

Giornate di Pediatria Preventiva e Sociale

Capri 2009

9 - 11 Ottobre 2009
Capri - Hotel la Residenza

*HTA: Health Technology Assessment
per l'inserimento di nuovi vaccini*

Giancarlo Icardi



Dipartimento di Scienze della Salute-Università di Genova
Unità Operativa Igiene
Azienda Ospedaliera Universitaria San Martino Genova



Drivers delle vaccinazioni

In passato

- ✓ Pochi vaccini
- ✓ Tecnicamente semplici
- ✓ Malattie > decessi
- ✓ Nessuna analisi economica
- ✓ Elevata accettazione da parte della popolazione
- ✓ Costi contenuti

Oggi

- ✓ Più vaccini che in passato
- ✓ Contenuto tecnologico elevato
- ✓ Stato di salute
- ✓ Evidence Based Prevention (EBP)
- ✓ Popolazione preoccupata per la tollerabilità
- ✓ Costi superiori

THE DEVELOPMENT OF NEW VACCINES

Over the past two decades, many efforts have been made to struggle infectious diseases



New vaccines will be available until 2015 and their introduction will represent a central issue for decision-makers, worldwide

Bisogna affrontare il problema della soddisfazione di crescenti bisogni assistenziali con una quantità di risorse disponibili limitate

E' quindi necessario valutare l'appropriatezza:

- delle procedure diagnostico-terapeutiche,
- delle tecnologie da utilizzare nell'assistenza
- dei modelli organizzativi,

con l'obiettivo di individuare l'allocazione ottimale delle risorse

Health Technology Assessment

si propone di fornire una risposta a tale complessità di fattori, attraverso un processo "formale e strutturato" e "multidimensionale" di analisi e decisione (Marocco, 2008)

Nascita

Thirty years ago an American congressman said, “Technical information needed by policy makers is frequently not available, or not in the right form. ... Technology assessment is a form of policy research. ... It identifies policy issues, assesses the impact of alternative courses of action, and presents findings.”¹

¹US Congress, House of Representatives, Committee on Science and Astro- nautics. Technology assessment. Statement of Emilio Q. Daddario, chair, Subcommittee on Science, Research and Development. Washington: 90th Congress, 1st session; 1967:9-13.

Definizione letterale

Health = salute

Technology = interventi terapeutici e riabilitativi, dispositivi medici, farmaci, procedure mediche e chirurgiche, protocolli d'intervento, d'assistenza, applicazioni informatiche, sistemi organizzativi e gestionali

Assessment = valutazione

Definizione funzionale

Health Technology Assessment: metodologia per valutare le prestazioni sanitarie (fornite o disponibili) e gestire in modo più funzionale l'assistenza ai cittadini

Definizione tecnica

Health Technology Assessment

Valutazione sistematica di procedure e tecnologie impiegate nell'assistenza sanitaria, messa in atto raccogliendo e valutando le conoscenze e i dati della ricerca in materia, riassumendoli in un apposito rapporto, fornendo tutti i suggerimenti operativi necessari per il sistema sanitario

Esistono molte definizioni di *Health Technology Assessment*, ma la più appropriata è certamente quella che ne sottolinea il **carattere di connessione tra la scienza e le scelte politiche**

Un approccio multidisciplinare di valutazione a supporto delle decisioni politiche nei sistemi sanitari

