

White Paper

Centro Studi IQVIA Italia

Studio IQVIA EFPIA Patient W.A.I.T.

Tasso e tempi di accesso dei farmaci orfani innovativi in Italia

MAX NEWTON, Engagement Manager, GS&AR, IQVIA

KELSEY STODDART, Senior Consultant, GS&AR, IQVIA

MARCO TRAVAGLIO, Consultant, GS&AR, IQVIA

PER TROEIN, VP, Strategic Partners, IQVIA

Traduzione e analisi dello scenario italiano a cura di

ISABELLA CECCHINI, Head of Primary Market Research, Italy, Responsabile Centro Studi IQVIA Italia



Table of contents

Introduzione	1
Risultati	2
Focus su farmaci oncologici	5
Focus su farmaci orfani	8
Conclusioni	14
References	15

Introduzione

La riduzione dei tempi di accesso dei farmaci autorizzati dall'Unione Europea (UE) e l'incremento della loro disponibilità all'interno dei Paesi membri è un obiettivo cruciale sia per la rete europea di regolamentazione dei farmaci che per l'industria farmaceutica.

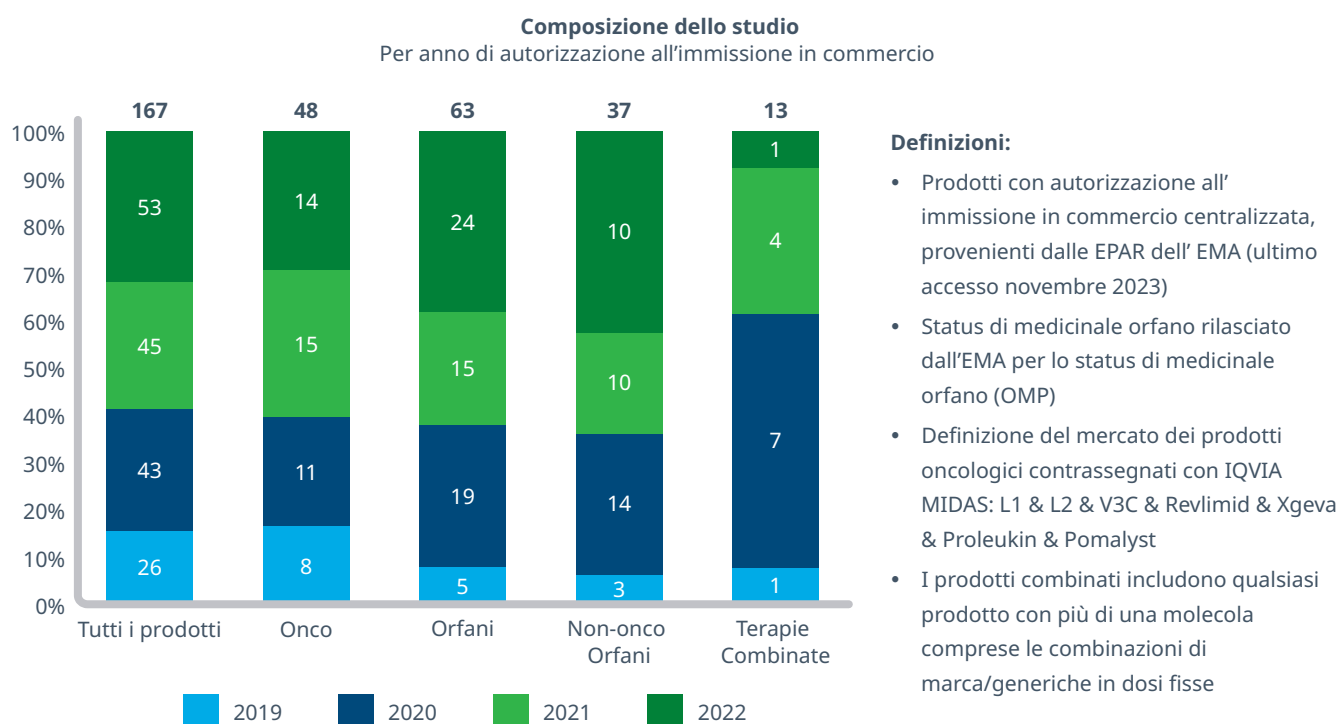
Lo studio Patients W.A.I.T. (Waiting to Access Innovative Therapies), realizzato da IQVIA in collaborazione con EFPIA (European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations), rappresenta il più grande studio europeo sulla disponibilità di farmaci innovativi e sui tempi di accesso ai pazienti nei singoli Paesi.*

Lo studio, in continua evoluzione dal 2004, copre attualmente un campione di 36 Paesi (27 dell'UE e 9 non UE)** e fornisce un quadro completo dei farmaci approvati a livello europeo.

L'analisi mostra una serie di indicatori (KPI) relativi all'accesso al mercato europeo di farmaci innovativi articolati in 4 gruppi (farmaci oncologici, farmaci orfani, farmaci orfani non oncologici e terapie combinate) per mostrare come varia il panorama dell'accesso al mercato nei diversi paesi europei e fra le diverse tipologie di farmaci.

L'analisi include 167 farmaci innovativi che hanno avuto autorizzazione da parte di EMA all'immissione in commercio tra il 2019 e il 2022.** Sono inclusi farmaci innovativi oncologici (48), orfani (63), orfani non oncologici (37) e combinazioni di farmaci (13) (Figura 1).

FIGURA 1: Numero prodotti inclusi nell'analisi, articolati per tipologia e anno di approvazione da parte di EMA



Note: Figures are subject to change versus previous year's due to product withdrawals

Risultati

Disponibilità dei farmaci in Italia

Confrontando la disponibilità* nei Paesi Europei (al 5 Gennaio 2024) dei farmaci approvati da EMA nel periodo 2019-2022, l'Italia occupa il secondo posto con 129 prodotti disponibili (77% sul totale dei 167 prodotti approvati da EMA nel periodo considerato).

La Germania è il Paese con la più alta disponibilità di farmaci (147), mentre Austria (con 126 prodotti disponibili) e Svizzera (con 117 prodotti disponibili) mostrano livelli di disponibilità simili all'Italia. Francia (106 prodotti disponibili) e Spagna (103 prodotti disponibili) occupano rispettivamente la sesta e ottava posizione del ranking.

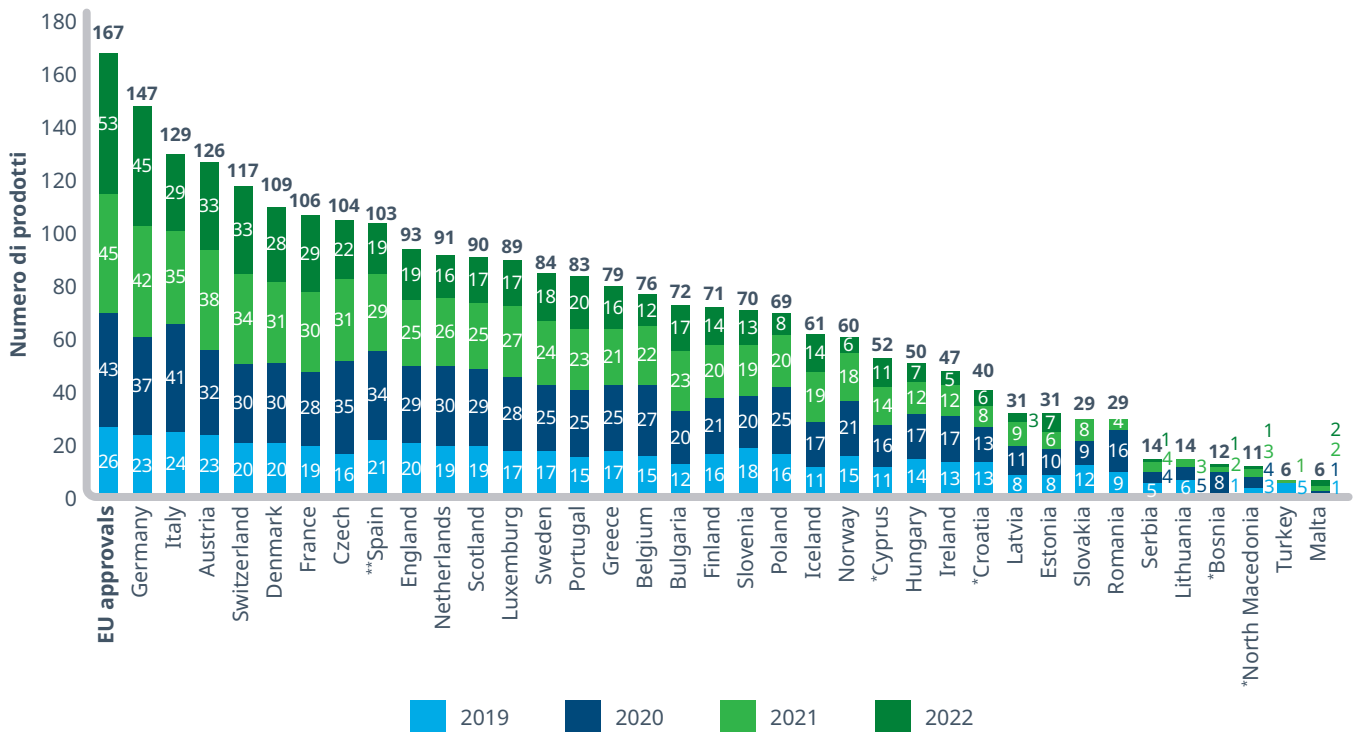
Altri Paesi europei, come Olanda (91), Portogallo (83), Grecia (79) e Belgio (76) si attestano invece su livelli significativamente inferiori rispetto all'Italia.

