPO ANTI-PD-L1) IN COMBINAZIONE CON CARBOPLATINO + PACLITAXEL CON O SENZA BEVACIZUMAB RISPETTO A CARBOPLATINO + PACLITAXEL + BEVACIZUMAB IN PAZIENTI AFFETTI DA CARCINOMA POLMONARE NON A PICCOLE CELLULE NON SQUAMOSO DI STADIO IV NON PRECEDENTEMENTE TRATTATI CON CHEMIOTERAPIA" Nord: *Genova-Sanpierdarena (GE), Novara* Centro: *Roma, Livorno, Lido di Camaiore (LU), Pisa* Sud e Isole: *Napoli, Cagliari, Sassari, Catania*	Neoplasie del polmo
GO29437'studio randomizzato di fase III, multicentrico, in apeto volto a valutare l'efficacia e la sicurezza di ate zolizumab in associazione con carboplatino/paclitaxel o atezolizumab con carboplatino/nabpaclitaxel versu carboplatino/nabpaclitaxel in pazienti affetti da carcinoma squamoso stadio IV non ancora trattati con chemioterapia'. Nord: *Genova-Sanpierdarena (GE), Pavia* Centro: *Roma, Livorno, Pisa, Perugia* Sud e Isole: *napoli, Bari*	Neoplasie del polmo
GO30081 'Studio randomizzato di fase I/II, in doppio cieco, controllato con placebo su carboplatino più etoposide con o senza atezolizumab (anticorpo anti-PD-L1) in pazienti affetti da carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio avanzato non trattato'. Nord: *Parma, Milano* Centro: *Roma, Pisa* Sud e Isole: *Napoli, San Giovanni Rotondo (FG)*	Neoplasie del polmo
Studio di fase III, in aperto, randomizzato su Atezolizumab (MPDL3280A, anticorpo anti-pd-l1) in combinazione con carboplatino o cisplatino + pemetrexed rispetto a carboplatino o cisplatino + pemetrexed in pazienti naive alla chemioterapia che sono affetti da carcinoma polmonare di stadio IV non a piccole cellule, non squamoso. Nord: *Parma, Orbassano (TO)* Centro: *Roma, Lucca* Sud e Isole: *San Giovanni Rotondo (FG), Lecce, Taormina (ME)*	Neoplasie del polmo
STUDIO RANDOMIZZATO, IN APERTO, DI FASE III PER VALUTARE L'EFFICACIA E LA SICUREZZA DI ATEZOLIZUMAB V (ANTICORPO ANTI-PD-L1) RISPETTO ALLA MIGLIORE TERAPIA DI SUPPORTO DOPO CHEMIOTERAPIA ADIUVANTE A BASE DI CISPLATINO IN PAZIENTI CON ESPRESSIONE DI PD-L1 AFFETTI DA CARCINOMA POLMONARE NON A PICCOLE CELLULE DI STADIO IB-IIIA CON RESEZIONE COMPLETA. Nord: *Pordenone, Bergamo, Monza (MB), Milano, Novara, Orbassano (TO), Torino, Trento,*	Neoplasie del polmo

I risultati di diversi studi suggeriscono che queste terapie favoriscono:

1) Vantaggi in termini di sopravvivenza
2) Allungamento del periodo libero da progressione
3) Riduzione significativa di sintomi specifici quali: fatigue, dolore e astenia
4) **Buona tollerabilità del farmaco**

