

# Analisi dei bisogni di salute delle persone con Fibrosi Cistica in un'ottica di **assistenza sanitaria basata sul valore**: costi della malattia in Italia

**Annalisa Calabrò**



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore

**Sezione di Igiene - Dipartimento Universitario Scienze della Vita e Sanità  
Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma**

**VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership and  
Innovation), Spin off Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma**



### RTFC Registro Italiano Fibrosi Cistica Report 2021

	Anno 2021		
	M	F	Totale
Pazienti inclusi nel RIFC con diagnosi di FC (n (%))	3075 (51.4)	2902 (48.6)	5977 (100.0)
Età mediana pazienti (mesi / anni)	4.4 / 24.0	3.6 / 22.6	4.0 / 23.3
Prevalenza dei pazienti di età ≥18 anni (n (%))	1972 (64.1)	1775 (61.2)	3747 (62.7)
Prevalenza dei pazienti con almeno una mutazione [delta]F508 su un allele (n (%))	2058 (66.9)	1968 (67.8)	4026 (67.4)
Nuove diagnosi nel corso del 2021 (n)	66	47	113
Pazienti deceduti nel corso del 2021 (n)	10	5	15
Età mediana al decesso (anni)	38,3	43,7	38,7
Età mediana al decesso escluso i pazienti trapiantati (anni)	41,0	46,6	43,7
Pazienti che hanno subito un trapianto bipolmonare nel corso del 2021 (n)	6	8	14

**Nel 2020: tot. 17**

**Nuove diagnosi nell'anno 2021: 113 nuovi pazienti**



- ✓ **Il 35,4%** dei pazienti ha ricevuto una diagnosi di FC in età adulta (età ≥18 anni).
- ✓ Il 95% dei pazienti diagnosticati entro il compimento del secondo anno di vita è stata identificata mediante **screening neonatale**.

# FIBROSI CISTICA: LA TERAPIA PERSONALIZZATA

...oltre 2000 mutazioni del gene CFTR



Registro Italiano  
Fibrosi Cistica **Report 2021**

Percentuale di pazienti sottoposti a terapia con farmaci modulatori del gene CFTR nel 2021.

### Modulatori del gene CFTR

	%
Ivacaftor (Kalideco©)	3.28
Lumacaftor+Ivacaftor (Orkambi©)	10.72
Tezacaftor+Ivacaftor (Symkevi©)	2.48
<b>Elexacaftor+Tezacaftor+Ivacaftor (Kaftrio©)</b>	<b>21.87</b>



- ✓ Prima dello sviluppo delle terapie con i modulatori CFTR, i trattamenti disponibili per la FC miravano solo alla gestione dei sintomi. Al contrario, i **modulatori della proteina CFTR, agiscono sulla causa della patologia.**
- ✓ L'introduzione nel mercato dei farmaci modulatori CFTR ha trasformato la vita dei pazienti grazie ad un **miglioramento degli outcome clinici a breve e lungo termine** (es. migliore funzione polmonare; migliori parametri nutrizionali; migliore sintomatologia polmonare; riduzione delle esacerbazioni polmonari e delle infezioni da Pseudomonas aeruginosa; diminuzione della mortalità e del trapianto di organi; riduzione dei ricoveri; **miglioramento della qualità di vita...**).

**HA RAPPRESENTATO UNA RIVOLUZIONE NEL MIGLIORAMENTO DELLE ATTIVITÀ QUOTIDIANE DEI PAZIENTI**



ELSEVIER

Contents lists available at [ScienceDirect](#)

Journal of Cystic Fibrosis

journal homepage: [www.elsevier.com/locate/jcf](http://www.elsevier.com/locate/jcf)

Original Article

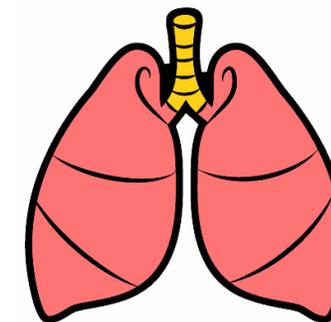
Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor projected survival and long-term health outcomes in people with cystic fibrosis homozygous for *F508del*

