sihta

SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

HEALTH POLICY FORUM 2010 2020

L'evoluzione culturale e l'adozione dell'Hta in Italia

UNDICI ANNI DI LAVORI

a cura di Americo Cicchetti

presentazione di Francesco Saverio Mennini

KOS | EDITRICE

Americo Cicchetti

Coordinatore Health Policy Forum SIHTA
Professore di Organizzazione Aziendale,
Facoltà di Economia Università Cattolica
del Sacro Cuore; Direttore Alta Scuola
di Economia e Management dei Sistemi
Sanitari; Past President SIHTA

Francesco Saverio Mennini

Presidente SIHTA; Research Director
EEHTA del CEIS, Facoltà di Economia,
Università degli Studi di Roma "Tor Vergata";
Institute for Leadership and Management
in Health, Kingston University, London,UK

Marco Marchetti

Coordinatore Comitato Tecnico Scientifico
SIHTA; Direttore Centro Nazionale
per l'Health Technology Assessment,
Istituto Superiore di Sanità

Alessandra Fiore

Ricercatore, Alta Scuola di Economia
e Management dei Sistemi Sanitari
Università Cattolica del Sacro Cuore

Angelica Carletto

Segreteria HPF

Silvia Coretti

Università di Padova

Simone Gazzillo

Ricercatore EEHTA del CEIS, Facoltà
di Economia, Università degli
Studi di Roma "Tor Vergata"

Valentina Iacopino

Ricercatore di Organizzazione Aziendale,
Facoltà di Economia Università
Cattolica del Sacro Cuore

Paolo Giorgi Rossi

Servizio interaziendale di epidemiologia,
Ausl e Arcispedale Santa Maria
Nuova, Irccs di Reggio Emilia

Filippo Rumi

Ricercatore, Alta Scuola di Economia
e Management dei Sistemi Sanitarie
Università Cattolica del Sacro Cuore

Maria Ruotolo

Segreteria HPF

sihta
SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

HEALTH POLICY FORUM 2010 2020

L'evoluzione culturale e l'adozione dell'Hta in Italia

UNDICI ANNI DI LAVORI

a cura di Americo Cicchetti
presentazione di Francesco Saverio Mennini

KOS | EDITRICE

Questo volume deve essere citato come:
Cicchetti A. 2021 (Acura di), L'evoluzione culturale e l'adozione dell'Hta in Italia: 11 anni di Health Policy Forum della Società italiana di Health Technology Assessment. KOS editrice - Roma

KOS | EDITRICE

© 2021, KOS Comunicazione e servizi srl Roma
segreteria@koscomunicazione.it www.koscomunicazione.it

Edizione maggio 2021

HEALTH POLICY FORUM

L'Health Policy Forum è un'iniziativa della Sihta, Società Italiana di Health Technology Assessment, e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università. L'obiettivo è di contribuire al dibattito di natura tecnica e scientifica sui metodi delll'Hta e di sviluppare conoscenze nell'ambito della valutazione delle tecnologie sanitarie.

sihta
SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

Final Paper 2020

10
20

SOMMARIO

PRESENTAZIONE 11
INTRODUZIONE 13

2010 IL RUOLO DEGLI STAKEHOLDER NEL PROCESSO DI HTA 19
INTRODUZIONE 21
MATERIALI E METODI 26
RISULTATI 27
CONCLUSIONI 35

2011 LA DEFINIZIONE DELLE PRIORITÀ NEL PROCESSO DI HTA TRA ESIGENZE CENTRALI E REGIONALI 39
BACKGROUND 41
OBIETTIVO 49
MATERIALI E METODI 50
RISULTATI 51
CONCLUSIONI E DISCUSSIONE 56
BIBLIOGRAFIA 59

2012 HTA E DECISION MAKING: PROPOSTE E RISULTATI DELL'HEALTH POLICY FORUM 61
INTRODUZIONE 63
OBIETTIVI 68
METODI 68
RISULTATI 69
CONCLUSIONI E DISCUSSIONE 75
BIBLIOGRAFIA 77

2013 DALLA SPENDING REVIEW ALL'HTA, STRUMENTO INFORMATO PER IL DISINVESTIMENTO: PROPOSTE DELL'HEALTH POLICY FORUM 81

INTRODUZIONE 83
BACKGROUND 83
OBIETTIVO 87
MATERIALI E METODI 87
RISULTATI 88
CONCLUSIONI E DISCUSSIONE 94
BIBLIOGRAFIA 97
SITOGRAFIA 97

2014 IL RUOLO DELL'HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT NELLA DEFINIZIONE DEI LIVELLI ESSENZIALI DI ASSISTENZA 99

INTRODUZIONE 101
BACKGROUND 102
MATERIALI E METODI 106
RISULTATI 107
DISCUSSIONE 117
BIBLIOGRAFIA 122
SITOGRAFIA 123

2015 L'ARMONIZZAZIONE DEI METODI PER L'HTA: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM 125

INTRODUZIONE 127
BACKGROUND 128
METODI 134
RISULTATI 137
DISCUSSIONE 144
BIBLIOGRAFIA 147
SITOGRAFIA 147

2016 COVERAGE UNDER EVIDENCE DEVELOPMENT: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM 149

INTRODUZIONE 151
MATERIALI E METODI 156
CONCLUSIONI 163
BIBLIOGRAFIA 164
SITOGRAFIA 165

2017 INDIVIDUARE, FINANZIARE E COMUNICARE L'INNOVAZIONE IN SANITÀ: IL RUOLO DELL'HEALTH

TECHNOLOGY ASSESSMENT **167**
INTRODUZIONE 169
BACKGROUND 170
OBIETTIVI 176
METODI 176
RISULTATI 177
CONCLUSIONI E DISCUSSIONE 182
BIBLIOGRAFIA 185
SITOGRAFIA 185

2018 **LA COSTRUZIONE DELLE LINEE GUIDA: QUALE BILANCIAMENTO TRA EVIDENZE E OPINIONI** **187**
INTRODUZIONE 189
BACKGROUND 190
FORMULARE, VALIDARE ED IMPLEMENTARE LE LINEE GUIDA: VERSO LINEE DI INDIRIZZO CONGIUNTE 193
CONCLUSIONI 201
BIBLIOGRAFIA 202

2019 **L'ECOSISTEMA HTA A LIVELLO EUROPEO** **205**
INTRODUZIONE 207
BACKGROUND 208
COS'È L'HORIZON SCANNING 211
CONCLUSIONI 222
BIBLIOGRAFIA 224
SITOGRAFIA 225

2020 **L'ECOSISTEMA HTA A LIVELLO EUROPEO** **227**
INTRODUZIONE 229
BACKGROUND 230
LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL'AGENZIA NAZIONALE HTA 232
METODI DI VALUTAZIONE: FONTI DATI E EVIDENCE GENERATION 232
OBIETTIVI 235
METODOLOGIA DI LAVORO DELL'HPF 2020 235
RISULTATI 236
LE ATTIVITÀ DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA 236
LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA 239
EVIDENCE GENERATION A SUPPORTO DELLE VALUTAZIONI DI HTA DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA 242
CONCLUSIONI 243
BIBLIOGRAFIA 246

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 2020

10
20

PRESENTAZIONE

L'Health Policy Forum (Hpf) da più di dieci anni rappresenta un'occasione di incontro e dibattito sui temi dell'Health Technology Assessment (Hta) nel contesto sanitario italiano. L'obiettivo finale dell'Hpf è quello di creare le condizioni affinché industria, regolatori ed utenti finali delle innovazioni tecnologiche in campo sanitario possano discutere in modo sistematico e strutturato sugli aspetti metodologici del processo dell'Hta, tenendo in considerazione il fatto che questo evento non intende costruire un tavolo per un dibattito di natura istituzionale. Obiettivi secondari dell'Hpf sono:

- Favorire la condivisione di principi, valori e metodi per accelerare l'adozione di un approccio maggiormente guidato dalle metodiche dell'Hta nel paese che tenga conto delle diverse prospettive valoriali in campo e delle diverse "competenze" istituzionali a livello nazionale, regionale e locale;
- Comprendere il fabbisogno di competenze necessario per la realizzazione di corretti processi di Hta a livello nazionale, regionale e locale (capacity building) nell'ambito delle istituzioni del Ssn mediante la predisposizione di programmi formativi adeguati;
- Individuare tematiche di approfondimento inerenti lo sviluppo e la condivisione dei metodi dell'Hta e lo sviluppo di conoscenze nell'ambito della valutazione delle tecnologie sanitarie da incorporare in progetti di ricerca e sviluppo da assegnare a gruppi di lovoro competenti nelle materie prescelte.

L'Health Policy Forum Sihta si ispira negli intenti, nei principi e nei metodi al Policy Forum attivato fin dal 2004 nell'ambito dell'Health Technology Assessment International, società scientifica internazionale a cui la Sihta risulta collegata con accordi formali di collaborazione. Le metodiche di coinvolgimento dei partecipanti a ciascun incontro sono fondate sui medesimi principi definiti nell'ambito

della “Chatham House Rule”. La regola della Chatham House è un principio che regola la riservatezza della fonte delle informazioni ricevute durante una riunione. La regola ha avuto origine nel giugno 1927 presso il Royal Institute of International Affairs. Sostanzialmente la caratteristica fondamentale di questa tipologia di incontri risiede nel fatto che quando una riunione, o parte di essa, si tiene in base alla regola della Chatham House, i partecipanti sono liberi di utilizzare le informazioni ricevute, ma né l’identità né l’affiliazione dei relatori, né quella di qualsiasi altro partecipante, possono essere rivelate. Secondo tale regola, dunque, ogni membro del forum esprime opinioni che hanno carattere personale in quanto derivanti dalla propria esperienza e prospettiva. Pertanto, tali opinioni non potranno essere considerate come posizioni ufficiali dell’istituzione a cui appartiene. Tutte le informazioni relative alle risultanze delle discussioni che avvengono nell’assemblea potranno essere liberamente utilizzate dagli altri membri, ma mai correlate a chi le ha espresse. Possono essere rese pubbliche solo in presenza di un accordo unanime tra i partecipanti e secondo le forme concordate (es. articolo scientifico, position paper, linee guida, etc.). Si tratta dunque di una sorta di “Gentleman Agreement”.

Francesco Saverio Mennini

INTRODUZIONE

L'Health Policy Forum (Hpf) della Società Italiana di Health Technology Assessment compie 10 anni. Questa raccolta nasce dalla duplice esigenza di dare testimonianza di un dibattito su uno dei temi cruciali per l'Ssn ma ha anche l'intento di descrivere traiettorie per il futuro che ci attende dopo il Covid-19.

In questo decennio il livello della discussione è cresciuto e si è approfondito anche grazie alla progressiva caduta di barriere culturali e disciplinari che hanno permesso di creare un ambiente realmente multidisciplinare e multistakeholder.

È proprio dall'incontro delle diverse prospettive, sensibilità e discipline che è scaturito un patrimonio di riflessioni e di proposte che oggi intendiamo mettere a disposizione del Servizio Sanitario Nazionale e della società più in generale. Nel corso del tempo, la continuità degli incontri e lo scambio di idee ha permesso di facilitare la condivisione dei principi, dei valori e dei metodi dell'health technology assessment che hanno trovato via via applicazione nei diversi contesti istituzionali. Certamente l'Hpf di Sihta ha rappresentato un acceleratore di idee e di applicazioni.

Mano mano che le discussioni procedevano l'urgenza per una piena adozione dell'approccio dell'Hta alle decisioni del Ssn, cresceva.

La dinamica demografica e l'invecchiamento della popolazione, associata alla sempre maggiore prevalenza delle patologie croniche, hanno in questi 10 anni ridisegnato l'epidemiologia del Paese. L'incremento delle spese associate a tali condizioni ha spinto in alto la dinamica della spesa anche per via di una innovazione tecnologica in grado di offrire soluzioni ai problemi di salute a fronte di un crescente impegno economico. La situazione economico-finanziaria generale, peggiorata in questo decennio, ha progressivamente reso più difficile immaginare la sostenibilità del Ssn, a meno di un severo cambio di rotta.

EDIZIONE	TEMATICA E RIUNIONI
2010	**Il ruolo degli stakeholder nel processo di Health Technology Assessment** Roma 5-6 luglio 2010 / Torino 18 novembre 2010
2011	**La definizione delle priorità nel processo di Hta: tra esigenze nazionali e regionali** Roma 9-10 Maggio 2011 / Udine 17 novembre 2011
2012	**Hta e Decision Making** Roma 9-10 Maggio 2012 / Roma 22 Novembre 2012
2013	**Dalla spending review all'Hta, strumento informato per il disinvestimento** Roma 9-10 Maggio 2013 / Bari 7 novembre 2013
2014	**Il Ruolo dell'Hta nella definizione dei Livelli Essenziali di Assistenza** Roma 17 Marzo 2014 / Roma 10-11 Maggio 2014 / Roma 25 Settembre 2014
2015	**L'armonizzazione dei metodi per l'Hta** Roma 17 Marzo 2015 / Roma 4-5 Giugno 2015 / Roma 1 Ottobre 2015
2016	**Coverage under evidence development** Roma 17 marzo 2016 / Roma, 19-20 Maggio 2016 / Riva del Garda 13 ottobre 2016
2017	**Individuare, finanziare e comunicare l'innovazione in sanità: il ruolo dell'Health Technology Assessment** Roma 12 ottobre 2017 / Roma 21 giugno 2017 / Roma 16/17 marzo 2017
2018	**La costruzione delle linee guida: quale bilanciamento tra evidenze e opinioni** Roma 11 ottobre 2018 / Roma 4/15 giugno 2018 / Roma 10 aprile 2018
2019	**L'ecosistema Hta a livello europeo** Roma 2 aprile 2019 / Roma 5/7 giugno 2019 / Milano 9 ottobre 2019
2020	**Hta e nuova programmazione sanitaria** Virtual congress 14-15 settembre 2020 - 5 giugno 2020 - 6 maggio 2020

Ma a chi ha visto nella disciplina finanziaria, nella spending review o nella fissazione dei tetti di spesa all'interno di rigidi silos gli strumenti privilegiati, l'Hpf ha risposto proponendo un approccio diverso, in grado di efficientare piuttosto che razionare grazie allo sviluppo di capacità di valutazione sempre più raffinate.

Le prime edizioni dell'Hpf, sono state dedicate a promuovere la condivisione dei linguaggi, fondamentale per consolidare visioni e principi comuni ai diversi portatori di interesse legittimo all'interno del sistema. Questo ha fatto progressivamente cadere barriere ideologiche, per la verità ancora non del tutto eliminate, ma ha che sono oggi fortemente limitate da una propensione diversa verso una collaborazione tra attori che per tutti è necessaria per trovare soluzioni creative e condivise a problemi che appaiono insormontabili.

Intorno al tavolo dell'Hpf abbiamo progressivamente compreso il senso dell'espressione "ecosistema": la possibilità di affrontare e dare risposta ai fabbisogni di pazienti e cittadini, impone una forte alleanza che vede gli operatori del Ssn, i ricercatori, i policy maker e i payer confrontarsi costantemente con la prospettiva dei cittadini e con le proposte dell'industria. Dall'altro lato chi porta l'innovazione ha compreso che il sistema ha dei limiti e che l'innovazione tecnologica può essere assorbita se effettivamente in grado di generare valore. Allo stesso modo, le associazioni e le forze che rappresentano le istanze dei cittadini e dei pazienti hanno progressivamente abbandonato un atteggiamento di "rivendicazione" comprendendo l'importanza dell'assunzione di una responsabilità che non è solo nei confronti dei propri associati ma che è più ampia, e vede all'intera società in un'ottica intergenerazionale.

In questo modo l'Hpf ha svolto una funzione fondamentale per il capacity building necessario all'intero sistema. Non si è trattato tanto di formare delle competenze specifiche, cosa per la quale esistono altre istituzioni come quelle universitarie, quanto di supportare una presa di coscienza delle esigenze di competenza da parte di tutti gli attori che al loro volta si sono attivati. L'Hpf ha favorito la costruzione di quell'impalcatura necessaria affinché le specifiche competenze avrebbero potuto attecchire e crescere.

Ma il ruolo del policy forum non è stato solo informativo e formativo per l'Hta in Italia. Ha rappresentato un ambito di dibattito politico istituzionale che progressivamente è cresciuto anche grazie all'adozione della formula della "Chatham House" che ha permesso a ciascuno di contribuire portando competenza e prospettiva in un contesto neutro e riservato. L'applicazione della regola ha

spinto tutti, nelle sessioni plenarie e nei fortemente apprezzati lavori di gruppo, di trovare un punto di incontro con le idee dell'altro e l'obiettivo di arrivare in fondo ad ogni edizione con la pubblicazione di un paper, è la dimostrazione della buona volontà di ciascuno e di tutti ma anche la prova dell'efficacia della formula.

Nel corso degli anni, infatti, l'Hpf ha sempre cercato di inquadrare tematiche che fossero coerenti con lo stato dell'arte nel contesto del Servizio Sanitario Nazionale. Nell'attuale momento storico, caratterizzato da una significativa riduzione delle risorse e da una crescente domanda di servizi sanitari, l'Hta conferma il suo ruolo di strumento essenziale per informare le decisioni su basi razionali e trasparenti. Dobbiamo purtroppo constatare che l'adozione dell'approccio multidisciplinare e multi-stakeholder fa ancora fatica ad affermarsi nelle pratiche del Ssn. Ciò nonostante, i passi in avanti ci sono stati e sono tangibili. L'Hta è diventato centrale nel dibattito sul Ssn e in ogni comparto tecnologico (farmaci, dispositivi, vaccini, Lea), si è istituzionalmente ritagliato un ruolo nel processo decisionale. A livello nazionale e regionale, però, anche se non mancano esempi di produzione e uso di Hta, manca una piena e sistematica adozione dell'approccio per informare decisioni di adozione e di disinvestimento.

Riconosciute le sue potenzialità nei processi di investimento e disinvestimento, manca la valorizzazione del suo ruolo mediante l'attivazione di un framework esplicito, in cui ruoli e competenze siano definiti, deve rappresentare una priorità per tutto il sistema. Istituzionalmente, l'Hta è riconosciuto come l'approccio per utile alla definizione dei criteri d'inclusione ed esclusione che determinano l'inserimento delle prestazioni sanitarie nei Livelli essenziali di assistenza (Lea). Purtroppo siamo ancora oggi in attesa che il disegno diventi operativo.

Dopo essere stato contesto privilegiato per la discussione e sui principi, sui metodi e gli strumenti l'Hpf è divenuto spazio per un dibattito sugli assetti istituzionali, discussione che si è sublimata proprio nell'ultima edizione nella quale sono stati condivisi i lineamenti per una strategia nazionale per l'Hta che vede al centro la proposta di una Agenzia Nazionale per l'Health Technology Assessment. Questa discussione, avvenuta in piena emergenza pandemica, è divenuta però un patrimonio del Ssn ed entrata nel dibattito tra le forze politiche anche grazie all'ampia condivisione che la soluzione dell'Agenzia ha trovato tra i diversi portatori di interesse.

Con il 2021 l'Hpf entra nel futuro del Ssn e lo fa prendendo come elemento di discussione il ruolo che l'Hta dovrà necessariamente avere per indirizzare

gli investimenti che il Paese si appresta a dedicare alla sanità grazie al Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza. Ancora una volta l'Hpf si dimostra piattaforma valida a rispondere alle sfide del lungo periodo, così come alle contingenze più stringenti come quella della pandemia che ha ispirato la discussione di quest'anno.

Americo Cicchetti

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

10 IL RUOLO DEGLI STAKEHOLDER NEL PROCESSO DI HTA

L'identificazione degli stakeholder, che possono contribuire al processo di Hta, è legata all'articolata concezione del "valore" assegnabile alle tecnologie sanitarie.

Sono state determinate le principali categorie di stakeholder da coinvolgere nel processo di Hta, individuate tramite criteri che mirano a garantire che ciascuno possa perseguire gli obiettivi dell'organizzazione che rappresenta.

Il contributo che i singoli stakeholder possono fornire al processo di Hta è stato individuato definendo il peso, la rilevanza e la pertinenza dello stesso in ogni singola fase del processo di valutazione del ciclo di vita della tecnologia.

Il coinvolgimento degli stakeholder nel processo di valutazione deve avvenire tramite la definizione di metodi rigorosi. In particolare, nella fase di prioritizzazione, il loro contributo riguarda la definizione del bisogno di salute.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Angelica Carletto, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

10 IL RUOLO DEGLI STAKEHOLDER NEL PROCESSO DI HTA

INTRODUZIONE

L'innovazione tecnologica fornisce ai sistemi sanitari soluzioni sempre diverse per affrontare i processi di prevenzione, cura e riabilitazione delle malattie a vantaggio della popolazione. In questo senso l'avanzamento tecnologico in medicina rappresenta una condizione imprescindibile per l'evoluzione dei sistemi sanitari. Tale percorso è fortemente caratterizzato dall'interazione tra mondo della ricerca, istituzioni e industria, e questa reciproca influenza è decisiva per il raggiungimento degli obiettivi di progresso e di salute. Raffigurata dal cosiddetto modello della "Tripla Elica", consente alle conoscenze di tradursi in innovazione tempestiva e funzionale ai bisogni emergenti. Tuttavia, su questo contesto grava la complessità di un processo innovativo che deve integrarsi con le peculiarità dei processi di valutazione e, infine, di regolazione.

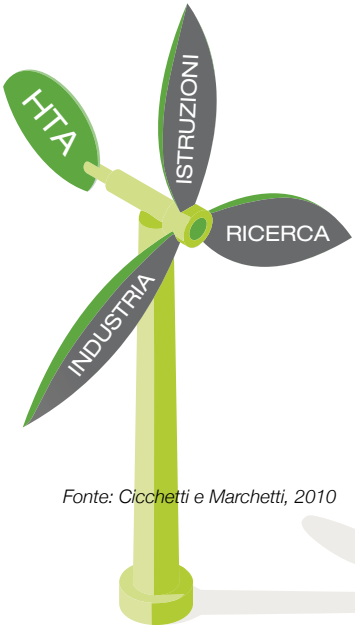
L'Health Technology Assessment (Hta), inteso come quell'approccio alla valutazione in grado di integrare l'uso della razionalità scientifica con le prospettive e le preferenze espresse dai diversi portatori di interesse a supporto di una decisione politica, può certamente contribuire a migliorare quel processo che porta a rendere disponibile in maniera tempestiva l'innovazione tecnologica, in relazione ai bisogni espressi dalla popolazione e alle capacità di assorbimento dei sistemi sanitari. Malgrado ciò lo strumento dell'Hta appare ancora troppo debolmente collegato alle scelte di "decision making" dei singoli Paesi che gli assegnano un ruolo a volte ancora marginale nella routine decisionale. Una migliore comprensione, utilizzazione e sistematizzazione degli strumenti dell'Hta permetterebbe all'industria, ai ricercatori, ai manager, ai professionisti sanitari, ai politici e agli stessi cittadini di condividere le rispettive prospettive, consentendo di meglio definire il gap tecnologico esistente tra bisogni sanitari e innovazioni tecnologiche. Ciò permetterebbe di chiarire le priorità per la ricerca scientifica, favorendo un uso più consapevole degli investimenti pubblici e privati in tale

area. In quest'ottica, l'Hta, più che essere intesa come il "quarto" ostacolo per l'accesso al mercato di una innovazione, viene a ricoprire il ruolo di "timone" in grado di indirizzare il processo di innovazione (Figura 1).

La definizione che la Carta di Trento ha dato alla valutazione delle tecnologie sanitarie è chiarificatrice rispetto agli obiettivi che questa si pone (Tabella 1). L'Hta si caratterizza per uno spiccato orientamento ai sistemi decisionali, producendo informazioni utili ed efficaci per il "policy making". Assume, inoltre, un taglio fortemente multidimensionale e multi-professionale, tanto nei contenuti quanto nel processo e, per mezzo di un metodo rigorosamente definito e condiviso, rappresenta uno sforzo di comunicazione esterna e informazione. Per questo motivo appare evocativa l'immagine del ponte con la quale la si rappresenta e che ricongiunge il mondo tecnico-scientifico con quello dei decisori. Negli ultimi trenta anni abbiamo assistito alla diffusione di metodi sempre più raffinati per la produzione di evidenze utili a supportare le decisioni politiche nei sistemi sanitari. Tali approcci hanno via via combinato le tecniche di valutazione economica dei programmi sanitari con le metodologie più avanzate per la valutazione dell'efficacia derivante dall'utilizzo delle tecnologie sanitarie. Tale processo ha portato oggi a integrare nell'approccio dell'Hta la valutazione di tutte le possibili conseguenze cliniche, economiche, organizzative, sociali ed etiche dell'introduzione di una nuova tecnologia sanitaria, laddove per tecnologia si intenda il farmaco, una procedura chirurgica, un'attrezzatura o un programma di prevenzione.

FIGURA 1

Il ruolo dell'Hta come guida della collaborazione tra ricerca, industria e istituzioni nell'innovazione tecnologica



Fonte: Cicchetti e Marchetti, 2010

In questa prospettiva, il Technology Assessment diventa un approccio di "governo" volto a legare le decisioni alle evidenze scientifiche disponibili e all'interno del quale tutti gli stakeholder possono partecipare fornendo la propria prospettiva.

Non sempre, tuttavia, le evidenze disponibili riescono a fornire delle risposte utili alle questioni sollevate dai "decision maker". Una delle ragioni principali che generano il "gap" tra le evidenze scientifiche disponibili e quelle che sarebbero necessarie ai decisori, è legata al diverso significato che viene dato al concetto di informazione da parte dei decisori e dei ricercatori. Lomas nel 1997 ha identificato alcuni fattori principali in grado di spiegare tale fenomeno.

TABELLA 1 *I principi dell'Hta nella Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie*

La valutazione delle tecnologie sanitarie deve coinvolgere tutte le parti interessate all'assistenza sanitaria	**CHI?**
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve riguardare tutti gli elementi che concorrono all'assistenza sanitaria	**COSA?**
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve riguardare tutti i livelli gestionali dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	**DOVE?**
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve essere un'attività continua che deve essere condotta prima della loro introduzione e durante l'intero ciclo di vita	**QUANDO?**
La valutazione delle tecnologie sanitarie è un processo multidisciplinare che deve svolgersi in modo coerente con gli altri processi assistenziali e tecnico-amministrativi dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	**COME?**
La valutazione delle tecnologie sanitarie è una necessità e un'opportunità per la governance integrata dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	**PERCHÈ?**

Fonte: Cicchetti e Marchetti, 2010

I ricercatori, in primo luogo, tendono spesso a considerare la ricerca slegata dalle variabili di contesto e finalizzata a focalizzare un quesito ben definito, per ottenere una risposta chiara e nitida; al contrario, le decisioni sono spesso guidate in maniera importante anche da variabili quali ideologie, valori o opinioni, che rendono più complesso e meno chiaro e nitido il momento decisionale.
Per esempio, tutta la metodologia della ricerca clinica ha appunto l'obiettivo di isolare i quesiti di ricerca rispetto alle variabili di contesto (vedi il processo di selezione dei casi e di randomizzazione ecc.), cosa che rende spesso inapplicabili, del tutto o parzialmente, i risultati delle sperimentazioni cliniche alle situazioni reali.
In secondo luogo, ad aumentare le differenze tra decisori e ricercatori, vi sono anche gli incentivi che guidano queste due figure: i ricercatori infatti vedono derivare i loro compensi e gli sviluppi di carriera accademica prevalentemente dalla loro capacità di attrarre fondi mediante la pubblicazione in peer-reviewed journal e non da questioni inerenti la politica sanitaria, come invece succede per i decisori. Ciò porta il ricercatore, paradossalmente, a produrre ricerche che non necessariamente sono legate al valore aggiunto che queste apportano ai processi decisionali.
Conseguenze di queste diversità sono che i ricercatori sono portati a disegnare

progetti che difficilmente tengono in considerazione i valori degli stakeholder e dei differenti tipi di pubblico a cui è rivolta la ricerca, provocando spesso, anche se involontariamente, l'impossibilità di utilizzare i risultati delle ricerche scientifiche nei processi decisionali.
Alla luce di queste considerazioni, è solo attraverso una maggiore sensibilizzazione sia dell'industria, che finanzia gli studi, sia delle istituzioni, che investono le proprie risorse nella ricerca, che potrebbe essere possibile superare tali fraintendimenti e ridurre il gap delle evidenze. In tale contesto l'Hta, che è per sua stessa natura in grado di cogliere le istanze dei decisori e quindi identificare dove è maggiore il gap delle evidenze, può rappresentare uno strumento per la prioritarizzazione degli investimenti pubblici e privati nella ricerca.
Come si collocano i potenziali utilizzi dell'Hta in un contesto nazionale che si trova ancora nella fase di maturazione e istituzionalizzazione delle attività di valutazione delle tecnologie? Di grande attualità sono le discussioni intorno ai processi decisionali che si snodano all'interno di un sistema caratterizzato da forti autonomie regionali da un lato, e responsabilità di coordinamento e monitoraggio a livello nazionale dall'altro. Il dibattito più recente su questo tema ha mostrato un'omogeneità di vedute intorno alla necessità di armonizzare le pratiche di Hta e di giungere a regole sempre più condivise e trasparenti per il governo dell'innovazione tecnologica nel Sistema sanitario nazionale (Ssn).

Possono, infatti, delinearsi quattro differenti possibili scenari di "governance":

1. un sistema fuori controllo, in cui gli stakeholder influenzano direttamente l'introduzione di una tecnologia e in cui non viene presa alcuna decisione;
2. un sistema clientelare, in cui i decisori scelgono sulla base delle spinte di alcune delle parti interessate, rispondendo solo a queste e in cui la decisione è autoreferenziale;
3. un sistema governato, in cui la decisione responsabile scaturisce da un dialogo franco e leale con tutte le parti interessate;
4. un sistema consapevole, in cui essa si determina solo dopo la verifica dell'impatto provocato dalla tecnologia in questione.

Scenari che non si escludono a vicenda e che giustificano, in un contesto complesso come quello attuale, un aggiornamento della metafora del ponte che tenga conto di come la relazione tra mondo scientifico e dimensione decisionale non sia più lineare, ma piuttosto integrata in una rete complessa di interazioni, all'interno della quale intervengono in maniera importante i diversi stakeholder, che sono detentori di obiettivi e interessi differenziati.

Il termine "stakeholder" si presta a svariate interpretazioni, così come molteplici sono le opinioni circa le modalità di coinvolgimento degli stessi nel processo di Hta. Appare quindi necessario definire in maniera univoca il significato, il ruolo e le modalità di coinvolgimento dei diversi stakeholder nel processo di Hta.
Obiettivo di questo lavoro è quello di fornire un contributo all'identificazione degli stakeholder da accreditare e al loro ruolo in un processo di Hta che risulti coerente con le migliori pratiche a livello internazionale e con le caratteristiche del Ssn.
Attraverso l'analisi delle diverse prospettive in cui si è scelto di articolare tale tematica, tanto vasta quanto complessa, si intende fornire gli elementi fondamentali di riflessione per rispondere a tre principali quesiti:

- Quali sono gli stakeholder e qual è il loro ruolo nel processo di Hta?
- Quali sono gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere nel processo di Hta?
- Quale contributo dovrebbero fornire i pazienti e i cittadini nel governo dell'innovazione e quando?

Il panorama internazionale attuale offre soluzioni, in termini di partecipazione delle parti interessate, caratterizzate da alta variabilità. Sono difatti previsti modalità e tempi diversi a seconda delle esigenze specifiche e dell'importanza attribuita alla prospettiva di ciascuno dei soggetti tipicamente coinvolti. Per esempio, la partecipazione a livello di "governance" di organi delle autorità regolatorie si configura tipicamente come una soluzione piuttosto rara. Più frequentemente le parti interessate esprimono il loro punto di vista durante il processo decisionale vero e proprio in cui gli stakeholder sono consultati, ponendosi come fonti informative di relativa importanza. In alcune esperienze internazionali, come per esempio quella del Regno Unito, sono stati progettati e realizzati programmi "ad hoc" per coinvolgere in modo sistematico le parti interessate in tutte le fasi di Technology Appraisal.

Un secondo aspetto riguarda gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere, dalla fase di prioritarizzazione fino a quella di valutazione finale nel processo di Hta. Oggi, per esempio, si osserva un tentativo di uniformare a livello internazionale le dimensioni da valutare (ne è un esempio la predisposizione del Core Model EUneHta). Tuttavia, pur constatando una generale omogeneità metodologica, permane una certa variabilità legata a fattori di contesto, quali per esempio la misurazione del beneficio in termini di salute e la scelta del comparatore rispetto alla tecnologia sotto osservazione. Inoltre, anche quando la valutazione è commissionata dalle autorità nazionali, l'evidenza non sembra poter essere l'aspetto determinante di ogni scelta. E anche laddove essa si renda disponibile, non è chiaro quali criteri di valutazio-

ne siano effettivamente applicati. Il processo, di conseguenza, non risulta sempre completamente trasparente. Probabilmente, una maggiore partecipazione, specialmente delle organizzazioni dei pazienti e delle industrie produttrici, garantirebbe la comunanza di intenti e la focalizzazione sulle fasi e gli esiti del processo valutativo.
Infine, i pazienti/cittadini sempre più frequentemente cominciano a proporsi e ad essere chiamati a prendere parte attiva alle decisioni che li riguardano nell'ambito del sistema sanitario. Tuttavia, ad oggi, sono ancora incerti il ruolo che essi possano assumere nel processo di Hta e le modalità con cui i loro bisogni e le loro preferenze possano essere incorporati nelle valutazioni delle tecnologie sanitarie.
È con l'obiettivo di fare chiarezza su questi punti, sciogliendo gli eventuali dubbi interpretativi e condividendo gli aspetti di principio e di metodo sul tema generale, che la Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta) ha intrapreso un percorso di approfondimento all'interno dell'Health Policy Forum (Hpf).

MATERIALI E METODI

L'Hpf è un'iniziativa promossa e organizzata dalla Sihta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic) e la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Siti). Fin dalla prima edizione la Società Italiana dei Farmacisti Ospedalieri (Sifo) ha assicurato un importante contributo al dibattito. In qualità di Società Scientifica, e grazie al supporto delle competenze del Comitato Direttivo e del Comitato Scientifico, la Sihta intende creare le condizioni affinché industria, regolatori e utenti finali delle innovazioni tecnologiche in campo sanitario possano discutere in modo sistematico e strutturato gli aspetti metodologici del processo dell'Hta.
L'iniziativa si ispira negli intenti, nei principi e nei metodi a quella analoga avviata nel 2004 a livello internazionale dall'Health Technology Assessment International, a cui essa risulta collegata con accordi formali di collaborazione (www. htai.org).
Quello dell'Hpf è un format innovativo che crea le condizioni affinché tutti gli stakeholder possano discutere in modo sistematico, aperto e strutturato degli aspetti metodologici del processo dell'Hta.
L'Hpf è un incontro a "porte chiuse" i cui partecipanti sono stati invitati dalla Sihta in relazione alla loro esperienza nel campo dell'Hta, indipendentemente dalla posizione ricoperta nelle istituzioni del Ssn, nell'industria e tra le organizzazioni rappresentative di pazienti e cittadini. Per la prima edizione 65 professionisti, provenienti da Società Scientifiche, Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria e Università hanno animato un giorno e mezzo di dibattito sul

"Ruolo degli stakeholder nel processo di Hta" nel contesto del Ssn.
Il tema oggetto dell'incontro è stato scelto dagli stessi membri del Forum tra sette diverse tematiche proposte dal Comitato Scientifico della Sihta, mediante una consultazione on-line che ha permesso di valutare l'interesse dei membri in pectore per le diverse tematiche. Attraverso discussioni avvenute sia in sessione plenaria che in sottogruppi, il dibattito ha permesso di fornire le prime risposte alle tre domande considerate. Il Forum si è svolto secondo la Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk). Questa "regola", come principio che governa la confidenzialità della fonte dell'informazione durante un meeting, è stata originata dal Royal Institute of International Affairs di Londra nel 1927 e oggi è utilizzata da molti organismi internazionali.
La scelta di esplicitare e condividere "regole di ingaggio" ben precise è stata finalizzata ad animare una discussione fattiva e "aperta". Per effetto dell'applicazione di tale regola, ogni membro del Forum esprime opinioni che hanno carattere personale pur derivando dalla propria esperienza e prospettiva e che non possono essere considerate come posizioni ufficiali dell'istituzione cui il singolo appartiene. Tutte le informazioni "catturate" durante le discussioni assembleari o dei sottogruppi possono essere liberamente utilizzate dagli altri membri, purché non sia rivelata l'identità di chi le ha espresse. Inoltre, le informazioni possono essere rese pubbliche solo in presenza di un accordo unanime tra i partecipanti e secondo le forme concordate (articolo scientifico, position paper, linee guida ecc.). Le riflessioni espresse in questo documento emergono dalle discussioni articolate nelle quattro sessioni plenarie e nei tre gruppi di lavoro attivati nell'ambito del Forum stesso. Il presente lavoro, prima della sua pubblicazione, è stato sottoposto alla validazione da parte dello stesso gruppo di lavoro durante il secondo meeting Hpf tenutosi a Torino il 18 novembre 2010, in occasione del III Congresso Nazionale della Sihta.

RISULTATI

Quali sono gli stakeholder e qual è il loro ruolo nel processo di Hta?

L'identificazione degli stakeholder che legittimamente possono contribuire al processo di Hta è certamente legata all'articolata concezione di "valore" assegnabile alle tecnologie sanitarie. Tale valore, in altre parole, si determina in virtù degli attributi che ogni parte interessata assegna alla tecnologia stessa. Gli attributi e le implicazioni dell'uso di una tecnologia possono essere innumerevoli. Il lavoro svolto nell'ambito del Policy Forum dell'Health Technology Assessment International nell'edizione 2007 ha permesso di "isolare" alcuni degli attributi

TABELLA 2 *Valorizzazione degli attributi delle nuove tecnologie secondo la prospettiva degli stakeholder*

Attributo tecnologico	Rango per ogni attributo secondo la prospettiva dello stakeholder						Significatività statistica
	Manager sanitari	Decisori sanitari	Fornitori di assistenza	Produttori	Pazienti	Pubblico	
Efficacia	9	1	12	6	11	6	0,08
Sicurezza	10	8	3	5	5	11	0,39
Certezza del beneficio	11	2	6	13	9	8	0,25
Assenza di alternative	13	11	1	4	3	12	0,02*
Ritorno rapido alle attività quotidiane	8	14	14	1	1	5	0,01*
Serietà	12	5	2	11	2	13	0,04*
Budget impact	1	7	7	9	14	7	0,02*
Fattibilità	4	3	8	10	10	10	0,17
Convenienza	2	10	4	7	6	14	0,13
Costo	5	6	8	14	13	9	0,04*
Prezzo	6	4	5	12	12	4	0,37
Fattore sensazione di benessere	14	12	11	3	4	1	0,15
Immediatezza	3	13	10	8	7	2	0,09
Novità	7	9	13	2	7	2	0,59

* Indica un valore di p statisticamente significativo

della tecnologia che possono essere considerati rilevanti ai fini della generazione del valore ricadente dall'uso della tecnologia stessa:

- efficacia tecnica, sperimentata sul campo;
- la sicurezza della tecnologia;
- la certezza del beneficio indotto dall'uso della tecnologia;
- la mancanza di alternative alla tecnologia sotto osservazione;
- la capacità della tecnologia di permettere un pronto ritorno delle persone alle attività quotidiane;
- la gravità della patologia per la quale la tecnologia viene usata;
- l'impatto che questa genera sul budget del sistema sanitario;
- la sua facilità di applicazione e utilizzo;
- la convenienza rispetto alle alternative;
- il suo costo in termini assoluti;
- il suo prezzo;
- la sua capacità di dare un beneficio "percepito" dai pazienti;
- l'immediatezza della sua azione;

- la “novità” rispetto alle tecnologie esistenti.

Un altro attributo, non meno rilevante, è costituito dalla quantità e dalla qualità delle evidenze scientifiche disponibili in letteratura a supporto della tecnologia stessa, senza le quali nessuna dichiarazione di efficacia o sicurezza sarebbe realmente affidabile.
Tutte le parti in grado di identificare un “valore” nell’uso di una tecnologia sanitaria possono legittimamente essere prese in considerazione in un processo di valutazione. La valutazione conferita da ciascuna delle parti a una nuova tecnologia può sensibilmente variare, poiché diversa è la percezione che gli stakeholder coinvolti nel sistema hanno di tali aspetti. A partire da queste considerazioni si sono identificate le differenti categorie che intervengono con prospettive e valori diversi nell’attività di valutazione (Tabella 2).
Pur nella consapevolezza che livelli istituzionali di valutazione differenti danno origine a stakeholder diversi o diversamente rilevanti, permane l’esigenza di affermare un unico modo di intendere l’Hta, al di là degli specifici livelli decisionali.
Nel processo di identificazione degli stakeholder, le prospettive che si possono avere sono quelle:

1. del Ssn (anche se il Ssn raramente è chiamato in causa per decidere le scelte di ricerca e investimento);
2. delle Regioni;
3. dell’industria (anche se meno frequentemente);
4. del cittadino.

In base a questa premessa, possono identificarsi quali stakeholder (Tabella 3):

TABELLA 3 *Gli stakeholder e il loro ruolo nel processo di Hta*

Manager sanitari	Direzione aziendale
Decisori sanitari	Politici, Assessori, Ministri, Agenzie, Regioni
Fornitori di assistenza	Professionisti e altri prestatori di servizi
Ricercatori	Ricercatori e Società Scientifiche
Produttori	Industria
Pazienti	Pazienti e caregiver
Pubblico	Società e media

Fonte: Nostro adattamento da Health Policy Forum Sihta, I ed., 5-6 Luglio 2010 (dati non pubblicati)

1. le direzioni aziendali;
2. i decisori politici (assessori, ministri e tutti coloro che prendono le decisioni nell'ambito di Agenzie e Regioni);
3. i professionisti e tutti i fornitori di assistenza;
4. i ricercatori e le società scientifiche;
5. l'industria;
6. i pazienti e i caregiver;
7. la comunità in generale e i portatori di conoscenza (media e società).

Non è parso opportuno, in sede di classificazione, inserire in un'unica categoria, da denominarsi "società", i politici e i cittadini, in quanto gli uni "rappresentativi" degli altri. In un'ottica di analisi delle rispettive dinamiche, infatti, tale scelta avrebbe ridotto il grado di dettaglio dell'esplorazione, rendendo omogenee queste due classi di stakeholder.

Il contributo che i singoli stakeholder forniscono alle diverse fasi del processo di Hta si differenzia e si articola in ragione degli elementi che qualificano lo stakeholder stesso nella singola fase del processo. È possibile identificare tre fattori qualificanti:

- la "pertinenza" dello stakeholder è strettamente legata alle caratteristiche del processo istituzionale che assegna ai diversi portatori di interesse ruoli e responsabilità specifiche a seconda delle fasi in cui intervengono;
- la "rilevanza", che esprime il contributo relativo che ogni stakeholder può fornire rispetto al momento del processo di Hta nel quale ci troviamo. È evidente che nel momento della creazione delle evidenze tecniche i professionisti, i ricercatori, ma anche l'industria assumono ruoli particolarmente rilevanti;
- i diversi stakeholder possono avere diverso "peso" nel contribuire a una determinata fase del processo pur essendo ugualmente coinvolti in essa: nell'elaborazione delle "priorità" del sistema sanitario, il "peso" da assegnare alle considerazioni dei cittadini e dei pazienti è diverso dal "peso" delle figure manageriali impegnate nel governo del servizio sanitario. Rilevanza, pertinenza e peso che i singoli stakeholder assumono nel processo di Hta sono strettamente dipendenti, a loro volta, dall'obiettivo (produzione di una raccomandazione più o meno vincolante ai fini decisionali), dal livello decisionale (micro, meso e macro) e dalla natura della tecnologia (farmaco, dispositivo, procedura, programma di sanità pubblica ecc.).

Il passo da compiere al fine di identificare in modo esaustivo gli attori e i relativi ruoli è quello di dare forma agli aspetti metodologici e al quadro di riferimento sopra citati. In altre parole, al fine di catturare esaurientemente il senso della

matrice Pertinenza-Rilevanza-Peso e coglierne le relative opportunità, sarebbe necessario chiarirne i contenuti.

Consapevoli che tale compito appartiene alle Istituzioni, in questa sede ci limiteremo a fornire delle proposte chiarificatrici. Il coinvolgimento dei pazienti nella valutazione di una nuova tecnologia, per esempio, potrebbe essere maggiormente pertinente nella fase di valutazione piuttosto che in quella di prioritarizzazione, e particolarmente rilevante se i pazienti coinvolti sono anche pazienti informati. Lo stesso può dirsi, infine, in relazione al peso di questa categoria di stakeholder nei processi di valutazione dell'impatto di una tecnologia sulla qualità della vita. Il complesso lavoro da svolgere implica quindi a carico delle istituzioni la necessità di discutere il peso, la rilevanza e la pertinenza di ciascuno degli stakeholder con l'obiettivo di completare la "griglia" esemplificata nella Tabella 4.

Per individuare il ruolo degli stakeholder è stata inoltre esplorata la variabilità con cui essi intervengono nel processo di valutazione. A tale fine, sono stati considerati i diversi livelli istituzionali in cui ha luogo l'intervento (nazionale, regionale e locale/professionale), aspetto particolarmente rilevante in un sistema, come quello italiano, che è oggi "federale" da un punto di vista organizzativo e decisionale.

Infine, sulla base della letteratura esistente considerata, sono state discusse le modalità di coinvolgimento, che dipendono evidentemente da innumerevoli fattori. I singoli stakeholder possono quindi, a seconda dei vari livelli:

1. non avere alcun coinvolgimento (opzione da considerare rara);

TABELLA 4 *La matrice Pertinenza-Rilevanza-Peso*

	Macro fasi del processo di Hta		
Stakeholder	Prioritarizzazione	Valutazione	Stima
Manager sanitari			
Decisori sanitari			
Fornitori di assistenza			
Ricercatori			
Produttori			
Pazienti			
Pubblico			

Pertinenza, Rilevanza, Peso

Fonte: nostro adattamento da Health Policy Forum Sihta, I ed., 5-6 Luglio 2010 (dati non pubblicati)

2. essere portatori di conoscenza, ovvero ricevere o fornire dati e informazioni strutturati;
3. essere meri portatori di dati;
4. commentare le decisioni;
5. appellarsi, richiedendo una scelta alternativa;
6. collaborare nell'analisi delle problematiche;
7. essere coinvolti nella valutazione (realizzando il vero e proprio "engaging");
8. esercitare un'attività di controllo all'interno del processo di valutazione.

Quali sono gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere nel processo di Hta?

Se l'identificazione degli stakeholder è legata intimamente alla variabilità dello stesso concetto di valore che i diversi attori del sistema assegnano ai diversi impatti generati dall'uso della tecnologia nel sistema, la conseguenza è che i metodi da adottare nell'intero processo di valutazione devono inevitabilmente rispecchiare le modalità ritenute da tutti più opportune per rilevare oggettivamente i "valori" in gioco. Per questo appare indispensabile giungere alla condivisione delle diverse dimensioni presenti nel processo valutativo:

1. i principi fondanti l'approccio dell'Hta (efficacy, effectiveness, sostenibilità, responsabilità, documentabilità ed equità di accesso);
2. le linee guida dell'Hta, in termini di metodi di lavoro e modello decisionale;
3. i bisogni delle parti interessate;
4. la prioritarizzazione sulla base dell'analisi di detti bisogni;
5. le metriche di valutazione, che considerino l'analisi del processo, piuttosto che l'analisi del prodotto, e i costi complessivi;
6. l'identificazione chiara e preliminare negli studi di endpoint e outcome;
7. la contestualizzazione dei parametri e del valore delle fonti;
8. la necessità di applicare le conclusioni della valutazione e le modalità per tale applicazione;
9. la previsione di momenti strutturati di condivisione;
10. le modalità e i canali attraverso i quali comunicare i risultati alle parti interessate prescelte.

Appare particolarmente critica la fase che attiene alla condivisione delle metodologie di valutazione strettamente intese e delle metriche per tale valutazione. Le informazioni prodotte dalle Agenzie di Hta dovrebbero rappresentare un supporto decisionale in materia di assistenza sanitaria al fine di migliorare la qualità dell'assistenza

e la sostenibilità dei sistemi sanitari grazie a un uso sempre più costo-efficace delle tecnologie sanitarie; sono quindi destinate a tutti i livelli di decision making.
Il gruppo di lavoro ha concordato che i metodi per la valutazione economica rappresentano un momento particolarmente critico in tale condivisione. Infatti la valutazione economica che integra tecnicamente le valutazioni di efficacy/effectiveness con valutazioni di costo, fornisce al decisore un "modello decisionale" che, in molti contesti, circoscrive la discrezionalità del decisore stesso rappresentando, quindi, un tassello fondamentale e, secondo molti, obbligato nel percorso di Hta. Le ragioni di tale criticità risiedono nella constatazione che il contesto della sanità, non solo nel nostro Paese, sia caratterizzato da risorse limitate e vincoli di bilancio sempre più stringenti che impongono un utilizzo delle risorse sempre più efficiente così da massimizzare le conseguenze in termini di salute. Negli ultimi anni la diffusione delle analisi costoefficacia (Ace) sta influenzando in modo sempre più sistematico i processi di decisione nei principali Paesi dell'Unione Europea al riguardo della fissazione dei prezzi delle tecnologie (farmaci soprattutto) o del rimborso totale o parziale del costo della tecnologia.
Se, come detto, la valutazione è necessariamente multidisciplinare, la condivisione dei metodi presuppone anche una piena preparazione da parte di tutte le componenti nell'affrontare la questione delle metodiche di valutazione ai fini della loro condivisione. Questo presuppone clinici sempre più impegnati nello sviluppo di una formazione multidisciplinare e metodologica anche nel campo delle valutazioni economiche e nell'Hta e pone il problema della formazione di coloro che sono chiamati a rappresentare pazienti e cittadini e a condividere i processi e i metodi di valutazione con le altre "parti".

Quale contributo dovrebbero fornire i pazienti e i cittadini nel governo dell'innovazione e quando?

Le tematiche discusse nell'ambito del gruppo di lavoro dedicato a questo tema hanno portato a dettagliare non solo la tipologia del contributo che i cittadini e i pazienti possono portare al processo di valutazione, ma anche a definire le caratteristiche che i cittadini e i pazienti coinvolti nei processi di valutazione dovrebbero possedere per essere in grado di apportare un contributo costruttivo.
Proprio dalla discussione di quest'ultimo aspetto è emersa la criticità del potenziale contributo dei cittadini e dei pazienti in relazione al loro livello di informazione rispetto ai processi di valutazione in cui si trovano a essere coinvolti.
Si evince difatti la necessità di avere cittadini e pazienti informati, che siano in grado

di dare un contributo in processi che a volte sono estremamente tecnici. Non viene loro richiesta tanto una competenza tecnica specifica (epidemiologica, economica ecc.), quanto piuttosto un livello di informazione tale che li renda pienamente consapevoli del processo in cui sono coinvolti e del loro potenziale utile contributo.
Sulla scorta di tale evidenza è emerso anche il differente ruolo e il differente contributo che i cittadini, come membri della società, possono apportare ai processi di valutazione rispetto ai pazienti che invece, nel caso specifico, rappresentano i diretti interessati agli interventi sanitari oggetto di valutazione.
Sulla base di tali premesse sono stati quindi identificati potenziali contributi diversi dei cittadini e/o pazienti in relazione al momento temporale di coinvolgimento rispetto al processo di valutazione: il coinvolgimento precoce e il coinvolgimento ex post.
Il coinvolgimento precoce ha luogo durante la valutazione e si può realizzare grazie al confronto tra un panel di esperti e gruppi di pazienti e/o cittadini relativamente ai benefici e ai rischi noti, nonché sul possibile impatto di questi esiti sulla qualità di vita del paziente, sul suo stato di salute e su tutto ciò a cui i pazienti assegnano un "valore". In questa stessa sede può anche essere richiesto di intervenire in questioni relative alla prioritarizzazione.
Il coinvolgimento ex post si realizza, invece, quando i cittadini e i pazienti:

1. fungono da terminali di segnalazione rispetto ai temi dell'equità e dell'accessibilità;
2. osservano i processi organizzativi relativi all'inserimento di una nuova tecnologia;
3. propongono interventi migliorativi.

È possibile, inoltre, analizzare la variabilità del coinvolgimento in base ai diversi tipi di patologie, a seconda delle quali il coinvolgimento assume una valenza assai diversa. Nel caso, per esempio, di patologie a elevato impatto sociale – ovvero patologie che interessano ampie fasce della popolazione e con ricadute di salute e di costo importanti sul paziente, i familiari e la società – il coinvolgimento dei cittadini/pazienti può dare un contributo potenzialmente elevato. Viceversa, tale coinvolgimento ha un effetto minore nel caso di patologie con basso impatto sociale. Incerto è invece il contributo fornito da questa categoria di stakeholder nel caso di patologie asintomatiche, in cui la malattia non si è ancora manifestata e vi è il problema di individuare i soggetti da coinvolgere e da informare. Lo stesso può dirsi con riferimento alle tecnologie e attività pertinenti alla prevenzione, per le quali è fondamentale individuare e favorire meccanismi di coinvolgimento sistematico dei pazienti e dei cittadini.

DISCUSSIONE

Questo documento raccoglie gli esiti di un animato dibattito che ha avuto luogo all'interno della prima edizione dell'Hpf della Sihta. Tale occasione si ritiene possa rappresentare un primo contributo efficace e fattivo a una migliore collaborazione tra portatori di interessi nel delicato processo di Hta. L'Hpf, in questo senso, risponde alle esigenze crescenti di un approccio multidisciplinare e multistakeholder per l'Hta. La discussione ha fornito tentativi e proposte risolutive alle tematiche affrontate, con particolare riferimento ai quesiti discussi e alle loro implicazioni.

Sono state individuate le principali categorie di stakeholder da coinvolgere nel processo di valutazione di una tecnologia sanitaria. I criteri con cui sono state originate le categorie mirano a garantire che ciascuno possa difendere e farsi portatore dei propri interessi, indipendentemente dal livello istituzionale in cui ha luogo tale confronto.

In conclusione, risulta ampiamente condiviso l'auspicio che nel processo di Hta siano previste opportunità di coinvolgimento degli stakeholder nelle attività valutative, affinché il processo stesso sia ispirato a principi di trasparenza che garantiscano la condivisione delle scelte operate dal decisore. L'impatto stesso dell'Hta sarebbe più efficace se gli stakeholder fossero adeguatamente resi partecipi. Infatti, ciò potrebbe contribuire a migliorare il valore e l'applicabilità dell'Hta nel mondo reale, a condizione tuttavia che il processo sia gestito in modo che l'oggettività della valutazione non ne risulti compromessa.

È necessario quindi ridefinire modalità di coinvolgimento, rispettive responsabilità, qualità e tempistica di tali interazioni. In altre parole, se dal lato dell'industria è opportuno chiarire i criteri di allocazione delle risorse e adeguare le competenze interne, sul fronte della ricerca va attivato lo sforzo di orientamento alla "ricerca applicata" e al trasferimento tecnologico, nonché alla ricerca "valutativa". Alle istituzioni, d'altro canto, deve essere affidato il compito di facilitare questa cooperazione tramite i network e la disseminazione di regole certe e trasparenti, al fine di garantire l'"early engagement" tra istituzioni, pazienti e industria.

CONCLUSIONI

Nonostante il largo consenso manifestato intorno al concetto e al valore della tecnologia sanitaria quale strumento di supporto alle abilità cliniche del medico, non esiste ancora un accordo unanime su quali tecnologie debbano essere usa-

te, in quale misura e con quali limiti. Diverse idee sono maturate con riferimento alla capacità delle tecnologie di produrre valore a fronte dell'investimento sostenuto. Tali premesse hanno generato ulteriori divergenze circa gli elementi da condividere nel processo di Hta, che sono stati elaborati e valorizzati dai membri dell'assemblea, in uno sforzo di ricomposizione che fosse quanto più possibile condiviso tra le parti.

È opportuno che gli stakeholder formalizzino metodi rigorosi e metriche di valutazione, privilegiando l'analisi dei bisogni di salute come criterio di prioritarizzazione. Va considerata inoltre la rilevanza del momento di identificazione degli outcomes e degli endpoints, al fine di ottenere evidenze utili alla decisione e, allo stesso tempo, devono essere definite le modalità e i canali mediante i quali comunicare tali risultati.

La partecipazione dei pazienti e dei cittadini al processo di valutazione si rivela oggi essere una risorsa focale che interviene nelle attività di Hta e come tale merita di essere valorizzata in modo da produrre il massimo beneficio per la collettività. Tuttavia, è opportuno considerare l'appropriatezza di tali interventi in relazione alle fasi del processo: se, difatti, in una fase di prioritarizzazione è auspicabile il coinvolgimento dei cittadini, nella fase di valutazione vera e propria è più opportuno garantire la partecipazione diretta dei pazienti o dei loro caregiver, singoli o in associazioni; forme associative di pazienti possono svolgere funzioni importanti di rappresentanza a garanzia della diffusione delle informazioni. Tutti i contributi forniti per dare risposta alle tematiche affrontate rappresentano proposte funzionali al raggiungimento di obiettivi non strettamente riconducibili alle problematiche dell'Hta, ma piuttosto alla qualità e all'accessibilità delle informazioni, alla gestione del conflitto tra le parti nella fase di definizione delle priorità, alla responsabilizzazione dei professionisti nei confronti dei bisogni di salute.

BIBLIOGRAFIA

- *Etzkowitz H, Leydesdorff L. The dynamics of innovation: from National systems and "Mode 2" to a Triple Elics of univeristy-industry-government relations. Research Policy 2000; 29:109-23*
- *Cicchetti A, Marchetti M, (a cura di), Manuale di Health Technology Assessment. Roma: Il Pensiero Scientifico Editore, 2010*
- *Hutton J, McGrath C, Frybourg JM, et al. Framework for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies (fourth hurdle systems). Int J Technol Assess Health Care 2006; 22:10-8*
- *Battista RN. Scienze della salute, decisioni politiche e valutazione delle tecnologie: sta espandendosi il ruolo degli epidemiologi? Epid Rev 1994; 18:15-21*
- *Lomas J. Research and evidence based decision making. Aust N Z J Public Health 1997; 21: 439-41*
- *Favaretti C, De Pieri P. La valutazione delle tecnologie sanitarie in Italia: seconda fase. Clinical Governance: dalla gestione del rischio clinico al miglioramento continuo della qualità. 2008; 1: 1-4*
- *Sorenson C, Drummond M, Kristensen FB, et al. How can the impact of health technology assessments be enhanced? Copenhagen: WHO Regional Office for Europe, 2008*
- *Menon D, Makela M, Kearney B, et al. The value of new technologies in health care: survey results. Alberta (Canada): School of Public Health, 2007*
- *Gauvin F, Abelson J, Giacomini M, et al. "It all depends": Conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. Soc Sci Med 2010; 70: 1518-26*
- *Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie in Italia. 2006. www.apss.tn.it/Public/Allegati/File/Carta_di_trento_su_HTA_ in_Italia.pdf (ultimo accesso dicembre 2010)*
- *Eisenberg JM. Ten lessons for evidence based technology assessment (commentary). JAMA 1999; 282: 1865-9*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

11 LA DEFINIZIONE DELLE PRIORITÀ NEL PROCESSO DI HTA TRA ESIGENZE CENTRALI E REGIONALI

La definizione delle priorità deve avvenire in modo diverso a seconda che il processo avvenga a livello nazionale o regionale. I criteri di prioritizzazione, conseguentemente, possono essere adattati a tutti i livelli decisionali mediante l'attribuzione di punteggi atti a definirne il peso relativo di ogni criterio.

