

TI_GERICHTE 36.2016.72 vom 21. September 2016

TI Tribunale d'appello, 2016-09-21, IT

Quelle: https://mcp.opencaselaw.ch/entscheid/ti_gerichte_36.2016.72_d20160921

FR: TI_GERICHTE 36.2016.72 du 21 septembre 2016

IT: TI_GERICHTE 36.2016.72 del 21 settembre 2016

Regeste

Assunzione dei costi (triplicati) di un medicamento non omologato in Svizzera (ma omologato nell'UE) necessario per un'assicurata affetta da una malattia rara (protoporfiria eritropoietica [EPP]). Riassunto della giurisprudenza, delle norme applicabili e del progetto di riforma del CF

Erwägungen

E. 2

L'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie assume i costi del medicamento soltanto previa garanzia speciale dell'assicuratore e previa consultazione del medico di fiducia.

E. 3

L'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie assume i costi del medicamento soltanto previa garanzia speciale dell'assicuratore e previa consultazione del medico di fiducia.

E. 3.5

volte i costi che insorgerebbero in una casa di cura ed in cifre assolute a circa fr. 100'000 all'anno (DTF 126 V 334 consid. 3b). In SVR 2009, KV Nr.1 pag. 1, in relazione ad una terapia che costava tra fr. 50'000 e fr. 70'000 il TF ha calcolato tra 1,85 e 3,85 milioni di franchi il costo necessario per salvare una vita umana, ciò che è stato considerato un cattivo rapporto tra costi ed efficacia (sentenza 9C_56/2008, consid. 3.8). Alla luce di queste considerazioni, in DTF 136 V 395, il TF ha ritenuto che i costi di fr. 750'000/900'000 per un anno e mezzo per l'assunzione del farmaco orfano Myozyme in caso di malattia di Pompe non sono proporzionati rispetto ai risultati ottenuti, affermando: " (...) Die Beurteilung des Kosten-/Nutzen-Verhältnisses kann entgegen der Auffassung der Beschwerdegegnerin auch nicht mit dem Argument umgangen werden, dass es sich um eine Einzelfallbeurteilung in einem Orphan-Disease-Fall handle. Denn es gibt zahlreiche Personen, die zwar nicht an Morbus Pompe, aber an anderen Krankheiten leiden, welche vergleichbare Einschränkungen der Lebensqualität zur Folge haben (z.B. chronisch-obstruktive Lungenkrankheit [COPD]). Statistisch sind beispielsweise 2,8 % der schweizerischen Wohnbevölkerung ab 15 Jahren in ihrem Gehvermögen auf weniger als 200 m beschränkt (Stand 2007; Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010, S. 323), was rund 180'000 Personen entspricht, die mit einer ähnlich eingeschränkten Lebensqualität wie die Beschwerdegegnerin leben müssen. Mit einem Aufwand von rund Fr. 500'000.- pro Jahr liesse sich möglicherweise bei den meisten dieser Menschen die Lebensqualität in vergleichbarem Ausmass wie bei der Beschwerdegegnerin verbessern, sei dies z.B. durch operative Massnahmen, die bisher aus Kostengründen nicht durchgeführt werden, durch

gegenüber der bisherigen Rechtsprechung (E. 7.6.2) grosszügigere Gewährung von Pflegeleistungen oder schliesslich dadurch, dass - analog zum Off-Label-Use von Medikamenten - auch Mittel und Gegenstände abgegeben werden, die nicht in der grundsätzlich abschliessenden Mittel- und Gegenständeliste (Art. 20 ff. KLV; BGE 136 V 84 E. 2.2 S. 86; BGE 134 V 83 E. 4.1 S. 85 ff.) aufgeführt sind, aber doch die Lebensqualität signifikant erhöhen würden. Würde bei der Beschwerdegegnerin ein solcher Aufwand betrieben, wäre im Lichte der Rechtsgleichheit (vorne E. 7.7) kein Grund ersichtlich, allen anderen Patienten in vergleichbarer Lage einen gleichen Aufwand zu verweigern. Dadurch entstünden jährliche Kosten von rund 90 Mrd. Franken. Das ist rund das 1,6-Fache der gesamten Kosten des Gesundheitswesens (Stand 2007: rund 55,2 Mrd. Franken; Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010, S. 340) oder etwas mehr als 17 % des gesamten Bruttoinlandprodukts der Schweiz (Stand 2007: rund 521 Mrd. Franken; Statistisches Jahrbuch der Schweiz 2010, S. 124). Die obligatorische Krankenpflegeversicherung ist offensichtlich nicht in der Lage, für die Linderung eines einzigen Beschwerdebildes einen derartigen Aufwand zu bezahlen. Ist der Aufwand nicht verallgemeinerungsfähig, so kann er aus Gründen der Rechtsgleichheit auch im Einzelfall nicht erbracht werden.” In DTF 142 V 144 il TF ha giudicato il caso di una ragazza, nata nel 1989, affetta da una malattia congenita (Sindrome di Ondine; cifra 381 OIC), che necessita, durante il sonno, di una respirazione artificiale ed esige un’attenzione costante del personale Spitex. L’assicuratore, dopo aver inizialmente pagato un importo di fr. 42’300 a trimestre, intendeva ridurre l’ammontare del rimborso. Dopo aver esaminato tutta la fattispecie, a proposito della proporzionalità l’Alta Corte, al consid. 7, ha rilevato che, rispetto al caso giudicato nella DTF 136 V 395, nel caso di specie i costi annui sono notevolmente inferiori, che per l’assicurata, 24enne al momento della decisione impugnata, vi è un alto valore aggiunto della prestazione (“ lebensnotwendigen ”) la quale le permette di continuare ad avere una vita normale. Il TF ha concluso affermando che in queste condizioni “ von einem groben Missverhältnis zwischen Kosten und Nutzen kann somit nicht gesprochen werden (...) ”. 2.12. In concreto, va in primo luogo evidenziato che la circostanza sollevata dall’assicuratore in sede di risposta secondo la quale nella pagina internet di Clinuvel è apparsa la notizia secondo cui sono in corso trattamenti “ Access ” in Svizzera e in Italia con condizioni vantaggiose precedenti la fornitura del medicamento a fini non commerciali non è rilevante poiché l’insorgente non risulta, dagli atti, far parte attualmente di questo programma. Dalle affermazioni della prof. dr.ssa med. _____ risulta che l’interessata aveva ottenuto in passato il medicamento “Scenesse” nell’ambito di un “ compassionate use programs ” fino ad inizio 2012 (doc. 6, risposta 1). In seguito, il 14 maggio 2012 (doc. 4) e nuovamente il 6 settembre 2013 (doc. 5), l’assicuratore stesso ha accettato di rimborsare, dopo valutazione del medico fiduciario, i costi del medicamento Scenesse in applicazione dell’art. 71b OAMal. Con scritto del 1° dicembre 2015 la convenuta si è nuovamente detta d’accordo di pagare i costi del medicamento, ma al prezzo massimo di fr. 6’560 per impianto (doc. 10). Con certificato datato 2 giugno 2016 la Prof. dr.ssa med. _____ ha chiesto di esonerare la ricorrente dal presenziare all’udienza innanzi a questo Tribunale (inizialmente fissata, nell’ambito della precedente procedura per denegata giustizia, per il 13 giugno 2016 [doc. IV, inc. 36.2016.63]), rilevando che l’insorgente era stata in cura dal 2008 ma che a causa di restrizioni del proprio assicuratore non ha potuto proseguire il trattamento e la sua sensibilità alla luce è nuovamente tornata ad essere estremamente eccezionale (doc. XII/1: “ [...] She was treated since 2008 with a drug that helped her to lead a nearly normal life. But due to restrictions by her insurance she could not get a

treatment in the last months and her sensitivity to light exposure is again exceptional ”).

Non essendo parte di alcun programma, ulteriori accertamenti circa la sua effettuazione in Svizzera e le relative condizioni, come chiesti dall'assicuratore, non si impongono. Nel caso di specie, la situazione della ricorrente non è molto diversa da quella giudicata dal TF nella sentenza pubblicata in DTF 142 V 144 e nella quale è stato giudicato che un importo di fr. 42'300 a trimestre può in sostanza essere ritenuto proporzionato al beneficio terapeutico. Nel caso di specie per la ricorrente, 33enne, l'assunzione del farmaco SCENESSE® ha un elevato beneficio terapeutico, che le permette di condurre una vita normale, nel senso di non dover vivere reclusa in casa al buio senza neppure poter accendere la luce, ma di poter avere una vita sociale, accedere agli studi, essere integrata nel mondo del lavoro, non dover dipendere dagli aiuti sociali e poter dormire durante la notte senza dover soffrire di dolori atroci. Ne segue che nel caso specifico dell'assicurata, essendo l'alto valore terapeutico dato (cfr. anche consid. 2.8), contrariamente a quanto ritiene la convenuta, il farmaco va classificato nella categoria A (“hoch”) dei sistemi di rilevazione praticati e adottati dalla società svizzera dei medici di fiducia (“9-Felder-Modell”) e non nella categoria B (“bedeutsam”; cfr. “Kostenübernahme nichtgelisteten Arzneimittel”, in Bollettino dei medici svizzeri, 2013, 94, 9, pag. 324-326; in <http://www.saez.ch/docs/saez/2013/09/de/saez-01396.pdf>). L'assicuratore deve di conseguenza rimborsare il prezzo pieno di fr. 18'989 a dose. Infatti, seguire l'impostazione della Cassa significherebbe di fatto concedere all'assicurata soltanto poco più di un trattamento annuo, del tutto insufficiente rispetto ai suoi bisogni di cura. Diversa sarebbe stata eventualmente la situazione se l'assicuratore avesse deciso di porre a carico della ricorrente una quota ragionevole del costo del medicamento. A questo proposito neppure l'art. 44 cpv. 1 LAMal, cui fa riferimento l'assicuratore nello scritto del 1° dicembre 2015 alla curante (doc. 10), può essere di aiuto alla cassa convenuta. Tale disposto prevede che i fornitori di prestazioni devono attenersi alle tariffe e ai prezzi stabiliti dalla convenzione o dall'autorità competente; non possono esigere remunerazioni superiori per prestazioni previste dalla presente legge (protezione tariffale). E' salva la disposizione sulla remunerazione dei mezzi e degli apparecchi diagnostici e terapeutici (art. 52 cpv. 1 lett. a n.3). Riconoscere solo il 35% (ossia fr. 6'560) del prezzo richiesto dalla ditta farmaceutica, significherebbe in sostanza impedire all'assicurata l'accesso al medicamento, ritenuto come il fornitore di prestazioni, che dovrebbe assumersi il restante 65% (ossia fr. 12'429), rinuncerebbe verosimilmente alla sua somministrazione. Se è vero che per l'art. 71b cpv. 4 OAMal spetta all'assicuratore stabilire l'importo della remunerazione, d'altra parte esso non può cadere nell'arbitrio e riconoscere un rimborso così esiguo da privarlo in sostanza dell'accesso alla cura. In presenza, come in concreto, per la persona assicurata, di un alto valore terapeutico, ridurre il prezzo del farmaco a poco più di un terzo del prezzo costituisce un arbitrio. La stessa convenuta ha del resto inserito il farmaco nella categoria B (“bedeutsam” [significativo]). Inoltre, non può certo essere chiesto all'assicurata, che nel caso di specie è l'anello più debole e che necessita della cura, o al suo fornitore di prestazioni, di condurre trattative con la ditta farmaceutica australiana per ottenere un prezzo più basso. Né l'assicuratore ha indicato Paesi dai quali potrebbe essere possibile importare il medicamento ad un importo inferiore. Ci si potrebbe del resto chiedere se l'art. 71b cpv. 4 OAMal, che lascia agli assicuratori un ampio margine di manovra nello stabilire l'importo della remunerazione è rispettoso del principio dell'uguaglianza di trattamento fra gli assicurati (art. 8 Cost. fed.; cfr., a proposito dell'incostituzionalità delle leggi federali, la sentenza 9C_125/2016 dell'11 marzo 2016, al consid. 2.2.2, inerente la discriminazione tra