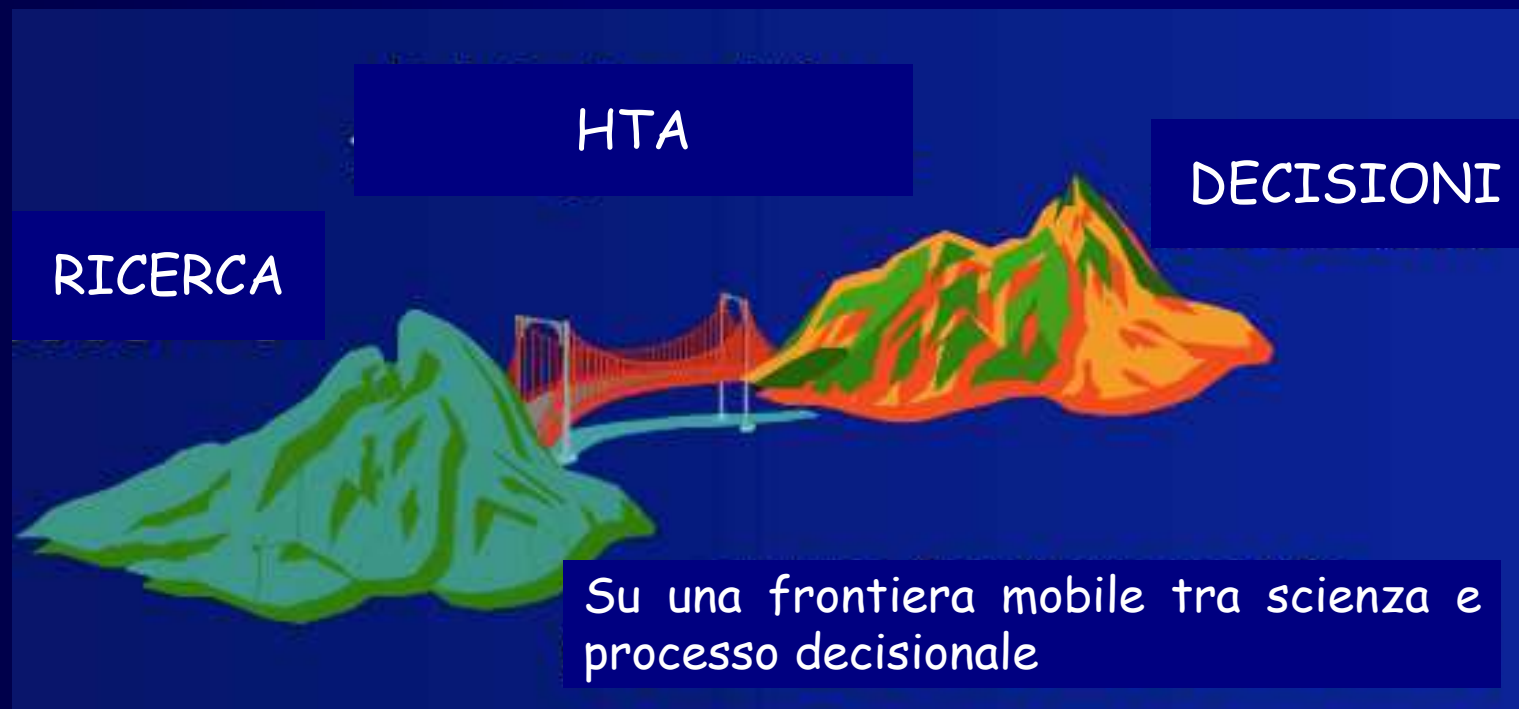
Renaldo N. Battista, Department of Epidemiology and Biostatistics, McGill University, Montreal, 1994

HTA crea un collegamento diretto tra la ricerca evidence based medicine (EBM) e le scelte di politica sanitaria

RN Battista, MJ Hodge: The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium. JAMC 1999;160:1464-7

In short, health technology assessment is a bridge between the world of research and the world of decision-making, particularly policy-making.

RN Battista, MJ Hodge: The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium
JAMC 1999;160:1464-7



PROCESSO di HTA

- ✓ Definizione dei bisogni clinici
- ✓ Valutazioni epidemiologiche e/o "storiche" → stima della casistica per la realtà considerata
- ✓ Valutazione dell'efficacia terapeutica e/o diagnostica della procedura studiata rispetto alle procedure di riferimento (esistenti, utilizzate → già di provata efficacia)
- ✓ Valutazione dei costi della procedura studiata (diretti ed indiretti)

Definizione dei bisogni clinici

- ✓ Descrizione generale procedura (necessità di strutture, attrezzature, personale, etc.)
- ✓ Indicazioni cliniche per la scelta dei pazienti da sottoporre alla procedura

Ricerca epidemiologica

- ✓ Prevalenza
- ✓ Incidenza
- ✓ Mortalità
- ✓ Morbosità
- ✓ Letalità

→ Stima numero di casi annui per la procedura studiata

Valutazione dell'efficacia

Ricerca bibliografica su studi esistenti che riportano dati di efficacia sulla procedura allo studio

Valutazione economica

- ✓ Costi diretti (tecnologie, manutenzione, personale, materiale, strutture)
- ✓ Costi indiretti (trattamento degli eventuali effetti collaterali, mancati guadagni del paziente)

ITALIAN JOURNAL OF PUBLIC HEALTH

Year 5, Volume 4, Number 2, Summer 2007, Suppl. 1



ITALIA

Health Tec

Giuseppe La
Capri², Stefa
Patarnello⁴,)