Tutti gli stakeholder devono partecipare alla definizione delle priorità di valutazione con ruoli strategici e responsabilità diverse, che possono essere individuate mediante la definizione di un peso, una pertinenza e una rilevanza.

Si è trovata una condivisione sui criteri per l'identificazione delle priorità, classificandoli in criteri oggettivi e soggettivi.

A. I criteri oggettivi individuati sono:

1. *Prevalenza della condizione clinica.*
2. *Burden of disease.*
3. *Evidenze scientifiche disponibili.*
4. *Costo della tecnologia utilizzata.*
5. *Costo della malattia.*
6. *Variazione nell'uso della tecnologia.*
7. *Presenza di alternative terapeutiche.*
8. *Sicurezza della tecnologia.*

B. I criteri soggettivi individuati sono:

1. *Potenziali cambiamenti sui risultati di salute.*
2. *Potenziali cambiamenti sui costi.*
3. *Impatto etico, legale e sociale della tecnologia.*
4. *potenziale impatto sullo sviluppo economico (es. impatto economico sulla produzione industriale, sugli investimenti in R&D, sull'occupazione).*
5. *Variazione nell'uso della tecnologia Interesse delle parti.*

Lo sviluppo di un sistema di definizione delle priorità, realmente utile, viene ritenuto fondamentale in considerazione dei vincoli economici che rendono "critico" l'uso responsabile delle risorse e la diffusione della cultura della valutazione a tutti i livelli decisionali.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Angelica Carletto, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

11 LA DEFINIZIONE DELLE PRIORITÀ NEL PROCESSO DI HTA TRA ESIGENZE CENTRALI E REGIONALI

BACKGROUND

Il priority setting nei processi di Hta: il panorama internazionale

Il priority setting, inteso come la definizione delle priorità di ricerca nell'ambito delle attività di valutazione, si caratterizza, innanzitutto, per l'elaborazione di sistemi di definizione di criteri che, opportunamente identificati e pesati in base alle specifiche esigenze di contesto, possano identificare delle priorità che siano adeguate e razionali rispetto al contesto di riferimento. L'identificazione di sistemi per la definizione di criteri di prioritarizzazione rappresenta il metodo più diffuso di priority setting indipendentemente dalle risorse disponibili o dai sistemi sanitari di riferimento (Noorani et al., 2007).
Le esperienze maturate in ambito internazionale possono costituire un supporto molto rilevante per alimentare una riflessione italiana, che si realizzi sia a livello

TABELLA 1 *Criteri di prioritarizzazione del metodo Donaldson*

Criteri	Peso medio
Prevalenza della condizione clinica	2,66
Costo della tecnologia	1,00
Variazione nell'uso della tecnologia	2,94
Burden of disease	2,80
Potenziali cambiamenti sui risultati di salute	2,55
Potenziali cambiamenti sui costi	1,83
Incertezza sull'impatto etico, legale e sociale dell'introduzione della tecnologia	2,22

Fonte: nostro adattamento da Berra, 2010

nazionale sia regionale, sul processo di definizione delle priorità.
Nei primi anni '90, diversi modelli sono stati proposti per formulare la lista delle priorità di valutazione. Uno dei primi, meglio noto come metodo Donaldson, è da attribuirsi all'Institute of medicine (Iom). Tale modello, risalente al 1992, prevede: la strutturazione di un processo elaborato sulla base del metodo Delphi, la presenza di team multidisciplinari e sette differenti criteri di prioritarizzazione, sia di natura oggettiva (prevalenza della condizione clinica, costo della tecnologia utilizzata, variazione nell'uso della stessa) sia soggettiva (burden of disease, potenziali cambiamenti sui risultati di salute e sui costi, incertezza sull'impatto etico, legale e sociale associati all'introduzione di una tecnologia) (Tabella 1). Secondo tale modello, le fasi in cui è declinato il processo di definizione delle priorità comprendono: (I) la selezione e la pesatura dei criteri utilizzati per stabilire le priorità, (II) l'identificazione delle tecnologie candidate, (III) la selezione delle tecnologie, (IV) la raccolta dei dati, (V) l'assegnazione di un punteggio a ciascun criterio per tutte le tecnologie selezionate, (VI) il calcolo del punteggio totale e l'elaborazione della classifica, (VII) la revisione da parte di un advisor esterno (Berra et al., 2010).
Il modello di Donaldons è stato utilizzato come riferimento metodologico per il priority setting da diverse Agenzie tra cui l'Osteba (Basque office for Hta, www.osanet.euskadi.net/osteba/es/). La stessa ha proceduto, attraverso un meccanismo di consensus conference, all'identificazione di criteri aggiuntivi e all'assegnazione dei relativi punteggi. Sulla base degli score così ottenuti sono stati derivati, tramite modelli di regressione lineare, i pesi da assegnare a ciascun criterio individuato.
Negli anni '90, nell'ambito del progetto Eur-Assess, sono state elaborate delle linee guida atte a strutturare i sistemi di definizione delle priorità che sono poi stati utilizzati negli anni a seguire, dalla gran parte delle agenzie di Hta europee. Partendo dal presupposto che non esiste un processo standard per la definizione delle priorità universalmente valido in tutti i contesti di riferimento, tali raccomandazioni hanno definito i più generali concetti di chiarezza e trasparenza quali elementi imprescindibili nella definizione delle priorità, sottolineando, inoltre, come un rapporto costi-benefici favorevole sia fondamentale nel condurre la valutazione/ricerca.
Le linee guida per il priority setting, elaborate nell'ambito del progetto EurAssess, prevedono le seguenti fasi per il processo di definizione delle priorità:

1. revisione delle tecnologie sanitarie, delle politiche sanitarie e della pratica clinica, per identificare i problemi rilevanti per i decisori;
2. traslazione di tali problemi in potenziali valutazioni;

3. definizione delle priorità;
4. comunicazione delle priorità alle istituzioni e alle agenzie coinvolte nella produzione di report di valutazione;
5. monitoraggio e revisione delle valutazioni e delle priorità (Henshall et al., 1997).

Un ulteriore apporto al tema è quello proveniente dal Catalan agency for health technology assessment and research (Cahta, www.gencat.cat/sa-lut/depsan/units/aatrm/html/en/Du8/index.html) che nel 2006, durante l'attività di revisione del processo di priority setting implementato, ha identificato nuovi criteri, assegnato punteggi (score) tramite i quali stabilire le priorità e, infine, valutato l'attendibilità dei risultati determinati dal processo così implementato (Berra et al., 2010).
Sempre in ambito europeo, il National institute for health and clinical excellence (Nice) ha a sua volta strutturato i propri criteri guida articolandoli in: (I) burden of disease (popolazione interessata, morbilità, mortalità); (II) impatto economico (sul Ssn o sul settore pubblico); (III) rilevanza politica (ad esempio, se il tema rientra nell'area delle priorità del governo); (IV) variabilità nella pratica clinica tra diversi Paesi; (V) fattori che denotano l'emergenza della valutazione. Il processo implementato dal Nice prevede che i suggerimenti ricevuti sulla valutazione siano revisionati da un panel multidisciplinare (composto da esperti del settore, pazienti, pubblico, professionisti con una buona conoscenza dei servizi sanitari, ecc.) e che le raccomandazioni prodotte siano infine sottoposte all'attenzione del Dipartimento della salute, cui spetta la decisione finale sui temi e le tecnologie da assoggettare a una valutazione approfondita (www.nice.org.uk). Lo studio di Noorani e colleghi del 2007, condotto nell'ambito di 11 Agenzie nazionali appartenenti a Inahta (www.inahta.org), ha proceduto con l'identificazione di 59 differenti criteri utilizzati, che sono stati successivamente raccolti e specificati all'interno di 11 topics. Tali aspetti sono stati identificati mediante una revisione di documenti prodotti dalle agenzie e da studi pubblicati, che hanno descritto il framework e il processo di definizione delle priorità. Inoltre, alcuni aspetti di dettaglio relativi al processo sono stati approfonditi mediante la consultazione dei responsabili del processo nelle diverse agenzie e valorizzati tenendo in considerazione ulteriori variabili di contesto, quali la popolazione di riferimento, il budget disponibile, i meccanismi di "advisory" a supporto delle scelte nell'ambito del processo di prioritarizzazione, i sistemi di rating e l'utilizzo di analisi costo-benefici (Noorani et al., 2007).
La strutturazione del processo di prioritarizzazione implica, quindi, la definizio-

ne del contesto nel quale devono essere fissate le priorità, aspetto che diviene cruciale e non prescindibile dal livello decisionale. Da ciò deriva che non può esserci, quindi, una procedura valida per qualsiasi circostanza.
Un ulteriore fattore di contesto che può influenzare la progettazione di un processo di priority setting è il sistema sanitario nel quale operano le diverse agenzie o organizzazioni. In Europa, i sistemi sanitari nel tempo si sono evoluti sviluppando differenti valori e preferenze sociali e culturali. In alcuni Paesi sono nate delle agenzie pubbliche per le attività di Hta (ad esempio, in Spagna, Francia e Svezia), mentre altri Paesi, come la Svizzera e i Paesi Bassi, hanno implementato l'Hta principalmente in funzione del pagamento per l'assistenza sanitaria attraverso compagnie assicurative e fondi di malattia.
La struttura del sistema sanitario ha anche un impatto sul processo di definizione delle priorità relativamente alla tipologia di tecnologie e al ruolo degli attori nel processo, identificabili, ad esempio, nel ministero della Salute, nelle agenzie pubbliche e nelle assicurazioni sanitarie, nonché nelle organizzazioni che erogano i servizi o alcune combinazioni di questi (Henshall et al., 1997).

Il priority setting nei processi di Hta: il panorama nazionale

Con riferimento al contesto italiano, l'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali (Agenas) ha proposto, a livello nazionale, un set di criteri utili al processo di priority setting. Tali criteri si riassumono in:

1. criteri di carattere clinicoepidemiologico;
2. criteri di carattere economico-organizzativo;
3. criteri di carattere etico-sociale;
4. criteri legati al livello di evidenza disponibile;
5. criteri legati al rischio di inappropriatezza (Cerbo, 2010).

Il processo di definizione delle priorità, nell'ambito delle attività di governo dell'Hta, appare invece ancora molto eterogeneo a livello regionale. A titolo esemplificativo, le esperienze dell'Emilia-Romagna e del Veneto mostrano un quadro piuttosto complesso dove le funzioni politiche e quelle tecniche alimentano il processo con contributi specifici e funzioni differenti (Cicchetti e Marchetti, 2010). In Piemonte, invece, la funzione di Hta e il relativo ufficio sono stati previsti con il Piano di attività e spesa dell'Aress per il 2008, unitamente agli organismi del Gruppo di programmazione, del Nucleo tecnico dell'Ufficio di Hta e della Consulta per il technology assessment. Nell'ambito di tali organismi, sono stati definiti i criteri atti a prioritarizzare gli oggetti della valutazione, riassumibili in:

- rapporto rischi-benefici;
- possibile impatto sugli esiti di salute prodotti e/o sull'organizzazione sanitaria;
- efficacia e appropriatezza nell'utilizzo della tecnologia in questione;
- impatto economico;
- impegno (inteso come uniformazione dell'Ente richiedente al parere espresso);
- urgenza (associata alla rapidità di diffusione o alla velocità con cui essa viene richiesta);
- variabilità nella frequenza di utilizzo;
- probabilità che la valutazione prodotta rimanga valida in un certo arco temporale.

Sono infine considerate prioritarie le richieste provenienti dall'Assessorato alla salute e dall'Assessorato alla ricerca e all'innovazione che sono espresse con motivazione di urgenza (www.aress.piemonte.it).
Con il Dgr 7856 del 2008, la Regione Lombardia ha emanato l'atto di indirizzo per il governo del processo di valutazione dell'appropriatezza d'uso delle tecnologie sanitarie, esplicitando fasi, attività e attori coinvolti nel processo. La costituzione, in aggiunta, di un Nucleo di valutazione delle priorità e dei conflitti di interesse (Nvpci) risponde all'esigenza di dover governare il flusso di richieste di valutazione provenienti dai portatori di interesse oppure 'orfane'. Tale catalogazione avviene sulla base dell'assegnazione di un ranking mediante il quale identificare la priorità e che assume natura multidimensionale. Le dimensioni identificate per la graduazione sono otto e riguardano la rilevanza tecnica comparativa, la sicurezza comparativa, l'efficacy, l'effectiveness, l'impatto economico e finanziario, l'equità, l'impatto sociale ed etico ed infine l'impatto organizzativo. Il punteggio (score) così determinato su questa scala di priorità globale, unitamente ad una valutazione effettuata per aree patologiche o settori sanitari, concorre a determinare le priorità emergenti (Regione Lombardia, Dgr 7856, 2008).

Il priority setting nei processi di Hta: il coinvolgimento degli stakeholder

I primi tentativi di sistematizzare la definizione delle priorità nel processo di Hta avanzati negli anni '90 sono del tutto manchevoli del riferimento relativo alle preferenze espresse circa la partecipazione degli stakeholder.
Dallo studio di Noorani e colleghi (2007) emerge che il più ampio livello di coin-

volgimento degli stakeholder nel processo di priorty setting è previsto dall'Agency for healthcare research and quality (Ahrq, www.ahrq.gov) statunitense. Nei restanti casi, invece, il livello di coinvolgimento è più ristretto e si concretizza nella consultazione di un comitato costituito da rappresentanti del terzo pagante, dei professionisti sanitari e dei ricercatori, oppure, come nel caso canadese, il coinvolgimento di un gruppo volontario formato da clinici, ricercatori, terzo pagante e rappresentanti dei consumatori e dell'industria.

Più in generale, in ambito internazionale, il coinvolgimento degli stakeholder nel processo di definizione delle priorità è generalmente limitato alla fase di identificazione dei temi di valutazione.

Nel Regno Unito, il Nice gioca un ruolo fondamentale nel processo di definizione delle priorità e le proposte di valutazione provengono da diverse fonti, sia interne allo stesso Nice sia esterne, tra cui: i professionisti sanitari, i pazienti, il Dipartimento della salute, il Centro nazionale di Horizon Scanning, quest'ultimo incaricato di segnalare le tecnologie emergenti meritevoli di valutazione.

Le segnalazioni da parte del pubblico possono essere inviate al Nice tramite la semplice compilazione di un modulo online che prevede l'inserimento di informazioni riguardanti la patologia, la popolazione interessata, la tipologia di intervento da valutare, la presenza di eventuali disuguaglianze sociali relative al tema di interesse.

L'industria farmaceutica può inoltrare i propri suggerimenti direttamente all'Uk PharmaScan, in caso di farmaci non ancora approvati, o, in alternativa, al National horizon scanning centre, i quali a loro volta sottopongono le proposte di valutazione al Dipartimento della salute. Nel caso l'industria fosse interessata alla valutazione da parte del Nice di tecnologie innovative, inclusi i dispostivi medici e le tecnologie diagnostiche, si può rivolgere all'Evaluation pathway programme per eventuali segnalazioni.

Il Nice, infine, valuta i suggerimenti ricevuti e filtra le richieste utilizzando una check list basata su criteri predefiniti.

In Canada il processo di priority setting negli ultimi anni ha subito un significativo cambiamento. Oggi la Canadian agency for drugs and technologies in health (Cadth) adotta un approccio che incorpora sia un metodo analitico-decisionale multicriterio, chiamato anche Analytic hierarchy process (Ahp), per l'assegnazione dei pesi ai criteri identificati, sia un processo deliberativo per l'identificazione delle priorità di ricerca. La selezione dei criteri di prioritizzazione coinvolge sia l'Advisory committee for pharmaceuticals che il Devices and systems advisory committee, competenti rispettivamente nel campo dei farmaci e dei dispositivi.

Entrambi i comitati sono costituiti da rappresentanti delle autorità sanitarie che a

livello federale, nazionale e territoriale sono responsabili della fornitura di servizi sanitari nella propria giurisdizione. Diversi stakeholder partecipano all'identificazione dei potenziali temi di valutazione attraverso interviste informali o grazie alla possibilità di inviare delle proposte attraverso il web. I potenziali topic sono selezionati anche a partire dai risultati dei programmi di horizon scanning. L'approccio deliberativo, infine, coinvolgendo i decisori politici e gli utilizzatori finali dei report di Hta, assicura che le valutazioni prodotte abbiano poi un impatto reale sulle decisioni, migliorando l'interazione tra ricercatori e policy maker e garantendone anche la tempestività (Husereau et al., 2010).
In Svezia le attività di Hta sono presenti sia a livello centrale con l'agenzia governativa Sbu (Swedish council on technology assessment in health care) sia a livello locale/regionale, dove esiste un crescente numero di organizzazioni di Hta. Uno degli elementi che caratterizza il sistema sanitario svedese è infatti la decentralizzazione dei processi decisionali e il ruolo importante giocato dai consigli di contea e dalle municipalità in tutte le fasi del processo di Hta. L'agenzia Sbu, che opera a livello nazionale, ha adottato un processo di priority setting che consta essenzialmente di due macro-fasi: la prima, in cui si restringe il numero delle possibili opzioni di valutazione (fase di filtraggio) e la seconda, in cui si decide il campo di interesse o la tecnologia da sottoporre a valutazione (fase di prioritarizzazione).
La maggior parte delle proposte di valutazione provengono dal Parlamento svedese, dal governo (ministero della Salute e degli affari sociali), dalle organizzazioni sanitarie (ad esempio l'executive committee di un consiglio di contea), e da singoli individui che operano nel campo sanitario. Il processo di prioritarizzazione inizia solo dopo una prima fase di filtraggio condotta all'interno dell'Agenzia stessa. Nel 1999 il processo interno di priority setting è diventato più esplicito e strutturato. Dopo la fase di filtro, una piccola selezione di argomenti è sottoposta all'attenzione del Board, il quale assegna dei punteggi a ciascuna proposta e ne seleziona alcune per cui attivare dei progetti pilota. Sulla base di tali studi il Board prende la decisione finale e si avvia così la fase di valutazione. La discussione circa l'ottimale divisione di incarichi fra le autorità centrali, regionali e locali è pertanto molto attiva negli ultimi anni, e si sta assistendo ad un numero di iniziative che segnalano un ben definito cambiamento in essere. La direzione del cambiamento va verso la centralizzazione, con una significativa riduzione del ruolo delle Regioni e delle Contee (Jonsson, 2004).
Nella regione spagnola della Catalogna, il Cahta nel 2000 ha replicato un'esperienza già attuata nel 1996 e nel 1998 aprendo una nuova "call for topics" in cui sono state coinvolte più di cinquemila persone operanti nel settore sanitario e

residenti nella regione. Su 116 proposte pervenute il Comitato scientifico del Cahta ha effettuato una prima valutazione che ha consentito di selezionare 69 temi. L'Agenzia ha poi applicato i criteri individuati da Donaldson e i pesi dell'Osteba per stilare la lista delle priorità. Sono poi stati finanziati i progetti valutati come migliori tra i primi 30 temi in classifica. L'esperienza è stata successivamente replicata anche negli anni successivi seguendo il medesimo processo.
Anche con riferimento al contesto italiano, nella Regione Piemonte l'attività di coinvolgimento nel processo di definizione delle priorità avviene ex ante. Nell'ambito, infatti, della Consulta per l'Hta, professionisti sanitari provenienti da università e aziende sanitarie, rappresentanti delle amministrazioni e dei pazienti, contribuiscono alla predisposizione di raccomandazioni e raccolgono le istanze e le richieste di valutazione per specifiche tecnologie (www.aress.piemonte.it).
Il governo del processo di valutazione implementato dalla Regione Lombardia, poi, vede la presenza di "soggetti o esperti accreditati", che sono opportunamente indicati nell'atto di indirizzo del 2008 per la valutazione delle tecnologie sanitarie (Dgr 7856 del 2008) e in relazione ai quali vengono indicate anche la partecipazione e le modalità di intervento. Il coinvolgimento dei cittadini nella fase di definizione delle priorità è comunque considerato auspicabile in quanto contribuisce a valorizzare il sistema democratico e si traduce in una maggiore trasparenza delle decisioni di politica sanitaria (Abelson et al., 2007).
Con riferimento al processo di definizione delle priorità, l'utilizzo di metodologie trasparenti ed esplicite può risultare decisivo anche per le successive scelte relative all'introduzione e diffusione delle tecnologie sanitarie. Infatti, le decisioni di introduzione, prezzo e rimborso di tecnologie sanitarie dovrebbero risentire della ricerca valutativa condotta tenendo in considerazione le priorità emergenti e i criteri per definirle (Carlsson et al., 2004).
Il processo di priority setting costituisce quindi una condizione indispensabile per garantire che gli esiti delle valutazioni di Hta abbiano un impatto reale sui processi decisionali. Ciò implica:

- l'identificazione delle tematiche di ricerca di effettivo interesse per coloro i quali sono coinvolti nel processo di Hta (istituzioni, industria, pubblico, pazienti);
- la scelta di criteri opportunamente selezionati e pesati in modo da cogliere le prospettive e i valori di tutti gli stakeholder;
- la selezione di tali tematiche sulla base di criteri condivisi verso cui orientare in maniera coerente i finanziamenti (Longworth et al., 2011).

OBIETTIVO

Obiettivo di questo lavoro è quello di fornire un contributo alla definizione del processo di priority setting nel contesto del nostro Servizio sanitario nazionale (Ssn) che risulti coerente con le migliori pratiche a livello internazionale e con le caratteristiche peculiari di sistema. A tal fine, il completamento della matrice "pertinenza-rilevanza-peso" introdotta come risultato dei lavori della prima edizione dell'Health policy forum (Cicchetti et al., 2011) (Tabella 2), con riferimento alla macrofase del processo di Hta, risulta di fondamentale rilevanza per il conseguimento di tale obiettivo.

Nonostante ad oggi non esista un processo per la definizione delle priorità univocamente e universalmente riconosciuto, esiste un largo consenso intorno alla necessità di disegnare un processo fondato sulla definizione trasparente e condivisa dei criteri di prioritarizzazione.

La tematica generale sopra descritta può essere declinata in tre quesiti utili a specificare in dettaglio le criticità da affrontare nel dare una risposta al gap di ricerca che si intende colmare.

- Quali sono i criteri per la definizione delle priorità nel processo di Hta?
- Quale ruolo assegnare agli attori coinvolti nel processo di definizione delle priorità?
- Come garantire che i criteri di priorità abbiano un impatto sui processi di Hta?

L'obiettivo di questo lavoro si colloca all'interno della più ampia prospettiva

TABELLA 2 *La matrice Pertinenza-Rilevanza-Peso*

	Macrofasi del processo di Hta		
Stakeholder	**Prioritarizzazione**	**Assessment**	**Appraisal**
Healthcare Managers			
Healthcare Policy Makers			
Healthcare Providers			
Researchers			
Manufacturers			
Patients			
Public			

Fonte: Cicchetti et al., 2011

offerta dall'Health Policy Forum (Hpf), iniziativa atta a favorire la condivisione di principi, valori e metodi per accelerare l'adozione di un equilibrato approccio all'Hta in Italia, e che tiene conto delle diverse prospettive valoriali in campo e delle "competenze" istituzionali a livello nazionale, regionale e locale.

MATERIALI E METODI

L'Hpf è un'iniziativa della Società Italiana di Health Technology Assessment condotta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Siti) e la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo).
La missione del Forum, evento continuativo che si rinnova di anno in anno con nuove proposte di discussione, è quella di instaurare un tavolo di confronto e dialogo tra professionisti che operano nell'ambito dell'Hta, appartenenti a istituzioni, Regioni, industria, associazioni di categoria, società scientifiche e università. La varietà dei contributi provenienti dai diversi stakeholder coinvolti, con profili e valori differenti ed interessi altrettanto eterogenei, rappresenta una ricchezza imprescindibile per l'implementazione dei processi di Hta, nonché un'occasione che alimenta lo scambio reciproco tra professionisti esperti del settore.
Nata come iniziativa ispirata al Forum dell'Health Technology Assessment international (www.htai.org/), l'Hpf è collegato da accordi di collaborazione formale a quello internazionale, del quale ha assimilato metodi e mission. L'evento si svolge a porte chiuse ed è governato dalla Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk). Tale "regola", nata nell'ambito del Royal institute of international affairs di Londra nel 1927, è un principio atto a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione e si pone quindi a garanzia della libertà di espressione. In base a tale regola, difatti, ciascuno può esprimere opinioni di natura strettamente personale, che non rappresentano necessariamente la posizione dell'istituzione di afferenza. Ciascuno di questi contributi può essere utilizzato da tutti gli altri membri del Forum e reso pubblico secondo le forme concordate e purché non venga divulgata l'identità di chi li ha espressi. La tematica guida dell'incontro del 2011 è stata scelta, come di consueto, mediante una consultazione on line, per mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno assegnato un ranking alle sei diverse tematiche proposte dal comitato scientifico.
Durante la prima riunione del Forum 2011, che ha avuto luogo a Roma il 9 e il 10

maggio e che si è articolata all'interno di sessioni plenarie e di gruppo, i membri dell'Hpf hanno tentato di dare risposta ai quesiti caratterizzanti la tematica guida, con l'intento di offrire un'interpretazione della problematica proposta e fornendo, secondo un approccio risolutivo, un contributo alla precisazione degli aspetti che riguardano il processo di priority setting nel contesto italiano. Il presente lavoro, frutto di questa discussione, è stato sottoposto prima della sua pubblicazione alla validazione da parte dello stesso gruppo durante il secondo meeting dell'Hpf tenutosi a Udine il 18 novembre 2011, in occasione del IV Congresso Nazionale della Sihta.

RISULTATI

Quali sono i criteri per la definizione delle priorità nel processo di Hta?

Per la definizione dei criteri di prioritarizzazione adottabili nel contesto italiano si è fatto riferimento alla letteratura internazionale in materia. Partendo dalla lista proposta da Donaldons nel 1992, si sono identificati i seguenti criteri, diversifi-

TABELLA 3 *I criteri oggettivi e soggettivi per la definizione delle priorità*

Criteri oggettivi	Criteri soggettivi
Prevalenza della condizione clinica	Potenziali cambiamenti sui risultati di salute
Burden of disease	Potenziali cambiamenti sui costi
Evidenze scientifiche disponibili	Impatto etico, legale e sociale della tecnologia
Costo della tecnologia utilizzata*	Impatto emotivo sulla collettività
Costo della malattia	Potenziale Impatto sullo Sviluppo Economico *(es. impatto economico* sulla produzione industriale, *sugli investimenti in R&D, sull'occupazione)*
Variazione nell'uso della tecnologia	Interesse delle parti
Presenza di alternative terapeutiche	
Impatto economico/organizzativo	
Budget impact	
Sicurezza della tecnologia	

*L'analisi dei costi può essere condotta mediante valutazioni di costo opportunità o di costo-efficacia.

Fonte: nostro adattamento da Health policy forum, Sihta, II ed. 9 e 10 maggio 2011 (dati non pubblicati)

candoli in criteri oggettivi, ovvero computabili, e soggettivi, ovvero giudicabili (Tabella 3).
Identificare i criteri sulla base dei quali definire l'ordine delle priorità di valutazione, tuttavia, non è sufficiente. Essi, infatti, possono assumere rilevanza diversa al variare del contesto e del livello di valutazione. L'assegnazione di un "peso" o di un "punteggio" a ciascun criterio individuato diventa, allora, un fattore cruciale per permettere a ciascuna organizzazione di adattare la lista alle esigenze e alle peculiarità del contesto in cui opera.
La definizione di un "paniere" di criteri comune a tutti i livelli consente di confrontare le diverse realtà nel tempo, mentre la possibilità di assegnare pesi diversi in base alle esigenze localmente rilevate permette di individuare i driver che governano le scelte di prioritarizzazione di ciascun contesto.
È stata esplorata inoltre la possibilità di assegnare ad ogni criterio pesi diversi in relazione al livello decisionale coinvolto e alla tipologia di tecnologia da valutare (Tabella 4). L'attenzione alla prospettiva e al livello della valutazione (nazionale, regionale e locale/professionale) è assolutamente necessaria in un sistema come quello italiano, che è oggi "federale" da un punto di vista organizzativo e decisionale. A livello regionale, per esempio, è probabile che esista una scala di valori diversa da quella del livello nazionale. Pur partendo dalla medesima lista di criteri, le priorità emergenti dal processo di priority setting potranno, quindi, essere differenti. Inoltre, ciascuno dei livelli identificati potrebbe assegnare un peso diverso ai criteri di prioritarizzazione.

Quale ruolo assegnare agli attori coinvolti nel processo di definizione delle priorità?

La prima edizione dell'Health Policy Forum ha contribuito ad identificare in modo chiaro e condiviso tutti gli stakeholder coinvolti nel processo di Hta (Cicchetti et al., 2011). L'identificazione puntuale dei singoli soggetti e delle esatte modalità di partecipazione va comunque lasciata alle singole agenzie responsabili del processo di valutazione. Ripartendo dalle categorie di attori individuate, l'Hpf si è proposto di concordare il ruolo da assegnare a ciascun attore nelle diverse fasi del processo, a partire dalla fase di prioritarizzazione.
Le categorie di stakeholder identificate sono:

1. le direzioni aziendali;
2. i decisori politici (assessori, ministri e tutti coloro i quali prendono le decisioni nell'ambito di agenzie e Regioni);
3. i professionisti e tutti i fornitori di assistenza;

4. i ricercatori e le società scientifiche;
5. l'industria;
6. i pazienti e i caregiver;
7. la comunità in generale e i portatori di conoscenza (media e società, Tabella 5).

Ciascuno stakeholder è rilevante in quanto in grado di identificare uno specifico "valore" nell'uso di una tecnologia sanitaria.
Il contributo che i singoli stakeholder forniscono alle diverse fasi del processo di Hta si differenzia e si articola in ragione di tre fattori: la "pertinenza", strettamente legata alle caratteristiche del processo istituzionale che assegna ai diversi portatori di interesse ruoli e responsabilità specifiche a seconda delle fasi in cui intervengono; la 'rilevanza', che esprime il contributo relativo che ogni stakeholder può fornire rispetto al momento specifico del processo di Hta; il "peso", che rappresenta il contributo che potenzialmente si è in grado di fornire ad una determinata fase del processo.
Tenendo presenti i diversi livelli istituzionali in cui ha luogo il processo di Hta (nazionale, regionale e locale/professionale), il gruppo di lavoro dedicato alla definizione del ruolo degli attori nel processo di priority setting ha riconosciuto a tutti gli stakeholder il medesimo grado di "pertinenza", indipendentemente dal livello in cui si svolge il processo (micro, meso e macro). Ciò significa che a tutti gli stakeholder deve essere garantita la possibilità di partecipare alla definizione delle priorità di valutazione, o perlomeno alla fase di avanzamento delle proposte sulle possibili tecnologie oggetto di valutazione.
Nell'ambito del dibattito sviluppatosi durante il Forum è stato identificato in

TABELLA 4 *Matrice criterio-livello decisionale-tecnologia*

Criterio Xi, j		i			
		Dispositivi medici	**Farmaci**	**Percorsi diagnostico terapeutici/assetti organizzativi**	**Altro**
j	Nazionale				
	Regionale				
	Locale				

Fonte: nostro adattamento da Health Policy Forum, Sihta, II ed., 9 e 10 maggio 2011 (dati non pubblicati)

modo concorde il ruolo da assegnare a ciascuna categoria di stakeholder nel processo di priority setting (Tabella 1). Nel caso in cui il ruolo assegnato sia di tipo informativo, gli stakeholder saranno chiamati a fornire dati o informazioni strutturate a supporto del processo; se il ruolo è di tipo consultivo, essi potranno collaborare nell'analisi delle problematiche o essere coinvolti direttamente nella definizione delle priorità (realizzando il vero e proprio engaging); infine, il ruolo è tipicamente decisionale per gli interlocutori chiamati a tradurre i risultati del processo in una decisione concreta. Nell'elaborazione delle "priorità" del sistema sanitario, il "peso" da assegnare alle considerazioni dei cittadini e dei pazienti è diverso da quello delle figure manageriali impegnate nel governo del Servizio sanitario. Per tenere conto di ciò, il peso attribuito a ciascuno stakeholder nel processo è espresso con un valore da 1 (valore minimo) a 3 (valore massimo).
A fronte della rilevanza e del peso assegnati a ciascuna categoria di stakeholder, alle istituzioni spetterebbe il compito di verificare che siano attivate opportune modalità di coinvolgimento nel processo di Hta.

Come garantire che i criteri di priorità abbiano un impatto sui processi di Hta? In altre parole: come evitare di produrre report che nessuno leggerà?

La riflessione elaborata nell'ambito dell'Hpf è stata volta, infine, ad identificare requisiti di priority setting che assicurino un impatto sul processo di Hta. In buona sostanza l'idea è che la possibilità che una valutazione possa ge-

TABELLA 5 *Il ruolo degli stakeholder nella definizione delle priorità*

Stakeholder	**Ruolo** (rilevanza)	**Definizione priorità** (peso)
Healthcare managers (direzione aziendale)	Consultivo/Informativo	1,5
Healthcare policy makers (politici, assessori, ministri, agenzie, Regioni)	Decisionale	3
Healthcare providers (professionisti e altri prestatori di servizi)	Decisionale	3
Researchers (ricercatori e società scientifiche)	Consultivo	2
Manufacturers (industria)	Consultivo/informativo	1,5
Patients (pazienti e caregivers)	Consultivo/informativo	1,5
Public (società e media)	Consultivo	2

Fonte: nostro adattamento da Health Policy Forum, Sihta, II ed., 9 e 10 maggio 2011 (dati non pubblicati)

nerare un reale impatto sulle decisioni prese ai diversi livelli del sistema non sia slegata dalle modalità seguite per giungere a prioritarizzare le esigenze di valutazione.
Tali requisiti sono stati identificati in:

- chiarezza del quesito, ovvero della definizione della policy question emergente dall'analisi dei bisogni;
- forza del mandato, che si traduce nell'impegno da parte del committente ad adottare la lista delle priorità come base per le attività di Hta. Quando si redige la lista delle priorità occorre considerare infatti che la forza del "mandato" è differente in relazione al ruolo del 'committente', che può essere rappresentato da presidenti di giunta, assessori, direttori di aziende, rappresentanti dell'industria, cittadini;
- chiarezza nel sistema di governo dell'innovazione. Tale requisito è orientato ad esplicitare i soggetti valutatori, le fasi del processo e i tempi della valutazione, differenziando l'iter per tipologia di tecnologie (farmaci, dispositivi, apparecchiature e procedure/assetti organizzativi) e assicurando la dinamicità del processo, affinché essa risulti coerente con il percorso dell'innovazione tecnologica. Inoltre, per evitare che si generi confusione nel sistema, è utile delineare e monitorare il percorso di quelle tecnologie definite in prima istanza 'non prioritarie';
- trasparenza e condivisione del metodo di definizione dei criteri, ovvero esplicitazione dei criteri adottati per la fissazione delle priorità e del metodo utilizzato per selezionarli;
- fattibilità, in relazione alla disponibilità di risorse, competenze e dati per la produzione delle "prove" e del report di valutazione e in merito alla predisposizione dei meccanismi atti a monitorare l'impatto della valutazione sul processo decisionale;
- tempestività nel garantire una tempistica coerente sia con il bisogno individuato, sia con il processo decisionale, sia con la programmazione dei policy maker. L'attività di prioritarizzazione dovrebbe infatti esaurirsi in un intervallo temporale tale da non impattare negativamente sull'intera durata del processo di valutazione. Difatti, sarebbe necessario che il tempo di produzione medio di un report fosse confrontabile con la vita media dei dispositivi medici e/o con le scadenze contrattuali dell'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa);
- cogenza, ovvero promozione di attività volte a favorire la diffusione dei risultati e l'adozione delle raccomandazioni prodotte nella pratica clini-

ca ed assistenziale;
- accessibilità e fruibilità dei risultati del report, da diffondere per mezzo di molteplici canali di comunicazione e rendere accessibili anche a cittadini e pazienti. A tal fine, preservare la gratuità dei report e affidarsi ad uno stile user-friendly per assicurarne la comprensibilità diventano aspetti cruciali da tenere in considerazione.

CONCLUSIONI E DISCUSSIONE

È ormai un'opinione consolidata quella che riconosce all'Hta un ruolo sempre crescente nelle scelte del decisore politico. Ciò vale sia per i contesti nazionali che per le realtà regionali e, nel caso italiano, tale aspetto è particolarmente rilevante a seguito del progressivo decentramento organizzativo e decisionale che vede le Regioni direttamente coinvolte nei processi di definizione e programmazione dei servizi sanitari. Tale aspetto assume un'importanza crescente con riferimento alla definizione delle priorità della ricerca valutativa, laddove è richiesta una scelta razionale nel veicolare le risorse verso alcune tecnologie piuttosto che altre.
Nonostante gli sforzi di condivisione profusi negli ultimi anni, il processo di definizione delle priorità a livello regionale, nell'ambito delle attività di governo dell'Hta in Italia, appare ancora eterogeneo, sia nel grado di esplicitazione del processo, che dei criteri che lo governano. È da tale premessa che si è avvertita l'esigenza di affrontare la tematica in questione condividendo le istanze dei professionisti esperti nell'ambito della seconda edizione dell'Hpf della Sihta.
La discussione alimentata durante il Forum ha consentito di declinare la tematica guida nei suoi peculiari aspetti, nello sforzo congiunto di approfondire esperienze internazionali già avviate ed elaborare un contributo adattabile al nostro contesto nazionale e locale.
In particolare, il dibattito all'interno dei gruppi di lavoro in seno al Forum si è focalizzato sull'identificazione dei criteri in base ai quali ordinare le richieste di valutazione, sul ruolo da assegnare agli stakeholder da coinvolgere nel processo, definendo infine quei requisiti di garanzia da considerarsi imprescindibili per un effettivo impatto sul più generale processo di Hta.
Nel dettaglio sono stati definiti i criteri di prioritarizzazione valevoli per tutti i livelli decisionali, adattabili a specifici contesti locali mediante l'attribuzione di punteggi atti a definirne il peso relativo. Partendo dalla lista degli stakeholder individuati durante la prima edizione dell'Hpf (Cicchetti et al., 2011), sono stati attribuiti caratteri di rilevanza, pertinenza e peso a coloro i quali nutrono un interesse

strategico nei confronti del processo di definizione delle priorità. Quest'ultimo dovrebbe infine soddisfare requisiti minimi che garantiscano la chiarezza, la conoscenza dei report prodotti e il loro utilizzo a supporto delle scelte dei decisori. Va infatti considerato che i processi non trasparenti rischiano di generare scetticismo tra le parti interessate e il conseguente non utilizzo delle valutazioni prodotte; da ciò si deduce l'importanza da assegnarsi a un corretto e trasparente priority setting. Essa, infatti, risiede sia nell'esigenza di stabilire un sistema di regole equo, che non penalizzi o avvantaggi nessuno stakeholder a scapito di un altro, sia nella necessità di garantire che chi è responsabile della definizione delle priorità e del processo di valutazione sia fortemente indipendente dagli interessi dei singoli stakeholder. Chiaramente non esiste un unico modo di fissare la lista delle priorità di valutazione, in quanto preferenze culturali e sociali, unitamente ad elementi contestuali, possono senza dubbio influenzare la struttura del processo. Inoltre, la diversità delle potenziali tecnologie da valutare, le esigenze di natura politica e altri fattori possono di fatto ridurre i benefici di un approccio sistematico alla definizione delle priorità e comprometterne l'efficacia.
In un sistema federale come quello italiano, per evitare sovrapposizioni e inutili duplicazioni di lavoro, è auspicabile la costruzione di un rapporto di reciproca collaborazione tra le organizzazioni che operano lungo il processo di Hta ai diversi livelli del sistema. Qualsiasi approccio sia scelto in quest'area, è importante che garantisca principi di qualità e di equità, che sia stabile nel tempo e sia condiviso con tutti gli attori del sistema. È altrettanto evidente che in un sistema sanitario nazionale, ancorché federale come quello italiano, una funzione di coordinamento nazionale svolta dal ministero della Salute nella definizione delle priorità, sia per i dispositivi sia per i farmaci, assuma rilevanza fondamentale, mentre è auspicabile che le attività di valutazione delle tecnologie siano assegnate alle agenzie di Hta in relazione alle specifiche competenze. L'applicazione di principi comuni nelle diverse fasi del processo di Hta sembra infine in grado di contribuire al conseguimento di condizioni di equità d'accesso ai Livelli essenziali di assistenza per tutti i cittadini che sono alla base del sistema federale e solidale scelto per la gestione del sistema sanitario in Italia.

BIBLIOGRAFIA

- *Abelson J, Giacomini M, Lehoux P, Gauvin FP (2007), Bringing "the public" into health technology assessment and coverage policy decisions: from principles to practice, Health Policy, 82: 37-50*
- *Berra S, Sanchez E, Pons JMV et al (2010), Setting priorities in clinical and health services research: properties of an adapted and updated method, Int J Technol Assess Health Care, 26 (2): 217-224*
- *Carlsson P (2004), Health technology assessment and priority setting for health policy in Sweden, Int J Technol Assess Health Care, 20 (1): 44-54*
- *Cerbo M (2010), Il ruolo di Agenas nella valutazione delle tecnologie sanitarie emergenti. Seminario regionale 'Quale futuro per il sistema dei dispositivi medici', Bologna. Disponibile online al seguente indirizzo: www.saluter.it/documentazione/convegni-e-seminari/dm-16nov2010/cerbo. Ultima consultazione: dicembre 2012*
- *Cicchetti A, Iacopino V, Carletto A et al. (2011), Il ruolo degli stakeholder nel processo di Hta, Giornale Italiano di Health Technology Assessment, 4 (2): 69-77*
- *Cicchetti A, Marchetti M (a cura di) (2010), Manuale di health technology assessment, Roma, Il Pensiero Scientifico Editore*
- *Henshall C, Oortwijn W, Stevens A et al (1997), Priority setting for health technology assessment. Theoretical considerations and practical approaches, Int J Technol Assess Health Care, 13 (2): 144-185*
- *Husereau D, Boucher M, Noorani H (2010), Priority setting for health technology assessment at CADTH, Int J Technol Assess Health Care, 26 (3): 341-347.*
- *Jonsson B (2004), Le politiche di assistenza sanitaria in Scandinavia: i recenti trend, in Donia Sofio A, Mennini FS, Atella V, Spandonaro F (a cura di), Rapporto CEIS Sanità, Roma, Italpromo Esis Publishing*
- *Longworth L, Sculpher M, Bojke L (2001), Bridging the gap between methods research and the needs of policy makers: a review of the research priorities of the National Institute for Health and Clinical Excellence, Int J Technol Assess Health Care, 27 (2): 1-8*
- *Noorani HZ, Husereau DR, Boudreau R (2007), Priority setting for health technology assessments: a systematic review of current practical approaches, Int J Technol Assess Health Care, 23 (3): 310-315*

Sitografia

Agency for healthcare research and quality (Ahrq): www.ahrq.gov. Agenzia regionale per i servizi sanitari Aress Piemonte, Progetto per l'attivazione di una funzione di valutazione delle tecnologie sanitarie in Piemonte Health Technology Assessment (Hta), Regolamento attuativo: www.aress.piemonte.it

Osteba (Basque office for Hta): www.osanet.euskadi.net/osteba/es/. Catalan agency for health technology assessment and research (Cahta): www.gencat.cat

Chatam house, www.chathamhouse.org.uk

International network of agencies for health technology assessment (Inahta): www.inahta.org

National institute for health and clinical excellence (Nice), www.nice.org.uk/getinvolved/ topicselection/ topicselection.jsp

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

12 HTA E DECISION MAKING: PROPOSTE E RISULTATI DELL'HEALTH POLICY FORUM

Il ruolo dell'Hta per informare le decisioni cambia in relazione al livello decisionale: nazionale, regionale e aziendale.

Nella prospettiva nazionale l'Hta può essere adottato per le decisioni inerenti l'intero processo del ciclo di vita delle tecnologie: l'introduzione in commercio ai fini dell'inserimento delle prestazioni nei Lea o della definizione delle condizioni per la rimborsabilità e il prezzo, nonché a quelle relative alla loro revisione ed eventuale disinvestimento.

L'Hta può supportare le decisioni a livello regionale secondo prassi e strumenti condivisi con il livello centrale, al fine di evitare sovrapposizioni nelle attività di valutazione. Il compito delle Regioni è di adottare i report nazionali e renderli compatibili al proprio contesto organizzativo, promuovendo così un utilizzo più appropriato delle risorse.

L'Hta a livello aziendale può giocare un ruolo importante come strumento sia per il management sia come supporto alla pratica clinica. A livello manageriale, un accurato processo di Hta supporta la definizione della strategia tecnologica e le scelte di adozione e allocazione delle tecnologie. Quale supporto alle decisioni cliniche quotidiane, l'Hta permette di valutare l'impatto della tecnologia sull'intero percorso assistenziale.

Il sistema così delineato è un sistema coordinato e articolato tra i diversi livelli sul modello organizzativo della "rete aperta". All'interno della "rete aperta" spetta alle autorità nazionali un ruolo di "regia", con il principale compito di valorizzare le competenze ad oggi distribuite sul territorio nazionale indirizzandone l'attività sulle priorità fissate a livello politico.

AUTORI Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Angelica Carletto, Alessandra Fiore, Francesco Saverio Mennini

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

12 HTA E DECISION MAKING: PROPOSTE E RISULTATI DELL'HEALTH POLICY FORUM

INTRODUZIONE

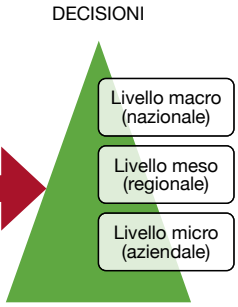
L'Health Technology Assessment (Hta) è un processo declinato nelle macrofasi di prioritarizzazione, assessment e appraisal (Cicchetti et al., 2011). Nell'ambito di tale processo, tutti gli stakeholder intervengono rappresentando i propri interessi, in relazione alle variabili di pertinenza, rilevanza e peso di ciascuno nelle diverse fasi. In particolare, tali dimensioni si riferiscono rispettivamente alla "pertinenza" del coinvolgimento, da cui discende l'assegnazione formale di ruoli e responsabilità, alla "rilevanza" del contributo relativo ad ogni attore e al "peso" assegnato agli interessi e alle istanze espresse dagli stakeholder (Cicchetti et al., 2011).
In un contesto così definito, l'Hta rappresenta un supporto alle scelte che i decisori devono intraprendere a livello nazionale, regionale e locale (Figura 1).

Hta e decisioni nel contesto del Ssn

A livello nazionale non c'è dubbio che l'Hta sia in grado di influenzare le decisioni, intervenendo, ad esempio, nella definizione dei programmi di ricerca e sviluppo, nel processo di regolazione dei farmaci e dei dispositivi medici, nella qualità dell'assistenza, nei processi per la definizione della rimborsabilità, così come nei programmi di formazione degli operatori sanitari e dei pazienti (Henshall et al., 2002).
La diffusione dell'Hta quale strumento per informare le decisioni ha avuto, negli ultimi anni, un notevole sviluppo in tutti i Paesi europei. Ad oggi, tale approccio sembra essere maggiormente impiegato nei processi decisionali di introduzione e rimborsabilità delle tecnologie sanitarie, tipicamente deputati al livello macro (Velasco Garrido et al., 2008).
Più carente resta invece l'apporto dell'Hta nei diversi Paesi alla definizione delle specifiche modalità con cui tali tecnologie saranno disponibili e accessibili alla popolazione (organizzazione e gestione). In particolare, l'Hta potrebbe essere

FIGURA 1 *Il processo di Hta e il decision making*

	Macro fasi del processo di Hta		
Stakeholder	Prioritarizzazione	Valutazione	Stima
Manager sanitari			
Decisori sanitari			
Fornitori di assistenza			
Ricercatori			
Produttori			
Pazienti			
Pubblico			



Fonte: adattamento degli autori da Cicchetti et al., 2011

un valido strumento di supporto anche per i decisori che in molti Paesi europei a livello macro sono chiamati a definire un pacchetto base di prestazioni da erogare a carico delle assicurazioni sociali o del sistema sanitario. Sempre più, pertanto, emerge l'esigenza di disporre di informazioni che riguardino l'efficacia e il rapporto costo-efficacia delle tecnologie da valutare per prendere decisioni razionali (Henshall et al., 2001).

La collaborazione nazionale e internazionale tra le agenzie a tutti i livelli del sistema è sicuramente da non tralasciare, perché potrebbe contribuire a migliorare l'impatto dell'Hta sul processo decisionale. Una maggiore cooperazione può facilitare lo sviluppo di metodologie, accrescere la trasferibilità e la trasparenza dei risultati dell'Hta e delle raccomandazioni e potenzialmente migliorare l'efficienza del processo stesso. Diversi Paesi hanno rafforzato la collaborazione mediante la produzione di linee guida di valutazioni standardizzate o la creazione di nuovi canali atti a favorire la comunicazione tra gli esperti di Hta a livello internazionale (European network of Health technology assessment-EUnetHta e Health technology assessment international - Htai). In Italia, al network di EUnetHta, ed in particolare alla Joint Action 2, partecipano attivamente l'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali (Agenas), in qualità di project leader del WP4, l'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), la Regione Veneto e la Regione Emilia-Romagna, in qualità di associated partner, e l'Agenzia di sanità pubblica della Regione Lazio (Laziosanità), il Centro interdipartimentale di studi internazionali sull'economia e lo sviluppo dell'Università degli Studi di Tor Vergata e il Policlinico Universitario "Agostino Gemelli" come collaborating partner.

In Italia il ruolo dell'Hta a supporto della programmazione sanitaria nazionale e

della definizione o aggiornamento dei Livelli essenziali di assistenza (Lea) non è ancora esplicito. L'individuazione di criteri espliciti (priorità) e condivisi, unitamente alla disponibilità di prove scientifiche robuste, rappresenta il punto cardine per razionalizzare il percorso di determinazione del pacchetto dei Lea e per la corretta allocazione delle risorse disponibili (www.salute.gov.it/). Il governo centrale è oggi chiamato a rivedere i criteri di allocazione delle risorse alla luce delle esigenze imposte dalla spending review. L'Hta, in un futuro auspicabilmente prossimo, potrebbe rappresentare lo strumento fondamentale per garantire l'adeguamento dei Lea all'innovazione scientifica e tecnologica e, in particolare, per identificare le prestazioni innovative di cui sia stata dimostrata l'efficacia clinica e/o l'economicità e le condizioni di erogabilità di quelle prestazioni più frequentemente oggetto di eccessiva variabilità e inappropriatezza prescrittiva. L'adozione di questo approccio permetterebbe una razionalizzazione nell'uso delle risorse senza ricorrere agli oramai tradizionali 'tagli lineari'.
Originariamente l'impiego dell'Hta in Italia è stato previsto dal Piano sanitario nazionale 2006-2008, che ha assegnato il coordinamento delle attività di valutazione condotte a livello regionale o interregionale agli organi tecnici centrali del Ssn, quali l'Istituto Superiore di Sanità (Iss) e l'Agenas. A quest'ultima la Conferenza unificata Stato-Regioni ha attribuito nel 2007 un ruolo di supporto allo sviluppo delle attività di Hta a livello regionale, realizzato mediante la creazione della Rete italiana di health technology assessment (Rihta). Il progressivo decentramento delle decisioni ha inoltre contribuito ad accrescere l'interesse verso il potenziale ruolo dell'Hta a livello regionale. Alcuni fattori, diversamente riscontrabili nelle Regioni italiane (ad esempio, differenze socioeconomiche, di knowhow e nella cultura della valutazione), hanno condizionato fortemente il ruolo e il peso assunto dall'Hta nei processi decisionali. I diversi approcci possono riguardare le strutture coinvolte nella valutazione, interne o esterne alla Regione, la regolamentazione dell'attività di assessment e, non da ultimo, l'utilizzo delle valutazioni per le decisioni. L'Hta può difatti supportare le scelte inerenti l'appropriato utilizzo di nuovi farmaci nell'ambito dei prontuari farmaceutici regionali, come quelle di acquisto di alte tecnologie (Cerbo e Lo Scalzo, 2007). In generale, le ricadute decisionali possono quindi riguardare la modifica dei piani sanitari, l'introduzione di una nuova tecnologia o la sostituzione di una tecnologia obsoleta, la modifica di un percorso assistenziale, lo sviluppo di sistemi informativi, l'attivazione di processi di trasformazione e ricerca, le modifiche di procedure o di sistemi di finanziamento, le modifiche organizzative (Ricciardi et al., 2010). Allo stato attuale, solo raramente è possibile rintracciare un'esplicita indicazione dell'adozione di un approccio multidisciplinare e multi-

stakeholder di tipo Hta a sostegno delle attività svolte da Commissioni e tavoli tecnici attivi a livello regionale, di area vasta o aziendale, così come delle decisioni demandate all'organo competente (Cicchetti e Marchetti, 2010).
Le esperienze di applicazione dell'Hta delle Regioni Lombardia, Veneto ed Emilia-Romagna sembrano tra le più rilevanti nel panorama nazionale.
La Regione Lombardia, in particolare, si è dotata di un programma di valutazione delle tecnologie sanitarie (Dr 7856 del 2008, allegato 1), cui si è aggiunta, con successivo decreto, la definizione dei prodotti attesi della valutazione (decreto del Dg 14013 del 15 dicembre 2009). Tale processo esita nella produzione di raccomandazioni d'uso finalizzate a informare le decisioni: (I) allocative, al fine di definire le tariffe di rimborso delle tecnologie o delle prestazioni ad esse associate; (II) applicative, orientate a stabilire intensità e frequenza di prescrizione ed impiego delle tecnologie valutate; (III) valutative (per audit clinici o controlli esterni di appropriatezza di percorsi diagnostico-terapeutici). Le raccomandazioni così prodotte, unitamente alle valutazioni comparative effettuate a sostegno della decisione, sono poi utilizzate quale riferimento specifico per diverse attività programmatiche e organizzative all'interno del Servizio sanitario regionale.
Nella Regione Veneto, l'Unità di valutazione dell'efficacia del farmaco (Uvef) (per la parte relativa a farmaci e a dispositivi medici Dgr 3977 del dicembre 2008 e successivo decreto 7 maggio 2009) svolge una funzione di supporto all'attività valutativa della Commissione del prontuario terapeutico della Regione Veneto (Ctr Ptorv). L'elenco dei medicamenti prescrivibili all'interno delle strutture ospedaliere della Regione, realizzato dalla Commissione, ha carattere vincolante per le Aziende sanitarie locali, le Aziende ospedaliere e gli Irccs, ed è realizzato mediante l'applicazione di criteri scientifici. Le schede di valutazione, infatti, sono redatte nel rispetto dei criteri indicati nella Checklist far health technology assessment report, elaborata dall'International network of agencies for health technology assessment (Inahta) e successivamente modificata e integrata nell'ambito del progetto EUneHta.
In Emilia-Romagna l'organizzazione del sistema di scelta dei farmaci all'interno del Servizio sanitario regionale è disciplinata dal Dgr 1540/2006. Mediante tale delibera, la Regione riconosce la necessità di dotarsi di un Prontuario terapeutico regionale (Ptr) "avente carattere vincolante per l'operatività delle Aziende sanitarie, nell'ambito e nei limiti del quale saranno formulati i Prontuari terapeutici provinciali". In questo assetto, la Commissione regionale del farmaco (Crf), le cui funzioni e modalità operative sono disciplinate da apposito regolamento, redige e aggiorna periodicamente il Ptr, adottato successivamente dalla Giunta regionale. La Com-

missione ha inoltre il compito di elaborare indicazioni di appropriatezza d'uso dei farmaci nonché di supportare l'Assessorato regionale delle politiche per la salute in merito alle politiche farmaceutiche. Le decisioni relative all'inserimento dei farmaci nel Prontuario terapeutico regionale sono poi rese vincolanti tramite provvedimenti redatti dal Servizio politica del farmaco della Direzione generale Sanità e politiche sociali. La Commissione, per elaborare e aggiornare il Ptr, adotta, tra gli altri, criteri di analisi delle prove di efficacia, valutazioni del rapporto costo-efficacia, nonché del profilo rischio-beneficio (Dgr 1540/2006).
È bene ricordare che l'utilizzo dell'Hta per le decisioni di inserimento dei farmaci nei Prontuari regionali da parte dell'Emilia-Romagna e del Veneto ha sollevato alcune questioni in merito all'accesso ai trattamenti da parte dei pazienti. Ai sensi del Dpcm 29 novembre 2001 (come ora del Dpcm 23 aprile 2008), l'erogazione di farmaci rientra nei Lea. Pertanto l'accesso dovrebbe essere garantito in maniera uniforme su tutto il territorio nazionale in tempi definiti. La presenza di sistemi di valutazione tipo "Hta", che abbiano come effetto un possibile ritardo nell'accessibilità alle cure, ha sollecitato interventi sia di natura normativa che giuridica. L'Accordo Stato-Regioni del 18 novembre 2010, infatti, è intervenuto a modificare lo schema di recepimento dei farmaci nei Prontuari farmaceutici regionali, rendendo obbligatorio e automatico l'inserimento di quelli ritenuti dall'Aifa come innovativi. Inoltre, la Corte Costituzionale, con due sentenze (n. 271/2008 e n. 44/2010), ha dichiarato incostituzionali alcune leggi regionali di Liguria e Puglia, sancendo il principio secondo il quale la competenza sui farmaci "essenziali" appartiene in modo esclusivo allo Stato. Questa situazione appare emblematica dei confitti di attribuzione presenti ad oggi nel nostro sistema sanitario e che, secondo alcuni, hanno anche rallentato l'adozione diffusa di un approccio unitario per l'Hta a livello nazionale.
Tradizionalmente l'Hta si è occupato di informare i decisori politici a livello macra. Tuttavia, in tempi recenti, è emersa l'esigenza di adottare i principi e i metodi dell'Hta a supporto delle decisioni manageriali e cliniche all'interno delle organizzazioni che erogano servizi sanitari. Lo sviluppo dell'Hta a livello ospedaliero nasce dalla consapevolezza che il valore delle tecnologie sanitarie debba essere analizzato in connessione con lo specifico contesto organizzativo in cui la tecnologia opera (Cicchetti e Marchetti, 2010). Funzioni di Hta aziendale strutturate sono in grado di fornire supporto, oltre che ai clinici sotto forma di raccomandazioni, anche al management per l'adozione/attivazione di nuovi farmaci, dispositivi, procedure, servizi. Inoltre, tali unità sono chiamate a offrire un supporto tecnico all'elaborazione di un piano di investimenti pluriennale per le alte tecnologie (im-

mobilizzazioni e beni inventariabili). La diffusione dell'utilizzo dell'Hta a livello organizzativo è testimoniata da un'ampia casistica a livello internazionale. La survey sviluppata nell'ambito dell'Htai (Htai, 2008) ha fornito un primo panorama di tale fenomeno. Anche per effetto della mancanza di un framework istituzionale a livello nazionale, l'Italia è il Paese, a livello internazionale, dove l'approccio dell'Hta a livello aziendale appare più diffuso. Una recente survey realizzata dal CeRiSMaS (Centro di ricerche e studi in management sanitario), in collaborazione con l'Unità di valutazione delle tecnologie del Policlinico universitario "Agostino Gemelli" e per conto del Senato della Repubblica (XII Commissione Sanità), ha fornito una fotografia completa di tale fenomeno (Marchetti et al., 2012).

OBIETTIVI

Obiettivo di questo lavoro è fornire un contributo alla definizione del ruolo che l'Hta può svolgere nei processi decisionali a livello nazionale, regionale e aziendale nel contesto del Ssn italiano.
Tale obiettivo si inquadra nell'ambito dell'attività svolta dall'Health policy forum (Hpf), iniziativa atta a favorire la condivisione di esperienze e di metodi per promuovere e diffondere l'approccio dell'Hta in Italia, considerando le differenti prospettive degli stakeholder impegnati a livello nazionale, regionale e locale.

