



Innovatività Terapeutica, RWE e PDTA per la valutazione dei farmaci

Politica e Governance del farmaco

12 aprile 2018, Roma

Mario Melazzini

m.melazzini@aifa.gov.it

[@mmelazzini](#)

Dichiarazione di trasparenza/interessi*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
INTERESSI DIRETTI:				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
INTERESSI INDIRETTI:				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

* **Mario Melazzini**, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy 0044 EMA/513078/2010 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso

Art. 32.

La Repubblica tutela la salute come fondamentale diritto dell'individuo e interesse della collettività, e garantisce cure gratuite agli indigenti.

Nessuno può essere obbligato a un determinato trattamento sanitario se non per disposizione di legge. La legge non può in nessun caso violare i limiti imposti dal rispetto della persona umana.

Legge n. 833 del 23 dicembre 1978 istituisce il “Servizio Sanitario Nazionale”: tutela la salute dei cittadini, garantisce, a partire dagli indigenti, l'accesso alle cure primarie anche tramite la dispensazione di **farmaci essenziali**.

AIFA: tutela della Salute attraverso i farmaci; garantire unitarietà ed omogenità del sistema farmaceutico; favorire l'equilibrio economico della spesa farmaceutica

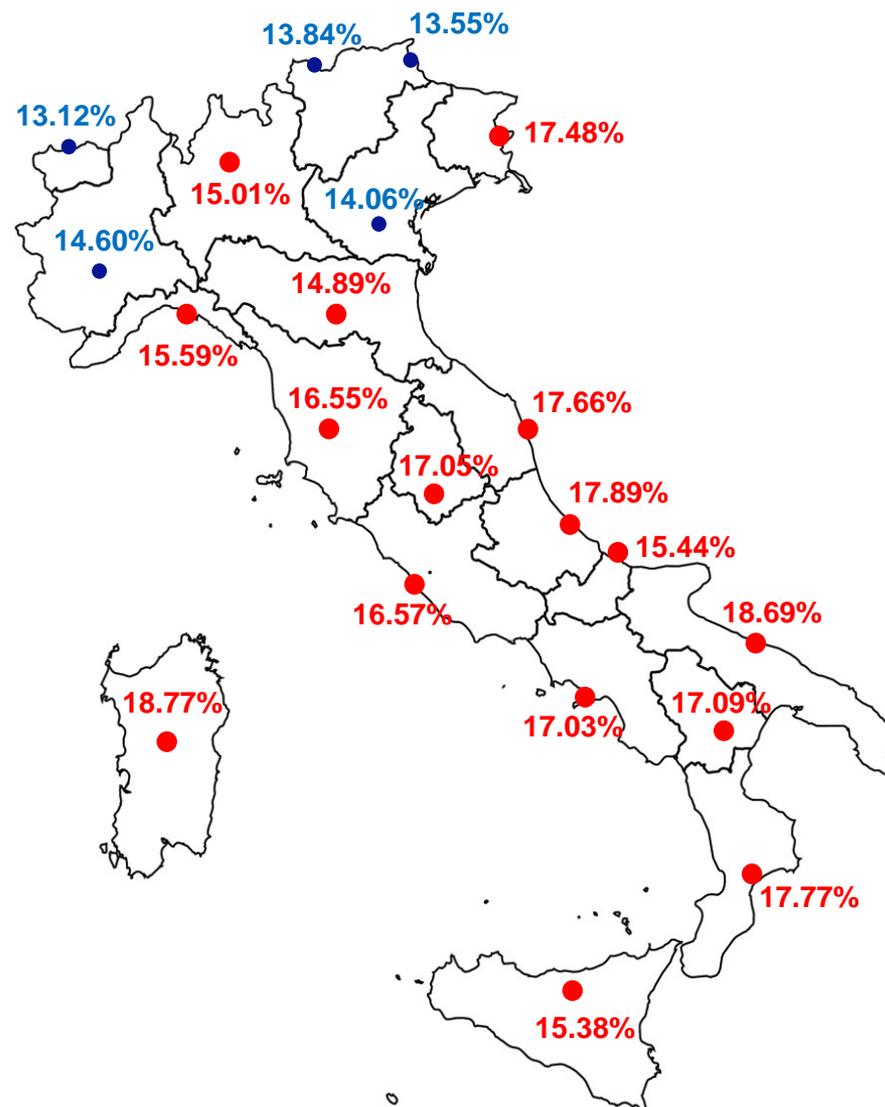
L. 24 novembre 2003, n. 326 "Conversione in legge, DL 30 settembre 2003, n. 269"

