

CONSUMO DI RISORSE NEI PAZIENTI AFFETTI DA EMOFILIA A SENZA INIBITORI IN PROFILASSI CON FVIII SUCCESSIVAMENTE AVVIATI AL TRATTAMENTO CON EMICIZUMAB



CLICON S.R.L. SOCIETÀ BENEFIT, HEALTH, ECONOMICS & OUTCOMES RESEARCH

II CONVEGNO NAZIONALE GIRF, ISPOR ITALY – MILANO, 3-4 LUGLIO 2023

BACKGROUND E OBIETTIVI

BACKGROUND

Fino a pochi anni fa, il trattamento standard dell'emofilia A prevedeva la terapia sostitutiva con concentrati purificati del fattore VIII di coagulazione (FVIII),¹ caratterizzati da una estrema variabilità di consumo in virtù del dosaggio pro-Kg, dell'ampio range di posologia e della personalizzazione della terapia.²

Dal 2018, si è resa disponibile in Italia una nuova opzione farmacologica, emicizumab, il primo anticorpo monoclonale umanizzato bispecifico a somministrazione sottocutanea, con indicazione nei pazienti con emofilia A con inibitore del FVIII.

Dal 2020, l'indicazione è stata estesa anche ai pazienti con emofilia A grave senza inibitore del FVIII.

OBIETTIVI

L'obiettivo di questa analisi è stato valutare il consumo di FVIII (*short and long-acting*) nei pazienti con emofilia A senza inibitori del FVIII in regime di profilassi prima di iniziare il trattamento con emicizumab e di valutarne i costi diretti a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

METODOLOGIA

DISEGNO DELLO STUDIO E PAZIENTI

L'analisi si è basata sui flussi amministrativi di un campione di ASL italiane (popolazione complessiva circa 9 milioni). Sono stati inclusi i pazienti di sesso maschile con emofilia A che nel periodo da gennaio 2018 a settembre 2022 hanno iniziato il trattamento con emicizumab.

La data indice corrispondeva alla prima prescrizione di emicizumab durante il periodo di inclusione. I pazienti sono stati analizzati nell'anno precedente alla data indice, in termini di caratteristiche, di consumo di FVIII ricombinante, e di consumo di risorse e relativi costi diretti a carico del SSN.



Popolazione di assistiti

Pazienti di sesso maschile con almeno una prescrizione di emicizumab (codice ATC B02BX06)

CRITERIO DI INCLUSIONE

CONSUMO DI FVIII

La modalità di somministrazione è stata valutata applicando l'algoritmo sviluppato da Vekeman et al., che ha consentito di distinguere il regime terapeutico profilattico da quello on-demand sulla base delle unità totali di FVIII dispensate in un anno per fascia d'età.³

Il consumo di FVIII short o long-acting è stato valutato nei soli pazienti in profilassi e senza inibitore (identificati mediante l'assenza di prescrizioni per agenti bypassanti o di dosaggi di FVIII tali da far supporre un'immunotolleranza).

Poiché il peso del paziente non è disponibile all'interno dei database amministrativi, è stato stimato per sesso e fascia d'età.⁴

ANALISI DI CONSUMI DI RISORSE SANITARIE E COSTI DIRETTI PER IL SSN

Il consumo di risorse sanitarie e relativi costi medi annui per paziente è stato valutato in termini di: trattamenti farmacologici (considerando separatamente i farmaci per l'emofilia A e altri farmaci), ricoveri ospedalieri (ordinari e day-hospital); prestazioni specialistiche ambulatoriali (esami di laboratorio, visite specialistiche, procedure diagnostiche).



REFERENZE

- Weyand AC, Pipe SW. New therapies for hemophilia. *Blood*. 2019;133(5):389-98.
- Cortesi PA, et al. Variability of treatment modalities and intensity in patients with severe haemophilia A on prophylaxis: Results from the Italian national registry. *Eur J Haematol*. 2021;107(4):408-15.
- Vekeman F, et al. Development and Validation of a Classification Algorithm for Prophylactic Versus on-Demand Factor VIII Therapy in Patients With Hemophilia A. *Value in Health* 15, fasc. 4 (2012): A110.
- who.int/childgrowth/standards/technical_report/en (età da 0 a 1 anno); Cacciari E et al. Italian cross-sectional growth charts for height, weight and BMI (2 to 20 yr). *J Endocrinol Invest* 29, 581-593 (2006) (età da 2 a 12 anni); dati precedentemente estratti dall'Health Search Database della Società Italiana di Medicina Generale (età da 13 in poi).
- Lazzaro C. Alcuni commenti sull'articolo "Terapia dell'emofilia A: spesa e consumo per l'anno 2022 e scenari di spesa futura". *Recenti Prog Med* 2023; 114: 1-2.

RISULTATI

DATI CLINICI E DEMOGRAFICI

Sono stati identificati 72 pazienti in trattamento con emicizumab; di questi, sono stati analizzati 32 pazienti senza inibitore del FVIII in profilassi precedentemente trattati con FVIII short-acting (N=21) o long-acting (N=11) (Tabella 1). Il peso medio stimato dei pazienti in profilassi senza inibitori del FVIII è risultato pari a 58.7 ± 21.2 Kg.