METODI

La Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta) è una società scientifica la cui missione è la diffusione e la promozione dei principi, metodi e strumenti dell'Hta nell'ambito dei sistemi sanitari regionali. Basandosi sull'esperienza avviata dalla Società internazionale di Hta (Htai), la Sihta promuove ogni anno un momento di discussione, denominato Hpf, sulle problematiche legate all'implementazione dei processi dell'Hta ai vari livelli istituzionali.
Sono invitati a partecipare all'Hpf i rappresentanti delle istituzioni del Ssn a livello nazionale coinvolti nei processi di valutazione delle tecnologie (Aifa e Agenas), i rappresentanti di alcune Regioni, dell'industria, dei pazienti, dei cittadini e delle società scientifiche partner dell'iniziativa. L'evento si svolge a porte chiuse ed è governato dalla Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk). Tale 'regola', nata nell'ambito del Royal institute of international affairs di Londra nel 1927, è un principio atto a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione, ponendosi quindi a garanzia della libertà di espressione.

In base a tale regola ciascuno può esprimere opinioni di natura strettamente personale, che non rappresentano necessariamente la posizione dell'istituzione di afferenza.
La tematica guida dell'Hpf è concordata da tutti i membri mediante una consultazione online, nell'ambito della quale è richiesto di esprimere la propria preferenza sui possibili argomenti proposti dal segretariato scientifico.
La discussione della tematica concordata è articolata in sessioni plenarie e lavoro in gruppi che operano in parallelo, con ulteriori momenti di condivisione in plenaria, nei quali ciascun partecipante condivide le proprie esperienze ed opinioni. La discussione in plenaria è guidata dal segretariato scientifico. Nell'ambito dei lavori di gruppo, inoltre, un rapporteur coordina il dibattito e ne riferisce gli esiti durante la sessione plenaria. I risultati del forum sono riportati in un documento di sintesi realizzato a cura del segretariato scientifico e circolato tra i partecipanti.

RISULTATI

La terza edizione si è articolata in due incontri svoltisi a Roma nei mesi di maggio e di novembre 2012. La bozza del presente articolo è stata condivisa e validata da tutti i partecipanti al Forum nella sessione autunnale di novembre 2012. Al Forum hanno partecipato 59 professionisti, di cui 6 rappresentanti della Sihta, 3 rappresentanti delle associazioni di cittadini e pazienti, 23 professionisti provenienti dall'industria e 25 dal settore pubblico (9 provenienti da istituzioni e Agenzie nazionali, 8 dalle Regioni e 8 dalle Aziende sanitarie).

Livello nazionale

I membri del Forum hanno convenuto che l'insieme delle decisioni che devono essere assunte a livello nazionale variano sensibilmente in riferimento al tipo di tecnologia considerata. Si è quindi scelto, in primo luogo, di caratterizzare l'analisi in modo differenziato per farmaci, dispositivi medici, procedure e attrezzature, e conseguentemente di definire il contributo dell'Hta negli specifici processi decisionali. La Tabella 1 mostra la sintesi delle riflessioni elaborate nell'ambito dell'Hpf, illustrando separatamente la situazione attuale (As is) e quella auspicata (To be).
I momenti decisionali deputati al livello macro riguardano essenzialmente: (I) l'introduzione in commercio delle tecnologie, (II) l'inserimento di queste nei Lea o la loro rimborsabilità; (III) la definizione del prezzo; (IV) l'attività di revisione delle condizioni di rimborsabilità o di prezzo, che può esitare in una conferma, un incremento o un decremento dell'utilizzo.

TABELLA 1 *Il ruolo dell'Hta nelle decisioni nazionali*

Decisione	Farmaco		Dispositivo		Procedure		Attrezzature	
	As is	To be	As is	To be	As is	To be	As is	To be
Introduzione in commercio	No	Sì	No	Sì	Na	Na	No	Sì
Inserimento nei Lea	Utilizzo parziale	Sì	No	Sì*	Raro utilizzo	Sì	No	Sì
Livello del prezzo	Utilizzo parziale	Sì**	No	No***	No	Sì	No	No
Revisione delle condizioni	Raro utilizzo	Sì	No	Sì	No	Sì	No	Sì

Na: non applicabile

* Relativamente al caso in cui non si utilizza il Drg come meccanismo di rimborso ** Nell'ambito di una procedura che coinvolge stakeholder *** Fino a che il meccanismo di rimborso è il Drg Fonte: Health Policy Forum, 10-11 maggio 2012

Su questa base si è proceduto ad una ricognizione di tali attività, per come queste sono attualmente presenti nel contesto decisionale e per come, invece, potrebbero essere sviluppate in futuro, in una logica di miglioramento del sistema di governance delle tecnologie.

Con riferimento ai farmaci, nel contesto nazionale l'Hta non è presente nelle decisioni relative all'introduzione in commercio e nel rilascio della relativa autorizzazione (Aie). Difatti, la valutazione condotta sul farmaco è volta a definirne il profilo rischio-beneficio. Diversamente, richiedere, anche in una fase precoce come questa, una base informativa in termini di cost-efficacy o, ancora, prevedere il possibile impatto del farmaco sul budget sarebbe auspicabile, purché tali analisi forniscano risultati robusti e siano condotte in modo indipendente e condiviso.

L'utilizzo dell'Hta nell'inserimento dei Lea e nelle decisioni di prezzo e rimborso sembra ancora parziale. Infatti, l'analisi dei dossier aziendali, che costituiscono la base informativa di riferimento, prevede la considerazione solo di alcune dimensioni e sembra ancora non essere pienamente espressa l'attività di confronto con gli stakeholder. L'attuale quadro regolamentare, pur offrendo tutte le garanzie per i diversi soggetti in gioco (industria e Ssn, in particolare), non impone agli attori la completa e totale trasparenza nel percorso di revisione dei contenuti dei dossier aziendali. Con particolare riferimento alle attività di definizione del prezzo, sarebbe auspicabile nel futuro che venga elaborato un algoritmo come guida per

la decisione, purché quest'ultima sia basata sulla revisione sistematica di tutte le evidenze, sia quelle presentate nell'ambito dei dossier aziendali che le eventuali altre evidenze presenti in letteratura.
Le logiche dell'Hta potrebbero avere un maggiore spazio di applicazione nella fase di revisione delle condizioni contrattuali tra industria e Ssn per lo specifico prodotto. Pur in presenza di una mole di dati (ad esempio, quelli potenzialmente presenti nei registri) e di evidenze crescenti nei diversi domini (sicurezza, efficacia, implicazioni economiche e organizzative, ecc.), sembra che l'Hta sia stato impiegato raramente a sostegno delle ri-negoziazioni.
Ad oggi non si registrano impieghi dell'Hta né nel caso dell'introduzione in commercio né della definizione di prezzo dei dispositivi medici. Anche in questo caso, tuttavia, l'introduzione di questi potrebbe essere supportata da tale logica, operando però in modo diverso a seconda della tipologia dei device, e definendo appropriati disegni degli studi utili a derivare le evidenze per la valutazione in relazione alla specifica natura dei dispositivi rispetto ai farmaci.
La definizione del prezzo dei dispositivi è ancora oggi lasciata ai meccanismi di mercato e non esiste per questi un rimborso specifico, se non quello della prestazione in cui è impiegato (Drg). Tale aspetto non sembra quindi rendere possibile l'impiego dell'Hta al fine della definizione del prezzo, anche se va considerato che esistono ulteriori strumenti per la regolazione del mercato, guidata dal ministero dello Sviluppo economico. L'unico caso in cui è invece già direttamente pensabile un futuro impiego dell'Hta è quello in cui il dispositivo sia inserito nei Lea e quindi il suo utilizzo sia compreso nelle tariffe di rimborso della prestazione. Nel caso dovesse invece modificarsi l'attuale quadro normativo, l'utilizzo dell'Hta potrebbe risultare utile con riferimento alle modifiche di prezzo una volta che questo venga definito per tutti i dispositivi. In attesa della pubblicazione da parte del ministero della Salute delle tariffe massime corrispondenti alla versione 24.0 Drg, le Regioni si sono mosse autonomamente per aggiornare i rispettivi tariffari delle procedure che utilizzano dispositivi innovativi. Tali manovre riguardano un riconoscimento economico aggiuntivo nel caso di impianto di determinati dispositivi medici e l'applicazione di una tariffa particolare per singolo episodio di ricovero per alcuni Drg. L'inserimento dell'Hta nelle decisioni relative alle procedure è molto utile, ma non ancora effettuato. In particolare, l'impiego dell'Hta nella definizione del prezzo della procedura, da intendersi come definizione del Drg a livello ospedaliero, può essere utile in particolare nei casi in cui tale procedura abbia nuove implicazioni sotto il profilo organizzativo. È inoltre fortemente auspicabile che l'Hta venga in futuro utilizzato per la valutazione delle prestazioni da inserire nei Lea, impiego

che oggi avviene solo raramente.
Sul tema delle apparecchiature, ad oggi non v'è traccia dell'utilizzo dell'Hta, ma è certamente possibile immaginare degli spazi nelle decisioni di introduzione in commercio dei dispositivi e certamente nell'inserimento dei Lea. A tale approccio va comunque affiancata la considerazione di ulteriori strumenti del mercato, volti, ad esempio, a garantire la trasparenza dei prezzi in funzione del livello tecnologico.

Livello regionale

Le attività di Hta a livello regionale sono particolarmente differenziate e solo in alcuni casi è possibile individuare approcci multidisciplinari e multistakeholder.
La necessità di chiarire compiti e funzioni di ciascun livello, insieme a quella di definire forme di coordinamento efficaci, ha rappresentato il fulcro della discussione del gruppo di lavoro dedicato. La discussione ha inoltre affrontato la problematica dell'implementazione di un modello di Hta a livello istituzionale, e quindi i temi del finanziamento del processo di Hta, la definizione del ruolo dell'industria e dei cittadini e la questione della gestione dei conflitti di interesse dei diversi soggetti coinvolti nel processo di valutazione.
La distribuzione delle competenze in ambito regionale o nazionale deriva dall'accresciuta consapevolezza dell'importanza che l'Hta assume nel Servizio sanitario nazionale e dal progressivo decentramento delle decisioni a livello regionale.
L'art. 117 della Costituzione italiana sancisce che la definizione dei Lea spetti al livello centrale. Alle Regioni spetta invece la gestione dell'assistenza sanitaria. Le Regioni, alla luce dei Lea e del comparto finanziario, devono gestire l'erogazione dei servizi in funzione della loro disponibilità finanziaria.
Dalla discussione è emersa la necessità di individuare i ruoli che il livello nazionale e regionale dovrebbero svolgere nelle fasi di prioritarizzazione, assessment (scientific evaluation) e appraisal (policy advice). In particolare, pur essendo necessario un raccordo tra il livello nazionale e quello regionale, questo non deve indurre a una sovrapposizione di attività tra le Regioni e gli organi centralizzati quali l'Aifa e l'European medicines agency (Ema). In questo contesto, l'attività delle Regioni sul tema dell'Hta deve essere inquadrata in un contesto in cui vi sia un sistema a livello nazionale articolato nelle diverse realtà regionali. In tale situazione l'attività delle Regioni dovrebbe essere duplice:

1. contribuire a costruire il sistema nazionale fornendo la propria quota parte di risorse professionali in un contesto di progetti di valutazione nazionale;
2. trasferire e rendere compatibili alla propria realtà regionale i report nazionali.

Si fa sempre più forte, quindi, la necessità di stabilire regole e ruoli chiari e distinti nel rispetto del dettato costituzionale. Nello specifico, i membri del Forum hanno condiviso la necessità di armonizzare gli approcci decisionali delle diverse Regioni, assegnando però all'Aifa, da un lato, e alla Conferenza Stato-Regioni, dall'altro, un ruolo di verifica circa la reale attuazione delle regole concordate al fine di garantire su tutto il territorio nazionale l'equo accesso alle cure per i cittadini e, di conseguenza, l'erogazione dei Lea. L'esempio considerato è quello del Dl del 18 novembre 2010, che assegna all'Aifa un ruolo di vigilanza delle inadempienze delle Regioni in materia di assistenza farmaceutica, che è stato assolto molto raramente.
Nell'ambito farmaceutico il gruppo di lavoro ha sottolineato, invece, l'importanza del ruolo delle Regioni nella definizione delle priorità di ricerca ai fini della produzione delle evidenze utili alla valutazione. Le Regioni, ad esempio, sarebbero chiamate a collaborare per individuare le aree "orfane" di evidenza, in modo tale da indirizzare correttamente le risorse per la produzione di valutazioni su dati verificabili. Inoltre, ancora più importante è il ruolo riconosciuto alle Regioni nell'ambito del monitoraggio del reale impatto della tecnologia (sia del farmaco sia di altro) nella pratica clinica e quindi nella 'vita reale', in un'ottica di valutazione del "ciclo di vita" della tecnologia, dall'introduzione fino all'obsolescenza. Per questo motivo fondamentale è il ruolo riconosciuto alle Regioni in merito alla raccolta ed informatizzazione dei dati real life da poter essere utilizzati al livello centrale al fine della valutazione post-marketing, soprattutto nel caso dei farmaci.
La discussione del gruppo di lavoro ha evidenziato, ancora, che tra i possibili ruoli dell'Hta a livello regionale vi è quello di contribuire alla definizione e valutazione di percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali (Pdta) intesi come strumento volto ad ottimizzare la gestione della malattia nella pratica clinica. Ad essi è attribuito il compito di massimizzare il beneficio nel singolo paziente e migliorare il rapporto costo-beneficio della strategia di cura.
A livello regionale si è iniziato a lavorare in questa direzione. In particolare, la Regione Lombardia ha attivato dal 2009 un gruppo di lavoro per lo sviluppo e la condivisione di Pdta per malattie rare. Un altro esempio riguarda l'elaborazione di percorsi per la gestione delle infezioni croniche da virus Hbv, Hcv e Hiv (Lazio, 2011; Lazio, 2013; Basilicata, 2011; Puglia, 2012; Calabria, 2012; Lombardia, 2013).

Livello aziendale

L'Hta a livello aziendale può giocare un ruolo importante nel fornire un supporto a decisioni strategiche aziendali, in particolare alla definizione di una delle strategie funzionali più critiche, la strategia tecnologica; decisioni cliniche quotidiane, ossia

decisioni da prendere in ogni momento e con riferimento al singolo paziente.
In entrambi i casi, l'Hta è un potenziale strumento utile a sostenere con basi razionali le scelte relative alla selezione delle tecnologie da introdurre, all'allocazione delle risorse, alla valutazione dell'impatto sui processi e sull'organizzazione e alla gestione delle stesse nel lungo periodo. Partendo da un'ampia definizione di tecnologia, i membri del Forum hanno sottolineato la necessità di focalizzare l'attività di valutazione non più sulla singola tecnologia o prestazione, bensì su interi percorsi assistenziali incentrati sul paziente e sulla sua condizione di salute, tenendo ben presente che la mission generale di ciascuna Azienda sanitaria è quella di rispondere ai bisogni di salute dei propri assistiti. Il valore e i benefici di una tecnologia e di una prestazione sono strettamente connessi con il tessuto organizzativo e con la capacità della struttura di inglobare la nuova tecnologia all'interno dei processi assistenziali esistenti.
La focalizzazione dell'attività valutativa sul percorso diagnostico-terapeutico del paziente implica l'esigenza di misurare l'impatto dell'introduzione/dismissione di una tecnologia anche al di fuori del contesto aziendale, tenendo in considerazione la capacità delle strutture sanitarie territoriali di fornire cure appropriate attraverso i propri servizi assistenziali. In questo quadro si innesta il problema della difficile integrazione tra diversi livelli assistenziali e decisionali e tra azienda ospedaliera e territorio, che meriterebbe di essere approfondito più in dettaglio auspicabilmente nel prossimo futuro.
Le esperienze riportate nell'ambito del gruppo di lavoro hanno dimostrato che le attività di Hta si possono sviluppare a livello aziendale in modo formale, attraverso la costituzione di unità ad hoc o attraverso altri modelli organizzativi meno strutturati, oppure possono essere utilizzate come un approccio diffuso alle decisioni quotidiane. Una soluzione organizzativa più strutturata è realisticamente attuabile e perseguibile nelle grandi Aziende ospedaliero-universitarie, nei Policlinici universitari e nelle grandi Aziende sanitarie, ma, in generale, è ritenuto auspicabile che la cultura valutativa sia distribuita tra tutti i professionisti e diffusa all'interno dell'organizzazione.
L'approccio Hta diffuso a livello aziendale non si attiva automaticamente, ma è necessario il coinvolgimento precoce dei professionisti clinici (dedicati e non alle attività di valutazione) e l'integrazione con i livelli superiori (regionale e nazionale). Nel corso del dibattito è stato sottolineato che i professionisti possono rappresentare un ostacolo alla diffusione della cultura valutativa se nei processi decisionali non è previsto un loro coinvolgimento strutturato dalle prime fasi del processo fino al monitoraggio dei risultati a seguito dell'introduzione della nuova tecnologia nei

processi assistenziali. In assenza di evidenze scientifiche, peraltro, il commitment dei clinici è indispensabile per informare i processi decisionali e valutare i benefici di una tecnologia mediante l'avviamento di sperimentazioni cliniche ad hoc e di successive attività di monitoraggio.
L'attività multidisciplinare di valutazione deve trovare il suo fondamento nel coinvolgimento e nella responsabilizzazione di clinici e amministratori verso la razionalizzazione complessiva del processo decisionale.
Sviluppare integrazioni ed alleanze, sia all'interno dell'organizzazione sia all'esterno, con il contesto locale, regionale e nazionale è ritenuto un obiettivo ambizioso ma, allo stesso tempo, imprescindibile in un'ottica di incremento delle attività di valutazione, di tensione continua al miglioramento dei risultati, di sviluppo e valorizzazione del capitale umano e del relativo know-how. Il livello aziendale potrebbe certamente trarre giovamento dai report di Hta prodotti ai livelli superiori e dalle informazioni in essi contenute, mantenendo la possibilità, o meglio una reale necessità, di calare la valutazione in un contesto organizzativo caratterizzato da specifiche peculiarità e da un ammontare di risorse limitato. D'altronde le Aziende sanitarie, che sviluppano funzioni di Hta, partecipano alla produzione delle evidenze scientifiche e all'espansione delle competenze nel campo valutativo, contribuendo in tal modo allo sviluppo del più generale processo di Hta a livello regionale o nazionale.

CONCLUSIONI E DISCUSSIONE

L'Hta è un processo che può supportare diverse decisioni a livello nazionale, regionale e aziendale (Velasco Garrido e Busse, 2005). Non c'è dubbio, tuttavia, che, considerando anche il confronto con i contesti internazionali, sia oggi richiesto uno sforzo di ampliamento delle sue possibili applicazioni.
L'Hpf intende offrire un contributo alla discussione sulle modalità necessarie a conseguire una piena applicazione delle metodologie di valutazione, anche alla luce del contesto economico odierno, che impone l'utilizzo razionale delle risorse, trasparenza e accountability. Tra l'altro, una tale esigenza si fa ancora più evidente osservando come gli strumenti e la cultura della valutazione non siano ancora impiegati in modo uniforme ed esplicito in tutti i processi decisionali.
La terza edizione dell'Hpf ha inteso affrontare questi aspetti, offrendo una prospettiva e un'occasione di dibattito sul tema. In particolare, gli output del Forum hanno interessato i diversi livelli di governo dell'innovazione, con specifico riferimento ad ogni tecnologia potenzialmente coinvolta nel processo di valutazione. È emerso

un ampio consenso intorno all'esigenza di integrare i processi di valutazione implementati ai diversi livelli, allo scopo di valorizzare, in un'ottica sistemica, quelle sinergie esistenti tra gli stakeholder che ne sono coinvolti.
In particolare, il coordinamento tra i diversi livelli decisionali è ritenuto rilevante al fine di valorizzare le competenze ad oggi distribuite sul territorio nazionale. Il modello organizzativo auspicabile è la rete "aperta", in cui le autorità nazionali svolgano un ruolo di "regia" e in cui abbia luogo la condivisione delle esperienze e delle competenze, e che fornisca un supporto alle Regioni in cui non esistono ancora funzioni di Hta formalizzate. Inoltre, i partecipanti all'Hpf hanno sottolineato la necessità di valutare le tecnologie sanitarie nell'ambito dell'intero percorso assistenziale in cui esse sono inserite. Ciò consentirebbe di superare l'attuale visione del sistema tipicamente a "silos" e di ampliare, di conseguenza, la valutazione dell'impatto della tecnologia nella prospettiva dell'intero sistema sanitario.
In un contesto economico-finanziario critico, il rischio è che il nostro Ssn veda ridefiniti i propri confini in termini di prestazioni essenziali garantite alla popolazione. Soluzioni di immediata applicazione, quali i tagli lineari sui fattori produttivi del sistema (personale, beni e servizi, tecnologie e infrastrutture) sono da evitare, perché lesive dei più generali principi di qualità ed equità sui cui il nostro sistema si fonda, nonché disincentivanti per le eccellenze del Paese.
L'utilizzo dell'Hta, sia per favorire l'introduzione dell'innovazione sia per supportare le scelte di disinvestimento, consente ai decisori di assumere decisioni razionali e motivate, ed è di supporto in un progressivo processo di assunzione delle responsabilità. Attraverso l'Hta è possibile operare una ridefinizione dei Lea senza che questo impatti negativamente sulle performance del sistema. Tale ridefinizione può e deve coinvolgere tutte le istituzioni e mettere in rete le migliori competenze disponibili a livello nazionale, regionale e locale, unitamente ad esperti provenienti dall'accademia, da società scientifiche e centri di ricerca. La coesa partecipazione di tali soggetti alla rete, di cui l'Hpf è espressione ed esempio, si pone come strumento di tutela del nostro Ssn e a garanzia della sua sostenibilità.

BIBLIOGRAFIA

- *Assobiomedica (2012), I sistemi tariffari per le prestazioni di assistenza ospedaliera. Un esame della normativa nazionale e regionale*
- *Cerbo M, Lo Scalzo A (2007), Hta nelle Regioni italiane, presentazione del corso Sifo di Health technology assessment. Cicchetti A, Marchetti M, Di Bidino R, Corio M (2008), Rospital based health technology assessment. World-Wide Survey. Disponibile online al seguente indirizzo: www.Htai.org/fileadmin/HTAi_Files/ISG/Hospita1BasedHTA/2008Files/ HospitalBasedHTAISGSurvey Report.pdf. Ultimo accesso: dicembre 2013.*
- *Cicchetti A, Marchetti M (a cura di) (2010), Manuale di Health technology assessment, Roma, TI Pensiero Scientifico Editore*
- *Cicchetti A, Iacopino V, Carletto A et al. (2011), Il ruolo degli stakeholder nel processo di Hta, Giornale Italiano di Health Technology Assessment, 4 (2): 69-77. Henshall C, Koch P (200 l), Hta in policy and practice. To identify and share successfull approaches to link findings of assessments, and their contribution to health indicators, to health care decision-making, ECHTA/ECAHI Working Group 6, Zurich, Switzerland, May 28, 2001*
- *Henshall C, Koch P, von Below GC et al. (2002), Hta in policy and practice. Working group 6 report, Int J Tech Ass Health Care, 18 (2): 447-455*
- *Marchetti M, Tedesco G, Cicchetti A (2012), L'Health technology assessment nelle strutture sanitarie: un'opportunità reale ed attuale per un servizio sanitario più appropriato ed efficiente? Atti del V Congresso della Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta), Roma, 2012*
- *Ricciardi W, Agostinelli A, La Torre G et al. (2010), Primo Libro Bianco sull'Health technology assessment in Italia. Progetto ViHta. Valore in Health Technology Assessment. Disponibile online al seguente indirizzo: www.panoramasanita.it/docs/Primo_Libro_Bianco_HTA.pdf. Ultima consultazione: dicembre 2013*
- *Velasco Garrido M, Busse R (2005), Health technology assessment. An introduction to objectives, role of evidence, and structure in Europe, World Health Organization on behalf of the European Observatory on Health Systems and Policies*
- *Velasco Garrido M, Kristensen FB, Nielsen CP, Busse R (2008), Health technology assessment and health policy-making in Europe. Current status, challenges and potential, Who Regiona) Office for Europe (Observatory Studies Series No. 14)*

Normativa

- *Conferenza Permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano (2010), Accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano sull'accesso ai farmaci innovativi, 18 novembre 2010*
- *Corte Costituzionale (2008), sentenza n. 271 del 2008, Giudizio di legittimità costituzionale in via incidentale*

- *Corte Costituzionale (2010), sentenza n. 44 del 2010, Giudizio di legittimità costituzionale in via incidentale*
- *Decreto del Commissario ad acta (Delibera del Consiglio dei Ministri 23 aprile 2010), Istituzione del Nucleo Regionale e della Consulta per l'Health technology assessement delle Aziende Sanitarie, delle Aziende Ospedaliere, dei Policlinici Universitari e degli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico Pubblici*
- *Decreto Presidente Consiglio dei Ministri (29 novembre 2001), Definizione dei Livelli Essenziali di Assistenza*
- *Ministero della Salute, Schema di Piano Sanitario Nazionale 2011 -2013. Disponibile online al seguente indirizzo: www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_l454_allegato.pdf. Ultima consultazione: dicembre 2013*
- *Regione Basilicata (2011), Percorso diagnostico terapeutico assistenziale (PDTA) in HBV Raccomandazioni di appropriatezza nella gestione delle infezioni croniche da virus dell'epatite B (HBV). Disponibile online al seguente indirizzo: www.regione.basilicata.it/giunta/files/docs/DOCUMENT_FILE_591188.pdf. Ultima consultazione: dicembre 2013*
- *Regione Calabria (2012), Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) regionale del paziente affetto da malattia da HIV/AIDS. Disponibile online al seguente indirizzo: www.regione.calabria.it/sanitalallegati/dpgr_2012/allegato_I_dpgr_l98_del_20_dicembre_2012.pdf. Ultima consultazione: dicembre 2013*
- *Regione Emilia Romagna, deliberazione della Giunta Regionale n. 1540/2006, Organizzazione del sistema preposto alla scelta dei farmaci da utilizzare nelle strutture delle Aziende sanitarie e degli Istituti di ricovero e cura a carattere scientifico della Regione Emilia-Romagna*
- *Regione Lazio (2011), Protocollo Regionale per Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale nei pazienti con epatite cronica B e razionalizzazione dei farmaci analoghi necleos(t)idici_NUC per la terapia*
- *Regione Lazio (2011), Razionalizzazione dell'uso dei farmaci per la terapia Hiv.*
- *Regione Lombardia (2008), deliberazione della Giunta Regionale n. 817856 del 30 luglio, BUR, settembre 2008, I supplemento straordinario*
- *Regione Lombardia (2009), decreto del Dg n. 14013 del 15 dicembre, Tariffe, criteri, regole di procedura e formato atteso per le valutazioni di tecnologie sanitarie. Regione Lombardia (2009), Percorsi diagnostici, terapeutici e assistenziali (PDTA). Disponibile online al seguente indirizzo: http:/malattierare.marionegri.it/content/view/111. Ultima consultazione: dicembre 2013*
- *Regione Lombardia (2013), decreto del Direttore Generale, n. 1725 dell'1 marzo 2013, Approvazione del documento avente ad oggetto 'Percorso Diagnostico Terapeutico (PDT) del paziente affetto da malattia HIiv/Aids, Bur, marzo 2013*
- *Regione Puglia (2011), Istituzione del tavolo tecnico: approvazione del percorso diagnostico terapeutico regionale del paziente affetto da Hbv, ovvero l'appropriatezza della gestione delle infezioni croniche da virus dell'epatite B. Disponibile online al seguente indirizzo: www.arespuglia.it/ delibereARES/del/ 2011/376.pdf. Ultima consultazione: dicembre 2013*

- *Regione Puglia (2012), deliberazione della Giunta Regionale n. 2884 del 20 dicembre 2012, Criteri di riconoscimento dei Centri di monitoraggio. Dispensazione informa diretta degli inibitori della proteasi di prima generazione per ipazienti con epatite C genotipo I in trattamento con triplice terapia*
- *Regione Veneto, deliberazione della Giunta Regionale n. 2517 del 4 agosto 2009, Approvazione del regolamento per il funzionamento della Commissione Tecnica Regionale per il Ptorv (Prontuario Terapeutico Ospedaliero Regionale Veneto) e del Regolamento per il funzionamento della Commissione Tecnica per il Repertorio Unico Regionale dei Dispositivi Medici (Ctrdm), Bur, n. 78, 22 settembre 2009. Regione Veneto, deliberazione della Giunta Regionale n. 3977 del 16 dicembre 2008, Bur, n. 4, 13 gennaio 2009*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

13 DALLA SPENDING REVIEW ALL'HTA, STRUMENTO INFORMATO PER IL DISINVESTIMENTO: PROPOSTE DELL'HEALTH POLICY FORUM

L'individuazione dei requisiti per l'avvio di un processo di disinvestimento delle tecnologie sanitarie nell'ambito del Ssn italiano basato sulle logiche Hta, rappresenta una valida alternativa alla spending review e alle più generali politiche dei tagli lineari.

L'avvio del processo di disinvestimento necessita di un mandato chiaro e trasparente da parte delle autorità di politica economica e sanitaria, permettendo al contempo di differenziare le decisioni di disinvestimento assunte in una logica di efficienza (per eliminare gli sprechi) da quelle decisioni di riallocazione più specificatamente volte a massimizzare il costo-opportunità e quindi a sacrificare livelli di prestazione meno prioritari in favore di quelli più prioritari.

Un approccio auspicabile per il disinvestimento, volto a stimare il loro valore all'interno di percorsi di pazienti e specifici contesti organizzativi, comporta la definizione delle fasi di:

- *identificazione delle tecnologie sanitarie, che può essere realizzata grazie alla definizione di criteri di priorità misurabili e trasparenti;*
- *(re)assessment delle tecnologie esistenti svolta in un'ottica di Hta mediante un processo esplicito, partecipativo e valutabile, nonché coordinato tra i livelli del Ssn;*
- *decision making in cui si pone il problema della gestione delle incertezze e delle pressioni esercitate dai gruppi di interesse.*

È stato definito il ruolo di ogni stakeholder in ogni singola fase del processo di disinvestimento, che può essere garantito solo se si definiscono le regole di ingaggio e si garantisce una diffusione della cultura del disinvestimento.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Alessandra Fiore, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

13 DALLA SPENDING REVIEW ALL'HTA, STRUMENTO INFORMATO PER IL DISINVESTIMENTO: PROPOSTE DELL'HEALTH POLICY FORUM

INTRODUZIONE

I sistemi sanitari di tutto il mondo si trovano ad affrontare delle sfide legate a un contesto economico incerto. In tale scenario, i vincoli finanziari da rispettare trovano nel processo di disinvestimento un'opportunità unica per liberare risorse necessarie all'introduzione delle innovazioni desiderabili. Negli ultimi trent'anni, la valutazione delle tecnologie sanitarie (Hta) ha contribuito ad informare i processi decisionali relativi all'introduzione di nuove tecnologie. Tuttavia, sono ancora rare le sue applicazioni rispetto a tecnologie in uso e potenzialmente candidate alla dismissione. Quindi, se da un lato esiste un crescente interesse ad ottimizzare l'utilizzo delle tecnologie già adottate nel sistema sanitario, dall'altro emerge la necessità di individuare dei processi decisionali condivisi che permettano il riconoscimento di tecnologie inefficaci o di "basso valore" e quindi di definire una loro riallocazione o reinvestimento o dismissione (Gallego et al., 2010). La definizione di tali processi passa, quindi, per l'esplicitazione dei requisiti e delle differenti fasi del disinvestimento, per l'attenta specificazione degli attori coinvolti, nonché per l'identificazione del contributo che l'Hta è in grado di assicurare in questo processo.

BACKGROUND

Le esperienze internazionali

Nonostante il crescente interesse sul tema del disinvestimento, ad oggi sono disponibili pochi contributi che discutono pratiche ed approcci più efficaci da adottare ai diversi livelli decisionali. La società internazionale di Hta (Htai) propone l'utilizzo dei metodi dell'Hta a supporto dei processi di disinvestimento attraverso la (ri)valutazione dell'appropriatezza d'uso delle tecnologie sanitarie e lo sviluppo di linee guida e percorsi diagnostico-terapeutici. La (ri)valutazio-

ne può essere attivata a qualsiasi stadio del ciclo di vita della tecnologia, ma più frequentemente è l'introduzione di nuova tecnologia nella pratica clinica che innesca la necessità di rivalutare quelle già esistenti. In aggiunta, l'Hta può supportare le decisioni di riallocazione, reinvestimento o disinvestimento che si rendono necessarie durante lo sviluppo di linee guida e percorsi di cura. Un tale approccio non è focalizzato solo sulla variazione d'uso di una singola tecnologia, bensì sul miglioramento di una più ampia gamma di servizi sanitari correlati tra loro al fine di concepire un percorso di cure integrate, efficiente e di alta qualità. Gli approcci metodologici al disinvestimento rintracciati nella letteratura tendono a distinguere tre macro fasi nel processo di rivalutazione ("reassessment") delle tecnologie già in uso e consolidate nella pratica clinica: l'identificazione delle tecnologie candidate al processo di rivalutazione, la prioritarizzazione delle stesse in base a criteri predefiniti e la rivalutazione (cfr. Figura 1). Quest'ultima fase può portare a decisioni di disinvestimento totale o parziale o, al contrario, ad azioni di potenziamento e reinvestimento.

FIGURA 1 *Le fasi del processo di disinvestimento*

IDENTIFICAZIONE	PRIORIZZAZIONE	RIVALUTAZIONE
CRITERI DI IDENTIFICAZIONE • Pubblicazione di nuove evidenze sulla sicurezza, l'efficacia e/o l'economicità di taluni trattamenti • Rilevazione di un certo livello di variabilità clinica nei percorsi di cura per la medesima patologia • Disponibilità di progressi tecnologici • Presenza di pressioni da parte dei pazienti o della comunità • Rilevazioni di tecnologie candidate alla dismissione da parte di professionisti sanitari consultati • Valutazione di nuove tecnologie alternative più efficaci/costo-efficacia rispetto ad altre già esistenti • Utilizzo di una tecnologia (soggetta a rimborso da parte del Ssn) per indicazioni diverse da quelle per cui esistono evidenze scientifiche a supporto • Presenza di unio scostamento tra la pratica clinica e le linee guida o le posizioni assunte dalle società scientifiche	**CRITERI DI PRIORITARIZZAZIONE** • Impatto potenziale della dismissione o riallocazione sul Ssn (miglioramento dello stato di salute, equità nell'accesso alle cure, riduzione dei costi) • Burden of disease. Tanto più la condizione di salute presa in considerazione presenta un elevato livello di disabilità morbilità o mortalità, tanto più è da ritenersi prioritarianell'agenda dei decisori • Disponibilità di nuove alternative con rapporto costo-efficacia più favorevole • Disponibilità di evidenze scientifiche robuste	**METODI DI RIVALUTAZIONE** • Considerare in modo esplicito tutte le dimensioni dell'Hta • Utilizzo di nuove fonti dati (letteratura grigia, registri)

Anche nell'ottica del disinvestimento e nelle deliberazioni di copertura e rimborso, è importante quindi che siano considerati in modo esplicito tutti i domini dell'Hta, da quelli tradizionali basati sulla valutazione dell'efficacia e sicurezza, a quelli che valutano l'impatto sociale, etico, politico, giuridico, economico, derivante dalla limitazione o rimozione di un servizio. In letteratura sono presenti diversi esempi o case study di operazioni di disinvestimento condotte prevalentemente a livello macro (nazionale o regionale); meno documentate sono invece le azioni condotte a livello aziendale o locale. Nella Tabella 2 si riportano alcuni esempi d'implementazione del processo di disinvestimento in alcuni Paesi europei (cfr. Tabella 1).
Nonostante gli sforzi messi in campo, il gap esistente tra i processi di disinvestimento messi in atto a livello macro e quelli a livello aziendale è ancora ampio. Per comprendere a fondo i fattori che ostacolano i processi di disinvestimento, ulteriori studi, che incrocino i dati sulle prescrizioni con interviste qualitative ai

TABELLA 1 *Alcuni esempi di pratiche di disinvestimento implementate in alcuni Paesi europei*

Paese	Agenzia	Obiettivi	Fonte
Spagna	Agenzie regionali	Guida metodologica per il disinvestimento delle tecnologie obsolete, che si limita a una valutazione dell'efficacia e della sicurezza.	(Ruano Raviña et al., 2007)
Regno Unito	Nice in collaborazione con il Ministero e la Cochrane Collaboration	Identificazione, mediante la consultazione della Cochrane Library, degli interventi, tra quelli già diffusi nella pratica clinica, per i quali esistano sostanziali evidenze di inefficacia, e nell'implementare programmi di progressiva dismissione.	www.nice.org.uk
Regno Unito	Organi consultivi indipendenti del Nice	Identificazione durante il processo di produzione di linee guida, di pratiche cliniche che dovrebbero essere interrotte del tutto o non adoperate routinariamente. È stato di conseguenza realizzato un database in cui sono inserite 800 raccomandazioni provenienti dalle linee guida prodotte a partire dal 2003 "do not do recommendations".	www.nice.org.uk
Norvegia	Agenzia di Priority Setting in Health Care (Nc)	Rivalutazione del trattamento chirurgico della sindrome dell'apnea ostruttiva del sonno (OSAS), considerando i dati di incidenza e metodologia di trattamento in quattro Paesi del Nord Europa.	Berit Morland, 2011
Italia	Agenas, diverse strutture regionali afferenti a RiHta	Supporto ai decisori politici per avviare processi di dismissione basati su "evidenze scientifiche e nell'ambito di una metodologia che consideri la disponibilità di risorse, dei bisogni della popolazione, dell'innovazione del sistema sanitario e della pratica clinica e organizzativa locale".	Assr, Regione Emilia Romagna, 2013

clinici, sarebbero utili ad esplorare l'impegno dei professionisti sanitari nell'implementazione delle linee guida e a superare le barriere che impediscono la concretizzazione del disinvestimento auspicato.

Le esperienze nazionali

Un esempio estremo di disinvestimento può essere rappresentato dalla rimozione di un certo numero di prodotti dal prontuario farmaceutico e quindi dalla loro totale esclusione dal regime di rimborsabilità. Ulteriori azioni possono riguardare la mera restrizione delle indicazioni terapeutiche o l'individuazione di sottogruppi di pazienti che, con maggiore probabilità, potranno beneficiare di un trattamento. Esistono, infine, anche delle "aree grigie", in cui è più difficile prendere una posizione, come quella costituita dai nuovi farmaci che hanno dimostrato un'efficacia maggiore rispetto ai comparatori ed il cui costo è nettamente più elevato. In questa situazione, potrebbe avere senso mantenere entrambe le alternative. Infatti, quando possibile, al paziente si potrebbe offrire come prima alternativa il farmaco marginalmente meno efficace e più economico e, solo nel caso in cui questo trattamento si dimostri inefficace, procedere con la somministrazione del nuovo farmaco. È fondamentale, tuttavia, ragionare su approcci alternativi. In questo senso, un approccio sistematico al disinvestimento mediante l'applicazione di una metodologia Hta rappresenta una valida alternativa a tagli lineari. Nel nostro Ssn, a livello nazionale è stata condotta dall'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) una revisione straordinaria del Prontuario Farmaceutico Nazionale che, sulla base delle valutazioni della Commissione consultiva tecnico-scientifica (Cts) e del Comitato prezzi e rimborsi (Cpr), e secondo quanto stabilito dall'art. 11 del "Decreto Balduzzi", ha attuato un esame straordinario del Prontuario farmaceutico individuando i farmaci terapeuticamente superati e quelli la cui efficacia non risulti sufficientemente dimostrata.

Per quanto riguarda i dispositivi medici, il processo di disinvestimento è molto complesso. Il crescente sviluppo tecnologico e l'elevata innovatività delle tecnologie già immesse sul mercato si traducono difatti in un elevato turnover o, in alcuni casi, in fenomeni di overlap tra tecnologie. Le problematiche legate al potenziale disinvestimento dei dispositivi medici sono similari a quelle legate all'introduzione degli stessi nella pratica clinica e riguardano il limitato set di informazioni sull'efficacia e sull'efficienza, disponibili solo nella fase post marketing. Negli ultimi anni sono state messe in atto diverse azioni da parte del ministero della Salute al fine di classificare tutti i dispositivi medici in un "Repertorio" con l'indicazione del prezzo di riferimento.

OBIETTIVO

Obiettivi di questo paper sono, da un lato, l'individuazione dei requisiti per l'avvio di un processo di disinvestimento nell'ambito del Ssn italiano, che preveda un attivo coinvolgimento di tutti gli stakeholder e che si ponga come valida alternativa alla spending review e alle più generali politiche di tagli lineari. Dall'altro, l'esplorazione dell'attuale e del potenziale ruolo dell'Hta nei processi di disinvestimento di tecnologie sanitarie, con particolare riferimento al contesto italiano.
In questo lavoro vengono illustrati i risultati prodotti nell'ambito della IV edizione dell'Health Policy Forum (Hpf), che, mediante la consueta formula di interazione e scambio tra i professionisti coinvolti, si è proposto di rispondere alle seguenti domande:

1. quali sono i requisiti e le macrofasi per avviare un processo di disinvestimento?
2. quale contributo possono fornire gli stakeholder nelle diverse fasi di tale processo?
3. quale è il ruolo attuale e potenziale dell'Hta a supporto delle politiche di disinvestimento?

MATERIALI E METODI

La Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta) è una società scientifica la cui missione è la diffusione e la promozione dei principi, dei metodi e degli strumenti dell'Hta nell'ambito dei Sistemi Sanitari Regionali. Basandosi sull'esperienza avviata dalla Società internazionale di Hta (Htai), la Sihta promuove ogni anno l'Hpf, un momento di discussione sulle problematiche legate all'implementazione dei processi dell'Hta ai vari livelli istituzionali.
Sono invitati a partecipare all'Hpf i rappresentanti delle istituzioni del Ssn a livello nazionale coinvolte nei processi di valutazione delle tecnologie (Aifa e Agenas), i rappresentanti delle Regioni, dell'Industria, dei pazienti, dei cittadini e delle società scientifiche partner dell'iniziativa. L'evento si svolge a porte chiuse ed è governato dalla Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), una regola che garantisce la libertà di espressione e la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi. Ulteriori informazioni sull'Hpf e sulle modalità con cui la discussione tra i suoi membri è condotta sono disponibili altrove (Cicchetti et al., 2011).

RISULTATI

I risultati presentati in questo paper sono stati prodotti nell'ambito di sessioni plenarie e di gruppo e sottoposti, infine, a validazione da parte dei 58 membri provenienti dalle diverse Istituzioni, Aziende e Associazioni partecipanti al Forum.

Quali sono i requisiti e le fasi del processo di disinvestimento?

Uno dei gruppi di lavoro costituiti all'interno dell'Hpf è stato impegnato nella definizione di una serie di criteri-guida per ciascuna fase del processo di disinvestimento atti ad indirizzare l'avvio di tali processi nel contesto nazionale italiano. Sono stati inoltre citati alcuni elementi imprescindibili per assicurarne il successo e un reale impatto sul sistema. Dalla discussione sono emerse le seguenti necessità:

1. Prerequisito essenziale per avviare un processo di disinvestimento: disporre di un'agenda, di risorse e commitment;
2. Fase di identificazione e prioritizzazione: predisporre procedure ed identificare criteri predefiniti per la scelta delle tecnologie candidate al disinvestimento;
3. Fase di reassessment: capitalizzare processi ed attività di valutazione già esistenti nel sistema;
4. Fase di decision-making: gestire le incertezze e le pressioni dei gruppi di interesse, tendendo alla decisione;
5. Fase di implementazione della decisione: conoscere il contesto reale ed applicare leve efficaci per il cambiamento.

Con riferimento ai requisiti necessari ad avviare un processo di disinvestimento, è senz'altro necessario che il mandato a disinvestire trovi nella politica il commitment e nella legislazione la sua forte giustificazione, permettendo al contempo di differenziare le decisioni di disinvestimento assunte in una logica di efficienza (per eliminare gli sprechi) da quelle decisioni di riallocazione più specificatamente volte a minimizzare il costo-opportunità e quindi a sacrificare livelli di prestazione meno prioritari in favore di quelli più prioritari. Rendere operativo questo processo significa, innanzitutto, rendere disponibile agli attori coinvolti nel processo un congruo ammontare di risorse, il cui utilizzo sia monitorato e verificato da parte di Enti od organi terzi al processo.
Con riferimento all'attività di selezione dei candidati al disinvestimento o riallocazione, i membri dell'Hpf hanno identificato le iniziative condotte a livello in-

ternazionale che potrebbero essere facilmente replicate in Italia o perlomeno utilizzate come base per una riflessione approfondita sulle aree prioritarie di intervento. Esempi rilevanti sono le raccomandazioni del Nice "Do not do" (www.nice.org.uk) o, ancora, le indicazioni della Advancing Medical Professionalism to Improve Health Care (Abim), fornite nell'ambito del programma "Choosing Wisely" (www.choosingwisely.org). Ulteriori indicazioni sulle aree di intervento possono poi essere derivate dalla considerazione delle tecnologie emergenti, valutate nell'ambito di programmi di Horizon Scanning, o dalla disponibilità di nuove evidenze sulla sicurezza, l'efficacia clinica e l'effectiveness, provenienti da nuovi trial, metanalisi, o dati di pratica clinica reale raccolti mediante registri o studi osservazionali. In tal senso, anche le segnalazioni di non sostenibilità economica, sociale ed organizzativa di tecnologie applicate nella pratica clinica, così come di quelle tecnologie che generano problemi di approvvigionamento e distorsioni nella filiera produttiva, possono completare il quadro informativo. Occorre quindi definire un insieme di criteri coerenti per la definizione di priorità, che abbiano la caratteristica di essere misurabili, non ridondanti, universalmente riconosciuti e intorno ai quali sia maturato un ampio consenso. Anche qualora sia difficile misurare le priorità, a causa della mancanza di informazioni o della presenza di dati controversi, tali criteri devono comunque essere giudicabili su scala qualitativa, in modo che le decisioni di disinvestimento siano assunte con il minor livello di discrezionalità possibile. A tal fine, è opportuno che tali criteri si ispirino ai costrutti valutativi prodotti da Istituzioni e reti collaborative internazionali, come EUnetHta, per facilitare, da un lato, il riutilizzo di rapporti e studi condotti in altri contesti, e, dall'altro, l'utilizzo di quanto prodotto a livello nazionale in altri sistemi.

La fase operativa di rivalutazione delle tecnologie dovrebbe essere svolta in un'ottica di Hta mediante un processo esplicito, partecipativo e valutabile, nonché coordinato tra i livelli del Ssn.

Nella fase di decision-making, si pone il problema della gestione delle incertezze e delle pressioni esercitate dai gruppi di interesse. I requisiti di documentazione richiesti per valutare il disinvestimento sono generalmente restrittivi e sono richieste evidenze più robuste per supportare le decisioni di riallocazione o dismissione. I requisiti sono differenziati per tipologia di tecnologia e possono andare dall'analisi delle revisioni sistematiche fino alle revisioni narrative con criteri predefiniti e riproducibili, da studi osservazionali naturalistici (Real World Evidence: osservazionali naturalistici) a studi clinici randomizzati controllati (Trial World Evidence). In tale ottica, sarebbe opportuno regolare e comunicare le incertezze

agli stakeholder, rivedendo periodicamente il processo.
Le leve del cambiamento sono infine elementi essenziali all'implementazione del processo di disinvestimento. Occorre, in tal senso, considerare le specificità del contesto e, al contempo, agire in maniera strutturata attraverso:
Leve di tipo regolatorio/autorizzativo, attraverso la revisione dei centri autorizzati e l'inserimento nelle liste tariffarie;
Leve di tipo finanziario, che agiscano modificando i criteri di rimborsi o prevedano pacchetti di rimborso aggregato per percorso di patologia;
Leve di tipo gestionale, che definiscano gli obiettivi di valorizzazione dei percorsi clinico-assistenziali;
Leve professionali, che agevolino, attraverso linee guida opportunamente reinterpretate in chiave di disinvestimento, la diffusione di questa cultura e la formazione transdisciplinare nell'Hta.

Quale ruolo assegnare agli stakeholder nel processo di disinvestimento?

Come per le decisioni di investimento sulle tecnologie, il coinvolgimento di tutti gli stakeholder nel processo di disinvestimento è riconosciuto come essenziale.

TABELLA 2 *Il ruolo degli stakeholder nelle fasi del processo di disinvestimento*

	Fasi del processo di disinvestimento			
	Identificazione	Prioritarization	(Re)assessment	DecisionMaking
Healthcare Managers	X	X	X	X
(Agenzie)	X	X	X	0
Healthcare Policy Makers	0	X	0	X
Healthcare Providers	X	X	X	0
Researchers	X	0	X	0
Manufacturers	X	0	X	0
Patients	X	0	X	0
Public	0	0	X	(X)

Fonte: IV edizione Health Policy Forum, 9-10 maggio 2013

L'identificazione dei portatori di interesse (Cicchetti et al., 2011), insieme all'articolazione del processo di disinvestimento, ha consentito di identificare il ruolo di ciascun attore, ma anche di sottolineare possibili spinte e freni al loro coinvolgimento (cfr. Tabella 2).

Il ruolo degli Healthcare Managers, ovvero delle Direzioni Aziendali, è stato considerato come rilevante in tutte le fasi del processo (identificazione, prioritarizzazione, re-assessment e decision making). È stato poi considerato in maniera specifica il ruolo delle Agenzie, diversamente dal resto dei Policy Makers (Politici, Assessori, Ministri, Regioni). In questo quadro, si evince il ruolo tecnico svolto da queste, in particolare nelle prime tre fasi del processo. Spetta inoltre agli altri policy makers intervenire nelle fasi di prioritarizzazione e, ovviamente, nella fase finale di decision making. Un ulteriore rilevante ruolo è inoltre assegnato agli healthcare providers, cui spetta il compito di intervenire nelle prime tre fasi del processo (identificazione, prioritarizzazione, re-assessment). Ricercatori, produttori e pazienti dovrebbero essere invece coinvolti nell'identificazione e nell'attività di valutazione. Un ruolo specifico dovrebbe essere infine ricoperto dai cittadini (public), coinvolto sì nella valutazione, ma in qualche maniera anche nel decision making.

È infine opportuno discutere della rilevanza e del peso che gli stakeholder ricoprono, anche in relazione alle spinte e ai freni da cui ciascuno sembra essere condizionato. Con riferimento al terzo pagante, ad esempio, è possibile riscontrare nell'esigenza di contenere i costi e nella difficoltà a gestire la riorganizzazione (in termini di tempistica, risorse, competenze e comunicazione interna), rispettivamente, la spinta e il freno al disinvestimento. Un ulteriore problema riguarda l'attuale contesto di crisi, il quale richiede che le azioni da implementare siano rapide e spesso di breve periodo.

I clinici, d'altro canto, possono contribuire al processo con le competenze. Il loro interesse è particolarmente forte nel momento in cui le azioni di disinvestimento sono associate ad azioni di reinvestimento, che possono contribuire ad incrementare la domanda di prestazioni da parte dei pazienti. All'opposto, considerata una componente di abitudini e di specificità tipica della professione che rischia di cadere nell'autoreferenzialità, l'azione dei clinici può costituire un freno a qualunque attività di disinvestimento.

L'industria rappresenta di per sé una grande opportunità, perché ha una forte conoscenza del mercato e delle nuove tecnologie in arrivo. Per questo motivo, essa è coinvolgibile anche nelle fasi di reinvestimento, come incentivo. Un freno, in tal senso, può essere costituito dalla specifica esigenza di mantenere il proprio spazio di mercato.

Un'ultima riflessione riguarda il ruolo dei pazienti e del pubblico, che sono accomunati dalla necessità di un coinvolgimento precoce, sin dalle prime fasi del processo. Il re-investimento, in tal senso, rappresenta per entrambi un forte incentivo se esso ha luogo nell'ambito di aree di interesse strategico. Le strategie di coinvolgimento esistono e sono previste dalla legge (si veda il caso della Conferenza dei Sindaci), ma permane ancora una forte difficoltà a comunicare. Sarebbe opportuno inventare nuovi modelli per favorire questo coinvolgimento. Ulteriori freni possono riguardare la percezione della perdita dei servizi o piuttosto della qualità dell'assistenza, la messa in discussione delle consuetudini e il rischio di effetti sociali sulla comunità. Per contenere i freni occorre definire delle regole di ingaggio e diffondere la cultura del value for money. La prospettiva deve essere orientata agli outcome e alla creazione di percorsi. La trasparenza delle decisioni è un obiettivo che potrebbe garantire il superamento di eventuali opposizioni e l'engagement da parte di tutti gli attori. Più in generale, si pongono a garanzia del superamento di tali opposizioni i seguenti obiettivi:

1. La definizione delle regole d'ingaggio (mediante una metodologia chiara e trasparente);
2. Il coinvolgimento degli attori nelle diverse fasi del processo;
3. La diffusione della cultura del disinvestimento;
4. La considerazione del value for money delle tecnologie;
5. La valutazione della qualità erogata;
6. L'assunzione di una prospettiva orientata agli outcome e alla gestione/creazione di percorsi diagnostico-terapeutici;
7. La considerazione delle best practice;
8. La tracciabilità e la diffusione delle decisioni;
9. Il monitoraggio dei risultati e degli outcome.

Quale ruolo assegnare all'Hta nel processo di disinvestimento?

Il ruolo assegnato all'Hta nel processo di disinvestimento è unanimemente riconosciuto e va considerato con riferimento alle tecnologie (farmaci, dispositivi, processi), ai processi finanche alle stesse alle organizzazioni (presidi). I metodi dell'Hta offrono un supporto nella fase di re-assessment, ossia nella rivalutazione degli effetti clinici, sociali, etici ed economici di una tecnologia, correntemente utilizzata all'interno del Ssn, allo scopo di informare l'utilizzo ottimale della stessa a confronto con le alternative disponibili o la sua totale dismissione. Il

re-assessment implica essenzialmente un confronto dei risultati ottenuti in setting reali con quelli attesi in fase pre-marketing ed un confronto trasversale con altre tecnologie disponibili per la stessa condizione. Nel primo caso, il risultato atteso è l'individuazione delle migliori condizioni di utilizzo della tecnologia e una più accurata selezione della popolazione target; nel secondo caso, la selezione delle tecnologie "dominate" candidabili al disinvestimento. Se l'oggetto e la prospettiva della valutazione possono cambiare in base al contesto organizzativo e al livello istituzionale, i metodi del re-assessment rimangono perlopiù immutati, ricalcando le fasi e i metodi dell'assessment, ma assumendo allo stesso tempo una prospettiva più orientata alla ricerca del miglior uso delle tecnologie disponibili.
La sistematica rivalutazione delle tecnologie presuppone la predisposizione di processi di monitoraggio per la raccolta di dati post-marketing utili a valutare l'efficacia relativa e l'efficienza delle tecnologie in un contesto di pratica clinica reale. A tal proposito, si cita l'esperienza di monitoraggio maturata dall'Aifa attraverso l'implementazione di appositi registri per la raccolta di dati clinici e di sicurezza, ufficialmente entrati a far parte del Sistema Informativo del Servizio Sanitario Nazionale (art.15 del Dl 95/2012, n. 95, convertito nella L. 135/2012). Inizialmente creati al mero scopo di valutare l'appropriatezza prescrittiva dei farmaci, il patrimonio di informazioni derivante dal loro impiego rivela un'utilità molto più vasta. Ad esempio, se appropriatamente progettati, possono costituire un valido strumento per avviare processi di reassessment dell'efficacia relativa e della sicurezza e di eventuale disinvestimento (es. ottimizzazione delle condizioni di utilizzo, conferma o modifica delle condizioni negoziali). In aggiunta, ulteriori esperienze nazionali hanno elicitato un'utilità simile, come quelle avviate nell'ambito della Fondazione Policlinico "Agostino Gemelli" sull'utilizzo delle reti chirurgiche per il trattamento dell'ernia inguinale, esempio di attività di razionalizzazione di tecnologie fungibili, e del processo di revisione dei farmaci nel Prontuario Terapeutico Ospedaliero.
È evidente che per ottenere un cambiamento della pratica clinica reale, una collaborazione tra i diversi livelli del Ssn risulta quindi imprescindibile. Sulla base delle specifiche competenze, ogni ente e istituzione del Ssn deve operare per l'individuazione delle sacche di inefficienza e le obsolescenze in campo tecnologico. (cfr. Tabella 3). I membri dell'Hpf suggeriscono che al livello nazionale competono principalmente le attività di rivalutazione e disinvestimento relative ai farmaci e ai presidi. Al livello regionale, tali attività possono più opportunamente essere operate in relazione agli stessi presidi e ai dispositivi medici, mentre a livello aziendale è ragionevole pensare che il disinvestimento possa essere applicato con un approccio valutativo orientato a processi e percorsi diagnostico-terapeutici.

TABELLA 3 *Il ruolo dell'Hta nei processi di disinvestimento*

Livello decisionale	Tecnologia		
	Farmaci	Dispositivi	Percorsi diagnostico-terapeutici e assistenziali
Nazionale	X		
Regionale		X	
Aziendale			X

Un processo di rivalutazione e disinvestimento sarà tanto più accettato ed efficace se basato su un approccio Hta, multidisciplinare e multistakeholder, ed in grado di documentare con rigore scientifico le necessità di riallocazione delle risorse. Tanto più l'uso di una tecnologia è radicato nella pratica clinica, tanto più rigorosa dovrà essere la valutazione a supporto di una eventuale decisione di riallocazione/disinvestimento. La costruzione del consenso attorno a tali decisioni non può che passare attraverso una comunicazione efficace dei risultati della rivalutazione a pazienti e cittadini, nonché attraverso una contemporanea individuazione dell'utilizzo alternativo delle risorse liberate mediante il disinvestimento.