assicurati relativamente alla restituzione dei premi LAMal pagati in troppo; cfr. anche, circa l'arbitrarietà delle norme: sentenza 8C_247/2015 del 24 settembre 2015 consid. 8.2 in: RtiD I-2016 pag. 53 seg.). Una persona potrebbe infatti vedersi riconosciuto o respinto il rimborso dei costi di un medicamento a dipendenza dell'assicuratore presso il quale è affiliato. Ciò che, nell'ambito di un'assicurazione sociale obbligatoria per tutta la Svizzera, non appare ammissibile. Il citato progetto del Consiglio federale del 6 luglio 2016 di modifica degli articoli da 71a a 71d OAMal (cfr. consid. 2.6), prevede del resto e giustamente un'armonizzazione dei criteri di rimborso, ciò che dovrebbe evitare, in futuro una disparità di trattamento tra assicurati. Il costo complessivo di 4 impianti, ossia fr. 75'956 (18'989 X 4), rientra del resto nei limiti posti dal Tribunale federale in casi simili ed è inferiore rispetto ai costi ritenuti proporzionati di cui alla DTF 142 V 144 (cfr. anche 136 V 395). Non va poi dimenticato che nella modifica dell'OAMal messa in consultazione dal Consiglio federale in seguito ad un ampio dibattito politico, il nuovo art. 71c OAMal relativo all'assunzione dei costi di un medicamento importato non omologato da Swissmedic al cpv. 2 prevede che l'assicuratore remunera i costi a cui il medicamento è importato dall'estero. L'UFSP ha giustificato questa norma rammentando che altrimenti la differenza di prezzo resterebbe a carico o del fornitore di prestazioni o all'assicurato in violazione dell'art. 44 cpv. 1 LAMal (protezione tariffale). Non deve certo essere la persona assicurata, che non ha alcun poter contrattuale, a subire la politica dei prezzi applicata ai medicinali. Spetta semmai alle preposte autorità federali intervenire per fissare i prezzi del farmaco. Va infine ribadito che in Germania, Paese in cui notoriamente i prezzi dei medicinali sono inferiori e che recentemente il Dipartimento federale dell'Interno (DFI) ha ritenuto essere, unitamente all'Olanda, un Paese modello cui ispirarsi per il contenimento dei costi (cfr. comunicato stampa del 2 settembre 2016: necessarie ulteriori misure per arginare l'aumento delle prestazioni sanitarie: "[...] Il DFI analizzerà inoltre modelli per la gestione strategica dell'incremento dei costi delle prestazioni adottati da altri Paesi europei, concentrandosi in particolare sulla Germania e i Paesi Bassi che dispongono di sistemi sanitari simili a quello svizzero. Nei settori ospedaliero e ambulatoriali questi Paesi applicano strumenti di gestione strategica in materia di budget o di quantità delle prestazioni da fornire [...]"), è stato stabilito, il 4 agosto 2016, un costo per la terapia con il farmaco in esame nella misura di un ammontare annuo di Euro 76'200,72-101'600,96 per 4 impianti. 2.13. L'insorgente sostiene che l'assicuratore avrebbe violato l'art. 8 CEDU (rispetto al diritto della vita privata e familiare). La norma prevede che ogni persona ha diritto al rispetto della propria vita privata e familiare, del proprio domicilio e della propria corrispondenza (n. 1) e che non può esservi ingerenza di una autorità pubblica nell'esercizio di tale diritto a meno che tale ingerenza sia prevista dalla legge e costituisca una misura che, in una società democratica, è necessaria alla sicurezza nazionale, alla pubblica sicurezza, al benessere economico del paese, alla difesa dell'ordine e alla prevenzione dei reati, alla protezione della salute o della morale, o alla protezione dei diritti e delle libertà altrui (n. 2). L'art. 8 CEDU non fonda un diritto diretto a prestazioni delle assicurazioni sociali, e meglio un obbligo di fornire prestazioni finanziarie o di garantire un determinato livello di vita. Esso implica semmai, a certe condizioni, il rispetto effettivo della vita privata o familiare. In una sentenza pubblicata in DTF 139 I 257, relativa alla richiesta di una rendita per vedova, il TF ha infatti rammentato che: " 5 .2.2 D'après la jurisprudence constante de la CourEDH, l'art. 8 CEDH ne fonde pas un droit direct à des prestations d'assurance sociale. Certes, la Cour a reconnu que si l'art. 8 CEDH a essentiellement pour objet de prémunir l'individu contre les ingérences arbitraires des pouvoirs publics, il peut impliquer, dans

certaines circonstances, des obligations positives inhérentes à un respect effectif de la vie privée ou familiale (arrêt de la CourEDH Botta contre Italie du 24 février 1998, Recueil CourEDH 1998-I p. 412 § 33). L'art. 8 CEDH n'impose toutefois pas aux Etats contractants une obligation de fournir certaines prestations financières ou de garantir un certain niveau de vie (arrêt de la CourEDH Petrovic contre Autriche du 27 mars 1998, Recueil CourEDH 1998-II p. 579 §§ 26 ss, et décision sur la recevabilité Pancenko contre Lettonie du 28 octobre 1999). 5.2.3 En l'occurrence, la recourante n'allègue pas - à juste titre - qu'elle aurait été entravée par les autorités suisses dans ses choix de vie et le développement de sa relation familiale. On relèvera à cet égard qu'elle a pu s'occuper de son mari malade librement et sans contrainte jusqu'au décès de celui-ci. Dans ces conditions, on peine à voir en quoi le refus actuel de verser une rente de veuve à la suite du décès de son conjoint constituerait une ingérence des pouvoirs publics dans la vie privée et familiale de la recourante. Quoi qu'il en soit, l'art. 8 CEDH ne fonde pas, comme on l'a vu, un droit direct à des prestations financières de l'Etat, singulièrement à des prestations d'assurance sociale sous la forme d'une rente de veuve ou de veuf (arrêt 9C_617/2011 du 4 mai 2012 consid. 3.3, in SVR 2012 AHV n° 14 p. 53)." (sottolineature del redattore) In ambito di assicurazione invalidità, con sentenza pubblicata in DTF 139 I 155 il TF ha affermato: " (...)

E. 4

I costi assunti devono essere proporzionati al beneficio terapeutico. L'assicuratore stabilisce l'importo della remunerazione." Con sentenza pubblicata in DTF 142 V 26 il TF ha esaminato l'art. 65d cpv. 1 bis OAMal (nella formulazione in vigore dal 1° giugno 2013 al 31 maggio 2015) in relazione con l'art. 32 cpv. 1 e 2 LAMal; riesame ogni tre anni delle condizioni d'ammissione nell'elenco delle specialità. L'Alta Corte ha stabilito che per il concetto di economicità ai sensi dell'art. 32 cpv. 1 LAMal sono essenziali i termini di confronto (consid. 5.2.1). Se sono disponibili più medicinali con la stessa indicazione o con effetti simili, la valutazione comparativa rispettivamente l'analisi del rapporto tra costi e benefici è un elemento indispensabile nell'esame delle condizioni per l'ammissione nell'elenco delle specialità (consid. 5.2.2). Il riesame periodico secondo l'art. 32 cpv. 2 LAMal deve avvenire in modo completo e deve includere l'analisi costi-benefici (consid. 5.2.3). Un'analisi indiretta tra costi e benefici è effettuata mediante controlli incrociati terapeutici (consid. 5.3). L'art. 65d cpv. 1 bis OAMal, che prevede di regola un riesame riferito esclusivamente ai prezzi, disattende il principio di legalità (consid. 5.4). In DTF 142 V 144 l'Alta Corte ha stabilito che la sorveglianza notturna di un apparecchio respiratorio, necessario per un assicurato che soffre della sindrome di Ondine e che esige un'attenzione costante del personale Spitex per tutta la durata della misura, rientra in una sorveglianza a norma dell'art. 7 cpv. 2 lett. b n. 9 OPre (consid. 5.2). La questione dell'economicità della cura Spitex non si pone in mancanza di un'alternativa efficace e adeguata (consid. 6). Nessuna sproporzione manifesta tra il costo e l'utilità della cura (consid. 7). In una sentenza 9C_667/2015 del 7 giugno 2016 destinata a pubblicazione, il Tribunale federale si è espresso in merito ad un trattamento contro le emicranie violente, stabilendo che adempiva alle condizioni di efficacia previsto dalla LAMal. La causa è stata rinviata per determinare se il medicamento poteva provocare effetti secondari nefasti se preso in dosi diverse rispetto a quelle indicate da Swissmedic. 2.6. Va ancora evidenziato che il

E. 4.1

L'art. 8 par. 1 CEDH garantit le droit au respect de la vie privée et familiale, c'est-à-dire le droit de toute personne de choisir son mode de vie, d'organiser ses loisirs et celui de nouer

et de développer des relations avec ses semblables, respectivement d'entretenir librement ses relations familiales et de mener une vie de famille. Le droit au respect de la vie privée protège notamment l'intégrité physique et morale d'une personne; il est destiné à assurer le développement sans ingérences extérieures de la personnalité de chaque individu dans les relations avec ses semblables (arrêt de la Cour européenne des droits de l'homme [ci-après: CourEDH] *Botta contre Italie* du 24 février 1998, Recueil CourEDH 1998-I p. 412 § 32). Le droit au respect de la vie familiale protège la personne contre les atteintes que pourrait porter l'Etat et qui auraient pour but ou pour effet de séparer la famille ou, au contraire, de la contraindre à vivre ensemble, ou encore d'intervenir d'une manière ou d'une autre dans la relation familiale, notamment dans les rapports entre les parents et leurs enfants (cf. arrêt de la CourEDH *Marckx contre Belgique* du 13 juin 1979 § 31; ATF 137 V 334 consid. 6.1.1 p. 347). Selon la jurisprudence de la CourEDH, les rapports entre adultes ne bénéficient pas nécessairement de la protection de l'art. 8 CEDH sans que soit démontrée l'existence d'éléments supplémentaires de dépendance, autres que les liens affectifs normaux (arrêt de la CourEDH *Yilmaz contre Allemagne* du 17 avril 2003 § 44). L'art. 8 par. 1 CEDH garantit aussi le droit de l'individu au respect de son domicile, soit du lieu, de l'espace physiquement déterminé où se développe la vie privée et familiale. L'individu a droit au respect de son domicile, conçu non seulement comme le droit à un simple espace physique mais aussi comme celui à la jouissance, en toute tranquillité, dudit espace. Des atteintes au droit au respect du domicile ne visent pas seulement les atteintes matérielles ou corporelles, telles que l'entrée dans le domicile d'une personne non autorisée, mais aussi les atteintes immatérielles ou incorporelles, telles que les bruits, les émissions, les odeurs et autres ingérences (arrêt de la CourEDH *Moreno contre Espagne* du 16 novembre 2004, Recueil CourEDH 2004-X p. 307 § 53).

