THINK TANK

ITHACA

The Travel Journey
to Healthcare Innovation

C(nn)-R

Proposta di Decreto Legislativo
(Early Access)

C(nn)-R

Schema di decreto legislativo (Early Access)

CAPO I – Disposizioni generali

Art. 1

(Oggetto e finalità)

1. Il presente decreto disciplina il regime speciale dei farmaci in classe C non negoziata rimborsata, denominato C(nn)-R, quale sottocategoria temporanea e condizionata della classe C non negoziata, C(nn) ordinaria, finalizzata alla disponibilità uniforme e al finanziamento provvisorio di medicinali o nuove indicazioni ad alto bisogno terapeutico nelle more della conclusione del procedimento ordinario di classificazione ai fini della rimborsabilità e di negoziazione delle condizioni economiche.

2. Il regime C(nn)-R non sostituisce la C(nn) ordinaria né gli altri strumenti di accesso precoce previsti dall'ordinamento, ma si applica ai soli medicinali o nuove indicazioni ammessi da AIFA secondo i criteri e le modalità del presente decreto.

Art. 2

(Definizioni)

1. Ai fini del presente decreto si intende per C(nn)-R il regime speciale della classe C(nn) in cui il medicinale o la nuova indicazione è temporaneamente finanziabile, entro la quota dedicata e la capienza autorizzata, nelle more della definizione del prezzo e della rimborsabilità.

2. Per corrispettivo unitario C(nn)-R si intende il corrispettivo operativo comunicato

dall'impresa ad AIFA e utilizzato, per la sola durata del regime, ai fini della gestione e del monitoraggio del medicinale. Restano distinte e riservate le eventuali condizioni economiche nette, le clausole di pagamento, i meccanismi di restituzione del differenziale e il riparto del rischio.

3. Per dati minimi del registro AIFA C(nn)-R si intendono le sole informazioni necessarie a verificare eleggibilità, avvio e prosecuzione del trattamento, consumi, durata della terapia, eventuali esiti clinici essenziali previsti dal registro e regolazione economica finale.

4. Per rete degli specialisti prescrittori si intende l'insieme degli specialisti e delle strutture abilitate alla prescrizione e al monitoraggio del medicinale in C(nn)-R secondo criteri clinico-organizzativi nazionali definiti da AIFA e attuati dalle Regioni.

Art. 3

(Ambito di applicazione)

1. Il regime speciale C(nn)-R si applica esclusivamente ai medicinali o alle nuove indicazioni destinati a patologie gravi, rare, seriamente invalidanti o a rapida evoluzione clinica, il cui trattamento non sia differibile, in assenza o insufficienza di valide alternative terapeutiche o in presenza di bisogno terapeutico non soddisfatto.

2. Con provvedimenti AIFA sono definite le modalità operative per l'applicazione del presente articolo, inclusi criteri di accesso, documentazione, flussi informativi, registri e termini procedurali.

CAPO II – Ammissione alla C(nn)-R

Art. 4

(Presupposti)

1. L'ammissione alla C(nn)-R presuppone che il medicinale o la nuova indicazione abbia ricevuto parere favorevole del Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP), salvo diversa previsione normativa specifica.

2. L'Agenzia Italiana del Farmaco, senza rivalutare il rapporto beneficio-rischio già esaminato in sede europea, verifica la sussistenza dei requisiti di ammissibilità nazionale, non differibilità, capienza, eleggibilità, rete degli specialisti prescrittori, dati minimi e sostenibilità.

3. Ai soli fini dell'accesso alla quota dedicata del Fondo Farmaci Innovativi, i medicinali o le nuove indicazioni ammessi alla C(nn)-R sono considerati innovativi nell'ambito del regime speciale. Il riconoscimento definitivo dell'innovatività e i relativi benefici ordinari restano disciplinati dalla normativa vigente e dalla successiva determina AIFA di classificazione e rimborsabilità.

Art. 5

(Istanza e pre-filing)

1. La domanda di ammissione alla C(nn)-R è presentata all'AIFA dall'impresa titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio, o dal suo rappresentante locale, mediante template semplificato definito dall'Agenzia.