Art. 48 comma 5 c) provvedere entro il 30 settembre di ogni anno, o semestralmente nel caso di sfondamenti del tetto di spesa di cui al comma 1, a redigere l'elenco dei farmaci rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale, sulla base dei criteri di costo e di efficacia in modo da assicurare, su base annua, il rispetto dei livelli di spesa programmata nei vigenti documenti contabili di finanza pubblica, nonché, in particolare, il rispetto dei livelli di spesa definiti nell'Accordo tra Governo, regioni e province autonome di Trento e Bolzano

- **Invecchiamento della popolazione**
- **Aumento delle patologie cronico degenerative**
- **Comorbidità**
- **Disomogeneità regionale**
- **Risparmio forzoso per bilanci pubblici vincolati a tetti di spesa;**
- **Sviluppo delle conoscenze** scientifiche e tecnologiche;
- **Relazione** tra sistema sanitario, sociale e sviluppo socio economico;
- **Sostenibilità** della spesa farmaceutica;
- **Garanzia** per i pazienti di un **accesso rapido ai nuovi farmaci, garantendo** e la **sostenibilità economica e la “governance”** del sistema in un contesto caratterizzato da nuovi farmaci ad alto costo.

Spesa farmaceutica convenzionata e per acquisti diretti, gennaio- novembre 2017, (tetto di spesa complessivo 14.85%)

	ITALIA
FSN gen-nov 17	102.535.012.065
Risorse complessive 14,85%	15.226.449.292
Spesa convenzionata	7.765.205.039
Spesa per acquisti diretti	8.611.331.111
Spesa complessiva	16.376.536.150
Scostamento assoluto	1.150.086.858
Inc.%	15.97%



MA Scientific Advice

Interoperabilita' e condivisione di (open)data al fine di verificare la coerenza con le valutazioni di HTA e le linee guida

Ruolo attivo del paziente nel supportare i processi e le decisioni regolatorie e la gestione della spesa

Nuovi strumenti?
Nuove attività?
Nuove strutture?
Nuovi modelli?

Horizon scanning

Collaborazione tra Stati Membri UE nella valutazione congiunta della negoziazione dei prezzi e dell'approvvigionamento

La disponibilita' dei big data puo' consentire accordi con nuovi modelli di pagamento

Farmacogenomica come parte della pratica clinica e del processo decisionale regolatorio

Data base and analysis office



The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

Accelerated Approval and Expensive Drugs — A Challenging Combination

Walid F. Gellad, M.D., M.P.H., and Aaron S. Kesselheim, M.D., J.D., M.P.H.

Selected Drugs That Have Received Accelerated Approval since 2011 and Their Listed Cost.*

Approval Year	Drug (Brand Name)	Initial Indication	Surrogate Measure Used for Approval	Current Cost (\$/mo)
2011	Crizotinib (Xalkori)	Anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive locally advanced or metastatic non-small-cell lung cancer	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	14,353
2012	Bedaquiline (Sirturo)	In combination therapy for pulmonary multidrug-resistant tuberculosis	Time to sputum culture conversion	6,000
2013	Pomalidomide (Pomalyst)	Multiple myeloma that has progressed despite receipt of two prior therapies	Overall response rate, based on European Group for Blood and Marrow Transplant criteria	14,165
2014	Blinatumomab (Blinicyto)	Philadelphia chromosome-negative relapsed or refractory B-cell acute lymphoblastic leukemia	Complete remission or complete remission with partial hematologic recovery rate	56,262
2014	Pembrolizumab (Keytruda)	Unresectable or metastatic melanoma with disease progression	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	9,252
2014	Ceritinib (Zykadia)	ALK-positive locally advanced or metastatic non-small-cell lung cancer with disease progression or intolerance to crizotinib	Overall response rate based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	14,628
2015	Panobinostat (Farydak)	Multiple myeloma that has progressed despite receipt of two prior therapies	Progression-free survival based on European Group for Blood and Marrow Transplant criteria	10,625
2015	Palbociclib (Ibrance)	Postmenopausal women with metastatic estrogen receptor-positive, human epidermal growth factor receptor 2-negative advanced breast cancer	Progression-free survival based on Response Evaluation Criteria in Solid Tumors	11,224
2016	Eteplirsen (Exondys 51)	Duchenne's muscular dystrophy in patients with confirmed mutation amenable to exon 51 skipping	Increase in dystrophin in skeletal muscle	57,600

Research and Development Spending to Bring a Single Cancer Drug to Market and Revenues After Approval

Vinay Prasad, MD, MPH; Sham Mailankody, MBBS

Table. Oncologic Drugs and Pharmaceutical Manufacturers With a Single Oncologic Drug Approved by the FDA and Estimates of R&D Spending and the Revenues From Sales After FDA Approval

