21 novembre 2019 0:25

Pillole per il cuore che costano 200.000 euro all’anno. Critiche degli specifici ricercatori a Pfizer

di Redazione

Con un cappello a tricorno dell'era rivoluzionaria, il dottor Mathew Maurer è di fronte a un pubblico di colleghi cardiologi a Filadelfia per denunciare il prezzo di un nuovo farmaco in grado di aiutare molti dei suoi pazienti con insufficienza cardiaca.
Il farmaco di Pfizer, il tafamidis, costa $ 651 al giorno, ha detto Maurer, così come il budget alimentare di un paziente per un mese. I farmaci non funzionano se le persone non possono prenderli, ha detto, e il prezzo di $ 225.000 (poco più di 200.000 euro) all'anno dall'azienda farmaceutica è decisamente proibitivo.

Maurer non è solo un critico. Come professore all'Irving Medical Center della Columbia University, ha lavorato a stretto contatto con Pfizer per sviluppare questo farmaco innovativo. **È stato l'autore principale di uno studio scientifico fondamentale finanziato dalla società grazie al quale l'approvazione di tafamidis è stata raggiunta all'inizio di quest'anno.**
Bloomberg ha parlato con Maurer e altri tre medici coinvolti negli studi clinici della compagnia sul tafamidis, che da allora sono diventati critici sul prezzo del farmaco a causa delle difficoltà finanziarie dei pazienti dalla sua approvazione a maggio. **Sostengono che il tafamidis possa essere somministrato a molte più persone del previsto,** sarà preso dai pazienti per anni o decenni e venduto a un costo paragonabile ai trattamenti curativi o ai farmaci per le malattie più rare.

Pfizer ha valutato il prezzo del farmaco come appropriato e ha detto che ha fissato il prezzo in base a ciò che prevede: un piccolo numero di pazienti che lo prenderanno. Se sarà più utilizzato, il produttore del farmaco ha detto che potrebbe ridurre il prezzo.
Mentre le critiche ai produttori di farmaci da parte di pazienti e politici sono comuni, è molto più raro che gli accademici che hanno contribuito a condurre lo sviluppo di una terapia diventino antagonisti della stessa società che ha finanziato la ricerca. I test Pfizer nella fase finale del farmaco sono stati fatti in circa 50 luoghi; e nella piccola comunità di medici che curano pazienti con malattie cardiache trattati con tafamidis, la decisione dell'azienda ha generato una nuova serie di domande su cosa è appropriato addebitare per una medicina innovativa.
"Possiamo concordare di non essere d'accordo", ha detto Maurer alla riunione di settembre della Heart Failure Society of America, *"ma ho detto loro che pensavo che $ 25.000 all'anno avrebbero potuto essere un costo ragionevole"*. Alla fine del suo discorso, Maurer ha scherzato sul fatto che non sarebbe più stato coinvolto in una ricerca sul tafamidis in corso, e potrebbe anche aver bisogno di qualcosa di nuovo da fare riempire i suoi giorni. *"Possono mettere in circolazione il mio curriculum, possono scrivere il mio nome e le mie informazioni per contattarmi, perché potrei essere in cerca di lavoro".* In un'intervista ha affermato di non aver ricevuto alcuna risposta da Pfizer e di essere ancora coinvolto in una sperimentazione in corso del farmaco.

Medicina innovativa

Tafamidis, chiamato anche Vyndaqel o Vyndamax, è il primo farmaco approvato dalla Food and Drug Administration (FDA) degli Stati Uniti per la forma cardiaca di una condizione chiamata amiloidosi da transtiretina o cardiomiopatia amiloide da transtiretina. Causato dall'accumulo di proteine ??nel corpo, il disturbo può causare problemi respiratori, affaticamento e accumulo di liquidi e problemi cardiaci che possono portare alla morte.

Tafamadis rallenta la malattia, aiuta i pazienti a vivere più a lungo e li tiene fuori dai costosi ricoveri ospedalieri. Poiché la malattia si riscontra spesso negli uomini più anziani, molti pazienti sono assicurati attraverso il programma sanitario del governo Medicare, che può esporli a costi elevati e i contribuenti pagano gran parte del resto dei costi. Pfizer ha programmi di assistenza che aiutano con i co-pagamenti assicurativi commerciali e forniscono farmaci gratuiti a persone senza assicurazione o assicurazione non specifica, compresi quelli con Medicare, ma non tutti i pazienti hanni i criteri per accedervi.
"Abbiamo avuto pazienti che affermano che non possono permetterselo, o che dicono: "Non voglio sacrificare l'educazione di mia nipote", ha detto il cardiologo della Mayo Clinic Martha Grogan. Come Maurer, Grogan ha partecipato a studi clinici e consulenze per Pfizer e altre società che lavorano per trattare la malattia. I fondi aziendali vanno alla Mayo e non ai compensi personali, chiarisce.
"Conosciamo un paziente che si è trasferito da casa sua, con i suoi figli adulti", dopo aver venduto la sua casa per pagare le spese mediche, ha detto.