CONCLUSIONI E DISCUSSIONE

Nell'attuale momento storico, caratterizzato da una significativa riduzione delle risorse a disposizione della sanità e da una crescente domanda di servizi sanitari, il disinvestimento rappresenta una significativa opportunità per individuare pratiche, procedure e prestazioni di scarso valore per la salute e la sicurezza dei cittadini. Ad oggi, non esiste una metodologia accettata da tutti gli stakeholder, quindi emerge la necessità di definire una combinazione di azioni per comprendere sia i compiti dei singoli portatori di interesse sia le tecnologie eleggibili al disinvestimento. Conseguentemente, il disinvestimento fondato sui metodi e i principi dell'Hta rappresenta un'alternativa ai tagli lineari poiché da un lato definisce le necessità dei singoli stakeholder, dall'altro offre, soprattutto a livello macro, un supporto ai decisori affinché siano adottate soluzioni ragionate, anziché tagli indiscriminati, contribuendo a sostituire le logiche di razionamento con politiche di riduzione e abolizione degli sprechi. Le scelte di disinvestimento oculate su tecnologie inappropriate o obsolete sono indispensabili per liberare risorse da dedicare alla reale innovazione e non deve essere visto come una barriera all'innovazione,

ma come un'opportunità per valutare le alternative commercialmente disponibili sul mercato. Riconosciute le potenzialità dell'Hta nei processi di disinvestimento, resta da chiarire come implementare tali processi ai diversi livelli decisionali del nostro Ssn e come strutturare un framework esplicito in cui ruoli e competenze siano chiaramente definiti. La mancanza di metodi appropriati, che spesso si coniuga alla mancanza di evidenze e di dati sulle tecnologie già in uso, rappresenta uno dei potenziali ostacoli all'utilizzo di questo strumento in situazioni concrete e reali. Da un lato la comunità scientifica è quindi chiamata a dedicare competenze e professionalità alla ricerca di metodologie robuste e praticabili, dall'altro le istituzioni operanti a tutti i livelli sono altresì incoraggiate a intraprendere la strada, seppur più difficoltosa, della valutazione e della trasparenza.
Sono quindi auspicabili specifiche linee di azione, grazie alle quali conseguire gli obiettivi di razionalizzazione delle decisioni di intervento e di riallocazione delle risorse. Sono stati definiti dei criteri-guida atti a indirizzare il disinvestimento delle tecnologie destinate alla riallocazione, auspicando un modello decisionale esplicito applicabile per ciascuna classe di pazienti, tipologia di intervento e tecnologia. Si è proceduto ad identificare il ruolo di ciascun attore nelle varie fasi del processo di disinvestimento, ma anche a sottolineare le possibili spinte e i freni al loro coinvolgimento. Infine, si è definito il ruolo dell'Hta nei processi di disinvestimento di tecnologie sanitarie, individuando, per ciascun tipo di tecnologia, il livello decisionale primariamente coinvolto nelle attività di disinvestimento.
Approcci sistematici sono quindi potenzialmente in grado di migliorare l'equità, l'efficienza, la qualità e la sicurezza delle cure, purché tra tutte le parti interessate ci sia un reale impegno a superare le resistenze al cambiamento e a strutturare processi trasparenti e basati su metodi robusti. Il disinvestimento va visto come un'opportunità per assicurare un accesso a cure efficaci in un contesto economico di forte crisi, dove i tagli lineari sono stati gli strumenti più diffusi nei vari Paesi per attuare un contenimento della spesa sanitaria pubblica. I principi e i metodi dell'Hta potrebbero, tenendo conto delle nuove evidenze disponibili, supportare il processo di disinvestimento attraverso una rivalutazione delle tecnologie e la produzione di prove a supporto del loro eventuale ritiro dalla pratica clinica. Ciò si tradurrebbe in un beneficio clinico per i pazienti. Inoltre, un vantaggio non trascurabile sarebbe legato all'ottimizzazione dell'uso delle risorse e ad una più razionale allocazione degli investimenti sanitari (Ruano Raviña et al., 2007). Il ruolo che l'Hta può giocare nelle decisioni di disinvestimento dipende, comunque, dal suo grado di formalizzazione ai vari livelli decisionali: tanto più elevato è il livello di formalizzazione, tanto più è probabile che tale strumento

incida sulle decisioni di disinvestimento (Gallego et al., 2010).
Nei processi di disinvestimento, la partecipazione allargata di tutti gli stakeholder coinvolti nell'adozione delle tecnologie rappresenta infine un nodo centrale per il loro successo. È evidente, tuttavia, come sia necessaria la convergenza di tutti gli interessi concorrenti al fine di supportare la formulazione di una decisione, che si fondi su più generali obiettivi di miglioramento della salute dei pazienti, di accelerazione nell'introduzione di tecnologie ad alto valore, di sostenibilità per il sistema sanitario (Henshall et al., 2012). L'impatto dell'Hta nelle decisioni di investimento e disinvestimento dipende, peraltro in larga parte, dalla capacità dei suoi principali attori di creare solidi legami collaborativi con i decision maker. L'efficacia della decisione si riscontra solo nella misura in cui vengano superate eventuali barriere e impedimenti all'attività di razionalizzazione, che risiedono principalmente (I) nella mancanza di risorse dedicate dagli stakeholder "chiave" per costruire e agevolare le politiche di disinvestimento, (II) nell'assenza di meccanismi affidabili per identificare e prioritarizzare le tecnologie (III) nella carenza di evidenze produrre post-marketing, (IV) nell'inadeguatezza di risorse per incentivare i metodi di disinvestimento, (V) nelle sfide politiche, cliniche e sociali per rimuovere la tecnologia esistente (Elshaug et al., 2007). In tale quadro, si innestano difatti meccanismi di resistenza al cambiamento complessi da sradicare e associati alla tendenza a mantenere lo status quo, messi in atto sia dai clinici, scarsamente disponibili a cambiare la pratica clinica, sia dai politici, che nel disinvestimento vedono una rilevante causa di perdita di consenso. Dal lato dei pazienti, poi, la riduzione delle opzioni terapeutiche e dell'accesso a terapie costituisce un ulteriore impedimento (Henshall et al., 2012). Tali resistenze, unitamente all'elevata complessità dei processi di riallocazione, reinvestimento e disinvestimento di tecnologie esistenti e alla confluenza di molteplici stakeholder con interessi diversi, rendono necessaria la definizione di un processo multidisciplinare e di un flusso delle attività (Henshall et al., 2012). D'altra parte, le decisioni di investimento/disinvestimento assumono una valenza etica, oltre che dettata dal costo-opportunità di tali scelte; a fronte di tali considerazioni, però, sono state spesso fatte corrispondere procedure non trasparenti e, di conseguenza, fortemente contestate (Watt et al., 2012).

BIBLIOGRAFIA

- *Cicchetti A, Iacopino V, Carletto A, Marchetti M, Mennini FS (2011), Il ruolo degli stakeholder nel processo di Hta, Giornale Italiano di Health Technology Assessment, 4 (2): 69-77*
- *Centre for Health Economics Research and Evaluation, CHERE (2010). A cura di Gallego G, Haas M, Haas J, Viney R, Reducing the use of ineffective health care interventions. Working Paper 2010/5. Disponibile online www.chere.uts.edu.au/pdf/wp2010_5.pdf (data ultimo accesso 23 aprile 2013*
- *Henshall C, Schuller T, Mardhani-Bayne L (2012), "Using Health Technology Assessment to Support Optimal Use of Technologies in Current Practice: The Challenge of "Disinvestment", International Journal of Technology Assessment in Health Care, 28 (3): 203-212*
- *Ruano Raviña A, Velasco González M, Varela Lema L, Cerdá Mota T, Ibargoyen Roteta N, Gutiérrez Ibarluzea I, et al. (2007), Identification, prioritisation and assessment of obsolete health technologies. A methodological guideline. Quality Plan for the National Health System. Galician Health Technology Assessment Agency; 2007. Hta Reports: avalia-t No. 2007/01. Disponibile online: www.sergas.es/docs/Avalia-t/ObsoleteTe- chMemFinal. pdf (data ultimo accesso 20 aprile 2013)*
- *Elshaug AG, Hiller JE, Tunis SR, Moss JR, 2007. Challenges in Australian Policy Processes for Disinvestment from Existing, Ineffective Health Care Practices. Australia and New Zealand Health Policy, 4:23*
- *Watt AJ, Hiller JE, Braunack-Mayer AJ, Moss JR, Buchan H, Wale J, Ritano DE, Hodgetts K, Street JM, Street JM, Elshaug AG (2012), "The ASTUTE Health Study Protocol: Deliberative stakeholder engagements to inform implementation approaches to healthcare disinvestment", Implementation Science, 7:101*

SITOGRAFIA

- *National Institute for Health and Care Excellence (Nice), NICE "do not do" recommendations: www.nice.org.uk/usingguidance/donotdore- commendations/index.jsp*
- *National Institute for Health and Clinical Excellence, Nice. Clinical and public health directorate progress report: 2009: www.nice.org.uk/media/F13/87/Board180309CPHDReport.pdf*
- *Agenzia sanitaria e sociale regionale, Regione Emilia-Romagna (ASSR, ER): http://assr.regione.emilia-romagna.it/it/aree_attivita/ori/progetti/ MIDDIR*
- *Temi dell'attività Parlamentare. Il controllo della spesa sanitaria: http:// leg16.camera.it/465?area=30&tema=34*
- *Choosing Wisely, ABIm foundation: www.choosingwisely.org/Health Technology Assessment International. Materiali relativi al Policy Forum. Disponibili sul sito www.Htai.org*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

14 IL RUOLO DELL'HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT NELLA DEFINIZIONE DEI LIVELLI ESSENZIALI DI ASSISTENZA

La definizione e l'aggiornamento dei Lea prevede la collaborazione del livello centrale, il quale definisce le prestazioni essenziali da garantire ai tutti i cittadini, e il livello regionale, al quale è invece assegnata la responsabilità dell'erogazione dei Lea stessi, sia dal punto di vista organizzativo che finanziario.

L'Hta offre un prezioso contributo alla definizione dei criteri d'inclusione ed esclusione che determinano l'inserimento delle prestazioni sanitarie nei Lea che possono essere determinati in base alla struttura/servizio (approccio tradizionalmente ed attualmente seguito), ai Pdta, agli esiti. In particolare:

- *Nel caso in cui il Lea sia definito come struttura/servizio, il processo di Hta ha come oggetto l'analisi delle implicazioni dell'adozione di un determinato modello di erogazione sotteso alla struttura o servizio attivati.*
- *Nel caso il Lea sia un percorso (es. una procedura chirurgica, o un programma di screening), l'Hta dovrà chiarire le condizioni di appropriatezza, allorché ogni prestazione è prevista solo in un determinato momento clinico. Questo permette di avere una consistenza con quanto previsto dalle linee guida costruite sulla base di evidenze scientifiche derivanti dalla letteratura. Tale approccio permette di superare la definizione di una precaria lista di condizioni per cui ogni singola prestazione è da considerarsi appropriata.*
- *Considerare ed identificare i Lea rispetto agli esiti di salute che si intende conseguire esprime un impegno sul risultato unitamente alla complessità gestionale ed operativa, e richiede, in fase di implementazione, un forte consenso intorno ai livelli di esito che si intendono raggiungere. L'Hta in questo caso ha l'obiettivo di valutare le implicazioni dell'adozione del Lea in termini di contributo ad esiti clinici misurabili.*

Sono stati individuati i punti di forza e di debolezza di ogni modalità di identificazione dei Lea sia sotto il profilo organizzativo, economico e di implementazione e monitoraggio, specificando anche il ruolo dell'Hta in ogni singola fase del processo di individuazione.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Paolo Giorgi Rossi, Alessandra Fiore, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

14 IL RUOLO DELL'HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT NELLA DEFINIZIONE DEI LIVELLI ESSENZIALI DI ASSISTENZA

INTRODUZIONE

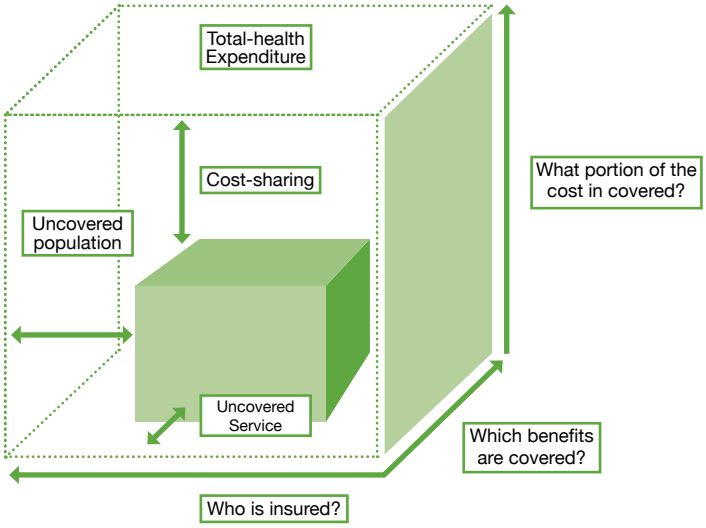
Il diritto alla tutela della salute, sancito costituzionalmente in Italia dall'art. 32, trova un'esplicita definizione nell'individuazione e nel monitoraggio sistematico dei Livelli essenziali di assistenza (Lea) che rappresentano, di fatto, il pacchetto di prestazioni e servizi che compongono il diritto alla tutela della salute dei cittadini italiani. Le scelte che il Servizio sanitario nazionale (Ssn) adotta in merito ai meccanismi per definire, aggiornare e monitorare l'erogazione dei Lea a livello regionale, appaiono quindi centrali nella governance del sistema stesso e contribuiscono in modo fondamentale nel chiarire i diritti che i cittadini possono vantare nei confronti del Ssn.

A tal proposito, la quinta edizione dell'Health Policy Forum (Hpf) della Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta), mediante la consueta formula di discussione tra i professionisti coinvolti, si è proposta di rispondere alle seguenti domande:

1. quali sono i percorsi che definiscono i "macro Lea";
2. quale metodologia impiegare per definire il percorso;
3. quale sistema di monitoraggio e aggiornamento dei Lea attuare.

Obiettivo di questo lavoro è riportare gli esiti della discussione in merito al potenziale ruolo dell'Health Technology Assessment (Hta) nella definizione, nell'aggiornamento e nel monitoraggio dei Lea. L'attenzione, in particolare, viene posta sulla natura stessa dei Lea e sulle modalità adottabili per ancorare la loro definizione ad un percorso istituzionale metodologicamente robusto, basato sulla sintesi delle migliori evidenze disponibili ed in grado di raccogliere le prospettive di tutte le parti interessate. Il paper approfondisce in modo critico l'attuale percorso istituzionale dei Lea, nonché il ruolo che l'approccio dell'Hta sta assumendo in tale percorso nei vari comparti del Ssn. Nel tentativo di individuare possibili soluzioni atte ad assicurare una migliore saldatura tra la definizione dei Lea e

FIGURA 1 *Le tre dimensioni della copertura*



Fonte: adattamento da Busse, Schreyögg and Gericke, 2007

l'assessment, il paper intende analizzare le implicazioni esistenti nell'intendere i Lea non solo come singole prestazioni o tecnologie, ma bensì come percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali (Pdta) o addirittura come "esiti" e il ruolo che l'Hta può giocare nella loro definizione, valutazione e monitoraggio.

BACKGROUND

Le scelte e le modalità di copertura nei sistemi sanitari pubblici

Nell'ambito dei sistemi sanitari moderni, viene definito "Health benefit package/ basket/plan" l'insieme dei servizi, delle attività e dei beni coperti da sistemi di assicurazione sanitaria pubblici, obbligatori o dai servizi sanitari nazionali. La copertura offerta da un determinato sistema sanitario ai suoi assistiti può essere descritta attraverso tre dimensioni (cfr. Figura 1). Il parallelepipedo centrale, in Figura 1, rappresenta un esempio di livello di copertura offerto da un sistema sanitario.

La larghezza rappresenta l'estensione della fascia di popolazione coperta, la profondità rappresenta la quantità e la tipologia di prestazioni sanitarie offerte

agli assistiti, l'altezza, invece, rappresenta la quota del costo delle prestazioni prepagate tramite la corresponsione di un premio assicurativo ovvero finanziata attraverso forme di cost-sharing. Nei Paesi con servizio sanitario nazionale, l'obiettivo del sistema è garantire la tutela della salute attraverso l'offerta universale e onnicomprensiva di prestazioni sanitarie erogate gratuitamente al momento dell'accesso. Di conseguenza, nell'ambito di questi sistemi, le tre dimensioni della copertura risultano estese al massimo.

L'estensione di ciascuna delle tre dimensioni viene spesso definita prima di determinare i flussi finanziari che supportano il sistema. Appare evidente, però, che le modalità e le dotazioni finanziarie contribuiscono a definire il livello di copertura della popolazione, influenzando l'effettivo accesso ai servizi da parte degli assistiti.

La definizione del sistema delle coperture (per semplicità, sistema dei Lea) non ha solo a che fare con la spiegazione delle tre dimensioni espresse nello schema in Figura 1. Con riferimento alla tipologia di copertura da garantire ai cittadini, con conseguente individuazione del modello di finanziamento, e al livello e modalità di compartecipazione, si ritiene fondamentale rendere disponibili dei corretti e funzionali meccanismi atti ad individuare il fabbisogno. Ma, la "copertura" del fabbisogno è strettamente collegata all'evolversi delle tecnologie che, conseguentemente, richiede un aggiornamento periodico accompagnato da un rigoroso monitoraggio al fine di mantenere in equilibrio il sistema. Nella definizione del sistema delle coperture, è possibile seguire diversi approcci. Una prima scelta ha a che fare con la natura stessa delle coperture. In questa prospettiva, è possibile immaginare tre diverse opzioni per identificare la natura del Lea. La tripartizione, di fatto, fa riferimento alle tre classiche prospettive di Donabedian nel 1980 per l'assicurazione della qualità nei servizi sanitari (struttura, processo, esito). Per un chiarimento in proposito si veda la Tabella 1.

È evidente che ognuna delle opzioni mostra vantaggi e svantaggi; tali aspetti sono stati esplorati attraverso la discussione dell'Hpf 2014 e verranno esplicitati più avanti. Al contempo, le tre opzioni differiscono in termini di fattibilità (facilità tecnica di implementazione), basi informative necessarie (per le fasi di definizione, aggiornamento e monitoraggio) e accettabilità sociale e politica dell'approccio.

Allo stato attuale, l'Italia ha scelto di adottare la prima delle tre opzioni, definendo i Lea in termini di "attività, servizi e prestazioni" anche se alcuni Lea appaiono già declinati in termini di percorso (es. gli screening). Infatti, essi possono essere declinati in una lista "positiva", ovvero nell'elencazione esaustiva di servizi (percorsi, o esiti) da assicurare a specifiche popolazioni, oppure attraverso una lista

TABELLA 1 *La natura dei Lea: tre opzioni*

Lea come "Struttura"	Lea come "Processo"	Lea come "Esito"
Insieme di strutture, servizi e prestazioni disponibili per i cittadini nel sistema sanitario	Percorsi di diagnosi e cura assicurati dal sistema (in diverse strutture) in relazione alle esigenze di educazione, prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione	Esiti di salute attesi attraverso le strutture, le prestazioni e i percorsi adottati

Fonte: Nostra elaborazione

"negativa"; di conseguenza, si ipotizza che tutte le prestazioni, i servizi (e gli esiti auspicabili!), debbano rientrare nel diritto dei cittadini tranne ciò che viene esplicitamente escluso. Questa è la strada prevalentemente seguita dal Ssn in Italia.

Il sistema di copertura nel Ssn: i Livelli essenziali di assistenza

I Lea sono costituiti dall'insieme delle attività, dei servizi e delle prestazioni che il Ssn è tenuto a fornire a tutti i cittadini, gratuitamente o dietro pagamento di una quota di compartecipazione (ticket), indipendentemente dal reddito e dal luogo di residenza dell'assistito. I Lea sono finanziati con risorse pubbliche, raccolte attraverso la fiscalità generale. Ancora, sono escluse dai Lea le prestazioni, i servizi e le attività che non rispondono alle necessità assistenziali derivanti dall'analisi del fabbisogno, le prestazioni caratterizzate da una efficacia non dimostrabile o che sono utilizzate in modo inappropriato rispetto alle condizioni cliniche dei pazienti e le prestazioni che, a parità di beneficio per i pazienti, comportano un impiego di risorse superiore ad altre.
Il D.Lgs. n. 229 del 1999 specifica i criteri ai quali il Governo deve attenersi per la definizione dei Lea. In tal senso, si afferma il principio della contestualità tra l'individuazione dei Lea e la quantificazione delle risorse finanziarie, che quindi vengono stanziate non a monte, bensì sulla base delle prestazioni necessarie. Nel decreto sono definiti anche i criteri che le prestazioni devono soddisfare per poter essere incluse nei livelli essenziali di assistenza. Nello specifico, tali criteri sono:

- La pertinenza: i Lea devono rispondere agli obiettivi di assistenza del Ssn individuati nella programmazione sanitaria;
- L'efficacia: i Lea devono essere efficaci e la loro efficacia deve essere dimostrata da evidenze scientifiche;

- L'appropriatezza clinica: i Lea devono essere appropriati alle condizioni cliniche del paziente;
- L'appropriatezza organizzativa: a parità di efficacia con altre prestazioni, i Lea devono soddisfare il principio di economicità e garantire un uso efficiente delle risorse.

I Lea sono stati definiti a livello nazionale con il Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 29 novembre 2001, entrato in vigore nel 2002 (Legge n. 405), che elenca le attività e le prestazioni incluse nei Lea, le prestazioni escluse e le prestazioni che possono essere fornite dal Ssn solo a particolari condizioni. Ricadono nei Lea anche i programmi di screening, con una formulazione essenziale, ma che definisce già la loro natura di percorsi e non di singola prestazione. Allora le linee guida definivano chiaramente l'intervento come una concatenazione di prestazioni inserite in un programma "…devono essere erogate dal Ssn, senza oneri a carico dell'utente al momento della fruizione del servizio, le prestazioni di diagnostica strumentale e di laboratorio e le altre prestazioni di assistenza specialistica, incluse in programmi organizzati di diagnosi precoce e prevenzione collettiva". (D.Lgs. 124 del 29/04/1998, Accordo Stato-Regioni 8/03/2001).

Il finanziamento dei Lea

Il fabbisogno sanitario nazionale standard è definito come l'ammontare delle risorse necessarie ad assicurare l'erogazione dei Lea sul territorio nazionale, in condizioni di efficienza e appropriatezza e compatibilmente con i vincoli di finanza pubblica[1].
Il finanziamento, definito a livello nazionale, è ripartito tra le regioni in base ai fabbisogni dalla popolazione, con l'obiettivo di allocare le risorse in modo appropriato. La definizione del riparto avviene tramite un accordo tra ministero della Salute e Conferenza Stato-Regioni, sulla base del quale il Cipe (Comitato Interministeriale per la Programmazione Economica) può autorizzare l'effettivo finanziamento (Cincotti et al., 2012).
Le nuove regole per il finanziamento dei Lea sono state definite nel D.Lgs. 68/2011, in cui viene confermata la ripartizione del finanziamento tra i macrolivelli di assistenza e si stabilisce che dal 2013 tale fabbisogno verrà determinato annualmente, per il triennio successivo.
Il livello di finanziamento del Ssn per l'anno 2013 è complessivamente determinato in 107.004,50 milioni di euro e il finanziamento per singola regione è calcola-

1 *Nel contesto attuale, la definizione dei fabbisogni standard è legata ad un altro concetto, oggetto di dibattito: i costi standard.*

to come rapporto tra fabbisogno sanitario standard della regione e la somma dei fabbisogni regionali standard risultanti dall'applicazione a tutte le regioni dei costi rilevati in tre regioni benchmark (Umbria, Emilia Romagna e Veneto).
L'accordo Stato-Regioni dell'8 agosto del 2001 ha previsto per le regioni la possibilità di utilizzare risorse proprie per garantire servizi e prestazioni aggiuntive rispetto a quelle incluse nei Lea. Dal momento che la definizione dei Lea dipende, oltre che dalla selezione delle prestazioni erogabili e delle condizioni della loro erogabilità, anche da problematiche relative all'appropriatezza e quindi alla corretta allocazione delle risorse, è importante che tutte le regioni definiscano un programma regionale che permetta non solo di definire correttamente i Lea, ma anche di monitorarli, al fine di gestire urgenze/complessità, fragilità sociale e accessibilità territoriale.
La possibilità di autofinanziamento sopra citata ha comportato una diversa lista positiva delle prestazioni essenziali nelle varie regioni, generando disomogeneità di accesso alle cure da parte dei cittadini. Tale disomogeneità è peraltro ulteriormente aggravata dalla Sentenza della Corte Costituzionale n. 104 del 22 maggio 2013, in base alla quale le regioni in piano di rientro non possono finanziare le cosiddette "prestazioni extra Lea" né con il Fondo sanitario nazionale, né con risorse proprie.

MATERIALI E METODI

L'Hpf, giunto alla sua quinta edizione, è un'iniziativa della Sihta, svolta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Siti) e la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo).
Il Forum rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università e caratterizzati da prospettive diverse e diverse specificità.
L'Hpf si ispira al Policy Forum dell'Health Technology Assessment International (Htai) (www.htai.org). I lavori del Forum si svolgono sotto la Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), principio atto a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione, in base al quale ciascuno esprime opinioni di natura strettamente personale, non necessariamente rappresentative della posizione dell'organizzazione di afferenza.
La tematica guida del 2014 è stata scelta mediante una consultazione on line, per

mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno espresso la propria preferenza in merito alle proposte avanzate dal Segretariato Scientifico.
La prima riunione del Forum 2014 ha avuto luogo il 17 marzo, la seconda il 10 e l'11 maggio e la terza a margine del VII Congresso Sihta, il 25 settembre. La tematica di questa edizione è stata discussa all'interno di sessioni plenarie e lavori di gruppo. Il primo gruppo di lavoro ha discusso le tematiche relative alla (ri)definizione dei bisogni assistenziali, con particolare riferimento alle responsabilità e alle modalità di identificazione dei percorsi, inclusi i criteri di identificazione dei nodi che li compongono e della popolazione a cui dovrebbero essere destinati. In secondo luogo, i partecipanti si sono interrogati su quali e quanti siano i percorsi per i quali sia utile e necessario porre in essere tale lavoro di pathway design.
I membri del secondo gruppo si sono posti l'obiettivo di identificare delle appropriate metodologie a supporto del disegno dei percorsi. In particolare, il gruppo coinvolto in tale discussione ha inteso identificare ed assegnare un ruolo all'Hta, quale strumento idoneo a ripensare le modalità attraverso cui i Lea siano in grado di soddisfare il fabbisogno di salute emerso mediante proprio l'applicazione dei Pdta. Si è, quindi, chiarito in che modo l'Hta possa intervenire nel disegno di questi ultimi e quali siano le specifiche attività che potrebbe contribuire alla fase di progettazione. Questo aspetto, naturalmente, ha inoltre richiesto l'individuazione delle evidenze da rendere disponibili e impiegare a supporto di questo processo.
Il terzo gruppo, infine, ha discusso in merito al ruolo dell'Hta per il monitoraggio e il conseguente aggiornamento dei Lea, facendo anche riferimento alle informazioni derivanti dal Programma nazionale di valutazione degli esiti (www.salute.gov). L'attenzione di questo gruppo si è anche rivolta sulle migliori modalità per implementare le valutazioni di costo-efficacia e l'analisi delle più ampie questioni di accettabilità sociale nella fase del monitoraggio.

RISULTATI

Quali percorsi definiscono i macro Lea?

La legge finanziaria del 1996, art. 1 comma 28, sulla scia della crescente diffusione della cultura dell'Evidence Based Medicine (Ebm) e degli strumenti di governo clinico, chiarisce il ruolo del Pdta nell'ambito della pratica clinica: "i medici […] conformano le proprie autonome decisioni tecniche a Pdta, cooperando in tal modo al rispetto degli obiettivi di spesa". Dunque, in questo contesto, il Pdta è concepito come uno strumento di coordinamento tra i professionisti in grado, tra l'altro, di contribuire all'ottimizzazione dell'impiego delle risorse.

Il D.Lgs. 229/99 stabilisce che "[…] il Psn 1998-2000 indica le linee guida ed i relativi Pdta allo scopo di favorire […] lo sviluppo di modalità sistematiche di revisione e valutazione della pratica clinica ed assistenziale e assicurare i Lea". Dunque, anche se in maniera implicita, le linee guida e i Pdta vengono riconosciuti come strumento di garanzia dei Lea e mezzo di revisione e valutazione della pratica clinica.

Tuttavia, in Italia come in altri Paesi europei, la scarsa chiarezza nella definizione e l'elevata eterogeneità nell'implementazione dei percorsi clinici rendono difficile la valutazione degli studi che mirano a comparare i risultati ottenuti tramite l'utilizzo di percorsi clinici in vari contesti. La mancanza di consenso su ciò che effettivamente costituisce un percorso clinico non permette di valutare se un percorso possa o meno essere considerato evidence-based e rende complicata la pianificazione, l'allocazione delle risorse, lo sviluppo e l'implementazione dei percorsi stessi. Lo scarso consenso sulla valutazione degli outcome è dunque una diretta conseguenza della mancanza di una chiara definizione di che cosa costituisca un percorso (De Bleser et al., 2006; Vanhaecht et al., 2010; Kinsman, 2010).

Un percorso clinico esplicita chiaramente gli obiettivi e gli elementi chiave dell'assistenza sulla base di linee guida evidence-based, best practice, e attese del paziente, facilitando la comunicazione, coordinando i ruoli e scandendo le attività di un team assistenziale multidisciplinare, dei pazienti e delle loro famiglie; documentando, monitorando e valutando gli esiti; allocando le risorse necessarie. L'obiettivo dei percorsi clinici è migliorare la qualità dell'assistenza, ridurre i rischi, migliorare la soddisfazione dei pazienti e favorire l'uso efficiente delle risorse (Panella e Vanhaecht, 2010).

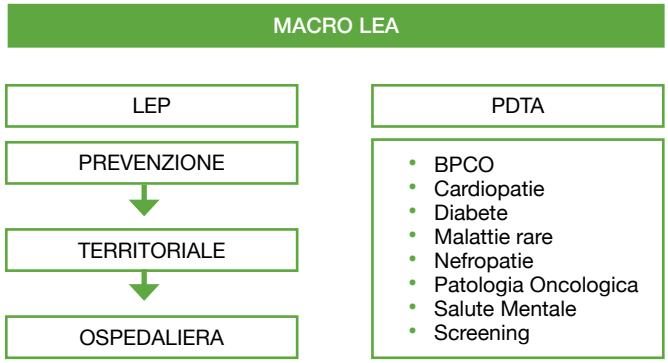
Poiché il percorso clinico è un intervento complesso, esso non può essere identificato come la mera struttura di un processo di cura. Piuttosto i percorsi possono essere considerati come uno strumento operativo della patient-centred care, un mezzo per modellare il processo di cura, migliorandone la qualità, l'efficacia e la sostenibilità (Guyatt et al., 2004; Panella e Vanhaecht, 2010).

Nel contesto italiano, il fabbisogno sanitario della popolazione di riferimento viene attualmente definito a livello nazionale, proprio nell'ottica di salvaguardare l'unitarietà di intenti di un sistema che si muove verso l'assetto federale. Nondimeno, il ripensamento dei Lea come percorsi e non più come singole prestazioni, dovrà necessariamente passare per il superamento dell'attuale ripartizione nei tre livelli di assistenza: prevenzione, territoriale e ospedaliera, in favore di una visione sistemica del percorso del paziente.

Tale passaggio richiede, però, la definizione di criteri per l'identificazione dei per-

corsi che dovrebbero essere considerati "essenziali" e, come tali, essere garantiti in maniera uniforme su tutto il territorio nazionale. Bisognerebbe, inoltre, tener conto di quali siano le patologie a maggiore impatto sulla base dei dati epidemiologici e di consumo di risorse. Analisi retrospettiva e algoritmi di scenario sono stati identificati come strumenti potenzialmente utili a definire le priorità e a soppesare le eventuali conseguenze di una scelta sbagliata.
Coerentemente ai criteri di identificazione dei percorsi, i pazienti destinatari dei "macro-Lea" dovranno essere raggruppati sulla base delle relative patologie, dei livelli di consumo di prestazioni, così come emergono dai flussi informativi delle schede di dimissione ospedaliera, dei tracciati ambulatoriali, del consumo di farmaci, e dal tipo di cronicità.
Non tutti i Lea attualmente assicurati dalle Regioni possono essere ridefiniti come percorsi o "Macro-Lea": si passa dalla singola prestazione al Lea declinato come Pdta ogni volta che ci si trova di fronte alla necessità di seguire nel tempo il paziente, o quando vi è il bisogno di forte interazione tra i diversi professionisti della salute. Questo è possibile alla presenza di una storia naturale della patologia sufficientemente prevedibile e di un buon livello di consenso tra i professionisti coinvolti.
Si parla, invece, di Livelli essenziali di prestazioni (Lep) in tutti i casi in cui non ci sia una malattia cronica e il paziente usufruisca in modo occasionale del Ssn (cfr. Figura 2).
Una volta esplicitati i criteri di selezione dei percorsi e dei pazienti, resta da chiarire quali strumenti operativi possano supportare e rendere effettiva l'implementazione dei Macro-Lea. Il passaggio dal pagamento a prestazione al pagamento per performance potrebbe, in questo senso, rivelarsi uno strumento strategico di

FIGURA 2 *I percorsi che definiscono i Macro-Lea*



incentivazione. Al percorso, che rappresenta l'insieme delle prestazioni erogate in un preciso arco temporale, viene collegata un'unica tariffa di presa in carico. Inoltre, sarebbe utile istituire meccanismi premiali/sanzionatori in relazione a precisi indicatori di esito che siano condivisi ed evidence-based.
Il passaggio ai nuovi Lea disegnati come percorsi dovrebbe essere graduale e avvenire su due livelli. La selezione dei percorsi, degli standard e degli indicatori per il monitoraggio e delle tariffe per la rimunerazione dovrebbe avvenire a livello centrale, mentre le regioni, in massima autonomia organizzativa, dovrebbero essere responsabili dell'erogazione dei "Macro-Lea" e dei Lep, prevedendo anche la possibilità di aggiustare le tariffe dei "Macro-Lea" sulla complessità del singolo paziente.

Quale metodologia per disegnare i percorsi-Lea?

L'ambito di discussione del secondo gruppo di lavoro dell'Hpf 2014 si è concentrato sull'individuazione delle metodologie per la definizione dei Lea come percorsi adottando l'approccio dell'Hta. È in primo luogo emersa la consapevolezza della necessità di individuare delle soluzioni utili al disegno dei Pdta integrati, in grado di superare i tradizionali steccati tra percorsi territoriali ed ospedalieri. Per questo è apparsa ragionevole la proposta di mutuare dal contesto britannico il concetto di Integrated Clinical Pathways, anche in considerazione del fatto che gli strumenti per disegnare il percorso sono relativamente pochi e si limitano, ad oggi in Italia, alla definizione dei principali elementi caratterizzanti il percorso effettivo, il percorso ideale ed il percorso obiettivo. È inoltre ritenuto auspicabile che un modello di percorso includa informazioni utili a definire l'impatto economico del Lea-percorso in modo da poter monitorare la sostenibilità economica del Ssn, fin dalla fase di definizione del percorso.
Partendo da queste considerazioni, appare chiaro come il percorso debba assumere le caratteristiche di generalità ed essere conseguentemente di rilievo nazionale. Al contempo, tale modello dovrebbe ricomprendere una serie di strumenti descrittivi atti a rappresentare i driver e gli elementi rilevanti nell'ambito del percorso stesso. Sebbene quindi l'ownership dell'applicazione del percorso sia demandata al livello regionale, al fine di rispettare il livello programmatorio e gestionale, è necessaria una chiara funzione di committenza da parte del livello nazionale. I Pdta e, conseguentemente, i Lea, devono al contempo rappresentare le migliori conoscenze globali e le specifiche esigenze locali. L'oggetto dei Lea può essere un percorso, popolato con documentazioni credibili per ogni nodo, a valenza globale per sicurezza ed efficacia e a valenza locale per le variabili economiche, organizzative e gestionali. Dal punto di vista della sostenibilità, il

gruppo ha condiviso la necessità di finanziare la produzione dei percorsi con una quota del Fondo sanitario nazionale al fine di garantire l'allineamento con il livello programmatorio e gestionale.
Il secondo aspetto su cui il gruppo di lavoro si è concentrato è l'identificazione del ruolo dell'Hta quale strumento di supporto metodologico all'elaborazione dei percorsi, e certamente alla loro implementazione. In particolare, è emerso che i contenuti degli stessi Pdta debbano essere definiti mediante le metodologie proprie dell'Hta, estendibili ed applicabili a tutti i nodi del percorso, e che ancora, mediante queste, le stesse possano essere di supporto nelle attività di revisione e aggiornamento. Emerge netta, quindi, la necessità di reperire le competenze, non ancora diffuse, necessarie a disegnare i contenuti dei percorsi stessi.
Il processo di produzione dei Pdta deve quindi essere:

- Sistematico;
- Predeterminato;
- Finanziato;
- Caratterizzato da momenti definiti di condivisione, comunicazione e revisione;
- Trasparente.

Secondo tale impostazione, quindi, spetterebbe al ministero della Salute una funzione di committenza per l'elaborazione del modello e le successive applicazioni a livello regionale, mentre potrebbe essere prevista la presenza di un organismo/ente indipendente/terzo, che ricopra una funzione tecnica, da reperirsi nell'ambito delle agenzie tecniche del ministero della Salute (Iss, Agenas, Aifa) o di enti terzi (es. Università). In tal senso, il ruolo di produzione del modello e l'attività di coordinamento della produzione nonché della comunicazione e condivisione con Regioni e portatori di interesse risulterebbero separati. Anche per evitare conflitti di competenza, come in qualche modo già sperimentato con il Piano Nazionale Linee Guida (PNLG), il ministero della Salute, dovrebbe assumere un ruolo di "regia" affidando in modo chiaro e inequivocabile, risorse, competenze ed obiettivi ai singoli enti coinvolti.
In merito al tipo di evidenze a supporto della costruzione dei percorsi, il gruppo ha condiviso l'esigenza che i Pdta debbano ricomprendere un'interpretazione critica di documentazioni scientifiche, come ad esempio studi clinici controllati, documentazioni relative alla pratica clinica (registri, studi osservazionali, database amministrativi, cartelle cliniche, opinioni di esperti). In aggiunta, è auspicabile la considerazione di linee guida istituzionali e professionali e di analisi delle conseguenze

economiche, queste ultime mediante l'impiego di Activity Based Costing. Queste ultime, ad esempio, potrebbero contribuire a processi di rimborso condizionato di tecnologie innovative laddove la loro applicazione sia effettuata e considerata nella stesura del Pdta di riferimento. In aggiunta alle fonti informative precedentemente discusse, sarebbe opportuno considerare tipologie di analisi organizzativa, sociale ed etica, laddove opportuno, ed attività di monitoraggio ed efficientamento del processo di produzione, come, ad esempio, tecniche di Lean Management.
In tal senso, è possibile immaginare un modello di generazione del valore del Pdta, nonché un possibile ruolo per il Piano Nazionale delle Linee Guida (Pnlg) che, al momento della sua realizzazione, si scontrava con un sistema ancora immaturo per affrontare tali tematiche e che non ha avuto l'impatto auspicato. L'idea di realizzare un sistema a piattaforma aperta 2.0 e la consultazione degli stakeholder cambiano notevolmente la logica della prestazione e quindi dei percorsi. In altre parole, in una fase progettuale, si tratterà di rilevare le informazioni del PNLG, e di trasporre le raccomandazioni in contenuti più evoluti e più sistematici. Lo stesso PNLG difatti fornisce alcune informazioni utili alla realizzazione dei nodi per la costruzione dei percorsi e sulle evidenze utilizzabili. Tale conoscenza non va certamente trascurata, ma va integrata in una logica più collaborativa.

Quale sistema di aggiornamento e monitoraggio per i percorsi-Lea?

Una corretta programmazione sanitaria presuppone un'ampia conoscenza dello stato di salute della popolazione e dei fattori che lo influenzano ed è associata ad un'adeguata misurazione dei risultati dell'assistenza sanitaria (Seccareccia et al., 2010). Il Decreto ministeriale 12 dicembre 2001 "Sistema di garanzie per il monitoraggio dell'assistenza sanitaria" rappresenta uno strumento indispensabile per verificare l'effettiva applicazione dei Lea sul territorio nazionale. Il decreto definisce un insieme di indicatori, riferiti ai diversi livelli di assistenza, attraverso i quali, partendo da dati di base, è possibile ottenere informazioni sintetiche sulle attività svolte dalle aziende sanitarie locali che riguardano la diffusione dei servizi, le risorse impiegate, i costi e i risultati ottenuti. Tali indicatori, poi aggiornati nel 2007, si riferivano ai tre macro-livelli di ripartizione dei Lea, a indicatori di risultato (speranza di vita, tasso di incidenza di alcune malattie infettive, tassi di mortalità) e a indicatori di contesto (stile di vita, caratteristiche ambientali).
Con l'Intesa Stato-Regioni del 23 marzo 2005 è stato istituito, presso il ministero della Salute, il Comitato permanente per la verifica dell'erogazione dei Livelli Essenziali di Assistenza, che ha il compito di verificare l'erogazione dei Lea in condizioni di appropriatezza e di efficienza nell'utilizzo delle risorse e la congruità

tra le prestazioni da erogare e le risorse messe a disposizione dal Ssn.
Il Patto per la salute 2010-2012 conferma ed integra le funzioni del Comitato permanente per la verifica dei Livelli essenziali di assistenza e istituisce inoltre una Struttura tecnica di monitoraggio (Stem) paritetica con le Regioni. Attualmente il monitoraggio dell'assistenza sanitaria erogata dalle regioni sul territorio nazionale avviene attraverso una serie di informazioni che, raccolte ed opportunamente elaborate e rappresentate sotto forma di indicatori, consentono di leggere importanti aspetti dell'assistenza sanitaria, inclusi quelli di qualità, appropriatezza e costo (Azzarito, 2012).
Il monitoraggio dell'erogazione dei Lea in certe realtà territoriali può essere supportato dalla raccolta di informazioni e di dati, la cui analisi, continua e sistematica, permetterebbe di pianificare opportuni interventi di miglioramento della qualità dell'assistenza. In questo contesto, il risultato finale di un intervento sanitario, generalmente in termini di salute guadagnata, è definito "esito" (Seccareccia et al., 2010).
La discussione delle proposte per il sistema di monitoraggio e aggiornamento dei Lea è partita da un'attenta analisi dello scenario attuale, al fine di comprendere quali siano le principali sfide per la predisposizione di un sistema efficace e tempestivo, ragionando sul possibile impiego degli strumenti già a disposizione del Ssn. Il gruppo di lavoro dedicato alla discussione di queste tematiche ha in primo luogo, investigato il potenziale impiego dei dati generati nell'ambito del Programma nazionale esiti (Pne). In secondo luogo, i partecipanti hanno definito il potenziale ruolo per la costo-efficacia tra i parametri necessari ad un monitoraggio globale dei Lea intesi come Pdta. Infine, tra i suddetti criteri di valutazione, un ruolo di primo piano è stato riconosciuto alla accettabilità sociale di ciascun Pdta e dei singoli nodi che lo compongono.
L'analisi critica delle fonti informative, attualmente a disposizione dei decision maker nel nostro Paese, ha portato ad identificare due importanti flussi informativi: il monitoraggio dei consumi sanitari e il Pne.
Quest'ultimo, sviluppato dal ministero della Salute in collaborazione con l'Agenas, ha lo scopo di valutare gli esiti degli interventi sanitari sul territorio nazionale. Uno degli obiettivi del programma è la valutazione osservazionale dell'efficacia operativa e teorica di interventi sanitari per i quali non sono disponibili valutazioni sperimentali di efficacia nel primo caso e Trial Clinici Randomizzati nel secondo. Il PNE valuta gli interventi sanitari a tutti i livelli e promuove e supporta programmi di valutazione di esito a livello regionale.
Tuttavia, queste fonti forniscono una visione parziale dei processi e dei risultati ottenuti dal Ssn tramite l'erogazione del Lea. Infatti, se da una parte il PNE, che è alimentato dalle schede di dimissione ospedaliera, non permette di osservare le

prestazioni erogate in ambito territoriale, dall'altra il sistema di monitoraggio dei consumi non permette di tracciare le prescrizioni.
Queste difficoltà possono essere superate facendo riferimento agli archivi dei medici di medicina generale, che andrebbero a colmare il gap informativo relativo all'assistenza primaria. Per avere accesso a questi dati, sarebbe però necessario disegnare adeguati sistemi di incentivazione, anche di natura legale, per indurre i medici di base a condividere le informazioni in loro possesso. La vigente normativa in tema di protezione dei dati personali ("Codice sulla privacy" D.Lgs. n.196/2003) richiede che il paziente esprima il consenso al trattamento dei dati che riguardano sia la sua salute che i suoi dati personali, che il medico può usare solo per finalità di prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione della salute del paziente. Questo potrebbe rappresentare un limite al fine di poter usufruire di dati interregionali per il monitoraggio delle prestazioni realmente erogate.
Inoltre, la connessione tra i flussi informativi disponibili dovrà necessariamente passare per la creazione di un sistema di classificazione comune. Un importante fattore da considerare riguarda l'autorizzazione da parte dei pazienti di utilizzare i dati presenti negli archivi.
Le questioni riguardanti il monitoraggio dei nuovi Lea, definiti non più come singole prestazioni, ma come interi percorsi assistenziali, dovrebbero essere affrontate sin dal momento di definizione del percorso stesso. In particolare, il protocollo relativo al ciascun percorso dovrebbe già contenere la lista degli indicatori rilevanti con i rispettivi valori soglia, nonché la frequenza con cui i dati raccolti debbano essere opportunamente analizzati e interpretati.
Gli indicatori selezionati per ciascun percorso dovrebbero essere evidencebased e l'evidenza che li supporta dovrebbe essere adeguatamente documentata. Gli indicatori selezionati dovrebbero poi essere combinati in modo tale da fornire informazioni su:

- I processi, al fine di promuovere l'integrazione, migliorare i sistemi di responsabilità e di coordinamento, eliminare duplicazioni e colli di bottiglia;
- Gli esiti di salute, inclusa la qualità della vita, al fine di ragionare sull'efficacia del percorso di cura e delle parti che lo compongono;
- I costi dell'assistenza, non solo per assicurare la sostenibilità dei servizi offerti ai cittadini/pazienti, ma anche per poter facilmente identificare eventuali opportunità di efficientamento del sistema di offerta che si prospettano all'avvento di nuove tecnologie;
- L'equità o l'accettabilità sociale. Quest'ultimo aspetto appare cruciale in un contesto in cui l'oggetto del livello essenziale di assistenza è la presa

in carico globale del paziente, anziché la singola prestazione sanitaria. A questo proposito, è significativo l'esempio dei programmi di diagnosi precoce, per il cui successo è cruciale abbattere o, quanto meno, minimizzare le barriere all'equità di accesso.

Il sistema di monitoraggio dovrebbe, tra l'altro, permettere di stabilire un meccanismo sistematico di auditing clinico ed organizzativo, nonché di certificazione che serva da incentivo al sistema ma anche da strumento di garanzia per gli utenti. Una volta implementato il Pdta, è necessario affrontare le questioni relative all'aggiornamento dello stesso. La discussione in merito a questo aspetto ha portato all'identificazione di due aspetti fondamentali: quando aggiornare e come aggiornare. In merito al primo punto, un sistema di monitoraggio adeguato dovrebbe tener conto dell'avanzamento tecnologico, ma al contempo favorire un processo decisionale tempestivo. Dunque, l'aggiornamento del percorso dovrebbe essere effettuato al momento dell'introduzione di tecnologie innovative in grado di modificare in modo sostanziale il percorso del paziente. Un prezioso contributo, a tal proposito, potrebbe essere fornito da un sistema costante di horizon scanning, che consentirebbe di identificare con congruo anticipo le tecnologie rilevanti e di valutarne tempestivamente il potenziale impatto sul Ssn in termini clinici, economici e gestionali.

La cadenza del monitoraggio del Macro-Lea dovrebbe essere definita in modo da rendere il processo snello ed efficace; pertanto, è necessario un monitoraggio più assiduo nella fase di implementazione dei nuovi percorsi o di quelli sottoposti ad aggiornamento. Per i percorsi già rodati, invece, sarebbe sufficiente un monitoraggio più sporadico, ad esempio annuale.

La questione del monitoraggio è stata affrontata fin dall'origine dei programmi di screening per diversi motivi tra cui la complessità della gestione organizzativa del programma, lo stimolo di una comunità scientifica che, almeno in Europa, nasceva multidisciplinare, con clinici, patologi, epidemiologi, dunque poco incline alla tutela delle singole professionalità e più interessata a porre la valutazione e la disponibilità di indicatori al centro del processo di quality assurance, la coscienza che un'attività di prevenzione secondaria mantiene la sua efficacia e la sua sostenibilità solo se la performance rimane entro predefiniti livelli di accuratezza ed efficienza.

Per questi motivi i programmi di screening nascono già con un loro set di indicatori condiviso dalla comunità scientifica e di pratica che li deve implementare. Questi indicatori sono ripresi fin da subito in tutte le linee guida come elementi fondamentali del processo di quality assurance e come componente distintiva dei programmi di screening organizzati, insieme all'invito attivo di tutta la popolazione target.

Nel 2001 nasce l'Osservatorio nazionale screening che nel 2004 diventa, grazie al

decreto del ministro della Salute del 25 novembre 2004 (articolo 2 bis della legge 138 del 2004), strumento tecnico a supporto sia delle Regioni, per l'attuazione dei programmi di screening, sia del ministero della Salute, per la definizione delle modalità operative, il monitoraggio e la valutazione dei programmi. Si ha così un sistema nazionale di rilevazione degli indicatori dei singoli programmi che può essere utilizzato per il monitoraggio dell'implementazione dei Lea, per il raggiungimento degli obiettivi dei Piani regionali di prevenzione o per valutare la performance delle aziende sanitarie. Ma il sistema di indicatori è anche utilizzato, ad un dettaglio di informazioni maggiore, dai programmi di screening stessi e dal coordinamento regionale per il miglioramento continuo della qualità attraverso un ciclo di audit alimentato dai dati dell'attività dell'Osservatorio e delle società scientifiche degli screening.

Il gruppo di lavoro ha poi approfondito il tema del potenziale ruolo dell'analisi costo-efficacia nell'informare le fasi di monitoraggio e aggiornamento dei Lea intesi come percorsi. Le considerazioni fatte dai membri del gruppo di lavoro sono risultate coerenti con l'approccio dell'Health pathway design (Hpd)[2] che, a partire da un percorso diagnostico terapeutico, perviene alla visione integrata del paziente e del suo bisogno di salute. Ciò rende possibile la riorganizzazione dei servizi in un'ottica di massimizzazione del valore per il paziente e del rapporto benefici-costi dell'intero percorso, prescindendo dalle singole tecnologie impiegate. L'implementazione dell'Hpd richiede l'abbandono della tradizionale concezione parcellizzata e segmentata dei costi per abbracciare una prospettiva più ampia, quella dell'intero percorso, ragionando sul valore effettivamente creato per il paziente. Tale valore deriva non solo dall'efficacia tecnica di un trattamento ma anche, a parità di efficacia di varie soluzioni alternative, dalla scelta dell'opzione che massimizza la qualità della vita del paziente e l'utilità ampiamente intesa.

Questo approccio, il cui fine ultimo è di garantire la sostenibilità complessiva del sistema e l'equo accesso alle cure da parte dei cittadini, non può prescindere dall'utilizzo di sistemi multidisciplinari per l'esplicitazione del valore. Le logiche e le metodologie dell'Hta rappresentano le basi per una efficace implementazione dell'Hpd. L'Hta, infatti, riveste una duplice funzione nella definizione di percorsi costo-efficaci:

- permette di selezionare le singole attività e tecnologie da inserire nel percorso;
- verifica la costo-efficacia del percorso nella sua totalità e la sua capacità di produrre valore per il paziente e per l'intera collettività.

2 *Per una definizione operativa di Health Pathway Design si veda A. Cicchetti in Meridiano Sanità, Ambrosetti The European House.*

In questo scenario, il finanziamento dovrebbe essere basato sul percorso nella sua totalità. Per esempio, nel caso di una patologia cronica, il finanziamento dovrebbe essere agganciato all'unità di tempo rimunerata al costo di un percorso costo-efficace. Tale soluzione innescherebbe un meccanismo virtuoso che porterebbe gli agenti responsabili del percorso a ricercare soluzioni ancora più costo-efficaci, migliorando così l'efficienza complessiva del sistema.
Secondo l'approccio Hpd, la valutazione dell'impatto delle innovazioni nel Pdta dovrebbe tener conto di tutte le componenti del percorso in una visione di insieme, valutandone gli impatti su costi e risultati nel breve e nel lungo periodo.
Dunque, sebbene la costo-efficacia non possa rappresentare l'unico criterio decisionale, un ruolo di primo piano è stato riconosciuto alla valutazione economica in un'ottica di sostenibilità ed efficienza del sistema. In particolare, le analisi di costo-efficacia e costo-utilità dovrebbero essere condotte a due livelli. In primo luogo, è necessario che venga investigata la costo-efficacia delle singole tecnologie, intese come farmaci, dispositivi, procedure cliniche e modalità organizzative che compongono il Pdta. In secondo luogo, è necessario monitorare la costo-efficacia dell'intero percorso, per tener conto dell'effetto combinato dei singoli nodi sull'efficienza complessiva. Resta da definire la prospettiva della valutazione economica, strettamente legata al livello istituzionale responsabile del monitoraggio.

DISCUSSIONE

La definizione e l'aggiornamento dei Lea rappresenta un tema articolato e complesso che vede correlate tra di loro le scelte operate a livello centrale, il quale definisce le prestazioni essenziali da garantire ai tutti i cittadini, e a livello regionale, al quale è invece assegnata la responsabilità dell'erogazione dei Lea stessi, sia dal punto di vista organizzativo che finanziario.
L'incremento dei fabbisogni sanitari, dovuto sia all'invecchiamento della popolazione che all'innovazione tecnologica, richiede con urgenza la revisione della metodologia con cui le prestazioni Lea sono definite e l'introduzione di meccanismi espliciti di valutazione e prioritarizzazione dei bisogni. Le logiche alla base dell'Hta potrebbero fornire preziose linee di indirizzo in questo contesto. Tuttavia, è necessario innanzitutto individuare gli strumenti operativi più idonei, e valutarne l'applicabilità a tutti i livelli decisionali.
In questo quadro, l'Hta potrebbe offrire il suo contributo nella definizione delle preferenze e dei valori associati alle singole prestazioni al fine di definire i criteri di inclusione ed esclusione delle singole prestazioni nell'agenda del terzo pagante. Tuttavia, in linea con la moderna concezione multidimensionale della salute, i Lea non dovreb-

bero più essere considerati come singole prestazioni, bensì come percorsi assistenziali orientati a rispondere in modo globale a un determinato bisogno di salute.
È possibile individuare tre possibili modalità di identificazione dei Lea ed apprezzarne oltremodo i pro e i contro, sia con riferimento alla fase di implementazione che di monitoraggio. Le Tabelle 2 e 3 sintetizzano tali possibili criteri. In particolare, i Lea possono essere determinati in base alla struttura/offerta (approccio tradizionalmente ed attualmente seguito); ai Pdta; agli esiti. Ciascuna di queste soluzioni, naturalmente, presenta punti di forza e di debolezza, sia sotto il profilo organizzativo, economico e di implementazione e monitoraggio.
L'approccio attualmente seguito correla la definizione dei Lea alle prestazioni, che vengono erogate a garanzia del diritto alla tutela della salute dei cittadini e che sono specificatamente indicate nei riferimenti normativi sopra citati. L'implementazione di tale approccio è certamente molto semplificata rispetto a soluzioni più evolute, essendo la diretta espressione dell'assetto organizzativo e istituzionale attuale. Inoltre, i flussi informativi disponibili mediante gli attuali sistemi informativi sanitari risultano sufficientemente adeguati per la realizzazione delle attività di monitoraggio. D'altro canto, un'impostazione di questo tipo non è in grado di assicurare la correlazione tra risorse dedicate e salute. Inoltre, essa difficilmente è in grado di assicurare l'integrazione tra i diversi livelli di assistenza e non tiene conto del tipo di tecnologie impiegate nell'erogazione del singolo intervento sanitario.
La valutazione dell'appropriatezza risulta dall'identificazione di una matrice di prestazioni e condizioni che appare difficile da aggiornare e rimane strettamente legata ai nomenclatori tariffari. In questo scenario la più fattibile misura per il contenimento della spesa è la definizione di tetti.
Una soluzione più evoluta a tale problema d'identificazione potrebbe essere quella, precedentemente discussa, di correlare i Lea ai Pdta. Infatti, il Lea deve essere interpretato come un diritto del cittadino. Se decliniamo questo diritto come diritto esclusivamente individuale questo può essere valutato solo come un diritto a ricevere una prestazione appropriata, in quanto non è possibile garantire l'efficacia dell'intervento sul singolo; se invece interpretiamo questo diritto come un diritto individuale e della popolazione possiamo valutare anche la sua efficacia, ovvero quanto l'implementazione di un determinato Lea impatti sulla salute. L'impatto sulla salute è però frutto di tutto il percorso e non può essere ricondotto a una singola prestazione. Ovviamente, il secondo approccio è rilevante in particolare per le iniziative di prevenzione.
Come abbiamo visto, interpretare un Lea come percorso ha alcuni vantaggi: si ha un chiaro legame all'appropriatezza perché ogni prestazione è prevista solo in un determinato momento clinico, questo ci permette di avere una consistenza con

quanto previsto dalle linee guida e dunque possiamo ancorarci a dei documenti di Ebm, rendendo non necessaria una precaria lista di condizioni per cui ogni singola prestazione è da considerarsi appropriata. L'integrazione organizzativa tra i livelli strutturali di assistenza e la costruzione di responsabilità organizzative nel processo risulterebbero così oltremodo garantite. Però questo richiede il verificarsi di alcune condizioni quali la disponibilità di linee guida aggiornate e con public health vision, Hta delle linee guida da adottare con analisi economica e di impatto finanziario, dei set di indicatori cogenti e condivisi nella validità e negli obiettivi da clinici e decision maker, e di dati raccolti in maniera accurata.
Un'ulteriore soluzione, infine, potrebbe essere quella di considerare ed identificare i Lea rispetto agli esiti di salute che si intende conseguire. Tale approccio, certamente rivoluzionario rispetto a quello attuale, esprime un impegno sul risultato, ma certamente presenta livelli di estrema complessità gestionale ed operativa, oltre che richiedere, in fase di implementazione, un forte consenso intorno ai livelli di esito che si intende raggiungere. Esiste, quindi, un'oggettiva

TABELLA 2 *Le modalità di identificazione dei Lea: pro e contro*

	Pro	Contro
Lea Struttura/offerta	• È l'approccio attualmente seguito • È facile da implementare • I sistemi informativi sono adeguati a raccogliere i dati per il monitoraggio	• Non assicura necessariamente la correlazione tra risorse dedicate e salute • Non assicura l'integrazione tra i diversi livelli di assistenza • Non tiene conto delle tecnologie impiegate nell'erogazione dell'intervento sanitario
Lea procedura/Pdta	• Più direttamente correlato alla salute • Potenziale aumento dei livelli di appropriatezza • Maggiore integrazione tra professionisti e diversi livelli di assistenza	• Più complesso da definire • Difficile avere i dati per il monitoraggio • Non è applicabile a tutte le patologie
Lea esito	• Esprime un impegno sul risultato	• Di estrema complessità operativa; • Rischio della patient selection • Difficile individuare indicatori d'esito oggettivi e condivisi e ponderarli per le specificità territoriali ed individuali

Fonte: Nostra elaborazione

TABELLA 3 *Le modalità di identificazione dei Lea: costruzione e monitoraggio*

LEA	Implementazione	Monitoraggio	Ruolo per l'Hta
Struttura/ Offerta	• È l'approccio attualmente seguito • È facile da implementare • È influenzato dall'assetto organizzativo e istituzionale attuale	• I sistemi informativi sanitari attuali garantiscono in larga parte i flussi necessari per il monitoraggio (modelli LA)	• Oggetto della valutazione: singola tecnologia • Decisione: investimento/ disinvestimento
Procedura/ Pdta	• Implica una integrazione organizzativa tra livelli strutturali di assistenza e la costruzione di responsabilità organizzative per "processo"	• Questo approccio impone l'implementazione di sistemi organizzativi e informativi "orizzontali" • Fondamentali i dati dei medici di famiglia	• Oggetto della valutazione: tra combinazione di tecnologie • Decisione: investimento/ disinvestimento; composizione del percorso
Esito	• Oltre all'integrazione organizzativa implica un consenso forte sui livelli che si intendono raggiungere	• Fondamentale la presenza di una cartella clinica elettronica o comunque un fascicolo sanitario elettronico "per paziente"	• Oggetto della valutazione: combinazione di effetti • Decisione: investimento/ disinvestimento; composizione del percorso; definizione del valore

Fonte: Nostra elaborazione

difficoltà di individuare indicatori d'esito oggettivi e di ponderarli per le specificità territoriali. In fase di monitoraggio, poi, diviene fondamentale la considerazione e la valorizzazione dei dati raccolti dalla cartella clinica elettronica (o, comunque, di un fascicolo sanitario elettronico 'per paziente') per le attività di monitoraggio. Va tuttavia considerato il rischio che tale approccio conduca comunque ad atteggiamenti opportunistici, come quelli di patient selection.

