



La valutazione economica delle Terapie avanzate

Le caratteristiche, le ragioni e la proposta di un nuovo approccio economico contabile

Studio del Gruppo di Lavoro indipendente (Prof. G. Alleva, Prof. A. Cicchetti e Prof. M. Mauro)

11/5/2021

Obiettivi del documento

- Presentare un **value framework** utile ad evidenziare il **valore delle terapie avanzate (ATMP)** in una prospettiva di sanità pubblica per sostenere modelli innovativi di rimborsabilità da parte del SSN
- Analizzare un **innovativo approccio** metodologico per **contabilizzare correttamente** i costi delle **ATMP** che sia **coerente con il disallineamento tra i costi ed i benefici prodotti nel tempo** da queste terapie



Le ATMP: caratteristiche cliniche ed economiche



Possono ristabilire, correggere o modificare funzioni fisiologiche o patologiche compromesse negli esseri umani, anche con la correzione di mutazioni acquisite su base genetica.



Si rivolgono spesso a **patologie rare** (farmaci orfani o ultra-orfani; $5 > 10.000$)



Spesso prevedono **una singola assunzione** (*una tantum*), e non estesa nel tempo



Hanno costi rilevanti nel breve periodo e **benefici** che però si estendono in un **lungo orizzonte temporale**