E. 4.2

Selon la jurisprudence constante de la CourEDH, l'art. 8 CEDH ne fonde pas un droit direct à des prestations d'assurance sociale. La CourEDH a certes reconnu que si l'art. 8 CEDH a essentiellement pour objet de prémunir l'individu contre les ingérences arbitraires des pouvoirs publics, il peut impliquer, dans certaines circonstances, des obligations positives inhérentes à un respect effectif de la vie privée ou familiale (parmi d'autres, arrêt *Botta*, § 33). Elle a toutefois retenu que l'art. 8 CEDH n'impose pas aux Etats contractants l'obligation de fournir certaines prestations financières ou de garantir un certain niveau de vie (arrêt *Petrovic contre Autriche* du 27 mars 1998, Recueil Cour EDH 1998-II p. 579 §§ 26 ss; décision d'irrecevabilité *Pancenko contre Lettonie* du 28 octobre 1999). Cette disposition ne limite pas la liberté des Etats de décider s'il convient ou non d'instaurer un système de sécurité sociale ou de choisir le type ou le niveau de prestations devant être accordées au titre de pareil régime (arrêt de la CourEDH *Stec et autres contre Royaume-Uni* du 12 avril 2006, Recueil Cour EDH 2006-VI p. 159 § 53). La CourEDH a ainsi considéré que le refus d'attribuer une allocation de congé parental au requérant ne constituait pas une restriction de la vie familiale, parce que l'art. 8 CEDH n'impose pas aux Etats une obligation positive de fournir l'assistance financière en question (arrêt *Petrovic*, § 26). (...) C'est le lieu de préciser que dans les cas dans lesquels la CourEDH a examiné le refus de prestations déterminées de l'assurance sociale à la lumière des droits garantis par la CEDH, elle s'est fondée sur le Protocole n° 1 du 20 mars 1952 à la CEDH, comme par exemple, dans l'arrêt *Moskal contre Pologne* du 15 septembre 2009 § 93 s., cité par les recourantes (voir aussi les arrêts *Stec et autres*, § 53; *Koua Poirrez contre France* du 30 septembre 2003, Recueil CourEDH 2003-X p. 45 §§ 43 ss). La Suisse n'ayant pas ratifié ce protocole,

elle n'est pas liée par la jurisprudence de la CourEDH relative à l'allocation non discriminatoire de prestations de la sécurité sociale fondée sur l'art. 1 du protocole. ” In concreto la censura è divenuta priva di oggetto. Infatti, alla luce dell'esito del ricorso, e meglio del riconoscimento di 4 impianti (sui 5 domandati), al prezzo richiesto di fr. 18'989, la qualità di vita della ricorrente viene sicuramente migliorata. Ora, l'insorgente al punto 2.3 (pag. 14) del ricorso, laddove invoca l'art. 8 CEDU, non afferma che sarebbe stata impedita nelle sue scelte o nella sua vita familiare, ma sostiene semmai che vi sarebbe violazione dell'art. 8 CEDU essendo lo Stato obbligato a prendere a carico un trattamento con l'obiettivo di migliorare considerevolmente la qualità di vita di una persona. Ciò è il caso in concreto con il parziale accoglimento del ricorso, senza che sia necessario esaminare oltre la questione. 2.14. La ricorrente ha chiesto, segnatamente, la produzione dell'intero incarto all'assicuratore, nonché l'audizione o l'interpellazione della propria curante, Prof. dr.ssa med. _____ (doc. I). Questo Tribunale evidenzia che l'incarto è stato prodotto dalla convenuta con la risposta di causa, mentre la Prof. dr.ssa med. _____ è stata interpellata da questo Tribunale e la ricorrente ha prodotto una sua ulteriore presa di posizione. Pendente causa il TCA ha inoltre proceduto a numerosi accertamenti. Alla luce dell'esito dei medesimi, non risulta necessario assumere altre prove (cfr. circa la richiesta della convenuta di procedere con ulteriori richieste a Clinuvel o alla Prof. dr.ssa med. _____ in relazione con l'apparizione nel sito internet di notizie relative al programma “Access” in Svizzera ed Italia, il consid. 2.12). Conformemente alla costante giurisprudenza, qualora l'istruttoria da effettuare d'ufficio conduca l'amministrazione o il giudice, in base ad un apprezzamento coscienzioso delle prove, alla convinzione che la probabilità di determinati fatti deve essere considerata predominante e che altri provvedimenti probatori non potrebbero modificare il risultato, si rinuncerà ad assumere altre prove (apprezzamento anticipato delle prove; Kieser, Das Verwaltungsverfahren in der Sozialversicherung, pag. 212 no. 450, Kölz/Häner, Verwaltungsverfahren und Verwaltungsrechtspflege des Bundes, 2a ed., pag. 39 no. 111 e pag. 117 no. 320; Gygi, Bundesverwaltungsrechtspflege, 2a ed., pag. 274; cfr. anche STFA dell'11 gennaio 2002 nella causa C., H 103/01; DTF 122 II 469 consid. 4a, 122 III 223 consid. 3c, 120 Ib 229 consid. 2b, 119 V 344 consid. 3c e riferimenti). Tale modo di procedere non costituisce una violazione del diritto di essere sentito desumibile dall'art. 29 cpv. 2 Cost. (e in precedenza dall'art. 4 vCost.; DTF 124 V 94 consid. 4b, 122 V 162 consid. 1d, 119 V 344 consid. 3c e riferimenti). 2.15. Con l'emissione della sentenza di merito la domanda di misure supercautelari, rispettivamente di misure cautelari diventa priva di oggetto.

E. 6

luglio 2016 il Consiglio federale ha posto in consultazione una modifica dell'OAMal che regola il rimborso dei medicinali in maniera più chiara (cfr. www.admin.ch, comunicato stampa del 6 luglio 2016 “nuove modalità per il riesame dei prezzi dei medicinali”). Circa le modifiche relative al rimborso dei medicinali nel singolo caso l'Esecutivo federale ha affermato: “ (...) Il Consiglio federale intende adeguare anche le disposizioni che concernono il rimborso nel singolo caso. Finora erano disciplinate le condizioni alle quali un medicinale poteva essere rimborsato dall'AOMS se non era iscritto nell'elenco delle specialità (ES), non era destinato al trattamento di una determinata malattia o non poteva essere omologato da Swissmedic (cosiddetti off-limitation-use oppure off-label-use). In questi casi un rimborso è possibile se non è disponibile un altro trattamento omologato efficace e se la malattia può avere esito letale o può provocare danni gravi e cronici alla salute. Per ogni medicinale in questione il medico curante deve presentare una domanda

di garanzia di assunzione dei costi all'assicuratore malattie, che decide dopo essersi consultato con il medico di fiducia. D'ora in poi questa decisione dovrà essere presa entro due settimane. L'assicuratore malattie continuerà a decidere il prezzo al quale il medicamento sarà rimborsato, ma in futuro rimborserà al massimo soltanto il 90 per cento del prezzo figurante nell'ES. Per i medicinali importati sarà rimborsato il prezzo effettivo. Un'altra novità è costituita dal disciplinamento più chiaro dell'obbligo delle industrie farmaceutiche di partecipare al processo di fissazione dei prezzi. Gli adeguamenti fanno parte dell'attuazione del Programma nazionale malattie rare che, sotto l'egida dell'Ufficio federale della sanità pubblica (UFSP), intende garantire cure mediche di qualità alle persone che ne sono affette." Gli articoli da 71a a 71d OAMal posti in consultazione prevedono: " (...) Art. 71a cpv. 2 e 3 2 L'assicuratore remunera al massimo il 90 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna iscritto nell'elenco delle specialità. D'intesa con il titolare dell'omologazione, stabilisce l'importo della remunerazione. 3 Abrogato (...) Art. 71b Assunzione dei costi di un medicamento omologato dall'Istituto non ammesso nell'elenco delle specialità 1 L'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie assume i costi di un medicamento pronto per l'uso omologato dall'Istituto, non ammesso nell'elenco delle specialità, per un impiego che rientra o non rientra nell'informazione professionale se sono adempiute le condizioni di cui all'articolo 71 a capoverso 1 lettera a o b. 2 L'economicità è valutata in base a un confronto con i prezzi praticati all'estero secondo l'articolo 65 b capoverso 2 lettera a. Per calcolare il prezzo medio di fabbrica per la consegna applicabile negli Stati di riferimento è determinante l'articolo 65 b capoversi 3 e 4. 3 Su richiesta, il titolare dell'omologazione comunica all'assicuratore i prezzi di fabbrica per la consegna applicabili negli Stati di riferimento al momento della domanda di assunzione dei costi. 4 L'assicuratore remunera al massimo il 90 per cento del prezzo medio di fabbrica per la consegna applicabile negli Stati di riferimento. D'intesa con il titolare dell'omologazione, stabilisce l'importo della remunerazione. Art. 71c Assunzione dei costi di un medicamento importato non omologato dall'Istituto 1 L'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie assume i costi di un medicamento pronto per l'uso non omologato dall'Istituto, che può essere importato secondo la legge sugli agenti terapeutici, se le condizioni di cui all'articolo 71 a capoverso 1 lettera a o b sono adempiute e il medicamento è omologato per la corrispondente indicazione da uno Stato con un sistema di omologazione riconosciuto come equivalente dall'Istituto. 2 L'assicuratore remunera i costi a cui il medicamento è importato dall'estero. Il fornitore di prestazioni sceglie il Paese da cui è importato il medicamento prestando attenzione ai costi. Se il medicamento è distribuito in altri Paesi, nei quali è offerto a un prezzo inferiore, l'assicuratore può chiedere che il fornitore di prestazioni lo importi da uno di questi Paesi. Art. 71d Disposizioni comuni 1 L'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie assume i costi del medicamento soltanto previa garanzia speciale dell'assicuratore e previa consultazione del medico di fiducia. 2 L'assicuratore verifica se i costi assunti dall'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie siano proporzionati al beneficio terapeutico. 3 Se la domanda di garanzia di assunzione dei costi è completa, l'assicuratore decide in merito entro due settimane. 4 Se per un medicamento impiegato nell'ambito di una sperimentazione terapeutica individuale un beneficio elevato può essere stabilito solo dopo la decisione in merito alla garanzia di assunzione dei costi, prima dell'inizio della terapia l'assicuratore Assicurazione malattie determina, su proposta del fornitore di prestazioni e del titolare dell'omologazione, il momento della verifica del beneficio elevato. Di norma la durata massima della remunerazione del medicamento nell'ambito della sperimentazione