¹Institute of Hy
University, LIU

⁴Glaxo Smith K

^{*}HTA Collabora

Correspondence to

L.go F.Vito, 1, 0016

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT DELLA VACCINAZIONE ANTI-HPV

Giuseppe La Torre¹, Giacomina Chiaradia¹, Alice Mannocci¹, Chiara de Waure¹, Walter Ricciardi¹, Stefano Capri², Francesco Bamfi¹, Ciro Bianchi¹, Jose Lapinet-Vera¹, Alessia Marocco¹, Francesca Patarnello¹, Giuseppe Recchia¹

¹Health Technology Assessment Public Health Unit, Istituto di Igiene, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma;

²Istituto di Economia, Università Cattolica LIUC Castellanza;

³Direzione di HTA, Direzione Medica GlaxoSmithKline S.p.A., Verona.

The Project HTA and HPV Vaccine

1. Epidemiological evaluation of HPV infection and related diseases in Italy and in the world;
2. Study of health services utilisation from people affected by HPV infection/diseases;
3. Evaluation of current measures to prevent cervical cancer (screening- PAP test);
4. Evaluation of HPV vaccines effectiveness;
5. Projecting a mathematical model to predict the effects of new vaccine introduction;
6. Economical evaluation of vaccine introduction;
7. Determination of organisational concerns;
8. Study of ethical, social and legal impact.

The partners

- Institute of Hygiene, Catholic University of the Sacred Heart, Rome
- University "Cattaneo" LIUC, Castellanza
- GlaxoSmithKline S.p.A.

Competences

- Public health
- Epidemiology
- Clinicians
- Biotechnology
- Mathematics
- Economics
- Company
- Organisation-management
- Ethics
- Sociology