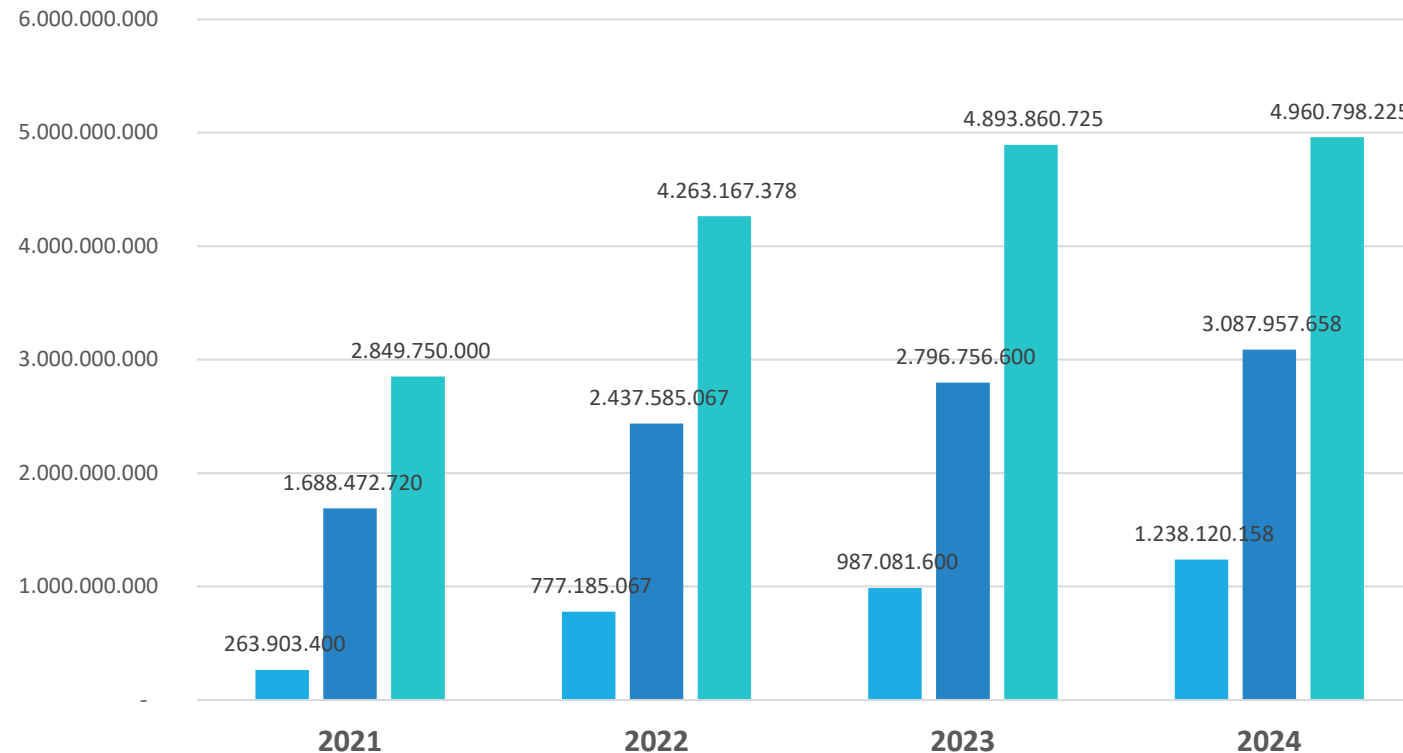


Hanno un **processo di valutazione molto complesso** e gli «schemi tradizionali di rimborso e budget» non sono in grado di ammortizzare il valore delle ATMP



Le ATMP: impatto di spesa per l'Italia

Il grafico sottostante è rappresentativo di una **stima dell'impatto sulla spesa del SSN del mercato globale delle ATMP**, calcolato su tre scenari di popolazione da trattare: **mercato** (35% della popolazione elegibile), **60%** della popolazione elegibile e **100%** della popolazione elegibile



Stima della spesa farmaceutica per il mercato delle ATMP: tre scenari

- Scenario «mercato» 35% medio
- Scenario copertura 60% popolazione
- Scenario copertura 100% popolazione



Il value framework per le ATMP



- Impatto sul budget nel lungo periodo
- Benefici Clinici nel lungo periodo
- Savings economici nella prospettiva della società (diretti ed indiretti)
- Valore dell'investimento
- Recupero degli anni di vita persi o degli anni di vita vissuti in disabilità



Caratteristiche economiche delle ATMP 1/2

Sul piano dell'analisi economica, le terapie ATMP presentano caratteristiche molto particolari:

- hanno **un'elevata asimmetria** temporale tra l'emersione dei costi – che sono quasi tutti upfront – e quella dei benefici. Questo è forse l'aspetto principale che suggerisce una valutazione economica e contabile di queste terapie differente e innovativa
- **producono benefici nel tempo** di tipo diretto e indiretto:
 - **In termini di risparmi:** risparmio di cure, di consumo di farmaci e di servizi sanitari di diverso tipo; di minore ricorso agli ospedali, costi relativi alla riduzione dell'attività lavorativa, riduzione delle risorse consumate direttamente nei centri sanitari e quello delle risorse familiari e di **assistenza diretta e indiretta**
 - **In termini di valore:** l'aumento della speranza di vita, il miglioramento delle qualità della vita umana, la cura e la stabilizzazione di diverse patologie (con un evidente impatto **sul valore della vita umana**); ma anche in termini di aumento dello stato di salute dei pazienti; di **aumento della produttività, maggiore gettito fiscale**; la possibilità, dopo la remissione della malattia, di poter continuare ad istruirsi e a partecipare alla vita collettiva; l'**allungamento temporale dei potenziali oneri pensionistici**



Caratteristiche economiche delle ATMP 2/2

Le ATMP hanno **evidenti elementi di una spesa con benefici differiti nel tempo**, e dunque **sono assimilabili di fatto ad una spesa di investimento**