Il differenziale tra Italia e Germania è principalmente dovuto ai prodotti approvati più recentemente, segnale di una maggiore rapidità nell'accesso in Germania rispetto all'Italia e agli altri Paesi, dovuta alle diverse regolamentazioni per l'accesso dei prodotti approvati da EMA (Figura 2).

FIGURA 2: Disponibilità farmaci in Italia e negli altri Paesi, articolati per anno di approvazione da parte di EMA

Disponibilità totale per anno di approvazione (2019-2022)

La disponibilità totale per anno di approvazione è il numero di medicinali disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi¹⁾, suddiviso per l'anno in cui il prodotto ha ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio in Europa.



Media dell'Unione Europea: 72 prodotti disponibili (43%) ¹Nella maggior parte dei paesi la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso all'elenco dei rimborsi, ad eccezione di DK, FI, LU, NO, SE, dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal Sistema di rimborso generale. Le sfumature specifiche del paese sono elencate nell'appendice. ²I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati complete e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. ³In Spagna, l'analisi WAITnon identifica I medicinali che sono stati accessibili prima, in conformità con il Regio Decreto 105/2009 relative ai medicinali in Situazioni Speciali.

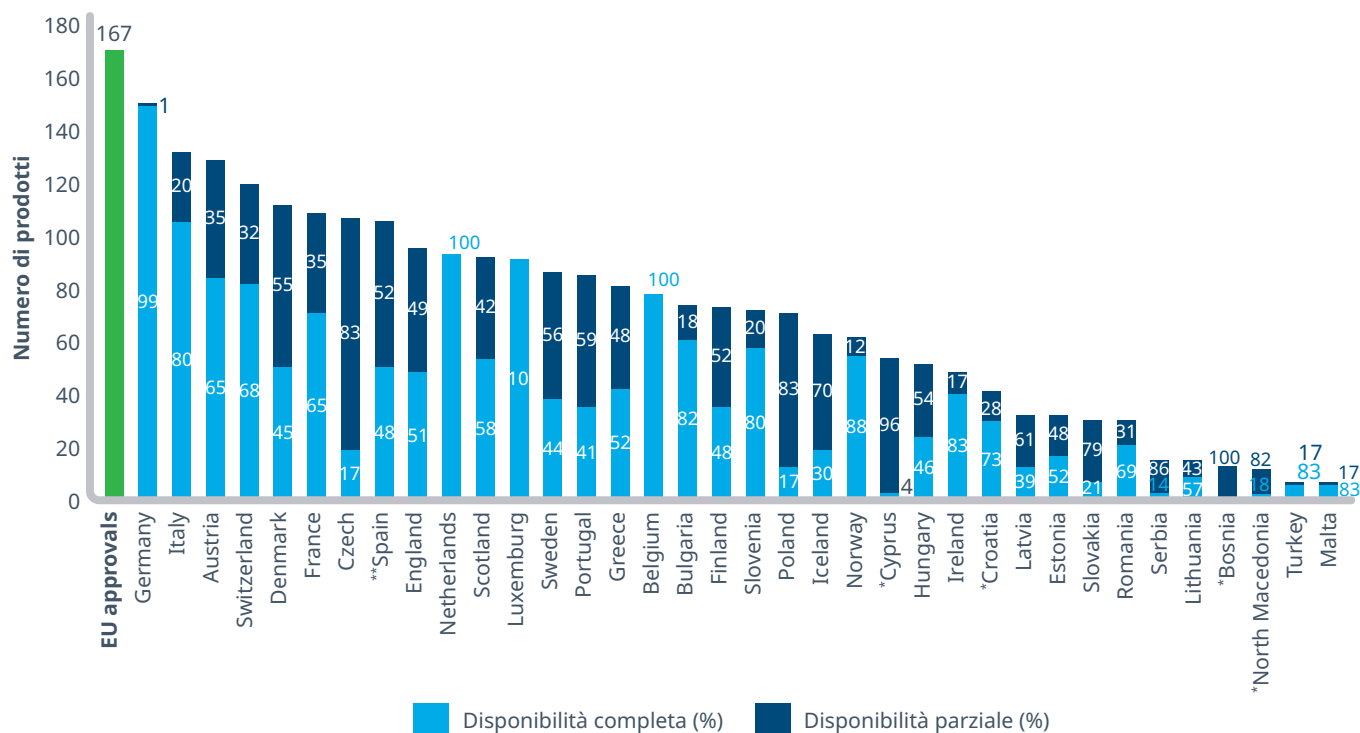


Inoltre, in Italia il 20% dei farmaci ha disponibilità parziale* (con restrizioni all'utilizzo), mentre in Germania la quasi totalità dei farmaci (99%) ha disponibilità completa. In ogni caso, nella maggior parte degli altri paesi europei la percentuale di farmaci con disponibilità parziale rispetto alla percentuale con disponibilità completa è di gran lunga superiore rispetto all'Italia (Spagna 52%, Francia, 35%, Austria 35%). (Figura 3).

FIGURA 3: Disponibilità farmaci senza restrizioni o con restrizioni in Italia e negli altri Paesi, farmaci approvati da EMA negli anni 2019-2022

Tasso di piena disponibilità (% , 2019-2022)

Il tasso di piena disponibilità mostra la percentuale di farmaci disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi¹⁾ senza alcuna restrizione per la popolazione di pazienti, o attraverso schemi di base per i pazienti che sono aumentati in modo significativo negli ultimi anni e non sono stati sempre presi in considerazione nelle presentazioni dei sondaggi.

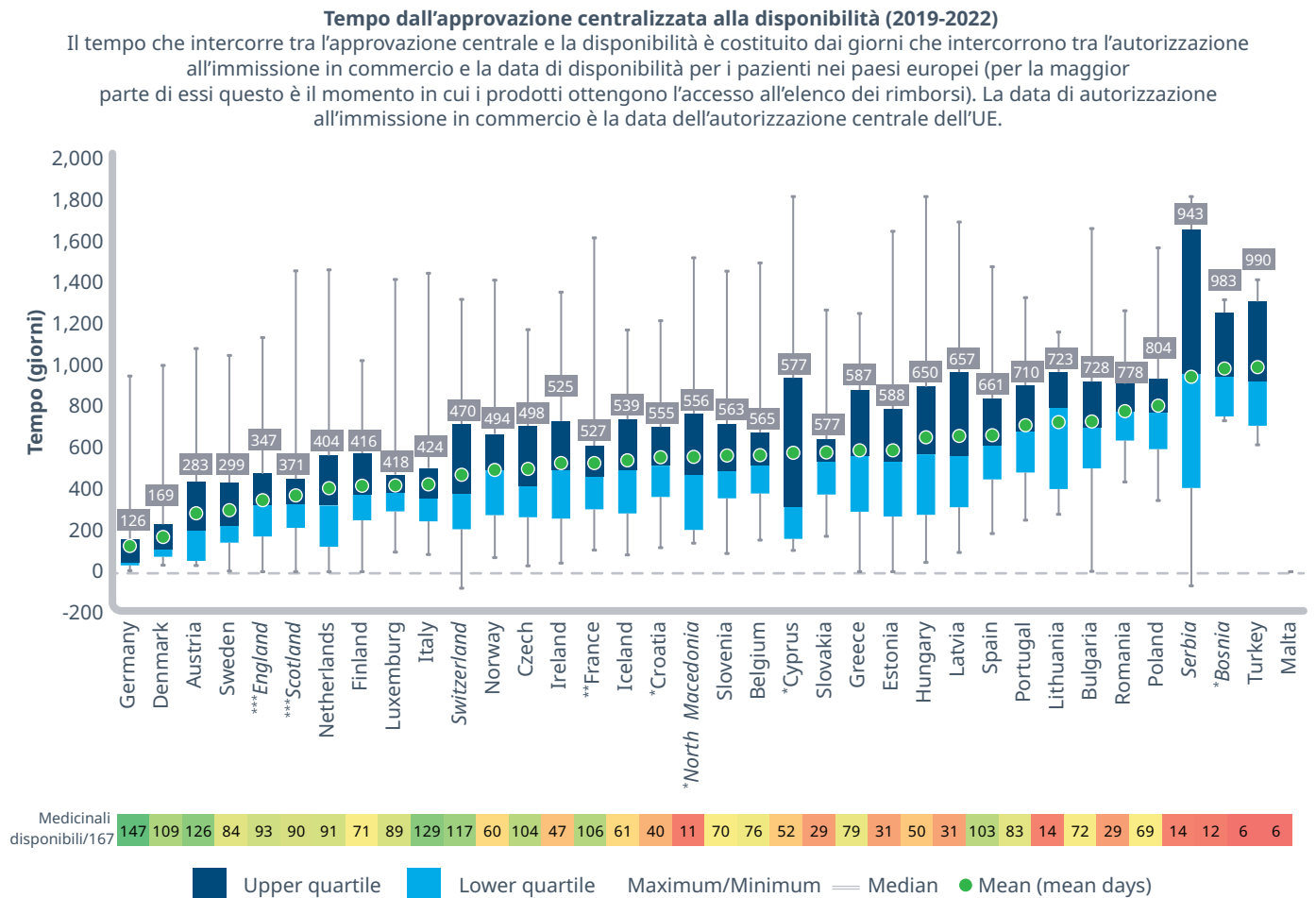


Media dell'Unione Europea media: 72 prodotti disponibili (43%), Disponibilità Limitata (40% dei prodotti disponibili). I Paesi Bassi non hanno inviato informazioni complete sulle restrizioni ai medicinali disponibili, il che significa che la Disponibilità parziale non è rilevata in questi paesi. ¹Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale all'inserimento nella lista di rimborso, ad eccezione di DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. ²I paesi con asterisco non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. ³In Spagna, l'analisi WAIT non identifica i medicinali disponibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