IJPH - YEAR 5, VOLUME 4, NUMBER 2, SUPPL. 1, 2007

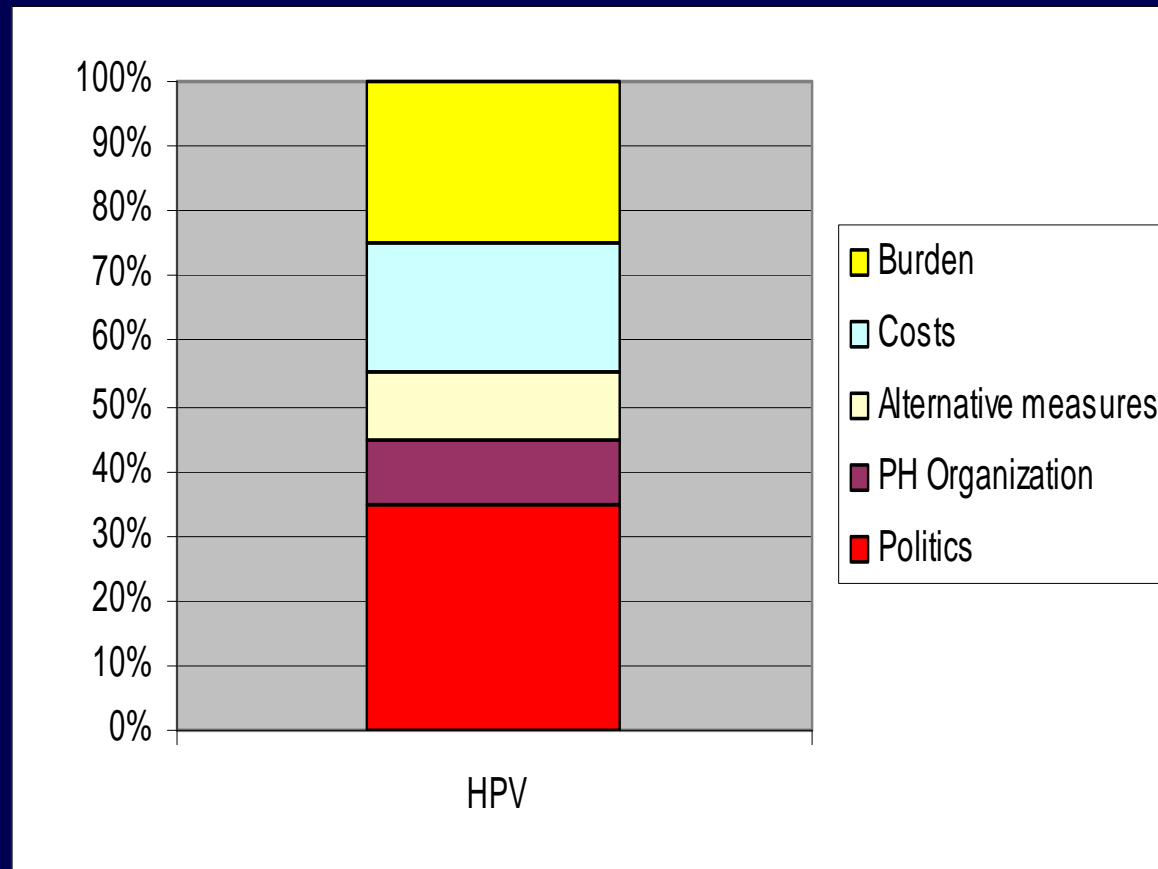
ITALIAN JOURNAL OF PUBLIC HEALTH

Elementi chiave per il processo decisionale

Giuseppe La Torre, Stefano Capri, Francesca Patarnello, Walter Ricciardi

- July 10th, 2007:
presentation of HTA report to an expert committee
- September 2007:
publication on-line of the report

Is the process politically or scientifically driven?



Fonte: Lopalco ECDC

Costituzione della Repubblica Italiana

Parte seconda - TITOLO V

Art. 117

Sono materie di legislazione concorrente quelle relative a:
... omissis ... (elenco materie soggette a legislazione Regionale)

tutela della salute

Nelle materie di legislazione concorrente spetta alle Regioni la potestà legislativa, salvo che per la determinazione dei principi fondamentali, riservata alla legislazione dello Stato.

Spetta alle Regioni la potestà legislativa in riferimento ad ogni materia non espressamente riservata alla legislazione dello Stato

Attivazione di un nuovo programma vaccinale: le conseguenze dovute al federalismo

gli Organi Centrali (Ministero Salute e CCM) possono pertanto indicare alle Regioni indirizzi operativi non vincolanti e proporre, nel caso delle vaccinazioni, una strategia di provata efficacia, concordata e condivisa

I tanti attori di un nuovo programma vaccinale

- Ministero Salute - CCM
- Coordinamento Interregionale Prevenzione
- Istituto Superiore di Sanità - CNESPS
- con il contributo delle società scientifiche
- Commissione Nazionale Vaccini
- Consiglio Superiore di Sanità
- Conferenza Stato Regioni
- AIFA
- Ecc. ecc.

La vaccinazione per HPV quale banco di prova per un nuovo modo di agire (1)

- ✓ Aprile 2006: Ministero Salute, ISS e CIP iniziano ad affrontare il tema HPV, consci del ruolo e dell'importanza che rivestirà tale vaccino
- ✓ Nel corso dell'anno le riunioni si susseguono a ritmo mensile, con ampio dibattito al quale tutte le regioni partecipano attivamente
- ✓ L'ISS - CNESPS fornisce importanti contributi scientifici (Novembre 2006 workshop su HPV c/o Ministero Salute)
- ✓ Le Società Scientifiche forniscono il loro importante contributo

La vaccinazione per HPV quale banco di prova per un nuovo modo di agire (2)

- ✓ 11 Gennaio 2007: parere favorevole CSS
- ✓ 8 Febbraio: approvazione da parte della Commissione Salute della Conferenza Stato-Regioni del documento, stilato da Ministero e Coord. Interregionale Prevenzione, con cui si indica la strategia vaccinale e le azioni da adottare
- ✓ 15 Febbraio: registrazione del vaccino e sua classificazione

con queste prime determinazioni la vaccinazione per HPV viene di fatto riconosciuta un intervento di Sanità Pubblica

La vaccinazione per HPV quale banco di prova per un nuovo modo di agire (3)