Oltre alle questioni di identificazione, esiste un problema di esplicitazione dei Lea, e quindi alla scelta di determinarli in base a liste positive o negative. Anche in questo caso, sono ravvisabili pro e contro delle due soluzioni. La lista positiva,

che esprime l'elenco delle prestazioni incluse all'interno dei Lea, ha come punto di forza la chiarezza dei diritti garantiti ai cittadini, ma risulta molto complessa sotto il profilo tecnico, poiché richiede l'esplicitazione di specifiche valutazioni degli interventi in essa inclusi.
D'altro canto, la predisposizione di una lista negativa è certamente molto più semplice sotto il profilo operativo e funge da meccanismo di accelerazione per l'introduzione dell'innovazione. Tuttavia, essa non è in grado di creare disincentivi per l'introduzione di innovazioni con scarso valore e supporto di evidenza (cfr. Tabella 4).
Il percorso di approfondimento svolto nella quinta edizione dell'Hpf ha avuto il merito di individuare i termini di un dibattito che appare necessario anche a livello istituzionale per migliorare ed ottimizzare il percorso di definizione dei Lea.
Nell'ultima edizione dell'Health Policy Forum, iniziativa attraverso la quale la Sihta riunisce rappresentanti delle Regioni, delle Agenzie nazionali, ricercatori, associazioni dei cittadini e rappresentanti delle industrie in un dibattito sui temi dell'Hta, si è declinato il ruolo che l'approccio dell'Hta può giocare nella gestione del sistema dei Lea. Data la delicatezza di decisioni che sono alla base della stessa declinazione dei diritti dei cittadini alla tutela della salute, l'approccio trasparente, multidisciplinare e multi-stakeholder dell'Hta è apparso come l'unico in grado di supportare decisioni fondate su un bagaglio di evidenze scientifiche analizzate con metodi robusti e che, allo stesso tempo, siano anche accettabili e condivisibili da parte dei diversi portatori di interesse.

TABELLA 4 Le modalità di esplicitazione Lea: lista positiva e negativa

	Pro	Contro
Lista positiva	Chiarezza nei diritti dei cittadini	Complessa sotto il profilo tecnico Implica esplicite valutazioni
Lista negativa	Semplice sotto il profilo operativo Accelera l'introduzione dell'innovazione	Non crea disincentivi per l'introduzione di innovazioni con scarso supporto di evidenza

Fonte: Nostra elaborazione

BIBLIOGRAFIA

- *Atkin WS, Edwards R, Kralj-Hans I, Wooldrage K, Hart AR, Northover JM, Parkin DM, Wardle J, Duffy SW, Cuzick J; UK Flexible Sigmoidoscopy Trial Investigators. Once-only flexible sigmoidoscopy screening in prevention of colorectal cancer: a multicentre randomised controlled trial. Lancet. 2010 May 8;375(9726):1624-33*
- *Cincotti F, Bussone MC (a cura di) (2012), Il Federalismo sanitario: la gestione del Ssn nel nuovo assetto di federalismo fiscale, Centro Studi Assobiomedica, n.13. Disponibile al link www.assobiomedica.it/static/ upload/ana/analisi-13-def.pdf. Ultimo accesso 10/04/2014*
- *Conferenza Delle Regioni e delle Province Autonome (2013?), Intesa sulla proposta del Ministro della salute di deliberazione Cipe concernente il riparto tra le regioni delle disponibilità finanziarie per il Ssn per l'anno 2013. Disponibile al link www.statoregioni.it/Documenti/DOC_042478_ 181%20csr%20%20 punto%2015%20odg. pdf. Ultimo accesso 11/04/2014*
- *Council of the European Union (2003), Council Recommendation of 2 December 2003 on cancer screening (2003/878/EC), Off J Eur Union no. L 327, pp. 34-38. Disponibile al link http://ec.europa.eu/ health/ ph_determinants/genetics/documents/cancer_screening.pdf. Ultimo accesso 22/09/2014*
- *De Bleser L, Depreitere R, De Waele K, Vanhaecht K, Vlayen J, Sermeus*
- *W. Defining pathways. J Nurs Manag. 2006 Oct;14(7):553-63*
- *Guyatt G, Montori V, Devereaux PJ, Schünemann H, Bhandari M. Patients at the center: in our practice, and in our use of language. ACP J Club. 2004 Jan-Feb;140(1): A11-2*
- *Hardcastle JD, Chamberlain JO, Robinson MH, Moss SM, Amar SS, Balfour TW, James PD, Mangham CM. Randomised controlled trial of faecaloccult-blood screening for colorectal cancer. Lancet. 1996 Nov 30;348(9040):1472-7*
- *Hewitson P, Glasziou P, Irwig L, Towler B, Watson E. Screening for colorectal cancer using the faecal occult blood test, Hemoccult. Cochrane Database Syst Rev. 2007 Jan 24;(1):CD001216*
- *Kinsman L, Rotter T, James E, Snow P, Willis J. What is a clinical pathway? Development of a definition to inform the debate. BMC Med. 2010 May 27;8-31*
- *Kronborg O, Fenger C, Olsen J, Jørgensen OD, Søndergaard O. Randomised study of screening for colorectal cancer with faecal-occult-blood test. Lancet. 1996 Nov 30; 348(9040):1467-71*
- *Mandel JS, Church TR, Ederer F, Bond JH. Colorectal cancer mortality: effectiveness of biennial screening for fecal occult blood. J Natl Cancer Inst. 1999 Mar 3;91(5):434-7*
- *Ministero della Salute. "Livelli di assistenza sanitaria e le prestazioni garantite dal Servizio sanitario nazionale" (2006) Disponibile al link www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_1172_allegato.pdf.Ultimoaccesso 15/04/2014*
- *Ministero della Salute, Dipartimento della Programmazione e dell'Ordinamento del Servizio Sanitario Nazionale, Direzione Generale della Programmazione Sanitaria, Ufficio X ex*

DGPROG – SiVeAS (2012), Verifica Adempimenti Lea Anno 2011. Diponibili al link www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2174_allegato.pdf. Ultimo accesso 12/03/2014

- *Ministero della Salute, Direzione Generale della Prevenzione. Raccomandazioni per la pianificazione e l'esecuzione degli screening di popolazione per la prevenzione del cancro della mammella, del cancro della cervice uterina e del cancro del colon retto. Ministero della Salute, Roma 2005. Disponibile al link www.osservatorionazionalescreening.it/ons/documentazione/raccomandazioni/screening_vers_completa.pdf. Ultimo accesso 22/09/2014*
- *Panella M, Vanhaecht K. Is there still need for confusion about pathways? International Journal of Care Pathways. 2010; 14:1–3*
- *Ronco G, Zappa M, Naldoni C, (GISCi Gruppo Italiano Screening del Cervicocarcinoma). Indicatori e standard per la valutazione di processo dei programmi di screening del cancro del collo dell'utero manuale operativo. Epidemiol Prev 1999;4S:1-30*
- *Seccareccia F, D'Errigo P, Rosato S et al., (2010), Prestazioni ricomprese nei livelli essenziali di assistenza (LEA), Rapporto tecnico. Rapporti ISTISAN 10/43. Disponibile al link www.iss.it/binary/publ/cont/ dieci43web.pdf. Ultimo accesso 10/03/2014*
- *Segnan N, Patnick J, von Karsa L (eds). European Commission. European guidelines for quality assur ance in colorectal cancer screening and diagnosis. Luxembourg: Publications Office of the European Union; 2011. Disponibile al link http://ec.europa.eu/smart-regulation/impact/commission_guidelines/commission_guidelines_en.htm. Ultimo accesso 20/09/2014*
- *The European HouseAmbrosetti (2012), Meridiano Sanità. Le coordinate della salute. Rapporto 2012. Disponibile al link www.ambrosetti.eu/en. Ultimo accesso 25/02/2014*
- *The European HouseAmbrosetti. Meridiano Sanità (2013), Le coordinate della salute: Rapporto 2013. Disponibile al link www.ambrosetti.eu/en. Ultimo accesso 25/02/2014*
- *Vanhaecht K, De Witte K, Depreitere R, Sermeus W. Clinical pathway audit tools: a systematic review. J Nurs Manag. 2006 Oct;14(7):529-37*
- *Vanhaecht K., Bollmann M., Bower K. Prevalence and use of clinical pathways in 23 countries – an international survey by the European Pathway Association, International Journal of Care Coordination. 2006; 10(1):28-34*
- *von Karsa L, Anttila A, Ronco G, Ponti A, Malila N, Arbyn M, Segnan N, Castillo-Beltran M, Boniol M, Ferlay J, Hery C, Sauvaget C, Voti L & Autier P. Cancer Screening in the European Union. Report on the implementation of the Council Recommendation on Cancer Screening First Report European Commission, Luxembourg (2008)*

SITOGRAFIA

- *www.agenas.it*
- *www.camera.it*
- *www.salute.gov.it*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

15 L'ARMONIZZAZIONE DEI METODI PER L'HTA: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM

Sono state identificate le principali problematiche relative alla trasferibilità e alla generalizzabilità dei risultati di una valutazione Hta tra i vari livelli decisionali e l'opportunità di adottare metodologie standardizzate per la valutazione dei farmaci e dei dispositivi medici.

L'armonizzazione delle procedure di valutazione richiede che siano applicati i seguenti principi fondamentali che possono rappresentare anche dei driver della decisione a livello istituzionale: Economicità, Trasparenza e Gestione dei conflitti.

L'armonizzazione dei contenuti, che prevede coinvolgimento di tutti gli stakeholder e la trasparenza del confronto, i domini relativi alla descrizione e caratteristiche delle tecnologie, sicurezza ed efficacia possono essere coerentemente applicati ad un livello aziendale, ma sono altresì considerabili anche nell'ambito di valutazioni condotte a livello regionale; di contro, il dominio organizzativo deve essere applicato a livello della singola unità produttiva e quindi del singolo ospedale. Infine, dimensioni quali quella etica, sociale e legale trovano parziale applicazione ad entrambi i livelli decisionali.

La principale opportunità offerta dall'armonizzazione dei metodi per l'Hta nella valutazione dei farmaci è la riduzione della duplicazione degli sforzi di ricerca grazie all'adattamento di quei domini che sono generalmente considerati context-specific, rendendo le valutazioni non solo più trasparenti e rigorose, ma anche più tempestive e meno dispendiose. Tra gli ostacoli all'armonizzazione dei metodi riscontriamo il commitment politico, il quale è ancora troppo limitato, e la mancanza di un processo strutturato e trasparente di valutazione critica dei report forniti dalle aziende.

Con riferimento ai farmaci, i domini relativi al problema clinico e uso corrente della tecnologia, alla descrizione delle caratteristiche tecniche, all'efficacy e alla safety sono considerati generalizzabili in quanto non dipendenti dal contesto specifico in cui la tecnologia sarà utilizzata, mentre per i dispositivi medici sono stati definiti come generalizzabili i domini relativi alla descrizione delle caratteristiche tecniche, all'efficacy e alla safety.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Valentina Iacopino, Alessandra Fiore, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

15 L'ARMONIZZAZIONE DEI METODI PER L'HTA: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM

INTRODUZIONE

L'assetto della struttura di offerta dell'assistenza sanitaria deve sempre più spesso tener conto di crescenti pressioni finanziarie, che in alcuni casi possono ritardare l'accesso universale dei pazienti alle più innovative tecnologie sanitarie. In questo contesto, la mancata adozione di metodi trasparenti e sistematici per la valutazione equa e sistematica delle evidenze potrebbe indirizzare il sistema più verso forme di razionamento che di razionalizzazione della spesa sanitaria e, potenzialmente, verso l'esclusione di tecnologie che presentano un buon value for money, in favore di tecnologie obsolete o inefficienti.

L'Health Technology Assessment (Hta) è un processo basato sull'evidenza che mira a esaminare le conseguenze dell'implementazione di una tecnologia sanitaria considerando le implicazioni cliniche, di sicurezza, economiche, organizzative, sociali, etiche e legali generate dalla sua introduzione nella pratica clinica. Molteplici sono gli esempi di applicazione di tale metodologia a livello internazionale e nazionale, ma i metodi di valutazione Hta risultano ancora poco armoniosi e standardizzati. La mancanza di procedure condivise da tutti gli stakeholder potrebbe produrre non solo duplicati nella valutazione, ma anche raccomandazioni d'introduzione della tecnologia non coerenti. L'interesse verso l'armonizzazione dei metodi per l'Hta è cresciuto negli ultimi anni, e molteplici sono gli esempi di progetti internazionali finanziati dalla Commissione Europea, che hanno come focus l'identificazione di standard valutativi (vedi il Network europeo di Hta – EuNetHta). Questi diversi tentativi hanno come obiettivo quello di definire un modello condiviso relativamente ai seguenti aspetti:

1. le fonti informative di ricerca dei dati,
2. la strategia di ricerca,
3. i parametri di inclusione ed esclusione degli studi da selezionarsi,
4. la sintesi delle evidenze e
5. le modalità di aggiornamento del report (Ormstad e Isojärvi 2010).

Obiettivo di questo lavoro è quello di contribuire al dibattito sull'armonizzazione dei metodi dell'Hta. Il paper riassume e discute i risultati dell'edizione 2015 dell'Health Policy Forum (Hpf) della Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta), che ha affrontato, mediante la tradizionale formula di discussione e di lavoro in gruppi, gli aspetti che sono considerati più critici e cruciali sul tema. In particolare, il lavoro condotto dai membri del Forum ha riguardato la definizione di quali domini valutare a livello centrale, regionale e locale e quali standard utilizzare; quale metodologia di valutazione per i farmaci e per i dispositivi medici.

BACKGROUND

L'importanza di armonizzare i metodi per l'Hta

Gli output del processo di Hta possono essere considerati generalizzabili se i loro risultati si dimostrano veri anche in contesti diversi da quelli in cui sono stati prodotti senza necessitare di alcun aggiustamento. Quando invece occorre effettuare degli aggiustamenti affinché gli output di una valutazione possano orientare una decisione in un contesto differente, allora tali evidenze possono essere considerate solo trasferibili (Ruggeri et al., 2015). Tuttavia, anche quando i risultati sono generalizzabili o trasferibili, gli esiti di diverse valutazioni della stessa tecnologia possono essere molto eterogenei tra loro per una serie di motivi ulteriori alla scarsa armonizzazione dei metodi (Ispor Task Force, 2008). Ad oggi, non esistono delle linee guida sistematiche su quali domini dell'Hta possano essere considerati generalizzabili e quali invece richiedano adattamenti per poter essere utilizzati in specifici contesti. Tuttavia, è bene precisare che le difficoltà relative alla trasferibilità dei risultati non devono indurre a rinunciare alla standardizzazione dei metodi. La trasferibilità dei risultati degli studi è un problema generale che rimane anche quando si vogliono trasferire i risultati all'interno della stessa giurisdizione. Secondo, ci sono degli step nella produzione delle evidenze che non sono, o lo sono solo parzialmente, influenzati dai problemi di trasferibilità (ad esempio, la struttura della revisione della letteratura o la costruzione dei modelli decisionali). Se da una parte è necessario compiere ulteriori sforzi per migliorare l'armonizzazione dei metodi, dall'altra vanno intensificate le attività di ricerca per poter comprendere in maniera sistematica quali siano gli elementi che limitano la generalizzabilità degli studi. L'adattamento di evidenze ben condotte a setting differenti passa infine attraverso due ulteriori step: (I) la produzione e disseminazione di linee guida per il reporting, che risultano ad oggi numerose per alcuni domini e carenti per altri; (II) la definizione e adozione di metodi evidence-based per

una corretta valutazione della generalizzabilità e trasferibilità delle evidenze prodotte nell'ambito dei vari domini. In tal senso, il ruolo delle umbrella organizations, come EuNeHta, potrebbe rivelarsi ancora più prezioso, perché il confronto continuo tra agenzie ed attori a livello internazionale potrebbe portare alla spontanea adozione di buone pratiche (Mathes et al., 2013).

L'armonizzazione dei metodi: lo stato dell'arte

In una revisione della letteratura del 2010, l'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (Agenas) ha valutato gli approcci metodologici utilizzati nell'ambito dell'Hta, concludendo che non esiste una metodologia univocamente accettata che permetta di sintetizzare le evidenze in un report. Sembrerebbe inoltre che, mentre per alcuni domini, in particolare quelli economico, dell'efficacia e della sicurezza, sia disponibile un maggior numero di evidenze, per altri, le informazioni siano più difficilmente reperibili e frammentarie (Agenas, 2010).
Unitamente alle diverse metodologie attualmente utilizzate per valutare i domini dell'Hta, esistono anche differenti tipologie di output, il cui livello di dettaglio dipende dalla finalità informativa del report. Tuttavia, non sono state riscontrate delle linee guida che descrivano, per ogni dominio del Core Model®, e per singola tecnologia, quali informazioni dovrebbero essere contenute in un report di Hta. Nel documento Relative Effectiveness Assessment (Rea) of Pharmaceuticals – Model for Rapid Relative Effectiveness Assessment of Pharmaceuticals, EuNetHta definisce una metodologia per la standardizzazione delle procedure di valutazione "rapida" per i soli farmaci, in cui si chiarisce come i domini da considerare siano: (I) il problema clinico e l'uso corrente della tecnologia; (II) la descrizione della tecnologia e delle alternative disponibili; (III) l'analisi dell'efficacia e l'analisi della sicurezza. I benefici di questa standardizzazione riguardano sia le modalità di ricerca che quelle di sintesi delle informazioni relative ad una tecnologia sanitaria. I paragrafi successivi forniranno una panoramica del livello dell'armonizzazione dei metodi riscontrati in letteratura che si riferiscono solo ad alcuni domini della valutazione.

Il grado di armonizzazione dei metodi: alcuni domini dell'Hta

Lo strumento metodologico implementato nell'ambito del progetto EuNetHta è il Core Model®, definito come "[…] an attempt to define and standardise elements of an Hta. The model tackles particularly the two problems of Hta reports presented in the introduction: variation in the contents and lack of a refined (detailed and standardised) structure" (EuNetHta, 2015). Nell'ambito del Core Model®, le uniche linee guida per la redazione dei report riguardano i domini della sicurezza, degli aspetti

economici e di quelli etici. Sviluppate nell'ambito del WP 5 e WP 7 delle Joint Action 1 e 2 di EuNetHta, tali linee guida hanno avuto l'obiettivo di supportare i valutatori ad analizzare ed elaborare i dati da includere nei singoli domini di un report di Hta.

Il dominio della sicurezza

Le linee guida disponibili per il dominio della sicurezza, con riferimento ai soli farmaci, sono state redatte da EuNetHta nell'ambito del WP5 della Joint Action 1. Esse evidenziano l'importanza di comparare il profilo di sicurezza dei nuovi farmaci con quello del/dei comparatore/i appartenenti alla stessa classe terapeutica o di alternative non farmaceutiche (qualora disponibili). Il profilo di sicurezza deve prendere in considerazione sia gli effetti benefici che quelli avversi al fine di supportare i clinici, i policy maker ed i pazienti nel prendere decisioni informate. Così come per gli altri domini, anche per quello della sicurezza appare opportuno indicare i criteri di inclusione (o di esclusione) delle evidenze riscontrate in letteratura. Dopo aver sintetizzato gli studi inclusi, preferibilmente in forma tabellare, in cui vengono confrontati, se disponibili, sia gli outcome dell'intervento che quelli del comparatore, è suggerita la verifica della presenza di eventuali bias negli studi, al fine di valutare la qualità dei dati riguardanti gli eventi avversi (cfr. Tabella 1).

Il dominio economico

Nel valutare il dominio economico nell'ambito dei report di Hta, è possibile condurre una valutazione economica oppure effettuare una review di valutazioni economiche già disponibili. Effettuare una valutazione economica *ex novo* presenta il vantaggio di poter tener conto delle caratteristiche specifiche del contesto e di fornire una risposta più puntuale alla domanda di ricerca (Drummond, 1993). Se, da una parte, una certa standardizzazione dei metodi per la valutazione economica è necessaria per la comparazione trasparente e significativa di diverse tecnologie e garantisce una migliore qualità degli studi, dall'altra, una completa standardizzazione in ogni circostanza potrebbe essere inappropriata perché i metodi non sarebbero abbastanza flessibili per rispondere esaustivamente alle esigenze informative. Indubbiamente, i metodi per la conduzione di valutazioni economiche dovrebbero essere adeguati ai diversi servizi sanitari e ai contesti decisionali che intendono informare. Tuttavia, alcuni aspetti metodologici prescindono dal contesto di riferimento. La condivisione di queste metodologie da parte delle agenzie di Hta, accompagnate ad una buona e trasparente qualità del reporting, faciliterebbe la trasferibilità dei risultati e la fruibilità delle valutazioni economiche da parte di decision maker appartenenti a giurisdizioni differenti. Attualmente difatti, la stessa tecnologia è spesso valutata da più agenzie

TABELLA 1 *Le nove raccomandazioni per il dominio della sicurezza. Modificato da (EuNetHta 2013)*

1	**Nella valutazione della sicurezza, il valutatore dovrebbe:** - identificare le reazioni avverse - quantificare le reazioni avverse in termini di categorie di frequenza, incidenza, severità e gravità - comparare il profilo di sicurezza del farmaco con quello del comparatore
2	**Il valutatore dovrebbe focalizzare la sua valutazione sulle seguenti aree:** - le più frequenti reazioni avverse - i più importanti potenziali rischi associati all'uso del prodotto coerentemente con l'Rmp
3	- Il valutatore dovrebbe usare una terminologia coerente e precisa e preferire quella del MedDra Dictionary, per descrivere le reazioni avverse
4	**Le migliori fonti di informazioni sono:** - Epar, Scp e Rmp (quando disponibile) - Rct pubblicati e non pubblicati - dossier dei produttori - full-report non pubblicati (meglio se Full-Hta Hta report) - studi osservazionali
5	- è necessario valutare i rischi di bias degli studi inclusi e la qualità dei dati sulle reazioni avverse - i metodi per valutare i bias dovrebbero essere descritti in modo trasparente ed essere riportati anche i risultati delle analisi - bisogna specificare come il rischio di bias è stato sintetizzato nei risultati
6	**Gli studi dovrebbero essere così sintetizzati:** - metodi (studio del disegno e follow up) - caratteristiche dei partecipanti in entrambi i bracci (età, sesso, Paese) - intervento e comparatore - outcome - metodo di valutazione degli eventi avversi Tabelle diverse dovrebbero essere fatte per gli studi osservazionali e per gli Rct
7	**I risultati dei singoli studi dovrebbero presentare per entrambi i gruppi, in forma tabellare, le seguenti misure:** - numero di partecipanti in entrabi i bracci - numero di pazienti esclusi dall'analisi - pazienti-anni di esposizione - numero di partecipanti con gli eventi - numero di eventi - rischio assoluto; rischio incidente (95% CI) - rischio relativo (95% CI) - qualità dell'evidenza - tabelle diverse dovrebbero essere fatte per gli studi osservazionali e per gli Rct - gli effetti avversi dovrebbero essere raggruppati in accordo con il System Organ Class (Soc) - gli effetti avversi più comuni e seri dovrebbero essere riportati separatamente - agli effetti avversi dovrebbe essere associato il grado di severità - quando gli effetti avversi sono ottenuti da studi con un diverso disegno e quando il grado di eterogeneità è elevato, i dati non possono essere sintetizzati insieme usando i principi delle metanalisi ma è meglio utilizzare un'analisi descrittiva
8	- il profilo di sicurezza del farmaco deve essere comparato con quello del comparatore, con particolare attenzione alle reazioni avverse serie e severe più frequenti - i risultati dovrebbero essere sintetizzati in forma tabellare - il valutatore dovrebbe calcolare la differenza clinicamente significativa delle reazioni avverse tra i prodotti - le limitazioni e la validità esterna del report dovrebbero essere discusse, consideranno tutti i fattori che potrebbero contribuire all'occorenza delle reazioni avvverse
9	- la valutazione della relativa safety dovrebbe essere svolta facendo riferimento alle più frequenti reazioni avverse sia lievi che severe

diverse e tale fenomeno genera necessariamente una duplicazione degli sforzi e del costo della ricerca (Philips 2006; Vale, 2013). Mathes et al. (2013) hanno effettuato una revisione sistematica delle raccomandazioni per la valutazione economica prodotte da diverse agenzie di Hta internazionali, coinvolgendo nella valutazione AhtaPol (Polonia), Cadth (Canada), Cvz (Olanda), Dacehta (Danimarca), Goeg (Austra), Hiqa (Irlanda), Infarmed (Portogallo), Iqwig (Germania) Kce (Belgio), Mas (Canada), Masc (Australia), Nice (Uk), Pbac (Australia), Pharmac (Nuova Zelanda). I risultati dello studio, riassunti in Tabella 2, mostrano come l'armonizzazione dei metodi per la valutazione economica sia un traguardo raggiungibile per alcuni aspetti, come la scelta del comparatore, la tipologia di valutazione economica, le fonti preferite per i dati di outcome, l'orizzonte temporale più adatto all'analisi.
Di contro, gli aspetti per i quali le linee guida risultano maggiormente disallineate tra loro sono quelli che riguardano quegli aspetti della valutazione economica maggiormente legati al contesto decisionale di riferimento (ad esempio la prospettiva dell'analisi e l'identificazione delle voci di costo) oppure ai valori della collettività di riferimento (come la scelta di adottare lo stesso tasso o un tasso di sconto diverso per i costi e per gli outcome e i metodi di elicitazione delle preferenze). Un aspetto importante della valutazione economica scarsamente discusso all'interno delle linee guida è quello dei modelli decisionali. Sebbene tali modelli siano ormai generalmente riconosciuti come uno strumento fondamentale per la proiezione dei risultati nel lungo periodo, nonché per la sintesi delle evidenze e l'esplorazione dell'incertezza, le linee guida internazionali non indicano una tipologia di modello che sia da ritenersi più adatta alla valutazione economica. Probabilmente, si tratta di una scelta deliberata e motivata dalla consapevolezza che una regolamentazione troppo rigida delle tecniche di modellistica decisionale impedirebbe all'analista di ottenere strumenti sufficientemente flessibili e rilevanti per il contesto di riferimento.
A livello europeo, nell'ambito del WP7 della Joint Action 2 di EuNetHta, uno sforzo in questo senso è rappresentato dalle linee guida recentemente pubblicate sulla valutazione economica (EuNetHta, 2015). La Tabella 3 confronta le raccomandazioni salienti prodotte da EuNetHta con quelle prodotte nell'ambito dall'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (2009).

Il dominio etico

Il ruolo principale dell'analisi etica nel processo di Hta consiste nella valutazione delle conseguenze etiche associate all'introduzione di una tecnologia. Esistono poi altri spazi di riflessione di tipo etico, che riguardano i metodi stessi della

TABELLA 2 *Linee guida per le valutazioni economica: comparazione internazionale*

Tipo di tecnologia a cui le linee guida sono applicate	- 7/14 tutte - 5/14 solo farmaci - 1/14 farmaci ma applicabili ad altro - 1/14 linee guida diverse per diverse tecnologie	Non applicabile
Tipo di valutazione richiesta dal decision maker	- 12/14 Cea o Cua - 1/14 solo Cua - 1/14 Cea con specifiche misure di outcome	
Scelta del compratore	- 11/14 lo standard of care - 1/14 tutte le rilevanti - 1/14 la meno costosa	
Orizzonte temporale dell'analisi	- 13/14 sufficientemente lungo da catturare gli effetti rilevati - 1/14 da definire in base ai dati	
Prospettiva dell'analisi	- 6/14 sociale - 4/14 terzo pagante - 1/14 sociale personale e terzo pagante - 1/14 terzo pagante e spese private - 1/14 paziente con assicurazione sociale - 1/14 non riportato	
Costi direttamente imputabili all'uso della tecnologia	- 3/14 solo diretti sanitari - 9/14 diretti sanitari e diretti non sanitari	
Costi indiretti (voci da includere)	- 1/14 solo perdite di produttività del paziente - 1/14 perdite di produttività dle paziente e del care giver - 12/14 nessuna indicazione	
Qualità della vita (strumenti di rilevazione)	- 11/14 solo indicatori generici accompagnati o non da specificità - 3/14 nessun indicatore	
Fonte dei dati outcome	- 6/14 Rcts e metanalisi - 1/14 studi osservazionali - 5/14 Rcts e studi osservazionali - 7/14 revisione sistematica per raccolta dati	
Tasso di sconto	- 9/14 stesso tasso per costi e benefici - 3/14 tasso di sconto più alto sia per i costi che per i benefici - 2/14 nessuna indicazione	
Analisi di sensibilità	- 1/14 raccomanda l'analisi probabilistica ma considera anche la deterministica - 6/14 considerano entrambe a seconda dei parametri - 5/14 nessuna indicazione	
Presentazione dei risultati	- 6/14 raccomandano di riportare i dati solo o anche disaggregati - 8/14 raccomandano l'uso dell'ICer	

Fonte: nostra elaborazione su Mathes et al., 2013

valutazione. Gli aspetti morali legati ai risultati di una valutazione Hta possono essere molto diversi a seconda che l'analisi etica sia considerata un capitolo "extra" della valutazione oppure una parte integrante della stessa. Difatti, se la dimensione etica non viene esaminata nella fase iniziale del processo di Hta, non solo il suo potenziale informativo viene ridotto, ma si corre anche il rischio che le decisioni degli stakeholder siano giustificate e informate in primo luogo da ciò che emerge dall'analisi degli altri domini.
I tentativi di armonizzare i contenuti dei report di Hta riferiti alle problematiche di carattere etico risultano, ad oggi, esigui. Uno sforzo in questo senso è stato compiuto dall'InaHta che, nel 2007, ha stilato una lista di problematiche inerenti l'analisi delle questioni di natura etica connesse all'introduzione e alla valutazione delle tecnologie sanitarie, raccogliendo una serie di proposte su come affrontare queste problematiche, nel tentativo di produrre valutazioni pertinenti e di buona qualità (cfr. Tabella 4).

Dunque, non esistono metodi condivisi per la conduzione delle analisi etiche nell'ambito dei report di Hta, ma questo è in parte motivato dal fatto che diverse Agenzie possono assegnare un ruolo differente all'analisi etica che può essere impiegata:

- per l'analisi delle sole conseguenze associate all'implementazione della tecnologia oggetto di valutazione o anche per la discussione degli aspetti connessi alle metodologie impiegate nella costruzione e stesura del report;
- come strumento informativo supplementare o come parte integrante del report;
- per produrre raccomandazioni di carattere normativo o semplicemente per raccogliere e sintetizzare le più importanti questioni etiche sollevate dall'implementazione della tecnologia.

METODI

La Sihta promuove ogni anno un momento di discussione, denominato Health Policy Forum (Hpf), sulle problematiche legate all'implementazione dei processi dell'Hta ai vari livelli istituzionali. Al Forum partecipano professionisti ed esperti provenienti da Istituzioni, Industria, Università, Aziende Sanitarie, associazioni dei cittadini e dei pazienti, grazie ai quali si anima una discussione guidata dal Segretariato Scientifico che, annualmente, si focalizza su uno specifico argomento. Le riunioni del Forum avvengono a porte chiuse nel rispetto della Chatham House Rule, in base alla quale ciascuna opinione espressa dai membri ha

TABELLA 3 *Comparazione tra Raccomandazioni EuNeHta e Linee guida Aies*

	Raccomandazione EuNetHta	Linee guida Aies
Oggetto della valutazione		
L'intervento	La valutazione economica può essere condotta qualunque tipo di tecnologia	Deve essere chiaramente dettagliato coerentemente con le conoscenze già acquisite dalle autorità regolatorie italiane
Il comparatore	Non ci sono indicazioni specifiche	Deve essere descritto e giustificato. Solitamente si sceglie il trattamento alternativo più frequente
Prospettiva dell'analisi		
	Servizio sanitario nazionale ed eventualmente società	Servizio sanitario nazionale
Tipo di analisi		
	Costo-efficacia e costo-utilità come prima scelta. Analisi di minimizzazione dei costi può essere appropriata quando le tecnologie hanno stessa efficacia. L'analisi costoconseguenze può essere utilizzata quando la costo-efficacia non è fattibile	Analisi costo-utilità
Le evidenze di efficacia		
Come reperire i dati?	Revisione sistematica	Revisione sistematica
Efficacy o Effectivness?	Non ci sono indicazioni specifiche	Preferire l'effectiveness
Quali studi?	Preferibilmente Rcts, ma se necessario, anche studi non sperimentali. In ogni caso la robustezza delle fonti va discussa nel report	Preferibilmente Rcts, ma se necessario, anche studi non sperimentali. In ogni caso la robustezza delle fonti va discussa nel report
La valutazione degli effetti		
Unità di misura	Qaly	Qaly
Metodo di stima	NA	EQ-5D
Le risorse e i costi		
Costi diretti	Il consumo di risorse va riportato in unità naturali e va riportato il costo unitario di ciascuna risorsa	Costi diretti sanitari imputabili all'intervento. Il consumo di risorse va riportato in unità naturali e va riportato il costo unitario di ciascuna risorsa. Il consumo di risorse deve essere documentato da evidenze robuste e, qualora assenti da opinione di esperti
Costi indiretti	Se rilevanti, è necessario condurre l'analisi anche nella prospettiva sociale. In tal caso, vanno inseriti anche i costi diretti non sanitari	Se rilevanti, è necessario condurre l'analisi anche nella prospettiva sociale. In tal caso, vanno inseriti anche i costi diretti non sanitari

SEGUE

SEGUE TABELLA 3 *Comparazione tra Raccomandazioni EuNeHta e Linee guida Aies*

	Raccomandazione EuNetHta	Linee guida Aies
I modelli		
	L'uso dei modelli è raccomandato. I modelli devono essere descritti in modo trasparente. Se l'orizzonte temporale del modello è più esteso rispetto a quello degli studi da cui provengono i parametri, le assunzioni alla base dell'estensione temporale vanno giustificate	Devono essere descritti in modo trasparente, devono contenere un'analisi di sensibilità e devono essere validati
Orizzonte temporale		
	Sufficientemente lungo da includere tutti gli effetti rilevanti	Sufficientemente lungo da includere tutti gli effetti rilevanti
Tasso di sconto		
	Tra 3 e 5%. Stesso tasso per costi e conseguenze nel caso base	Stesso tasso di sconto per i costi e per i benefici (3%). Va effettuata una analisi di sensibilità adottando un tasso dello 0-5%
Presentazione dei risultati		
Misura di sintesi	Costi totali, incrementali, e Icer vanno riportati separatamente	Icer
Threshold	Non ci sono indicazioni specifiche	**e**25000**e**40000
Analisi dell'incertezza		
	Sia probabilistica che deterministica	Strutturale, relativa alle fontidi dati utilizzati e relativa alla precisione dei parametri utilizzati per la stima del Rice
Generalizzabilità		
	Non ci sono indicazioni	Deve essere discusso
Analisi per sottogruppi		
	Raccomandata se c'è un razionale clinico per ritenere che la costo-efficacia sia diversa tra sottogruppo	Se effettuata deve essere giustificata da evidenze robuste
Impatto sull'equità		
	Non ci sono indicazioni specifiche	Deve essere discusso
Impatto finanziario dell'intervento		
	Non ci sono indicazioni specifiche	Deve essere discusso
Presentazione dei dati		
	Non ci sono indicazioni specifiche	Deve avvenire in forma tabellare e contenere misure di tendenza centrale e di variabilità

carattere unicamente personale e non rappresenta la posizione ufficiale dell'ente o dell'azienda di appartenenza.
La tematica guida del Hpf del 2015 è stata concordata da tutti i membri mediante una consultazione on line, nell'ambito della quale è stato richiesto di esprimere la propria preferenza nell'ambito dei possibili argomenti proposti dal Segretariato Scientifico. Per questa edizione, si è scelto, mediante tale procedura, di affrontare gli aspetti legati all'armonizzazione dei metodi per l'Hta. La discussione si è articolata in sessioni plenarie e lavoro in gruppi, nell'ambito dei quali ciascun partecipante ha condiviso le proprie esperienze ed opinioni.

RISULTATI

Quali domini valutare a livello centrale, regionale e locale? Quali standard utilizzare?

Parte della discussione ha inteso affrontare il tema dell'individuazione del dominio e del livello idoneo a svolgere azioni di Hta a livello nazionale. Due sono state le prospettive di lavoro affrontate: la prima, relativa alla armonizzazione delle procedure utilizzate l'avvio, la valutazione e la decisione di Hta; la seconda, relativa alla armonizzazione dei contenuti.
Con riferimento all'armonizzazione delle procedure, sono stati individuati i seguenti principi fondamentali, che dovrebbero rappresentare i driver della decisione a livello istituzionale:

- Economicità, cioè il principio secondo il quale va evitata la sovrapposizione di diverse attività di valutazione su medesime tecnologie. Il principio richiama anche al fatto di dover avere regole chiare per l'individuazione delle fonti informative su cui basare le valutazioni e la necessità che tali fonti siano messe a disposizione dei soggetti partecipanti alla procedura di valutazione. Infine, l'economicità va applicata all'intera procedura amministrativa e pertanto ai singoli step della valutazione, alla decisione e alle attività regolatorie delle Regioni.
- Trasparenza: questo principio è da intendersi nella più ampia accezione e si pone a tutela degli interessi prevalenti delle parti, che vanno dalla privativa industriale sino alla tutela della privacy e al rispetto della concorrenza. Il principio fondante è la trasparenza dei metodi utilizzati e sui criteri delle valutazioni. Questo significa poter partire dalle esperienze internazionali e nazionali e dalla messa in comune di metodi e strumenti.
- Gestione dei conflitti: nell'ambito di una materia delicata come quella della valutazione delle tecnologie, in cui sono rappresentati interessi, legittimi

TABELLA 4 *Problematiche relative all'analisi etica*

Problematica	Soluzioni proposte
1-3) Può esistere una procedura per l'analisi degli aspetti etici? Se sì, quale può essere? Se no, come garantire la qualità dell'analisi etica?	• contestualmente alla valutazione fornire un'analisi descrittiva dei valori potenzialmente coinvolti • applicare principi di bioetica per l'analisi delle conseguenze specifiche dell'introduzione della tecnologia • effettuare un'analisi storica per identificare i valori alla base dello sviluppo della tecnologia • individuare degli stakeholder per l'identificazione dei loro valori
4) Quali sono gli aspetti rilevanti da prendere in considerazione per la specifica tecnologia?	• conseguenze • doveri • normativa/leggi rilevanti • diritti umani • questioni etiche (principio di beneficio, non-maleficio, giustizia e autonomia)
5) Quanto andare a fondo…	• nell'identificazione dei valori coinvolti: devono essere esplicitati • nell'esplicitazione della relazione tra conoscenza e norme: tanto più importante quanto più la tecnologia solleva questioni etiche • nel produrre raccomandazioni sulle questioni etiche: tanto più importante quanto più non esiste solido consenso attorno al problema (per esempio se la tecnologia solleva questioni del tutto nuove)
6) Qual è l'importanza dell'anali etica rispetto alla dissemination?	• tra i professionisti: quali sono i risvolti etici; esistono sfide per il rapporto medico-paziente; esistono limitazioni dell'autonomia professionale • per i policy maker: quali sono i risvolti etici; esiste un obbligo morale legato all'implementazione della tecnologia; l'implementazione della tecnologia può avere risvolti legali; l'implementazione della tecnologia può avere effetti distributivi rilevanti
7) Quali metodi possono essere utilizzati per gestire questi aspetti?	• non esiste un metodo universalmente riconosciuto • possono essere utilizzate delle checklist create a priori • dipende dal ruolo dell'Hta nell'ambito di ciascun contesto
8) Come sviluppare le competenze necessarie alle agenzie di Hta per condurre le analisi etiche?	• creare liste di esperti • includere bioeticisti nei team di ricerca/reclutare ricercatori con competenze specifiche/formare i ricercatori/invitare speaker esperti • fornire linee guida • aumentare la consapevolezza dell'importanza dell'analisi etica/favorire la partecipazione dei ricercatori a workshop e convegni di bioetica/ sottoscrivere abbonamenti a riviste che pubblicano paper con focus su aspetti etici, sociali e legali

Fonte: nostra elaborazione da InaHta, 2007

ma contrapposti, diventa di fondamentale importanza che sia individuato un luogo istituzionale in cui i conflitti possano essere gestiti nella massima trasparenza e onestà. Questo luogo potrebbe essere identificato nella Cabina di Regia istituita nell'ambito del Patto della Salute del luglio 2014 e ai successivi decreti ministeriali attuativi. In essa possono trovare voce i diversi interessi e può essere esercitato con legittimità il ruolo delle Istituzioni nella determinazione dell'interesse prevalente per il Ssn.

È essenziale che tali principi vengano attuati sempre in una logica partecipativa. Una volta individuati, sarebbe percorribile la definizione di un percorso di analisi e valutazione del contesto così articolato:

- esecuzione di una survey a livello nazionale sui metodi e sui prodotti di Hta;
- individuazione delle priorità a cura della Cabina di Regia, per l'avviamento dell'attività di produzione dei report a livello nazionale;
- conduzione dell'appraisal, con la determinazione del valore e delle condizioni di ammissibilità ed erogabilità a carico del Ssn;
- monitoraggio e verifica dell'efficacia, da integrare nell'ambito del sistema di manutenzione e verifica dei Lea.

In merito alla seconda prospettiva affrontata dal gruppo di lavoro ed associata all'armonizzazione dei contenuti, si è proceduto a fornire una indicazione di quali livelli siano più coerentemente applicabili ai diversi livelli decisionali, anche in base alle problematiche di generalizzabilità che potrebbero sorgere in merito alle valutazioni prodotte. In particolare, i domini relativi alla descrizione e caratteristiche delle tecnologie, sicurezza ed efficacia possono essere coerentemente applicati ad un livello aziendale, ma sono altresì considerabili anche nell'ambito di valutazioni condotte a livello regionale; di contro, il dominio organizzativo deve essere applicato a livello della singola unità produttiva e quindi del singolo ospedale. Infine, dimensioni quali quella etica, sociale e legale trovano parziale applicazione ad entrambi i livelli decisionali. È evidente che il coinvolgimento di tutti gli stakeholder e la trasparenza del confronto siano fattori decisivi nell'implementazione di un sistema di questo tipo, affinché sia garantita l'interazione tra le parti. In tal senso, l'immediatezza e la chiarezza dell'informazione, data da sistemi informativi disponibili o da implementare, è di cruciale rilevanza (cfr. Tabella 5).

Quale metodologia Hta per i farmaci?

Il secondo gruppo di lavoro si è confrontato in merito alle possibili metodologie da applicare per la costruzione di un report di Hta che sia utile, snello e adatto alla valutazione dei farmaci. Come di consueto, la discussione ha preso le mosse dalla

TABELLA 5 *Generalizzabilità degli output dei domini del Core Model® tra regioni e Aziende Sanitarie*

	Le evidenze prodotte possono ritenersi generalizzabili tra le varie Regioni italiane?	Le evidenze prodotte possono ritenersi generalizzabili tra le varie Aziende sanitarie?
Problema clinico e uso corrente della tecnologia	IN PARTE	IN PARTE
Descrizione e caratteristiche tecniche della tecnologia	SI	SI
Sicurezza	SI	SI
Efficacia	SI	SI
Costi e valutazioni economiche	IN PARTE	IN PARTE
Analisi etica	IN PARTE	IN PARTE
Aspetti organizzativi	NO	NO
Aspetti sociali	IN PARTE	IN PARTE
Aspetti Legali	IN PARTE	IN PARTE

Fonte: nostra elaborazione da www.eunehta.eu; Aies, 2009

disamina delle attuali criticità che l'armonizzazione dei metodi potrebbe risolvere o mitigare e degli eventuali ostacoli che tale processo di armonizzazione potrebbe risolvere (cfr. Tabella 6).

La principale opportunità offerta dall'armonizzazione dei metodi per l'Hta è la riduzione della duplicazione degli sforzi di ricerca. Avere a disposizione report di Hta standardizzati nella metodologia e rigorosi nel reporting premetterebbe di ridurre la duplicazione degli sforzi di ricerca e analisi per alcuni domini e renderebbe semplice e trasparente l'adattamento di quei domini che sono generalmente considerati context-specific. Tutto ciò renderebbe le valutazioni non solo più trasparenti e rigorose, ma anche più tempestive e meno dispendiose. Inoltre, nel facilitare la condivisione delle evidenze prodotte, la standardizzazione dei metodi potrebbe favorire la condivisione dei dati real world (Registri, database amministrativi ecc.) da utilizzare nelle attività di produzione dei report e di definizione delle policy. D'altra parte, esistono ancora alcuni ostacoli all'armonizzazione dei metodi. In primo, luogo, specialmente per quanto riguarda l'introduzione dei farmaci, il commitment politico è ancora troppo limitato, non essendoci, in capo alle aziende, un obbligo legale alla produzione di report di Hta per ottenere la rimborsabilità dei farmaci. Inoltre, manca un processo strutturato e trasparente di valutazione critica dei report forniti dalle aziende basato

TABELLA 6 *Opportunità connesse all'armonizzazione dei metodi e ostacoli alla sua realizzazione*

Opportunità	Ostacoli
• Ridurre la duplicazione degli sforzi di ricerca	• Commitment politico sull'Hta ancora troppo basso
• Estendere l'utilizzo dei dati di Real world	• Scarsa trasparenza delle fasi di valutazione e appraisal
	• Sottoporre i report prodotti ad un processo strutturato di valutazione/validazione
	• Presenza di tetti di spesa con approccio silos-budget

su accreditamento di centri con know-how. Soprattutto, laddove le valutazioni sono più complesse, sarebbe opportuno il coinvolgimento di centri (centri di ricerca, università, enti pubblici, centri di know-how) tramite affidamento di incarico, in assenza di conflitto di interessi specifico sull'oggetto della valutazione e previo accreditamento. Questo dovrebbe rendere l'assessment più rigoroso e, almeno in parte, separato dall'appraisal. Inoltre, la presenza di tetti di spesa sui farmaci, unitamente all'esistenza di un sistema contabile e di una ripartizione delle risorse basata sulla logica del silos-budget rappresenta ancora una criticità importante nel nostro sistema, con un impatto anche sull'aspetto metodologico dell'Hta. Difatti, alla presenza di tetti di spesa sui farmaci, è chiaro che qualunque costo evitato in altri comparti (ad esempio ospedalizzazioni evitate), perde di rilevanza. Con riferimento alle linee di azione da implementare per superare queste barriere, appare necessario, dal punto di vista istituzionale, definire in maniera esplicita ruoli e responsabilità per il governo dei processi di valutazione dei farmaci. In particolare, resta da chiarire il ruolo delle autorità nazionali e regionali nelle fasi di priority setting, assessment ed appraisal e i criteri di selezione dei centri di know-how da coinvolgere nelle varie fasi.

Per quanto riguarda la valutazione in sé, l'adozione di standard/linee-guida europei e nazionali condivisi e riconosciuti è stata individuata come il principale presupposto per garantire la robustezza dei metodi. Partendo da questa base evidence-based, emerge la necessità di definire una metodologia di valutazione che sia completa, ma allo stesso tempo snella e capace di orientare le decisioni in maniera tempestiva. Tale metodologia dovrebbe essere ispirata al principio della valutazione multi-attributo, che sia comprensibile e faciliti la veicolazione del valore attraverso sintesi di risultati contenuta in un key statement. Coerentemente con queste premesse, il Core

Model® EuNetHta è certamente un buon punto di partenza per definire la struttura di un report di Hta, ma è necessario che il decisore stabilisca un numero minimo di topic per ciascun dominio e che venga effettuato un grading agli issue che li compongono per orientare la valutazione.
Infine, in un'ottica di standardizzazione delle attività di ricerca e valutazione, una rete accreditata di centri dovrebbe supportare nella valutazione critica (o redazione) di report in aree ritenute di prioritaria importanza. Con riferimento ai farmaci, i primi quattro domini identificati da EuNetHta (problema clinico e uso corrente della tecnologia, descrizione delle caratteristiche tecniche, efficacy e safety), sono considerati generalizzabili in quanto non dipendenti dal contesto specifico in cui la tecnologia sarà utilizzata. L'Epar, il Rapid Assessment di EuNetHta, ed eventuali analisi comparative disponibili sono principali fonti di dati per questi domini. Con riferimento alle fonti dei dati, il Value Claim prodotto dall'azienda potrebbe essere uno strumento utile per alimentare le informazioni sul problema clinico e l'uso corrente della tecnologia.
Per quel che concerne il dominio economico, l'analisi di budget impact è individuata come la tipologia di analisi più informativa perché più coerente con l'approccio silos-budget attualmente adottato. La produzione di queste analisi dovrebbe seguire le linee guida dell'Ispor. Al contrario, l'analisi costo-efficacia dovrebbe essere considerata come una strada percorribile solo alla presenza di comparazioni H2H; in tal caso, si dovrebbero seguire le linee guida Aies. L'analisi dell'incertezza, sebbene non sia ancora una prassi consolidata in Italia, è considerata come uno strumento utile di supporto alle decisioni; tale analisi dovrebbe essere sviluppata secondo le linee guida internazionali prodotte dall'EuNetHta e dall'Ispor (cfr. Tabella 7).
L'impatto organizzativo dell'introduzione di un nuovo farmaco dovrebbe consistere nell'analisi di come il nuovo prodotto potrebbe modificare il percorso del paziente con l'ausilio di una serie di key performance indicators (Kpis). Per questo dominio non sono state identificare fonti specifiche di dati. Poche raccomandazioni sono emerse in merito ai domini Els. Per quanto riguarda gli aspetti legali, è emerso come, nel caso del farmaco, è raro che sorgano implicazioni di natura legale, data la capillare regolamentazione in materia di autorizzazione al commercio. Pertanto, la discussione degli aspetti legali dovrebbe limitarsi ad una breve descrizione dello stato dell'arte. Anche i domini relativi agli aspetti sociali ed etici dovrebbero essere discussi in maniera sintetica, in forma narrativa e sotto forma di eventuali warning sollevati dall'introduzione del farmaco (cfr. Tabella 7).
In conclusione, dalla discussione circa l'armonizzazione dei metodi per l'Hta del farmaco è emerso che la presenza di tetti di spesa rappresenta un fattore limitante

TABELLA 7 *I domini dell'Hta nella valutazione dei farmaci*

Dominio	Raccomandazione sull'output della valutazione	Raccomandazioni sulle fonti di dati e sui metodi
1. Problema clinico e uso della tecnologia	N.D.	• Epar • Rapid Assessment EuNetHta • Analisi comparative • Value claim prodotto dalla ditta
2. Descrizione delle caratteristiche tecniche		
3. Efficacy		
4. Safety		
5. Dominio Economico	• Analisi di Impatto sul Budget • Analisi di Costo-Efficacia • Analisi Incertezza	• Linee guida Ispor • Linee guida Aies • Linee guida EuNetHta / Ispor
6. Dominio organizzativo	Analisi di impatto sul Pdta, tramite Kpis	N.D.
7. Dominio Etico	Analisi narrativa e presentazione di warnings	N.D.
8. Dominio Legale	Descrizione dello stato dell'arte	N.D.
9. Dominio Sociale	Analisi narrativa e presentazione di warnings	N.D.

l'applicazione di logiche e metodi dell'Hta; i report di Hta andrebbero dunque per lo meno semplificati evitando che siano agganciati alle risorse del Ssn. Ulteriori sfide sono poste dalla diffusione dell'Adaptive Licensing che, pur velocizzando l'accesso di farmaci con outcome intermedi e anticipando la condivisione dei rischi, non incentiva la produzione di quelle evidenze che sino ad ora hanno costituito la parte "core" di alcuni domini dell'Hta, in particolare quello dell'efficacy e della safety. In questo contesto, diventa quindi fondamentale il re-assessment dei farmaci in uso tramite utilizzo di registri e studi osservazionali.

Quale metodologia Hta per i dispositivi medici?

Dalla discussione, è emersa inoltre la necessità di definire un modello rigoroso, sistematico e fruibile per la conduzione di una valutazione dei dispositivi medici basata sulle logiche Hta. Tale metodologia deve basarsi sui domini definiti nell'ambito del Core Model® di EuNetHta, che devono essere selezionati sulla base del livello decisionale e al setting della valutazione. Va sottolineato, difatti,

che l'impatto generato dall'utilizzo del dispositivo medico può variare in base al contesto di utilizzo, il quale a sua volta ha un ruolo fondamentale nella definizione del valore del dispositivo medico. Ai fini dell'armonizzazione dei metodi e in un'ottica di ottimizzazione degli sforzi valutativi, è possibile distinguere i domini della valutazione Hta in base alla loro al loro grado di generalizzabilità, così come riportato in Tabella 8. La tabella riporta anche i fattori condizionanti e le raccomandazioni sugli output di valutazione, le fonti da utilizzare e i metodi.
Va considerato che, nella conduzione di una valutazione di un dispositivo medico, occorre tenere in considerazione i seguenti aspetti:

- l'oggetto di valutazione non è sempre una singola tecnologia, ma potrebbe essere una procedura diagnostica e/o terapeutica derivante dell'utilizzo integrato di diverse tecnologie;
- il comparator oggetto del confronto non sempre si indentifica in un altro dispositivo medico;
- la curva di apprendimento dei professionisti coinvolti dall'utilizzo potrebbe incidere sull'appropriato utilizzo del dispositivo medico, sulla produzione di evidenze e sulla misurazione dell'outcome;
- con riferimento alla valutazione economica, i metodi da utilizzare dipendono dalla fase del ciclo di vita della tecnologia valutata. Ad esempio, in una fase iniziale, potrebbero essere disponibili modelli economici di medio-lungo periodo che forniscono una stima dell'impatto clinico ed economico della tecnologia, mentre, in una fase di diffusione, possono essere disponibili ulteriori dati scientifici legati all'utilizzo del dispositivo medico in specifici contesti. È infine di fondamentale importanza individuare strumenti e metodi di elicitazione condivisi per le valutazioni di costo-utilità.

Le analisi di impatto sul budget (Bia) sono sicuramente essenziali per la programmazione sanitaria e per comprendere l'impatto economico sulle diverse voci di costo, ma devono essere accompagnate da valutazioni di outcome. Sarebbero invece auspicabili dei modelli di governo che prevedessero uno sviluppo di evidenze contestuale alla fase di introduzione e utilizzo della tecnologia. Questo consentirebbe da un lato di garantire l'accesso tempestivo all'innovazione e dall'altro di disporre di informazioni scientifiche utili al processo programmatorio e decisionale.

DISCUSSIONE

La valutazione delle tecnologie sanitarie si basa su una metodologia scientifica e robusta per la produzione di informazioni che devono supportare le scelte di poli-

TABELLA 8 *I domini dell'Hta nella valutazione dei dispositivi medici*

Dominio	Generalizzabilità evidenze	Fattori condizionanti	Raccomandazioni su Output di valutazione	Raccomandazioni su Fonti e su metodi
Problema clinico e uso corrente della tecnologia	PARZIALE	• Linee guida locali • Diffusione della tecnologia a livello locale		Core model EuNeHta semplificato*
Descrizione delle caratteristiche tecniche	SI			Core model EuNeHta semplificato*
Efficacy	SI			Core model EuNeHta semplificato*
Safety	SI			Core model EuNeHta semplificato*
Economico	PARZIALE	• Contesto d'introduzione • Ciclo di vita tecnologia	• Valutazioni economiche piene • Budget impact analysis	Core model EuNeHta semplificato*
				Linee guida Aies
				Linee guida Ispor
Organizzativo	PARZIALE	• Disponibilità di risorse strutturali (ambienti dedicati, professionalità specifiche, ecc.) • Learning curve operatore/ equipe • Accettabilità users	Analisi impatto sul Pdta (Kpis)	Core model EuNeHta semplificato*
Etico	PARZIALE	• Contesto culturale • Ciclo di vita tecnologia • Equità d'accesso • Qualità delle cure	Analisi narrativa e presentazione di warnings	Core model EuNeHta semplificato*
Legale	PARZIALE	• Assetto istituzionale Nazinale e Regionale	Descrizione dello stato dell'arte	Core model EuNeHta semplificato*
Sociale	PARZIALE	• Qualità della vita; • Impatto su attività lavorativa paziente e caregiver • Impatto socioassistenziale	Studi sulla qualità di vita	Core model EuNeHta semplificato*
			Analisi narrativa e presentazione di warnings	

* Core model EuNeHta semplificato con differente pesatura dei domini e assegnazione di metriche ai vari assessment elements in relazione al setting valutativo/livello decisionale (i domini di efficacia, sicurezza e organizzativo pesano maggiormente)

tica sanitaria. Nonostante la fruibilità dei suoi risultati, a forte valenza politica, l'Hta deve essere rigorosamente basata sulla ricerca scientifica e su una metodologia standardizzata, che permetta di produrre delle informazioni solide sugli aspetti economici, organizzativi, di sicurezza, di efficacia di una tecnologia sanitaria. Il panorama attuale, però, è caratterizzato da differenti esperienze operative, non solo in Paesi diversi, ma anche all'interno della singola nazione. Conseguentemente, ottenere un certo grado di standardizzazione metodologica, condivisa da tutti gli stakeholder, è una condizione necessaria per superare quelle limitazioni generate dalla variabilità degli strumenti utilizzati nella produzione di un report di Hta, che impattano sull'utilizzo dei risultati prodotti in altri contesti (EuNetHta, 2008).
Anche in Italia, dove esistono molteplici iniziative legate all'Hta, vi è ora la necessità di produrre una convergenza sui principali approcci metodologici da utilizzare per standardizzare i metodi e le procedure alla base di una valutazione, e quindi facilitare la comprensione, la diffusione e la condivisione dei report prodotti.
Inoltre, un'ulteriore problematica riguarda la metodologia da utilizzare nel caso in cui l'oggetto della valutazione siano i farmaci o i dispositivi medici, poiché essendo delle tecnologie con degli attributi molto diversi tra di loro, diversi potrebbero essere gli aspetti da considerare in una valutazione. Lo sforzo da compiere nei prossimi anni, dovrà essere quello di definire in modo trasparente una metodologia condivisa per produrre delle valutazioni basate sulle evidenze e per conseguire un tale ambizioso obiettivo, tutti gli attori del sistema (industria, regolatorio, assessor, terzi paganti e provider) saranno chiamati a intervenire proattivamente. In ogni caso, se da una parte l'armonizzazione dei metodi potrebbe semplificare il compito di chi deve produrre e di chi deve interpretare ed utilizzare i report di Hta, dall'altra è opportuno specificare che la standardizzazione dei metodi di valutazione costituisce una condizione necessaria, ma non sufficiente per la standardizzazione delle decisioni, che sono inevitabilmente influenzate da altre variabili quali la disponibilità di risorse, le considerazioni di giustizia distributiva, gli obiettivi specifici del sistema, nonché il livello istituzionale a cui tale decisione deve essere presa.