Tempo di disponibilità farmaci

Per quanto riguarda il tempo di approvazione dei farmaci orfani, l'Italia non figura tra i Paesi con i risultati migliori (10° posto), anche se la sua posizione è migliorata rispetto all'analisi dello scorso anno. Il tempo medio di inserimento nelle liste di rimborsabilità, infatti, è di circa 14 mesi (424 giorni), quasi 5 volte di più che in Germania (126 giorni). In ogni caso, il risultato dell'Italia è inferiore alla media dei Paesi EU (531 giorni in media). (Figura 4).

FIGURA 4: Tempo dall'approvazione centralizzata alla disponibilità (2019-2022)



Media dell'Unione Europea: 531 giorni (media %) (Nota: Malta non è inclusa nella media dell'UE27 poiché non sono state presentate date complessive) [†]Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale all'inserimento nella lista di rimborso, ad eccezione di DK, FI, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. ^{*}I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. ^{**}Per la Francia, il tempo di disponibilità (527 giorni), include prodotti sotto il sistema Accès précoce per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo. Se si considera che i prodotti sotto il sistema Accès précoce sono direttamente disponibili (tempo di disponibilità = 0), il tempo medio di disponibilità è di 424 giorni. ^{***}Nel Regno Unito, il sistema MHRA's Early Access to Medicines Scheme fornisce accesso prima dell'autorizzazione alla commercializzazione ma non è incluso in questa analisi, e ridurrebbe il numero complessivo di giorni per un piccolo sottoinsieme di medicinali.

Focus su farmaci oncologici

Disponibilità dei farmaci oncologici

Confrontando la disponibilità* nei Paesi Europei (al 5 Gennaio 2024) dei farmaci oncologici approvati da EMA nel periodo 2019-2022, l'Italia è al quarto posto con 40 prodotti disponibili, con l'83% dei 48 prodotti approvati da EMA nel periodo considerato.

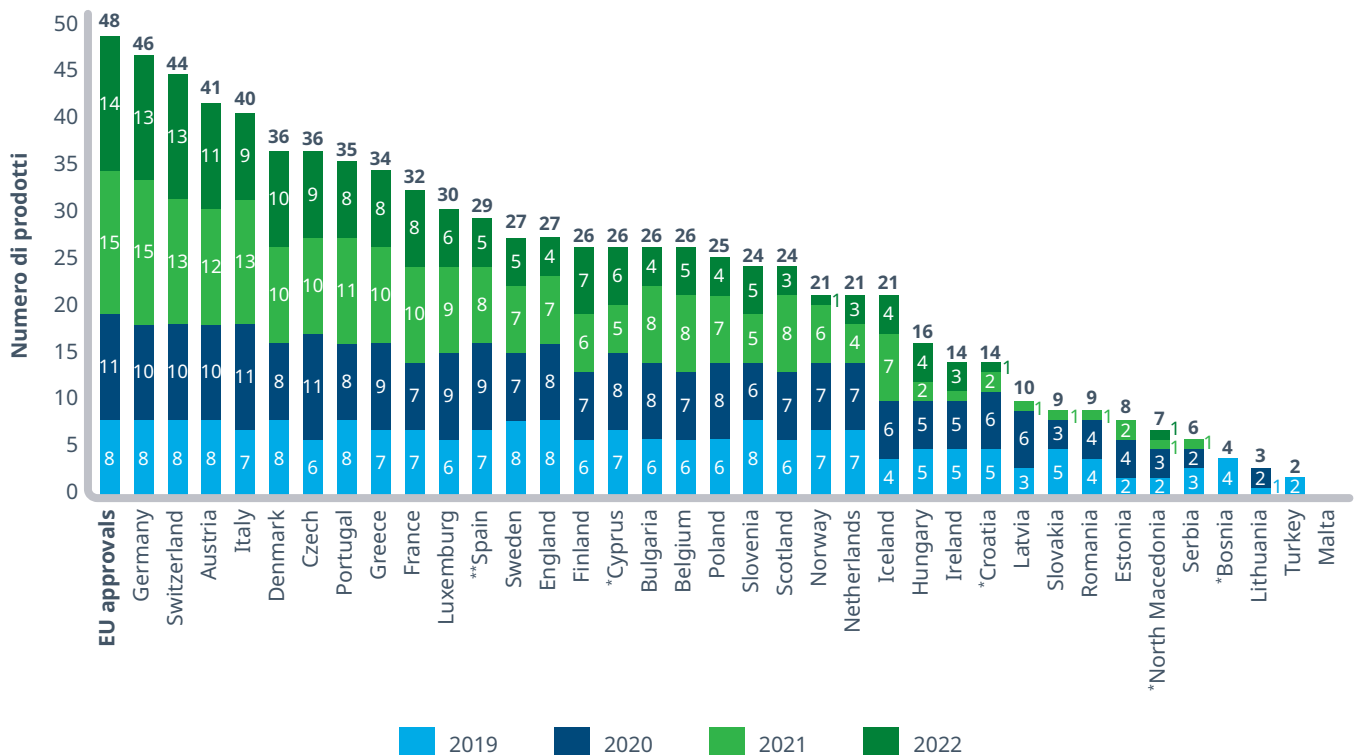
L'Italia mostra livelli non lontani da quelli della Germania, il Paese con la più alta disponibilità di farmaci (46), della Svizzera (44 prodotti disponibili) e dell'Austria (con 41 prodotti disponibili). Danimarca e Repubblica Ceca occupano quinta e sesta posizione nel ranking, con 36 prodotti disponibili ciascuno, seguono Portogallo (35 prodotti) e Grecia (34 prodotti).

Anche in questo caso sono i prodotti approvati più recentemente a spiegare il differenziale tra Italia e Germania con una maggiore rapidità nell'accesso in Germania rispetto all'Italia e agli altri Paesi, dovuta alle diverse regolamentazioni per l'accesso dei prodotti approvati da EMA (Figura 5).

FIGURA 5: Disponibilità farmaci oncologici in Italia e negli altri Paesi, articolati per anno di approvazione da parte di EMA

Disponibilità dei farmaci oncologici per anno di approvazione (2019-2022)

La disponibilità totale per anno di approvazione è il numero di medicinali disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi¹⁾, suddiviso per l'anno in cui il prodotto ha ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio in Europa.



Media dell'Unione Europea: 25 prodotti disponibili (52%) ¹Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, tranne in DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. ²I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. ³In Spagna, l'analisi WAIT non identifica i medicinali accessibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