Drug (Manufacturer)	FDA Approval Date	No. of Drugs in Development	R&D Start Date	Basis of FDA Approval	Orphan Drug Exclusivity	Time to Approval, y	Total R&D Costs in Millions, \$ ^a	R&D Costs, Including 7% per Annum Cost of Capital, in Millions, \$ ^a	Time Since Approval, y	Revenue Since Approval in Millions, \$ ^a	Revenue as Part of R&D Spending, %
Ecuzumab (Alexion Pharmaceuticals ^b)	March 2007	3	January 1992	Regular (other)	Yes	15.2	817.6	1088.0	8.8	12 987.8	1588.5
Pralatrexate (Allos Therapeutics)	September 2009	3	December 2002 ^c	Accelerated (RR)	Yes	6.8	178.2	217.4	3.0	304.8 ^d	171.0
Brentuximab vedotin (Seattle Genetics)	August 2011	3	January 2001	Accelerated (RR)	Yes	10.6	899.2	1119.2	5.3	1034.3	115.0
Ruxolitinib (Incyte Corporation)	November 2011	5	January 2004	Regular (other)	Yes	7.8	1097.8	1374.3	5.1	2251.5	205.1
Enzalutamide (Medivation)	August 2012	2	August 2005 ^c	Regular (OS)	No	7.0	473.3	554.9	4.0	21 068.3 ^d	4451.4
Vincristine liposome (Talon Therapeutics)	September 2012	4	May 2006 ^c	Accelerated (RR)	Yes	6.3	157.3	203.6	0.8	204.1 ^d	129.8
Cabozantinib (Exelixis)	November 2012	11	January 2004	Regular (PFS)	Yes	8.8	1950.8	2601.7	4.1	341.9	17.5
Ponatinib (Ariad Pharmaceuticals)	December 2012	3	January 2007	Accelerated (RR)	Yes	5.9	480.1	548.4	4.1	5457.9 ^d	1136.8
Ibrutinib (Pharmacyclics)	November 2013	4	April 2006 ^c	Accelerated (RR)	Yes	7.6	328.1	388.7	1.3	22 275.0 ^d	6789.1
Irinotecan liposome (Merrimack Pharmaceuticals)	October 2015	5	December 2009 ^c	Regular (OS)	Yes	5.8	815.8	959.8	1.3	1065.2	130.6

The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

SPECIAL ARTICLE

N Engl J Med 2017;377:658-65.

Association of Reference Pricing with Drug Selection and Spending

James C. Robinson, Ph.D., M.P.H., Christopher M. Whaley, Ph.D.,
and Timothy T. Brown, Ph.D.

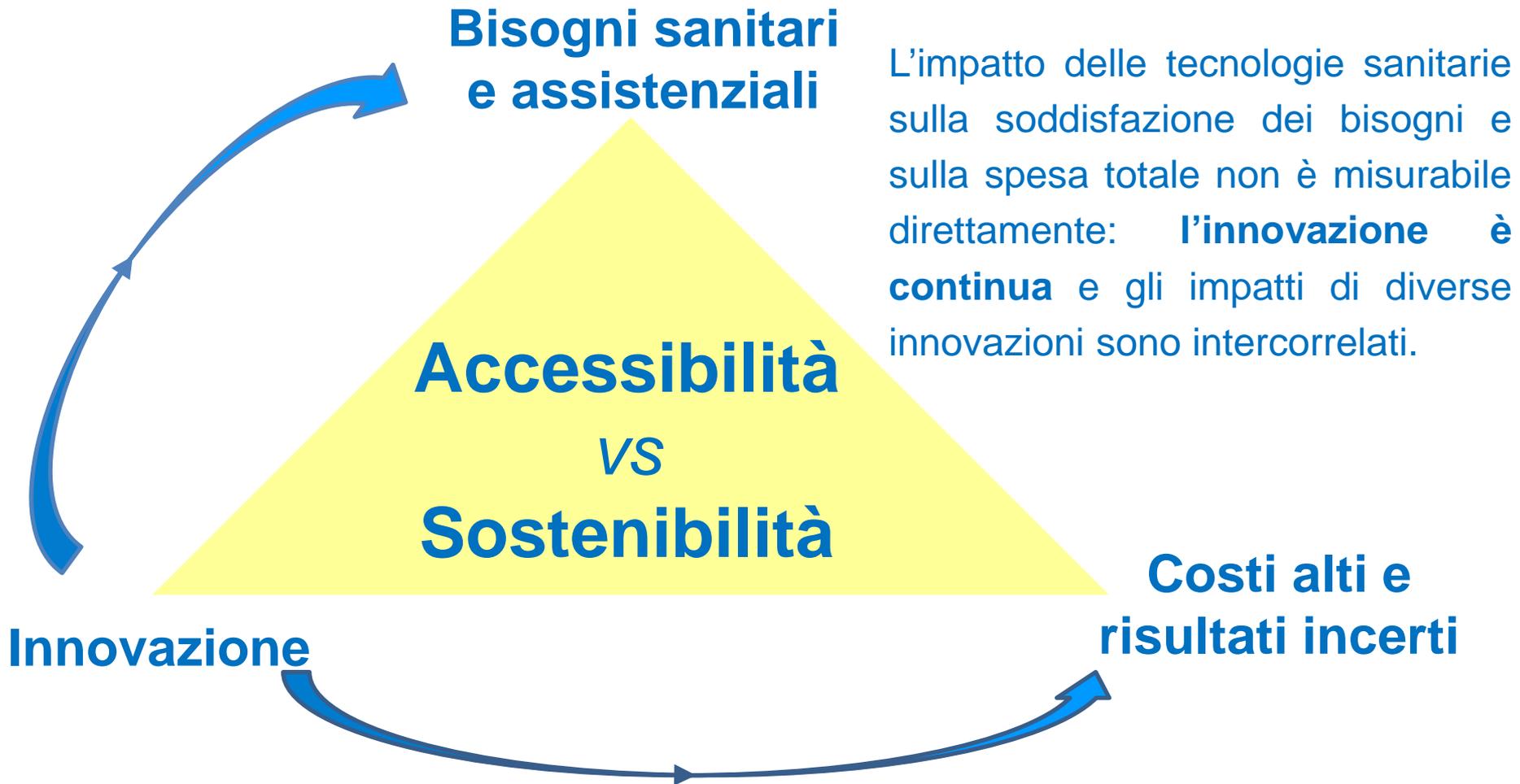
- L'implementazione dei prezzi di riferimento è associata a un cambiamento significativo nella scelta dei farmaci e nella spesa farmaceutica di pazienti con assicurazione medica
- I prezzi di riferimento potrebbero orientare:
 - ✓ la scelta dei pazienti sui farmaci
 - ✓ il prezzo dei farmaci a carico dei *payers* (assicurazioni e datori di lavoro)