2. Il pre-filing è attivabile a partire dalla validazione europea della procedura regolatoria e consente di definire preventivamente popolazione target, fabbisogni stimati, dati minimi del registro AIFA, tracciatura delle confezioni, specialisti prescrittori, regime distributivo e modello di fornitura o procurement.

3. AIFA, sentito il parere della Commissione Scientifica ed Economica, si esprime formalmente sull'istanza entro sessanta giorni dalla presentazione della domanda. Il termine può essere sospeso una sola volta, per un periodo massimo di quindici

giorni, esclusivamente in caso di richiesta motivata di integrazioni documentali essenziali.

Art. 6

(Provvedimento e durata)

1. Il provvedimento AIFA di ammissione alla C(nn)-R indica:
    a) i criteri di eleggibilità
    b) gli specialisti prescrittori
    c) il registro AIFA C(nn)-R
    d) la fonte di finanziamento
    e) la durata
    f) le modalità di gestione della continuità terapeutica in caso di mancato rimborso o mancato accordo.
2. Il regime C(nn)-R ha durata ordinaria di dodici mesi. In casi eccezionali e motivati, AIFA può autorizzare una sola estensione per un periodo massimo di ulteriori sei mesi, entro il limite complessivo di diciotto mesi.
3. La C(nn)-R cessa con la determina finale di classificazione e rimborsabilità, o con il provvedimento di mancata ammissione o mancato accordo, ferma restando la disciplina della continuità terapeutica per i pazienti già in trattamento.

Art. 6-bis

(Avvio della commercializzazione in C(nn)-R)

1. Il provvedimento di ammissione alla C(nn)-R è adottato da AIFA, sentito il parere della Commissione Scientifica ed Economica, con determina pubblicata secondo la normativa vigente.

2. Il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio, o il suo rappresentante locale, comunica ad AIFA l'avvio della commercializzazione o della disponibilità del medicinale in C(nn)-R secondo le modalità previste dal portale "Prima commercializzazione".

3. Ai fini dell'ordinazione, distribuzione, fatturazione, tracciatura e monitoraggio della spesa, il prezzo o corrispettivo C(nn)-R è comunicato e registrato nei sistemi e nelle banche dati necessarie alla gestione operativa del medicinale. Restano riservate le condizioni economiche nette, le clausole di settlement e gli ulteriori elementi non necessari alla gestione operativa.

4. Nelle more della conclusione del procedimento di prezzo e rimborso, il medicinale ammesso alla C(nn)-R può essere reso disponibile con confezionamento, etichettatura e foglio illustrativo in lingua diversa dall'italiano, purché in una lingua ufficiale dell'Unione europea e secondo condizioni definite da AIFA.

5. AIFA può prevedere modalità temporanee o semplificate relative agli adempimenti tecnico-operativi di identificazione, bollinatura o dispositivo carta valori, nei limiti consentiti dalla normativa vigente e ferma restando la piena tracciabilità delle confezioni.

6. La determina AIFA individua la data di efficacia del regime C(nn)-R, le condizioni di avvio della fornitura o dispensazione, i soggetti abilitati all'ordinazione e i flussi informativi necessari.

CAPO III – Corrispettivo, fondi e risk-sharing senza garanzia individuale

Art. 7

(*Corrispettivo operativo e condizioni economiche riservate)*

1. L'impresa comunica ad AIFA il prezzo o corrispettivo unitario C(nn)-R, determinato sotto la propria responsabilità e non soggetto a negoziazione preventiva ai fini dell'accesso temporaneo.

2. Il corrispettivo C(nn)-R ha natura temporanea, opera esclusivamente per la durata dell'ammissione alla C(nn)-R e non costituisce parametro, precedente, comparatore o ancoraggio del successivo procedimento di prezzo e rimborso.

3. Le eventuali condizioni economiche nette, le clausole di pagamento, i meccanismi di restituzione del differenziale, il riparto del rischio e ogni ulteriore elemento economico non necessario alla gestione operativa restano riservati e sono accessibili ai soli soggetti competenti nei limiti delle rispettive funzioni.