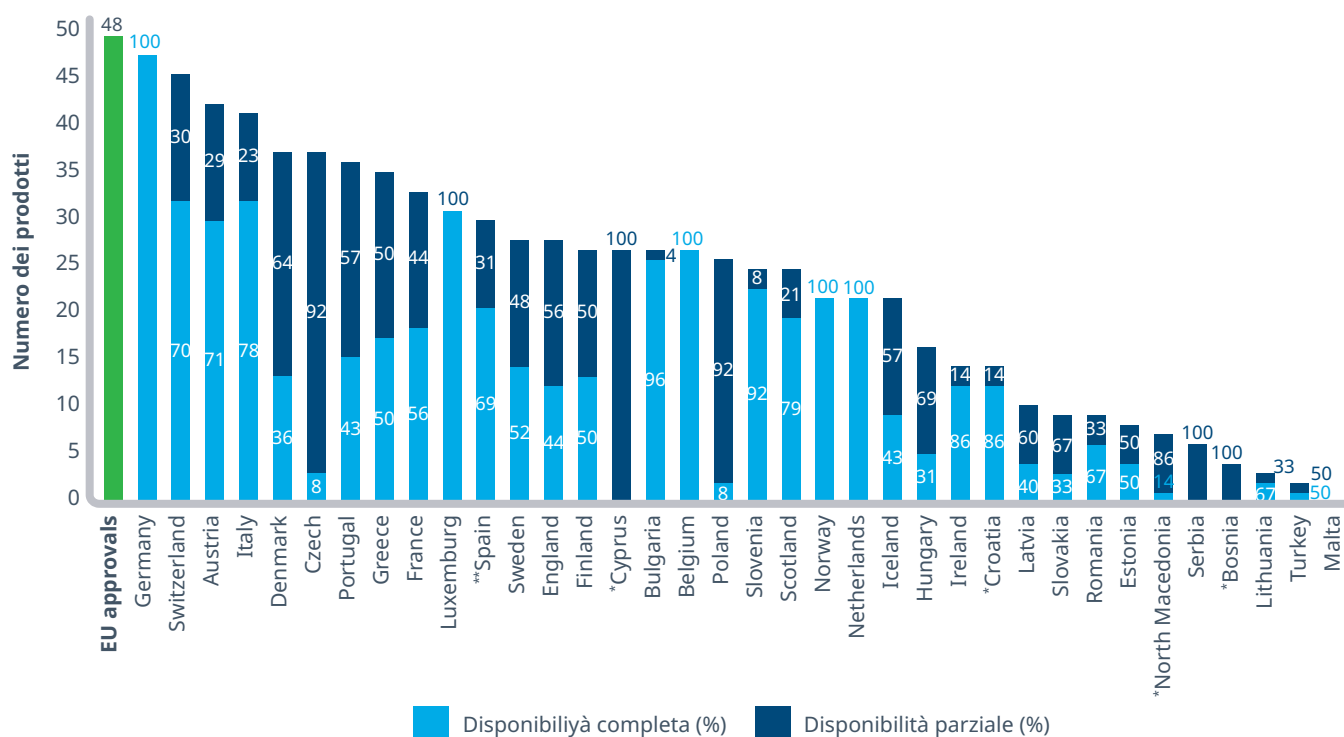


In Italia il 23% dei farmaci ha disponibilità parziale,* similmente a Svizzera (30%) e Austria (39%), mentre in Germania la totalità dei farmaci (100%) ha disponibilità completa. Nella maggior parte degli altri Paesi europei la percentuale di farmaci con disponibilità parziale rispetto alla percentuale con disponibilità completa è molto superiore rispetto all'Italia (Repubblica Ceca 92%, Danimarca 64%, Portogallo 57%, Grecia 50%). (Figura 6).

FIGURA 6: Disponibilità farmaci oncologici senza restrizioni o con restrizioni in Italia e negli altri Paesi, farmaci approvati da EMA negli anni 2019-2022

Tasso di piena disponibilità farmaci oncologici (2019-2022)

Il tasso di piena disponibilità mostra la percentuale di farmaci disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi¹⁾ senza alcuna restrizione per la popolazione di pazienti, o attraverso schemi di base per i pazienti che sono aumentati in modo significativo negli ultimi anni e non sono stati sempre presi in considerazione nelle presentazioni dei sondaggi.



Media dell'Unione Europea: 25 prodotti disponibili (52%), Disponibilità limitata (40% dei prodotti disponibili). I Paesi Bassi non hanno fornito informazioni complete sulle restrizioni ai medicinali disponibili, il che significa che la disponibilità limitata (LA*) non è rilevata in questi paesi. *Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale all'inserimento nella lista di rimborso, ad eccezione di DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. *I paesi contrassegnati con un asterisco non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. **In Spagna, l'analisi WAIT non identifica i medicinali accessibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

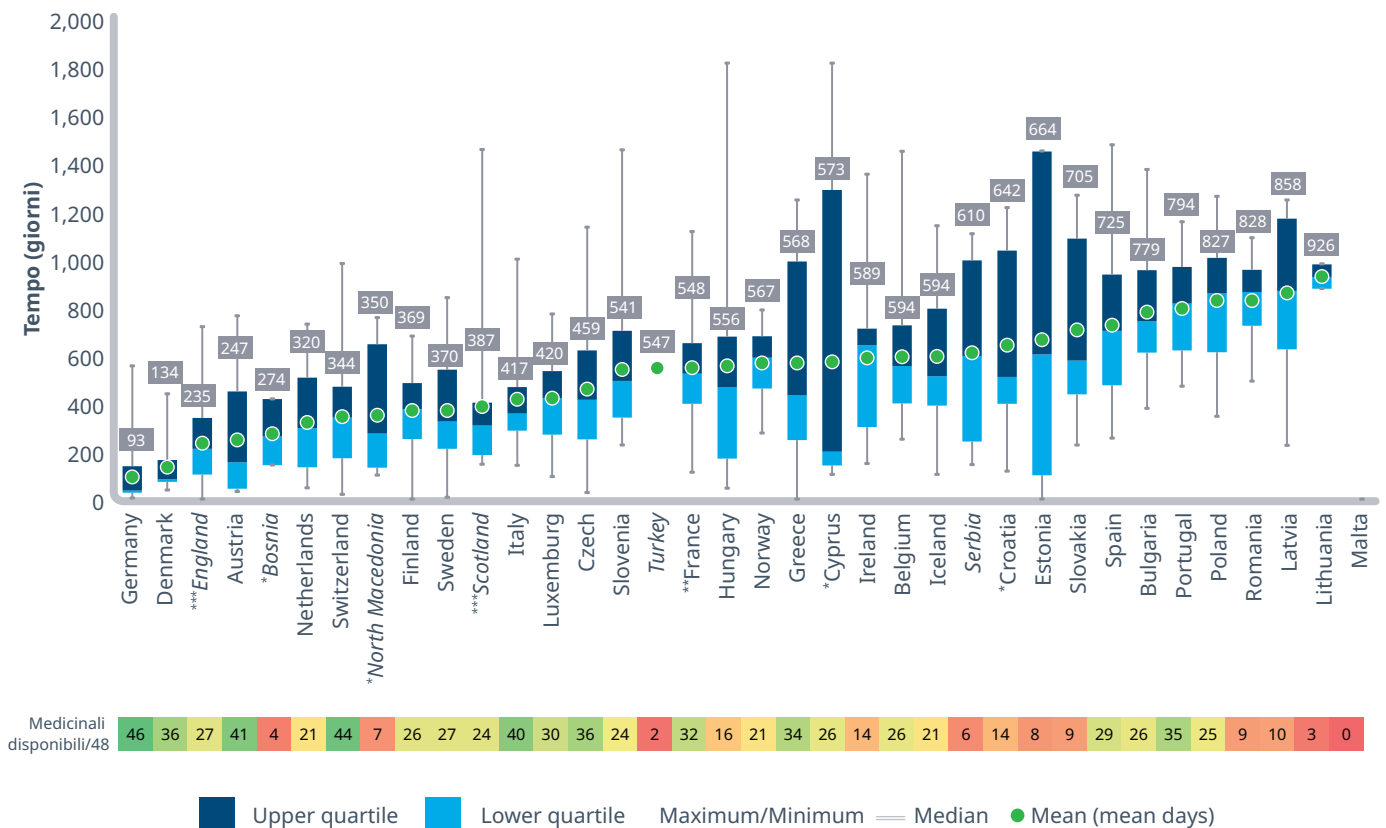
Tempo di disponibilità farmaci oncologici

Per quanto riguarda il tempo di approvazione dei farmaci oncologici, l'Italia si trova al dodicesimo posto con circa 14 mesi di attesa (417 giorni), molto distante dai paesi nelle prime posizioni come Germania (dove l'attesa è di circa 3 mesi, 93 giorni) e Danimarca (134 giorni, circa 4 mesi) e dopo Inghilterra, Austria, Bosnia, Olanda, Svizzera, Finlandia e Svezia, ma prima di paesi come Francia, Spagna e Norvegia. La media dei paesi EU è comunque più alta rispetto al risultato italiano (559 giorni in media). (Figura 7).

FIGURA 7: Tempo dall'approvazione centralizzata alla disponibilità (2019-2022)

Tempo dall'approvazione centralizzata alla disponibilità farmaci oncologici (2019-2022)

Il tempo di disponibilità è costituito dai giorni che intercorrono tra l'autorizzazione all'immissione in commercio e la data di disponibilità per i pazienti nei paesi europei (per la maggior parte di essi questo è il momento in cui i prodotti ottengono l'accesso all'elenco dei rimborsati¹). La data di autorizzazione all'immissione in commercio è la data dell'autorizzazione centrale dell'UE nella maggior parte dei paesi, ad eccezione dei paesi indicati in corsivo in cui sono state utilizzate le date di autorizzazione locali. I dati sono aggiornati al 5 gennaio 2024.



Unione Europea media: 559 giorni (media) (Nota: Malta non è inclusa nella media dell'UE27 poiché non sono state presentate date totali) ¹Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, tranne in DK, FI, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. ²I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. ³Per la Francia, il tempo di disponibilità (548 giorni) include i prodotti sotto il sistema Accès précoce (per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo. Se si considera che i prodotti sotto il sistema Accès précoce sono direttamente disponibili (tempo di disponibilità = 0), il tempo medio di disponibilità è di 438 giorni. ⁴Nel Regno Unito, il sistema Early Access to Medicines Scheme dell'MHRA fornisce accesso prima dell'autorizzazione alla commercializzazione ma non è incluso in questa analisi, e ridurrebbe il numero complessivo di giorni per un piccolo sottoinsieme di medicinali. In queste analisi, sono state utilizzate le date dell'MHRA per i prodotti del 2021-2022 e le date dell'EMA per i prodotti del 2019-2020.