The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE
**First FDA Approval Agnostic of Cancer Site
— When a Biomarker Defines the Indication**

Steven Lemerv. M.D., M.H.S., Patricia Keegan. M.D., and Richard Pazdur. M.D.

Perspective
OCTOBER 12, 2017

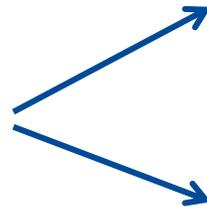


Public spending on health and long-term care: a new set of projections. OECD ECONOMIC POLICY PAPERS, NO.6 © OECD 2013

New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability © OECD 2017

http://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php/Healthcare_expenditure_statistics

Fondi innovativi
(Legge 27/2017 n. 205)



Farmaci Innovativi
500 mil €/anno

Farmaci innovativi oncologici
500 mil €/anno

Criteria per la valutazione dell'innovatività **Determina n. 1535/2017**

Tre domini di valutazione basati su *un approccio multidimensionale* :

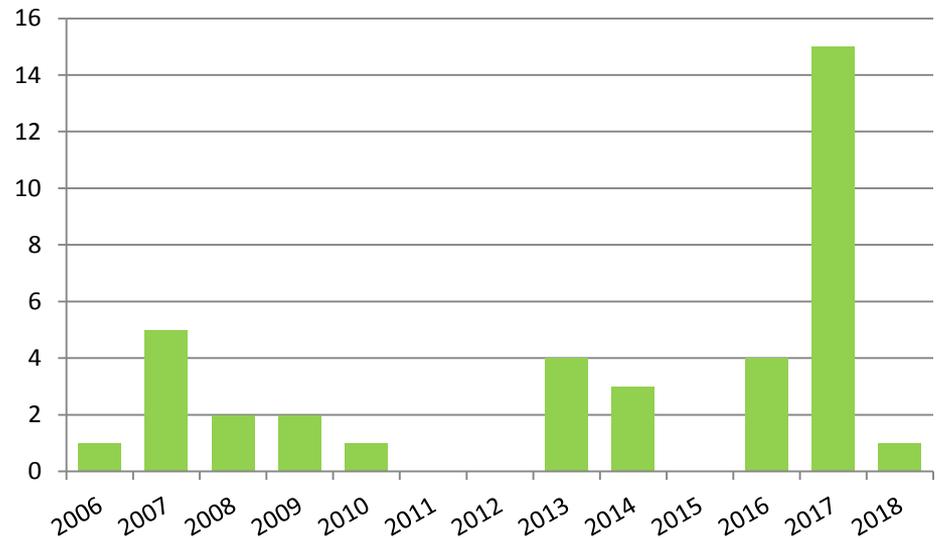
1. **bisogno terapeutico**
2. **valore terapeutico aggiunto**
3. **qualità delle prove/robustezza degli studi** (valutati con il metodo GRADE) (Grading of Recommendations Assessment, Development and Evaluation; <http://www.jclinepi.com/content/jce-GRADE-Series>)
 - Innovatività terapeutica
 - Innovatività terapeutica potenziale o condizionata