terapeutica è di dodici settimane. Se, in via eccezionale, per determinare il beneficio elevato occorre una sperimentazione terapeutica più lunga, il fornitore di prestazioni deve motivare tale necessità nella domanda di garanzia di assunzione dei costi. 5 Il prezzo massimo di un medicamento disponibile in Svizzera è composto dal prezzo di fabbrica per la consegna remunerato dall'assicuratore secondo gli articoli 71 a capoverso 2 o 71 b capoverso 4, dalla parte propria alla distribuzione di cui all'articolo 67 capoverso 1quater e dall'imposta sul valore aggiunto ridotta. Per i medicinali importati sono remunerati i costi di distribuzione effettivi." Nel commento dell'UFSP alle modifiche dell'OAMal, e meglio degli art. 71a e 71b, figura che " nell'autunno del 2014, l'UFSP ha costituito un gruppo di lavoro, assieme alle associazioni degli assicuratori, dei medici di fiducia e dell'industria farmaceutica, allo scopo di discutere delle problematiche emerse nella valutazione e di possibili piste di soluzione. E' emerso che per migliorare la situazione sono ipotizzabili sia un adeguamento delle disposizioni dell'OAMal sia misure a livello dei medici di fiducia. Pertanto, sulla base di quanto prescritto nella misura 13 del piano nazionale sulle malattie rare, i medici di fiducia stanno elaborando formulari uniformi di garanzia di assunzione dei costi, che semplifichino la valutazione delle domande e garantiscano che il medico di fiducia ottenga dai fornitori di prestazioni richiedenti tutte le informazioni necessarie. Ciò dovrebbe assicurare un'accelerazione dell'esame delle domande. Si sta inoltre riflettendo su come migliorare ulteriormente i modelli di valutazione dei benefici applicati dai medici di fiducia. Per gli adeguamenti degli articoli 71a e 71b OAMal sono stati presi in considerazione, nei limiti del possibile, sia i risultati della valutazione sia le proposte formulate dal gruppo di lavoro. L'obiettivo degli adeguamenti era di garantire una valutazione uniforme della remunerazione nel singolo caso, migliorare la collaborazione tra i fornitori di prestazioni, i medici di fiducia, gli assicuratori e i titolari dell'omologazione nonché accelerare l'esame delle domande di garanzia di assunzione dei costi ". Relativamente alle modifiche dei singoli articoli, l'UFSP ha affermato: " (...) 1.15 Assunzione dei costi di un medicamento dell'elenco delle specialità che non rientra nell'informazione professionale approvata o nella limitazione (art. 71a OAMal) (...) Il nuovo capoverso 2 stabilisce a quale prezzo i medicinali che non rientrano nella limitazione dell'ES o nell'informazione specializzata di Swissmedic sono considerati economici: se sono adempite le condizioni di cui all'articolo 71 a capoverso 1 lettera a o b OAMal, l'assicuratore rimborsa al massimo il 90 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna iscritto nell'ES. Finora il prezzo massimo era rappresentato dal prezzo dell'ES. La riduzione almeno del 10 per cento è giustificata, dal momento che, in particolare in caso di uso che non rientra nell'informazione specializzata approvata, il titolare dell'omologazione non ha dovuto farsi carico di costi di ricerca e di sviluppo nonché dell'approvazione dell'indicazione da parte di Swissmedic. Mentre per le indicazioni non iscritte nell'ES il titolare dell'omologazione non ha dovuto farsi carico dei costi per l'ammissione dell'indicazione nell'ES. Questa disposizione permette inoltre di incentivare i titolari dell'omologazione ad annunciare nuove indicazioni a Swissmedic e a farle iscrivere nell'ES. Il rimborso attraverso l'AOMS di un'indicazione non iscritta nell'ES o non approvata da Swissmedic dovrebbe essere l'eccezione. Di regola, l'AOMS deve rimborsare unicamente i medicinali la cui efficacia e la cui sicurezza sono state approvate da Swissmedic e che adempiono i criteri di efficacia, appropriatezza ed economicità previsti dalla LAMal. Con la disposizione secondo cui l'assicuratore rimborsa al massimo il 90 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna iscritto nell'ES, gli assicuratori si riservano la possibilità di fissare un prezzo adeguato al beneficio. Tale prezzo può essere inferiore al 90 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna. In definitiva, la

fissazione del prezzo resta di competenza dell'assicuratore. Oltre alla sua competenza, il secondo periodo del capoverso 2 stabilisce anche che l'assicuratore deve definire il prezzo, che deve avere luogo uno scambio tra titolari dell'omologazione e assicuratori in merito alla fissazione del prezzo e che i titolari dell'omologazione devono essere disposti a consegnare il medicamento da essi distribuito a un prezzo inferiore, corrispondente al beneficio della terapia. Lo scopo è di evitare che, in assenza di una base giuridica che obblighi a negoziare il prezzo, i titolari dell'omologazione si rifiutino di consegnare il medicamento a un prezzo ridotto, che l'assicuratore considera adeguato rispetto al beneficio atteso dalla terapia. Il capoverso 2 dell'articolo 71 a OAMal vigente e il primo periodo dell'articolo 71 a capoverso 3 OAMal vigente sono trasferiti nelle disposizioni comuni dell'articolo 71 d OAMal. Il secondo e il terzo periodo dell'articolo 71 a capoverso 3 OAMal vigente possono essere stralciati, dal momento che la competenza degli assicuratori di fissare il prezzo è ora già disciplinata al capoverso 2.

1.16 Assunzione dei costi di un medicamento non ammesso nell'elenco delle specialità (art. 71 b OAMal) La rubrica dell'articolo è modificata in «Assunzione dei costi di un medicamento omologato dall'Istituto, non ammesso nell'elenco delle specialità». Il capoverso 1 vigente resta invariato. Il nuovo capoverso 2 stabilisce a quale prezzo i medicinali non iscritti nell'ES sono considerati economici. L'uso di un medicamento può rientrare o meno nell'informazione specializzata approvata. Se sono adempiute le condizioni di cui all'articolo 71 a capoverso 1 lettera a o b OAMal, l'economicità deve essere valutata in base a un CPE secondo l'articolo 65 b capoverso 1 lettera a OAMal, sulla falsariga della valutazione dell'economicità da parte dell'UFSP. In assenza di un'iscrizione nell'ES, manca anche un prezzo di fabbrica per la consegna fissato dall'UFSP nell'ES, a cui poter fare riferimento. Per decidere in merito all'ammissione di un medicamento o di nuova indicazione nell'ES, l'UFSP si basa su un CTT, oltre che su un CPE. Siccome l'articolo 71 a capoverso 1 lettera b prevede che una remunerazione nel singolo caso sia ammessa solo se non esiste alcuna alternativa terapeutica, in tal caso non è possibile effettuare un CTT per riesaminare l'economicità. Per calcolare il prezzo medio di fabbrica per la consegna negli Stati di riferimento è determinante l'articolo 65 b capoversi 2 e 3 OAMal. Le modalità del CPE sono disciplinate in dettaglio agli articoli 34 a bis-34 c OPre. Queste disposizioni sono determinanti anche per il CPE nell'ambito della remunerazione dei medicinali nel singolo caso. Il capoverso 3 stabilisce a tal proposito che il titolare dell'omologazione deve comunicare all'assicuratore, su richiesta, i prezzi di fabbrica per la consegna applicabili negli Stati di riferimento al momento della domanda di assunzione dei costi. Per convertire questi prezzi negli Stati di riferimento in franchi svizzeri sono determinanti i tassi di cambio medi sull'arco di dodici mesi, pubblicati sulla homepage dell'UFSP. Anche per i medicinali non ammessi nell'ES, il capoverso 4 prevede che l'assicuratore rimborsi al massimo il 90 per cento del prezzo medio di fabbrica per la consegna negli Stati di riferimento. Sussiste pertanto anche in questo caso un incentivo a far omologare i medicinali da Swissmedic per la relativa indicazione e in particolare a chiedere l'ammissione del medicamento nell'ES. Anche in questo caso, a seconda del beneficio l'assicuratore può fissare un prezzo inferiore al 90 per cento del prezzo medio di fabbrica per la consegna negli Stati di riferimento e il titolare dell'omologazione è tenuto a partecipare ai negoziati sul prezzo corrispondente al beneficio. La remunerazione dei medicinali importati conformemente al capoverso 2 dell'articolo 71 b OAMal vigente è ora disciplinata in un articolo separato (art. 71 c OAMal). Il capoverso 3 vigente e il primo periodo del capoverso 4 vigente sono trasferiti nelle disposizioni comuni all'articolo 71 d OAMal. L'ultimo periodo del capoverso 4 è

stralciato, dal momento che la competenza degli assicuratori di fissare il prezzo è ora disciplinata al capoverso 2 e sono definiti anche i criteri per calcolare il prezzo. 1.17 Assunzione dei costi di un medicamento importato non omologato dall'Istituto (art. 71 c OAMal) Mentre i nuovi articoli 71 a e 71 b OAMal disciplinano la remunerazione di medicinali che per principio sono omologati in Svizzera, la remunerazione dei medicinali non omologati e di conseguenza non distribuiti in Svizzera è ora prevista in un articolo separato. Ciò consente di evidenziare meglio tale distinzione. Il capoverso 1 corrisponde al capoverso 2 dell'articolo 71 b OAMal vigente e il suo contenuto non ha subito alcuna modifica. Il capoverso 2 disciplina la remunerazione. Siccome gli assicuratori non possono negoziare i prezzi con i titolari esteri dell'omologazione e i fornitori di prestazioni devono acquistare i medicinali ai prezzi praticati effettivamente all'estero, per i medicinali importati l'assicuratore deve rimborsare il prezzo effettivo. È dimostrato che con un disciplinamento analogo della remunerazione dei medicinali importati per i casi di cui agli articoli 71 a e 71 b OAMal per il fornitore di prestazioni insorgono costi che non vengono remunerati. Se anche nei casi di cui all'articolo 71 c OAMal l'assicuratore rimborsasse solo il 90 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna e non conducesse a tale proposito una discussione in merito al prezzo con il titolare dell'omologazione, il restante 10 per cento del prezzo di fabbrica per la consegna dovrebbe essere assunto dal fornitore di prestazioni oppure imputato in modo non consentito all'assicurato, nonostante tale pratica rappresenti una violazione dell'articolo 44 capoverso 1 LAMal (Protezione tariffale). Il fornitore di prestazioni è tenuto a prestare attenzione ai costi della terapia e a importare il medicamento al minor prezzo possibile. L'assicuratore ha la possibilità di esigere che il medicamento sia importato da un altro Paese, se ciò comporta un prezzo inferiore a carico dell'AOMS. 1.18 Disposizioni comuni (art. 71 d OAMal) Il capoverso 1 stabilisce che l'AOMS assume i costi del medicamento nei casi specifici di cui agli articoli 71 a -71 c OAMal soltanto previa garanzia speciale dell'assicuratore e previa consultazione del medico di fiducia. Questa disposizione corrisponde agli articoli 71 a capoverso 2 e 71 b capoverso 3 OAMal vigenti. Secondo il capoverso 2 i costi assunti devono essere proporzionati al beneficio terapeutico. Questa disposizione era finora contenuta nell'articolo 71 a capoverso 3 primo periodo OAMal e nell'articolo 71 b capoverso 4 primo periodo OAMal. Il nuovo diritto prevede esplicitamente che l'assicuratore verifichi se i costi assunti dall'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie sono proporzionati al beneficio terapeutico. A differenza del disciplinamento vigente, il capoverso 3 prevede che, se viene presentato il formulario di garanzia di assunzione dei costi completo, l'assicuratore decide in merito alla remunerazione entro due settimane. Siccome la remunerazione eccezionale di medicinali nel singolo caso riguarda spesso medicinali contro malattie gravi, è indispensabile che l'assicuratore decida rapidamente in merito alla remunerazione del trattamento. I formulari di garanzia di assunzione dei costi standardizzati elaborati dai medici di fiducia consentono di accelerare la procedura. In caso di domanda incompleta, l'assicuratore non è tenuto a decidere in merito alla domanda entro il termine fissato. Il capoverso 4 disciplina le cosiddette sperimentazioni terapeutiche per un singolo paziente. In linea di massima una remunerazione nel singolo caso deve essere possibile solo se i dati clinici e lo stato di salute dell'assicurato lasciano presumere che la terapia prevista avrà un elevato beneficio terapeutico. L'esperienza ha però mostrato che i dati disponibili prima dell'inizio della cura e quindi prima dell'approvazione della garanzia di assunzione dei costi da parte dell'assicuratore non consentono di dimostrare in misura sufficiente l'ottenimento di un elevato beneficio terapeutico per il paziente interessato. Il beneficio è