BIBLIOGRAFIA

- *Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (Agenas) (2015), Manuale delle procedure di Hta. 2015, disponibile per il download su www.agenas.it/manuale-delle-procedure-Hta (ultimo accesso: maggio 2015)*
- *Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies) (2009), Proposta di valutazione economica degli interventi sanitari, Politiche sanitarie. 10(2):91-99*
- *European Network for Health Technology Assessment (EuNetHta) (2013), Endpoints used in relative effectiveness of pharmaceuticals safety, disponibile per il download su www.eunetHta.eu/outputs/metho-dological-guideline-rea-pharmaceuticals-clinical-endpoints (ultimo accesso: maggio 2015)*
- *InaHta (2010), Hta Agencies and Decision Makers, disponibile per il download su www.inaHta.org/wp-content/themes/ inaHta/ img /Hta%20%20Decision%20Makers.pdf (ultimo accesso: maggio 2015)*
- *InaHta Working Group (2007), Handling ethical issues in Hta, disponibile per il download su www.inaHta.org/wp-content/uploads/2014/03/Finalreport-Ethics-in-Hta-Nov-07.pdf (ultimo accesso; maggio 2015)*
- *Ispor Task Force (2008), Good practices on economic data transferability Task Force: relaxing the border controls on pharmacoeconomics studies. Toronto, May 6th, 2008*
- *Mathes T, Jacobs E, Morfeld JC, Pieper D. (2013), Methods of international health technology assessment agencies for economic evaluationsa comparative analysis, BMC Health Service Research, 30:(13)*
- *Ormstad SS, Isojärvi J (2010), Information retrieval for health technology assessment: standardization of search methods, International Journal of Technology Assessment in Health Care,26(4):359-361*
- *Philips Z, Ginnelly L, Sculpher M, Claxton K, Golder S, Riemsma R, Woolacoot N, Glanville J (2004), Review of guidelines for good practice in decision-analytic modelling in health technology assessment. Health Technology Assessment, 8(36):III-IV, IX-XI, 1-158*
- *Ruggeri M, Manca A, Coretti S, Codella P, Iacopino V, Romano F, Orlando V, Mascia D, Cicchetti A. (2015), Investigating the generalizability of Economic Evaluations conducted in Italy: a critical review Value in Health, 18(5):709–720*
- *Vale L. (2010), Health technology assessment and economic evaluation: arguments for a national approach, Value in Health, 13(6):859-61*

SITOGRAFIA

- *European Network for Health Technology Assessment (EuNetHta) (www.eunehta.eu)*
- *International Society For Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) (www.ispor.org)*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

16 COVERAGE UNDER EVIDENCE DEVELOPMENT: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM

È stato delineato il sistema ideale per la generazione di evidenze utili ad informare le coverage decisions e indirizzare le decisioni di prezzo e rimborso delle tecnologie sanitarie in un contesto di risorse "scarse" in cui è necessario individuare criteri oggettivi per comprendere il reale valore delle tecnologie al momento dell'introduzione nella pratica clinica in presenza di evidenze non considerate sufficientemente "mature".

Per i dispositivi medici, i registri rappresentano lo strumento fondamentale per valutare i potenziali benefici in termini di salute derivanti dall'adozione condizionata di una tecnologia. La qualità di un registro dipende dalla qualità dei dati inseriti e per tale motivo è importante individuare i parametri da monitorare per ottenere dei risultati utili, nel rispetto della privacy dei dati inseriti. Tali registri dovrebbero essere implementati a livello nazionale e l'oggetto di tali registri dovrebbe essere l'insieme dei dispositivi medici ad alto costo per i quali non esistono sufficienti prove di efficacia.

Nel valutare l'impatto di un nuovo farmaco a livello centrale, sono stati definiti gli aspetti preponderanti per ogni stakeholder così da supportare la conseguente decisione informata. Gli aspetti individuati sono:

- *accessibilità della tecnologia da parte dei pazienti;*
- *efficienza del Servizio sanitario nazionale, intesa come capacità di massimizzare la salute prodotta a fronte delle risorse investite;*
- *appropriatezza, intesa come individuazione della popolazione di pazienti che può trarre massimo beneficio dall'utilizzo di quella tecnologia;*
- *efficacia in condizioni di pratica clinica reale;*
- *efficacia comparativa, rispetto alla migliore alternativa disponibile per quella categoria di pazienti;*
- *sicurezza (safety);*
- *controllo della spesa rispetto al budget assegnato;*
- *qualità della vita connessa alla salute.*

Ad ogni criterio e per ogni stakeholder è stato associato un peso che identifica il ruolo di ogni stakeholder nella specifica fase.
Il livello regionale ha un ruolo attivo nell'individuazione delle evidenze dal momento che essa funge da collettore e gestore capillare del flusso delle informazioni, raccoglie dati di tipo epidemiologico, amministrativo e di ricorso alle risorse. Resta, tuttavia, la grande difficoltà di gestire ed interpretare a livello macro tali informazioni, che provengono da sistemi fortemente differenziati tra di loro.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Alessandra Fiore, Valentina iacopino, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

16 COVERAGE UNDER EVIDENCE DEVELOPMENT: L'ESPERIENZA DELL'HEALTH POLICY FORUM

INTRODUZIONE

Le continue pressioni che agiscono sulla definizione del budget in sanità comportano una selezione sempre più stringente delle tecnologie sanitarie da introdurre nella pratica clinica. In tale contesto, è ancora più ridotto il numero di tecnologie per le quali i decision maker si impegnano a fornire una copertura per il loro utilizzo. Il Coverage under evidence development (da qui Ced) rappresenta una delle opzioni politiche che possono essere messe in atto per poter intraprendere decisioni di copertura delle tecnologie sanitarie in condizioni di incertezza sia da un punto di vista clinico che economico nel caso di tecnologie ad alto potenziale che promettono di dare copertura a rilevant "unmet needs" (Heshall, 2007).

Più in generale la discussione sul Ced si innesta nell'ambito della più ampia esigenza espressa dai sistemi sanitari dei Paesi industrializzati di governare l'intero ciclo di vita della tecnologia sanitaria (life cycle approach) nell'ambito dei processi di cura, dalla fase ideativa fino a quella del disinvestimento (Hutton et al., 2007).

L'adozione di strategie di prezzo e rimborso basate sull'approccio del value-based pricing (Claxton et al., 2008) implica l'individuazione di criteri oggettivi per la quantificazione del valore, in un contesto in cui le evidenze disponibili al momento dell'introduzione sono spesso lacunose, poco robuste o insufficienti. L'individuazione di tali criteri dipende, contestualmente, sia dalle caratteristiche dei Sistemi Sanitari in cui le decisioni di rimborso sono prese, che dal tipo di tecnologia sanitaria considerata. Resta inteso che le misure intraprese per ampliare o irrobustire la base delle evidenze al momento della decisione non devono limitare l'accesso tempestivo dei pazienti a tecnologie potenzialmente innovative ed efficaci.

La riflessione sul concetto di "valore", multidimensionale per sua stessa natura, non può non alimentare la discussione tra policy maker, ricercatori e produttori.

In tal senso, applicare metodi armonici e condivisi nella misurazione dello stesso diviene di cruciale importanza. Ad esempio, è necessario comprendere quali tipologie di studio, quali evidenze, quali end-point e con che tempi siano da considerarsi preferenziali nel determinare il valore. Tale ragionamento è applicabile ai diversi comparti della tecnologia sanitaria.

Nel caso dei farmaci il governo dell'innovazione, nella fase regolatoria come in quella di prezzo e rimborso, non è scevra da sfide e criticità. Dal lato dell'offerta, nuove e più ricche soluzioni proposte nelle pipeline oggi disponibili offrono opportunità terapeutiche importanti, ma hanno un impatto potenzialmente crescente sul budget.

A livello europeo gli approcci al licensing adattivo (Eichler et al., 2012) sono caratterizzati da un processo di autorizzazione prospettico, che inizia con l'autorizzazione precoce di un farmaco in una popolazione ristretta di pazienti e prosegue con una serie di fasi iterative di raccolta di evidenze e di adattamento dell'autorizzazione all'immissione in commercio per ampliare l'accesso al farmaco a popolazioni di pazienti più ampie. L'adaptive licensing si basa sui processi normativi esistenti e intende estendere l'uso di elementi che sono già in atto, tra cui la consulenza scientifica, l'uso compassionevole centralizzato, l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata (per i farmaci che trattano patologie a rischio di vita), i registri dei pazienti e gli strumenti di farmacovigilanza che consentono la raccolta di dati reali e lo sviluppo di piani di gestione del rischio (Aifa, 2014).

Nello scenario dell'adaptive licensing, per un'indicazione limitata, la prima licenza può essere concessa anche quando gli studi clinici includono un numero inferiore di pazienti rispetto allo scenario convenzionale. Una volta che la prima licenza è concessa, il numero di pazienti non aumenta in modo rapido e i dati per ottenere la "Full Licence" sono ottenuti grazie a dati real life di efficacia reale. L'approccio dell'adaptive licensing comporta, quindi, alcuni vantaggi in termini di (I) tempestività di accesso ai farmaci per i pazienti più critici, (II) generazione dei real-life data (III) confronto diretto tra industria, autorità e contribuenti. (Eichler, 2012).

A livello Ue, molti Paesi hanno sviluppato dei meccanismi di gestione dell'incertezza e controllo della spesa per gestire i processi di definizione della copertura e del prezzo dei nuovi farmaci.

L'Ema ha avviato nel marzo 2014 un primo pilota sull'uso dell'approccio denominato "adaptive pathways", al fine di esplorare le implicazioni pratiche dell'adaptive licencing per farmaci in fase di sviluppo. Ema ha invitato le aziende a

presentare i programmi di sviluppo di farmaci per i quali fossero soddisfatti i seguenti criteri:

1. Un piano di sviluppo iterativo e prospettico. Ciò significa che le evidenze possono essere acquisite in maniera graduale ampliando la popolazione target anche successivamente ad un approval iniziale in favore della sottopopolazione che più necessita del trattamento, o che l'incertezza può essere progressivamente ridotta mediante la collezione di informazioni aggiuntive dopo l'autorizzazione condizionale basata su endpoint surrogati, follow up brevi o campione ridotto.
2. Il coinvolgimento di Hta doers e di altri stakeholder, al fine di tenere in considerazione le relative prospettive.
3. La considerazione di dati di real-world ad integrazione di quelli derivanti da Rct. In una proposta di adaptive pathways, tali evidenze dovrebbero essere utilizzate per perfezionale il profilo di rischio/beneficio del farmaco, il relativo valore terapeutico e in ultimo il prezzo.

Ema ha ricevuto 62 application per il pilota. Di queste, 18 sono state selezionate per uno screening più approfondito e, in ultimo, 7 di queste sono evolute in formal scientific advice (1) e in parallel regulatory-Hta scientific advice (6). Il pilota ha ricompreso un ampio range di aree terapeutiche, di cui un terzo rappresentato da farmaci oncologici.

Il pilota ha confermato che gli adaptive pathways favoriscono il dialogo multi-stakeholder, nella misura in cui l'accordo tra le parti interessate si fonda su un approccio prospettico volto a generare evidenze durante il ciclo di vita del farmaco in aree con importanti unmet needs. Tali percorsi permettono di anticipare alcuni fabbisogni informativi emergenti, evitando così la necessità di richiedere nuove evidenze successivamente alla fase di sviluppo del farmaco e consentendo di apprezzare il pieno potenziale dei dati real-world anche in fase regolatoria. Tali informazioni concorrono a creare un patrimonio di conoscenze comune e condiviso da tutti gli stakeholder. Infine, gli adaptive pathways supportano lo sviluppo delle conoscenze in aree terapeutiche in cui la generazione di evidenze risulta particolarmente sfidante (malattie infettive, Alzheimer, malattie degenerative e tumori rari). Per questo motivo, tali strumenti dovrebbero concentrarsi sui farmaci volti a soddisfare unmet needs di una popolazione ben definita e non sono idonei a tutte le tipologie di prodotto.

Con riferimento al contesto italiano, l'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) ha sviluppato i registri di monitoraggio e applicato i Managed Entry Schemes (Mes) per l'innovazione farmaceutica insieme ad algoritmi per premiare il grado di in-

novazione del farmaco, che sono stati utilizzati nell'attività di monitoraggio, ai fini della valutazione normativa e delle tecnologie sanitarie (Montilla et al., 2015). Ad oggi, il 66% dei registri di monitoraggio Aifa supportano i Mes (cfr. Tabella 1). Attualmente, sono monitorati 85 farmaci, che corrispondono a 77 indicazioni terapeutiche e più di 933.000 trattamenti individuali per una popolazione di circa 833.000 pazienti. Nell'accesso e nella gestione dei dati, sono coinvolte diverse tipologie di attori, che però presentano profili di accesso alle informazioni differenziati: Aifa, le Regioni, più di 1.500 ospedali collegati, oltre 29.000 medici, oltre 1.800 farmacisti, e 48 aziende farmaceutiche (Cicchetti et al., in press).
Grazie alla loro varietà e l'utilità nel governo dei prezzi e del processo decisionale di rimborso, questi strumenti sono considerati con grande interesse in Europa e nel mondo (Adamski et al., 2010; Garrison et al., 2013; Garattini et al., 2011). L'idea generale di questi meccanismi è, naturalmente, legata all'esigenza sempre più emergente, in un contesto di scarsità di risorse, di collegare il prezzo dell'innovazione al suo effettivo valore, con particolare riferimento all'efficacia espressa in contesti real-world.
In generale, negli accordi basati sul coverage under evidence development, l'approvazione della tecnologia è condizionata alla raccolta di nuovi dati volta a gestire il rischio finanziario legato all'introduzione di una tecnologia al momento dell'approvazione, oppure a chiarire l'incertezza attorno a determinati outcome. Tipicamente, l'utilizzo della tecnologia viene sottoposto a monitoraggio per un periodo di tempo concordato, al termine del quale le condizioni di accesso e rimborsabilità vengono rinegoziate sulla base delle evidenze acquisite. Se da una parte questi approcci permettono di velocizzare l'accesso a tecnologie promettenti, dall'altra essi implicano il rischio di investire in tecnologie potenzialmente non costo-efficaci e richiedono costi extra per il mo-

TABELLA 1 *Tipologie di registri gestiti da Aifa*

Tipologie di registri Aifa (%)	N.	%
Drug-product Therapeutic Area Registry (Dp Tar)	30	20
Drug-product Registry (Dor)	108	71
Piano Terapeutico (Pt)	14	9,2
Total	**152**	**100**

Fonte: dati Aifa

nitoraggio. Inoltre, tali accordi implicano la limitazione del prezzo del farmaco dal lato dei produttori e possono far cadere l'incentivo ad investire in ulteriore ricerca per alcune tipologie di evidenze. In queste situazioni, possono essere finalizzati accordi di coverage with evidence development, classificabili, a loro volta, in due categorie:

1. only with research approval, nell'ambito dei quali la tecnologia viene offerta ai pazienti eleggibili e si effettuano ulteriori ricerche solo su un sottogruppo di pazienti o in quelli trattati in uno specifico setting;
2. only in research approval, nei quali non tutti i pazienti hanno accesso alla nuova tecnologia e la ricerca si effettua solo in pazienti che vengono volontariamente inclusi in uno studio osservazionale o sperimentale (Garrison, 2013).

Anche l'industria dei dispositivi medici, negli ultimi anni, ha incrementato la quantità e la diversità della produzione, ma, contestualmente, sono aumentate anche le segnalazioni di incidenti e/o eventi avversi che nei casi più critici hanno condotto al ritiro del dispositivo medico dal mercato (Botti, 2014).

L'esigenza di limitare gli eventi e le reazioni avverse legate all'utilizzo di un dispositivo comporta, conseguentemente, la necessità di produrre evidenze cliniche secondo una procedura definita e metodologicamente valida ed essere rappresentata da:

1. una valutazione critica dei risultati delle specifiche indagini cliniche condotte sul dispositivo in esame;
2. una valutazione critica della letteratura scientifica disponibile sui temi della sicurezza, delle prestazioni, delle caratteristiche di progettazione e della destinazione del dispositivo; e infine un'analisi critica combinata dei dati clinici ottenuti dalla letteratura scientifica e dalle indagini cliniche condotte.

La sorveglianza post marketing è, dunque, importante. L'obiettivo consiste nel monitorare la sicurezza e l'efficacia dopo che un dispositivo è stato commercializzato (gli studi clinici pre-marketing monitorano esclusivamente gli outcome di breve periodo e includono un numero limitato di partecipanti). In Europa, ad oggi, i meccanismi messi in atto per il monitoraggio dei dispostivi medici riguardano solo gli aspetti di sicurezza e quelli legati alla verifica delle funzionalità del dispositivo rispetto a quanto dichiarato dal produttore nella scheda tecnica. Non sono monitorati né gli aspetti di efficacia né gli aspetti relativi all'economicità derivanti dal suo utilizzo. Di conseguenza, le decisioni di rimborso legate al valore dei dispositivi medici è ad esclusiva discrezione delle singole nazioni che

potrebbero richiedere ulteriori informazioni in merito all'efficacia e alla costo-efficacia del dispositivo medico (Who, 2010).
Ancora, vi è una carenza di trasparenza per quanto riguarda numero, scopo, strutturazione e qualità dei registri: questo punto è un aspetto cruciale, infatti il registro può diventare un sistema di controllo e di vigilanza identificando e notificando il rischio per paziente. Per poter perseguire tale scopo un registro dovrebbe contenere: (I) dati relativi alla struttura ospitante, (II) tipo di procedura effettuata, (III) specialisti coinvolti nelle procedure chirurgiche, (IV) dettagli relativi alla tecnologia e alla salute del paziente, (V) informazioni relative al tipo di intervento e al reparto di cura (Botti, 2013).
A livello nazionale, l'unico registro attivo è il Registro Italiano di ArtroProtesi (Riap), che raccoglie, per tutti gli interventi di sostituzione protesica articolare effettuati sul territorio nazionale, le informazioni relative al dispositivo impiantato, al paziente e all'intervento e permette il monitoraggio del paziente nel tempo (Iss, 2014).
Il registro nazionale, che confedera i diversi registri regionali ed è coordinato dall'Istituto Superiore di Sanità (Iss), utilizza le Sdo come base di raccolta dati. Questi sono poi integrati da un set minimo di informazioni aggiuntive e relative al paziente e alla tipologia di protesi impiantata. L'implementazione del registro ha lo scopo di realizzare un Dizionario utile all'identificazione (tracciabilità) e alla caratterizzazione delle procedure utile ad effettuare analisi statistiche comparative (Torre, 2016).

MATERIALI E METODI

L'Hpf, giunto alla sua sesta edizione, è un'iniziativa della Sihta, svolta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Siti) e la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo). Il Forum rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università e caratterizzati da prospettive diverse e diverse specificità. L'Hpf si ispira al Policy Forum dell'Health Technology Assessment International (Htai) (www.htai.org). I lavori del Forum si svolgono sotto la Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), principio atto a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la

discussione, in base al quale ciascuno esprime opinioni di natura strettamente personale, non necessariamente rappresentative della posizione dell'organizzazione di afferenza.
La tematica guida del 2016 è stata scelta mediante una consultazione on line, per mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno espresso la propria preferenza in merito alle proposte avanzate dal Segretariato Scientifico.
Il programma di questa edizione dell'Health Policy Forum è articolato, come di consueto, in tematiche specifiche che contribuiscono a definire: in che modo la generazione di evidenze può concorrere alle decisioni di prezzo e rimborso delle tecnologie. Saranno sottoposti a tutti i partecipanti dei quesiti volti ad alimentare lo scambio di opinioni. Il Segretariato Scientifico guiderà la discussione, che avrà luogo sia nelle sessioni plenarie previste che nell'ambito dei tre gruppi di lavoro.
Il tema della "Coverage under evidence development" è certamente molto ampio e richiede un importante sforzo di contestualizzazione. Difatti, le esigenze di evidence development differiscono in maniera sostanziale a seconda della tecnologia di interesse in virtù dello specifico quadro regolatorio di riferimento, dell'indicazione della tecnologia e della popolazione target, delle specifiche condizioni di prezzo e rimborso. Per i dispositivi medici le esperienze di monitoraggio finalizzato alla raccolta di evidenze sono generalmente di livello locale e, per questo, molto eterogenee.
Il gruppo di lavoro 1 ha lavorato all'individuazione di un set minimo di evidenze su cui un decisore deve poter contare per poter prendere decisioni di adozione dei dispositivi medici. Alla luce di questo, i membri del gruppo hanno definito gli elementi minimi che un sistema di monitoraggio dovrebbe contemplare, a quale livello questo debba essere fatto e chi debba farsi carico del costo del sistema.
I gruppi di lavoro 2 e 3 hanno invece discusso, coerentemente con l'approccio dell'Hta, sulle priorità assegnate dai vari stakeholder rispetto alle tipologie di evidenze necessarie al momento di prendere le decisioni e di quale sia il contributo che ciascuno può dare alla costruzione di tale base di evidenze. In particolare, i due gruppi si sono impegnati a formulare proposte in merito all'argomento trattato con riferimento al livello nazionale e a quello regionale, partendo dalle differenti numerose e varie esperienze di monitoraggio che sono oggi disponibili nelle diverse aree terapeutiche.
La discussione così sviluppata è stata supportata dalla preparazione di alcuni materiali di pre-reading e dalla costruzione di due case study aventi ad oggetto due farmaci afferenti ad aree terapeutiche diverse e attualmente oggetto di monitoraggio.

Gruppo 1: *Coverage under evidence development per i dispositivi medici*

Il gruppo di lavoro 1 si è interrogato su quali siano le informazioni che devono essere fornite a un decisore affinché sia in grado di decidere in merito all'adozione dei dispositivi medici ed ha definito gli elementi minimi che un sistema di monitoraggio dovrebbe raccogliere, a quale livello questo debba essere implementato e chi debba farsi carico del costo del sistema.

I membri del gruppo di lavoro hanno definito il coverage under evidence development (Ced) come un protocollo di raccolta dati, orientato alla verifica di esiti di salute misurabili ed è mirato alla raccolta sistematica di dati aggiuntivi rispetto alla usuale pratica clinica, al fine di complementare e verificare i dati di efficacia raccolti nella ricerca. Nell'ambito dei dispositivi medici gli strumenti di generazione di evidenze e di monitoraggio mediante registri sono degli strumenti di governo nel settore e sono fortemente correlati (I) al ciclo di vita della tecnologia; (II) alla forte interazione del dispositivo medico con il contesto professionale ed organizzativo dell'ente erogatore ed (III) alla difficoltà di svincolare completamente il dispositivo dalla procedura clinica in cui è utilizzato.

Tutti i membri del gruppo di lavoro erano concordi nell'affermare che il Ced rappresenta un valido strumento a supporto della scelta di implementazione di un dispositivo medico poiché fornisce informazioni sia in merito al suo impatto in termini di benefici di salute ottenibili, che in merito alla sua constestualizzazione e, quindi, in termini di impatto organizzativo, sociale ed etico.

Un valido strumento per la generazione di evidenze nella fase post-marketing di un dispositivo medico è rappresentato dai registri. Il gruppo di lavoro si è quindi soffermato ad approfondire i contenuti di un registro e a quale livello dovrebbero essere implementati. In particolare, tutti i membri del gruppo di lavoro sono stati concordi nel definire che i registri dovrebbero raccogliere i dati di base per valutare e comparare la qualità dei dispositivi e per individuare le complicazioni a breve e a lungo termine che potrebbero insorgere. Inoltre, al fine di avere un quadro più completo, tali informazioni potrebbero essere integrate con i dati dei registri di patologia, se esistenti, e con i dati dei sistemi informativi implementati a livello nazionale. I registri dovrebbero essere attivati a livello nazionale mentre il livello regionale potrebbe avere un ruolo in una fase pilota, solo se propedeutica ad una successiva estensione nazionale, e solo se operata entro un processo commissionato, con procedure e con metodi condivisi, nell'ambito del Programma Nazionale Hta dei dispositivi medici. In particolare, nessun registro regionale dovrebbe essere implementato in carenza di una condivisione nazionale e quindi senza una pianificazione formale della successiva estensibilità al territorio nazionale.

La valutazione clinica è un processo continuo che deve interessare tutto il ciclo di vita di un dispositivo medico, mentre il rimborso condizionato da sviluppo di evidenze è praticabile solo nella fase di prima adozione nella pratica clinica. Tale approccio dovrebbe riguardare i dispositivi ad alto costo, indicati per patologie con una quota rilevante di bisogni insoddisfatti e prive di soluzioni accettabili, per i quali non esistano prove di comprovata efficacia. Quindi, le informazioni raccolte tramite il Ced potrebbero contribuire non solo a riempire questi gap di efficacia ma potrebbero anche essere utilizzati per alimentare modelli di costo-efficacia attendibili e contestualizzati.
Infine, il gruppo di lavoro ha auspicato l'implementazione di un fondo nazionale e/o regionale come possibile fonte di finanziamento a supporto di questi sistemi che potrebbero essere alimentati da reinvestimento di spese evitate legate al loro utilizzo.

Gruppo 2: *Quale priorità assegnare alle diverse evidenze secondo la prospettiva degli stakeholder (a livello nazionale)*

A proposito delle necessità di generazione di evidenze per l'accesso di farmaci a livello nazionale, il gruppo di lavoro si è interrogato sul tipo di evidenze rilevanti per ciascuna delle parti coinvolte.
Il punto di partenza della discussione è stato quello di andare a definire quali sono gli aspetti preponderanti per ogni stakeholder nel valutare l'impatto di un nuovo farmaco per supportarlo nella conseguente decisione informata.
Il dibattito ha portato all'identificazione dei seguenti aspetti:

1. accessibilità della tecnologia da parte dei pazienti;
2. efficienza del Servizio sanitario nazionale, intesa come capacità di massimizzare la salute prodotta a fronte delle risorse investite;
3. appropriatezza, intesa come individuazione della popolazione di pazienti che può trarre massimo beneficio dall'utilizzo di quella tecnologia;
4. efficacia in condizioni di pratica clinica reale;
5. efficacia comparativa, rispetto alla migliore alternativa disponibile per quella categoria di pazienti;
6. sicurezza (safety);
7. controllo della spesa rispetto al budget assegnato;
8. qualità della vita connessa alla salute.

Il gruppo di lavoro era composto da rappresentanti dei pazienti, delle istituzioni e

TABELLA 2 *Peso attribuito alle diverse tipologie di evidenze dagli stakeholder*

Obiettivi/Priorità	Cittadini	Pazienti	Regolatori	P&R	Ssn	Industria	Clinici
Accessibilità	5	5	3	3	3	5	4
Efficienza del Ssn	4	5	2	4	4	4	2
appropriatezza	2	4	3	5	5	4	3
Efficacia (Effectiveness)	3	4	5	4	2	4	5
Efficacia comparativa	3	5	4	5	3	3	5
Sicurezza	4	4	5	4	1	5	4
Controllo spesa	1	2	1	5	5	2	2
Hr-Qol	5	5	3	3	3	4	2

* HR-Qol= Health Related Quality of Life. Sistema di scoring: 1=rilevanza minima, 5=rilevanza massima

dell'industria. Inoltre, ciascuno dei componenti ha anche portato le sue istanze in qualità di cittadino.
Definiti i ruoli e le dimensioni, ciascuno dei partecipanti ha assegnato uno score da 1 a 5 ad ognuna delle dimensioni oggetto d'analisi sulla base del livello di priorità ad essa attribuito secondo il proprio punto di vista. La Tabella 2 riporta i punteggi medi espressi da ciascuno degli stakeholder per ogni dimensione.
Dal punto di vista dei cittadini, la consapevolezza che, in caso di necessità, il nuovo farmaco possa essere accessibile e il suo effetto sulla qualità della vita connessa alla salute risultano essere aspetti prioritari su cui costruire evidenze. Per i pazienti, oltre ai precedenti aspetti, è importante che ci siano evidenze di efficacia comparativa, oppure qualora queste fossero disponibili, che rivestano un ruolo critico nel determinare l'introduzione del farmaco nella pratica clinica. Un altro aspetto importante dalla prospettiva dei pazienti è l'efficienza del sistema in un'ottica di garanzia della sostenibilità dello stesso nel tempo. Per il regolatore, appaiono invece prioritarie le evidenze relative all'efficacia dei farmaci nei setting di real world e la loro sicurezza. Dal punto di vista degli enti che si occupano di stabilire le condizioni di prezzo e rimborso delle nuove tecnologie, vigilando sulla sostenibilità della spesa farmaceutica, risultano prioritarie le evidenze relative all'efficacia comparativa e all'appropriatezza necessarie a contenere la spesa secondo un approccio razionale. Appropriatezza e controllo della spesa sono anche tra le priorità del sistema sanitario nel suo complesso. I rappresentanti dell'industria hanno, invece, posto l'enfasi sulla accessibilità ai

pazienti dei prodotti innovativi e sulla sicurezza. Infine, i clinici hanno posto l'enfasi sull'efficacia reale e sull'efficacia comparativa come criteri di scelta cruciali nelle decisioni cliniche, precisando che la sicurezza dei prodotti viene già adeguatamente monitorata.
Dalla discussione è scaturito il seguente ranking delle evidenze:

1. accessibilità ed efficacia comparativa;
2. effectiveness e safety;
3. appropriatezza;
4. efficienza del sistema e qualità della vita;
5. controllo della spesa.

In questo contesto, il contributo dell'industria alla generazione delle evidenze dovrebbe consistere nella raccolta di dati epidemiologici, nello sviluppo di RCT e Non-Interventional Studies, nel finanziamento dei registri. Le associazioni di pazienti, invece, potrebbero fornire dati sulla qualità della vita e sulle perdite di produttività oltre che ricoprire un ruolo di advisor sul tipo di dato da raccogliere.

Gruppo3: *Quale priorità assegnare alle diverse evidenze secondo la prospettiva degli stakeholder (a livello regionale)*

Il gruppo di lavoro impegnato nella riflessione più squisitamente relativa al livello regionale si è proposto di dare congrua risposta ad alcune domande ritenute significative durante la discussione. I punti critici identificati dai membri del gruppo sono relativi, in particolare, a:

1. La questione della completezza e la rilevanza dei dati. Relativamente a ciò, ci si è posti il problema di identificare quali esigenze generare e con quale livello di dettaglio;
2. Il problema della qualità e della robustezza dei dati. In tal senso, ci si è impegnati nella identificazione di quali meccanismi di controllo sulla qualità possano essere implementati, quali metodologie statistiche possano garantire la robustezza degli approcci analitici e quali possano essere i margini di miglioramento dell'aderenza;
3. La delicata questione dell'accesso ai dati. Il gruppo, in tal senso, si è interrogato in merito a chi debba avere l'opportunità di accedere ai dati, con quale livello di dettaglio e quale titolarità si debba garantire per l'utilizzo delle informazioni;
4. In ultimo, il gruppo ha affrontato la questione relativa alle opportunità di

cooperazione tra i diversi livelli decisionali, interrogandosi su quali possano essere le migliori modalità per garantire la collaborazione tra le parti.

Partendo da tali questioni di fondo, ci si è focalizzati sul ruolo svolto dalle Regioni, con particolare riferimento all'attività di gestione delle evidenze, di produzione dei dati e di relativa accessibilità. La discussione ha sottolineato il ruolo attivo della Regione in tali problematiche, dal momento che essa funge da collettore e gestore capillare del flusso delle informazioni, raccoglie dati di tipo epidemiologico, amministrativo ed associati al consumo di risorse. Resta, tuttavia, la grande difficoltà di gestire ed interpretare a livello macro tali informazioni, che provengono da sistemi fortemente differenziati tra di loro. In questo senso, l'implementazione di sistemi di gestione delle informazioni ed analisi dei dati omogenei tra le Regioni concorrerebbe ad un utilizzo più efficace di tali flussi non solo a livello locale, ma anche a livello nazionale. A tal fine, si rende necessario garantire l'appropriatezza d'uso dei dati, mediante la definizione a livello nazionale di una metodologia condivisa e omogenea (multistakeholder e multiprofessional). Tale approccio dovrebbe, in primo luogo, identificare e condividere gli endpoint e gli indicatori per tutte le Regioni e validare protocolli ad hoc preventivamente condivisi dai diversi stakeholder. Questo implica, necessariamente, un'attività di engagement dei portatori di interesse, che possano favorire opportunità di linkage dei dati e potrà accadere solo se i fini di tutti gli stakeholder saranno garantiti e trasparenti. Le fonti informative da impiegare in tale processo sono numerose e già disponibili e riguardano essenzialmente: (I) i registri Aifa, (II) altri Registri Nazionali, (III) i Registri Regionali, i Database amministrativi (Nsis, Sdo, specialistica, farmaceutica, diagnostica, Pronto Soccorso, ecc.). Le criticità emergenti nel garantire tale omogeneizzazione sono numerose e riguardano innanzitutto la diversa titolarità di questi dati, l'eterogeneità geografica e metodologica, i sistemi di copertura sul territorio ancora difformi. Si rende quindi necessario garantire delle opportunità di linkage di queste informazioni, che potrebbero riguardare la previsione di uno Pseudonimo Unico Nazionale e, da un punto di vista gestionale, l'interoperabilità informatica dei sistemi informativi. La trasparenza degli interessi delle parti diviene quindi un presupposto minimo per tali iniziative e potrebbe essere conseguita mediante accordi di partenariato pubblico-privato, che si pongano a garanzia di un utilizzo trasparente delle informazioni e l'assenza di conflitti di interesse. Tale partenariato dovrà assumere dimensione sovranazionale e regolare in maniera virtuosa l'utilizzo condiviso e ciclico dei dati.

Al fine di garantire l'efficacia di tali obiettivi di governance partecipata, è necessaria, a livello regionale, una consapevole attività di capacity building per la

formazione di professionisti in grado di interpretare e supportare lo sviluppo appropriato di dati, nonché una fase preliminare di testing & piloting delle attività.

CONCLUSIONI

La generazione di evidenze per indirizzare le decisioni di prezzo e rimborso delle tecnologie sanitarie rappresenta un ambito di forte interesse nella comunità scientifica, poiché in un contesto di risorse scarse è necessario individuare criteri oggettivi per comprendere il reale valore delle tecnologie al momento dell'introduzione nella pratica clinica.
Un valido supporto alla generazione di evidenze è rappresentato dai registri che sono strumenti innovativi di raccolta dei risultati associati all'utilizzo delle tecnologie sanitarie. Sulla base dell'esperienza attuale i gruppi di lavoro si sono interrogati sulle potenzialità dei dati raccolti finora, sulle opportunità attuali di exploitation, sui limiti del sistema attuale e sui possibili margini di miglioramento. Questo sforzo ha permesso di delineare il sistema ideale per la generazione di evidenze utili ad informare le coverage decisions.
Per i dispositivi medici i registri rappresentano i dati di base per valutare i potenziali benefici in termini di salute. La qualità di un registro dipende dalla qualità dei dati inseriti e per tale motivo è importante individuare i parametri da monitorare per ottenere dei risultati utili, nel rispetto della privacy dei dati inseriti. In particolare, tali registri dovrebbero essere implementati a livello nazionale e l'oggetto dovrebbero essere i dispositivi medici ad alto costo per i quali non esistano prove di comprovata efficacia.
Il grado di priorità assegnato a diverse tipologie di evidenza da rendere necessarie al momento di prendere decisioni sull'introduzione di nuovi farmaci cambia a seconda dei portatori di interesse coinvolti nel processo. Nonostante la varietà delle prospettive rappresentate, l'accessibilità, l'efficacia comparativa l'effectiveness e la safety sono emerse come criteri cruciali per il decision making nonché come aspetti su cui investire per generare evidenze utili. Non da ultimo, emerge dalla discussione il ruolo imprescindibile della collaborazione tra le parti per garantire accessibilità ed uso delle informazioni e maggiore efficacia degli strumenti conoscitivi ed informativi che sono tuttora disponibili.

BIBLIOGRAFIA

- *Adamski J, Godman B, Ofierska-Sujkowska G, Osiñska B, Herholz H, Wendykowska K, Laius O, Jan S, Sermet C, Zara C, Kalaba M, Gustafsson R, Garuolienè K, Haycox A, Garattini S, Gustafsson LL. Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: potential considerations and recommendations for European payers. BMC Health Serv Res. 2010 Jun 7;10:153*
- *Botti D. Registri per dispositivi medici impiantabili in Europa. SIF 2013*
- *Claxton K, Briggs A, Buxton MJ, Culyer AJ, McCabe C, Walker S, Sculpher MJ. Value based pricing for NHS drugs: an opportunity not to be missed? BMJ. 2008 Feb 2;336(7638):251-4*
- *Cicchetti A., Coretti S., Iacopino V., Montilla S., Xoxi E., Pani. Post-marketing Italian successful strategies to manage pharmaceutical innovation. Italian Chapter in Health Systems Improvement across the Globe: Success Stories from 60 Countries, a cura di Braithwaite J., Mannion R. Matsuyama Y., Shekelle P., Whittaker S., Al-Adawi S. Taylor & Francis (Eds). Status: in press*
- *Delaunay C. Registries in orthopaedics. Orthop Traumatol Surg Res. 2015 Feb;101(1 Suppl):S69-75*
- *Eichler HG, Oye K, Baird LG, Abadie E, Brown J, Drum CL, Ferguson J, Garner S, Honig P, Hukkelhoven M, Lim JC, Lim R, Lumpkin MM, Neil G, O'Rourke B, Pezalla E, Shoda D, Seyfert-Margolis V, Sigal EV, Sobotka J, Tan D, Unger TF, Hirsch G. Adaptive licensing: taking the next step in the evolution of drug approval. Clin Pharmacol Ther. 2012 Mar;91(3):426-37*
- *Ferrario, A. and Kanavos, P. (2013) Managed entry agreements for pharmaceuticals: the European experience. EMiNet, Brussels, Belgium*
- *Garattini L, Casadei G. Risk sharing agreements: what lessons from Italy? Int J Technol Assess Health Care. 2011 Apr;27(2):169-72*
- *Garrison LP Jr, Towse A, Briggs A, de Pouvourville G, Grueger J, Mohr PE, Severens JL, Siviero P, Sleeper M. Performance-based risk-sharing arrangements-good practices for design, implementation, and evaluation: report of the ISPOR good practices for performance-based risk-sharing arrangements task force. Value Health. 2013 Jul-Aug;16(5):703-19*
- *Hutton, J., Trueman, P., Henshall, C. Coverage with Evidence Development: An examination of conceptual and policy issues. Int J Technol Assess Health Care. 2007 23(4), 425*
- *Montilla S, Xoxi E, Russo P, Cicchetti A, Pani L. Monitoring registries at Italian Medicines Agency: fostering access, guaranteeing sustainability. Int J Technol Assess Health Care. 2015 Jan;31(4):210-3*
- *Padeletti L. Le indagini cliniche nel nuovo contesto normativo Il punto di vista del clinico. V Conferenza Nazionale Dispositivi Medici 2012*
- *Torre M. Il Registro Italiano ArtroProtesi (RIAP). Health Policy Forum 2016*

- *Who. Clinical evidence for medical devices: regulatory processes focussing on Europe and the United States of America 2010*

SITOGRAFIA

- *www.salute.gov.it*
- *www.agenziafarmaco.gov.it*
- *www.iss.it/riap*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

17

INDIVIDUARE, FINANZIARE E COMUNICARE L'INNOVAZIONE IN SANITÀ: IL RUOLO DELL'HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

È stato chiarito il ruolo dell'Hta nelle fasi di:

- *individuazione di ciò che per il sistema sanitario debba essere considerato "innovativo";*
- *finanziamento di tale innovazione e nella conseguente promozione della stessa verso il diffuso utilizzo grazie ai meccanismi della comunicazione scientifica e non, in relazione a tre categorie di tecnologie sanitarie: farmaci, dispositivi medici, programmi di sanità pubblica e vaccini.*

Per i dispositivi medici, il riconoscimento delle innovazioni tecnologiche deve avvenire tramite l'applicazione di logiche di tipo Hta e quindi secondo un'ottica di tipo multidimensionale. Il processo di valutazione value-based dovrebbe garantire l'identificazione precoce delle innovazioni e comportare, di conseguenza, l'adozione tempestiva di queste nella pratica clinica. Bisogna definire un finanziamento che consideri il valore dell'innovazione e perciò è necessario definire una remunerazione basata sul beneficio di salute prodotto, valutabile tramite l'applicazione di logiche Hta.

Per identificare i farmaci innovativi, sarebbe auspicabile una maggiore stratificazione degli end-point da prendere in considerazione in modo da tener conto delle caratteristiche peculiari dell'area terapeutica di interesse. In merito al finanziamento, si è ritenuto che la tradizionale logica a silos dei nostri comparti di spesa rappresenti inequivocabilmente una barriera al finanziamento dell'innovazione e il fondo destinato annualmente all'innovazione dovrebbe essere articolato per aree terapeutiche in modo da favorire un più equo accesso all'innovazione da parte dei pazienti.

Per i programmi di sanità, il riconoscimento dell'innovazione è legato alla possibilità di contare su soluzioni organizzative individuate grazie all'utilizzo delle metodiche di Hta. Il finanziamento dei programmi di Sanità pubblica dovrebbe basarsi sul raggiungimento dei risultati di salute attesi, sebbene questo richieda un complesso sistema di monitoraggio.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Alessandra Fiore, Valentina Iacopino, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

17 INDIVIDUARE, FINANZIARE E COMUNICARE L'INNOVAZIONE IN SANITÀ: IL RUOLO DELL'HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

INTRODUZIONE

In ambito sanitario, le innovazioni possono aiutare a rispondere alle necessità in termini di bisogni di salute determinati dai cambiamenti demografici. L'elevato numero di tecnologie sanitarie innovative immesse nel mercato e i vincoli di bilancio imposti alla sanità pubblica comportano l'individuazione di modelli atti ad ottimizzare l'adozione e la diffusione di tecnologie sanitarie che contestualmente siano più efficienti e sicure del comparatore in uso (Ihe, 2015). Ne consegue che l'identificazione e la comprensione dei fattori sottostanti questi processi siano importanti non solo da un punto di vista teorico, ma anche dal punto di vista delle politiche pubbliche.

Promuovere l'adozione di tecnologie che introducano benefici dal punto di vista della sicurezza e dell'efficacia, che riducano le duplicazioni e i costi e che contestualmente migliorino gli outcome, è una priorità per i decision making in ambito sanitario. Tali interventi sono molto complessi da implementare poiché le innovazioni nel campo della salute sono spesso il risultato di una combinazione originale di più tecnologie e la loro adizione potrebbe comportare modifiche nell'assetto organizzativo del sistema sanitario. Inoltre, l'adozione e la diffusione di una tecnologia sanitaria in un determinato contesto, comporta il coinvolgimento di una varietà di soggetti interessati ed è influenzato dalla natura e dalla complessità dell'intervento, dalle caratteristiche del sistema sanitario, dal contesto locale e dalla percezione degli adottanti (Ihe, 2015).

In generale, va detto che la diffusione dell'innovazione tecnologica in sanità emerge dalla coesistenza di forze sia esogene al sistema sanitario come le condizioni economiche ed istituzionali del contesto, che endogene come i processi di regolazione e assessment. Tali forze incidono sulla velocità di diffusione della tecnologia determinandone il momento di adozione. I modelli di adozione e diffusione delle tecnologie sanitarie sono tesi a dimostrare la complessità del processo di adozione e la sua "non linearità", dovuta (I) ai numerosi fattori che

influenzano il processo, (II) all'elevata complessità che lo caratterizza e (III) al numero di attori coinvolti, caratterizzati da ruoli ed interessi talvolta non convergenti, ma anche (IV) alla particolare natura dei beni prodotti e (V) alla rilevanza del ruolo dell'utente e del clinico nell'individuazione delle traiettorie dell'innovazione stessa (Cicchetti et al., 2007). Con riferimento alle caratteristiche proprie dell'innovazione, la letteratura, oltre ad identificare come criterio guida per la scelta di adozione la valutazione dei suoi benefici e dei costi, individua il cosiddetto vantaggio relativo, da intendersi come la capacità di un potenziale adottante di giudicare se i vantaggi dell'utilizzo di un'innovazione superano i rischi, e la consapevolezza acquisita che l'innovazione sia in grado di migliorare la tecnologia esistente. In base a questa caratteristica, le innovazioni che hanno un chiaro e inequivocabile vantaggio sia in termini di efficacia che costo-efficacia sono certamente le più facilmente adottabili. Il vantaggio relativo dipende (I) dall'avversione al rischio degli adottanti; (II) dalla predisposizione individuale ad adottare; (III) nonché dalla avversione al rischio percepito e (IV) dal livello di accettazione dell'innovazione. Un ulteriore fattore in grado di incidere sulle dinamiche di adozione riguarda infine la "familiarità" di un'innovazione e la sua compatibilità con l'ambiente, con i valori degli adottanti, con le norme e i bisogni percepiti e con il contenuto e i processi nei quali essa è inserita (Cicchetti et al., 2007). In ultimo, vanno considerati fattori ambientali, che con riferimento alle tecnologie sanitarie si traducono nei criteri di rimborsabilità per l'utilizzo della tecnologia e che inevitabilmente possono influenzare il ritmo di diffusione di un'innovazione. Le caratteristiche della domanda e del mercato, unitamente alla normativa di riferimento, inevitabilmente giocano un ruolo cruciale sulle scelte di adozione (Rye & Kimberly, 2007).

BACKGROUND

La generazione di innovazioni tecnologiche ed organizzative in sanità è di per sé un tema complesso, almeno tanto quanto sono complessi ed adattivi i sistemi sanitari che ne beneficiano. La ricerca in ambito manageriale ha profuso molti sforzi al fine di individuare i criteri mediante i quali riconoscere e definire l'innovazione. Il modo tradizionale è quello di considerare "lo stato dell'arte" della stessa, che si determina in base a standard esterni utili a definire l'atteggiamento degli utenti. Un modo ulteriore è quello di considerare il sentimento, ovvero la percezione dell'utilizzatore. In tal senso, l'innovazione è qualcosa che è giudicata nuova dall'unità di adozione (Rye & Kimberly, 2007; Greer et al.,

Tabella 1 *Criteri di definizione dell'innovazione*

Definition of Innovation			
		External Standard	
		Innovation	Not an Innovation
Adopter Perceptions	Innovation	Innovation	Ambiguity
	Not an Innovation	Ambiguity	Not Innovation

Fonte: Rye and Kimberly, 2007

1977). Laddove si registri la mancata corrispondenza tra le singole percezioni e gli standard esterni che definiscono l'innovazione, si rischia di incorrere in una sorta di "ambiguità" (cfr. Tabella 1).
Riconoscere l'innovazione non è quindi un esercizio semplice, giacché implica la messa in campo di tutta una serie di fattori (*external standard*) e di comportamenti ed attitudini (*perception*) che non possono essere trascurati. In questo paragrafo si tenta di collocare e presentare alcune esperienze attualmente in atto nell'ambito del nostro Servizio sanitario nazionale che sono strumentali a riconoscere, finanziare e comunicare l'innovazione proprio perché, in varia misura, riflettono tale sforzo di incorporazione. Lo sforzo ulteriore è poi quello di discutere globalmente del ruolo svolto dall'Hta in tutte le fasi di questo processo.

Riconoscere l'innovazione

Il settore farmaceutico, sebbene caratterizzato da un tasso di innovazione più lento rispetto a quello del medical device, fornisce al momento risposte istituzionali più certe. Nel contesto nazionale, il ruolo istituzionale di Aifa di coniugare il rapporto rischio/beneficio con quello del beneficio/prezzo in una logica di accountability verso tutti gli attori del Servizio sanitario nazionale, si è tradotto nell'individuazione di criteri utili per la classificazione dei farmaci innovativi (Determinazione 519/2017). La principale modifica rispetto alla situazione preesistente riguarda la considerazione della qualità e della robustezza degli studi disponibili in sede di registrazione. Il modello prevede un approccio multidimensionale, che tiene conto di tre elementi fondamentali: (I) il bisogno terapeutico; (II) il valore terapeutico aggiunto; (III) la qualità delle prove ovvero la robustezza degli studi clinici. Ulteriori segnali di rilevanza provengono dalla Francia, dove la

TABELLA 2 *Il ranking dell'innovazione farmaceutica in Francia*

Service Médical Rendu e livello di rimborsabilità			Definizione
Major	100	I	Prodotto innovativo con benefici terapeutici sostanziali
Major or Important	65	II	Incrementi importanti in termini di efficacia e/o riduzione degli effetti collaterali
Moderate	30	III	Incrementi moderati in termini di efficacia terapeutica e/o utilità
Weak	15	IV	Incrementi "minor" in termini di efficacia terapeutica e/o riduzione degli effetti collaterali
Insufficient	0	V	Nessun incremento rispetto alle opzioni esistenti, ma ancora raccomandabile per il rimborso (farmaci generici, me-too drugs)

Fonte: Solaman et al., 2015

Commissione Trasparenza dell'Haute Autorité de Santé (Has) realizza delle valutazioni che tengono in considerazione i benefici e i relativi incrementi di beneficio del trattamento innovativo rispetto alle terapie esistenti, assegnando a questi ultimi un ranking (Service Médical Rendu) utilizzato per le decisioni di rimborso (cfr. Tabella 2, Solaman et al., 2015).
In tema di governance dei medical device, la maggiore novità oggi risiede nella costituzione del Programma Nazionale Hta Dispositivi Medici e della Cabina di Regia presso il ministero della Salute. L'obiettivo di questo provvedimento è quello di accelerare l'adozione di dispositivi medici innovativi pur nel rispetto dei vincoli imposti dalle esigenze di sostenibilità del Servizio sanitario nazionale. A tal fine, l'approccio multidisciplinare dell'Health Technology Assessment è funzionale a valutare la vera innovazione dei dispositivi medici e la loro adozione a livello nazionale. La logica di attuazione delle leggi di Stabilità per il 2015 e il 2016, e la successiva istituzione della Cabina di Regia, risponde al bisogno di coordinare e valorizzare le migliori esperienze italiane ed europee nelle diverse fasi dell'attività di valutazione delle tecnologie che hanno carattere di innovatività, le quali ricevono il mandato di riorganizzarsi su una logica non più locale, bensì nazionale. Tali attività riguarderanno l'individuazione di tecnologie prioritarie, la produzione coordinata dei rapporti di valutazione, l'emanazione di raccomandazioni per un utilizzo appropriato.

Finanziare e promuovere l'innovazione

L'innovazione in ambito medicale richiede un complesso mix di input dal settore pubblico e privato. Accanto a questo, fattori di natura regolatoria, economica e commerciale hanno determinato un cambiamento del panorama della ricerca e dello sviluppo, che coinvolge modelli gestionali sempre più complessi ed un numero sempre più ampio di attori. In questo contesto, la sfida più ardua per gli enti regolatori è quella di fornire incentivi specifici per assorbire il costo elevato, i rischi e le passività associate ad eventuali fallimenti. Fino ad oggi questo ruolo è stato ricoperto dai meccanismi di copertura brevettuale, in particolar modo nel caso dei prodotti farmaceutici. Difatti, sebbene le stime dei costi effettivi della ricerca siano estremamente variabili, è indubbio che l'innovazione sia costosa e richieda tempo. Il rischio e l'incertezza dell'innovazione, associati alla rapidità con la quale i prodotti diventano "obsoleti", aumentano i costi di ricerca e sviluppo in questo settore, così come il costo di prodotti che non riescono a superare gli ostacoli di natura normativa per diventare prodotti commercializzati. Tutto questo fa lievitare i prezzi dei prodotti innovativi fino a renderli un ostacolo all'(equo) accesso da parte dei pazienti, una volta che il prodotto è stato commercializzato. Dunque viene da sé che il tema della promozione e del finanziamento dell'innovazione sia estremamente complesso, poichè la selezione dei più efficaci meccanismi di promozione e finanziamento è fortemente condizionata dalla fase del ciclo di vita della tecnologia. Nella fase di accesso al mercato, specie nel caso delle tecnologie innovative, la tempestività e l'accesso omogeneo alla tecnologia rappresentano il compimento del diritto di tutti al godimento del miglior stato di salute. Secondo l'Oms, la mancanza di accesso alle tecnologie mediche è raramente causata da un singolo fattore (Bartels, 2013). Appare in merito cruciale il sistema dei prezzi; poter contare su prezzi accessibili è un fattore determinante di accesso ai farmaci. Sebbene la concorrenza dei generici sia un fattore che tende a far scendere i prezzi, anche i farmaci generici a basso prezzo sono spesso inaccessibili per gran parte della popolazione in molti Low-Middle Income Countries (Lmics) e la disponibilità di farmaci essenziali è ancora insufficiente. Nei Paesi occidentali, i governi impiegano molti mezzi diversi per abbattere i prezzi delle tecnologie mediche (controllo diretto dei prezzi, prezzi di riferimento, imposizione di limiti alla rimborsabilità) e fanno un uso sempre più ampio dell'Hta per controllare i costi dell'innovazione. In ambito farmaceutico, quindi, la regolamentazione svolge un duplice ruolo. Da un lato, essa si pone a garanzia di obiettivi di politica sanitaria. Dall'altro, nel perseguire questi obiettivi, condiziona l'accesso all'innovazione. Infatti, a maggiori garanzie di sicurezza corrisponde

l'esigenza di generazione di più dati e il conseguente aumento dei costi (Danzon, 2003), insieme alla presenza di barriere di natura normativa ingiustificate e di lungaggini nei processi di autorizzazione all'immissione in commercio. Lo sviluppo di farmaci biologici ha sollevato nuove sfide per i sistemi vigenti in materia, in particolare, in merito a come regolamentare i prodotti "biosimilari", continuando ad incentivare in maniera adeguata le aziende che sviluppano gli originator. Un'ulteriore sfida per i sistemi di regolamentazione è la lotta alla contraffazione, che può generare gravi problemi di salute pubblica, soprattutto nei contesti in cui la normativa e l'applicazione di sistemi di controllo sono deboli. L'esigenza di semplificare le norme, pur preservandone il rigore, richiede maggiore coordinamento tra gli organismi nazionali ed internazionali, in modo da permettere ai produttori di evitare la duplicazione dei costi ed inutili elementi di complessità. Tale armonizzazione è urgente soprattutto nel caso delle malattie rare, per le quali i modelli di innovazione basati sul mercato non riescono ad affrontare il burden of disease, soprattutto nei Paesi in via di sviluppo. A questo gap cercano di dare risposta i partenariati per lo sviluppo del prodotto che hanno attraversato un significativo processo di evoluzione nel corso degli ultimi dieci anni, mentre l'Ema e l'Fda prevedono una serie di incentivi allo sviluppo di queste molecole. Tuttavia, le decisioni di "pricing and reimbursement" per queste molecole sono demandate ai decisori nazionali e i prezzi di questi farmaci spesso costituiscono una barriera all'accesso. (Tambuyzer, 2010; Drummond, 2007) La politica della concorrenza promuove l'innovazione efficace e aiuta a modellare le condizioni di accesso. Secondo l'Oms la concorrenza è importante per tutte le fasi del ciclo di vita della tecnologia, dallo sviluppo fino alla vendita o all'erogazione. Stimolare la concorrenza tramite il sistema di norme che regolano l'accesso al mercato appare come una valida strategia di promozione dell'innovazione nel settore farmaceutico. I sistemi di procurement basati su gare aperte diventano sempre più comuni alla presenza di forti vincoli alla spesa farmaceutica. Il buon governo dei sistemi di procurement permette di estendere l'accesso ai farmaci attraverso prezzi più bassi e senza interruzioni di fornitura. In quest'ottica, l'Organizzazione Mondiale per il Commercio fornisce un quadro internazionale di regole per promuovere l'efficienza e il buon governo degli appalti pubblici, con particolare applicazione in materia di appalti di farmaci, promuovendo la trasparenza, la concorrenza leale e migliorato il valore della spesa pubblica.

Specifiche connotazioni assume per contro il settore dei dispositivi medici. Il contesto attuale descrive un'industria propulsiva senz'altro capace di produrre in maniera tempestiva buona innovazione. Ciò accade nell'ambito di contesti carat-

terizzati da profondi cambiamenti. Cresce nei payer la consapevolezza di dover riorientare gli acquisti verso innovazioni value-based e cresce anche il fabbisogno di informazioni (evidenze) che guidino scelte razionali (Provines, 2009). Rolfstam et al. (2011) riconoscono nelle procedure di acquisto delle innovazioni biomediche un aspetto inesplorato, soprattutto per il ruolo da queste ricoperto nell'assicurare la diffusione dell'innovazione. La letteratura mostra come le barriere alla diffusione risiedano essenzialmente nella mancanza di coordinamento istituzionale di tali procedure, che inesorabilmente agiscono in modo negativo nella gestione dell'innovazione (Rolfstam, 2011; Sorenson, 2011). È evidente, quindi, che il problema dell'accesso dei dispositivi medici al mercato vada affrontato ancora in una logica nazionale ancorché sovranazionale. Tale accesso avviene essenzialmente mediante gare e procedure negoziali (Bajari et al., 2009). Con riferimento allo scenario italiano, Manelli e Vincent (1995) e Bonaccorsi et al. (2003) offrono un'analisi empirica delle procedure di gara dei dispositivi medici comparandole con meccanismi alternativi di contrattazione negli ospedali italiani. Gli studi condotti dimostrano empiricamente preoccupazioni già chiare a chi scrive, legate essenzialmente al contesto "locale" a cui sono state assegnate, per lungo tempo, le scelte di procurement. In altre parole, amministratori poco attenti alla qualità e più focalizzati sui costi hanno leso in maniera determinante la qualità delle decisioni (Bajari et al., 2009). Ad oggi, solo poche innovazioni nell'ambito dei dispositivi medici sono adottate per la loro capacità di generare risparmi (Mattke et al., 2016). Al fine di favorire un cambio di rotta rispetto al passato, c'è chi suggerisce l'uso di modalità contrattuali flessibili e tendenti all'ottimizzazione delle scelte cliniche, della competitività dei supplier e nella selezione dei prodotti (Graves, 2011).

L'Hta, riconosciuto a gran voce come lo strumento essenziale per il governo di queste scelte, è ancora in una fase di implementazione non esaustiva e non sono, in Italia, ancora dispiegate le sue ampie potenzialità. Fino a questo momento, cruciale in seguito alla costituzione della Cabina di Regia, non è stata ancora osservata una piena armonizzazione ed un coordinamento delle pratiche e degli outcome nel nostro Paese, con un conseguente e preoccupante aumento delle differenze di accesso ai servizi sanitari ed alle tecnologie da regione a regione (Ciani et al., 2012). Il Patto della Salute disciplina all'articolo 24 il mercato dei "Dispositivi Medici" affidando al Ssn un ruolo chiave ed anelando allo studio di nuove strategie di procurement al fine di ampliare l'accesso alle tecnologie sanitarie innovative ed efficaci. Emerge l'esigenza di definire e rafforzare una "rete di comunicazione dedicata alla dispositivo-vigilanza" che permetta una maggior diffusione delle informazioni.

OBIETTIVI

Obiettivo del presente lavoro è quello di chiarire il ruolo dell'Hta nelle fasi di (I) individuazione di ciò che per il sistema sanitario debba essere considerato "innovativo", (II) nel finanziamento di tale innovazione e nella conseguente promozione della stessa verso il diffuso utilizzo grazie ai meccanismi della comunicazione scientifica e non. In particolare, tale obiettivo, declinatosi nell'ambito dei lavori di gruppo dell'Edizione 2017 dell'Health Policy Forum della Sihta, si propone di chiarire il ruolo che potrà essere ricoperto dall'Hta in relazione a tre categorie di tecnologie sanitarie: farmaci, dispositivi medici, programmi di sanità pubblica e vaccini.

METODI

L'Hpf, giunto alla sua settima edizione, è un'iniziativa della Sihta svolta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Siti), la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo) e l'Associazione Italiana di Epidemiologia (Aie). Il Forum rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università e caratterizzati da prospettive diverse e diverse specificità. L'Hpf si ispira al Policy Forum dell'Health Technology Assessment International (Htai) (www.htai.org). I lavori del Forum si ispirano alle regole della Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), una serie di principi atti a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione. In base a tali principi, ciascuno esprime opinioni di natura strettamente personale, non necessariamente rappresentative della posizione dell'organizzazione di afferenza.
La tematica guida del 2017 è stata scelta mediante una consultazione on line, per mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno espresso la propria preferenza in merito alle proposte avanzate dal Segretariato Scientifico. Il programma di questa edizione dell'Hpf è stato articolato, come di consueto, in tematiche specifiche che hanno contribuito a definire in che modo l'utilizzo delle logiche di Hta possano supportare l'innovazione tecnologica. A tutti i partecipanti sono stati posti dei quesiti volti ad alimentare lo scambio di opinioni. Il Segretariato Scientifico ha guidato la discussione che ha avuto luogo sia in sessioni plenarie che in tre gruppi di lavoro. Ciascuno dei gruppi è stato impegnato, rispettiva-

mente, a definire il processo di innovazione e il relativo ruolo che potrà essere ricoperto dall'Hta in relazione a tre categorie di tecnologie sanitarie: farmaci, dispositivi medici, programmi di sanità pubblica e vaccini. I gruppi di lavoro sono stati chiamati a sviluppare idee ed applicare le relative competenze al fine di definire la situazione attuale (As is) e a quella tendere (To be) che auspicano per il nostro Ssn in merito al riconoscimento, al finanziamento e alla comunicazione dell'innovazione tecnologica.