Focus su farmaci orfani

Disponibilità dei farmaci orfani

Rispetto ai prodotti orfani approvati da EMA nel periodo 2019-2022, confrontando la disponibilità* nei Paesi Europei (al 5 Gennaio 2024) l'Italia occupa il secondo posto con 45 prodotti disponibili (71% sul totale dei 63 prodotti approvati da EMA nel periodo considerato).

La Germania continua ad essere il Paese con la più alta disponibilità di farmaci orfani (56), mentre Francia (43 prodotti disponibili) e Austria (42) mostrano livelli di disponibilità simili all'Italia. (Figura 8).

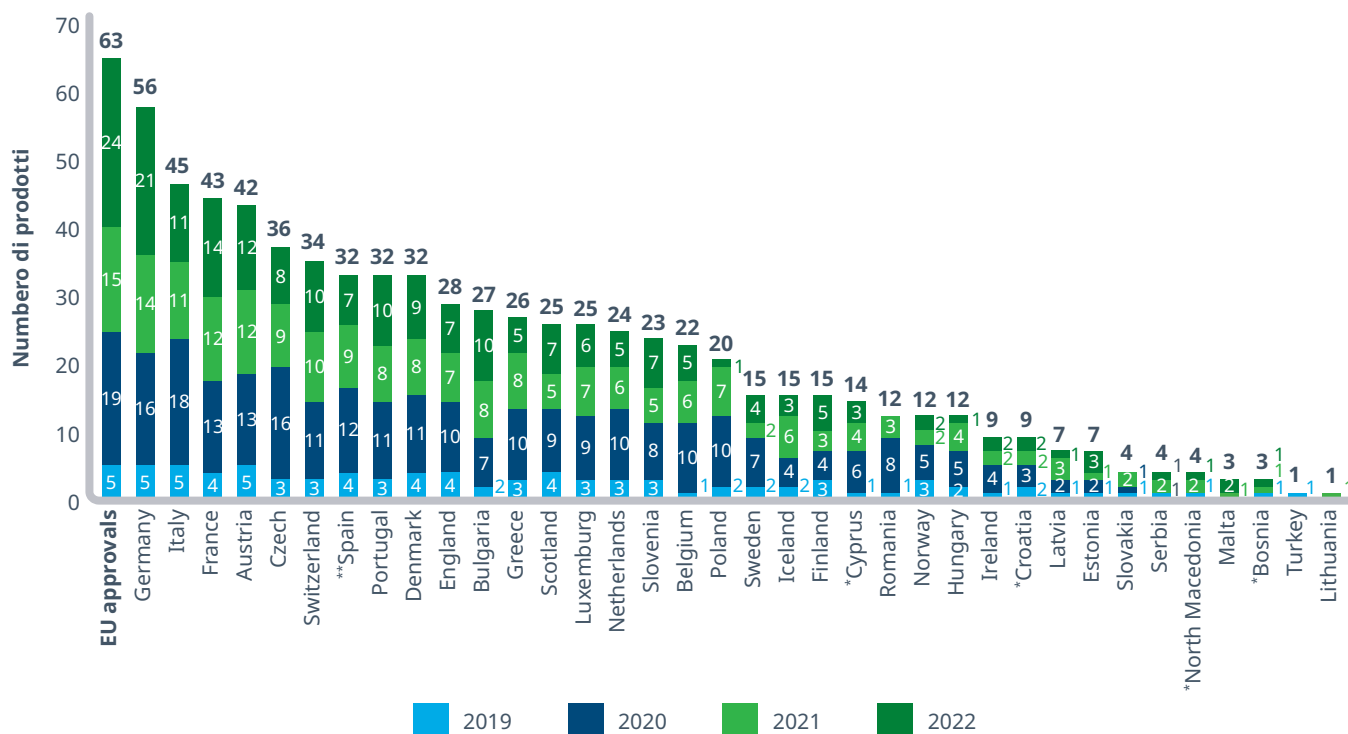
Altri Paesi europei, come Grecia (26), Olanda (24) e Portogallo (32) si attestano invece su livelli significativamente inferiori.

Il differenziale tra Italia e Germania è principalmente dovuto ai prodotti approvati più recentemente, segnale di una maggiore rapidità nell'accesso in Germania rispetto all'Italia e agli altri Paesi (Figura 8).

FIGURA 8: Disponibilità farmaci orfani in Italia e negli altri Paesi, articolati per anno di approvazione da parte di EMA

Disponibilità dei farmaci orfani per anno di approvazione (2019-2022)

La disponibilità totale per anno di approvazione è il numero di medicinali disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi[†]), suddiviso per l'anno in cui il prodotto ha ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio in Europa.

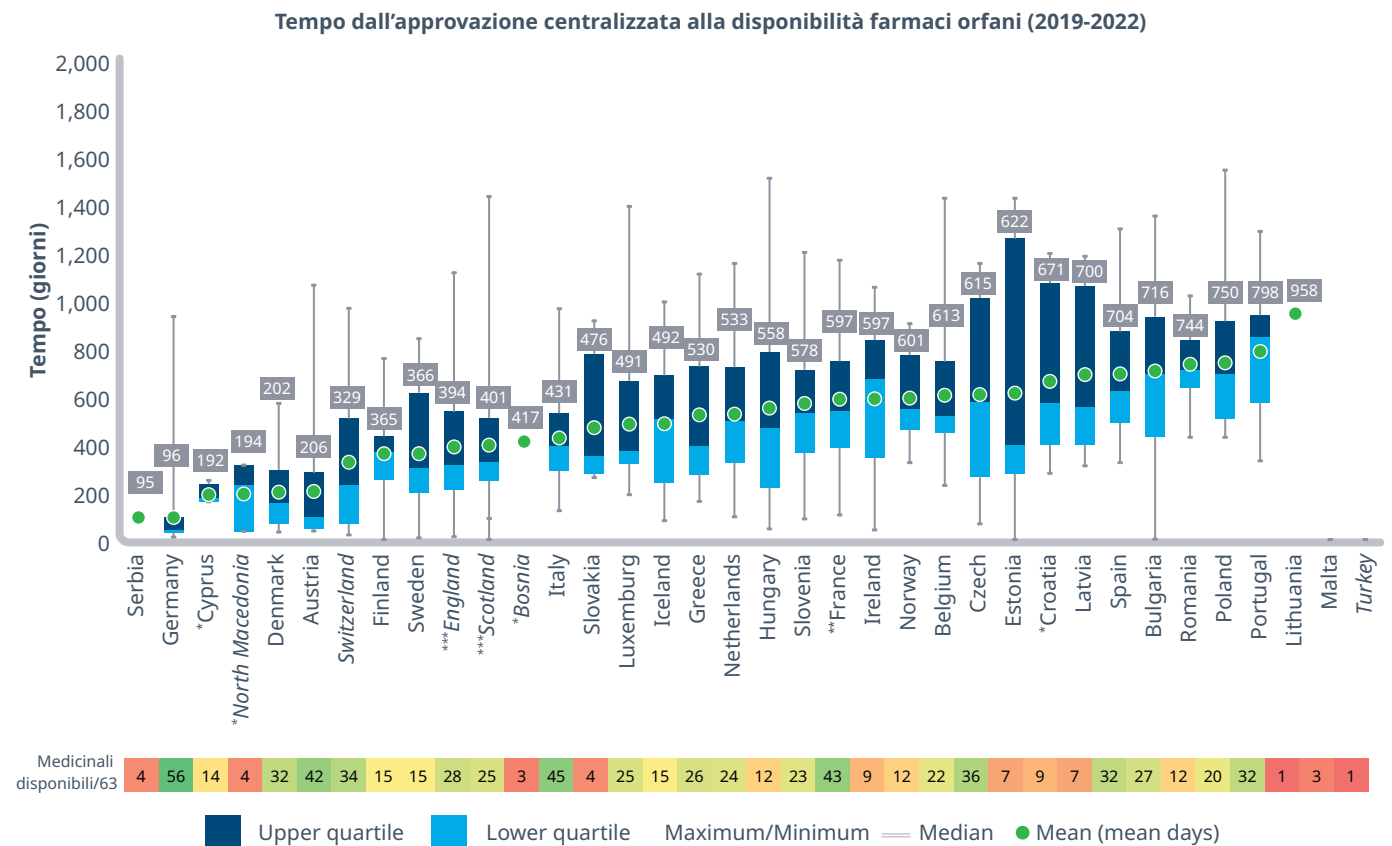


Media dell'Unione Europea: 22 prodotti disponibili (35%) [†]Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, ad eccezione di DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. [†]I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe essere non rappresentativa. ^{**}In Spagna, l'analisi WAIT non identifica i medicinali accessibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 della Spagna relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

Tempo di disponibilità farmaci orfani

Per quanto riguarda il tempo di approvazione dei farmaci orfani, l'Italia non figura tra i Paesi con i risultati migliori (13° posto). Il tempo medio di inserimento nelle liste di rimborsabilità, infatti, è di circa 15 mesi (431 giorni), circa 5 volte di più che in Germania (96 giorni, pari a 3 mesi). In ogni caso, il risultato dell'Italia è inferiore alla media dei Paesi EU che raggiunge 958 giorni (625 giorni in media). (Figura 4).