solo ipotizzato. In tal caso, prima dell'inizio della terapia l'assicuratore, il fornitore di prestazioni e il titolare dell'omologazione possono convenire di tentare una terapia e accordarsi sul momento in cui si verificherà se la terapia farmacologica ha veramente prodotto un beneficio elevato. Solitamente, le sperimentazioni terapeutiche non durano più di dodici settimane. Se, a titolo eccezionale, è necessaria una cura più lunga prima di poter stabilire il beneficio elevato, il fornitore di prestazioni deve motivare tale richiesta all'assicuratore, basandosi su dati estratti dalla letteratura e spiegando perché dopo dodici settimane non è ancora possibile verificare il beneficio elevato. L'assicuratore indica la scadenza concordata nella domanda di garanzia di assunzione dei costi. Finora gli articoli 71 a e 71 b OAMal non disciplinavano espressamente le modalità di rimborso della distribuzione di medicinali impiegati nella cura di un singolo caso a un prezzo di fabbrica per la consegna ridotto. Il primo periodo del capoverso 5 disciplina ora la remunerazione della distribuzione nel singolo caso. Al prezzo di fabbrica per la consegna dell'ES ridotto secondo l'articolo 71 a capoverso 2 OAMal, rispettivamente al prezzo medio di fabbrica per la consegna negli Stati di riferimento ridotto secondo l'articolo 71 b capoverso 4 OAMal occorre aggiungere la parte propria alla distribuzione secondo l'articolo 67 capoverso 1 quater OAMal in combinato disposto con l'articolo 38 OPre, in modo da indennizzare il fornitore di prestazioni per le sue spese. Il prezzo massimo risulta pertanto dal prezzo di fabbrica dell'ES ridotto o dal prezzo medio di fabbrica per la consegna negli Stati di riferimento ridotto più la parte propria alla distribuzione e l'imposta sul valore aggiunto ridotta per i medicinali. Il secondo periodo del capoverso 5 stabilisce che per i medicinali importati sono remunerati i costi di distribuzione effettivi, dato che in caso d'importazione possono sorgere altri costi rispetto alla distribuzione del medicamento in Svizzera. Questo disciplinamento contribuisce ad assicurare che non insorgano costi non coperti a carico del fornitore di prestazioni." Va ancora evidenziato che la modifica trae spunto dall'interpellanza 14.3180 della consigliera nazionale PPD Ruth Humbel del 20 marzo 2014 (<<Articoli 71 a e 71 b OAMal. Gravi conseguenze per i pazienti>>), del seguente tenore: " (...) Secondo il comunicato pubblicato dall'Ufficio federale della sanità pubblica (UFSP) il 27 febbraio 2014 sui risultati della valutazione commissionata a un ufficio esterno, gli articoli 71a e 71b OAMal avrebbero avuto effetti positivi. Come dimostra l'esempio seguente, tuttavia, le cose non stanno così. Sulla base della sua diagnosi e dei dati clinici, un oncologo dell'ospedale cantonale di Aarau decide di curare un paziente combinando un medicamento contro il cancro e un farmaco chemioterapeutico figuranti entrambi sull'elenco delle specialità ES. Poiché però la combinazione dei due preparati non rientra nelle limitazioni dell'ES, il rimborso è retto dagli articoli 71a e 71b OAMal. Dopo uno scambio epistolare durato settimane, la cassa malati decide di rimborsare soltanto metà dei costi della terapia. Eppure, la combinazione dà già buoni risultati ed è meno costosa delle combinazioni e delle terapie stazionarie previste dall'assicurazione. Conseguenza: per non creare ulteriori problemi a una persona sofferente di un cancro allo stadio avanzato ed in pericolo di vita, l'ospedale cantonale di Aarau ha dovuto coprire la differenza. Nello stesso periodo, confrontato con un caso identico, un altro assicuratore ha deciso nel giro di due giorni di coprire per intero i costi della terapia. Interpellato in proposito, l'UFSP ha confermato che l'entità dei rimborsi secondo gli articoli 71a e 71b OAMal è decisa liberamente dagli assicuratori e segnalato al paziente i rimedi giuridici! Questo esempio mostra come le controindicazioni delle combinazioni di medicinali e le modifiche apportate alle dosi per renderle meglio tollerabili per il paziente possano implicare che la terapia non sia rimborsata secondo l'ES, ma secondo gli articoli 71a e 71b OAMal, cioè

secondo disposizioni in cui il rimborso è a discrezione degli assicuratori. Per questa ragione chiedo al Consiglio federale di rispondere alle seguenti domande: 1. Come giudica il fatto che ai pazienti cui è stato parzialmente o totalmente rifiutato il rimborso, ci si limiti ad indicare le vie legali che possono consentir loro di strappare una terapia efficace? 2. È disposto a istituire un servizio - interno o esterno all'UFSP - presso il quale gli interessati (pazienti, organizzazioni di pazienti, medici, ospedali, farmaceutica) possano segnalare casi problematici dovuti agli articoli 71a e 71b OAMal? Il 28 maggio 2014 il Consiglio federale ha affermato: " (...) 1. Il Consiglio federale ha già avuto più volte occasione di spiegare a che condizioni i medicinali sono rimborsati dall'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie AOMS (cfr. l'interpellanza Berberat 13.4191, "A che punto siamo con i medicinali in uso off label e le malattie orfane?" e la mozione Steiert 12.3816, "Parità di trattamento dei pazienti nell'accesso ai medicinali"). In caso d'impiego di medicinali al di fuori dell'informazione professionale approvata da Swissmedic o della limitazione dell'elenco delle specialità ES, gli assicuratori malattie devono valutare ogni singolo caso e possono dare una garanzia d'assunzione dei costi previa consultazione del medico di fiducia. Da notare che l'efficacia e la sicurezza del medicinale al di fuori dell'impiego previsto non sono verificate da Swissmedic e la decisione di omologazione non ne costituisce quindi una garanzia. Allo stesso modo l'Ufficio federale della sanità pubblica (UFSP) non valuta l'efficacia, l'appropriatezza e l'economicità dei medicinali al di fuori della limitazione dell'ES. In presenza di nuovi dati sull'efficacia di nuove combinazioni o dosaggi starebbe dunque al titolare dell'omologazione chiedere a Swissmedic un'estensione delle indicazioni e all'UFSP una modifica delle limitazioni. Se questo non è (ancora) avvenuto, il medico di fiducia deve valutare il caso e formulare una raccomandazione all'assicuratore malattie. Sulla base del beneficio atteso, l'assicuratore può decidere l'importo massimo rimborsabile. Nel suo parere in risposta alla mozione Steiert 12.3816, il Consiglio federale ha del resto segnalato che le valutazioni del singolo caso possono differire tra loro. L'UFSP esercita la vigilanza sugli assicuratori malattie, ma non ha la competenza di giudicare il beneficio terapeutico delle singole prescrizioni di medicinali. Non può quindi giudicare se la valutazione del beneficio terapeutico e la decisione dell'importo massimo rimborsabile da parte dell'assicuratore siano corrette. Può tutt'al più intervenire se un assicuratore rifiuta ripetutamente di coprire i costi. Dal canto loro, i pazienti possono adire le vie legali contro le decisioni negative degli assicuratori. In questi casi, i tribunali possono accertare con piena cognizione se il beneficio terapeutico sia tale da giustificare l'assunzione dei costi da parte dell'AOMS. Anche se per singoli assicurati la situazione non è soddisfacente, la valutazione dell'attuazione degli articoli 71a e 71b OAMal pubblicata il 28 gennaio 2014 (<http://www.bag.admin.ch/evaluation/01759/02074/13897/index.html?lang=fr>) ha tuttavia dimostrato che i presupposti da parte degli assicuratori malattie per un accesso paritario alle terapie in questione sono migliorati rispetto alla situazione prima dell'entrata in vigore dei due articoli. È però emersa anche la necessità di ulteriori miglioramenti. Proponendo di accogliere la mozione Steiert 12.3816, il Consiglio federale ha riconosciuto questa necessità e si è dichiarato disposto ad esaminare diverse soluzioni dopo la pubblicazione della valutazione. Sulla base dei risultati della valutazione nel frattempo disponibile, il DFI/UFSP studierà le misure più adatte affinché il potenziale di miglioramento emerso possa essere sfruttato efficacemente, sia da parte degli attori sia da parte della Confederazione. 2. Pur comprendendo la richiesta dell'autrice dell'interpellanza d'istituire un servizio presso il quale i pazienti possano segnalare casi problematici dovuti agli articoli 71a e 71b OAMal, il

Consiglio federale ritiene che l'Ufficio di mediazione dell'assicurazione malattie, competente anche per le questioni relative all'AOMS, sia fundamentalmente sufficiente allo scopo. Già oggi questo ufficio risponde infatti a domande concernenti il rimborso di medicinali in singoli casi. Nel quadro dell'elaborazione del rapporto in adempimento dei postulati Steiert 12.3207, Kessler 12.3100, Gilli 12.3124 e Heim 13.4152, il Consiglio federale sta inoltre esaminando in che misura è possibile migliorare la trasparenza nel settore dei diritti dei pazienti e degli assicurati, disciplinati a livello sia cantonale che federale, mediante, ad esempio, una piattaforma d'informazione o un servizio di assistenza centrali.” 2.7. In concreto la ricorrente è affetta da una malattia genetica, la protoporfiria eritropoietica (di seguito: EPP). Si tratta di una malattia ereditaria del metabolismo dell'eme, caratterizzata dall'accumulo di protoporfirina nel sangue, negli eritrociti e nei tessuti e da sintomi cutanei di fotosensibilità. La EPP è stata riportata a livello mondiale con una prevalenza compresa tra 1/75.000 e 1/200.000 (www.orpha.net). Si manifesta generalmente nella prima infanzia, subito dopo la prima esposizione al sole. La EPP è caratterizzata da sintomi cutanei di fotosensibilità dolorosa acuta, con eritema ed edema, a volte con petecchie, associate a una sensazione di prurito e bruciore, subito dopo l'esposizione alla luce solare o alla luce artificiale (400-700 nm), senza bolle. Questi episodi hanno una gravità variabile, in rapporto alla durata dell'esposizione e possono esitare in lesioni croniche permanenti sulla cute esposta (www.orpha.net). La ricorrente dal 2008, al fine di attenuare i sintomi della malattia, assume il medicamento SCENESSE® (Afamelanotide), che non figura nell'elenco delle specialità. La ditta farmaceutica produttrice, l'australiana Clinuvel, ha ottenuto il riconoscimento del farmaco nel dicembre 2014 per i Paesi dell'UE da parte dell'EMA (European Medicines Agency). In Svizzera il riconoscimento non è ancora stato ottenuto ed il medicamento è considerato orphan drug ai sensi dell'art. 14 cpv. 1 lett. f LATer. Ne segue che un rimborso è possibile unicamente ai sensi dell'art. 71b OAMal (cfr. anche doc. XIII, inc. 36.2016.63). L'EMA ha autorizzato il farmaco per la prevenzione di fototossicità in pazienti adulti affetti da protoporfiria eritropoietica (Erythropoietic Protoporphyrria , EPP; cfr. www.ema.europa.eu; numero autorizzazione: EU/1/14/969/001). Esso deve essere prescritto esclusivamente da medici specialisti, in centri riconosciuti per il trattamento delle porfirie, e l'inserimento deve essere eseguito da un medico esperto e accreditato dal titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio all'inserimento dell'impianto. In Italia, il 20 luglio 2016, dopo il triplicamento del prezzo del medicamento, l'Agenzia Italiana del Farmaco ha inserito SCENESSE® nella fascia C (cfr. www.agenziafarmaco.gov.it), affermando che “ continua con esiti negativi ai danni dei pazienti italiani affetti da protoporfiria eritropoietica (malattia rara che causa gravi sintomi cutanei di fotosensibilità) l'atteggiamento di totale chiusura della Clinuvel UK Limited, l'Azienda produttrice del farmaco Scenesse, finora erogato in regime di rimborsabilità ai sensi della Legge n. 648/96 ”, che “ l'Azienda ha reiterato la propria indisponibilità sia a mantenere le condizioni di prezzo applicate in regime di Legge 648/96 sia a negoziare la proposta presentata nel dossier prezzi, precludendo ogni possibilità di pervenire ad un accordo per la rimborsabilità di Scenesse ” e che di conseguenza il Comitato Prezzi e Rimborso, “ a causa dell'impossibilità di raggiungere un accordo sul prezzo e tenuto conto del parere espresso dalla Commissione Tecnico Scientifica nella riunione del 13 giugno 2016 che ha evidenziato un minimo vantaggio clinico del farmaco rispetto al placebo e assenza di modifiche significative della qualità della vita, si è visto costretto a classificare Scenesse in fascia di non rimborsabilità da parte del SSN (fascia C in regime di fornitura solo ospedaliero), come previsto dal punto 6 della