Art. 8

(Fonte di finanziamento e quota dedicata)

1. La C(nn)-R è finanziata nei limiti di una quota dedicata del Fondo per i Farmaci Innovativi di cui alla Legge 23 dicembre 1996, n. 648, da definire con specifica autorizzazione di spesa o nell'ambito della disciplina vigente del Fondo, con ordine di grandezza iniziale pari a 200 milioni di euro, da validare mediante analisi di pipeline, Horizon Scanning e fabbisogno atteso.

2. Non sono previsti tetti economici o volumi massimi per singolo medicinale. La tutela della finanza pubblica è assicurata attraverso la capienza complessiva della quota dedicata, il monitoraggio trimestrale e le regole di regolazione economica finale.

3. Il regime ha una durata ordinaria di dodici mesi ed è rinnovabile una sola volta per ulteriori sei mesi, entro il limite massimo complessivo di diciotto mesi.

Art. 9

(Monitoraggio della capienza e nuovi ingressi)

1. Il regime C(nn)-R opera nei limiti delle risorse autorizzate. AIFA monitora trimestralmente l'andamento della spesa, dei trattamenti avviati e della capienza residua della quota dedicata.

2. In caso di raggiungimento o prevedibile superamento della capienza autorizzata, AIFA sospende temporaneamente l'ammissione di nuovi medicinali o nuove

indicazioni e l'avvio di nuovi trattamenti, ferma restando la tutela dei pazienti già in trattamento secondo l'articolo 11.

Art. 10

(Regolazione economica finale)

1. Qualora, all'esito del procedimento di prezzo e rimborso, il prezzo netto finale riconosciuto a carico del Servizio Sanitario Nazionale risulti inferiore al corrispettivo unitario C(nn)-R, l'impresa restituisce la differenza riferita ai trattamenti erogati nel periodo C(nn)-R.

2. In caso di mancata rimborsabilità finale o mancato accordo sulle condizioni economiche, il costo dei trattamenti già erogati nel periodo C(nn)-R è ripartito in misura pari al cinquanta per cento a carico del Servizio sanitario nazionale e al cinquanta per cento a carico dell'impresa, secondo modalità definite da AIFA.

Art. 11

(Continuità terapeutica)

1. In caso di mancata rimborsabilità, mancato accordo sulle condizioni economiche o restringimento dell'indicazione rispetto al perimetro autorizzato in C(nn)-R, l'impresa assicura, insieme al Servizio Sanitario Nazionale secondo il riparto di cui all'articolo 10, la continuità terapeutica per i soli pazienti già in trattamento che abbiano conseguito beneficio clinico documentato nei registri C(nn)-R.

2. La continuità terapeutica è assicurata per il periodo clinicamente necessario alla rivalutazione del paziente, alla conclusione del ciclo terapeutico già avviato o alla transizione verso altra opzione disponibile, secondo il piano di continuità definito nel provvedimento C(nn)-R e comunque entro il limite massimo di diciotto mesi, fatti salvi eventuali accordi specifici tra AIFA e impresa con riferimento al singolo medicinale o alla relativa indicazione.

3. La continuità terapeutica non opera nei casi di assenza di beneficio clinico individuale, interruzione del trattamento per ragioni cliniche, eventi avversi incompatibili con la prosecuzione o utilizzo difforme dai criteri di eleggibilità e monitoraggio stabiliti da AIFA.

CAPO IV – Registri, tracciatura e dati

Art. 12

(Registro AIFA C(nn)-R)

1. Per ogni medicinale o indicazione ammessa alla C(nn)-R è attivato un registro AIFA interoperabile e convertibile, ove necessario, nel successivo registro ordinario di rimborsabilità.

2. Il registro raccoglie dati minimi di eleggibilità, trattamento, durata, eventuali esiti essenziali previsti dal registro e interruzioni. La tracciatura delle confezioni supporta monitoraggio dei volumi dispensati, consumi, spesa e regolazione economica finale.

Art. 13

(Responsabilità del dato)

1. La responsabilità dell'inserimento e dell'aggiornamento dei dati clinici nei registri AIFA è a carico dei centri prescrittori e delle strutture erogatrici, secondo i rispettivi ruoli organizzativi. L'impresa non risponde dell'incompletezza del registro non imputabile alla propria condotta.