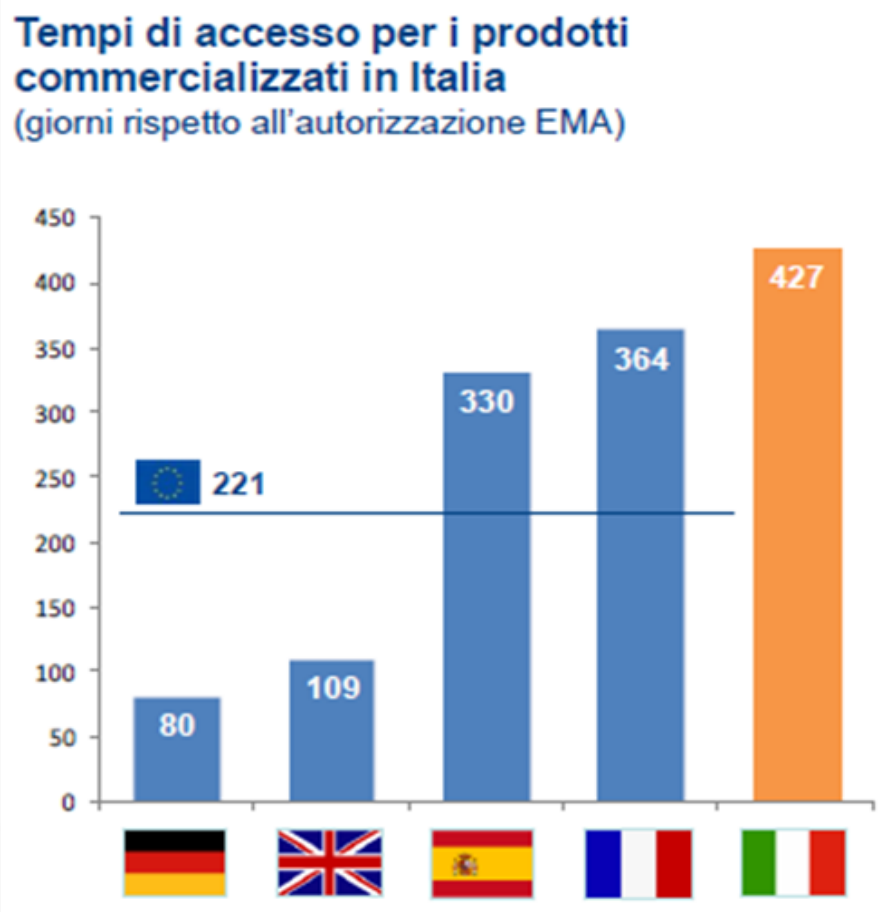
- ✓ **Gli eventi avversi, anche se minori, ci sono.**
- ✓ **Quelli gravi sono pochissimi, ma una buona conoscenza degli effetti collaterali porta a un buon controllo dell'effetto collaterale.**

5) **Miglioramento della qualità di vita**

L'I-O ha aperto nuove porte, ma non mancano i "challenges"

1) Tempi di registrazione e accesso alle terapie innovative sono lunghi

In Italia, circa 2 *anni dopo approvazione EMA* per avere accesso a un farmaco



I tempi di accesso sono diversi e nel 2012 una *Direttiva della Commissione EU* riduce il limite per negoziazione e rimborsabilità da **180 a 120 giorni**.

Tempi di registrazione lunghi e frammentazioni regionali hanno portato a:

1) difformità rispetto a disponibilità e accesso al farmaco
2) mobilità dei pazienti da una regione all'altra
3) negazione del diritto di ogni malato di poter accedere ai farmaci nuovi in tempo utile

Equità di accesso e tempi certi sono le uniche soluzioni per garantire cure efficaci e facilitare la vita delle persone

2) Alcuni pazienti rispondono molto bene, ma **questi sono circa il 20%**

- Per alcuni farmaci è necessario che i pazienti esprimano il **marcatore, per altri NO**
- Come selezionare i pazienti che ne beneficiano maggiormente?
- La collaborazione fra oncologi e anatomo-patologi, chiamati a identificare questi parametri diventerà ancora più importante.

Trattando **i pazienti selezionati in base all'espressione di PD-L1** con il **farmaco giusto,** nell'ottica di una medicina di precisione, sarà possibile:

✓ **razionalizzare le risorse**

✓ **garantire un certo risparmio al sistema**

3) L'innovazione farmaceutica ha costi elevati

- Il potenziale di questi nuovi farmaci è importante
- I costi sono elevati
- I budget sono limitati

SPENDERE CON APPROPRIATEZZA PER MIGLIORARE LA SANITA'

- Garantire universalismo delle cure
- Aspettative dei pazienti

In tema di rimborsabilità, c'è chi sostiene che i prezzi dei nuovi medicinali oncologici crescano più rapidamente dei benefici che offrono

Diverse organizzazioni scientifiche hanno sviluppato "strumenti di valutazione dei farmaci", che tengano conto di: efficacia, tossicità, costi, QoL e prove di evidenza.

Ma in questi framework manca il punto di vista del paziente.

E' fondamentale **includere la percezione dei pazienti** su quello che sia in grado di incidere sulla loro qualità di vita

«Il paziente è l'attore principale dei sistemi sanitari e nessuno meglio di lui può spiegare l'impatto e le conseguenze nell'immediato, nel medio e lungo termine delle cure o dei servizi a cui si sottopone e il significato di vivere con una malattia.»