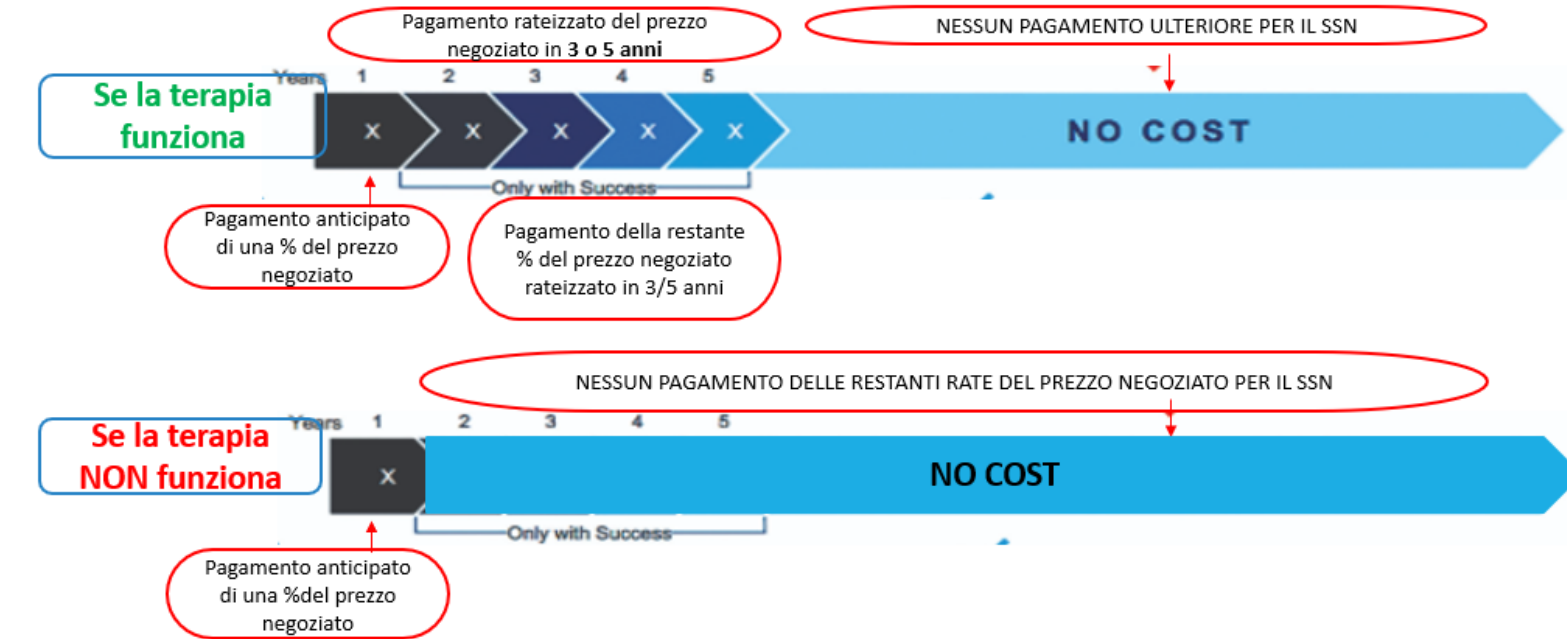


La **distribuzione temporale dei benefici** delle ATMP spinge a ragionare su un arco temporale molto più lungo

Va definito per le ATMPs un **modello di pagamento frazionato e rateizzabile basato su un regime di annuities** con un meccanismo di valutazione dei risultati (*value o outcome-based*)



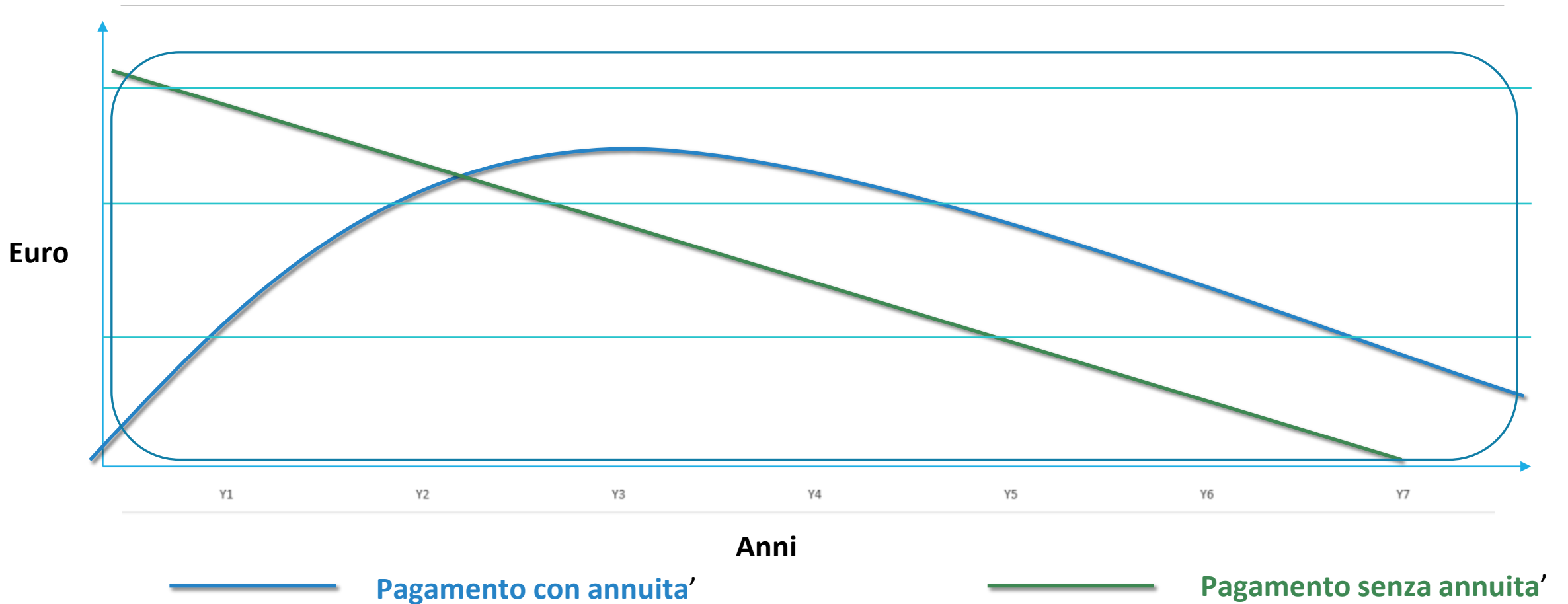
Le caratteristiche di uno schema di *annuities* basato sugli *outcomes*