Deliberazione CIPE 1° febbraio 2001, n.3 ”. In Germania è stata presa una decisione diversa (www.g-ba.de). Con “ Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM_RL): Anlage XII – Beschlüsse über die Nutzbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Afamelanotid ” del 4 agosto 2016, entrato in vigore il medesimo giorno e valida fino al 1° gennaio 2021, è stato deciso che “ Afamelanotid ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt . Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bestimmt gemäß 5. Kapitel § 12 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das Ausmaß des Zusatznutzens für die Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht. Diese Quantifizierung des Zusatznutzens erfolgt am Maßstab der im 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien ”, ritenuto che “ Afamelanotid soll nur von spezialisierten Ärzten in anerkannten Porphyrie-Zentren verordnet und nur von einem Arzt implantiert werden, der vom Zulassungsinhaber in der Applikation des Implantats geschult und akkreditiert worden ist. Als Maßnahme zur Risikominimierung werden alle medizinischen Fachkräfte, die das Produkt voraussichtlich anwenden werden, vom Zulassungsinhaber geschult. Es ist folgendes vorgeschriebenes Informationsmaterial zur Verfügung zu stellen: Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels, Material für die Präsenzschiulung, Informationsvideo und ein Register-Informationsblatt. Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren ”. I costi annui della terapia sono stati stimati tra Euro 76'200,72 e Euro 101'600.96 (cfr. citata decisione del 4 agosto 2016). Circa i motivi del riconoscimento del farmaco, viene precisato che: " (...) Maßgeblicher Zeitpunkt gemäß 5. Kapitel § 8 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) für das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Afamelanotid ist der 15. Februar 2016. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Nummer 1 VerfO am 9. Februar 2016 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht. Afamelanotid zur Prävention von Phototoxizität bei erythropoetischer Protoporphyrinose ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 Halbs. 1 SGB V gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird auf der Grundlage der Zulassungsstudien durch den G-BA bewertet. Der G-BA hat die Nutzenbewertung durchgeführt und das IQWiG mit der Bewertung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers in Modul 3 des Dossiers zu Therapiekosten und Patientenzahlen beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 17. Mai 2016 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA (www.g-ba.de) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus eine mündliche Anhörung durchgeführt. Der G-BA hat seinen Beschluss auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom G-BA durchgeführten Dossierbewertung, der vom IQWiG erstellten Bewertung der

Therapiekosten und Patientenzahlen (IQWiG G16-01) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragene(n) Stellungnahmen getroffen. Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der G-BA die für die Zulassung relevanten Studien nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Satz 1 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien in Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden 1 wurde in der Nutzenbewertung von Afamelanotid nicht abgestellt. (...)” Inoltre: " Die Bewertung des G-BA basiert auf den vom pharmazeutischen Unternehmer im Dossier zum Nachweis des Zusatznutzens vorgelegten Daten der zulassungsbegründenden Phase-III-Studie CUV039. Weitere Studien wurden bereits von der EMA im Zulassungsverfahren aufgrund relevanter Abweichungen von den methodischen Anforderungen abgelehnt. Sie können daher nicht der Nutzenbewertung zu Grunde gelegt werden. In der multizentrischen, doppelblinden, randomisierten, kontrollierten Studie CUV039 wurden 93 Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrinurie eingeschlossen. Die Patienten wurden im Verhältnis 1:1 auf zwei Behandlungsarme (Afamelanotid und Placebo) randomisiert und bis zu einem Maximum von 201 Tagen behandelt. Die Wirksamkeitsendpunkte Sonnenlichtexposition und/oder Schmerzempfindung wurden über standardisierte Patiententagebücher erhoben. Zudem wurden Lebensqualitäts-Fragebögen eingesetzt und Nebenwirkungen erfasst. Für die Studie muss ein hohes Verzerrungspotenzial angenommen werden, weil nicht garantiert ist, dass für Patienten und medizinisches Personal die Verblindung bis zum individuellen Studienende vollständig aufrechterhalten werden konnte: Bei 19% (n=9) der Patienten des Verum-Arms trat eine Verfärbung der Haut an der Implantatstelle auf, die bei keinem Patienten des Placebo-Arms beobachtet wurde. Der durch die Behandlung aufgetretene Bräunungseffekt (Erhöhung der Melanindichte um 6 bis 30%) könnte ebenfalls zu einer Entblindung in der Studie führen. Es ist daher nicht auszuschließen, dass sowohl Patienten als auch Studienärzte Kenntnis der Gruppenzuteilung erhielten, was zu einer Beeinflussung des Verhaltens der Patienten gegenüber Sonnenlicht sowie bei ihrer Selbstbewertung in den Tagebucheinträgen führen könnte. Insbesondere die Erhebung subjektiver Daten wie Lebensqualität und anderer patientenberichteter Daten ist damit deutlich verzerrt.” Circa la durata della cura, viene indicato un numero di 3-4 trattamenti all'anno per ogni paziente, per un costo di Euro 26'939,98 per trattamento, prima dei ribassi previsti dalla legge e che portano l'ammontare del trattamento ad Euro 25'400,24. Infine viene spiegato che: " Zusammenfassend lässt sich anhand der Mortalitäts-, Morbiditäts- und Nebenwirkungsdaten keine Quantifizierung des Zusatznutzens von Afamelanotid ableiten. Die unsichere Evidenzlage, die sich aus dem hohen Verzerrungspotenzial der Studie ergibt, erschwert insgesamt die Interpretation der Daten. Aufgrund der methodischen Limitationen der Studie sowie der insgesamt eingeschränkten Evidenzgrundlage stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens für Afamelanotid auf Basis der Kriterien in § 5 Absatz 7 der AM-NutzenV unter Berücksichtigung des Schweregrades der Erkrankung, der schriftlichen Stellungnahmen und der mündlichen Anhörung als nicht quantifizierbar ein. Damit ist eine quantitative Beurteilung des Ausmaßes des Effektes und eine Quantifizierung des Zusatznutzens in eine der Kategorien, gering, beträchtlich oder ‚erheblich‘ auf der Grundlage der vorgelegten Daten nicht möglich. Ein Zusatznutzen liegt vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Daten-grundlage eine quantifizierbare Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens für patientenrelevante Endpunkte zum derzeitigen Zeitpunkt nicht zulässt.” Nell'allegata " Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach §35a SGB V Bewertung V Bewertung von

Arneimitteln für seltene Leiden nach § 35a Absatz 1 Satz i.v.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 Satz 2 Verfo”, dove, in circa 50 pagine vengono descritti gli studi scientifici presi in considerazione, viene concluso che (pag. 47): " Afamelanotid ist zugelassen zur Prävention von Phototoxizität bei erwachsenen Patienten mit erythro-poetischer Protoporphyrin (EPP). Es sollte gemäß den Angaben der Fachinformation nur von spezialisierten Ärzten in anerkannten Porphyrie-Zentren verordnet werden und nur von einem Arzt implantiert werden, der vom Zulassungsinhaber in der Applikation des Implantats geschult und akkreditiert worden ist. Die Nutzenbewertung von Afamelanotid basiert auf der zulassungsbegründenden Studie CUV039. Es handelt sich bei der Studie CUV039 um eine randomisierte, placebokontrollierte Studie mit zwei Behandlungsarmen, die doppelverblindet an sieben klinischen Zentren in den USA durchgeführt wurde". 2.8. Per stabilire se i costi del farmaco in esame vanno posti a carico dell'assicuratore occorre innanzitutto esaminare se sono adempiuti i presupposti dell'art. 71b cpv. 2 OAMal, poiché SCENESSE® non è omologato da Swissmedic. In caso di risposta affermativa va stabilito il prezzo a carico della convenuta. L'art. 71b cpv. 2 OAMal prevede segnatamente che l'assicurazione assume i costi del farmaco (non omologato dall'Istituto) se le condizioni dell'art. 71a capoverso 1 lett. a o b sono adempiute e il medicamento è omologato per la corrispondente indicazione da uno Stato con un sistema di omologazione equivalente riconosciuto dall'Istituto. Per l'art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal l'assicurazione assume i costi del farmaco ammesso nell'elenco delle specialità per un impiego che non rientra nell'informazione professionale o nella limitazione stabilita nell'elenco delle specialità se l'impiego del medicamento promette un elevato beneficio terapeutico contro una malattia che può avere esito letale per l'assicurato o può provocare danni gravi e cronici alla sua salute e, a causa della mancanza di alternative terapeutiche, un altro trattamento omologato efficace non è disponibile (cfr. anche consid. 2.5). La Cassa, nel preciso caso di specie, non contesta tanto la necessità per la ricorrente, appena 33enne, affetta da una malattia rara (EPP), che provoca danni gravi e cronici alla pelle, in una delle sue forme più gravi (cfr. XVI/B2: "[...] Im Vergleich mit den über 50 EPP Patienten, die ich kenne, würde ich Frau RI 1 unter das Drittel der am stärksten betroffenen Patienten einstufen [...]"), anche in presenza della sola luce artificiale, di dover assumere il farmaco SCENESSE® per poter condurre una vita normale (segnatamente alleviare i dolori, non vivere reclusa al buio ma poter uscire di casa, avere contatti sociali, poter svolgere un'attività lavorativa per non essere a carico della pubblica assistenza, poter dormire), ma censura piuttosto l'ammontare del rimborso e la quantità di dosi da assumere, dichiarandosi disposta a continuare a pagare il prezzo del farmaco in vigore fino a fine 2015 (fr. 6'560) per al massimo 4 impianti all'anno. Il caso in esame si differenzia pertanto da quello giudicato con la sentenza 9C_572/2013 del 27 novembre 2013, dove era contestata l'importante utilità terapeutica della cura la quale, inoltre, non era contemplata da studi medici esistenti (cfr. in particolare consid. 4.3). Solo con le osservazioni del 16 settembre 2016 l'assicuratore sembra esplicitamente censurare l'alto valore terapeutico del medicamento. In concreto, tuttavia non vi è alcun dubbio che l'impiego del medicamento promette un elevato beneficio terapeutico (art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal) sia in generale che nel preciso caso di specie (DTF 136 V 395; cfr. risposte del 27 luglio 2016 e del 18 agosto 2016 della Prof. dr. ssa med. _____ : doc. VIII: "[...] Dagegen hat Scenesse einen wesentlichen therapeutischen Mehrwert bei erythropoietischer Protoporphyrin [...]"] e doc. XVI/B2: "[...] Frau RI 1 hat unter der Behandlung mit Scenesse ein viel normaleres Leben führen können. Ihre persönliche Entwicklung vor allem auch in beruflicher Hinsicht war äusserst