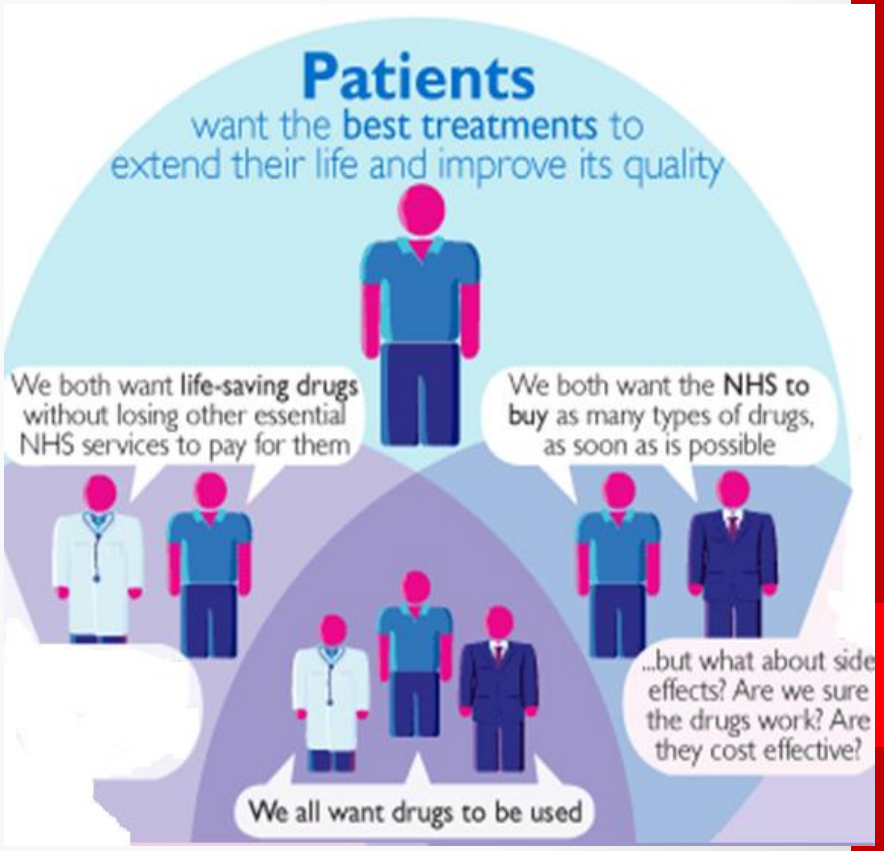
Le evidenze dei pazienti sull'utilizzo di una tecnologia o sulla malattia ***sono frutto della loro esperienza****.*

Bisogna fare un passo avanti….

Valutare l'impatto complessivo di una terapia sulla qualità della vita del paziente

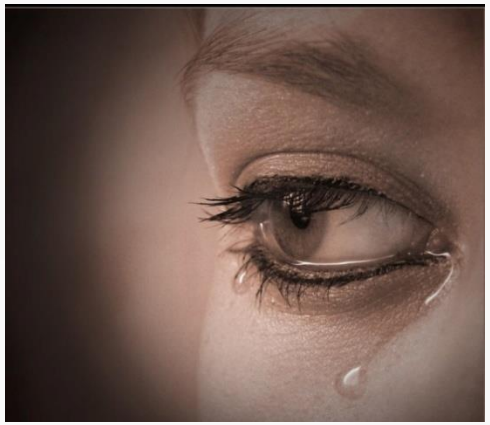
" *Value" o "Valore"* è di difficile definizione, ma NON si può esaurire con *"COSTO del farmaco".*

Le parti interessate hanno aspettative ed esigenze diverse, che non concordano su ciò che costituisce il *"valore" di* un farmaco



Il VALORE di un farmaco per il paziente è rappresentato da:

- Speranza di vita più lunga post-diagnosi
- Qualità di tempo guadagnato
- Facilità di assunzione del farmaco
- Rispetto e compassione
- Abbattimento della mobilità
- Impatto sulla qualità della vita, dagli aspetti familiari a quelli sociali e lavorativi
- Ma soprattutto possibilità di SPERARE



Non vi è alcun valore per i pazienti se,
nuovi farmaci sono stati sviluppati e approvati,
MA risulta difficile averne accesso

Come rendere le nuove terapie disponibili **tempestivamente** ai pazienti?

Il SSN **dovrebbe investire** nei nuovi trattamenti?

Il farmaco X **dovrebbe essere rimborsato**?

Chi opera **le scelte**?