Andrea Lopez<sup>a,\*</sup>, Conor Daly<sup>b</sup>, Gabriela Vega-Hernandez<sup>b</sup>, Gordon MacGregor<sup>c</sup>,  
Jaime L. Rubin<sup>a</sup>



- ✓ **La sopravvivenza mediana** prevista per i soggetti con FC omozigoti per *F508del*-CFTR trattati con ELX/TEZ/IVA **pari a 71,6 anni.**
- ✓ **Il trattamento con ELX/TEZ/IVA ha inoltre ridotto la gravità della malattia nonché il numero di riacutizzazioni polmonari e di trapianti di polmone.**
- ✓ In un'analisi di scenario, **la sopravvivenza mediana prevista per pazienti con FC che avviano ELX/TEZ/IVA tra 12 e 17 anni è di 82,5 anni.**

forum 2023



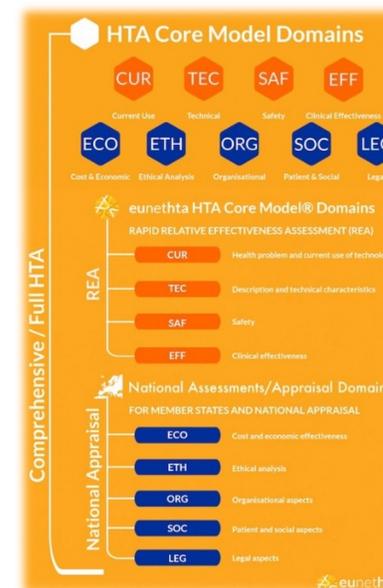
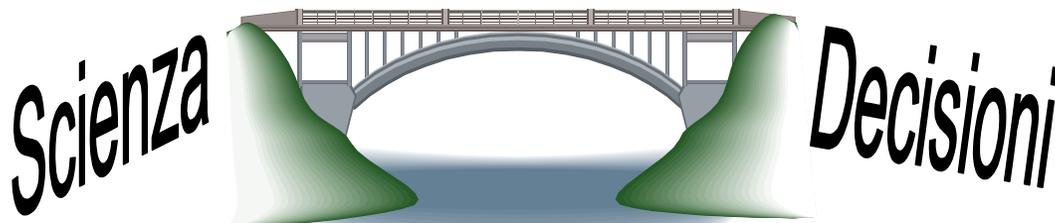
**I risultati del modello suggeriscono che il trattamento ELX/TEZ/IVA può aumentare sostanzialmente la sopravvivenza per persone con FC**

COME GARANTIRE CONTEMPORANEAMENTE  
INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ?

- ✓ Come rendere le nuove tecnologie disponibili tempestivamente ai pazienti?
- ✓ Come conciliare la sicurezza e l'efficacia delle cure con la domanda di innovazione che proviene dalla società?
- ✓ Che ruolo devono avere i cittadini e i pazienti?



L'HTA COME STRUMENTO  
EVIDENCE-BASED PER  
SUPPORTARE SCELTE DI VALORE



DEFINING VALUE IN "VALUE-BASED HEALTHCARE"

Report of the  
Expert Panel on effective ways of  
investing in Health (EXPH)