positiv unter der Behandlung, dadurch dass sie nicht mehr wesentlich die Lichtexposition meiden musste [...]”). Come rileva il medesimo assicuratore in sede di risposta, il medicamento contiene il principio attivo afamelanotide, ammesso dall’EMA per la cura della protoporfiria eritropietica. La malattia è causata da un raro difetto genetico dell’enzima che comporta la non corretta riproduzione nei globuli rossi della protoporfiria che pare essere alla base dell’intolleranza al sole. Afamelanotide è un tridecapeptide sintetico e analogo strutturale dell’ormone stimolante gli α -melanociti (α -MSH). Afamelanotide è un agonista del recettore della melanocortina e si lega prevalentemente al recettore della melanocortina-1 (MC1R). Il suo legame ha una durata maggiore rispetto a quello dell’ α -MSH. Ciò deriva in parte dalla resistenza dell’afamelanotide alla degradazione immediata da parte degli enzimi sierici o proteolitici (emivita di circa 30 min). Subisce presumibilmente idrolisi entro un breve tempo; la farmacocinetica e la farmacodinamica dei suoi metaboliti non sono ancora chiare. Si ritiene che afamelanotide simuli l’attività farmacologica della sostanza endogena, attivando la sintesi dell’eumelanina mediata dal recettore MC1R (www.ema.europa.eu). La somministrazione di afamelanotide può quindi provocare un aumento della produzione di eumelanina nella cute del paziente affetto da EPP, indipendentemente dall’esposizione alla luce solare o alla luce UV artificiale. Ciò può essere accompagnato da uno scurimento della pigmentazione cutanea nelle aree con melanociti, che si attenua gradualmente a meno che non sia somministrato un ulteriore impianto (www.ema.europa.eu). È stato dimostrato che i pazienti con EPP trattati con SCENESSE® avevano una maggiore esposizione alla luce solare diretta (dalle 10.00 alle 18.00) durante il periodo di sperimentazione di 180 giorni, rispetto ai soggetti trattati con placebo (p=0,044; SCENESSE media aritmetica: 115,6 h, mediana 69,4 h; placebo media 60,6 h, mediana 40,8 h; www.ema.europa.eu). In concreto è inoltre accertato che la malattia in questione può provocare danni gravi e cronici alla salute (art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal). La Prof. dr.ssa med. _____ il 2 giugno 2016 ha evidenziato come l’interessata a causa della patologia quando si espone alla luce, sia essa solare, sia essa artificiale, subisce ustioni di secondo grado, nonché importanti dolori che la impediscono sia di svolgere le normali attività quotidiane, che di dormire (doc. XII: “[...] whereby light exposure causes serious second degree burning and pain lasting for several days that makes her unable to perform her daily duties or to sleep in the nights [...]”). Non vi sono del resto alternative terapeutiche nel preciso caso di specie relativo alla qui ricorrente, affetta da una delle forme più gravi della patologia EPP, e che non può semplicemente proteggersi dal sole con metodi alternativi quali coprirsi con vestiti lunghi o evitare di uscire di casa durante il giorno. L’interessata è infatti sensibile anche alla luce artificiale, segnatamente alle lampadine LED, ormai sempre più diffuse per risparmiare energia elettrica. Del resto, un altro trattamento omologato efficace, privo di effetti secondari, non è disponibile (art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal; cfr. presa di posizione del 16 giugno 2016 del medico fiduciario, dr. med. _____; scritti del 27 luglio 2016 e del 16 agosto 2016 della curante, Prof. dr.ssa med. _____; certificato del 18 agosto 2016 della Dr.ssa med. _____; cfr. consid. 1.24; cfr. presa di posizione della specialista in medicinali della convenuta: “[...] Der Wirkstoff von Scenesse ist im Internet im Handel und günstig (1 Spritze ca 20 Pfund). Dieser müsste aber subcutan regelmässig gespritzt werden, was nicht ohne Risiken ist. (siehe auch Link im Anhang) [...] Somit kann man sagen, dass im Internet gehandelten Spritzen keine wirkliche Alternative darstellen. Sicher ist aber, dass der Wirkstoff nicht teuer ist und dass der hohe Preis von Scenesse durch seine galenische Form (Implantat) gerechtfertigt werden muss. Ob diese mehrere Tausend Franken wert ist, bleibt

dahingestellt und bezweifle ich ”). Il medicamento è infatti efficace per quanto riguarda l’esposizione al sole senza dolori. L’interessata, con il medicamento, può avere una vita normale, uscire di casa, avere relazioni sociali, studiare, lavorare, dormire. Senza il medicamento dovrebbe trascorrere la sua vita in un luogo oscuro senza avere contatti con altre persone. Accertato infine che il medicamento è omologato per la corrispondente indicazione in uno Stato con un sistema di omologazione equivalente riconosciuto da Swissmedic (in casu: UE dall’EMA), occorre concludere che, di principio, alla luce del preciso caso di specie, tenuto conto della particolare gravità della malattia che affligge la ricorrente (cfr. doc. XVI/B2, risposta 1), le condizioni di cui all’art. 71b cpv. 2 OAMal sono adempiute. 2.9. Circa la quantità delle dosi da riconoscere, l’assicuratore ritiene che quattro impianti all’anno siano sufficienti, poiché corrisponderebbero alla prescrizione dell’EMA. Da parte sua la ricorrente ne chiede 5. Come visto, l’autorità germanica ha autorizzato l’utilizzo di Scenesse, nella misura di 3-4 dosi all’anno a dipendenza del caso di specie. L’EMA (European Medicines Agency), ha fissato la posologia in 3, massimo 4 dosi annue, affermando che un impianto viene inserito ogni 2 mesi prima di una prevista esposizione, e durante i periodi di aumentata esposizione, alla luce solare, ad es. dalla primavera all’inizio dell’autunno. Si raccomandano tre impianti l’anno, a seconda della durata della protezione richiesta. Il numero massimo di impianti raccomandato è quattro l’anno. La durata del trattamento complessiva è a discrezione dello specialista. Anche Swissmedic raccomanda 3, massimo 4 impianti all’anno (cfr. www.compendium.ch). Interpellata in merito dal TCA la Prof. dr.ssa med. _____ ha sostenuto che la posologia indicata dall’EMA non poggia su alcun dato scientifico (doc. VIII) ed ha affermato che, a dipendenza del paziente, il bisogno varia tra 2 e 6 impianti annui, a dipendenza della gravità della patologia ed anche con fattori esogeni, quali l’esposizione alla luce invernale, ritenuto che la combinazione tra neve e sole costituisce il peggior fattore di provocazione per la EPP. Inoltre una pausa invernale fa sì che la prima dose primaverile non permette di raggiungere la protezione massima, poiché la pigmentazione deve essere nuovamente completamente ricostituita e solo con la seconda dose ciò è possibile. Per la ricorrente, vista la gravità della forma di EPP di cui è affetta, sarebbero necessari 6-7 impianti (doc. XVI/B2). Nel foglio informativo relativo al medicamento SCENESSE® pubblicato nel sito internet dalla medesima società farmaceutica Clinuvel, risulta una raccomandazione di 3, massimo 4 dosi all’anno, sulla base di quanto deciso dall’EMA (<http://clinuvel.com/images/pdf/SCENESSE-afamelanotide16mgPIL.pdf>: “ One implant is injected every 2 months during the spring and summer months. Three implants per year are recommended, depending on the length of effect required. However, this number should not exceed more than 4 per year ”). In concreto questo Tribunale, alla luce delle raccomandazioni dell’EMA, fatte proprie sia dalle autorità germaniche che dalla stessa casa produttrice Clinuvel deve concludere che, in generale l’elevata utilità terapeutica (cfr. art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal [per analogia: impiego che non rientra nell’informazione professionale approvata]) è dimostrata, sulla base di studi clinici, per 4 impianti al massimo. Ora, con sentenza 9C_572/2013 del 27 novembre 2013 il TF, in un caso ticinese, ha rammentato al consid. 4.2 che “ un qualsiasi vantaggio terapeutico non basta per giustificare un "off-label-use"; altrimenti, in ogni singolo caso la valutazione del beneficio terapeutico sostituirebbe - stravolgendolo - il sistema legale della lista delle specialità. Dal momento che il sistema legale serve pure all'economicità del trattamento, si deve evitare che mediante una prassi estensiva la via ordinaria dell'ammissione nell'elenco delle specialità venga sostituita da valutazioni del singolo caso e con ciò aggirato il controllo di economicità

legato a detto elenco (cfr. DTF 136 V 395 consid. 5.2 pag. 399 seg. con riferimenti) .”.

Nella sentenza 9C_667/2015 del 7 giugno 2016 destinata a pubblicazione, consid. 2.3.2.2 il TF ha rammentato: " (...) Der zweite, in lit. b geregelte Tatbestand ist gegeben, wenn vom Einsatz des Arzneimittels ein grosser therapeutischer Nutzen gegen eine Krankheit erwartet wird, die für die versicherte Person tödlich verlaufen oder schwere und chronische gesundheitliche Beeinträchtigungen nach sich ziehen kann, und wegen fehlender therapeutischer Alternativen keine andere wirksame und zugelassene Behandlungsmethode verfügbar ist. Die Frage, ob ein für die Kostenübernahme vorausgesetzter hoher therapeutischer Nutzen vorliegt, ist sowohl in allgemeiner Weise als auch bezogen auf den konkreten Einzelfall zu beurteilen (BGE 136 V 395 E. 6.4 und 6.5 S. 401 f.). Der Nachweis der allgemeinen Eignung, den angestrebten therapeutischen Nutzen zu erzielen, muss nach wissenschaftlichen Methoden erbracht werden (BGE 136 V 395 E. 6.5 S. 401 f. mit Hinweisen; Urteil 9C_572/2013 vom 27. November 2013 E. 4.3). Der Begriff des hohen therapeutischen Nutzens orientiert sich grundsätzlich an der gleichlautenden Voraussetzung für eine befristete Bewilligung nicht zugelassener Arzneimittel im Sinne von Art. 9 Abs. 4 des Bundesgesetzes vom 15. Dezember 2000 über Arzneimittel und Medizinprodukte (HMG; SR 812.21). Eine solche Zulassung setzt nach Art. 19 Abs. 1 lit. c der Verordnung des Schweizerischen Heilmittelinstituts vom 22. Juni 2006 über die vereinfachte Zulassung von Arzneimitteln und die Zulassung von Arzneimitteln im Meldeverfahren (VAZV; SR 812.212.23) voraus, dass zumindest Zwischenergebnisse von (publizierten) klinischen Studien vorliegen, die darauf hinweisen, dass von der Anwendung ein grosser therapeutischer Nutzen zu erwarten ist (BGE 136 V 395 E. 6.5 S. 402 mit Hinweisen; Urteil 9C_785/2011 vom 25. April 2012 E. 2.1.2.2, in: SVR 2012 KV Nr. 20 S. 71). Es reichen sodann auch anderweitige veröffentlichte Erkenntnisse aus, die wissenschaftlich nachprüfbar Aussagen über die Wirksamkeit des in Frage stehenden Arzneimittels im neuen Anwendungsgebiet zulassen und auf Grund derer in den einschlägigen Fachkreisen Konsens über einen voraussichtlich hohen therapeutischen Nutzen besteht (vgl. Gebhard Eugster, Die obligatorische Krankenpflegeversicherung, in: Soziale Sicherheit, SBVR Bd. XIV, 3. Aufl. 2016, S. 535 Rz. 420). Es müssen in rechtlicher Hinsicht somit nicht bereits die (höheren) Voraussetzungen für eine Aufnahme in die SL erfüllt sein (BGE 136 V 395 E. 6.5 S. 402; Urteil 9C_550/2011 vom 23. März 2012 E. 6.1). Liegen keine derartigen klinischen Studien bzw. anderweitigen wissenschaftlichen Erkenntnisse vor, die eine therapeutische Wirksamkeit nachweisen, so kann eine solche nicht bejaht werden mit dem blossen Hinweis darauf, dass im Einzelfall eine Wirkung eingetreten sei. Dies würde auf die blosser Formel "post hoc ergo propter hoc" hinauslaufen, was nicht angeht; denn eine Besserung kann auch spontan bzw. aus anderen Gründen eintreten (BGE 136 V 395 E. 6.5 S. 402; 130 V 299 E. 5.2 S. 303). Entscheidend ist, dass für die Zulassung eines "off-label-use" nicht jeglicher therapeutische Nutzen genügen kann, könnte doch sonst in jedem Einzelfall die Beurteilung des Nutzens an die Stelle der heilmittelrechtlichen Zulassung treten; dadurch würde das gesetzliche System der SL unterwandert (Urteil 9C_56/2008 vom 6. Oktober 2008 E. 2.3 mit Hinweisen, in: SVR 2009 KV Nr. 1 S. 1).”