2. AIFA assicura, ove tecnicamente disponibile, la predisposizione di alert di incompletezza o anomalia dei dati, indirizzati ai soggetti responsabili dell'alimentazione del registro e, in forma non identificativa e per i soli profili rilevanti ai fini della regolazione economica finale, all'impresa coinvolta.

Art. 14

(Dati pubblicabili)

1. Sono pubblicabili esclusivamente in forma aggregata, anonimizzata e non ricostruibile i dati raccolti nell'ambito della C(nn)-R mediante registri AIFA e flussi di tracciatura, limitatamente a informazioni di utilizzo, volumi complessivi, andamento della spesa autorizzata e, ove previsti dal registro, eventuali outcome clinici aggregati.

2. Non sono pubblicabili dati individuali dei pazienti, dati riferibili a singoli centri o strutture, condizioni economiche nette, clausole di pagamento, dati per singolo medicinale idonei a rendere ricostruibili informazioni commercialmente sensibili e ogni elemento non necessario alla rendicontazione pubblica aggregata.

CAPO V – Coordinamento con P&R

Art. 15

(Deposito dossier e procedura prioritaria)

1. In caso di ammissione alla C(nn)-R, l'impresa deposita il dossier di prezzo e rimborso entro trenta giorni dalla decisione della Commissione europea o dal provvedimento AIFA di ammissione.

2. I medicinali o le nuove indicazioni ammessi alla C(nn)-R accedono a priorità istruttoria rafforzata nel successivo procedimento di prezzo e rimborso. In presenza di dossier completo, AIFA applica la procedura accelerata prevista dalla normativa vigente per i medicinali innovativi, con termine di riferimento pari a cento giorni, fatti salvi eventuali clock stop e richieste motivate di integrazione.

Art. 16

(Non ancoraggio, uso dei dati e scorporo dai ripiani ordinari)

1. Il corrispettivo C(nn)-R, le condizioni nette e la regolazione economica finale non costituiscono parametro, precedente, comparatore o ancoraggio del successivo procedimento di prezzo e rimborso.

2. I dati C(nn)-R possono essere utilizzati per analisi di Real World Evidence, appropriatezza, fabbisogni, Managed Entry Agreement, coverage with evidence e programmazione dell'accesso, nei limiti previsti dal provvedimento AIFA e dalla normativa in materia di protezione dei dati.

3. Le confezioni dispensate in regime C(nn)-R sono tracciate separatamente nei flussi nazionali e regionali. Per il periodo di permanenza nel regime speciale, tali confezioni non concorrono ai meccanismi ordinari di ripiano/payback della spesa farmaceutica, restando assoggettate alle specifiche regole di regolazione economica finale previste dal presente decreto.

CAPO VI – Accesso regionale e procurement

Art. 17

(Fascicolo standard, centri e specialisti)

1. Entro dieci giorni dal provvedimento AIFA, l'Agenzia rende disponibile alle Regioni un fascicolo standard contenente le informazioni clinico-organizzative, amministrative ed economico-operative necessarie alla programmazione dell'accesso, all'individuazione degli specialisti prescrittori, alla stima dei fabbisogni, alla gestione dei flussi, alla tracciatura dei consumi e all'eventuale attivazione delle procedure di acquisto.

2. Il fascicolo standard non contiene condizioni economiche nette riservate, clausole di pagamento, meccanismi di restituzione del differenziale, riparto del rischio e ulteriori elementi commerciali non necessari alla gestione operativa dell'accesso.

3. Le Regioni attuano l'individuazione operativa dei centri e degli specialisti prescrittori secondo i criteri nazionali definiti da AIFA, senza riaprire o modificare localmente i criteri di eleggibilità stabiliti nel provvedimento C(nn)-R.

Art. 18

(Acquisti ponte e centralizzazione)

1. Nelle more delle procedure strutturate, possono essere attivati acquisti ponte o procedure negoziate temporanee strettamente limitate alla fase C(nn)-R.