- il **SSN rischia solo il pagamento della % di upfront**; le aziende produttrici rischiano la restante % del costo del farmaco nel caso in cui non dovesse risultare efficace
- al momento di adozione delle terapie vanno definiti e condivisi in sede negoziale i **criteri e le procedure di accertamento dell'efficacia** delle stesse nel corso del tempo e le opportune revisioni
- le **percentuali di rateizzazione possono essere variabili e non fisse**, per riflettere un'anticipazione dei costi nei primi anni o una posticipazione più forte negli ultimi anni



Impatto budget nel lungo periodo



Schema di *annuities outcome based* da un punto di vista contabile/economico

Con le **regole contabili attuali** una modalità di pagamento frazionato è possibile, ma l'intero costo del farmaco deve essere comunque appostato a bilancio nell'anno di somministrazione perché **la spesa farmaceutica è contabilizzata come spesa corrente**

Un modello di pagamento rateizzato **non ha alcun impatto** economico sul SSN **se le singole rate non vengono appostate a bilancio ciascuna nell'anno di competenza**, per poterlo fare la spesa deve essere contabilizzata come **spesa di investimento**



Necessario un **cambio di paradigma** nella contabilizzazione di alcune spese sanitarie



Definizione di investimento 1/2

Una parte crescente delle nuove terapie ha evidenti caratteristiche di **spesa per investimenti**

COVID-19 ha messo in evidenza che **la sanità è un investimento fondamentale** per qualsiasi paese e ne determina la sostenibilità economica e sociale

Una parte crescente e rilevante della **spesa sanitaria presenta caratteristiche evidenti di investimento** (benefici pluriennali)

In linea di principio, le spese per le ATMP possono essere assimilabili agli **investimenti fissi lordi**, ovvero alla categoria delle acquisizioni di beni mobili, macchine e attrezzature

Ma ci possono essere anche altre possibili soluzioni (contributi alla produzione, intangible, human capital, R&S, ecc.)



Norme di contabilità pubblica (RGS, 2019): le **spese di investimento** individuano tutte le spese che **incidono direttamente o indirettamente sulla formazione del capitale nazionale, fisico, umano**. Nella definizione corrente, gli investimenti pubblici sono rappresentati dal *“volume delle spese che lo Stato, le Regioni, e le altre Amministrazioni pubbliche sostengono con l’obiettivo di incrementare lo stock di capitale fisico e tecnologico a disposizione del paese”*.



Definizione di investimento 2/2

Da un punto di **vista economico** la **distinzione tra spesa corrente e spesa in conto capitale** essenzialmente si basa sull'accertamento della *“diversa durata dell’effetto prodotto dai beni e servizi”* ottenuti con le varie spese. Le **spese sarebbero correnti** se riferite all’acquisto di beni e servizi la cui *“utilità economica si esaurisce nell’esercizio contabile in cui ha avuto luogo la spesa»*; sarebbero in **conto capitale** quando invece essa *«supera l’anno e si ripercuote su più anni”*.