Spesa farmaceutica, gennaio-novembre 2017, tramite i fondi per i farmaci innovativi oncologici e non oncologici

	A	B	C	D	E=B-C-D	F	G	H	I=E-H	J	K
Regione	Spesa tracciabilità totale [^]	Spesa tracciabilità (SOLO A e H - Colonne B e C Tab.12)	Spesa tracciabilità Innovativi Non Oncologici [^]	Spesa tracciabilità Innovativi Oncologici	Spesa tracciabilità A e H farmaci non Innovativi	Payback totale**	Payback Farmaci innovativi	Payback Farmaci non Innovativi	Acquisti diretti farmaci Non Innovativi	Scostamento spesa Innovativi non Oncologici dal fondo	Scostamento spesa Innovativi Oncologici dal fondo innovativi (Cfr. Colonna F Tab.9bis)
PIEMONTE	753.338.093	711.148.420	73.485.276	24.647.640	613.015.505	85.293.328	60.250.673	25.042.655	587.972.850	-33.748.234	-22.335.197
V .D'AOSTA	16.647.714	15.519.651	954.481	500.010	14.065.159	1.511.221	944.394	566.827	13.498.333	10.087	500.010
LOMBARDIA	1.554.904.203	1.481.846.431	203.287.451	51.935.105	1.226.623.874	176.060.501	130.731.880	45.328.621	1.181.295.253	5.318.557	-15.301.910
P.A. BOLZANO	80.092.833	75.186.914	4.398.891	3.657.473	67.130.550	5.128.601	2.473.033	2.655.568	64.474.981	1.925.859	3.657.473
P.A. TRENTO	70.581.174	66.101.648	4.026.240	2.539.569	59.535.839	5.391.603	3.133.820	2.257.783	57.278.056	892.419	2.539.569
VENETO	790.960.432	746.679.317	65.557.250	24.867.686	656.254.381	71.083.768	47.054.099	24.029.668	632.224.712	-21.615.953	-15.251.419
FRIULI V.G.	232.773.313	221.271.078	13.533.273	10.502.793	197.235.011	15.333.535	7.533.569	7.799.966	189.435.045	5.999.704	10.502.793
LIGURIA	309.571.576	294.188.883	26.776.530	12.494.481	254.917.873	29.740.776	20.243.813	9.496.963	245.420.910	-4.568.832	1.392.932
E. ROMAGNA	859.217.185	810.634.132	68.533.002	34.390.832	707.710.298	84.803.435	61.483.622	23.319.813	684.390.485	-30.452.730	-3.111.278
TOSCANA	773.998.239	738.524.514	50.761.009	31.471.118	656.292.387	79.720.952	56.562.032	23.158.920	633.133.467	-27.673.592	9.598.549
UMBRIA	180.920.077	171.383.201	12.692.224	6.319.570	152.371.407	11.803.725	6.831.657	4.972.068	147.399.339	-3.401.607	-2.942.604
MARCHE	311.961.311	289.173.057	17.094.236	11.618.762	260.460.059	22.014.189	13.676.966	8.337.224	252.122.835	-6.093.375	2.108.116
LAZIO	1.018.180.354	976.606.147	76.315.457	38.278.334	862.012.356	99.604.328	65.404.112	34.200.217	827.812.139	-44.645.907	-17.278.918
ABRUZZO	240.375.164	229.921.306	13.732.834	8.402.641	207.785.832	19.872.093	9.709.738	10.162.355	197.623.476	-4.507.577	-128.032
MOLISE	54.709.348	52.767.615	3.383.864	1.606.569	47.777.182	4.967.263	3.435.929	1.531.334	46.245.848	-3.674.387	-2.015.754
CAMPANIA	1.113.155.621	1.065.213.707	142.829.175	38.525.439	883.859.093	159.256.887	128.054.542	31.202.346	852.656.748	-61.629.305	-37.878.499
PUGLIA	832.516.422	799.533.400	74.005.963	26.733.649	698.793.788	93.538.978	66.824.398	26.714.581	672.079.207	-19.267.276	284.808
BASILICATA	116.004.090	108.528.377	9.906.766	3.440.889	95.180.723	8.340.967	5.455.320	2.885.647	92.295.076	145.727	-864.829
CALABRIA	372.530.943	356.526.362	33.454.065	8.299.961	314.772.336	39.041.921	27.485.710	11.556.210	303.216.126	-11.577.377	-9.245.771
SICILIA	810.124.061	775.229.404	74.623.864	22.019.335	678.586.205	82.585.410	58.757.627	23.827.783	654.758.422	-6.464.617	-311.518
SARDEGNA	380.637.571	329.647.255	30.359.876	10.335.733	288.951.646	42.353.113	29.399.269	12.953.844	275.997.802	960.606	10.335.733
ITALIA	10.873.199.725	10.315.630.819	999.711.727	372.587.589	8.943.331.504	1.137.446.597	805.446.204	332.000.393	8.611.331.111	-264.067.810	-85.745.745

