



COMUNICATO STAMPA

Contatto Kurt Bodenmüller, incaricato della comunicazione scienza e sviluppo,
kurt.bodenmueller@legacancro.ch, telefono 079 641 12 47;
Dr. rer .nat. Rolf Marti, responsabile scienza e sviluppo, rolf.marti@legacancro.ch,
telefono 078 632 97 85
Data Berna, 7 giugno 2013

Studio sull'uso «off label use» in oncologia

Accesso equo ai medicinali anticancro: dal problema alla soluzione

In Svizzera, il cosiddetto «off label use» (OLU) di medicinali antitumorali è una pratica frequente e destinata a crescere ulteriormente. Uno studio di INFRAS, eseguito su incarico della Lega svizzera contro il cancro e pubblicato oggi, fornisce le prime cifre sulla situazione in Svizzera: si stima che ogni anno vengano eseguiti fino a 20 000 trattamenti OLU, corrispondenti a circa un terzo di tutti i pazienti affetti da cancro. Un problema evidente è l'eterogeneità delle pratiche di rimborso da parte degli assicuratori malattia. Il disciplinamento attuale è insoddisfacente e ingiusto nei confronti di molti pazienti malati di cancro che non possono accedere a una terapia potenzialmente efficace che in altri casi è invece rimborsata. Lo studio delinea alcune soluzioni per limitare l'OLU, standardizzare la valutazione del beneficio e disciplinare il rimborso in modo uniforme sul territorio svizzero. L'obiettivo principale è consentire un accesso sicuro ed equo per tutti ai medicinali antitumorali.

Se in un paziente malato di cancro non sono efficaci, o smettono di esserlo, i medicinali omologati che costituiscono lo standard terapeutico, spesso il medico curante presenta una richiesta di rimborso per una cosiddetta terapia «off label», vale a dire per l'impiego di un medicamento somministrato a dosi, in modalità o per indicazioni (quadro o stadio clinico) diverse da quelle per cui è omologato. La decisione di assumersi i costi della terapia OLU, e in che misura, viene presa autonomamente da ogni cassa malati secondo la valutazione del proprio medico di fiducia. Purtroppo si riscontra con fastidio una situazione in cui talvolta i costi sono coperti dall'assicuratore e altri casi del tutto paragonabili invece no. Siamo quindi di fronte a una modalità d'accesso iniqua e insicura ai medicinali antitumorali, che il paziente subisce senza poter far nulla.

Situazione insostenibile che richiede un intervento urgente

Lo studio «Equità e sicurezza d'accesso ai medicinali antitumorali nell'uso off label» pubblicato oggi dall'azienda di ricerca e consulenza INFRAS dimostra che queste



situazioni ingiuste e logoranti per le persone coinvolte non sono assolutamente casi isolati. «Con questo studio, da un lato vogliamo fornire al pubblico e ai politici dati concreti per accrescere la sensibilizzazione alla problematica. Dall'altro intendiamo proporre soluzioni da attuare insieme agli attori coinvolti. Si tratta infatti di una situazione insostenibile per i pazienti e insoddisfacente per noi medici» afferma il Prof. Dr. med. Jakob R. Passweg, primario di ematologia presso l'Ospedale universitario di Basilea e presidente della Lega svizzera contro il cancro.

Si stimano fino a 20 000 casi all'anno di OLU

Lo studio di INFRAS si basa su un'ampia ricerca bibliografica e documentale, sull'analisi dei dati sull'OLU provenienti da diverse casse malati e su un'inchiesta qualitativa tra 23 rappresentanti del corpo medico, delle assicurazioni, delle autorità, delle industrie farmaceutiche, delle associazioni professionali e altri. Alla fine si ottiene una stima di 7000 fino a 10 000 casi all'anno di OLU in campo oncologico in Svizzera, anche se in realtà la cifra dovrebbe essere molto più alta. Secondo quanto dichiarato dagli assicuratori, infatti, circa la metà dei casi di OLU non viene registrata. Si tratta di medicinali impiegati «off label» in ambito ospedaliero o di prestazioni «off label» ma non considerate come tali o ritenute irrilevanti dalla cassa malati. Gli assicuratori interpellati affermano di rimborsare gran parte dei casi di OLU (80-99 per cento) e di respingerli solo nella misura dell'1-20 per cento. Tuttavia ad oggi mancano dati concreti raccolti sistematicamente.

Un malato di cancro su tre viene trattato «off label»

Uno studio in corso negli ospedali della Svizzera orientale mostra che in circa 1000 casi analizzati, il 34 per cento dei pazienti affetti da cancro è stato trattato almeno una volta con un medicamento «off label». In rapporto a tutti i medicinali antitumorali somministrati, la quota dei trattamenti OLU ha raggiunto il 28 per cento. Solo in meno del dieci per cento dei casi si è trattato di farmaci oncologici molto cari, il grosso era costituito da chemioterapici classici. In una fase successiva dello studio saranno calcolati i costi medi di trattamento per farmaco antitumorale impiegato, facendo un confronto tra terapie «on» e «off label».