Come si stabiliscono **le priorità?**

Quale il ruolo dei **pazienti e delle organizzazioni di pazienti**?

Il tema della sostenibilità richiede il coinvolgimento di tutti gli stakeholders, nei processi di decision-making, anche dei pazienti.

Questo è importante nelle decisioni di HTA

- I pazienti sono i destinatari ultimi delle decisioni
- La loro esperienza permette di vedere ciò che altri stakeholders non vedono
- Può migliorare le informazioni su efficacia e QoL
- Offre informazioni e punti di vista che permettono una valutazione ex ante dell'impatto sui destinatari delle decisioni.

- Alcune agenzie di HTA hanno sperimentato il coinvolgimento dei pazienti
- La strada è lunga ma molti Paesi si stanno orientando verso questa direzione.

➢ **Grado di partecipazione**:

i. Elevato in UK, Scozia, Canada e Australia
ii. Basso in Spagna
iii. Intermedio in Francia e Germania

LIMITI:

1. Mancanza di risorse per coinvolgere i pazienti
2. I pazienti sono spesso considerati non come partner ma come fruitori finali
3. Mancanza di credibilità scientifica delle evidenze prodotte dal paziente.

E' fondamentale la formazione dei rappresentanti dei pazienti affinché il contributo sia propositivo e non semplicemente rivendicativo

E' fondamentale la collaborazione tra pazienti, accademia e industria

Progetto europeo che offre a pazienti e familiari una formazione di alto livello in materia di <u>ricerca e sviluppo di terapie innovative</u>, consentendo un ruolo chiave:

1. nell'implementazione di nuove strategie
2. nei processi di approvazione di nuove terapie
3. nell'accesso ai trattamenti.

WALCE Onlus aderisce al **FORUM ISTITUZIONALE** promosso da Salute Donna e da altre Associazioni pazienti con l'Intergruppo parlamentare **"Insieme per un impegno contro il cancro"**, impegnati nella mobilitazione **per garantire a tutti i pazienti uniformità nella cura del cancro** sul territorio nazionale.

Azione A4. Favorire l'equità di accesso ai farmaci innovativi

Per favorire l'accesso ai farmaci innovativi, in un logica di equità nazionale e di sostenibilità finanziaria, considerando che la certezza dei tempi delle decisioni è condizione essenziale per **l'esigibilità dei diritti**, si propongono le seguenti azioni:

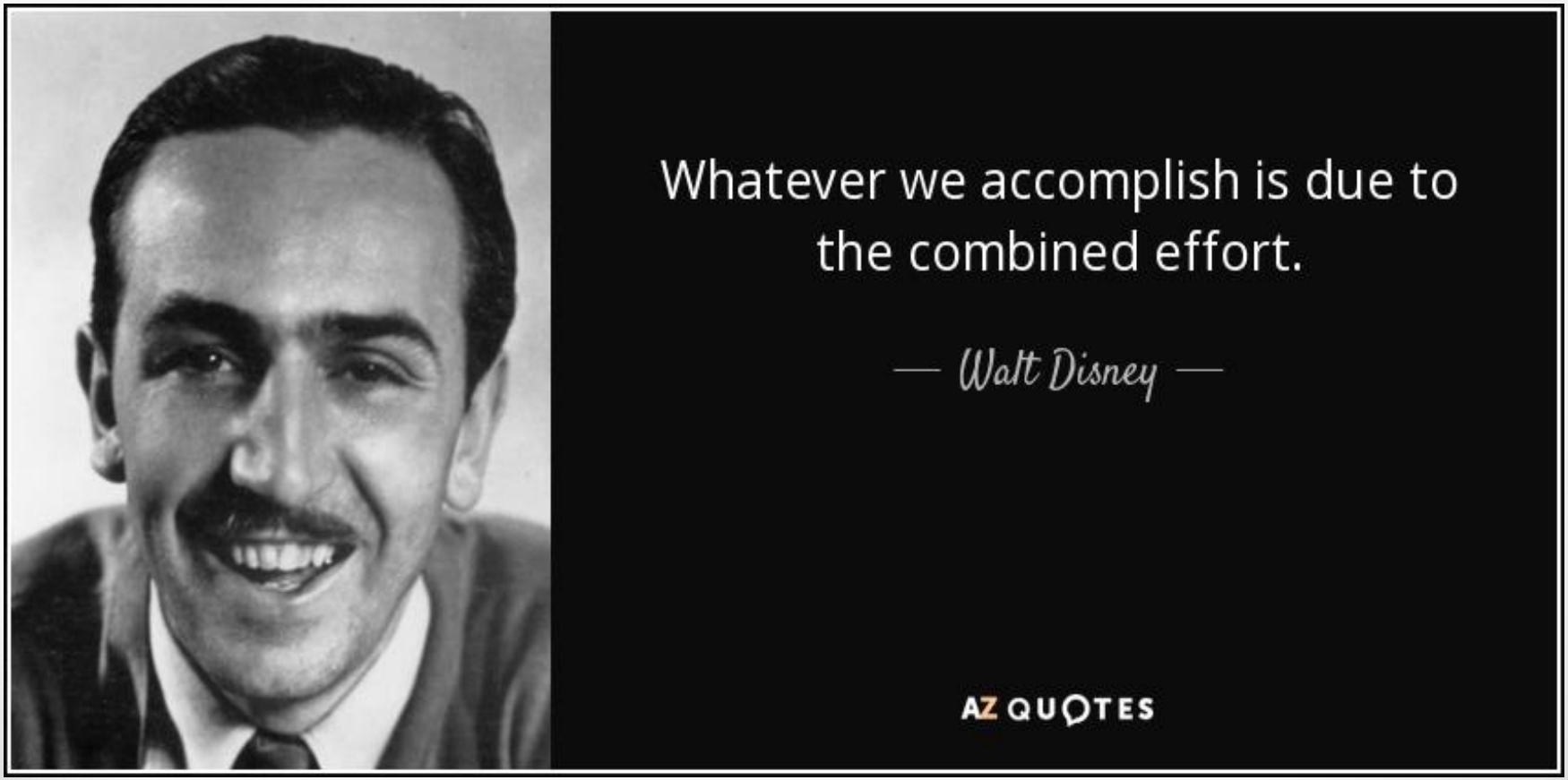
1. **superamento della classe CNN** che ha creato un'iniquità potenziale a sfavore delle regioni in piano di rientro
2. **impegno formale dell'AIFA affinché prenda le sue decisioni entro un tempo massimo (esempio di 180 giorni),** e in particolare rispetti il Decreto Legge 69/2013 del Ministro della Salute nel prontuario del SSN dei farmaci orfani e di eccezionale rilevanza Beatrice Lorenzin, che prevede un periodo massimo di 100 giorni per le procedure di immissione a terapeutica
3. **impegno formale da parte delle Regioni a definire gli inserimenti nei PTOR entro un tempo di 60 giorni**
4. **inserimento automatico nei PTO/pTOR, per i farmaci riconosciuti orfani a livello EMA e per quelli di eccezionale rilevanza terapeutica**

COMUNICATO STAMPA

Salute Donna onlus e le Associazioni pazienti aderenti al progetto "La salute: un bene da difendere, un diritto da promuovere" ringraziano il Governo per l'annuncio del Fondo per i farmaci oncologici innovativi

Inserito nella Legge di Bilancio uno stanziamento di 500 milioni dedicato ai nuovi farmaci oncologici.

Roma, 17ottobre 2016 –Salute Donna onlus, che coordina il progetto "*La salute: un bene da difendere, un diritto da promuovere*" in collaborazione con altre dodici Associazioni di pazienti onco-ematologici, esprime la propria soddisfazione e ringrazia il Governo per l'inserimento nella Legge di Bilancio 2017 di una norma che prevede l'istituzione di un Fondo di 500 milioni di euro per i farmaci oncologici innovativi.

«*Questo provvedimento del Governo è una vittoria di tutti i pazienti onco-ematologici* – ha dichiarato **Annamaria Mancuso**, Presidente di Salute Donna Onlus – *l'accesso rapido ed equo ai farmaci oncologici innovativi nel caso dei pazienti con tumore si traduce nella reale possibilità di guarigione e, nei casi di malattia avanzata, in prolungamento della sopravvivenza. Abbiamo lavorato alacremente per due anni interi per suggerire soluzioni alle Istituzioni al fine di fare fronte alle numerose difficoltà emerse nella presa in carico e trattamento dei pazienti oncologici. L'istituzione di un fondo dedicato rappresenta per noi una risposta concreta e ci auguriamo che questo provvedimento sia approvato nei tempi dovuti e che segni l'inizio di una nuova era nella gestione*

I-O può essere un'opportunità, ma come possiamo garantire *accesso equo e tempestivo ai pazienti e la sostenibilità del SSN?*