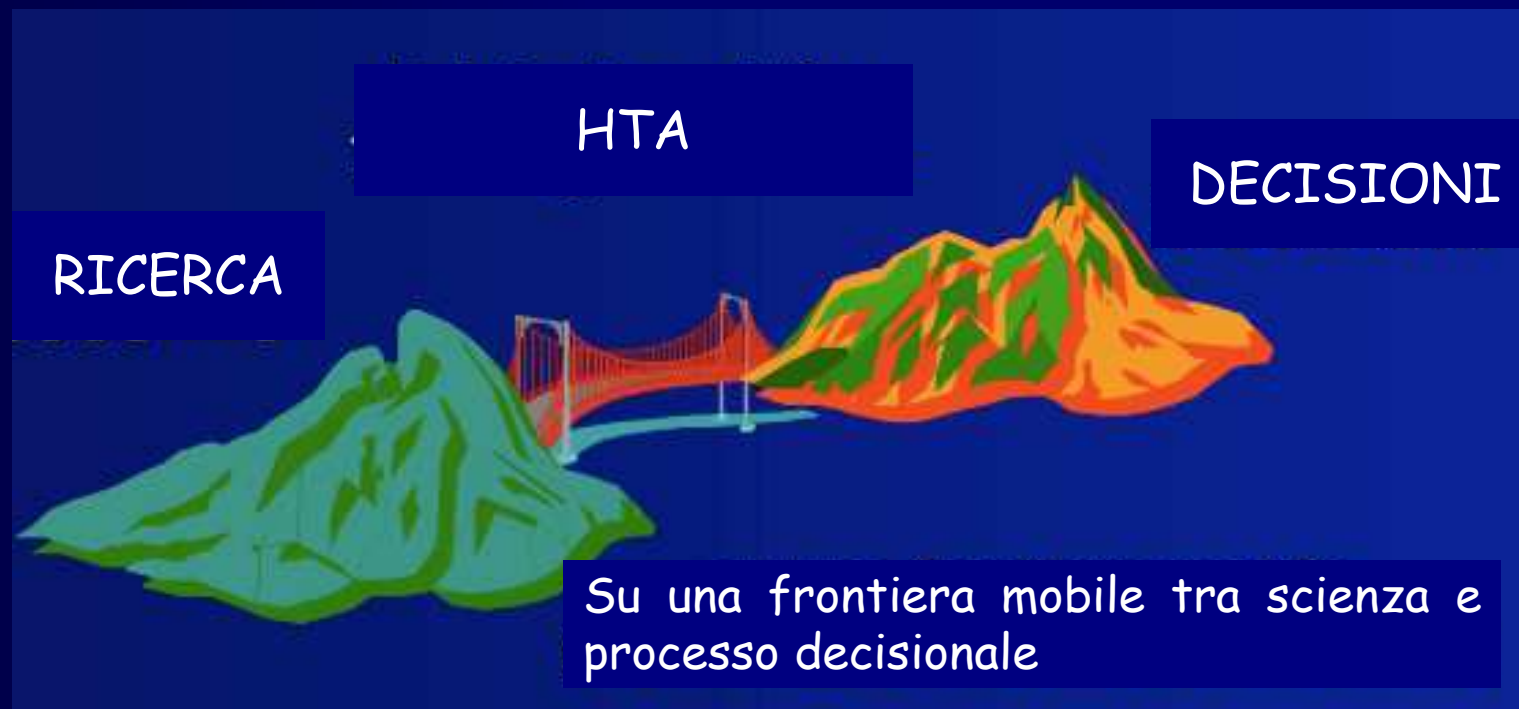
Aprile Maggio Giugno 2007:
in attesa dell'atto finale

sigla dell'accordo in Conferenza Stato Regioni
relativamente alle modalità attuative
del nuovo programma vaccinale

GENNAIO 2008 ... si parte

In short, health technology assessment is a bridge between the world of research and the world of decision-making, particularly policy-making.

RN Battista, MJ Hodge: The evolving paradigm of health technology assessment: reflections for the millennium
JAMC 1999;160:1464-7



PIETRE MILIARI NELLA STORIA DEI VACCINI ANTI-PNEUMOCOCCO

PRIMA GENERAZIONE

- 1911-14 preparazioni di cellule intere
- 1930 sviluppo del vaccino polivalente con sierotipi attenuati
- Metà anni '30 sviluppo di vaccini polivalenti contenenti materiale capsulare parzialmente purificato
- Fine anni '40 primi studi di efficacia; entrano in commercio i vaccini polisaccaridici polivalenti
- Primi anni '50 la prima generazione di polisaccaridi pneumococcici esce dal mercato

SECONDA GENERAZIONE

VACCINI POLISACCARIDICI NON CONIUGATI

- 1977 il vaccino 14-valente viene registrato negli USA
- 1983 il vaccino 23-valente viene registrato negli USA

VACCINI POLISACCARIDICI CONIUGATI

- 2000 vaccino eptavalente (PCV-7) viene registrato negli USA
- 2001 PCV-7 viene registrato in Europa

IL FUTURO PROSSIMO VENTURO

VACCINI POLISACCARIDICI CONIUGATI A PIU' AMPIO SPETTRO (prossima commercializzazione)

- Vaccini coniugati a più ampio spettro: in prossima commercializzazione i preparati 10 e 13-valenti

VACCINI PROTEICI, VACCINI ADIUVATI, VACCINI PER VIA MUCOSA (in fase di studio.....)