RISULTATI

Gruppo 1 – Dispositivi medici

Il gruppo di lavoro numero 1 ha approfondito la situazione attuale (As is) e a quella tendere auspicabile per il nostro Ssn in merito al riconoscimento, al finanziamento e alla comunicazione dell'innovazione nell'ambito dei dispositivi medici. L'ambito dei dispositivi medici è molto complesso e articolato poiché l'uso di un dispositivo medico innovativo non implica necessariamente solo un miglioramento in termini di efficacia della prestazione ma genera nuove competenze, le quali comportano implicazioni su altri processi che interessano le tecniche di trattamento e più in generale l'organizzazione dei servizi sanitari. Un'altra peculiarità del settore dei dispositivi medici riguarda la velocità e la frequenza con cui le innovazioni sono immesse sul mercato. Contestualmente abbiamo da un lato un'industria propulsiva che è senz'altro capace di produrre in maniera tempestiva buona innovazione e dall'altra i payer in cui cresce il fabbisogno di dover riorientare gli acquisti verso innovazioni value-based. Secondo il gruppo di lavoro, nel contesto attuale, l'innovazione dei dispositivi medici viene valutata in maniera informata ed è quindi basata sulle evidenze, anche se risulta essere ancora guidata da interessi diversi e non avviene uniformemente a livello nazionale. Lo scenario auspicabile sarebbe quello in cui il riconoscimento delle innovazioni tecnologiche avvenisse tramite l'applicazione di logiche di tipo Hta e quindi secondo un ottica di tipo multidimensionale. Il processo di valutazione dovrebbe garantire l'identificazione precoce delle innovazioni e comportare di conseguenza l'adozione tempestiva di queste nella pratica clinica. Tale identificazione deve essere value-based e tutte le evidenze, in termini di efficacia sicurezza e l'impatto organizzativo, etico, legale e sociale, dovrebbero essere ampiamente documentate. Si potrebbero però verificare delle situazioni di incertezza in merito al riconoscimento dell'attributo "innovativo". In questo caso sarebbe auspicabile la collaborazione e condivisione delle informazioni tra sog-

getti pubblici e privati nelle seguenti aree: (I) gestione del rischio nella fase di introduzione (introduzione governata); (II) monitoraggio degli esiti; (III) condivisione rischio economico (es. Managed Entry Schemes). Attualmente, non è in genere previsto un finanziamento ad hoc per l'utilizzo di specifici dispositivi medici in un dato percorso di cura, ma il finanziamento rientra in quello della prestazione che ne prevede l'uso. Di conseguenza, non c'è un allineamento tra riconoscimento dell'innovazione e copertura dei costi associati all'utilizzo del dispositivo. Tale problematica, nella maggior parte dei casi, comporta che il valore del Drg non copre il valore dell'innovazione e perciò è necessario definire una remunerazione basata sul beneficio di salute prodotto, valutabile tramite l'applicazione di logiche Hta. Secondo il gruppo di lavoro, la promozione dell'utilizzo dell'innovazione nell'ambito dei dispositivi medici non è strutturata ma è comunque legata all'evidenza clinica e al beneficio di salute associato. A tal proposito il gruppo di lavoro ha espresso la necessità di individuare un "piano di diffusione della tecnologia" tramite logiche Hta.
Infine, vista la sporadica e non sistematica e poco efficace comunicazione riguardante i dispositivi medici innovativi, il gruppo di lavoro identifica la necessità di definire canali e contenuti diversificati per: (I) decisore; (II) professionisti; (III) associazione di pazienti; e la (IV) popolazione in generale.

Gruppo 2 – Farmaci

Nell'ambito della valutazione di nuove tecnologie sanitarie, il grado di innovazione è una caratteristica determinante. Durante l'Health Policy Forum, il gruppo relativo ai farmaci si è concentrato su tre differenti aspetti dell'innovazione: il riconoscimento, il finanziamento e la comunicazione. Per quanto riguarda il riconoscimento dell'innovazione, il gruppo di lavoro ha concentrato l'attenzione sui nuovi criteri per l'innovatività dei farmaci introdotti dall'Aifa con la Determina 519/2017. In generale il gruppo di lavoro ha apprezzato il modello proposto da Aifa ancorché migliorabile su alcuni aspetti che più avanti vengono sintetizzati. In generale il gruppo di lavoro ha concordato sul fatto che l'innovazione "reale" è quella che è in grado di esprimere il proprio valore all'interno della pratica clinica e, di conseguenza, l'innovatività non può che essere legata alla sua "sostenibilità" sotto il profilo economico. Di conseguenza, ogni riflessione sul tema dell'innovatività non può realizzarsi in modo totalmente disgiunto dal tema del suo valore e – quindi – anche del prezzo al quale essa viene acquisita. Le riflessioni del gruppo hanno messo in evidenza quattro aspetti. La prima considerazione riguarda la determinazione del bisogno terapeutico. Al momento questa si fonda

su considerazioni tecniche che emergono dalla lettura che l'Aifa fa, attraverso la Cts, del quadro epidemiologico e del sistema di offerta sanitaria esistente, con particolare riferimento al contesto del farmaco. La definizione del bisogno terapeutico dovrebbe emergere da una analisi di contesto associata ad una visione istituzionale su ciò che il sistema sanitario intende fare per i cittadini nei diversi ambiti di patologia. Questo, quindi, dovrebbe avvenire in maniera preventiva ed indipendente rispetto alla specifica tecnologia in valutazione. Istituzionalmente questo è un ruolo affidato al ministero della Salute (in particolare alla Direzione della Programmazione Sanitaria) di concerto con le Regioni. Questo percorso di definizione dei bisogni, oltre che sulla base delle evidenze disponibili (es. Who, Iss, ecc.), dovrebbe confrontarsi con le diverse prospettive che animano la società e la sanità più in particolare: il coinvolgimento di pazienti e cittadini in primis, ma anche degli operatori sanitari, dovrebbe essere quindi al centro del processo. La seconda considerazione riguarda la definizione del valore terapeutico aggiunto del prodotto del quale si intende giudicare l'innovatività. I criteri della Determinazione 519/17 declinano il valore innovativo rispetto a variabili di natura tecnica, ovvero in relazione alla natura degli end-point e alla dimensione degli "effetti terapeutici". Le caratteristiche degli end-point da considerare sono "generiche" ovvero definite in maniera indipendente rispetto all'area terapeutica e alle caratteristiche della condizione clinica (es. la "gravità", il fatto che la condizione clinica sia life threatening o meno, ecc.) per le quali il farmaco in valutazione è indicato. La stessa nota esplicativa specifica per l'area oncologica dovrebbe essere replicata per tutte le maggiori aree terapeutiche in modo tale da avere delle linee guida per la valutazione più puntuali. In relazione al punto precedente, appare evidente che l'attuale modello non tiene conto del fatto che dimensioni del "valore" sono molteplici e riguardano anche gli aspetti sociali e di percezione della qualità, quelli organizzativi e di conseguenza quelli economici. L'aver ricompreso la "quality of life" tra gli end-point degli studi in grado di declinare il valore terapeutico è certamente un buon punto di partenza per ulteriori sviluppi, ma ancora non garantisce una visione ampia del concetto di "valore". L'ultima considerazione riguarda le implicazioni economiche dell'applicazione dei nuovi criteri. Questi, infatti, appaiono utili per dichiarare una innovatività con implicazioni di natura normativa, garantendo o meno l'applicazione di alcuni "benefici" ma non forniscono indicazioni in merito alle condizioni di rimborsabilità e al livello di prezzo da riconoscere al farmaco. I criteri, di conseguenza, non rappresentano una linea guida operativa per la definizione di un "livello di valore" del prodotto ma lasciano ampi spazi all'interpretazione e alla valutazione

soggettiva, come già accaduto nel passato. La conseguenza è che i criteri individuati rischiano di non aiutare molto la successiva fase di definizione delle condizioni economiche gestita dal Cpr. Per quanto riguarda il finanziamento, invece, il gruppo ha sostenuto che è molto importante superare la logica dei cosiddetti budget a "silos". L'attuale sistema di finanziamento della spesa farmaceutica si basa sulla determinazione a priori di un budget fisso, stabilito in quota percentuale della spesa sanitaria, in una logica di spesa, appunto, per silos che non permette osmosi con altre voci di spesa sanitaria né tantomeno sociale. Inoltre, gli attuali due fondi per i farmaci innovativi non sono determinati in base alla valutazione dei bisogni di salute né secondo i principi dell'Horizon Scanning.
Un'altra criticità individuata dal gruppo è rappresentata dalla mancanza di efficacia dei managed entry agreements (procedure di rimborso condizionato negoziate gestite dall'Agenzia Italiana del Farmaco). Il gruppo ha sostenuto, inoltre, che sarebbe utile commisurare il fondo rispetto al burden of disease, incrementando anche i fondi per la ricerca indipendente.
Per quanto riguarda la comunicazione dell'innovazione, il gruppo ha individuato due aspetti diversi. Il primo riguarda la comunicazione interistituzionale (tra Agenzia del Farmaco e resto del sistema), il secondo, invece, riguarda il grande tema della comunicazione al pubblico e il ruolo dei media. Per quanto riguarda il primo aspetto, si sono sottolineate le opportunità derivanti da un incremento del livello di trasparenza del processo di valutazione dell'innovazione nell'ambito dell'Agenzia del Farmaco. Pur nella consapevolezza delle criticità legate alla confidenzialità delle informazioni nel percorso regolatorio e di prezzo e rimborso, si è ritenuto che maggiori informazioni rese pubbliche sull'applicazioni dei criteri per l'innovatività nelle singole fattispecie siano uno strumento eccezionale per fornire all'industria "linee guida" su ciò che il Ssn intende per innovativo fornendo utili elementi per lo sviluppo della ricerca per la produzione di evidenze. Al tempo stesso questa informazione, resa disponibile agli stakeholder, renderebbe il percorso più robusto grazie all'incremento dell'accountability del processo stesso. Il gruppo, inoltre, suggerisce di prendere in considerazione il modello del National Institute of Healthcare Excellence (Nice) per disseminare le informazioni circa i nuovi farmaci innovativi.
In merito, invece, alla comunicazione al pubblico degli effetti delle nuove molecole, il gruppo ha unanimemente ribadito la necessità di fornire informazioni più chiare e comprensibili per evitare la diffusione di notizie nocive per la salute pubblica (es. anti-vaccinisti). In questo senso, appare cruciale il ruolo dei professionisti della comunicazione che, oltre al proprio codice deontologico che

sempre orienta i loro comportamenti, spesso necessitano di una formazione ad hoc per poter trattare i temi connessi alla salute.

Gruppo 3 – Vaccini e Programmi di Sanità pubblica

Il terzo gruppo di lavoro ha affrontato il tema dell'innovazione con specifico riferimento ai vaccini e ai programmi di Sanità pubblica. Relativamente alle modalità mediante le quali riconoscere l'innovazione, è sembrato opportuno specificare che non si riscontrano rilevanti differenze tra i farmaci, più genericamente intesi, e i vaccini. Quanto effettivamente discusso dal gruppo di lavoro impegnato sul tema dei farmaci può pertanto considerarsi estendibile alla tipologia tecnologica qui in esame. Un discorso a parte, meritano, invece, i programmi di sanità pubblica, e ancora più nello specifico, i modelli organizzativi a supporto di tali modelli. Si parla, in questo caso, della capacità dei decisori di riconoscere ed intercettare nuove modalità organizzative che supportino i programmi di Sanità pubblica. Si riconosce, peraltro, in questo ambito così particolare, lo scarso utilizzo di metodologie come l'Hta quale strumento a supporto della promozione dei programmi di promozione della salute e dei corretti di stili di vita. Un possibile impiego, in questo senso, potrebbe riguardare l'uso dell'Hta nella definizione delle priorità di questi interventi. Strumenti di questo tipo, oltre a porsi a garanzia dell'effettiva e migliore allocazione delle risorse, sono basati su logiche evidence-based, ma anche di trasparenza, condivisione e coinvolgimento. Ciò, in ultimo, ha l'effetto di migliorare l'empowerment dei cittadini. Con riferimento al tema del finanziamento e della promozione, quanto sinora affermato potrebbe essere utile alla costruzione di meccanismi di finanziamento capaci di valorizzare l'innovazione (sia quella tecnologica che quella organizzativa). Nel contesto che si affronta in questo paragrafo, ovvero quello della Sanità pubblica, la misurazione dell'efficacia degli interventi (per esempio, in termini di incremento del tasso di responsiveness o di outcome conseguiti rispetto ai costi sostenuti per l'intervento) e la correlazione di questa a livelli di finanziamento condizionati ai risultati potrebbe supportare questa proposta. Questa esigenza era emersa anche in una delle precedenti edizioni dell'Hpf, nella quale i gruppi di lavoro avevano ragionato sull'opportunità di concepire gli stessi Livelli Essenziali di Assistenza come outcome. Tale approccio, sebbene molto affascinante perché garantirebbe effettivamente l'adozione di un sistema di finanziamento basato sull'effettiva costo-efficacia dei percorsi, appare, ad oggi, come una meta molto lontana perché richiede a monte una struttura solida e capillare dei flussi informativi, una chiara definizione di ciò che può essere inteso come outcome e dei sui confini ed, infine, un impegno esplicito e di lungo periodo da parte dei decision maker a tutti i

livelli. Occorre, infine, riprogettare per questi una congrua attività di comunicazione. Esperienze di comunicazione efficace che si muovono su queste direttrici sono già una realtà. Il caso del Codice europeo contro il cancro può costituire un valido monito ad implementare più efficacemente queste strategie. Si tratta, nello specifico, di un "vademecum" web-based che colleziona una serie (dodici, nello specifico) di azioni che i singoli cittadini possono adottare per prevenire l'insorgenza di malattie oncologiche e che, per essere efficace, richiede che tali azioni individuali siano sostenute dalle politiche e dagli interventi governativi. Il Codice europeo contro il cancro è un progetto cofinanziato dall'Unione Europea ed è coordinato dall'Agenzia Internazionale per la Ricerca sul cancro dell'Organizzazione Mondiale della Sanità. Innovare, in altre parole, significa non solo facilitare la diffusione di prodotti o programmi ad alto ed innovativo contenuto di conoscenza, ma anche innovare le modalità di comunicazione ai cittadini. L'uso della comunicazione tradizionale per la promozione di corretti stili di vita non è più sufficiente, ma è necessario avvalersi dei nuovi strumenti oggi a disposizione, come il web.

CONCLUSIONI E DISCUSSIONE

Lo scenario economico degli ultimi anni ha prodotto un tasso di crescita negativo della spesa sanitaria. Il tentativo di convertire tale trend si è tradotto in una serie di interventi di politica sanitaria che dovrebbero garantire la sostenibilità nel medio-lungo periodo. Tra i vari interventi e le azioni da mettere in campo, l'Hta ricopre un ruolo essenziale. L'introduzione di tecnologie innovative nelle strutture del nostro Ssn dovrebbe essere condizionata alla loro capacità di produrre un valore terapeutico/diagnostico superiore alla tecnologia in uso nella pratica clinica corrente. L'introduzione di una tecnologia innovativa si associa, inoltre, a cambiamenti organizzativi e/o dei processi e a una conseguente rimodulazione dei costi, con un impatto in termini di allocazione della spesa per il Ssn e di obbligo di un'accurata programmazione sanitaria per le Regioni più in particolare.
Il riconoscimento, il finanziamento e la comunicazione dell'innovazione hanno costituito il focus di questa edizione dell'Hpf. Le caratteristiche peculiari di questi tre momenti del processo di innovazione sono state discusse con riferimento a tre diversi tipi di tecnologie (dispositivi medici, farmaci, programmi di Sanità pubblica). Ciascun gruppo di lavoro, con riferimento ad una specifica classe di tecnologie, ha riflettuto sulle attuali modalità di svolgimento di queste fasi tentando di identificarne i punti deboli e proponendo soluzioni per il futuro.
Per quanto riguarda i dispositivi medici, l'utilizzo delle logiche di Hta rappresenta

un elemento imprescindibile poiché la loro adozione comporta un riassetto organizzativo più o meno marcato. Il gruppo di lavoro ha analizzato l'assetto attuale e quello a tendere delle attività di valutazione dei dispositivi medici innovativi, auspicando un maggiore utilizzo delle logiche di Hta sia nell'ambito del riconoscimento che in quello del finanziamento. Il gruppo di lavoro ha anche definito necessaria una collaborazione a tutti i livelli nel caso in cui l'identificazione dell'attributo "innovativo" non fosse di facile assegnazione. Infine, il gruppo di lavoro ha evidenziato la necessità nel breve periodo di definire uno strutturato sistema di comunicazione, diversificata a seconda degli stakeholder a cui è diretta.
Il gruppo di lavoro relativo ai farmaci ha posto particolare enfasi sul riconoscimento dell'innovazione, anche alla luce degli ultimi sviluppi normativi. Sebbene, difatti, i criteri proposti da Aifa rappresentino certamente un primo passo verso una più robusta definizione del valore innovativo di una nuova molecola, alcuni ulteriori criteri di definizione dell'innovazione potrebbero essere esplicitati. La definizione del bisogno terapeutico dovrebbe andare di pari passo con la programmazione sanitaria in capo al ministero della Salute e dovrebbe essere effettuata a monte, costituendo il contesto in cui la nuova tecnologia potrà innestarsi. In merito al valore terapeutico aggiunto dal prodotto del quale si intende giudicare l'innovatività, sarebbe auspicabile una maggiore stratificazione degli end-point da prendere in considerazione in modo da tener conto delle caratteristiche peculiari dell'area terapeutica di interesse. Infine, l'ultima considerazione riguarda le implicazioni economiche dell'applicazione dei nuovi criteri. Questi, infatti, pur decretando una innovatività con implicazioni di natura normativa, non forniscono indicazioni in merito alle condizioni di rimborsabilità e al livello prezzo da riconoscere al farmaco. In merito al finanziamento, si è ritenuto che la tradizionale logica a silos dei nostri comparti di spesa rappresenti in qualche modo una barriera al finanziamento dell'innovazione. Inoltre, il fondo destinato annualmente all'innovazione dovrebbe essere articolato per aree terapeutiche in modo da favorire un più equo accesso all'innovazione da parte dei pazienti. Infine, le considerazioni relative alla comunicazione riguardano due ambiti; da una parte, la trasparenza del processo di innovazione che innescherebbe un circolo virtuoso di generazione delle evidenze e renderebbe l'intero sistema più equo; dall'altra, una migliore comunicazione con gli utilizzatori finali, i pazienti e i cittadini, che eviterebbe la diffusione, sulla base di informazioni non fondate scientificamente, di comportamenti potenzialmente dannosi per la salute propria e altrui.
Il dibattito relativo all'innovazione nell'abito dei vaccini ha prodotto conclusioni sovrapponibili a quelle relative all'ambito farmaceutico. Per i programmi di Sa-

nità pubblica, invece, il gruppo di lavoro ha identificato il riconoscimento dell'innovazione con la possibilità di contare su soluzioni organizzative nuove in grado di supportare i programmi di Sanità pubblica. A fronte di questa esigenza, il gruppo di lavoro ha ribadito l'esigua adozione delle metodiche di Hta nel contesto attuale, pur riconoscendo che tali strumenti, essendo basati sulle evidenze e prevedendo un ampio coinvolgimento delle parti interessate, sarebbero utili al disegno di politiche efficaci, ad estendere al massimo il committment degli operatori e la partecipazione degli utenti (cruciale in questi casi), e alla definizione delle priorità. Il finanziamento dei programmi di Sanità pubblica dovrebbe basarsi sul raggiungimento dei risultati di salute attesi, sebbene questo richieda un complesso sistema di monitoraggio e porti senz'altro con sé la difficoltà di ragionare su risultati di salute che non sono individuali ma collettivi. In merito alla comunicazione, è forse questo l'ambito tecnologico che ha visto la più ampia evoluzione negli ultimi anni. La diffusione di materiali a scopo divulgativo è stata superata in molte realtà dall'utilizzo di tecniche web-based che permettono di raggiungere più facilmente i destinatari di queste politiche.

In conclusione, emerge da più parti la necessità di dotarsi a livello istituzionale di strumenti utili a supportare le attività di regolazione e valutazione, nonché a favorire l'allineamento tra i processi sopra citati. Tali azioni sono concepite come un insieme integrato di misure che supporteranno il Ssn nel raggiungimento di un cambiamento sistematico all'adozione di nuove tecnologie. I policy-maker tentano di migliorare l'efficienza e la qualità dell'assistenza sanitaria offerta, incoraggiando e premiando l'innovazione fino ad accelerarne l'adozione attraverso azioni in grado di semplificare il percorso d'implementazione. In tal senso, alle Istituzioni è assegnato un duplice ruolo: se, da un lato, ad esse attengono le decisioni di inserimento delle tecnologie nel contesto di riferimento, dall'altro, emerge la necessità di garantire una tempestiva e trasparente attività di valutazione al fine di accelerare l'identificazione di quelle tecnologie che presentano maggiori e più robuste evidenze a beneficio del sistema. Per quanto riguarda le tecnologie oggetto di analisi (farmaci, dispositivi medici, vaccini e programmi di Sanità pubblica), l'utilizzo delle logiche di Hta rappresenta unanimemente un elemento imprescindibile, soprattutto nella fase di riconoscimento (e prioritarizzazione) che nella fase del finanziamento. Collaborazione e coinvolgimento degli stakeholder a tutti i livelli diventano poi cruciali per garantire l'aderenza all'utilizzo delle tecnologie. Infine, strategie di comunicazione appropriate e diversificate a seconda dei destinatari concorrono al raggiungimento degli obiettivi di efficacia delle tecnologie in termini di benefici per i cittadini e del sistema nel suo complesso.

BIBLIOGRAFIA

- *Cicchetti A., Leone F., Mascia D., Ricerca Scientifica e Trasferimento Tecnologico. Generazione, valorizzazione e sfruttamento della conoscenza nel settore biomedico, 2007. Franco Angeli/Sanità Ed*
- *Drummond, M. F., Wilson, D. A., Kanavos, P., Ubel, P., & Rovira, J. (2007). Assessing the economic challenges posed by orphan drugs. International journal of technology assessment in health care, 23(1), 36*
- *Agenzia Italiana del Farmaco (2017). Determinazione 519/2017 Criteri per la classificazione dei farmaci innovativi e dei farmaci oncologici innovativi ai sensi dell'articolo 1, comma 402 della legge 11 dicembre 2016, n. 232. Disponibile su: www.aifa.gov (ultimo accesso: ottobre 2017)*
- *Bartels, H. G., Beyer, P., Kampf, R., Krattiger, A., Mirza, Z., Taubman, A., & Watal, J. (2013). Promoting access to medical technologies and innovation. Intersections between public health intellectual property and trade. Disponibile su: http://www.who.int/phi/promoting_access_medical_innovation/en/ (ultimo accesso: ottobre 2017)*
- *Danzon, P. M., & Towse, A. (2003). Differential pricing for pharmaceuticals: reconciling access, R&D and patents. International journal of health care finance and economics, 3(3), 183-205*
- *Greer A.L. (1977). Advances in Study of Diffusion of Innovation in Health Care Organizations. The Milbank Memorial Fund Quarterly. Health and Society, 55(4): 505-532*
- *Institute of Health Economics (IHE) (2015). Optimizing adoption and diffusion of medical devices at the system level. Disponibile su: https://www.ihe.ca/publications/optimizing-adoption-and-diffusion-of-medical-devices-at-the-system-level (ultimo accesso: ottobre 2017)*
- *Provines C.D. (2009). Overcoming organizational barriers to implementing value-based pricing in the medical devices & diagnostics industry. Journal of Medical Marketing, 10(1):37–44*
- *Rolfstam M., Phillips W., Bakker E. (2011). Public procurement of innovations, diffusion and endogenous Institutions. International Journal of Public Sector Management, 24(5): 452-468*
- *Rye B.C. and Kimberly J.R., 2007, The adoption of Innovations by Provider Organizations in Health Care. Medical Care Research and Review, 64(3): 235-278*
- *Solaman, D.A., Chandler, T., Wright, A. (2015). Innovation Ranking in France and Italy: Differences and Their Impact on Pricing and Reimbursement. Value in Health, 18(7):A560*
- *Sorenson C., Kanavos P. (2011). Medical technology procurement in Europe: A cross country comparison of current practice and policy. Health Policy, 100(1):43-50*
- *Tambuyzer, E. (2010). Rare diseases, orphan drugs and their regulation: questions and misconceptions. Nature Reviews Drug Discovery, 9(12), 921-929*

SITOGRAFIA

- *www.aifa.gov*
- *www.htai.org*
- *www.chathamhouse.org.uk*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

18 LA COSTRUZIONE DELLE LINEE GUIDA: QUALE BILANCIAMENTO TRA EVIDENZE E OPINIONI

Sono state esplicitate le fasi relative alla definizione delle linee guida:

- *formulazione;*
- *validazione;*
- *implementazione.*

Tali fasi devono essere realizzate affinché le linee di indirizzo clinico possano effettivamente contribuire al buon funzionamento di un sistema sanitario.

Nella fase di formulazione si sottolinea la necessità di utilizzare l'efficacia comparativa quale approccio prevalente per l'eleggibilità e la valorizzazione delle fonti informative che dovranno essere gerarchicamente ordinate.

L'implementazione delle linee guida è un processo virtuoso che deve tener conto degli aspetti tipici e peculiari di contesto, intorno ai quali si delineano tre pilastri di cambiamento:

- *attività di formazione e comunicazione;*
- *strutturazione delle linee guida e trasferimento nella pratica clinica;*
- *applicazione, ovvero dalle implicazioni che l'implementazione delle linee guida genera in termini di lavoro in team, patient engagement e stili di leadership.*

Un efficace sistema nazionale per le linee guida si basa su tre aspetti cruciali:

- *identificazione chiara del ruolo che il Sistema sanitario intende assegnare al sistema delle linee guida per la governance del sistema stesso;*
- *gestione mediante adeguati strumenti di tutte le fasi del ciclo di vita delle linee guida;*
- *riconoscimento dell'importanza del coinvolgimento degli stakeholder nelle diverse fasi del sistema di governo delle linee guida.*

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Alessandra Fiore, Valentina iacopino, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

18 LA COSTRUZIONE DELLE LINEE GUIDA: QUALE BILANCIAMENTO TRA EVIDENZE E OPINIONI

INTRODUZIONE

La formulazione e l'implementazione delle linee guida sono una tematica strategica di crescente rilevanza all'interno del Sistema sanitario nazionale (Ssn), sia per le organizzazioni nazionali e le società scientifiche, sia per i decisori, i professionisti, i pazienti (Morgano et al., 2015). Recentemente oggetto di un riordino normativo anche nel contesto del Ssn, il tema delle linee guida e della qualità delle evidenze a supporto delle raccomandazioni ha ricevuto grande attenzione da parte di tutti i Sistemi sanitari nazionali, ma anche da parte dei ricercatori ed utilizzatori. Lo sforzo comune, in questo senso, è sempre stato quello di garantire l'implementazione di buone pratiche a supporto delle decisioni cliniche, che si avvalessero della migliore applicazione delle logiche di Evidence Based Medicine (Ebm) nel processo di sviluppo, validazione e disseminazione. Mentre in alcuni casi, però, il rispetto di tali imprescindibili logiche è di più semplice realizzazione, in altri, il conseguimento di questo obiettivo risulta più controverso. Si pensi, ad esempio, al caso in cui non vi sia possibilità alcuna di avvalersi di evidenze robuste, come nel caso di dispositivi molto innovativi, né di dati real-world. In questi casi, il bilanciamento delle evidenze disponibili con le opinioni e le esperienze degli utilizzatori, acquista una rilevanza crescente. Metodi di valutazione della qualità delle evidenze – su tutti il metodo Grade – sono utili a contemperare questi aspetti. La generazione di una raccomandazione non può più, però, avvalersi dei soli end point clinici, tipicamente considerati. Va invece estesa ad altre dimensioni dei trattamenti e dell'impatto ad essi associato. Si tratterebbe, in questo caso, di evidenze extra-cliniche (economiche, su tutte), alle quali assegnare un qualche ruolo nelle decisioni. In questo senso, all'Hta spetterebbe un duplice ruolo: il primo, più tradizionale, di rappresentare uno strumento di sistematizzazione delle evidenze, nel caso in cui, cioè, si considerino le linee guida come fonti informative a supporto del processo valutativo; il secondo, più pionieristico, di metodologia che consenta di interpretare le evidenze nella maniera più

inclusiva e multidisciplinare possibile. Il quesito che si pone al momento è come tale obiettivo di inserimento dei principi dell'Hta nella formulazione delle linee guida possa essere conseguito. Tale dibattito, infine, si innesta in un contesto di eterogeneità geografica, e talvolta valoriale, che rende il tema del bilanciamento ancora più necessario. Questo documento contiene il risultato di un percorso di consenso raggiunto tra professionisti coinvolti nell'ambito della nona edizione dell'Health Policy Forum della Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta) in merito al processo di formulazione, validazione e diffusione delle linee guida. Partendo da una estesa analisi della letteratura in merito al contributo delle linee guida nella governance clinica dei sistemi sanitari, i membri del forum, provenienti dalle istituzioni del Ssn, dalle società scientifiche, dall'industria farmaceutica e dei dispositivi medici e dalle associazioni pazienti hanno condiviso aspetti essenziali in relazione al bilanciamento tra evidenza scientifica ed opinione nella realizzazione, formulazione, validazione e implementazione delle linee guida cliniche.

BACKGROUND

La formulazione delle linee guida

Un'ampia letteratura internazionale supporta l'attività di formulazione delle linee guida (Morgano et al., 2015). A livello nazionale, lo sforzo di sistematizzazione è crescente. Il Sistema nazionale delle linee guida, previsto dal Dm 30 giugno 2004, è stato recentemente riorganizzato in base alla Legge 24 del 2017 con il decreto del Ministro della Salute del 27 febbraio 2018. Il Decreto, attuativo della Legge sulla responsabilità professionale degli esercenti le professioni sanitarie, attribuisce all'Istituto Superiore di Sanità Pubblica la competenza in materia di pubblicazione sul proprio sito internet delle linee guida (e successivi aggiornamenti), della loro definizione e, infine, l'individuazione delle best medical practice (www.salute.gov). Il nuovo Sistema riprende in parte quanto già intrapreso con il precedente Piano Nazionale delle Linee Guida (Pnlg). Viene istituito un Comitato Strategico presieduto dal Presidente dell'Iss, che prevede la collaborazione di associazioni, Enti ed esperti esterni, degli Ordini professionali e delle Società Scientifiche. Tra gli obiettivi di maggior rilievo del Sistema vi è lo sforzo di evitare duplicazioni e sovrapposizioni, la preferibilità di linee guida italiane e a maggior impatto, quelle metodologicamente più valide e un monitoraggio costante in merito alla loro implementazione. A tal fine, l'Iss, per mezzo del Centro Nazionale di Eccellenza Clinica (Cnec), ha proceduto alla pubblicazione sul proprio sito

del Manuale Operativo recante informazioni sugli standard metodologici per la predisposizione delle linee guida e i criteri per la valutazione delle evidenze a supporto delle raccomandazioni ivi contenute. Secondo il Manuale Operativo redatto dal Cnec, la produzione di linee guida si fonda sui seguenti principi: (I) utilizzo delle migliori evidenze scientifiche disponibili; (II) engagement di esperti indipendenti; (III) coinvolgimento dei pazienti; (IV) consultazione degli stakeholder; (V) monitoraggio e aggiornamento continuo; (VI) rispetto dei valori etici; (VII) rigore metodologico (VIII) trasparenza sulle fonti di finanziamento. All'interno del documento sono declinate nel dettaglio fasi e tempi del processo (Cnec, 2018).

Validazione delle linee guida

A livello internazionale, è identificato un numero rilevante di strumenti utili a validare le linee guida (Siering et al., 2013). Tra questi, si identificano (I) strumenti che investigano questioni generali e non prevedono – o prevedono scarsamente – criteri specifici per formulare un giudizio rispetto a precisi requisiti; (II) strumenti che, invece, contengono domande o criteri specifici di valutazione sufficientemente declinati per poter formulare un giudizio rispetto a precisi requisiti; (III) strumenti con poche domande o criteri chiaramente definiti e la possibilità di aggiungere ulteriori considerazioni in forma qualitativa (Graham et al., 2000; Burls, 2010). Sebbene rigore metodologico e trasparenza sul processo siano elementi necessari alla produzione di una linea guida di qualità, essi di per sé non garantiscono raccomandazioni appropriate o migliori risultati di salute per i pazienti, poiché rigore metodologico e qualità del contenuto clinico non sono necessariamente correlati. Lo strumento Agree II, che dispone di una versione italiana validata dal consorzio che lo ha progettato, è lo strumento di riferimento per la validazione delle linee guida nell'ambito del Sistema Nazionale delle linee guida. Il processo di validazione delle linee guida del nuovo Sngl ha un assetto simile a quello proposto dal Nice per il Regno Unito (Nice, 2017). Il Sngl prevede due momenti di validazione nel percorso di generazione delle linee guida: una prima fase di consultazione degli stakeholder, e una fase successiva di valutazione da parte di reviewer esterni (Cnec, 2018). Quando l'oggetto della linea guida riguarda aree nuove e sensibili, le evidenze sul punto di vista degli utenti sono scarse, i destinatari a cui è indirizzata la linea guida non partecipano ai processi decisionali e alle consultazioni, il gruppo di lavoro può, previa autorizzazione da parte del Comitato Tecnico Scientifico, testare sul campo l'applicabilità della linea guida coinvolgendo professionisti e utenti (pilot testing). Prima della firma del Direttore del Cnec e della pubblicazione, la linea guida viene sottopo-

sta alla valutazione di tre referee esterni indipendenti che si pronunciano sia sui contenuti del documento che sul processo metodologico (professionisti sanitari, accademici o persone scelte in base alla loro esperienza specifica sul tema oggetto della linea guida o come metodologi). Nell'attuale sistema nazionale, gli stakeholder hanno la possibilità di richiedere l'inserimento nella piattaforma del Sngl di linee guida già esistenti. Anche in questo caso, esiste una procedura di validazione. Se la linea guida è ritenuta eleggibile, ne viene valutata la qualità del reporting attraverso l'Agree Reporting, la qualità metodologica e la rilevanza delle evidenze citate utilizzando la checklist Agree II. Rispetto alla checklist Agree, la Agree II presenta, nelle diverse dimensioni, un maggiore livello di dettaglio e prevede l'approfondimento di item già presenti nella checklist precedente o l'individuazione di ulteriori item. In questa fase sono coinvolti almeno tre esperti selezionati previa valutazione del confitto di interessi.

L'implementazione delle linee guida

Le linee guida sono uno degli interventi della politica del Ssn per la promozione dell'efficacia e dell'appropriatezza clinica nell'ambito dei rapporti tra i diversi livelli decisionali di governo del Ssn (MdS, 2004). L'implementazione si riferisce a quella parte del ciclo di vita delle linee guida in cui tali strumenti sono introdotti nella pratica clinica per influenzare il comportamento dei clinici (Kashyap, 2011). Quindi, la loro implementazione può essere attuata solo grazie all'ausilio di strategie di intervento appropriate, atte a favorirne l'utilizzo e a rimuovere i fattori di ostacolo al cambiamento. Secondo il Pnlg del 2004 lo schema dei passaggi essenziali per l'implementazione delle linee guida nella pratica clinica è costituito dalle seguenti fasi: (I) formazione di un gruppo multidisciplinare rappresentativo delle professionalità coinvolte nell'applicazione della linea guida; è opportuna la presenza di un facilitatore; (II) identificazione dei cambiamenti necessari attraverso il monitoraggio della pratica clinica corrente. Preparazione delle persone e del contesto. È importante assicurarsi che i professionisti siano ricettivi, con un atteggiamento positivo e che abbiano le necessarie competenze per svolgere le procedure. È inoltre importante coinvolgere i gruppi di pazienti che influenzano le modalità di applicazione nel contesto locale e tener conto delle loro preferenze e punti di vista; (III) scelta delle tecniche di implementazione da usare per promuovere l'uso delle linee guida nella pratica; (IV) azione collettiva e coordinata; (V) monitoraggio regolare e revisione della procedura con un sistema di feedback insieme al gruppo. Tuttavia, non tutte le linee guida possono essere implementate in un determinato contesto organizzativo, anzi alcune

sono risultate più difficili da implementare nella pratica rispetto ad altre. Al fine di comprendere la reale implementabilità delle linee guida in un determinato contesto l'Università di Yale ha definito uno strumento denominato GuideLine Implementability Appraisal (Glia) (Kashyap, 2011). Tale strumento permette l'analisi del documento di orientamento nel suo insieme e della raccomandazione individuale della linea guida. L'implementazione è strettamente correlata al superamento di barriere di tipo strutturale e organizzativo, che sono spesso fonte di disuguaglianza nell'accesso agli interventi sanitari. Alcuni fattori individuati, che ostacolano l'implementazione delle linee guida, sono relativi alle barriere esterne (caratteristiche dei pazienti, tempi stretti, mancanza di risorse, vincoli organizzativi, nessun incentivo), altri riguardano invece gli atteggiamenti e il comportamento dei singoli operatori. È importante sottolineare che in generale, quando si implementa una linea guida nella pratica clinica, è necessario che questa non sia incompatibile con i principi e i valori dei professionisti che la devono attuare e che, unitamente, sia di facile comprensione in modo da consentirne l'implementazione nella pratica esistente senza generare resistenza da parte degli utilizzatori (Weingart, 2014).

FORMULARE, VALIDARE ED IMPLEMENTARE LE LINEE GUIDA: VERSO LINEE DI INDIRIZZO CONGIUNTE

La discussione dei gruppi di lavoro ha avuto l'obiettivo di individuare un consenso tra gli stakeholder in merito alle tre macro-fasi che devono essere percorse affinché le linee di indirizzo clinico possano effettivamente contribuire al buon funzionamento di un sistema sanitario. Il dibattito ha portato ad elementi di consenso in merito a tre aspetti:

- come definire le priorità per l'elaborazione delle linee guida e quali approcci, strumenti e condizioni per la loro elaborazione;
- chi, come e quando è necessario validare le linee guida;
- come passare dalla linea di indirizzo alla sua implementazione nel sistema e nella pratica clinica.

La formulazione

Sul tema della formulazione gli aspetti oggetto di analisi e di ricerca di consenso hanno riguardato (I) il ruolo delle linee guida nella governance del sistema sanitario, (II) i criteri di prioritarizzazione per l'elaborazione delle raccomandazioni, (III) i metodi e (IV) la gestione del problema del conflitto di interesse. La discussione

ha portato in primo luogo a riconoscere che le LG sono uno strumento fondamentale per la *governance* dei sistemi sanitari e il loro obiettivo è quello di fornire indirizzi utili per la pratica clinica soprattutto in condizioni di elevata variabilità della stessa e dei risultati che è in grado di assicurare. Il processo di formulazione delle linee guida, così definite, non può prescindere dal requisito secondo il quale le stesse debbano basarsi sull'esigenza di dare risposta ad un problema di salute. Data questa premessa, è necessario poi identificare i criteri sulla base dei quali definire le priorità di formulazione. Successivamente, e sulla base di tali priorità emergenti, si procede alla definizione del ruolo degli attori principali intervenienti nel processo. Nella fase vera e propria della formulazione, si sottolinea la necessità di utilizzare l'efficacia comparativa quale approccio prevalente per l'eligibilità e la valorizzazione delle fonti informative, che dovranno essere gerarchicamente ordinate. La validazione di queste fonti, infine (Rct e altri studi), deve tenere in considerazione l'outcome che si intende indagare. Il modello Pico, quindi, può essere utilizzato quale indicatore di rilevanza degli studi ai fini della stesura delle linee guida. Come già sottolineato, il contemperamento degli interessi deve essere garantito dalla presenza di team multidisciplinari responsabili del processo di formulazione. Essenziale, in questo caso, è il coinvolgimento delle associazioni dei pazienti, con la possibilità di prevedere dei focus group composti da pazienti che abbiano già avuto esperienze simili in tal senso. Dalla discussione è emerso che la necessità di formulazione di una linea guida derivi prevalentemente da due fattori:

- la variabilità clinica
- il burden of disease

Una maggiore variabilità nelle decisioni cliniche ed un maggior impatto di una specifica patologia sulla popolazione accrescono il bisogno di formulare una linea guida che indirizzi, in modo coerente e comunemente accettato, l'operato di tutti i professionisti sanitari coinvolti nei processi di cura (Figura 1).

Un aspetto di particolare rilevanza risiede poi nella gestione dei conflitti di interesse. In riferimento a questo tema, tale conflitto va inteso in senso ampio. Tale conflitto, in altre parole, occorre anche solo quando gli esperti non abbiano competenze sufficienti a fornire il proprio contributo alla formulazione (cross-check disclosure). Esistono già, in Italia, degli strumenti per verificare il conflitto di interesse (si consideri, ad esempio, l'utilizzo del Disclosure Code della European Federation of Pharmaceutical Industries and Association, Epfia). Si ritiene, in ogni caso, oltremodo importante sottolineare che gli esperti con competenza di dominio, ma recanti un conflitto di interesse in senso stretto, non vadano esclusi dal processo di costruzione, ma lo siano nella fase finale della decisione. Una possibilità, in

questo senso, potrebbe essere quella di costruire un team multidisciplinare sufficientemente ampio, tanto che il peso del singolo possa risultare meno rilevante. Ancora, in una fase di formulazione delle linee guida, risulta necessario definire alcuni indicatori di monitoraggio, che non siano solo di natura clinica. Tra questi, dovrebbe essere considerato il timing della formulazione. La valutazione di questi indicatori, e una certa ciclicità nell'attività di monitoraggio, potrebbero facilitare l'aggiornamento delle linee guida e l'adattamento di quelle già esistenti. Non vanno poi trascurate le attività di pre-divulgazione delle linee guida così prodotte.

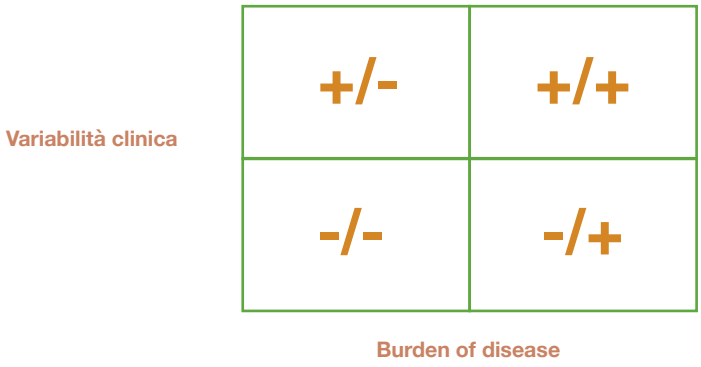
La validazione

Il gruppo di lavoro dell'Hpf ha concordato che una proposta di ottimizzazione del processo di validazione non può che partire dall'analisi dell'attuale assetto che vede nel Programma Nazionale Linee Guida (Pnlg) lo strumento centrale. Partendo da questa doverosa premessa il gruppo di lavoro ha analizzato in modo "critico":

- le fasi dell'attuale processo di validazione;
- i portatori di interesse "legittimo" e le modalità per il loro coinvolgimento;
- il bilanciamento delle diverse istanze e la fase di appraisal.

La fase di analisi è stata seguita dall'elaborazione di una proposta per il miglioramento dell'attuale modello.
In prima battuta, il gruppo di lavoro ha ritenuto necessario chiarire il significato dell'espressione "validazione" esplicitando i possibili oggetti del processo e gli strumenti attualmente disponibili (Figura 2).
Validare significa, quindi, "indagare contenuti di verità" e, nell'ambito del sistema attuale, tale indagine può avere come oggetto aspetti diversi delle linee guida con un grado crescente di accuratezza e implicazioni per il processo di decision making, sebbene caratterizzati da complessità crescente. Alla base della piramide è posta la validazione dell'approccio metodologico utilizzato nella produzione delle linee guida. Tale analisi è utile a fornire non solo spunti di riflessione sul rigore scientifico del processo di produzione del documento, ma anche a valutare la trasferibilità dei contenuti da un contesto all'altro. Esistono in letteratura numerosi strumenti a supporto di questa fase, e il Pnlg ne contempla due ampiamente utilizzati a livello internazionale. Si tratta della scala di validazione metodologica Agree e del pilot testing che può essere utilizzato per apprezzare in un ambito ristretto e controllato l'applicabilità della linee guida. Più complessa è invece la validazione di merito che consiste nel verificare la coerenza delle rac-

FIGURA 1 *I criteri sulla base dei quali definire le priorità di formulazione delle linee guida*



comandazioni con i risultati delle evidenze proposte a supporto. In questa fase, lo strumento Grade, utilizzato "a ritroso" (cioè passando dalla raccomandazione all'evidenza anziché dall'evidenza alla raccomandazione) può risultare utile. In ultimo, la validazione complessiva della linea guida e della sua efficacia non può prescindere da una attenta valutazione degli esiti. Questa, tuttavia, appare più onerosa dal punto di vista degli strumenti e dei tempi necessari. Se da una parte, infatti, il Programma Nazionale Esiti potrebbe rappresentare, nel lungo periodo, una base di dati piuttosto robusta, dall'altro la scarsa esaustività del dato rispetto alla valutazione di effetti a lungo termine, fa nascere l'esigenza di mettere in piedi meccanismi di monitoraggio specifici. Nell'attuale sistema sono oggetto di validazione le linee guida prodotte ex-novo e quelle in fase di aggiornamento o trasferimento (ad esempio le linee guida prodotte a livello internazionale ma candidate all'inserimento della piattaforma nazione). L'intero processo di generazione delle linee guida prevede tre momenti di coinvolgimento di attori esterni al gruppo di lavoro prima della pubblicazione definitiva. Si tratta di: (I) una fase di consultazione degli stakeholder rispetto al primo draft (solo nel caso di produzione di nuove linee guida); (II) la validazione della linea guida emendata da parte di un gruppo di tre revisori esterni e (III) una fase, che ha luogo solo in casi specifici, in cui viene valutata la trasferibilità nella pratica clinica tramite un processo di pilot testing. Idealmente gli stakeholder consultati dovrebbero appartenere alle quattro grandi categorie rappresentate in Figura 3.

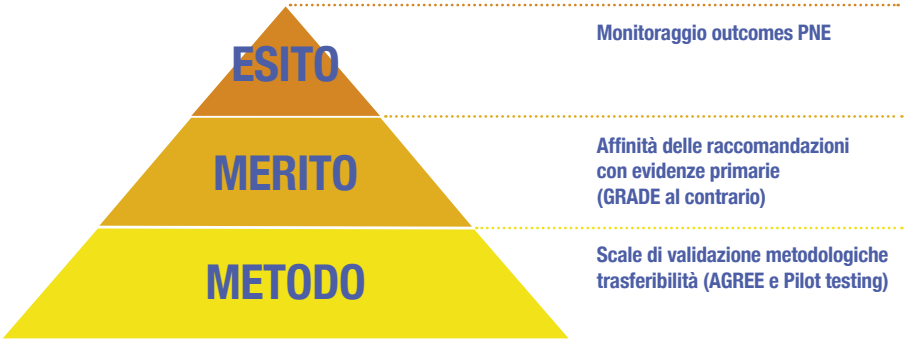
Nel caso di produzione di nuove linee guida, il sistema attuale prevede che soltanto gli stakeholder registrati durante la fase di produzione possano intervenire

nella consultazione e il percorso di genesi della linea guida è tracciato sulla piattaforma del Pnlg. Tuttavia, al fine di facilitare la partecipazione dei portatori di interesse, il gruppo ha proposto di implementare sistemi di "alert" volti a veicolare le candidature dei possibili portatori di interesse. In alternativa, per garantire che le parti interessate siano sempre interpellate, è stata proposta la definizione di una "Lista Zero" di stakeholder inclusiva di un numero limitato di utenti che dovrebbe però contemplare la presenza di rappresentanti della Conferenza Stato-Regioni, di Farmindustria, di Assobiomedica, della Federazione delle Società Medico-Scientifiche (Fism), della Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta), delle associazioni dei pazienti. In merito al contemperamento delle istanze provenienti da parti diverse, il gruppo di lavoro ha trovato appropriati gli strumenti già attualmente in uso che includono l'adozione di metodi oggettivi (es: Delphi), che prevedono un approccio formalizzato alla generazione del consenso, accanto a discussioni aperte, che generano consenso secondo un approccio meno formalizzato. Gli strumenti del primo tipo hanno il vantaggio di creare consenso attorno ad una posizione mediamente condivisa ma richiedono tempistiche molto lunghe; quelli del secondo tipo favoriscono la rapida interazione tra i partecipanti ma portano con sé il rischio che la capacità di leadership prevalga sulla competenza.
Per quanto concerne la gestione trasparente del conflitto di interesse dei possibili esperti candidati a rivedere la linea guida prima della diffusione finale, il sistema attuale prevede già un'attività di controllo, che però, secondo i partecipanti, dovrebbe contemplare una più esplicita stratificazione del livello di coinvolgimento in attività che possono generare conflitti di interesse, specialmente per tener conto del numero ridotto di esperti autorevoli nel caso delle patologie rare. Infine, l'auspicio dei partecipanti per l'evoluzione a medio-lungo termine dell'attuale sistema è che si possa affiancare al giudizio di natura metodologica anche il giudizio sugli esiti, disegnando specifici sistemi di monitoraggio che tengano conto dei diversi tempi di evoluzione delle patologie. Tale strumento dovrebbe essere integrato con altri strumenti di governo dell'innovazione (Mea, Pdta, ecc.).

L'implementazione

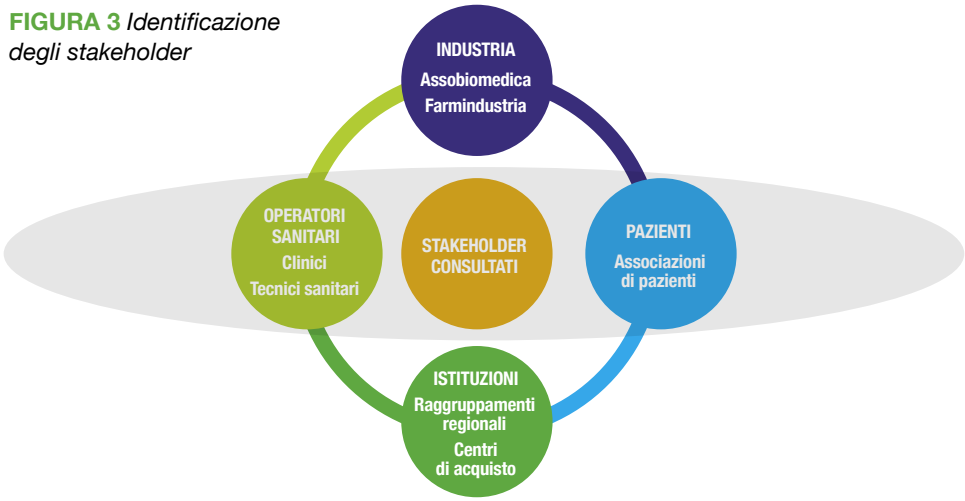
Il momento in cui il lungo percorso di elaborazione e validazione delle linee guida produce valore è quello in cui queste vengono "implementate" nel sistema sanitario. Il conseguimento di un'adeguata implementazione e un diffuso utilizzo delle linee guida presuppone l'approfondimento sia (I) delle modalità e dei mec-

FIGURA 2 *La piramide della validazione*



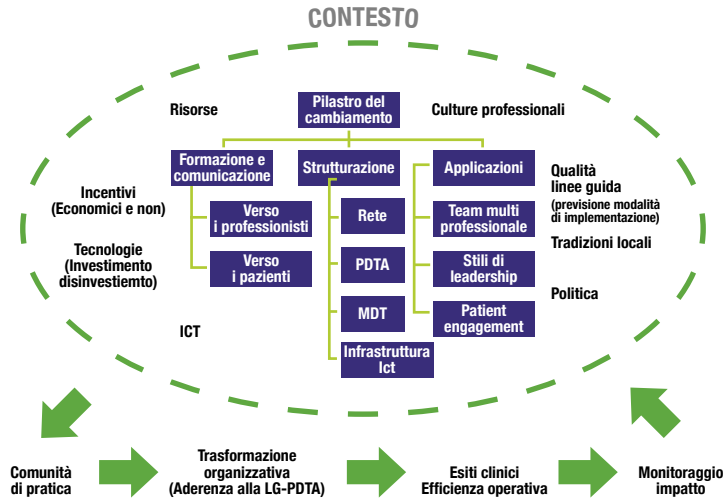
canismi tecnici e i percorsi istituzionali per l'implementazione che (II) del contributo dei diversi portatori di interesse in questo percorso.
L'"implementazione" è quindi una fase essenziale del ciclo di vita delle linee guida. È il momento in cui tale strumento raggiunge lo scopo finale, ovvero quello di "influenzare" il processo decisionale e quindi il comportamento dei clinici. L'esperienza degli ultimi 20 anni ci mostra come l'implementazione delle linee guida non si realizzi in modo "naturale e spontaneo". Sembra essere necessario elaborare strategie di intervento appropriate, atte a favorirne l'utilizzo e a rimuovere i fattori di ostacolo al cambiamento. L'obiettivo principale della fase di implementazione, quindi, consiste nel cambiamento dei comportamenti individuali e collettivi così da ridurre la variabilità indesiderata nella pratica clinica e proseguire nella direzione suggerita dalle linee guida con il fine di ottenere un miglioramento degli esiti clinici. In uno scenario in cui la pratica della medicina si svolge in contesti organizzativi sempre più complessi, dove i contributi professionali individuali devono essere inseriti in processi di cura complessi e tecnologicamente "densi", le linee guida risultano implementate laddove si giunga ad una "trasformazione organizzativa" sostanziale.
Per trasformazione organizzativa intendiamo quel cambiamento che riguarda non solo le strutture formali e le sue regole, ma anche i comportamenti individuali e le relazioni lavorative e sociali sottese alla gestione del percorso di cura. Alla luce della discussione, il gruppo di lavoro ha individuato due diverse prospettive

FIGURA 3 *Identificazione degli stakeholder*



in grado di fornire gli strumenti utili al conseguimento dell'implementazione delle linee guida. Da un lato gli approcci e le pratiche di change management sviluppate nel contesto degli studi manageriali; dall'altro l'ambito di studi conosciuto come *implementation science* (Bauer MS et al., 2015) emerso nel contesto degli studi di sanità pubblica e dalla tradizione dell'evidence based medicine (Ebm).
Change management e implementation science rappresentano, quindi, le prospettive da cui trarre strumenti operativi per condurre la trasformazione organizzativa che trova nella costituzione di una comunità di pratica quella forma di organizzazione del lavoro in team multidisciplinari che la letteratura ha mostrato essere cruciale per migliorare gli esiti delle cure e l'efficienza del sistema. La formazione, più o meno spontanea, e l'impiego delle Comunità di Pratiche (CoPs, si veda a tal proposito Wenger, 1998; Seely Brown and Duguid, 2001; Ferlie and McGivern, 2003), cioè di comunità di professionisti collegati tra loro per condividere conoscenze specifiche e convergenti verso l'adozione di un linguaggio e un'identità comuni, costituisce il segnale più evidente del conseguimento di una reale trasformazione organizzativa. È possibile immaginare, quindi, un processo virtuoso di implementazione che tenga conto degli aspetti tipici e peculiari di contesto, intorno ai quali si delineano tre pilastri di cambiamento.
Il primo pilastro è rappresentato dalle attività di formazione e comunicazione, sia verso i professionisti che i pazienti. Il secondo pilastro è costituito dalla strutturazione delle linee guida e dal loro trasferimento alla pratica clinica mediante gli

FIGURA 4 *I pilastri del cambiamento nel processo di implementazione delle linee guida*



Fonte: nostra elaborazione

opportuni strumenti (reti, Pdta, Team multidisciplinari, infrastrutture Ict). Il terzo ed ultimo pilastro è costituito dalla applicazione, ovvero dalle implicazioni che l'implementazione delle linee guida genera in termini di lavoro in team, patient engagement e stili di leadership. Le comunità di pratiche concorrono alla realizzazione di questi tre pilastri, contribuendo in maniera determinante all'azione organizzativa, alla trasformazione e all'aderenza alle linee guida. In ultimo, esse contribuiscono al raggiungimento dell'efficacia operativa e al conseguimento degli esiti clinici, che dovranno comunque essere monitorati (Figura 4).

Elementi di processo da non trascurare, secondo questo assetto, risiedono nella necessità di allineare l'implementazione e i tempi di aggiornamento, il bisogno di mantenere un'attività di networking interregionale (mediante la formazione di comunità di pratiche "alte", che superino la dimensione interorganizzativa), il coinvolgimento degli stakeholder e la formulazione di indicatori di monitoraggio appropriati. Tali indicatori dovranno essere (I) di processo (a livello di Paese/Regione), volti a misurare l'impatto sulla rete e sui Pdta, e (II) di esito (più tipicamente assimilabili alla dimensione regionale/aziendale), da utilizzare sugli esiti clinici e le misure di efficienza, come i Patient Reported Outcome Measures (Proms) e i Patient Reported Experience Measures (Prems).

CONCLUSIONI

Le linee guida rappresentano uno strumento fondamentale per il governo clinico di un sistema sanitario e per la promozione dell'efficacia e dell'appropriatezza clinica nell'ambito dei rapporti tra i diversi livelli decisionali di governo del Ssn.
Il tema delle linee guida e della qualità delle evidenze a supporto delle raccomandazioni ha ricevuto grande attenzione da parte di tutti i sistemi sanitari nazionali al fine garantire l'implementazione di buone pratiche a supporto delle decisioni cliniche, che si avvalessero della migliore applicazione delle logiche di Ebm nel processo di sviluppo, validazione e disseminazione. La generazione di una raccomandazione va estesa ad altre evidenze extra-cliniche (economiche, su tutte) alle quali assegnare un qualche ruolo nelle decisioni. In questo senso, l'Hta può rappresentare uno strumento di sistematizzazione delle evidenze che permette di mettere a punto una metodologia che consenta di interpretare le evidenze nella maniera più inclusiva e multidisciplinare possibile. I risultati di questa edizione dell'Hpf hanno permesso di esplorare in che modo possano essere bilanciate evidenze ed opinioni nella realizzazione, formulazione, validazione e implementazione delle linee guida cliniche.
In generale ciò che emerge dalla discussione è che un efficace sistema nazionale per le linee guida si basa su tre aspetti cruciali:

- identificare chiaramente il ruolo che il Sistema sanitario intenda assegnare al sistema delle linee guida per la governance del sistema stesso;
- affrontare con adeguati strumenti tutte le fasi del ciclo di vita delle linee guida;
- riconoscere l'importanza del coinvolgimento degli stakeholder nelle diverse fasi del sistema di governo delle linee guida.