Critiche dell'azienda

Pillole come il tafamid sono spesso relativamente poco costose da produrre, ma possono costare centinaia di milioni di dollari in costi di sviluppo da testare e portare sul mercato. Per altri farmaci costosi, i produttori hanno sostenuto che devono recuperare i propri investimenti, fornendo incentivi per lo sviluppo di nuove terapie.
La controversia mette in evidenza le sfide che attendono il sistema sanitario americano. Usando nuove scoperte in biologia e genetica, i produttori di farmaci si sono concentrati sulle malattie usando **terapie strettamente specifiche, spesso designate come farmaci per malattie rare, che possono attaccare disturbi precedentemente non trattati in piccoli gruppi di pazienti**. Gli incentivi statali offrono uno status speciale per i crediti d'imposta e una ampia esclusiva di marketing. Ciò significa progressi per una serie di malattie.
Ma poiché le dimensioni delle popolazioni che i produttori di farmaci stanno prendendo in considerazione sono diminuite, i prezzi sono aumentati. I farmaci per le malattie rare con prezzi ufficiali superiori a $ 100.000 sono ormai comuni e il tafamidis è uno di questi.
Pfizer ha deciso il prezzo di $ 225.000 all'anno sulla base del beneficio del tafamidis per i pazienti e della prevalenza della malattia, afferma Nolan Townsend, presidente regionale dell'unità delle malattie rare del Nord America, in un'intervista telefonica. **La società stima che tra le 100.000 e le 150.000 persone negli Stati Uniti hanno l'amiloidosi cardiaca da transtiretina**, che soddisfa i criteri di una malattia rara, e che oggi **solo il 4% o il 5% dei pazienti sa di averla**, secondo Townsend.
Nonostante la stima di Pfizer di un piccolo mercato, il produttore di farmaci con sede a New York City ha affermato che il tafamidis può essere un buon business. Nel terzo trimestre ha registrato entrate per circa 160 milioni di dollari, superando le aspettative di Wall Street.
L'amiloidosi cardiaca della transtiretina o la cardiomiopatia amiloide della transtiretina sono spesso confuse con altre condizioni come l'insufficienza cardiaca comune e la prevalenza della malattia è diventata un punto di discussione. Fino a poco tempo fa, la diagnosi era anche estremamente invasiva - richiedeva una biopsia cardiaca eseguita con un catetere – e i medici avevano pochi incentivi per identificare i pazienti a causa della mancanza di opzioni terapeutiche.

"Potremmo parlare di numeri di sette cifre, anziché di sei, per quanto riguarda le persone che potrebbero davvero avere la malattia in questo Paese", afferma Ronald Witteles, un medico che gestisce lo Stanford Amyloid Center in California. **Come Maurer e Grogan, Witteles è stato finanziato e ha lavorato a stretto contatto con i produttori di farmaci, anche come ricercatore di studi clinici su tafamidis e membro del comitato consultivo Pfizer.**
"Non è affatto una malattia rara", afferma Witteles, e per questo motivo "la giustificazione per stabilire un prezzo in tale ambito è decaduta".

E' una malattia rara?

In un'intervista con Bloomberg, Townsend di Pfizer ha riconosciuto che vi è una certa incertezza su quante persone hanno l'amiloidosi cardiaca da transtiretina, ma ha descritto la condizione come rara e mal diagnosticata. Pfizer sta conducendo due studi per capirlo meglio.
"Ma se questa non si rivela essere una malattia rara, ovviamente controlleremmo di conseguenza il prezzo del farmaco", ha detto Townsend.
Pfizer ha rifiutato di commentare una tale decisione. In una e-mail, la società ha dichiarato che il farmaco è conveniente, in base ai benefici per i pazienti e alle riduzioni dei ricoveri che possono arrivare fino a $ 34.000 all'anno, secondo uno studio sui pazienti finanziato da Medicare per l'industria.
"Ogni volta che esiste un trattamento per un'area ancora vergine, occorre stabilire un nuovo punto di riferimento dei costi per il trattamento di tale malattia", ha affermato Townsend.
John Rufenacht, un designer d'interni di 73 anni a **Kansas City, nel Missouri,** ha acquistato la sua prima ricetta di tafamidis in agosto. Medicare, la parte da pagare per Rufenacht era di quasi $ 6.000 per una fornitura di 90 giorni. Il programma di assistenza di Pfizer indirizza i pazienti a programmi di beneficenza per aiutarli a pagare i farmaci, ma Rufenacht afferma che non per la maggior parte non danno risultati. Inoltre è preoccupato per i prossimi pagamenti, sapendo che esiste una soglia oltre la quale i costi diventeranno un onere serio.
Per lui e sua moglie, questo potrebbe significare sacrificare viaggi, visite a musei d'arte, concerti e opera, *"molti dei passatempi che pensavo che avrei potuto seguire quando sono andato in pensione". "Improvvisamente, inizi a guardare tutto dal punto di vista di quanto mi costerà questa medicina e: ne avrò bisogno per il resto della mia vita?"*
La settimana scorsa Maurer e i suoi collaboratori hanno presentato un'analisi del rapporto costo-efficacia alla riunione delle sessioni scientifiche dell'American Heart Association, concludendo che **tafamidis è redditizio solo con una riduzione del prezzo superiore al 90% o un prezzo di $ 16.563.** A prezzi correnti, curare circa 120.000 persone negli Stati Uniti con tafamidis "aumenterebbe la spesa annuale per le cure mediche di $ 32,3 miliardi", hanno scritto gli autori.
Pfizer mette in dubbio questi risultati e afferma che l'analisi non è appropriata per i farmaci per malattie rare o farmaci che trattano i pazienti anziani, che hanno meno tempo per trarne beneficio.

(articolo di Emma Court, pubblicato su Bloomberg del 20/11/2019)