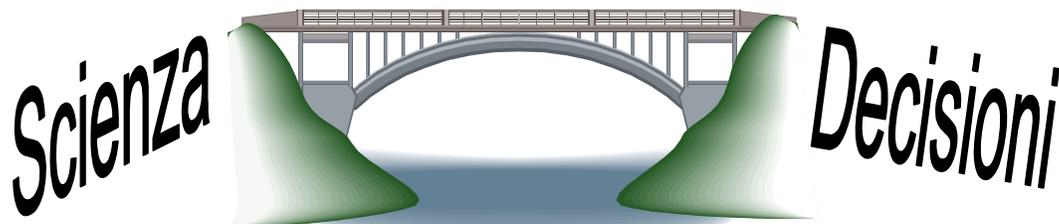
# L'HTA COME STRUMENTO EVIDENCE-BASED PER SUPPORTARE SCELTE DI VALORE

## The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration

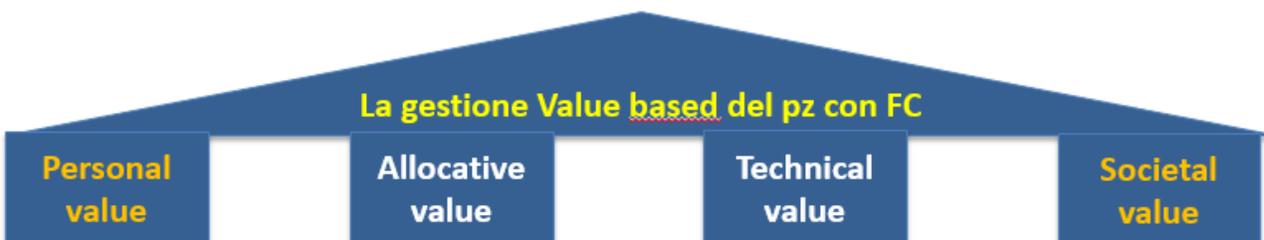


Brian O'Rourke<sup>1</sup>, Wija Oortwijn<sup>2</sup> , Tara Schuller<sup>3</sup> and the International Joint Task Group

*International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2020.*



### La gestione Value based del pz con FC



#### Box 1. The new definition of HTA

The definition of HTA is provided below, with important clarifying information provided in four accompanying notes.

*HTA is a multidisciplinary process that uses explicit methods to determine the value of a health technology at different points in its lifecycle. The purpose is to inform decision-making in order to promote an equitable, efficient, and high-quality health system.*

Note 1: A health technology is an intervention developed to prevent, diagnose or treat medical conditions; promote health; provide rehabilitation; or organize healthcare delivery. The intervention can be a test, device, medicine, vaccine, procedure, program, or system (definition from the HTA Glossary; <http://htaglossary.net/health+technology>).

Note 2: The process is formal, systematic, and transparent, and uses state-of-the-art methods to consider the best available evidence.

Note 3: The dimensions of value for a health technology may be assessed by examining the intended and unintended consequences of using a health technology compared to existing alternatives. These dimensions often include clinical effectiveness, safety, costs and economic implications, ethical, social, cultural and legal issues, organizational and environmental aspects, as well as wider implications for the patient, relatives, caregivers, and the population. The overall value may vary depending on the perspective taken, the stakeholders involved, and the decision context.

Note 4: HTA can be applied at different points in the lifecycle of a health technology, that is, pre-market, during market approval, post-market, through to the disinvestment of a health technology.



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

VIHΓALI

Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore

forum 2023

## Analisi dei **bisogni di salute** delle **persone con Fibrosi Cistica** in un'ottica di **assistenza sanitaria basata sul valore**: **costi della malattia in Italia**



**VALUTARE IL CARICO SOCIO-ECONOMICO DELLA  
FIBROSI CISTICA IN ITALIA, anche per valutare l'impatto  
dei modulatori CFTR sul carico di malattia.**

La FC e le sue diverse forme cliniche sono associate ad un elevato carico di malattia legato al costo per il loro trattamento e ai costi, diretti e indiretti, che vengono generati dalla gestione della patologia stessa. **Oggi risulta necessario migliorare il trattamento di tutte le persone affette da questa condizione patologica, ottimizzarne l'assistenza sanitaria e valutare pienamente l'impatto e il beneficio dei diversi approcci di gestione, in rapporto alla severità del quadro clinico presentato nonché del reale bisogno di salute della persona che ne è affetta.**



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

forum 2023



VIHΓALI

Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore

UNIVERSITÀ CATTOLICA del Sacro Cuore



**ALTEMS**  
ALTA SCUOLA DI ECONOMIA  
E MANAGEMENT DEI SISTEMI SANITARI



Prof.ssa Colombo  
Prof. Dallapiccola



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

VIHITALI



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore

Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation

forum 2023

## STRUTTURA DEL PROGETTO

1

**FASE I:** Analisi della letteratura scientifica disponibile sul burden socio-economico della FC (in Europa e in Italia)

2

**FASE II:** Costruzione di un questionario ad hoc funzionale alla raccolta dei dati sul burden socio-economico della FC in Italia



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

3

**FASE III:** Elaborazione di un modello economico che analizzi l'impatto economico della FC, nella prospettiva del SSN e dell'intera società.