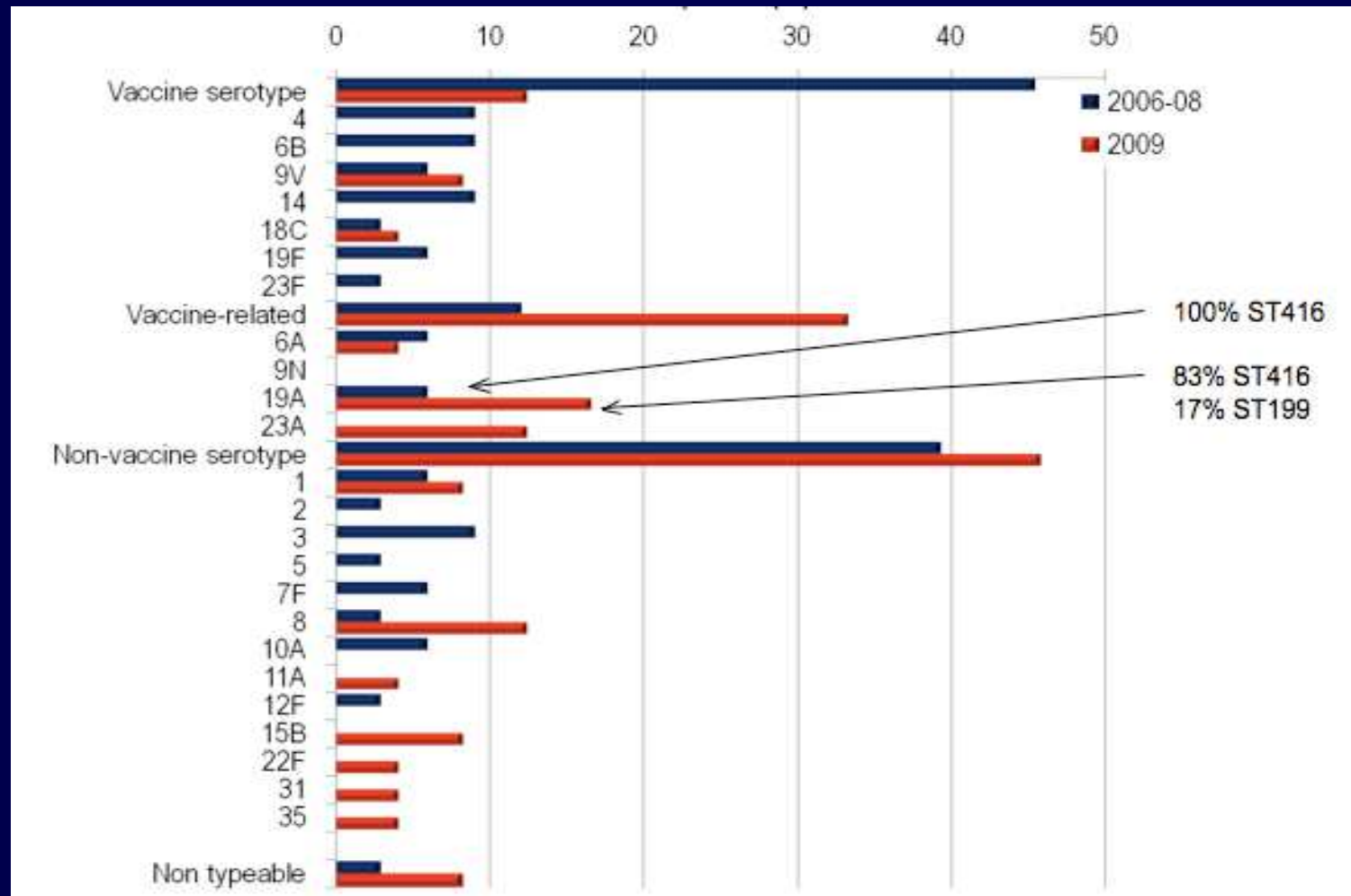
- Vaccini in fase iniziale di sviluppo, si basano su specifiche proteine dello Pn, quali la pneumolisina, PspA, PspC e Lyt A

Current rationale for new wide-spectrum polivalent PCVs

- Before introduction of 7PCV, vaccine serotypes were responsible for 80% of IPDs in the USA, 70% of the IPD in Europe, 40-80% of IPD in other Regions of the world.
- Several non-PCV7 serotypes causing IPDs (i.e., 1, 3, 5, 6A, 7F, 19A, 22F, 35B, etc.) have been isolated and some of them have shown a significant increase, with 19A being the most prevalent.
- The addition of new serotypes in the PCV could increase the percentage of the vaccine-preventable IPD cases in the next future.