FIGURA 9: Tempo medio di disponibilità farmaci orfani in Italia e negli altri Paesi approvati da EMA negli anni 2019-2022



Media dell'Unione Europea: 542 giorni (media) (Nota: Malta non è inclusa nella media dell'UE27 poiché non sono state presentate date complessive)
 *Nella maggior parte dei paesi la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, tranne in DK, FI, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. *I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa.; **Per la Francia, il tempo di disponibilità (597 giorni,) include prodotti sotto il sistema Accès précoce per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo. Se si considera che i prodotti sotto il sistema Accès précoce sono direttamente disponibili (tempo di disponibilità = 0), il tempo medio di disponibilità è di 420 giorni. ***Nel Regno Unito, il programma Early Access to Medicines Scheme dell'MHRA fornisce accesso prima dell'autorizzazione alla commercializzazione ma non è incluso in questa analisi, e ridurrebbe il numero complessivo di giorni per un piccolo sottoinsieme di medicinali. In queste analisi, sono state utilizzate le date dell'MHRA per i prodotti del 2021-2022 e le date dell'EMA per i prodotti del 2019-2020.

Disponibilità farmaci orfani non oncologi

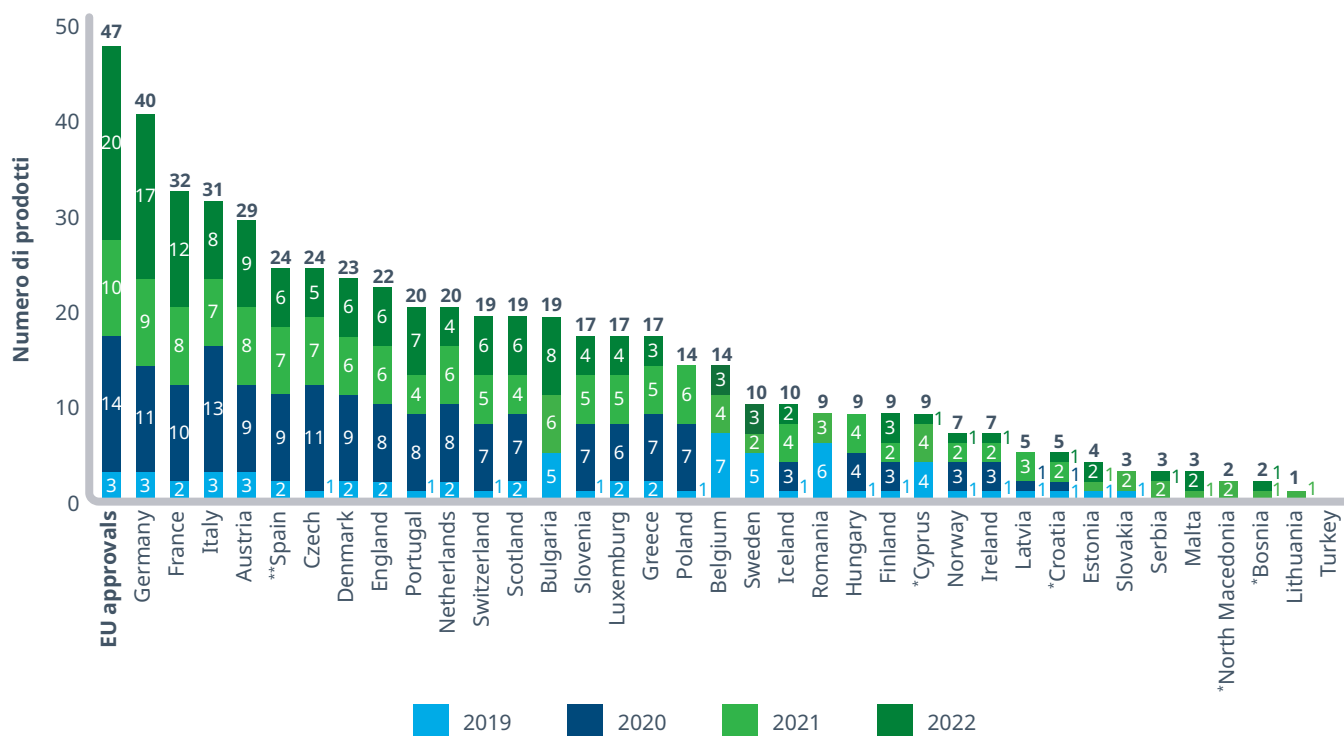
Anche nel caso dei farmaci orfani non oncologici la quota della disponibilità in Italia è elevata e superiore alla maggior parte dei Paesi considerati nello studio. Infatti, 31 prodotti sui 47 approvati da EMA nel periodo 2019-2022 sono disponibili in Italia al 5 Gennaio 2024 (66%).

Per i farmaci orfani non oncologici, l'Italia si trova in una posizione inferiore rispetto ai precedenti, al terzo posto, dopo la Germania (85%) e la Francia (68%). Austria ottiene risultati leggermente inferiori, ma simili a quelli dell'Italia con una disponibilità del 62%. L'Italia non evidenzia particolari ritardi rispetto alla Germania nell'accesso dei farmaci più recenti: sui 20 farmaci approvati da EMA nel 2022, 8 sono disponibili in Italia al 5 Gennaio 2024, contro gli 17 della Germania. (Figura 10).

FIGURA 10: Disponibilità farmaci orfani non oncologici in Italia e negli altri Paesi, articolati per anno di approvazione da parte di EMA

Disponibilità dei farmaci orfani non oncologici per anno di approvazione (2019-2022)

La disponibilità totale per anno di approvazione è il numero di medicinali disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024 (per la maggior parte dei paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi¹), suddiviso per l'anno in cui il prodotto ha ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio in Europa.



Media dell'Unione Europea: 15 prodotti disponibili (32%) ¹Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, eccetto in DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. *I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. **In Spagna, l'analisi WAIT non identifica quei prodotti medicinali accessibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 della Spagna relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

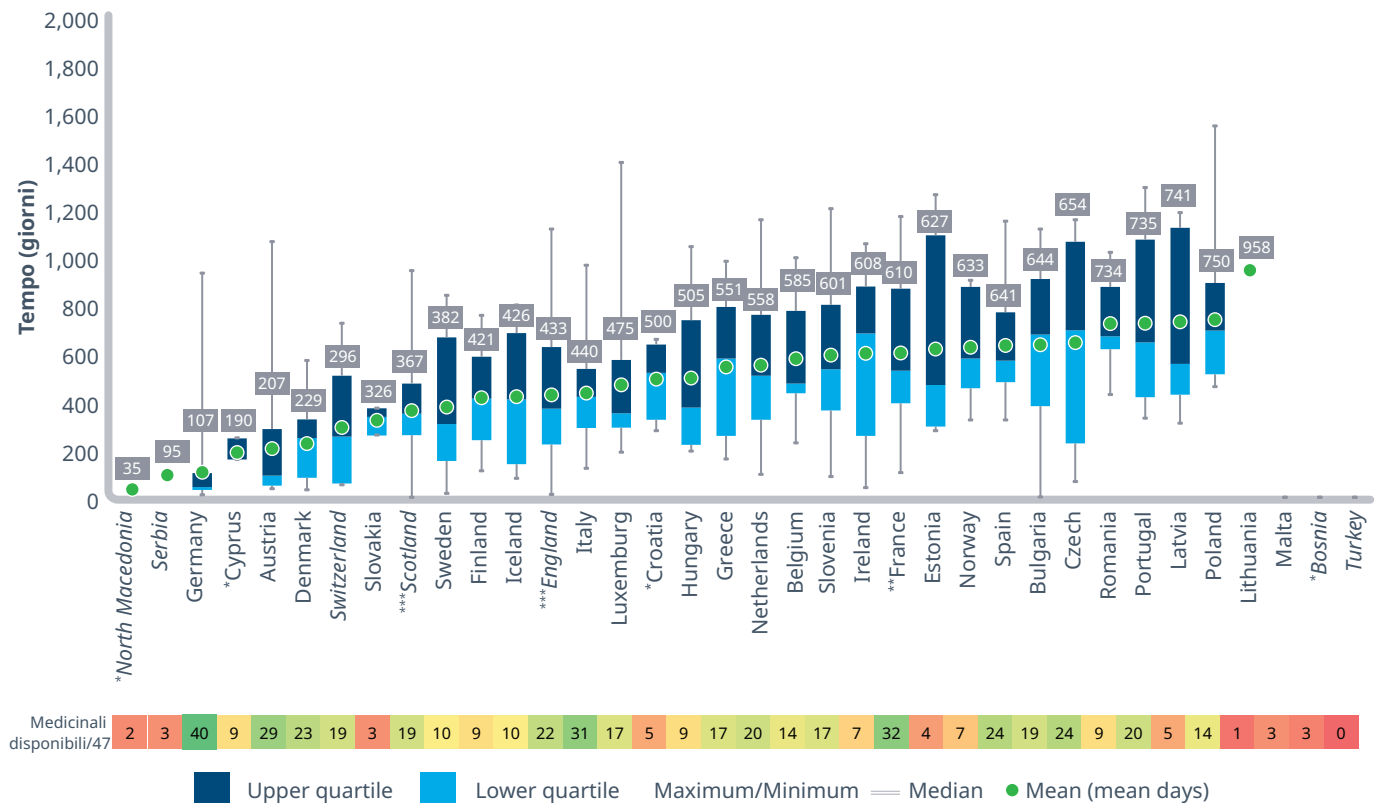
Tempo di disponibilità farmaci orfani non oncologici