4

**FASE IV:** Stesura report



**RICERCA EVIDENZE SCIENTIFICHE**, al fine di descrivere il burden socio-economico della FC

**FASE I.** Revisione Trial su modulatori CFTR.

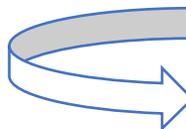


**Metodologia:** Screening su CLINICALTRIAL.GOV

**FASE II.** Ricerca evidenze scientifiche a livello internazionale, pubblicate negli ultimi 10 anni (2013-2023), su outcomes clinici correlati all'impiego dei modulatori CFTR in persone con Fibrosi Cistica.

**Metodologia:** Revisione Sistemica su PubMed

**FASE III.** Ricerca evidenze scientifiche su burden socio-economico della Fibrosi Cistica a livello europeo e, più nello specifico, in Italia, pubblicate negli ultimi 10 anni (2013-2023).



**Metodologia:** Revisione Sistemica su PubMed, Web of Science, Scopus



## COSTI IN EUROPA



**1. COSTO MEDIO ANNUO PER PAZIENTE:** €14.174,00-53.256,00

✓ **TOTALE COSTI DIRETTI SANITARI:** €9861,00-28.827,00

✓ **TOTALE COSTI DIRETTI NON SANITARI:** €4512,00-18.329,00

✓ **TOTALE COSTI INDIRETTI:** €1,094-12,443

**2. COSTO MEDIO ANNUO PER PAZIENTE ADULTO:** €15.714-€47.217,00

**3. COSTO MEDIO ANNUO PER PAZIENTE PEDIATRICO:** €15.771-60.412,00



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

VIHTALI

Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation



UNIVERSITÀ  
CATTOLICA  
del Sacro Cuore

## COSTI IN ITALIA



**Costi medi annui per pz: € 29.870,00**

**Tot. costi sanitari diretti: €15.684,00**

**Tot. costi non sanitari diretti: €13.198,00**

**Tot. costi indiretti: €2051,00**

**Costo medio annuo per PAZIENTE ADULTO:**

**€20.779,00**

**Costo medio annuo per PAZIENTE PEDIATRICO:**

**€ 38.320,00**



**TOTALE COSTI  
DIRETTI SANITARI:**

**€17.067,00**

Medicinali  
Esami strumentali  
Visite mediche  
Ospedalizzazioni  
Medical Devices  
Trasporto medico

**TOTALE COSTI DIRETTI NON SANITARI:**

**€1661,00**

Caregiver professionale/Informale  
Trasporti non sanitari  
Servizi sociali

**TOTALE COSTI INDIRETTI:**

**€2051,00**

Perdita di produttività  
Pensionamento anticipato  
Assenze per malattia



**TOTALE COSTI DIRETTI SANITARI:**

**€ 14.398,00**

Medicinali  
Esami strumentali  
Visite mediche  
Ospedalizzazioni  
Medical Devices  
Trasporto medico

**TOTALE COSTI DIRETTI NON SANITARI:**

**€ 23.922,00**

Caregiver  
professionale/Informale  
Trasporti non sanitari  
Servizi sociali

**TOTALE COSTI INDIRETTI:**

**€0**



STEP 2

- ✓ Produzione evidenze aggiornate sul *disease burden* (epidemiologico e socio-economico), tramite **attività di ricerca primaria**.



## SURVEY CON PAZIENTI e CAREGIVER



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

Elaborazione di un *Case Report Form* (CRF), da sottoporre a pz e caregiver e funzionale alla rilevazione dei costi diretti e indiretti della patologia.

Il questionario per pz e caregiver sarà in **forma online**, strutturato tramite domande chiuse, accessibile tramite link/piattaforma dedicata

**Obiettivo specifico:** fornire, sulla base dell'esperienza dei pazienti e dei loro familiari, **dati utili alla definizione del burden sociale e dei costi diretti e indiretti legati alla FC, e alle sue diverse forme, nel contesto di cura italiano.**