- La perdita della copertura brevettuale permette l'entrata sulla scena terapeutica dei farmaci "biosimilari"
- Opzione terapeutica e accesso ai farmaci ad un numero maggiore di pazienti
- Concorrenza del mercato
- Riduzione dei costi sanitari

Biosimilari approvati in Europa 2006 - 2018



- 38 Biosimilari autorizzati
- 15 sostanze

- ✧ Fornire agli operatori sanitari e ai cittadini informazioni chiare, trasparenti e convalidate sui medicinali biosimilari,
 - Informare e sensibilizzare
 - Definizione e principali criteri di caratterizzazione dei medicinali biologici e biosimilari;
 - Inquadramento delle normative regolatorie vigenti in EU in merito al processo autorizzativo e di controllo post-marketing dei medicinali biosimilari;
 - Ruolo dei biosimilari nella sostenibilità economica del servizio sanitario nazionale.

In Italia la posizione dell'AIFA chiarisce che i medicinali biologici e biosimilari non possono essere considerati *sic et simpliciter* alla stregua dei prodotti generici, o equivalenti.

Pur considerando che la scelta di trattamento rimane una decisione clinica affidata al medico prescrittore, a quest'ultimo è anche affidato il compito di contribuire a un utilizzo appropriato delle risorse ai fini della sostenibilità del sistema sanitario e la corretta informazione del paziente sull'uso dei biosimilari.

Come dimostrato dal processo regolatorio di autorizzazione, il rapporto rischio-beneficio dei biosimilari è il medesimo di quello degli originatori di riferimento. Per tale motivo, l'AIFA considera i biosimilari come prodotti intercambiabili con i corrispondenti originatori di riferimento. Tale considerazione vale tanto per i pazienti *naïve* quanto per i pazienti già in cura.

Inoltre, in considerazione del fatto che il processo di valutazione della biosimilarità è condotto, dall'EMA e dalle Autorità regolatorie nazionali, al massimo livello di conoscenze scientifiche e sulla base di tutte le evidenze disponibili, non sono necessarie ulteriori valutazioni comparative effettuate a livello regionale o locale.

Previsione di risparmio

(in milioni di €)

PRODOTTO	Flusso Tracciabilità 12 mesi	Fatturato			Previsione risparmio 0,1			Previsione risparmio 0,25			DM Scaglionati	Previsione risparmio		
		3 anni	5 anni	10 anni	3 anni	5 anni	10 anni	3 anni	5 anni	10 anni		3 anni	5 anni	10 anni
		adalimumab Humira®	€ 285,0	€ 855	€ 1.425	€ 2.850	€ 85	€ 142	€ 285	€ 214		€ 356	€ 712	0,5
bevacizumab Avastin®	€ 223,0	€ 669	€ 1.115	€ 2.230	€ 67	€ 111	€ 223	€ 167	€ 279	€ 557	0,5	€ 334	€ 557	€ 1.115
trastuzumab Herceptin®	€ 280,1	€ 840	€ 1.400	€ 2.801	€ 84	€ 140	€ 280	€ 210	€ 350	€ 700	0,5	€ 420	€ 700	€ 1.400
pegfilgrastim Neulasta®	€ 27,7	€ 83	€ 138	€ 277	€ 8	€ 14	€ 28	€ 21	€ 35	€ 69	0,32	€ 27	€ 44	€ 89
TOTALE	€ 816	€ 2.447	€ 4.078	€ 8.157	€ 245	€ 408	€ 816	€ 612	€ 1.020	€ 2.039		€ 1.209	€ 2.014	€ 4.029

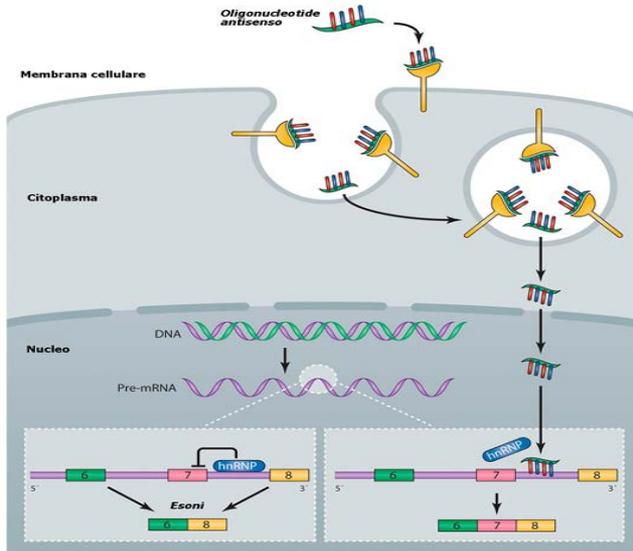
Terapie anti HCV

- **128.881** «avviati» sono i trattamenti (solo pazienti eleggibili) con almeno una scheda di Dispensazione farmaco (9 aprile 2018)
- Considerando un orizzonte temporale di 10 e 15 anni, sono stati calcolati i risparmi (costo differenziale) sui costi (diretti e indiretti) evitati grazie al trattamento antivirale
- L'analisi è stata effettuata su tre ipotesi di costi del trattamento: 6.500€, 15.000€, 20.000€