In Italia, il tempo di disponibilità medio per i farmaci orfani non oncologici è di circa 440 giorni, risultando al 12° posto. Il tempo più breve viene registrato in Germania, approssimativamente pari a 3/4 mesi (107 giorni), mentre nell'Unione Europea il tempo medio di disponibilità è più alto di circa 10 mesi rispetto all'Italia (750 giorni). (Figura 11).

FIGURA 11: Tempo medio di disponibilità farmaci orfani in Italia e negli altri Paesi approvati da EMA negli anni 2019-2022

Farmaci orfani non oncologici, tempo di disponibilità (2019-2022)

Il tempo di disponibilità è costituito dai giorni che intercorrono tra l'autorizzazione all'immissione in commercio e la data di disponibilità per i pazienti nei paesi europei (per la maggior parte di essi questo è il momento in cui i prodotti ottengono l'accesso all'elenco dei rimborsi¹). La data di autorizzazione all'immissione in commercio è la data dell'autorizzazione centrale dell'UE nella maggior parte dei paesi, ad eccezione dei paesi indicati in corsivo in cui sono state utilizzate le date di autorizzazione locali. I dati sono aggiornati al 5 gennaio 2024.



Media dell'Unione Europea: 530 giorni (media) (Nota: Malta non è inclusa nella media dell'UE27 poiché non sono state presentate date complessive)
¹Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, tranne in DK, FI, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. *I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. **Per la Francia, il tempo di disponibilità (610 giorni) include prodotti sotto il sistema Accès précoce per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo. Se si considera che i prodotti sotto il sistema Accès précoce sono direttamente disponibili (tempo di disponibilità = 0), il tempo medio di disponibilità è di 401 giorni. ***Nel Regno Unito, il programma Early Access to Medicines Scheme dell'MHRA fornisce accesso prima dell'autorizzazione alla commercializzazione ma non è incluso in questa analisi, e ridurrebbe il numero complessivo di giorni per un piccolo sottoinsieme di medicinali. In queste analisi, sono state utilizzate le date dell'MHRA per i prodotti del 2021-2022 e le date dell'EMA per i prodotti del 2019-2020.

Confronto tra disponibilità farmaci oncologici, orfani e orfani non-oncologici

La disponibilità in Italia di nuovi farmaci oncologici (83%) è lievemente superiore rispetto ai farmaci orfani (71%) e orfani non oncologici (66%). Il divario è più accentuato a livello Europeo dove la disponibilità dei farmaci orfani (35%) e orfani non oncologici (32%) è significativamente inferiore rispetto agli oncologici (52%) (Figura 12).

A livello europeo, tale divario è principalmente associabile ai tempi del processo di inserimento nelle liste di rimborso dei farmaci orfani, più lunghi di circa 4 mesi rispetto alla media dei farmaci oncologici.

FIGURA 12: Comparazione indicatori di disponibilità (tasso e tempo di disponibilità) Italia vs. Paesi UE e fra tipologie di farmaci (oncologici, orfani, orfani non oncologici)

Disponibilità e tempo di disponibilità
Confronti Italia vs. Paesi UE tipologie di farmaci

	ONCOLOGICI		ORFANI		ORFANI NON ONCOLOGICI	
	Media EU	Italia	Media EU	Italia	Media EU	Italia
Disponibilità	52%	83%	35%	71%	32%	66%
Tempi di disponibilità	559 giorni	417 giorni	542 giorni	431 giorni	530 giorni	440 giorni

Analisi di trend

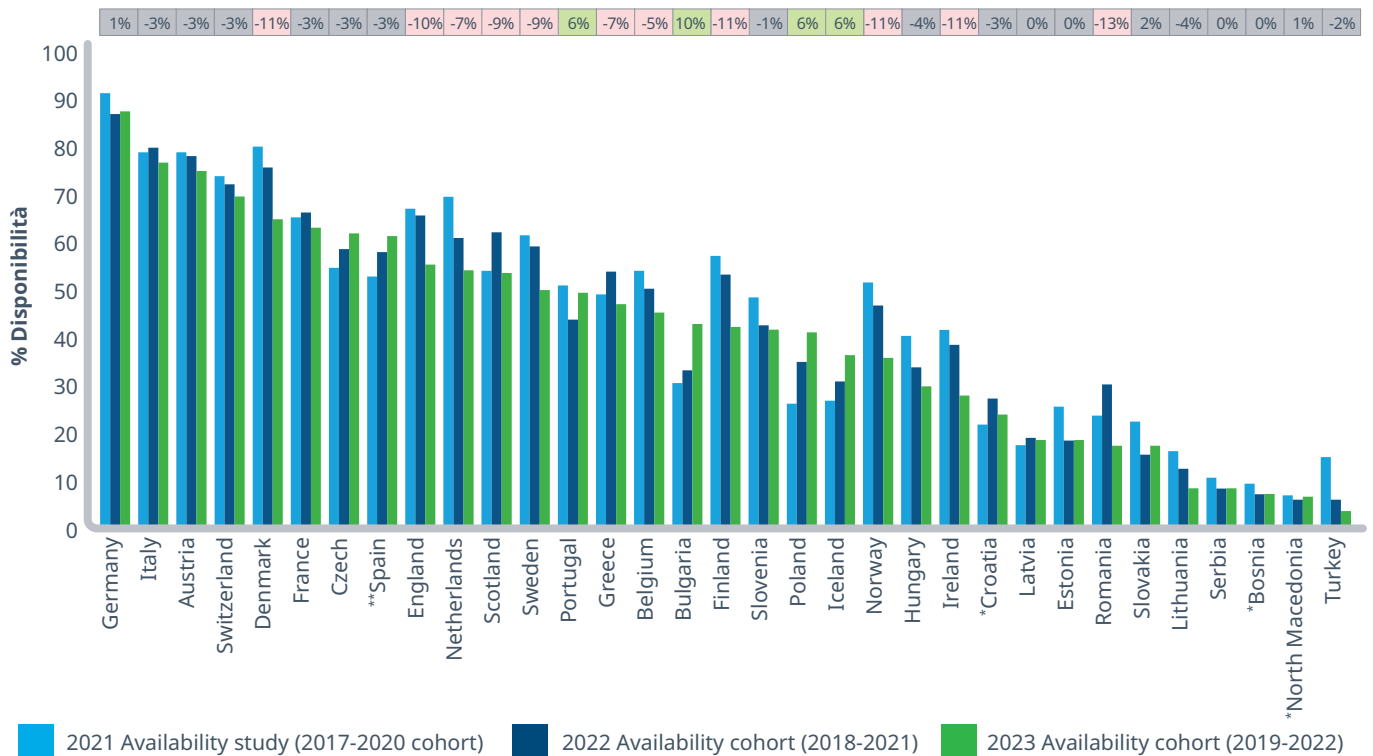
Confrontando il trend storico degli indicatori di disponibilità dei farmaci innovativi della serie degli ultimi 3 anni dello Studio W.A.I.T. (2021-2023) si può notare una situazione relativamente stabile per l'Italia, mostrando un leggero peggioramento nel tasso di disponibilità (-3% nel 2023 rispetto al 2022) e una buona diminuzione nel tempo di immissione sul mercato locale (-12 giorni nel 2023 rispetto al 2022). (Figure 8 e 9).

FIGURA 13: Trend nel tasso di disponibilità dei farmaci innovativi (2020-2022)

Confronto tasso di disponibilità (studio 2021 - studio 2023)

Il confronto del tasso di disponibilità,[†] misurato dal numero di farmaci disponibili per i pazienti nei paesi europei al 5 gennaio 2024, rispetto al tasso di disponibilità in studi precedenti (comparabili). Le cifre si basano sulle statistiche storiche pubblicate negli indicatori e i cambiamenti più importanti sono spesso dovuti a una migliore comunicazione.