STEP 3

## COSTRUZIONE MODELLO ECONOMICO

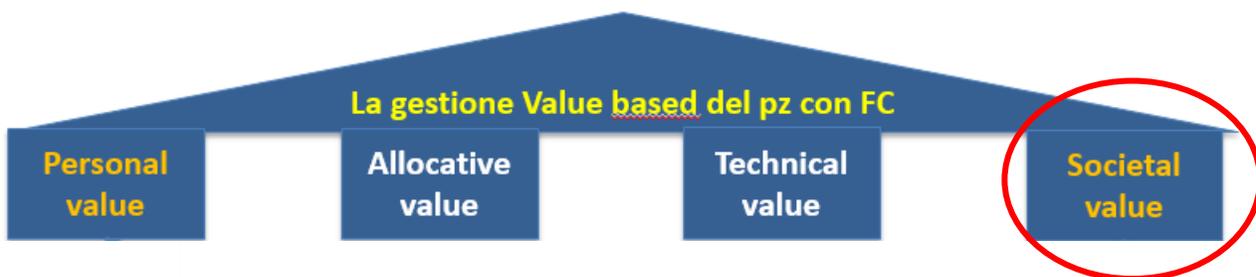
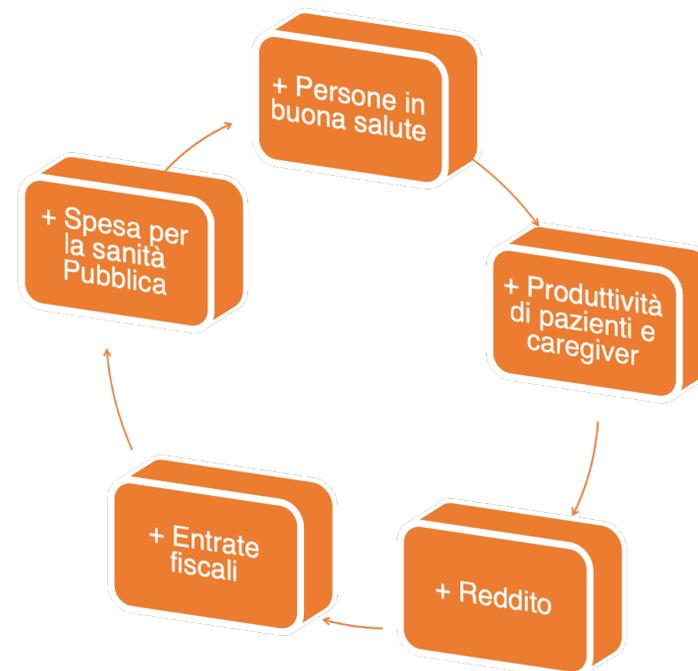