Tabella 1	Pazienti in profilassi (N=32)	Long acting FVIII (N=11)	Short acting FVIII (N=21)
Età (anni) alla data indice, media ± SD	28.2 ± 21.2	26.6 ± 24.1	29.0 ± 20.1
Fasce di età, n (%)			
0-12 anni	12 (37.5%)	5 (45.5%)	7 (33.3%)
13-17 anni, n (%)	0	0	0
18-34 anni, n (%)	9 (28.1%)	NR	6 (28.6%)
35-64 anni, n (%)	9 (28.1%)	NR	8 (38.1%)
≥ 65 anni, n (%)	NR	NR	0
Charlson index, media ± SD	0.2 ± 0.5	0.4 ± 0.7	0.1 ± 0.4
Charlson index = 0, n (%)	26 (81.3%)	8 (72.7%)	18 (85.7%)
Charlson index = 1-2, n (%)	6 (18.8%)	NR	NR

Note: NR, non riportato per data privacy (<4 pazienti coinvolti).

ANALISI DEI CONSUMI DI FATTORE VIII

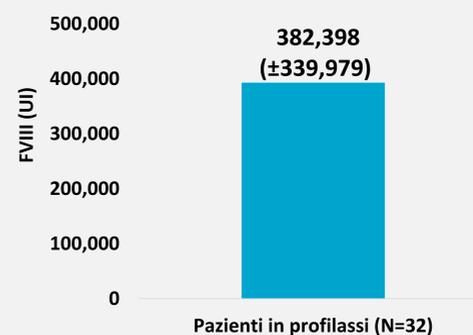


Figura 1. Consumi medi annuali per paziente di FVIII in UI (unità internazionali)

I consumi medi annuali di FVIII prima dell'inizio del trattamento con emicizumab, espressi in unità internazionali (UI), erano pari a 382,398 (± 339,979) nei 32 pazienti in profilassi (Figura 1).

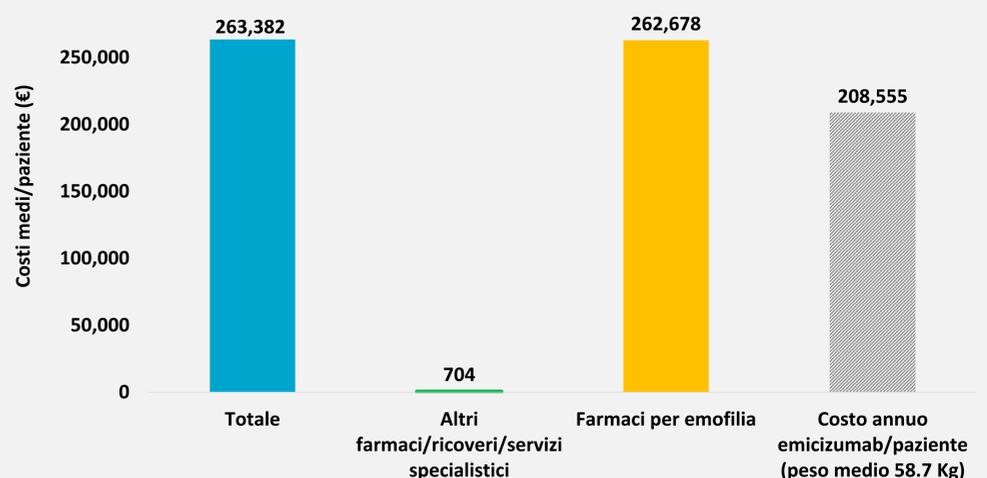
ANALISI DEL CONSUMO DI RISORSE SANITARIE E RELATIVI COSTI DIRETTI MEDI ANNUI PER PAZIENTE

Tabella 2	Pazienti in profilassi (N=32)
N. medio ± DS per prescrizioni per emofilia A	11.6 ± 10.0
N. medio ± DS per altre prescrizioni	5.5 ± 7.4
N. medio ± DS per servizi specialistici ambulatoriali	4.2 ± 5.1
N. medio ± DS per ricoveri	0 ± 0.2

Nell'anno precedente l'utilizzo di emicizumab, i pazienti presentavano un numero medio di 5.5 ± 7.4 prescrizioni per farmaci non relativi all'emofilia, e un numero medio di 4.2 ± 5.1 prescrizioni per test/visite specialistiche (Tabella 2).

La spesa annua totale media/paziente relativa al trattamento con FVIII era di €262,678 (IVA inclusa) nel totale dei 32 pazienti in profilassi (Figura 2).

Figura 2. Costi medi annuali (€) per paziente in profilassi (N=32)



AUTORI

ELISA GIACOMINI¹, MELANIA LEOGRANDE¹, LUCA MOTTA², ROSARIA TEMPRE², SARA BENDINELLI², LUCA DEGLI ESPOSTI¹

- CliCon S.r.l. Società Benefit, Health, Economics & Outcomes Research, Bologna, Italia
- Roche S.p.A., Monza, Italia

CONCLUSIONI

La presente analisi preliminare ha generato evidenze sulla spesa farmaceutica dei pazienti con emofilia A senza inibitori del FVIII in profilassi con fattore VIII prima del trattamento con emicizumab. Poiché il costo annuo di mantenimento di emicizumab da RCP per il trattamento di un paziente con un peso di 58,7 kg è pari a €208,555 (IVA inclusa),⁵ l'analisi mostra come in caso di switch a emicizumab la spesa media annuale/paziente non generi un aumento di costo, e potrebbe portare ad una riduzione teorica di circa €50,000 anno. Ulteriori analisi su dati aggiornati sono attualmente in fase di elaborazione e permetteranno di valutare outcome e costi di gestione dei pazienti affetti da emofilia A pre- e post-switch ad emicizumab.