Nella **contabilità nazionale**, **l’investimento**, vale a dire l’acquisto di beni tangibili o intangibili (materiali e immateriali) e la costituzione di scorte è nota come **formazione di capitale lordo** (GCF, Gross Capital Formation). Quando si esclude la costituzione di scorte (o “variazioni delle rimanenze”), lasciando solo gli **acquisti di beni tangibili o intangibili**, il risultato è noto come **investimenti fissi lordi** (GFCF, Fixed Capital Formation).

Questo aggregato misura le spese totali per i ‘prodotti destinati ad essere utilizzati per produzioni future’. Sono pertanto ‘prodotti riutilizzabili più volte nei processi produttivi’. Questi tipi di prodotti sono noti collettivamente come **capitale “fisso”**.



Definizione di investimenti fissi lordi

Definizione Istat. Gli investimenti fissi lordi sono costituiti dalle acquisizioni (al netto delle cessioni) di capitale fisso effettuate dai produttori residenti, a cui si aggiungono gli incrementi di valore dei beni non prodotti (ad esempio i terreni). **Il capitale fisso consiste di beni materiali e immateriali** (per esempio software) prodotti, destinati a essere utilizzati nei processi produttivi per un periodo superiore a un anno.

Definizione SNA 2008. Fixed assets are produced assets that are used repeatedly or continuously in production processes for more than one year.

Definizione Lequiller, Blades, 2014. Gross capital stock is the value of all fixed assets still in use, at the actual or estimated current purchasers' prices for new assets of the same type, irrespective of the age of the assets. Net capital stock is the sum of the written-down values of all the fixed assets still in use; it can also be described as the difference between gross capital stock and consumption of fixed capital.



Definizione di *intangible fixed asset*

- **Definizione OCSE.** Intangible fixed assets are non-financial produced fixed assets that mainly consist of mineral exploration, computer software, entertainment, literary or artistic originals intended to be used for more than one year.
- **Definizione ONS, UK.** Intangible fixed assets include mineral exploration, computer software and entertainment, and literary and artistic originals. Expenditure on them is part of gross fixed capital formation. They exclude non-produced intangible assets such as patented entities, leases, transferable contracts and purchased goodwill, expenditure on which would be intermediate consumption.
- **Definizione IPSAS31.** Un contributo importante alla definizione dei beni intangibili è quello dell'International Public Sector Accounting Standard Board (IPSASB) dell'International Financial Reporting Standards (IFRS) Foundation.



ATMP come investimento

Pandemia Sars-CoV-2 ci « viene in aiuto»: la **salute dei cittadini** e dei paesi Ue è decisiva e cruciale per la **sostenibilità economica e sociale e la sostenibilità finanziaria**

Trade-off tra salute ed economia: in realtà non è del tutto così, senza buone condizioni di salute, ci sono elevati danni economici, senza ristabilire condizioni sanitarie accettabili, le economie non ripartiranno

Dopo Sars-CoV-2 è evidente il **valore** della vita umana e delle **buone condizioni di salute** per le **potenzialità di crescita**: i vaccini risolvono, più o meno stabilmente, epidemia; allo stesso modo, ATMP curano in modo definitivo diverse patologie

Flusso di benefici (diretti e indiretti) per molti anni (compresa effetto su produttività) e **risparmio di costi** (minori consumo farmaci e strutture, minori costi per assistenza e familiari, ecc.)

Si può negare l'elemento di investimento e di **arricchimento dello stock di capitale fisico, umano e tecnologico** di una nazione che deriva da ATMP? NO ma **allora come valutarle economicamente/contabilizzarle?**



Le ATMP come spese di investimento da un punto di vista economico 1/2

Sul piano dell'analisi economica, le terapie ATMP presentano caratteristiche molto particolari:

- hanno **un'elevata asimmetria** temporale tra l'emersione dei costi – che sono quasi tutti upfront – e quella dei benefici. Questo è forse l'aspetto principale che suggerisce una valutazione economica e contabile di queste terapie differente e innovativa
- **producono benefici nel tempo** di tipo diretto e indiretto:
 - In termini di risparmi: **risparmio di cure**, di **consumo di farmaci** e di **servizi sanitari** di diverso tipo; di minore ricorso agli ospedali, costi relativi alla riduzione dell'attività lavorativa, riduzione delle risorse consumate direttamente nei centri sanitari e quello delle risorse familiari e di **assistenza diretta e indiretta**
 - In termini di valore: l'aumento della speranza di vita, il miglioramento delle qualità della vita umana, la cura e la stabilizzazione di diverse patologie (con un evidente impatto **sul valore della vita umana**); ma anche in termini di aumento dello stato di salute dei pazienti; di **aumento della produttività**, **maggiore gettito fiscale**; la possibilità, dopo la remissione della malattia, di poter continuare ad istruirsi e a partecipare alla vita collettiva; **l'allungamento temporale dei potenziali oneri pensionistici**



Le ATMP come spese di investimento da un punto di vista economico? 2/2

- Sono **gli investimenti netti** ad esser cruciali ai fini della crescita del reddito nazionale e della sostenibilità del debito
- Gli sviluppi economici e tecnologici recenti hanno messo in evidenza che è **necessario un ripensamento del concetto di capitale, sia sul piano economico, sia sotto il profilo statistico e di contabilità nazionale**
- Nell'approccio contabile tradizionale la **nozione di capitale è usualmente riferita al capitale economico**, mentre è evidente che per il futuro dei paesi è via via più importante il **capitale umano, sociale e naturale** (legato all'ambiente e alle condizioni sanitarie)
- Per far ciò è necessaria una decisiva **innovazione sul piano statistico e contabile**: alle spese per investimenti tradizionali e canonici, vanno anche associate altri tipi di spese che le procedure e i criteri attuali **considerano sostanzialmente correnti**:
 - per restare al caso sanitario, quanta parte delle **spese oggi considerate correnti** (per medici, attrezzature sanitarie, o per le ATMP) hanno in realtà **natura di investimento**?
 - senza di esse anche la parte "fisica" degli investimenti in sanità (ad esempio, un ospedale o un centro di somministrazione delle terapie), non sarebbe di fatto utilizzabile?



Le ATMP hanno le caratteristiche delle spese per investimento ai fini contabili? 1/3

Le **domande fondamentali** sono:

1. Le ATMP sono beni tangibili o intangibili?

“An intangible asset is by definition an asset without physical substance.... They cannot be held in the hand, or tagged with an inventory system” (EPSAS, 2018). Più precisamente, “an intangible asset is an *identifiable non-monetary asset without physical substance*” (IPSAS 31). Le ATMP sono materiale genetico, ma anche ‘algoritmi’, personalizzati e la ‘trasfezione’ alle persone affette da specifiche patologie. Sono beni tangibili o intangibili?

Sicuramente sono beni prodotti grazie alla ricerca scientifica con la finalità di guarire o trasformare significativamente la storia clinica di un paziente e dunque con effetti duraturi sulla salute, il benessere delle persone, il potenziale produttivo e i costi sanitari.

2. Ma a prescindere da come le ATMP vengano qualificate come beni, per un loro riconoscimento tra gli investimenti fissi lordi, sono rispettati i due seguenti requisiti?

- **Le ATMP sono il prodotto di processi di produzione?**

Sì, sono prodotti di processi produttivi complessi, caratterizzati da una componente di ricerca rilevante. Il primo requisito per poter considerare le ATMP beni di investimento è rispettato



Le ATMP hanno le caratteristiche delle spese per investimento ai fini contabili? 2/3

- Le **ATMP sono utilizzate più volte o continuativamente** in questi stessi processi per più di un anno? E' importante verificare il rispetto anche di questo secondo requisito iniziale. Le ATMP, dopo la trasfezione nell'organismo continuano a funzionare nel corso del tempo, cioè mantengono la loro azione curativa. Le ATMP prodotte intervengono negli stessi processi produttivi successivamente?