Delta in % disponibilità (studio 2022 vs. studio 2023)



Aumenti di <=5% non sono considerati statisticamente significativi e sono quindi evidenziati in grigio. Nota: i Paesi Bassi hanno corretto retrospettivamente i dati del 2020; [†]Nella maggior parte dei paesi, la disponibilità equivale alla concessione dell'accesso alla lista di rimborso, tranne in DK, FI, LU, NO, SE dove alcuni prodotti ospedalieri non sono coperti dal regime generale di rimborso. *I paesi con asterischi non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. **In Spagna, l'analisi WAIT non identifica i medicinali accessibili prima in conformità con il Regio Decreto 1015/2009 della Spagna relativo ai Medicinali in Situazioni Speciali.

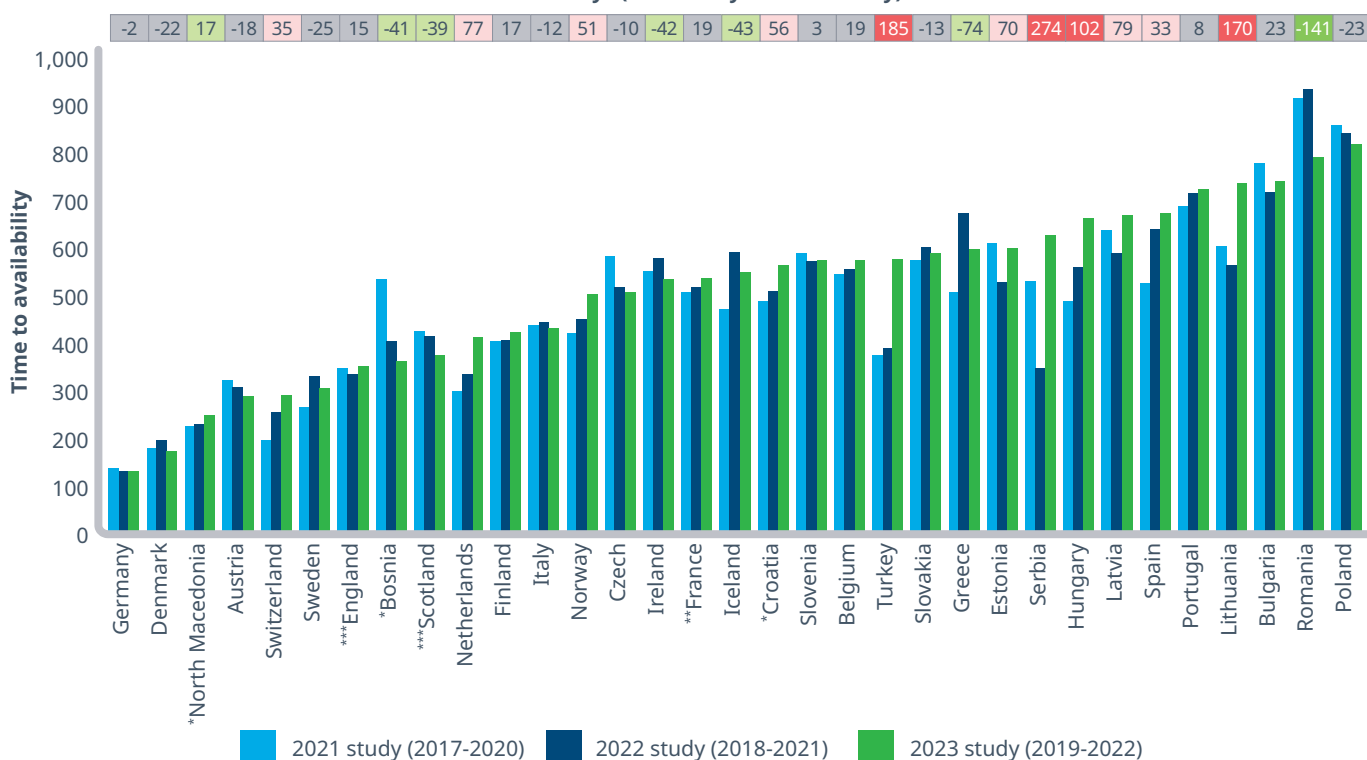


FIGURA 14: Trend nel tempo di disponibilità dei farmaci innovativi (2020-2022)

Confronto tempo di disponibilità (studio 2021 – studio 2023)

Il confronto tra il tempo e la disponibilità (precedentemente note come durata del ritardo) è costituito dai giorni che intercorrono tra l'autorizzazione all'immissione in commercio e la data di disponibilità per i pazienti rispetto a precedenti studi comparabili. Le cifre si basano sulle statistiche storiche pubblicate negli indicatori e i cambiamenti più importanti sono spesso dovuti a una migliore comunicazione.

Delta in days (2022 study vs. 2023 study)



Le modifiche di <=30 giorni non sono considerate statisticamente significative e sono quindi evidenziate in grigio. *I paesi con un asterisco non hanno completato un set di dati completo e quindi la disponibilità potrebbe non essere rappresentativa. **Per la Francia, il tempo di disponibilità (527 giorni) include i prodotti sotto il sistema Accès précoce per i quali il processo di negoziazione del prezzo è solitamente più lungo. Se si considera che i prodotti sotto il sistema Accès précoce sono direttamente disponibili (tempo di disponibilità = 0), il tempo medio di disponibilità è di 424 giorni. ***Nel Regno Unito, lo schema Early Access to Medicines della MHRA fornisce accesso prima dell'autorizzazione alla commercializzazione, ma non è incluso in questa analisi, e ridurrebbe i giorni complessivi per un piccolo sottoinsieme di medicinali. In queste analisi, sono state utilizzate le date della MHRA per i prodotti del 2021-2022 e le date dell'EMA per i prodotti del 2019-2020.

Conclusioni

L'analisi relativa alla disponibilità e ai tempi di accesso dei farmaci orfani conferma l'Italia come uno dei primi Paesi per numero di farmaci orfani disponibili, con tempi di accesso alle liste di rimborsabilità di circa 3-4 mesi più brevi rispetto alla media degli altri Paesi UE.

Tuttavia, l'Italia mostra tempi di disponibilità più lunghi rispetto ad altri Paesi come Germania, Danimarca, Austria e Svezia.

Inoltre, mentre nel resto d'Europa la disponibilità dei farmaci orfani risulta essere sensibilmente inferiore a quella dei farmaci oncologici, in Italia non emergono differenze significative a seconda della tipologia di farmaco.

Infine, va considerato che tali indicatori (tasso e tempi di disponibilità) si riferiscono all'accesso a livello nazionale e non tengono conto delle possibili difformità e ulteriori ritardi del processo di immissione nelle liste dei farmaci rimborsabili a livello delle singole Regioni.

In conclusione, l'Italia emerge dallo studio come uno dei Paesi che meglio garantiscono l'accesso ai farmaci innovativi. Tuttavia, esistono ulteriori margini di miglioramento nell'accelerazione e nello snellimento dei processi per l'immissione nelle liste di rimborsabilità a livello nazionale e nelle singole Regioni.



References

(*)Per disponibilità si intende l'inclusione del prodotto nelle liste di rimborsabilità di ogni Paese.

Rimborso totale attraverso un sistema di rimborso nazionale	Disponibile
Rimborso completamente automatico da parte di un budget ospedaliero (ad es. sistema nordico)	
Rimborso limitato a sottopopolazioni specifiche nell'ambito dell'indicazione approvata	Disponibile parzialmente
Rimborso limitato su base nazionale nominativa per singoli pazienti	
Rimborso limitato in attesa di decisione (ove il sistema lo consenta)	
Disponibilità attraverso un programma speciale (ad es. accordi di ingresso concordati)	Disponibile privatamente
Disponibile solo all'interno del mercato privato a spese dei pazienti	
Non rimborsato o non rimborsato in attesa di decisione	Non disponibile

Metriche utilizzate nello studio W.A.I.T. : Sono state utilizzate 2 metriche principali per analizzare i nuovi medicinali (ovvero i medicinali che includono una sostanza non precedentemente disponibile in Europa) all'interno di una coorte continuativa di 4 anni:

- Tasso di disponibilità ("*Rate of Availability*"), che definisce il numero di medicinali disponibili per i pazienti nei Paesi europei. Per la maggior parte dei Paesi questo è il momento in cui il prodotto ottiene l'accesso all'elenco dei rimborsi (non indica necessariamente l'utilizzo).
- Il tempo di disponibilità ("*Time to Availability*"), che misura il tempo medio tra l'autorizzazione all'immissione in commercio e la disponibilità nei singoli Paesi, utilizzando i giorni dalla data dell'autorizzazione all'immissione in commercio al giorno del completamento dei processi amministrativi di autorizzazione post-immissione in commercio.

(**)Paesi inclusi nello studio: Albania, Austria, Belgio, Bosnia, Bulgaria, Cipro, Croazia, Danimarca, Estonia, Finlandia, Francia, Germania, Grecia, Inghilterra, Irlanda, Islanda, Italia, Latvia, Lituania, Lussemburgo, Macedonia, Malta, Olanda, Norvegia, Polonia, Portogallo, Repubblica Ceca, Romania, Scozia, Serbia, Slovacchia, Slovenia, Spagna, Svezia, Svizzera, Turchia, Ungheria.

CONTACT US
iqvia.com