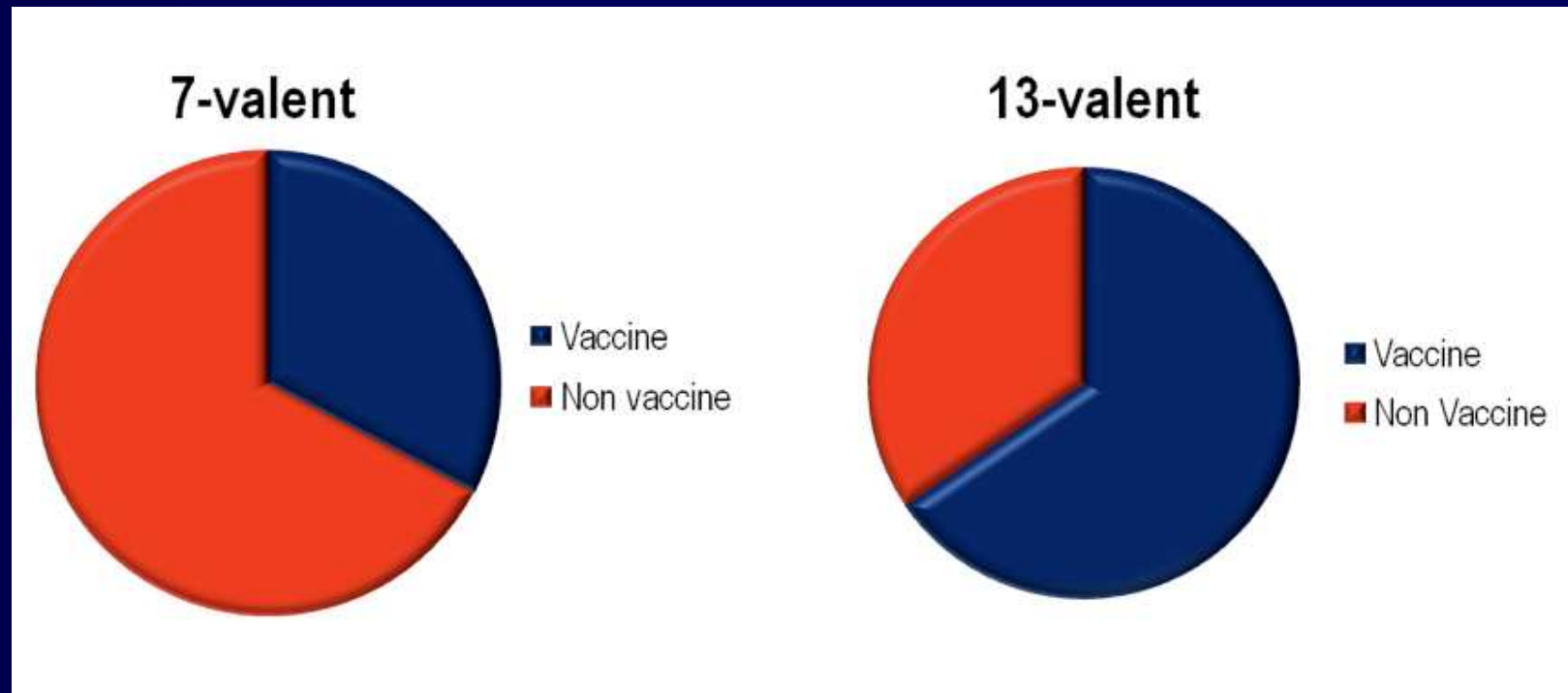


SEROTYPE DISTRIBUTION ACCORDING PERIOD IN PATIENTS WITH IPD





COPERTURA TEORICA AGGIUNTIVA DEL PCV 13 RISPETTO AL PCV-7 IN LIGURIA, DOPO L'INTRODUZIONE DELLA VACCINAZIONE UNIVERSALE



International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA)

La valutazione di una tecnologia deve includere le seguenti componenti:

- ✓ Identificazione delle prove (o segnalazione dell'assenza), dei benefici e dei costi di un intervento
- ✓ Una sintesi delle prove provenienti dalla ricerca sull'efficacia dei differenti interventi sanitari
- ✓ Una valutazione dell'impatto economico e un'analisi di costo-efficacia
- ✓ Una valutazione delle conseguenze sociali ed etiche della diffusione ed uso delle tecnologie insieme all'impatto organizzativo della loro diffusione
- ✓ Spunti intesi alla identificazione della miglior pratica in sanità, migliorando così la qualità e contenendo i costi