Il processo produttivo avviene in una prima fase in laboratorio, e in una seconda fase all'interno dell'organismo, in modo continuo nel corso del tempo, e con caratteristiche personalizzate rispetto alla persona. **Il secondo requisito per poter considerare le ATMP beni di investimento potrebbe considerarsi rispettato.**

Un aspetto distintivo delle ATMP, rispetto ai tradizionali farmaci è che, dopo la 'trasfezione' nell'organismo, la successiva fase del processo produttivo è interna all'organismo ed è continuo nel corso del tempo. E' questa caratteristica che consente alle ATMP di mantenere la loro azione curativa determinando un miglioramento permanente o prolungato nel tempo nello stato di salute e dunque nella vita affettiva e lavorativa delle persone. Come un ponte migliora la mobilità tra territori e può essere usato nel corso del tempo, la ricerca scientifica accresce il patrimonio di conoscenza e consente ulteriori progressi successivi, le spese per sistemi di difesa migliorano la sicurezza dei cittadini per un periodo prolungato, le ATMP migliorano le condizioni di vita, generano importanti risparmi diretti ed indiretti per il SSN e il potenziale produttivo delle persone, se non permanentemente, sicuramente per un prolungato periodo di tempo.



Le ATMP hanno le caratteristiche delle spese per investimento ai fini contabili? 3/3

3. Nel caso in cui le **ATMP siano classificabili come beni immateriali** sono rispettati gli altri requisiti stabiliti da ISAS 31?

- a. **è identificabile**, ovvero è separabile (ovvero può essere venduto, trasferito, affittato, concesso in licenza o scambiato) o deriva da diritti legali o contrattuali
- b. **il SSN ha il controllo attuale su di esso**, ovvero ha il potere di ottenere i benefici economici futuri o il potenziale di servizio derivante dall'attività sottostante e di limitare l'accesso di altri a tali benefici o potenziale di servizio
- c. è probabile che i **benefici economici futuri** o il potenziale del servizio **affluiranno nel SSN**
- d. **il costo della terapia può essere valutato attendibilmente**



Le revisioni dei conti nazionali: tipologie ed esperienze recenti

Nello SNA 1993 il perimetro degli investimenti è stato ampliato per includere le **spese per software, esplorazione mineraria, originali artistici e oggetti di valore**

Nello SNA 2008 il perimetro degli investimenti è stato ampliato per includere le **spese per la ricerca e sviluppo (R&S) e quelle per sistemi militari di difesa** in quanto producono "*valore in termini di benefici economici futuri*" pg 216 del SEC 2010).

Nel quadro italiano, un punto cruciale è il criterio stabilito nel **Manuale sul deficit e il debito pubblico** (per la R&S e il settore degli armamenti) poiché la stessa logica adottata per il **bene pubblico della sicurezza** dovrebbe applicarsi al **bene pubblico della salute**



Attività rilevanti nel contesto EU

- **Interrogazione euro-parlamentare** (Novembre 2020) sulla possibilità di implementare modelli di pagamento rateizzati oltre l'anno finanziario per le terapie avanzate, con risposta del Commissario Gentiloni sulla necessità di aggiornare le regole contabili
- Commissione Eurostat ha attivato **gruppi di lavoro** per la valutazione dei beni intangibili e la spesa sociale
- Il nuovo **accordo quadro 2021-2024** firmato tra il Comitato **francese** P&R CEPS e l'associazione di categoria Leem ha introdotto *l'annuity payment model outcome based*, specificando che sarà necessaria una modifica dell'assetto normativo nazionale
- Anche il **Belgio** sta studiando una soluzione per contabilizzare correttamente *l'annuity payment model outcome based*



Qualificare le ATMP come spese di investimento

- È giunto il momento di **rivedere ed aggiornare profondamente le convenzioni contabili attuali**, considerando che **parte delle spese correnti** sono necessarie per **aumentare lo stock di capitale e il patrimonio economico di una nazione** – sono quindi decisive per il futuro di un paese e la sua sostenibilità economica – e che per questo esse possono essere considerate, almeno in parte, come spese di investimento
- I **criteri di contabilità sono frutto di un compromesso e sono una convenzione contabile**
- Essa può e deve **essere aggiornata** secondo l'evolvere delle condizioni tecnologiche, il grado di sviluppo economico e sociale e il comune sentire delle nazioni e dei popoli

Possibile soluzione:

Costruire una **norma ad hoc** recante una specifica **autorizzazione di spesa a carattere pluriennale** con **competenza giuridica e competenza economica allineate**, anche in termini di copertura finanziaria