Esempi che illustrano la situazione iniqua

Per illustrare la problematica dell'OLU con l'aiuto di esempi concreti, la Lega svizzera contro il cancro ha raccolto 30 casi anonimizzati ben documentati. Nella pratica attuale è particolarmente irritante il fatto che per casi paragonabili si applichino differenti rimborsi. Il Prof. Dr. med. Daniel Betticher, primario della clinica di medicina dell'Ospedale cantonale di Friburgo, membro del Comitato della Lega svizzera contro il cancro nonché del gruppo di lavoro OLU della Società svizzera di oncologia (SSOM) e della Società svizzera dei medici fiduciari (SGV-SSMC), commenta: «Per un paziente che soffre di un tumore metastatico aggressivo è un duro colpo ricevere dalla cassa malati la comunicazione che non si assumerà i costi di un trattamento «off label», malgrado la terapia si sia dimostrata efficace in grandi studi clinici e, in casi paragonabili, altre casse malati o persino la stessa ne abbiano rimborsato i costi. Parlando da oncologo, per me si tratta di un comportamento incomprensibile sotto il profilo medico e inaccettabile sotto il profilo etico.»



Approcci concreti mostrano la via da prendere

La maggior parte degli esperti interpellati da INFRAS riconosce che la situazione dello «off label use» in oncologia richiede un intervento urgente. Lo studio contiene pertanto un'analisi dei possibili approcci per risolvere il problema e una prima valutazione delle proposte, tenendo conto delle esperienze fatte all'estero. Gli autori raccomandano di prendere in esame i seguenti approcci e di attuarli concretamente per raggiungere gli obiettivi:

- **Riduzione dei casi di OLU:** semplificare la procedura di omologazione per un allargamento dell'indicazione e consentire anche a terzi (p. es. medici o associazioni professionali) di presentare domande di omologazione.
- **Uniformità di valutazione del beneficio:** introdurre un modello di valutazione del beneficio vincolante per tutti gli assicuratori, per garantire il trattamento equo di casi paragonabili (modello per il settore). Creare un comitato di esperti indipendente che prenda decisioni vincolanti per i casi (molto) rari che non possono essere determinati tramite il modello di valutazione del beneficio.
- **Disciplinamento del rimborso:** aumentare la partecipazione delle industrie farmaceutiche ai costi per i medicinali off label, per garantire un rimborso orientato al beneficio.

Prossimo passo: workshop con gli attori rilevanti

Per discutere queste bozze di soluzioni con le parti coinvolte e promuovere azioni concrete, oggi pomeriggio avrà luogo un workshop con rappresentanti del corpo medico e dei fornitori di prestazioni, degli assicuratori malattia, dei medici di fiducia, delle autorità, dell'industria farmaceutica e delle associazioni professionali. Il Prof. Dr. med. Thomas Cerny, primario di oncologia presso l'Ospedale cantonale di San Gallo e presidente di Oncosuisse, è convinto: «Solo se tutte le parti interessate daranno il loro contributo sarà possibile risolvere questo problema. È richiesta una certa dose di creatività e la volontà di trovare soluzioni condivise. In Svizzera ci vantiamo di possedere uno dei migliori sistemi sanitari al mondo, perciò questo è un atto doveroso verso i nostri pazienti di cancro.»

Per ulteriori informazioni: www.legacancro.ch/olu

Definizioni

Il trattamento con un medicamento è considerato OLU in senso stretto se è omologato da Swissmedic e figura nell'elenco delle specialità (ES) dell'UFSP, ma il suo impiego non rientra nell'informazione professionale approvata da Swissmedic (indicazione, posologia, gruppo di pazienti, indicazioni tecnico-farmaceutiche).

OLU in senso lato comprende, oltre all'OLU in senso stretto, anche l'uso «off limitation», i medicinali fuori-lista, l'impiego senza omologazione (unlicensed use) e l'uso compassionevole (compassionate use).



L'uso «off limitation», diversamente dall'uso «off label» in senso stretto, è conforme all'informazione professionale approvata da Swissmedic, ma non rientra nella limitazione stabilita dall'UFSP. Per contro, i medicinali fuori-lista non sono (ancora) ammessi nell'ES, mentre quelli in «unlicensed» e «compassionate use» non sono (ancora) stati omologati da Swissmedic.

La base sulla quale l'assicuratore decide se rimborsare e, se sì, in che misura un medicamento OLU è costituita [dagli articoli 71a/b dell'ordinanza sull'assicurazione malattie \(OAMal\)](#), introdotti dall'Ufficio federale della sanità pubblica (UFSP) il 1° marzo 2011. La condizione per l'assunzione dei costi è che il medicamento prometta un elevato beneficio terapeutico e non siano disponibili alternative terapeutiche, oppure che l'impiego del medicamento costituisca un presupposto indispensabile per l'esecuzione di un'altra prestazione assunta dall'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie (AOMS). Gli usi «off limitation» e «off label» sono disciplinati dall'articolo 71a OAMal, i medicinali fuori-lista e non omologati dall'articolo 71b.

*La **Lega svizzera contro il cancro** (fondata nel 1910) è un'organizzazione di utilità pubblica e non persegue scopi di lucro. Essa opera nella prevenzione del cancro, la promozione della ricerca e assiste i malati di cancro ed i loro congiunti. Nella sua funzione nazionale di organizzazione ombrello risiede a Berna, essa unisce 19 leghe cantonali e regionali. È certificata con il marchio ZEWO e si finanzia prevalentemente con donazioni.*