## DATA INPUT DEL MODELLO ECONOMICO

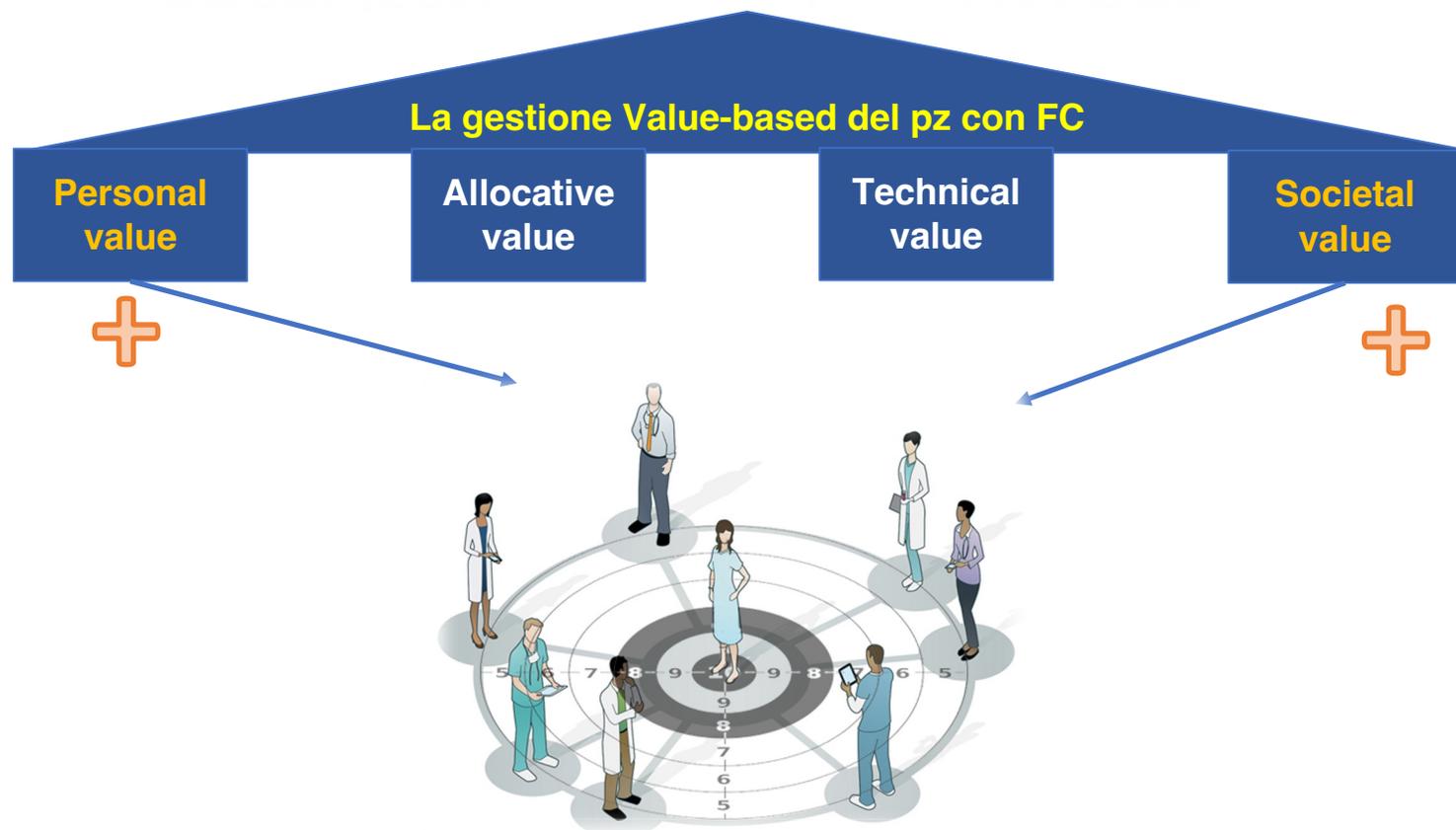


## IMPATTO FISCALE





# MIGLIORE GESTIONE DELLA MALATTIA → RIDUZIONE DEI COSTI (SSN + SOCIALI) → + VALORE



Legge 23 dicembre 1993, n. 548

## **"Disposizioni per la prevenzione e la cura della fibrosi cistica"**

(Pubblicata nella G.U. 30 dicembre 1993, n. 305)

### 1. Prevenzione della fibrosi cistica

1. Le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano predispongono, nell'ambito dei rispettivi piani sanitari, progetti-obiettivo, azioni programmate e altre iniziative diretti a fronteggiare la fibrosi cistica, da considerarsi malattia di alto interesse sociale.

2. Gli interventi regionali di cui al comma 1 sono rivolti:

- a) alla prevenzione primaria e alla diagnosi precoce e prenatale della fibrosi cistica;
- b) alla cura e alla riabilitazione dei malati di fibrosi cistica, provvedono anche alla fornitura a domicilio delle apparecchiature, degli ausili e dei presidi sanitari necessari per il trattamento complessivo;
- c) ad agevolare l'inserimento sociale, scolastico, lavorativo e sportivo dei malati di fibrosi cistica;
- d) a favorire l'educazione e l'informazione sanitaria del cittadino malato, dei suoi familiari, nonché della popolazione, con riferimento alla cura e alla prevenzione della fibrosi cistica;
- e) a provvedere alla preparazione e all'aggiornamento professionale del personale sociosanitario addetto;
- f) a promuovere programmi di ricerca atti a migliorare le conoscenze cliniche e di base della malattia per aggiornare la possibilità di prevenzione, nonché la diagnosi precoce, la cura e la riabilitazione.

forum 2023

**PRIORITY**

L'obiettivo è garantire ai pazienti **uniformità di cura con elevati standard su tutto il territorio nazionale.**



**Necessità di garantire alle persone in età adulta la migliore qualità della vita e, quindi, anche la piena realizzazione professionale e la possibilità di curarsi presso strutture adeguate.**



# ACCESSO EQUO ALLE TECNOLOGIE INNOVATIVE



DATA



KNOWLEDGE



ACTION



LIFC  
Lega Italiana  
Fibrosi Cistica

forum 2023

# GRAZIE...