2. Per medicinali a fornitore unico, infungibili, rari, ad alto impatto o ad alto rischio di disomogeneità territoriale possono essere disposti strumenti centralizzati o interregionali, secondo le competenze delle stazioni appaltanti e delle centrali di acquisto.

Art. 19

(Monitoraggio regionale)

1. L'Agenzia Italiana del Farmaco e l'Agenzia Nazionale per i servizi sanitari Regionali (AGENAS) monitorano tempi regionali, procurement, primo approvvigionamento e prima erogazione dei medicinali ammessi alla C(nn)-R.

2. Le Regioni non possono adottare misure restrittive volte a modificare i criteri nazionali definiti da AIFA o a ritardare l'accesso dei medicinali ammessi al regime speciale, ferma restando la competenza organizzativa regionale.

CAPO VII – Coordinamento con strumenti esistenti

Art. 20

(Coordinamento con C(nn), 648, Fondo 5% e uso compassionevole)

1. La C(nn)-R non sostituisce la C(nn) ordinaria, la legge 23 dicembre 1996, n. 648, il Fondo 5% o l'uso compassionevole. Essa si applica esclusivamente ai casi ammessi da AIFA e non determina doppio finanziamento.

2. Per nuove indicazioni di medicinali già rimborsati, AIFA disciplina l'applicazione indicazione-specifica della C(nn)-R, la tracciatura delle dispensazioni dedicate e il raccordo con la classificazione esistente.

CAPO VIII – Clausole finanziarie, monitoraggio e attuazione

Art. 21

(Clausola finanziaria e monitoraggio)

1. Il regime C(nn)-R opera nei limiti delle risorse autorizzate e della quota dedicata del Fondo per i farmaci innovativi. Per il rispetto di tali limiti è previsto un monitoraggio trimestrale da parte di AIFA, con informativa al Ministero della Salute e al Ministero dell'Economia e delle Finanze.

2. In caso di esaurimento della capienza, resta ferma la continuità terapeutica per i pazienti già in trattamento secondo l'articolo 11, mentre l'ammissione di nuovi medicinali, nuove indicazioni o nuovi trattamenti può essere sospesa fino al ripristino della capienza.

3. L'ammissione alla C(nn)-R consente l'accesso alla specifica quota dedicata del Fondo per i Farmaci Innovativi per una durata massima di trentasei mesi, decorrenti dalla pubblicazione della determina AIFA in Gazzetta Ufficiale, fermo restando il coordinamento con il successivo procedimento di classificazione e rimborsabilità e con la normativa vigente in materia di innovatività.

Art. 22

(Atti attuativi)

1. Entro novanta giorni dall'entrata in vigore del presente decreto, AIFA definisce con propri provvedimenti template C(nn)-R, dati minimi dei registri, modalità di tracciatura, flussi di monitoraggio, disciplina dei dati pubblicabili, fascicolo regionale standard, procurement, continuità terapeutica, reporting e modalità di regolazione economica finale.

2. AIFA può aggiornare periodicamente gli atti attuativi sulla base dell'esperienza applicativa, dei dati di monitoraggio e delle esigenze di coordinamento con i procedimenti di prezzo e rimborso.

Relazione tecnico-finanziaria preliminare

L'introduzione del regime speciale C(nn)-R comporta l'istituzione, nell'ambito del Fondo per i farmaci innovativi, di una quota dedicata finalizzata a sostenere l'accesso temporaneo a medicinali o nuove indicazioni caratterizzati da un elevato bisogno terapeutico, nelle more della conclusione del procedimento ordinario di classificazione, negoziazione del prezzo e definizione della rimborsabilità.

Ai fini della presente valutazione è assunta, in via prudenziale, una dotazione massima pari a 200 milioni di euro annui per ciascuno dei primi tre anni di applicazione, per un ammontare complessivo massimo di 600 milioni di euro nel triennio. Tale importo rappresenta un massimale autorizzatorio e non una previsione automatica di spesa, poiché l'effettivo utilizzo delle risorse dipenderà dal numero dei medicinali ammessi al regime, dalla popolazione eleggibile, dalla durata dei trattamenti e dai relativi fabbisogni. La quantificazione dovrà pertanto essere progressivamente verificata mediante attività di Horizon Scanning, analisi della pipeline e monitoraggio dei consumi.