Analogamente, nel caso di specie, vanno riconosciuti 4 dosi di impianti all’anno, come previsto dalla posologia figurante nel foglietto illustrativo, anche se per la curante 6-7 impianti all’anno porterebbero ad un vantaggio terapeutico. Infatti vale il principio secondo cui l’efficacia deve essere comprovata secondo metodi scientifici (art. 31 cpv. 1 seconda frase LAMal), ciò che esclude una valutazione riferita al singolo caso (sentenza 9C_572/2013 del 27 novembre 2013, cfr. anche sentenza 9C_667/2015 del 7 giugno 2016

destinata a pubblicazione). Ora, l'autorizzazione rilasciata in Germania prende in considerazione gli studi scientifici e le pubblicazioni più recenti (cfr. pag. 9 del “Nachgereichte Unterlagen - Dossier Nr 2016-02-15-D-218 Afamelanotid” del 13 aprile 2016: ad es. Langendonk J.G et al. Afamelanotide for erythropoietic protoporphyria. N Eng J med. 373, 48-59, 2 luglio 2015; Esther S. Kim, Karly P. Garnock-Jones. A review in erythropoietic protoporphyria. Am J Clin Derm, marzo 2016) ed anche quelli di cui la dr.ssa med. _____ è coautrice tra cui lo studio allegato al doc. VIII, e meglio “ Long-term observational study of afamelanotide in 115 patients with erythropoietic protoporphyria ”, pubblicato nel British journal of Dermatology 2015 172 pag 1601-1602 e su cui la curante si fonda per sostenere che nei casi gravi occorre l'applicazione di 6-7 impianti (cfr. Nachgereichte Unterlagen - Dossier Nr 2016-02-15-D-218 Afamelanotid del 13 aprile 2016; cfr. <https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1357/Unterlage-nach-5Kapitel-%C2%A717-Abs1-VerfO.pdf>). A questo proposito nel “ Dossier zur Nutzenbewertung gemäss § 35a SGB V ”, modulo 3a, Stand: 04.02.2016 (https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1355/2016-02-04_Modul3A_Afamelanotid.pdf) nell'ambito della valutazione del medicamento in esame da parte delle autorità germaniche è stato chiesto di indicare il dosaggio del farmaco ed i motivi. A pag. 19 e seguenti figura che “ Alle 2 Monate wird jeweils ein Implantat injiziert, vor der voraussichtlichen Licht- und Sonneneinstrahlung sowie bei verstärkter nicht ionisierender Strahlung, wenn die höchste Lichtintensität vom Frühjahr bis zum Frühherbst zu erwarten ist. Je nach Dauer des erforderlichen Schutzes werden drei Implantate pro Jahr klinisch empfohlen. Pro Jahr werden maximal vier Implantate klinisch empfohlen. Die Gesamtbehandlungsdauer liegt im Ermessen des spezialisierten Arztes (Fachinformation Stand: Dezember 2015).” E circa i motivi viene indicato che “ Die Angaben entsprechen der Dosierung in der Fachinformation, Stand: Dezember 2015. Eine DDD ist im WHOCC-ATC/DDD Index nicht vergeben (http://www.whocc.no/atc_ddd_index/) .” (pag. 22; cfr. anche il “dossierbewertung” dell' “Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen”, pag. 5 che giunge alla medesima conclusione in: https://www.g-ba.de/downloads/92-975-1359/2016-05-10_Bewertung-Therapiekosten-Patientenzahlen-IQWiG_Afamelanotid.pdf). Del resto, dallo studio “ Long-term observational study of afamelanotide in 115 patients with erythropoietic protoporphyria ”, pubblicato nel British journal of Dermatology 2015 172 pag 1601-1602, cui fa riferimento la curante per giustificare, nel caso di specie, la presa a carico di 6-7 dosi, emerge che il numero massimo di impianti è stato di 39 in 7 anni, ciò che corrisponde a 5-6 impianti all'anno, ossia un numero leggermente inferiore (pag. 1603: “ The maximum number was 39 implants in 7 years corresponding to 5-6 implants per year and a total dose of 624 mg ”). Inoltre dal medesimo studio emerge, a pag. 1605, che “ EPP is a seasonal disease with the symptoms being much stronger during the seasons with high light intensity, i.e. spring and summer. We therefore analysed whether the QoL (nдр: quality of life) scores during afamelanotide treatment varied depending on the season (Fig. 4). More questionnaires were available during the summer months than during winter, as patients requested more implants at this time of the year ”, mentre a pag. 1607 si legge che “ Swiss patients received significantly more implants per year than Italian patients. At the moment, we can only speculate about the reasons. One explanation is that Swiss weather in winter is frequently characterized by snow and sunshine, a combination that is critical for patients with EPP, whereas in Italy sunlight intensity is low during the winter. Secondly, the distances from patients homes to the porphyria centre are smaller in Switzerland than in Italy, so fewer logistic and financial

reasons prevented the Swiss patients from getting their treatment”. Alla luce di tutto quanto sopra esposto, del fatto che l’EMA, l’autorità tedesca e Clinuvel hanno ritenuto un massimo di 4 impianti all’anno, che gli effetti della patologia di cui è affetta la ricorrente sono particolarmente acuti nei mesi primaverili ed estivi, che lo studio di cui è coautrice la curante non è conclusivo circa il numero di impianti per anno e che il medesimo studio è comunque stato preso in considerazione dalle autorità tedesche nella loro valutazione, questo TCA deve concludere che non è ancora comprovato, neppure secondo il principio delle verosimiglianza preponderante che 5-6 impianti all’anno comportano un “elevato” beneficio terapeutico ai sensi dell’art. 71a cpv. 1 lett. b OAMal (cfr. sentenza 9C_667/2015 del 7 giugno 2016, consid. 4.4.1 e seguenti) rispetto ai 4 ammessi dall’EMA. Del resto, malgrado la curante, Prof. dr.ssa med. _____, ritiene che nel caso di specie l’interessata necessiterebbe di 6-7 dosi all’anno, la stessa insorgente chiede il pagamento di 5 dosi e fino al 29 settembre 2015 l’interessata ha ricevuto 4-5 dosi all’anno (cfr. doc. 6, risposta 2 della Prof. dr.ssa med. _____: “[...] Frage 2: Frau RI 1 erhält 4-5 Implantate pro Jahr [...]”). Va qui evidenziato che questa conclusione si riferisce esclusivamente al caso concreto e non può essere esteso a tutte le persone affette da EPP senza che prima sia stata fatta un’attenta ed approfondita valutazione del caso di specie secondo i criteri sopra esposti. 2.10. Rimane da esaminare quale prezzo deve rimborsare l’assicuratore. La convenuta sostiene di dover erogare un importo di fr. 6’560 a dose, corrispondente al prezzo praticato da Clinuvel fino al termine del 2015, ritenuto che dal 1° dicembre 2016 sarebbe rimborsato solo l’80% di questo importo in applicazione dell’art. 71b cpv. 4 OAMal per il quale i costi assunti devono essere proporzionati al beneficio terapeutico. La ricorrente chiede il versamento del prezzo pieno e meglio fr. 18’989 per ogni impianto. 2.11. L’economicità della prestazione è un presupposto per l’assunzione dei costi del medicamento (art. 32 cpv. 1 LAMal). Per i medicamenti figuranti nell’elenco delle specialità, l’economicità viene esaminata nell’ambito dell’ammissione del farmaco nel citato elenco (art. 65 e seguenti OAMal e 34 e seguenti OPre) ed è definita con la fissazione del prezzo (art. 67 OAMal, cfr. DTF 136 V 395 consid. 5.1 e 7.1 con riferimento ad articoli il cui tenore è stato nel frattempo modificato). Per i medicamenti che non figurano nell’elenco delle specialità questo tipo di esame generale non avviene e l’economicità deve di conseguenza essere esaminata contestualmente alla valutazione del caso concreto quando occorre stabilire se un determinato medicamento va eccezionalmente rimborsato (DTF 136 V 395 consid. 7.1, SVR 2009 KV Nr. 1, pag. 1, 9C_56/2008 consid. 2.3 in fine). Altrimenti l’esame dell’economicità non avrebbe mai luogo, ciò che contraddirebbe l’art. 32 cpv. 1 LAMal (cfr. DTF 136 V 395, consid. 7.1). La condizione dell’economicità ai sensi dell’art. 32 cpv. 1 LAMal si riferisce, secondo la giurisprudenza, alla scelta tra più alternative di cura efficaci: in caso di vantaggi medici simili, occorre scegliere la variante più economica, rispettivamente quella con il miglior rapporto tra costi e benefici (DTF 136 V 395, consid. 7.4; DTF 130 V 532 consid. 2.2; DTF 127 V 43 consid. 2b)). Ciò non significa tuttavia che laddove vi sia una sola cura possibile, questa, indipendentemente dai costi, sia da considerare in ogni caso economica. Sulla base del principio della proporzionalità una prestazione va rifiutata se tra gli sforzi messi in atto e la possibilità di guarigione vi è una grossa sproporzione, ciò che implica una valutazione del rapporto tra i costi ed i benefici della cura (DTF 136 V 395 consid. 7.4). L’economicità e l’alto valore terapeutico non possono essere valutati separatamente. Tanto più il vantaggio terapeutico è elevato, quanto più costi elevati sono giustificati. Il rapporto tra prezzo e beneficio è da tenere in considerazione anche laddove occorre decidere se un medicamento va inserito nell’elenco

delle specialità (art. 34 cpv. 1 OPre). Il TF ha pure ricordato che la problematica dei costi non può essere ignorata con la semplice affermazione che non sarebbe etico o non sarebbe giuridicamente corretto, esaminare la questione dei costi laddove si tratta di decidere sulla salute umana. I mezzi finanziari che una società mette a disposizione per il compimento di un determinato compito, non sono infiniti e potrebbero mancare per altri compiti altrettanto importanti (DTF 136 V 395 consid. 7.5). In DTF 136 V 395 al consid. 7.6.1 il TF ha elencato casi in cui ha dovuto esaminare il rapporto tra costi e benefici della prestazione e nei quali ha riconosciuto la cura come proporzionata o perlomeno come non manifestamente sproporzionata: - costi di cura tra fr. 8'000 e fr. 30'000 per una ricostruzione del pollice in un assicurato 24enne, capo cantiere (“Bauführer”), dove la funzione della mano è stata migliorata nell’ambito di tutti gli ambiti della vita, anche se in misura minima (DTF 119 V 446); - costi per fr. 532.70 per una terapia di tre mesi con il metadone (DTF 118 V 107); - costi per fr. 6'000 per una fisioterapia secondo “Bobath” per alleviare gli effetti della sindrome di Down (DTF 119 V 446); - costi per fr. 15'300 per il cambiamento di sesso (DTF 114 V 153); - costi tra fr. 60'000 e fr. 80'000 per il trapianto di cuore ad un 64enne (DTF 114 V 258); - costi per fr. 26'000 per una terapia che ha permesso di allungare la vita di 1 anno (DTF 130 V 532); - costi per fr. 39'000 per una protesi al ginocchio (DTF 132 V 215). Nell’ambito del finanziamento delle prestazioni Spitex il limite massimo viene posto a circa

E. 16

settembre 2016 l'assicuratore sembra esplicitamente censurare l'alto valore terapeutico del medicamento.

Export aus OpenCaseLaw (CC0). Verbindlich ist allein der vom erlassenden Gericht veröffentlichte Originaltext. Quellen-URL siehe oben.