	Costi totali evitati (milioni di €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 15.000 €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 20.000 €)		Costo trattamento totale in milioni (ipotesi 6.500 €)	
	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni	15 anni	10 anni
Totale	€ 2.901,2	€ 1.867,7	€ 962,4		€ 1.283,1		€ 417,0	
Costo differenziale	N/A	N/A	€ -1.938,8	€ -905,3	€ -1.618,0	€ -584,5	€ -2.484,2	€ -1.450,6

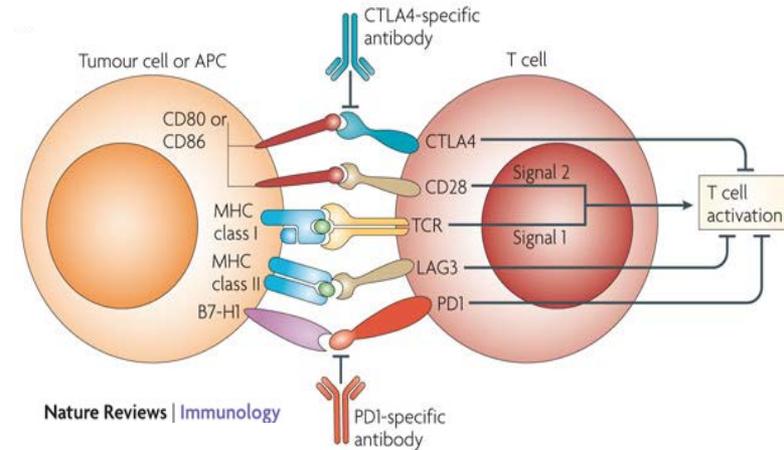
Sostenibilità della spesa delle nuove terapie

Atrofia Spinale Muscolare

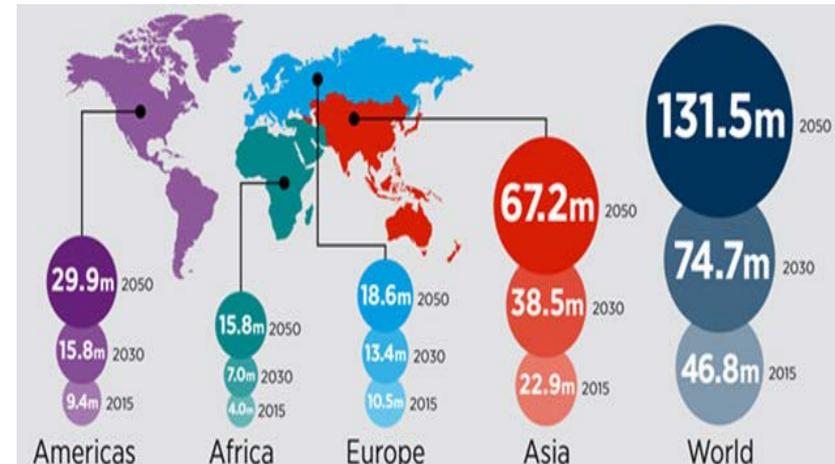
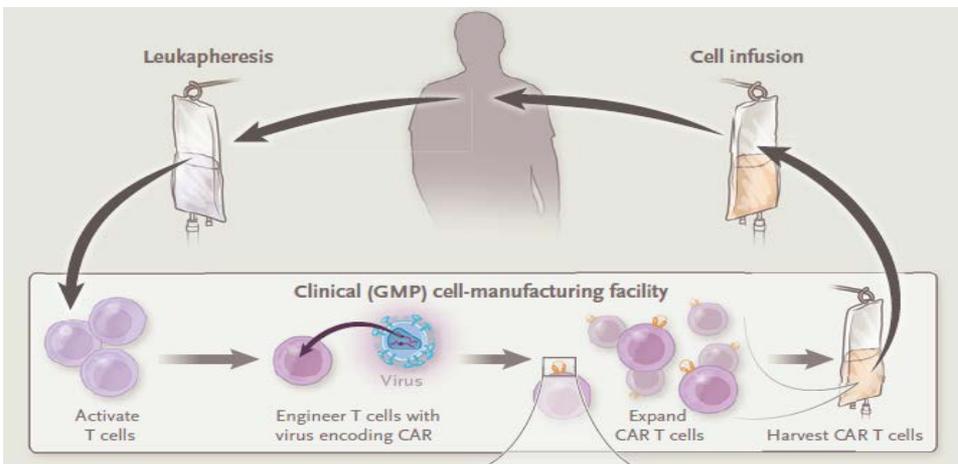