La proposta non prevede tetti economici o volumi massimi riferiti al singolo medicinale, ma assicura il contenimento degli oneri attraverso il limite complessivo della quota autorizzata. AIFA provvede al monitoraggio trimestrale dell'andamento della spesa, dei trattamenti avviati e della capienza residua. In caso di esaurimento o prevedibile superamento delle risorse disponibili, potrà essere sospesa l'ammissione di nuovi medicinali, nuove indicazioni o nuovi trattamenti, ferma restando la continuità

terapeutica dei pazienti già presi in carico.

Alla spesa lorda sostenuta durante il periodo C(nn)-R possono inoltre corrispondere successivi rientri finanziari. Qualora il prezzo netto definito all'esito della negoziazione risulti inferiore al corrispettivo applicato nel regime temporaneo, l'impresa è tenuta alla restituzione del relativo differenziale. Tali entrate non risultano quantificabili ex ante, in quanto dipendono dal numero dei trattamenti erogati e dall'esito delle singole procedure negoziali.

Nel caso di mancato riconoscimento della rimborsabilità o di mancato accordo sulle condizioni economiche, il costo dei trattamenti già erogati è ripartito in misura pari al 50 per cento a carico del Servizio Sanitario Nazionale e al 50 per cento a carico dell'impresa. L'onere effettivo per la finanza pubblica è pertanto variabile e non può essere predeterminato, ma risulta comunque circoscritto ai trattamenti già avviati e soggetto alle regole di monitoraggio, eleggibilità e continuità terapeutica previste dal regime.

Non sono previsti oneri connessi all'attivazione di garanzie individuali, fideiussioni o meccanismi di escrow. Il presidio finanziario è assicurato mediante la quota dedicata, il monitoraggio periodico della capienza, la sospensione dei nuovi ingressi in caso di insufficienza delle risorse e i meccanismi di regolazione economica finale.

Alla luce di tali elementi, l'onere massimo teorico derivante dall'applicazione del regime è determinato nel limite di 200 milioni di euro annui e di 600 milioni di euro nel triennio. La misura non determina obbligazioni ulteriori rispetto alle risorse espressamente autorizzate, opera entro un limite di spesa definito e prevede strumenti di controllo idonei a prevenire il superamento della capienza disponibile. La quantificazione dovrà essere aggiornata sulla base dei dati effettivi relativi alla pipeline dei medicinali eleggibili, ai fabbisogni assistenziali e agli esiti delle procedure di prezzo e rimborso.

Voce	Anno 1	Anno 2	Anno 3	Totale triennio	Nota
Quota dedicata C(nn)-R	200 mln €	200 mln €	200 mln €	600 mln €	Ipotesi massimale di lavoro, da validare con Horizon Scanning.
Rientri da differenziale prezzo	Non stimabile ex ante	Non stimabile ex ante	Non stimabile ex ante	Variabile	Dipende dal confronto tra corrispettivo C(nn)-R e prezzo netto finale.
Quota SSN in caso di mancato rimborso	Fino al 50% dei trattamenti già erogati	Fino al 50% dei trattamenti già erogati	Fino al 50% dei trattamenti già erogati	Variabile	Rischio principale per RGS; richiede monitoraggio e chiara delimitazione dei casi.
Garanzie individuali	0	0	0	0	Scelta deliberata: no fideiussione/escrow; presidio sostitutivo via quota dedicata e monitoraggio.

ALEXION

Con il contributo non condizionante di
AstraZeneca

Con il contributo incondizionato di
abbvie

Con il contributo di
BAYER

Realizzato col contributo non condizionante di
Boehringer Ingelheim

Con il contributo non condizionato di
GSK

con il contributo non condizionante di
MSD

Roche

Con il contributo non condizionante di
SERVIER
moved by you

Con il contributo non condizionante di
VERTEX

THINK TANK
ITHACA
The Travel Journey to Healthcare Innovation

quotidianosanità

HCMNYA