Impact of 13-Valent Pneumococcal Conjugate Vaccination on Costs and Outcomes in Germany and the United States

David R. Strutton,¹ Ulrike Kuchenbecker,² Sharon Hwang,¹ Stephanie R. Earnshaw,² Raymond A. Farkouh³

¹Wyeth Research, Collegeville, Pennsylvania, United States; ²Wyeth Research, Muenster, Germany;

³RTI Health Solutions, Research Triangle Park, North Carolina, United States

SUMMARY

- PCV13 is expected to be efficacious in preventing IPD, pneumonia, and AOM in vaccinated children when considering direct effects and indirect effects in the US and Germany.
- PCV13 is expected to be effective in preventing IPD, pneumonia, and AOM in the entire population when considering direct effects and indirect effects in the US and Germany.
- PCV13 is expected to prevent more cases of IPD, pneumonia, and AOM than PCV10.
- Pediatric national vaccination programs with PCV13 in the US and Germany are expected to have a substantial public health impact and to be cost effective and/or cost saving.



Public Health and Economic Impact of 13-Valent Pneumococcal Conjugate Vaccination in the Netherlands

Rogier Klok,¹ David R. Strutton,² Maarten Postma,³ Sharon Hwang,² Stephanie R. Earnshaw,⁴ Raymond A. Farkouh⁴

¹Wyeth Pharmaceuticals, Netherlands; ²Wyeth Research, Collegeville, Pennsylvania, United States;

³University of Groningen, Netherlands; ⁴RTI Health Solutions, Research Triangle Park, North Carolina, United States

SUMMARY

- A pediatric national immunization program with PCV13 in the Netherlands is expected to substantially decrease pneumococcal illnesses (IPD, pneumonia, and AOM).
- PCV13 is expected to be cost effective, relative to no vaccination, with a per-dose price between €40 and €60.
- The results suggest that PCV13 vaccination would be cost savings relative to PCV7.



Impact of 13-Valent Pneumococcal Conjugate Vaccination on Costs and Outcomes in the United Kingdom

Boyka Stoykova,¹ David R. Strutton,² Rosalind Hollingsworth,¹ Sharon Hwang,² Stephanie R. Earnshaw,³ Raymond A. Farkouh³

¹Wyeth, Taplow, United Kingdom; ²Wyeth Research, Collegeville, Pennsylvania, United States;

³RTI Health Solutions, Research Triangle Park, North Carolina, United States

DISCUSSION

- In response to the emerging profile of residual IPD in the UK population, replacement of PCV7 with PCV13 in the NIP could be expected to significantly decrease the incidence of pneumococcal disease still further.
- Moreover, the results of this model suggest that PCV13 will be cost effective relative to no vaccination and cost saving relative to PCV7.
- Additional health benefits and corresponding cost savings would be observed beyond the timeline studied here.
- A PCV13 NIP would be cost neutral compared to PCV7 at a price of £37.21, and could still be considered cost effective should the new vaccine be priced at less than £40.42.
 - Epidemiological data from the UK support the transition from PCV7 to PCV13 and this economic model demonstrates its economic value.



E IN ITALIA?

Health Technology Assessment del vaccino pneumococcico coniugato 13-valente

PIANO DI LAVORO

Epidemiologia dell'infezione e delle malattie da *S. pneumoniae*: Dr.ssa de Waure

Descrizione dell'impatto clinico dell'infezione e delle malattie da *S. pneumoniae*: Prof. La Torre e prof. Icardi.

Risorse utilizzate dai servizi sanitari per il trattamento dell'infezione e delle malattie da *S. pneumoniae*: Prof. La Torre e Dr.ssa Specchia

Biotechnologia, efficacia, sicurezza e tossicità del vaccino: Dr. Zollo

Efficacia e sicurezza dei vaccini pneumococcici: Dr.ssa de Waure

Modellizzazione matematica ed analisi economica dell'introduzione del vaccino Prevenar13 nel contesto italiano: Dr. Mantovani

Aspetti organizzativi relativi all'introduzione di Prevenar13 nel contesto di cura italiano: Dr.ssa Specchia

Aspetti bioetici e sociali: Dr. Refolo.

**GRAZIE PER
L'ATTENZIONE**