Terapie avanzate

Immunoterapie



Alzheimer



REVIEW

Open Access



Precision medicine: from pharmacogenomics to pharmacoproteomics

Allison B. Chambliss^{1,2*} and Daniel W. Chan¹

Published in final edited form as:

Metabolomics. 2016 July ; 12(7): . doi:10.1007/s11306-016-1066-x.

Pharmacometabolomics informs Pharmacogenomics

Drew Neavin¹, Rima Kaddurah-Daouk², and Richard Weinshilboum¹

¹Department of Molecular Pharmacology and Experimental Therapeutics, 200 First Street SW, Mayo Clinic, Rochester, MN 55905

²Department of Psychiatry and Behavioral Medicine, Duke Institute for Brain Sciences, 3552, Blue Zone, Duke South, Durham, NC 27710

EXPERT OPINION ON DRUG DISCOVERY, 2018
<https://doi.org/10.1080/17460441.2018.1394839>



Taylor & Francis
Taylor & Francis Group

EDITORIAL



Advances in omics for informed pharmaceutical research and development in the era of systems medicine

Jane P. F. Bai^a, Ioannis N. Melas^b, Junguk Hur^c and Ellen Guo^d

^aOffice of Clinical Pharmacology, Center for Drug Evaluation and Research, U.S. Food and Drug Administration, Silver Spring, Maryland, USA;

^bTranslational Bioinformatics, UCB Celltech, Slough, UK; ^cDepartment of Biomedical Sciences, University of North Dakota, School of Medicine & Health Sciences, Grand Forks, North Dakota, USA; ^dCollege of Pharmacy, University of Illinois at Chicago, Chicago, Illinois, USA

ARTICLE HISTORY Received 1 September 2017; Accepted 17 October 2017

KEYWORDS Omics; drug discovery and development; genetic disorders; systems medicine; disease-on-chip; cancers

Il ruolo dei pazienti nei processi decisionali delle Agenzie Regolatorie

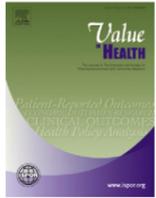
- ✓ Approcci quantitativi, sistematici e centrati sul paziente potranno supportare i processi e le decisioni regolatorie, e di conseguenza sulla gestione della spesa.
- ✓ Regolamento 536/2014
- ✓ Legge n. 3/2018



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Regulatory Decision Making in Canada—Exploring New Frontiers in Patient Involvement



Agnes V. Klein, MD, DPH¹, Stephanie Hardy, MPH¹, Robyn Lim, PhD¹, Deborah A. Marshall^{2,}*

¹Health Products and Food Branch, Health Canada, Ottawa, Ontario, Canada; ²Department of Community Health Sciences, Cumming School of Medicine, University of Calgary, O'Brien Institute for Public Health, Calgary, Alberta, Canada



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Patient Preferences in Regulatory Benefit-Risk Assessments: A US Perspective



F. Reed Johnson, PhD^{1,}, Mo Zhou, MA²*

¹Duke Clinical Research Institute, Duke University, Durham, NC, USA; ²Bloomberg School of Public Health, Johns Hopkins University,



Available online at www.sciencedirect.com

ScienceDirect

journal homepage: www.elsevier.com/locate/jval



Patient-Focused Benefit-Risk Analysis to Inform Regulatory Decisions: The European Union Perspective



Axel C. Mühlbacher, PhD^{1,}, Christin Juhnke, MA¹, Andrea R. Beyer, MPH², Sarah Garner, PhD³*

¹Health Economics and Health Care Management, Hochschule Neubrandenburg, Neubrandenburg, Germany; ²Department of Epidemiology, University of Groningen, The Netherlands; ³Science Policy and Research, National Institute for Health and Care Excellence, London, UK

Superare la logica dei silos



Il futuro: consapevolezza concreta del presente

L'utile ed il funzionale per garantire risposte concrete ai bisogni dei pazienti che devono ricevere la terapia più appropriata, sulla base delle linee guida condivise dalla Comunità Scientifica internazionale, anche in termini di miglior rapporto costo-beneficio

"Intelligence is the ability to adapt to change"

"Ricordatevi di guardare le stelle e non i vostri piedi...Per quanto difficile possa essere la vita, c'è sempre qualcosa che è possibile fare, e in cui si può riuscire."

Stephen Hawking