L'assenza di uno solo di questi tre elementi fa perdere al sistema la sua capacità di generare gli effetti desiderati. Infatti, il riconoscimento del ruolo delle linee guida ha come conseguenza quella di aderire ad un orientamento culturale profondo che assegna un ruolo centrale all'evidence based medicine nel governo del sistema sanitario. La mancanza di questo elemento fa perdere le fondamenta su cui poter costruire un edificio solido.
È indispensabile dotarsi di approcci e strumenti per governare le diverse fasi che caratterizzano un sistema di *clinical governance* basato sulle linee guida: prioritarizzazione, elaborazione, validazione, implementazione ed infine monitoraggio dell'impatto, presuppongono investimenti culturali ed economici importanti da inserire in una visione olistica ed integrata.

In ultimo, laddove si decida di assegnare al sistema delle linee guida un ruolo centrale per la governance del sistema sanitario, la conseguenza che se ne deve trarre è che gli interessi legittimamente coinvolti nel governo del "ciclo di vita" sono necessariamente molteplici. Pazienti, clinici, ricercatori, manager sanitari, politici e industria devono poter svolgere un ruolo differenziato nelle diverse fasi del "ciclo di vita". Nessun portatore di interesse è da considerare inutile a questo sforzo comune e corale e l'esclusione di qualcuno rischia di far arenare il percorso soprattutto nella fase cruciale dell'implementazione.
Se tutti gli stakeholder possono e devono essere coinvolti, la conseguenza è che i loro interessi debbano essere resi reciprocamente trasparenti e posti in una precisa gerarchia da condividere in un esercizio di condivisione sociale che appare fondamentale per rendere il sistema robusto e durevole nel tempo. In questo esercizio appare evidente che solo l'interesse della persona umana sofferente assume un valore "assoluto": coscienza sociale, consapevolezza dei contesti e dei vincoli sono i pilastri culturali su cui costruire il resto della "gerarchia" dei valori.

BIBLIOGRAFIA

- *ADAPTE Collaboration (2010) Guideline adaption: a resource toolkit; version 2.0. Available: www.g-i-n.net/document-store/adapte-resource-toolkit-guideline-adaptation-version-2*
- *AGREE Enterprise AGREE Reporting Checklist. Disponibile a: www.agreetrust.org/resource-centre/agreereporting-checklist*
- *AGREE Next Steps Consortium (2009) Appraisal of guidelines for research and evaluation II: AGREE II instrument. Available: www.agreetrust.org/index.aspx?o=1397*
- *Bauer MS, Damschroder L, Hagedorn H, Smith J, Kilbourne AM. (2015) An introduction to implementation science for the non-specialist. BMC Psychol. 2015 Sep 16;3:32*
- *Burls A (2010) AGREE II: improving the quality of clinical care. Lancet 376: 1128-1129*
- *Centro Nazionale Eccellenza Clinica. (2018). Procedure per la proposta di inserimento di linee guida nel Sistema Nazionale Linee Guida. Manuale Operativo. Disponibile su: https://snlg.iss.it/wp-content/uploads/2018/04/manuale-operativo-SNLG-v2_aprile-2018.pdf. Ultimo accesso: 20 maggio 2018*
- *Centro Nazionale Eccellenza Clinica. (2018). Manuale metodologico per la produzione di linee guida di pratica clinica. Disponibile su: https://snlg.iss.it/wp-content/uploads/2018/05/MM_v1.1_mag-2018.pdf*
- *Han WV, Pearson TA, Bennett GC, Cushman WC, Gaziano TA, Gorman PN, Handler J, Krumholz HM, Kushner RF, MacKenzie TD, Sacco RL, Smith SC Jr, Stevens VJ, Wells BL. ACC/AHA Special Report: Clinical Practice Guideline Implementation Strategies: A Summary of Systematic Reviews by the NHLBI Implementation Science Work Group: A Report of the American College of Cardiology/American Heart Association Task Force on Clinical Practice*

Guidelines. J Am Coll Cardiol. 2017 Feb 28;69(8):1076-1092

- *Cluzeau FA, Littlejohns P, Grimshaw JM, Feder G, Moran SE (1999) Development and application of a generic methodology to assess the quality of clinical guidelines. Int J Qual Health Care 11: 21-28*
- *Graham ID, Calder LA, Hébert PC, Carter AO, Tetroe JM (2000) A comparison of clinical practice guideline appraisal instruments. Int J Technol Assess Health Care 16: 1024-1038*
- *Kashyap N, Dixon J, Michel G, Brandt C, Shiffman RN (2011). Glia: Guideline Implementability Appraisal V. 2: 0. Available: http://gem.med.yale.edu/glia/doc/GLIA_v2.pdf*
- *ISS. 2014. Il Programma nazionale per le linee guida (PNLG) Come produrre, diffondere e aggiornare raccomandazioni per la pratica clinica. Ministero della Salute. Sistema Nazionale delle Linee Guida. Disponibile su: www.salute.gov (ultimo accesso: 20 maggio 2018)*
- *Morgano GP, Davoli M, Moja L, Amato L, Ferroni E, Tirani M et al. (2015). Guidelines 2.0: sviluppo sistematico di una checklist per la realizzazione di linee-guida affidabili. Recenti Progressi in Medicina, 106 (6): 249-280 NICE (2017). Developing NICE guidelines: the manual. Disponibile su: https://www.nice.org.uk/process/pmg20/chapter/the-validation-process-for-draft-guidelines-and-dealing-with-stakeholder-comments NICE (2014)*
- *James McGowan. Implementation of evidence-based guidance and supporting tools. Disponibile su: https://www.nice.org.uk/*
- *Schünemann HJ et al., GRADE Evidence to Decision (EtD) frameworks for adoption, adaptation, and de novo development of trustworthy recommendations: GRADEADOLOPMENT. J Clin Epidemiol. 2017 Jan;81:101-110*
- *Schünemann H. J., Wiercioch W., Brozek J., Etxeandia-Ikobaltzeta I, Mustafa R. A., Manja V. & Santesso N. (2017) GRADE Evidence to Decision (EtD) frameworks for adoption, adaptation, and de novo development of trustworthy recommendations: GRADE-ADOLOPMENT. Journal of clinical epidemiology, 81, 101-110*
- *Siering U., Eikermann M., Hausner, E., Hoffmann-Eßer, W. & Neugebauer E. A. (2013). Appraisal tools for clinical practice guidelines: a systematic review. PLoS One, 8(12), e82915.Sieri*
- *Weingart SN, Implementing practice guidelines: easier said than done. Isr J Health Policy Res. 2014 Jun 20;3:20*
- *Wenger E. (1998), Communities of Practice: Learning as a Social System.[on-line]. Available: Intp. www.coil.com/coil/knowledge-garden/cop/lss.shtml*
- *Brown J. S. & Duguid P. (2001) Knowledge and organization: A social-practice perspective. Organization science, 12(2),198-213*
- *Ferlie E. & McGivern G. (2003) Relationships between health care organisations. A critical overview of the literature and a research agenda. London: Centre for Public Services Organisation*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

19 L'ECOSISTEMA HTA A LIVELLO EUROPEO

È stato definito il ruolo di un processo di Horizon Scanning (Hs), applicato ai dispositivi medici, ai farmaci, alle tecnologie combinate e ai vaccini, nella programmazione sanitaria del nostro Ssn.

Una valutazione di Hs dei dispositivi medici deve essere realizzata nella fase pre-marketing del dispositivo così da garantire la tempestività di risposta alla richiesta di immissione nel Ssn dei dispositivi medici innovativi, le cui raccomandazioni devono essere utilizzate a livello centrale per prioritarizzare le tecnologie da adottare a livello meso e aiutare a comprendere il ruolo che alcune specifiche innovazioni tecnologiche potrebbero assumere nel soddisfacimento dei nuovi bisogni (unmet needs).

Per i farmaci, lo strumento dell'Hs può essere utilizzato solo per raccogliere dati ed evidenze al fine di sviluppare dei criteri di prioritizzazione volti a creare una metodologia standardizzata. I contenuti di una valutazione potrebbero differire molto a seconda che la molecola oggetto di analisi sia curativa, ritardi la progressione della patologia o gestisca un paziente cronico. Un farmaco oggetto di una valutazione Hs, nel breve periodo (36 mesi), può essere individuato tramite l'utilizzo del "modello Aifa" o del database Euroscan, anche se sul modello Aifa si verrebbe a creare il problema della "confidenzialità". Nel medio periodo (8-10 anni), i database utili allo scopo potrebbero essere individuati su clinicaltrials.gov, andando a indagare principalmente sugli studi di fase 2 e fase 3.

Il processo di Hs di una tecnologia combinata deve far riferimento all'intero percorso assistenziale così da permetterebbe il superamento della logica dei silos (sia a livello Macro che Micro) e di consentire una visione multidimensionale più ampia circa l'impatto di una determinata tecnologia sanitaria sull'intero sistema assistenziale.

AUTORI **Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Alessandra Fiore, Filippo Rumi, Maria Rotundo, Valentina Iacopino, Silvia Coretti, Francesco Saverio Mennini**

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

19 L'ECOSISTEMA HTA A LIVELLO EUROPEO

INTRODUZIONE

L'Health Policy Forum 2019[1], nell'analizzare l'Hta nella sua prospettiva europea, ha dedicato attenzione al contributo che i principi e i metodi dell'Hta possono dare allo sviluppo di approcci innovativi per la programmazione sanitaria.

Lo scenario del Sistema sanitario nazionale (Ssn), già prima dell'emergenza legata alla diffusione del Sars-CoV-2, si caratterizzava per una debole crescita del finanziamento e una strenua ricerca di spazi di efficientamento, sempre più difficili da trovare. Anche per effetto della lunga stagione dei piani di rientro, il Ssn appare sempre più diversificato ed ineguale. Le differenze in termini di dotazioni infrastrutturali, tecnologiche e professionali segnano sempre più un solco tra le varie Regioni italiane. Questo aspetto sembra riverberarsi non solo sulla diversa percezione della qualità dei servizi da parte dei cittadini, ma anche in alcuni fondamentali indicatori di salute.

Una potenziale risposta a questi problemi risiede in una crescente capacità di programmazione e allocazione delle risorse che vede nel livello nazionale uno snodo fondamentale. Al tempo stesso le esigenze del contesto impongono nuovi modelli di programmazione sanitaria e, in questo ambito, nuovi e più avanzati strumenti per il governo dell'innovazione tecnologica in uno scenario nazionale. Tra i nuovi obiettivi che il Ssn si pone per migliorare la propria capacità programmatoria, c'è lo sviluppo di un modello nazionale di previsione della spesa sanitaria, sulla scorta di alcune esperienze già avviate a livello internazionale.

Questa edizione dell'Health Policy Forum è stata dedicata alla comprensione

1 *L'Hpf, giunto alla sua unicesima edizione, è un'iniziativa della Sihta e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università.*

delle possibili sinergie realizzabili in presenza di due importanti innovazioni per il nostro Ssn: da un lato la definitiva affermazione di un'unica istituzione nazionale dedicata all'Hta, proposta avanzata nell'ambito del Patto per la Salute 2019-22, e dall'altro lo sviluppo di un modello predittivo della spesa per il Ssn italiano.
Particolare attenzione è stata posta sull'importanza dei processi di Horizon Scanning che, fondati sui medesimi principi dell'Hta, permettono di proiettare l'analisi dell'impatto della tecnologia nei modelli di predizione.
I membri dell'Hpf sono stati ingaggiati in una riflessione multidisciplinare e multi-stakeholder per delineare il contributo che le metodologie dell'Horizon Scanning possono fornire al miglioramento dell'affidabilità di un modello predittivo per il Ssn.
Il percorso ha previsto una analisi dello stato dell'arte a livello nazionale nell'uso dell'approccio dell'Horizon Scanning anche alla luce delle principali pratiche adottate a livello internazionale. Su questa base si è tentato di delineare i percorsi evolutivi giungendo alla condivisione di alcune raccomandazioni per la promozione delle attività di Horizon Scanning a livello nazionale e in merito al suo utilizzo a supporto della costruzione di un modello predittivo della spesa del Ssn.
La riflessione si è articolata analizzando separatamente tre diversi ambiti tecnologici, ovvero quello (a) dei dispositivi medici, (b) quello dei farmaci e (c) quello delle tecnologie combinate e delle procedure.

BACKGROUND

La dinamica tecnologica nei modelli predittivi di spesa

Lo sviluppo di un sistema di *decision making* razionale e precoce atto ad incentivare l'adozione delle tecnologie sanitarie a valore aggiunto, e quindi innovative, permetterebbe di acquisire, a tutti i livelli del Ssn, dei benefici incrementali e di abbattere le barriere all'ingresso dell'innovazione, al fine di definire le priorità di finanziamento e migliorare l'allocazione delle risorse.
L'evoluzione demografica, i cambiamenti nel panorama epidemiologico e sociale e la stessa dinamica tecnologica che interessa il Ssn, impongono alle istituzioni deputate al governo del sistema di disporre di strumenti appropriati per costruire scenari prospettici, utili a supportare la formulazione di politiche sanitarie efficaci, efficienti e realizzabili.
Difatti, la velocità dei cambiamenti e l'incertezza che accompagna l'evoluzione del sistema economico rendono particolarmente complessa la formulazione di politiche sanitarie che risultino rispondenti ai bisogni dei cittadini e, contestualmente, garantiscano la sostenibilità del sistema sotto il profilo economico e sociale.

È quindi necessario lo sviluppo di supporti conoscitivi utili allo sviluppo di previsioni circa la dinamica dei bisogni e della relativa domanda di servizi che permettano, di conseguenza, di stimare l'impatto sull'assorbimento delle risorse nell'ambito del bilancio dello Stato e delle altre fonti di finanziamento del sistema stesso e che contestualmente deve tener conto delle molteplici spinte al cambiamento del sistema e dei numerosi vincoli esistenti.
Prevedere gli scenari evolutivi del sistema implica, inoltre, di poter disporre di strumenti utili ad interpretare l'evoluzione delle tecnologie e l'impatto sui comportamenti della popolazione in termini sia di consumi sanitari sia di stili di vita. Allo stesso modo, per poter valutare correttamente la reale sostenibilità del sistema, è necessario disporre di strumenti in grado di valutare l'impatto complessivo della Sanità sul sistema economico e fiscale. È, infatti, indubbio che le interrelazioni fra Sanità e sistema economico e sociale sono molteplici e ignorarne i nessi causali impedisce di valutare in modo completo le implicazioni degli investimenti nel sistema sanitario.
Il ministero della Salute, e in particolare la Direzione Generale della Programmazione Sanitaria, ha avviato un vasto programma orientato allo sviluppo di un modello predittivo atto a identificare i potenziali impatti delle scelte di politica sanitaria alternative sullo stato di salute della popolazione e sulla spesa sostenuta dal Ssn. La finalità è quella di dotarsi di un potente strumento a supporto delle difficili scelte che riguarderanno il settore sanitario nel prossimo futuro[2].
La tematica della previsione degli scenari evolutivi della Sanità nei suoi lineamenti generali non è nuova all'interesse degli studiosi e neppure delle istituzioni. Un recente lavoro del Gruppo di ricerca dell'Ocse (Marino et al., 2017) oltre ad offrire un interessante *framework* per la comparazione internazionale dei *trend* di sviluppo della spesa sanitaria, fornisce una esaustiva classificazione delle recenti esperienze di proiezione della spesa a livello internazionale chiarendone limiti e punti di forza (Tabella 1). Diversi Paesi hanno sviluppato modelli predittivi a supporto della programmazione sanitaria nazionale, tra cui l'Australia (2005) e gli Stati Uniti che lo hanno elaborato per valutare l'evoluzione delle spese sanitarie del Medicaid, un programma federale che provvede a fornire aiuti agli individui e alle famiglie con basso reddito salariale (Borger et al., 2008). Certamente rilevante il lavoro svolto da parte della Commissione Europea mediante il Gruppo di lavoro sull'invecchiamento del Comitato di Politica Economica (*Economic*

2 *L'esigenza di dotarsi di strumenti raffinati di programmazione sanitaria appare ancor più significativa a seguito degli effetti che inevitabilmente lascerà la cris sanitaria associata alla diffusione del Sars-CoV-2 (il c.d. Coronavirus).*

TABELLA 1 *Modelli predittivi*

Tipo di modello	Caratteristiche	Vantaggi	Criticità	Esempi
Modelli di Microsimulazione	L'individuo è l'unità principale di analisi. I dati provengono spesso da diverse fonti ed è richiesto un importante lavoro statistico di omogeneizzazione. Nel caso di proiezione dinamica è complicata la stima dei tassi di transizione a livello individuale.	Sono precisi.	Richiedono un grande livello di dettaglio nei dati. Il ruolo di altre variabili esogene nel determinare i comportamenti deriva dall'analisi di serie storiche o dalla letteratura.	Canadian Population Health Model (Statistics Canada 2011); Swedish Long-term Demand for Welfare Services (Klevmarken 2011).
Modelli basati su componenti	Sono basati su coorti o su sottogruppi più ampi della popolazione come unità di analisi e fanno uso facendo uso di importanti divisioni di spesa (e.g. per funzione).	Meno impegnativi dal punto di vista dei dati rispetto ai modelli di microsimulazione. Possono essere facilmente inseriti in modelli più ampi di simulazione della spesa per la previdenza sociale. L'impatto delle politiche può essere misurato variando i parametri.	Difficoltà di esplorare gli impatti distributivi di politiche per controllare la crescita della spesa sanitaria; limitata capacità di testare scenari "what if"; possibilità di testare unicamente ipotesi sul carico futuro di malattia/stato di salute della popolazione; difficoltà di stimare l'impegno della popolazione in stili di vita sani e il suo impatto sulla spesa sanitaria.	European Union/ Ageing Working group model (European Commission 2011); Health Expenditure Growth Projection Method (de la Maisonneuve and Oliveira Martins 2013).
Modelli di livello macro	Utilizzano l'intera popolazione come unità di analisi e non richiedono stratificazioni.	Sono appropriati per proiezioni di breve periodo in presenza di tendenze chiare e indisturbate e assenza di interruzioni strutturali.	Sono in genere i meno esigenti in termini di requisiti dei dati. Questo è il caso soprattutto dei metodi di estrapolazione pura che utilizzano una singola serie temporale e dei modelli basati sulla regressione che molto spesso includono solo alcune variabili esplicative.	Australian Government Productivity Commission Model (2005); US Center for Medicare and Medicaid Services Dynamic Computable GE Model (Borger et al. 2008; Friedman 2010).

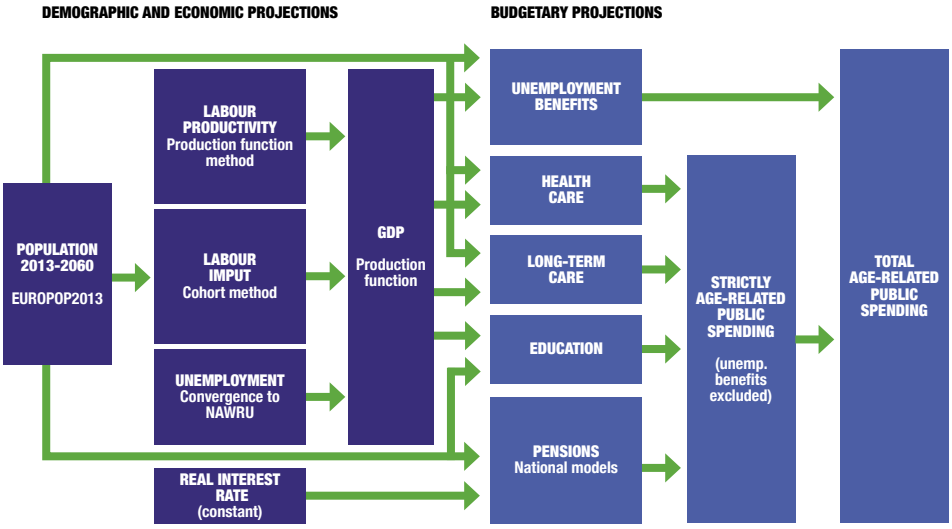
Fonte: Nostra elaborazione da Marino et al., 2017

Policy Committee – Working Group on Ageing, Epc-Wga), che ha prodotto stime dell'evoluzione dei sistemi sanitari tese a definirne le condizioni di sostenibilità futura in un approccio di tipo "macro".
Nella costruzione delle proiezioni della spesa al 2060, il report parte dalla dinamica demografica per intercettare tutte le dinamiche riguardanti il lavoro e il suo impatto sulla produzione del Pil. Su queste basi intercetta i grandi ambiti della spesa pubblica e tra questi dedica uno spazio importante al tema della Sanità. Nell'analisi dell'evoluzione della spesa sanitaria trova uno spazio importante l'impatto dell'innovazione tecnologica considerata come uno dei principali driver per la previsione della dinamica di spesa.
L'analisi della dinamica tecnologica rappresenta una delle variabili "cruciali" analizzata da tutti gli esercizi di predizione a livello globale e la possibilità di elaborare previsioni accurate ed affidabili dipende molto dalla capacità di costruire parametri fondati su una puntuale valutazione del contributo fornito dalla tecnologia nei suoi diversi ambiti, quello del farmaco, quello dei dispositivi e quello delle apparecchiature elettromedicali.

COS'È L'HORIZON SCANNING

L'Horizon Scanning consiste nell'identificazione sistematica di tecnologie sanitarie nuove o emergenti che hanno un potenziale impatto sulla salute, sui servizi sanitari e/o sulla società e che potrebbero essere successivamente considerate per una valutazione di Hta (Htai, Vortal, 2020).
Le attività di Horizon Scanning mirano a identificare, filtrare e prioritizzare le tecnologie sanitarie nuove o "emergenti", e a valutare e/o prevedere il loro impatto sulla salute e sui costi sostenuti all'interno dei vari sistemi sanitari. Proprio sul termine "emergente" è necessario un approfondimento al fine di una corretta identificazione di una nuova tecnologia. Con il termine emergente si intende quella tecnologia che non è stata ancora adottata all'interno di uno specifico sistema sanitario. Con riferimento ai farmaci, si tratterà, ad esempio, di quei principi attivi ancora in fase II o III di sperimentazione clinica, o in fase di pre-approvazione. Con riferimento ai dispositivi medici, si intendano per emergenti quei device ancora in una fase pre-marketing.
Le iniziative di Horizon Scanning costituiscono dunque un importante strumento di informazione per diverse categorie di stakeholder (membri di commissioni, centri di acquisto, professionisti sanitari, erogatori di servizi sanitari, enti deputati al rimborso, agenzie di Hta, comitati per la ricerca, pazienti e organizzazioni

FIGURA 1 *La struttura del modello previsionale (Ue, 2015)*



Fonte: The 2015 Ageing Report (Eu Commission)

di pazienti) tra cui i decision maker.
Le attività di Horizon Scanning, oltre a costituire un importante strumento a supporto dei decisori e altri stakeholder, rappresentano indirettamente uno strumento di tutela a favore dei pazienti in quanto consentono che le tecnologie siano prese in considerazione per la valutazione al momento giusto (vale a dire prima di una loro larga diffusione) proteggendo così i pazienti da tecnologie sanitarie inefficaci e potenzialmente pericolose e sostenendo al contempo l'adozione di quelle tecnologie sanitarie che hanno dimostrato di essere innovative ed economicamente vantaggiose. Per le tecnologie volte a trattare condizioni meno diffuse, i sistemi di allerta precoce possono svolgere una funzione di sensibilizzazione, al fine di facilitare il loro processo di sviluppo e successiva adozione.
Le tempistiche di richiesta delle informazioni circa la tecnologia da parte dei committenti varia a seconda dell'obiettivo di questi ultimi. L'informazione potrebbe quindi essere richiesta:

- diversi anni prima che la tecnologia entri nel sistema sanitario;

- in prossimità della sua introduzione;
- nel momento in cui la tecnologia è introdotta nel sistema sanitario oppure subito dopo;
- successivamente all'immissione in commercio ma quando la sua diffusione è ancora limitata;
- quando sono state approvate modifiche nell'indicazione o nell'uso della tecnologia.

I metodi dell'Horizon Scanning si legano pertanto in maniera rilevante con i modelli predittivi emergenti. Tale aspetto è assai più rilevante a livello nazionale, specie se si considera che le proposte di regolamentazione da parte del Consiglio europeo, supportate, ad esempio, dagli *assessment* comunitari, sono in una fase di stallo. In particolare, i principi e i metodi dell'Horizon Scanning possono consentire di analizzare gli effetti dell'innovazione tecnologica sulla spesa sanitaria, nello specifico:

- supportando i processi di valutazione dell'impatto dell'innovazione tecnologica sulla sostenibilità e sull'evoluzione del Servizio sanitario nazionale in termini di efficacia, efficienza ed accessibilità;
- aiutando a comprendere il ruolo di alcune specifiche innovazioni tecnologiche nella soddisfazione dei nuovi bisogni (unmet needs);
- consentendo la realizzazione di diversi scenari per comprendere le possibili modalità di copertura delle spese associate all'innovazione tecnologica.

Il processo di Horizon Scanning

In generale, un processo di Horizon Scanning include cinque passaggi correlati:

- identificazione e filtraggio;
- definizione di priorità;
- valutazione dell'impatto potenziale;
- diffusione dei risultati;
- monitoraggio e aggiornamento delle informazioni.

1. **Identificazione e filtraggio delle nuove tecnologie sanitarie.** Le informazioni possono provenire da differenti fonti, comprese agenzie di regolamentazione, letteratura scientifica e portali online. Le fonti informative possono essere suddivise in tre gradi:
   - Fonti primarie: sono le fonti più vicine alla tecnologia, come gli sviluppatori commerciali. Gli aspetti positivi nella scelta di utilizzo di una fonte primaria

risiedono proprio nel fatto che essa sia la fonte più vicina alla tecnologia stessa, e dunque quella che meglio ne conosce tutti gli aspetti e le caratteristiche. Tuttavia, emergono delle criticità legate a queste fonti che riguardano il fatto che si possano ottenere informazioni incomplete o incerte (in particolare circa indicazioni e tempi di rilascio delle autorizzazioni, autorizzazione all'immissione in commercio o lancio sul mercato) e la mancanza di comunicazione in quanto alcune aziende non sono disposte a fornire informazioni.

- Fonti secondarie: si tratta di fonti che hanno utilizzato le fonti primarie e possono dunque aver modificato o filtrato le informazioni. Attraverso le fonti secondarie si possono ottenere informazioni precoci (ad esempio attraverso risultati preliminari di studi clinici), inoltre tali informazioni dispongono spesso di servizi di alert via e-mail giornalieri o settimanali. Può però crearsi sovrapposizione tra le fonti e gli argomenti possono essere difficili da monitorare nel tempo.
- Fonti terziarie: costituite da coloro i quali hanno assegnato una priorità alla tecnologia in modo indipendente e molto probabilmente ne hanno effettuato anche una valutazione.

Nel momento immediatamente successivo all'identificazione, si procede al filtraggio delle tecnologie individuate. Il processo di filtraggio è spesso basato sulla dimensione della popolazione, potenziali benefici per la salute e potenziali effetti collaterali. Nel processo di filtraggio si cerca di prendere in considerazione elementi come l'innovatività della tecnologia (è nuova, equivalente ad altre esistenti o è una tecnologia esistente destinata ad una nuova indicazione?), se è di interesse per il sistema sanitario e se ha un potenziale impatto su di esso.

2. Definizione delle priorità per le tecnologie sanitarie. Deve essere valutata sulla base dei bisogni insoddisfatti, innovatività della tecnologia e potenziale impatto sul bilancio. Essenzialmente la scelta avviene secondo criteri clinico-epidemiologici, economico-organizzativi ed etico-sociali.
3. Valutazione del potenziale impatto sulla salute e sull'assistenza sanitaria. Al fine di effettuare una valutazione sulle tecnologie alle quali si è deciso di dare priorità nella fase precedente, è necessario disporre di informazioni sulla tecnologia, sui pazienti e sul contesto e sull'impatto clinico-economico. Tale valutazione deve essere effettuata sulla base di prove, tra cui risultati di studi di fase II/III e parere degli esperti. Mentre per le informazioni di base sulla tecnologia ci si rivolge solitamente alla ditta che produce/sviluppa la tecnologia stessa, potendo così ottenere anche informazioni dettagliate relativamente al livello di sviluppo della tecnologia, ai programmi regolatori e di marketing, agli

studi non pubblicati o in corso, nonché alle informazioni sul prezzo.

4. Diffusione dei risultati presso i principali stakeholder. I mezzi di diffusione dei risultati possono variare da report, schede informative e articoli su rivista a mailing list e presentazione a convegni. In un contesto del genere è di vitale importanza disporre di una strategia di disseminazione che permetta all'informazione prodotta di raggiungere tempestivamente il target corretto.
5. Monitoraggio e aggiornamento delle informazioni fornite. A causa della natura stessa delle valutazioni preliminari, le informazioni utilizzate possono spesso risultare incomplete e dinamiche ed è probabile che possano cambiare o avere sviluppi prima che la tecnologia sia completamente implementata, ad esempio quando vengono resi disponibili ulteriori risultati provenienti da studi o dati provenienti da sistemi di monitoraggio per tecnologie nuove o emergenti. In alcuni casi, l'informazione viene aggiornata e resa disponibile ai committenti, mentre in altri casi è necessario considerare la possibilità di una rivalutazione per includere nuove informazioni (Oortwijn, 2018).

Il panorama internazionale nell'Horizon Scanning

Con riferimento all'identificazione e filtraggio di nuove tecnologie, appare interessante verificare quanto si sta facendo, tanto a livello internazionale quanto all'interno del nostro Ssn.

La principale iniziativa collaborativa a livello internazionale è Euroscan, un network collaborativo che riunisce agenzie, istituzioni ed associazioni scientifiche con l'obiettivo di diffondere informazioni in merito a nuove tecnologie. Rappresenta ad oggi la principale rete di collaborazione a livello mondiale in questo settore. L'attività svolta da Euroscan consiste nella raccolta e condivisione di informazioni sulle tecnologie sanitarie nuove, emergenti o già esistenti per le quali esistono nuove e significative evidenze. La finalità è quella di supportare i processi decisionali circa l'adozione e l'utilizzo di tecnologie efficaci, utili e sicure, e di stimare il loro potenziale impatto sui servizi sanitari e sulle tecnologie già esistenti. Tali informazioni sono sistematicamente sintetizzate all'interno di report di Horizon Scanning, ovvero di documenti di valutazione "rapida" che hanno ad oggetto il possibile impatto, prospettivo e/o previsionale (www.salute.gov.it).

In letteratura sono stati individuati molteplici documenti/attività prodotti da Agenzie nazionali di Hta che con modalità e tempistiche differenti utilizzano l'attività di Horizon Scanning per prevedere l'impatto dell'arrivo di nuovi farmaci, e che tale attività è per lo più finalizzata ad orientare decisioni di copertura e pricing. Tra queste, quella con maggior impatto è l'esperienza del Regno Unito.

L'attività di Horizon Scanning è condotta sistematicamente dal Nihr Innovation Observatory (e i suoi destinatari principali sono il Nice e il National Health Service) che raccoglie evidenze in una fase molto antecedente l'immissione della tecnologia sul mercato (20 mesi prima dell'immissione in commercio e 15 mesi prima per nuove indicazioni di prodotti già utilizzati) al fine di valutare il potenziale impatto di politica sanitaria e l'evidenza di variabilità nell'utilizzo.

Per quanto riguarda i dispositivi medici innovativi, il riconoscimento precoce dell'innovazione e la valutazione del valore clinico aggiuntivo sono fondamentali per il contenimento della spesa che non deve escludere la possibilità di offrire al paziente le tecnologie più efficaci e sicure. Per tale motivo, l'adozione di un dispositivo medico innovativo non può prescindere da una valutazione atta a verificare da una parte il valore aggiunto in termini di efficacia, di sicurezza e dall'altra ha lo scopo di misurare l'impatto favorevole in termini economici, organizzativi ed etici (Ocse, 2017). È molto importante che le attività di Horizon Scanning prendano in considerazione non solo la tecnologia oggetto di valutazione, bensì anche l'intero percorso diagnostico terapeutico del paziente sin dalla presa in carico dello stesso, al fine di valutare l'efficienza dell'intero percorso assistenziale. È dunque auspicabile abbandonare una logica a silos (per tecnologia) muovendosi verso una valutazione della tecnologia legata al percorso del paziente. In questo caso si rende ovviamente necessaria la collaborazione con Associazioni Pazienti e centri di ricerca.

L'Horizon Scanning Research & Intelligence Centre (Hsric) del Nice ha identificato dal 2012 al 2016 quasi 6.000 tecnologie emergenti innovative, delle quali quasi il 33% riguarda tecnologie oncologiche e il 9% quelle utilizzabili nell'ambito neurologico. Considerando la totalità di queste tecnologie, 716 innovazioni riguardano l'ambito dei dispositivi medici e delle biotecnologie e 750 innovazioni l'ambito dei dispositivi medici diagnostici.

Inoltre l'individuazione precoce delle tecnologie combinate e procedure è particolarmente strategica se si considerano le caratteristiche del mercato e la velocità con cui le tecnologie innovative si rendono disponibili nella pratica clinica. Le esperienze internazionali che abbiamo a disposizione (si veda la recente ricognizione dei sistemi di Horizon Scanning a confronto condotta in occasione dell'Htai *Policy Forum* 2018) documentano l'effettiva necessità per i decisori di supportare mediante i principi e i metodi dell'Horizon Scanning l'introduzione di tecnologie diagnostiche e procedure emergenti. A tal fine, in molte realtà nazionali (Austria, Brasile, Canada, Korea, Gran Bretagna, Stati Uniti), sono stati strutturati gruppi dedicati per tali attività. Le modalità di identificazione di tali

tecnologie sono diverse e vanno dalla ricerca sul web di tecnologie emergenti fino alla ricerca di utilizzi *off label* delle tecnologie in esame. Non sono però state riscontrate in letteratura pubblicazioni che descrivessero la vera diffusione delle attività di Horizon Scanning aventi ad oggetto le procedure nei vari Paesi.

Le iniziative di Horizon Scanning in Italia

Con riferimento al contesto nazionale l'Agenas ha promosso, a partire dal 2008, il Centro di osservazione delle tecnologie sanitarie emergenti (Cote), quale strumento per rilevare in modo strutturato e valutare secondo una metodologia condivisa (Euroscan) le tecnologie emergenti destinate ad avere un impatto sul Ssn nei successivi 3-5 anni. Nonostante questo tentativo, i prodotti del Cote non sono mai entrati in maniera strutturata nel processo decisionale ed è mancata l'attività di condivisione con il Governo e le Industrie.

In Italia, le attività di Horizon Scanning per i farmaci rappresentano il focus del progetto Italian Horizon Scanning Project (Ihsp) che identifica, filtra e prioritarizza i farmaci emergenti che saranno sottoposti ad una procedura di autorizzazione all'immissione in commercio (MA) dall'Ema nei successivi 12-36 mesi. Dal 2008 al 2013 sono stati prioritarizzati 39 nuovi farmaci (corrispondenti a 44 indicazioni) dei quali 14 principi attivi per pazienti oncologici, otto per le malattie cardiovascolari e quattro per la sclerosi multipla (Joppy, 2013).

Anche l'Aifa svolge attività di Horizon Scanning che riguardano una raccolta sistematica delle informazioni sui farmaci in sviluppo con potenzialità di ricevere un'autorizzazione all'immissione in commercio nei successivi 12-36 mesi attraverso una procedura centralizzata. L'attività di Horizon Scanning di Aifa è costituita da 3 fasi consecutive (identificazione, selezione e prioritizzazione, valutazione) alle quali si aggiungono ulteriori 2 fasi con diversa periodicità (divulgazione e integrazione nel processo decisionale delle informazioni generate, verifica periodica dei dati prodotti). I rapporti di Horizon Scanning prodotti supportano le diverse attività degli Uffici dell'Agenzia, dei Segretariati di supporto e coordinamento e delle Commissioni tecnico-consultive dell'Aifa. Tutte le fasi dell'attività di Horizon Scanning sono sottoposte a un monitoraggio continuo mediante l'utilizzo di appropriati indicatori (Key Performance Indicators).

La fase di identificazione consiste essenzialmente nella raccolta sistematica di informazioni relative ai nuovi medicinali e alle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già in commercio in arrivo nell'arco temporale di 12-36 mesi. Per la raccolta di queste informazioni vengono utilizzate diverse fonti. I farmaci identificati vengono sottoposti a dei criteri di selezione al fine di escludere alcune categorie

di medicinali con impatto clinico e/o economico noto e, successivamente, a dei criteri di prioritizzazione per la valutazione del presunto impatto clinico ed economico. Per i medicinali potenzialmente più interessanti dal punto di vista scientifico viene approfondito l'aspetto clinico-terapeutico atteso.

L'Horizon Scanning nella realtà nazionale e il contributo allo sviluppo del modello predittivo

La riflessione sul ruolo e le potenzialità dell'approccio Horizon Scanning applicati alla programmazione sanitaria nel nostro Ssn si è sviluppata in tre diversi ambiti tecnologici:

- dispositivi medici;
- farmaci;
- tecnologie combinate e percorsi.

Dispositivi medici

Per quanto riguarda i dispositivi medici si è cercato di definire come prima istanza quali potrebbero essere oggetto di una valutazione di Horizon Scanning. In particolare, i dispositivi medici oggetto di una valutazione si devono necessariamente trovare in una fase di diffusione di tipo pre-marketing, in modo da garantire la tempestività di risposta alla richiesta di immissione nel Ssn dei dispositivi medici innovativi. In tale fase un dialogo trasparente, costruttivo e qualificato del Ssn con l'industria e gli enti di ricerca potrebbe consentire di conoscere con anticipo il lancio di una data innovazione e avviare una valutazione dei benefici clinici ed economici già in una fase di sviluppo precoce. I contenuti, quindi, e le raccomandazioni di report di Horizon Scanning per i dispositivi medici, potrebbero essere utilizzati a livello centrale per prioritarizzare le tecnologie da adottare a livello meso e aiutare a comprendere il ruolo che alcune specifiche innovazioni tecnologiche potrebbero assumere nella soddisfazione dei nuovi bisogni (unmet needs).
In questo contesto, un report di Horizon Scanning dovrebbe, sulla base di evidenze scientifiche, definire la popolazione target e il contesto di riferimento dove la tecnologia potrebbe essere implementata, la destinazione d'uso, l'impatto sul percorso clinico-assistenziale, i potenziali risparmi e il profilo costo-beneficio. Per definire una corretta raccomandazione, si auspica non solo una idonea individuazione delle fonti di letteratura, ma anche un coinvolgimento precoce di differenti interlocutori:

- Associazioni dei pazienti;
- Società Scientifiche;
- Operatori Sanitari.

Per consentire la realizzazione di diversi scenari atti a comprendere le possibili modalità di copertura delle spese associate all'innovazione tecnologica, si auspica che la valutazione di Horizon Scanning consideri un'analisi dei costi di investimento (costi emergenti e costi evitabili), dei costi generati da eventuali processi di disinvestimento e una riallocazione delle risorse disponibili.
Ancora, con riferimento all'impatto dell'innovazione tecnologica sulla sostenibilità e sull'evoluzione del Ssn in termini di efficacia, efficienza ed accessibilità, la valutazione dell'innovazione deve prevedere un'analisi della fattibilità del processo di adozione dal punto di vista gestionale, delle risorse finanziarie e umane e contestualmente deve considerare un *reengineering* degli assetti organizzativi. L'impatto deve essere misurato considerando le eventuali modifiche da apportare al percorso clinico assistenziale del paziente che può essere garantito solo se si instaura un dialogo con tutti gli stakehoder e in particolar modo con le Regioni al fine di garantire l'equità di accesso alle cure.

Farmaci e terapie avanzate

Relativamente ai farmaci, le principali tematiche affrontate riguardano: l'Horizon Scanning a supporto dei processi di valutazione, il ruolo dell'innovazione nella risposta ai bisogni sanitari inespressi (unmet clinical needs) ed infine, l'Horizon Scanning a supporto dei decision maker. Per quanto riguarda i processi di valutazione, si è ritenuto che allo stato attuale l'obiettivo delle attività inerenti agli Horizon Scanning siano poco chiari. Sarebbe dunque necessaria una miglior programmazione volta a prioritizzare ed efficientare gli investimenti in ambito sanitario, utilizzando ad esempio strumenti quali una precisa calendarizzazione (timing) delle attività di valutazione, a fronte del gran numero di nuove tecnologie sanitarie innovative emergenti. Lo strumento dell'Horizon Scanning può essere utilizzato solo per raccogliere dati ed evidenze al fine di sviluppare dei criteri di prioritizzazione volti a creare una metodologia standardizzata. Una volta definiti questi criteri, sarebbe auspicabile condividerli con tutti gli stakeholder coinvolti nei processi di valutazione ad un livello di sistema. Relativamente al ruolo dell'innovazione nella risposta ai bisogni sanitari inespressi, è necessario avere maggiori informazioni circa la tecnologia sanitaria oggetto di valutazione in una fase precoce di sviluppo. Le valutazioni potrebbero differire molto a seconda che la molecola oggetto di analisi sia curativa, ritardi la progressione della patologia o gestisca un paziente cronico. In oncologia ad esempio, possono essere verificate, attraverso il disegno del trial clinico, le linee di trattamento, ma non sempre è possibile capire che tipo di innovazione propone il nuovo farmaco. Questo rappresenta una forte criticità

che rallenterebbe un eventuale processo di valutazione e di prioritizzazione.
Nel breve periodo (36 mesi), si ritiene che l'utilizzo del "modello Aifa" o del database Euroscan possano essere delle soluzioni coerenti, anche se sul modello Aifa si verrebbe a creare il problema della "confidenzialità". Nel medio periodo (8-10 anni), i database utili allo scopo potrebbero essere clinicaltrials.gov, andando a indagare principalmente sugli studi di fase 2 e fase 3, e BioNext. L'ambizione di BioNext, nuova piattaforma che si sta affacciando sul mercato dei big data in Sanità, è quella di diventare la società di riferimento della biologia, raccogliendo e centralizzando, su un'unica piattaforma di big data, tutte le conoscenze disponibili sui dati strutturali e omici, tra cui genomica, proteomica e metabolomica, e creare applicazioni innovative in grado di utilizzare dati. Gli obiettivi di BioNext, dunque, sono accelerare e ridurre il rischio del ciclo di sviluppo di nuovi farmaci, la cui durata e costi medi hanno ormai raggiunto i 12 anni e 1,2 miliardi di euro, promuovendo così l'innovazione terapeutica. Infine, nel lungo periodo (oltre i 10 anni) per intercettare l'innovazione ci si dovrebbe affidare perlopiù a report degli investitori delle start up innovative e pipeline produttive delle aziende produttrici. In sintesi, dunque, gli approcci esistenti hanno respiro globale ma le decisioni avrebbero rilevanza locale. Relativamente agli unmet clinical need, torna centrale il ruolo delle associazioni dei pazienti, fonte assolutamente imprescindibile nel creare criteri condivisi di prioritizzazione delle innovazioni. È altresì necessario stabilire un momento di verifica dei dati previsionali inerenti alle innovazioni terapeutiche (correzione dello storico per rendere le stime più attendibili) raggruppando le innovazioni farmacologiche per aree terapeutiche. Quest'ultimo punto è contraddistinto dalla criticità secondo cui le stime sui prezzi e sulle market share dei nuovi farmaci sono potenzialmente poco attendibili (range molto ampi e differenze per difetto nella real world).

Tecnologie combinate e percorsi

Farmaci, *device*, apparecchiature elettromedicali insieme alle procedure diagnostico-terapeutiche, fino alle moderne tecnologie combinate e a quelle genomiche, identificano un concetto quanto mai ampio e diversificato di "tecnologia sanitaria" (Cicchetti, 2010). Le tecnologie combinate sono tutti gli strumenti e prestazioni per la presa in carico del paziente (principalmente cronico) dalla diagnosi al monitoraggio (filiera *end-to-end*). Alcuni esempi possono essere dispositivi di monitoraggio, dispositivi o applicativi di digital health, strumenti di intelligenza artificiale (algoritmi diagnostici basati su IA), terapie farmaceutiche combinate con un device, wearables, servizi di supporto (trasporto ecc.) e terapie geniche o genomiche. Per quanto concerne gli obiettivi dell'Horizon Scanning, il punto fondamentale è

quello di far emergere le tecnologie in arrivo attraverso la digitalizzazione dei dati delle soluzioni sanitarie più innovative. È necessario, poi, focalizzarsi sull'interno percorso diagnostico terapeutico e non sulla singola tecnologia.
Concentrarsi sull'intero percorso assistenziale permetterebbe il superamento della logica dei silos (sia a livello Macro che Micro) e di avere una visione multidimensionale più ampia circa l'impatto di una determinata tecnologia sanitaria sull'intero sistema e da diversi punti di vista. È altresì di fondamentale importanza valutare all'interno del percorso il ruolo di ogni professionista sanitario coinvolto nei processi di cura e valorizzarlo nell'ambito dell'impatto generale dell'innovazione. Ancora, sarebbe importante formulare nuovi criteri di valutazione su esiti clinici, outcome e tempistiche del percorso.
Appare sempre centrale il tema dei criteri di prioritizzazione da standardizzare e condividere, che potrebbero guidare, in base a modelli previsionali di spesa, gli investimenti in Sanità e lo sviluppo di ulteriori report di Horizon Scanning. La costante accelerazione dell'innovazione e la velocità di arrivo delle nuove tecnologie digitali a supporto del farmaco sono state ulteriori temi di discussione. Alla luce di quanto emerso dal lavoro dei diversi gruppi, appare evidente la necessità di prevedere un aggiornamento sul timing e sulle tempistiche di sviluppo dei report Horizon Scanning e sul generare evidenze in una fase precoce di sviluppo della tecnologa. Un'altra criticità riscontrata, dal punto di vista normativo regolatorio, risiede nel fatto che non sia chiaro quale ente regolatorio e secondo quali normative dovrebbe sviluppare criteri condivisi di prioritizzazione delle tecnologie sanitarie, specialmente quando parliamo di tecnologie sanitarie combinate. Oltre ciò, lo sviluppo di eventuali modelli di impatto economico delle tecnologie emergenti potrebbe essere contraddistinto da un grado di incertezza tale da fallire nella definizione di stime coerenti di impatto sul budget del Ssn. È anche emersa la possibilità di studiare/ prevedere degli schemi di pagamento che tengano in considerazione uno schema di condivisione del rischio per controllare la spesa; schemi simili a quelli ad esempio utilizzati nell'ambito dei farmaci (annuity, managed entry agreements, ecc.).

CONCLUSIONI

La moderna medicina si affida in modo sempre più massiccio alle soluzioni tecnologiche per rispondere ai bisogni di salute espressi dalla popolazione in termini di unmet clinical needs. Tali tecnologie per poter essere adottate nell'ambito del Ssn devono essere valutate e le attività di Horizon Scanning permettono l'identi-

ficazione sistematica di tecnologie sanitarie nuove, emergenti o obsolete e potenzialmente in grado di produrre effetti sulla salute, sui servizi sanitari e sulla società. Tale attività è diversificata e diffusa nel contesto italiano a seconda della tipologia di tecnologia sanitaria e rappresenta un'opportunità per riconsiderare il sistema sanitario come una struttura non più monolitica e non rappresentata da un semplice insieme di portatori di interesse. Coerentemente con le logiche dell'Hta infatti, è necessario un approccio multidimensionale e multiprofessionale nella valutazione delle nuove tecnologie in ambito sanitario. Tutto questo presuppone un nuovo modo di pensare l'organizzazione dei sistemi complessi che interagiscono tra di loro. Dal momento che ci confrontiamo sempre di più con un sistema avente risorse "scarse", le logiche dell'Horizon Scanning e dell'Hta potrebbero essere utili nell'ottica di una miglior allocazione delle risorse sanitarie garantendo un efficientamento generale del sistema. Oggigiorno siamo costretti a confrontarci, specialmente nella realtà italiana, con una variabile demografica tendente all'invecchiamento della popolazione, ad un aumento delle comorbidità e delle condizioni croniche (ad alto impatto economico e sociale) e a tecnologie sanitarie innovative sempre più costose. In tale contesto, si rendono necessarie delle trasparenti valutazioni in merito alle tecnologie sanitarie sostenibili. Infine, risulta essere di fondamentale importanza analizzare le nuove tecnologie sanitarie rispetto agli unmet needs specifici per il contesto di riferimento, cercando di enfatizzare l'impatto dell'innovazione considerando da un lato l'efficacia e la sicurezza e dall'altro l'impatto organizzativo, economico e sociale, informando in modo più completo e coerente possibile le decisioni dei policy maker.

La disamina sviluppata nell'ambito dell'edizione 2019 dell'Health Policy Forum ha permesso di sottolineare le principali caratteristiche delle iniziative di Horizon Scanning a livello nazionale ed internazionale. L'analisi, sviluppata in diversi ambiti tecnologici, ha permesso di chiarire quali sono gli elementi da considerare per sviluppare un approccio di Horizon Scanning che possa essere funzionale a diversi usi nell'ambito del Ssn. Certamente è apparso evidente il ruolo che l'Horizon Scanning già gioca nel contesto dell'attività di valutazione svolta dall'Aifa.

Sono emerse diverse indicazioni che permettono di preconizzare il ruolo dell'Horizon Scanning a supporto della programmazione nazionale e regionale.

È inoltre stato confermato come l'Horizon Scanning possa contribuire in modo sostanziale al percorso di sviluppo di un modello predittivo della spesa del Ssn. In questo senso sono anche individuati i limiti derivanti dall'assenza di un coordinamento a livello nazionale delle diverse iniziative di Horizon Scanning attivate nel tempo e che si sono progressivamente stratificate.

È auspicabile che dalla pluriennale ricerca di un modello nazionale per l'Hta che, al momento, vede nell'istituzione di una Agenzia Nazionale di Hta il nuovo obiettivo previsto dal recente accordo tra Stato e Regioni, possa emergere anche una definitiva sistematizzazione dell'attività nazionale nell'Horizon Scanning.

BIBLIOGRAFIA

- *Cleemput I., Golja, A. (2017). Joint Horizon Scanning for pharmaceuticals. Disponibile su https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-joint-horizon-scanning- pharmaceuticals-i-cleemput-kce-belgium-agolja-dutch-ministry_en.pdf*
- *Douw, K., Vondeling H., Eskildsen D. & Simpson, S. (2003). Use of the Internet in scanning the hori- zon for new and emerging health technologies: a survey of agencies involved in Horizon Scanning. Journal of Medical Internet Research, 5(1), e6*
- *www.salute.gov.it/portale/home.html*
- *2018 Global Policy Forum. Facing the dynamics of future innovation: The role of Hta, industry and health system in scanning the horizon. "The future cannot be predicted, but futures can be invented". Disponibile on line al sito: https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/HTAi_Global_Policy_Forum_2018_Background_Paper.pdf (ultimo accesso: maggio 2019)*
- *European Network for Health Technology Assessment (2018). Horizon Scanning, Topic Identification, Selection and Prioritisation for European cooperation on Hta - Draft recommendations. Disponibile on line al sito: https://www.eunethta.eu/wp-content/uploads/2018/07/180629-Horizon-scanning-recommendations_draft-5_forconsultation.pdf (ultimo accesso: maggio 2019)*
- *Marino, A. et al. (2017), "Future trends in health care expenditure: A modelling framework for cross- country forecasts", OECD Health Working Papers, No. 95, OECD Publishing, Paris*
- *OECD. New Health Technologies: Managing Access, Value and Sustainability, Paris: OECD Publishing, 16 January 2017. Available via: www.oecd-ilibrary.org/social-issues-migration-health/managing-new-technologies-in-health-care_9789264266438-en*
- *Oortwijn, Wija. (2018). Facing the dynamics of future innovation: The role of Hta, industry and health system in scanning the horizon. HTAi Global Policy Forum 2018 Background Paper*
- *Sirven N, Rapp T, Coretti S, Ruggeri M, Cicchetti A. Preventing mobility disability in Europe: a health economics perspective from the SPRINTT study. Aging Clin Exp Res. 2017 Feb 3. doi: 10.1007/s40520- 016-0713-4 [Epub ahead of print]*
- *Agency for Healthcare Research and Quality U.S. Department of Health and Human Services. A Systematic Review of Methods for Health Care Technology Horizon Scanning. 2013. Disponibile on line https://effectivehealthcare.ahrq.gov/topics/horizon-scan/research-2013. Ultimo Accesso Maggio 2019*
- *Commissione Europea. The 2015 Ageing Report: Economic and budgetary projections for the 28 EU Member States (2013-2060). Disponibile on line https://ec.europa.eu/economy_finance/publications/european_economy/2015/ee3_en.htm. Ultimo accesso Febbraio 2020*
- *Fuchs S, Olberg B, Panteli D, Perleth M, Busse R. Hta of medical devices: Challenges and ideas for the future from a European perspective. Health Policy. 2017*

Mar;121(3):215-229

- *Packer C, Simpson S, de Almeida RT. euroscan international network member agencies: their structure, processes, and outputs. Int J Technol Assess Health Care. 2015 Jan;31(1-2):78- 85*
- *Italian Horizon Scanning Project. Documento Programmatico. Aprile 2008. Disponibile on line al s http://horizon.cineca.it/DOC_PROGRAMMATICO_IHSP.pdf. (ultimo accesso: maggio 2019).*
- *Joppi R, Demattè L, Menti AM, Pase D, Poggiani C, Mezzalira L; Italian Horizon Scanning Project Group. The Italian Horizon Scanning Project. Eur J Clin Pharmacol. July 2013, Volume 6, Issue 1, pp 11–21*

SITOGRAFIA

- *www.agenas.it*
- *www.oecd.org*
- *www.salute.gov.it/portale/home.html*

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

20 HTA E NUOVA PROGRAMMAZIONE SANITARIA

È stata condivisa l'importanza di istituire una Agenzia Italiana di Hta quale strumento per realizzare un vero e proprio sistema nazionale di valutazione delle tecnologie sanitarie in grado di governare il processo di innovazione e disinvestimento a livello nazionale, regionale e aziendale;

L'Agenzia Italiana di Hta (AiHta) deve coordinare le attività di Hta per tutte le tecnologie sanitarie a tutti i livelli decisionali, garantire il coordinamento con gli altri enti dell'Ssn che svolgono attività di Hta e promuovere il coinvolgimento di tutti gli stakeholder. È pensata quale tecnostruttura che ha come obiettivo quello di formare il personale, standardizzare i processi e uniformare gli output nell'ambito delle attività di Hta. Può essere un'Agenzia o un'Autorità purché indipendente dalla politica e dai payers, con un unico Committente che definisca in modo univoco il mandato. Il finanziamento dovrebbe avvenire tramite un fondo definito ad hoc.

Sono state definite le attività che l'AiHta deve svolgere:

- *definire e condividere i criteri di prioritizzazione specifici per tecnologia, gli aspetti metodologici e i format di valutazione dei report di Hta costruendo, sul lavoro già effettuato nell'ambito del Programma Nazionale di Hta dei Dispositivi Medici, e adottando le metodologie di valutazione condivise nell'ambito delle principali iniziative di armonizzazione a livello europeo ed internazionale (vedi EuNetHta);*
- *verificare la qualità dei report che ha commissionato ai CC, NrHta e alle UoHta;*
- *definire regole trasparenti di ingaggio dei CC al fine di definire un modello a rete stabile, competente e permanente;*
- *proporre schemi di appraisal non vincolanti per le Regioni.*

AUTORI Americo Cicchetti, Marco marchetti, Alessandra Fiore, Filippo Rumi, Simone Gazzillo, Francesco Saverio Mennini

HEALTH
POLICY
FORUM

Final Paper 20

20 HTA E NUOVA PROGRAMMAZIONE SANITARIA

INTRODUZIONE

L'Health Policy Forum 2020[1], nell'analizzare l'Health Technology Assessment (Hta) nella sua prospettiva nazionale, ha dedicato attenzione al contributo che i principi e i metodi dell'Hta possono dare allo sviluppo di approcci innovativi per la programmazione sanitaria.

È ampliamente accettato dalla comunità scientifica, che l'Hta sia uno strumento atto a valutare gli effetti reali e/o potenziali della tecnologia, sia a priori che durante l'intero ciclo di vita, in modo da prevedere le conseguenze che l'introduzione o l'esclusione di un intervento possa avere per il sistema sanitario, l'economia e la società. Di conseguenza, l'Hta rappresenta lo strumento più adatto per migliorare i processi decisionali, migliorare qualità e sostenibilità delle cure e garantire l'universalismo del Ssn poiché (I) supporta la definizione dei livelli essenziali di assistenza (Lea); (II) permette di gestire in modo ottimale le risorse economiche che costituiscono il Fondo Sanitario Nazionale in uno scenario generale di crisi economica; e infine (III) contribuisce a sviluppare e diffondere nella pratica clinica tecnologie efficaci e costo-efficaci. Ad oggi, molte sono ancora le problematiche che bisogna affrontare e risolvere. Tra queste si ricordano la frammentazione delle competenze, la mancanza di coordinamento delle attività valutative, l'esiguità delle valutazioni prodotte, l'assenza di coinvolgimento di alcuni stakeholder.

Negli ultimi anni molteplici sono state le azioni di indirizzo e di programmazione che il legislatore ha messo in atto per formalizzare l'utilizzo dell'Hta come strumento di governance del Sistema Sanitario Nazionale (Ssn). Con il nuovo Patto per la Salute 2019-2021, è previsto il riordino di Aifa, Iss e Agenas per superare la frammentazione e duplicazione di competenze. L'obiettivo è di rivedere la

1 *L'Hpf, giunto alla sua XI edizione, è un'iniziativa della Sihta e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università.*

governance e i meccanismi operativi di funzionamento. In questo ambito verranno accorpate le funzioni frammentate in materia di Hta in un unico soggetto, a garanzia dell'autorevolezza e dell'indipendenza del processo di valutazione.
I membri dell'Hpf sono stati ingaggiati in una riflessione multidisciplinare e multistakeholder per delineare, nell'ambito della programmazione sanitaria a livello centrale, la struttura organizzativa, la governance e la metodologia di lavoro di un organo centrale dedito a svolgere attività di Hta.
Il percorso ha previsto un'analisi dello stato dell'arte delle attività svolte dalle Agenzie Nazionali di Hta a livello europeo, approfondendo quindi la strategia da mettere in campo per definire le attività che deve svolgere un organismo nazionale di Hta e il suo ruolo di coordinamento tra i vari livelli decisionali al fine di supportare le decisioni di politica sanitaria sugli interventi sanitari.
La riflessione si è articolata analizzando separatamente tre diversi ambiti, ovvero quello (a) delle attività dell'Agenzia Nazionale di Hta; (b) della governance e la metodologia di lavoro; e infine (c) quello di *evidence generation* a supporto delle valutazioni di Hta.

BACKGROUND

Una strategia nazionale di Hta intende supportare le decisioni di politica sanitaria sugli interventi sanitari grazie alla produzione di report basati sull'evidenza, con l'obiettivo di un uso più razionale delle risorse. Un sistema Hta efficiente fornirà supporto decisionale durante l'intero ciclo di vita delle tecnologie, al fine di facilitare l'accesso dei pazienti a tecnologie sanitarie efficaci e che migliorino gli outcome clinici. Tali decisioni dovrebbero allo stesso tempo permettere di ridurre al minimo l'uso di tecnologie inefficaci o dannose e di contribuire a investimenti efficienti ed efficaci in un contesto di risorse sanitarie limitate. Una strategia nazionale di Hta persegue quindi due obiettivi generali: (I) definire un processo decisionale di adozione delle tecnologie sanitarie a tutti i livelli che sia solido e trasparente e basato sull'Evidence Based Medicine; (II) garantire che la metodologia Hta diventi parte integrante del processo decisionale di pianificazione e programmazione delle attività del sistema sanitario. Nella Tabella 1 si riportano le attività che dovrebbe includere un approccio metodologico per lo sviluppo di una strategia nazionale di Hta (Wild, 2017).
L'output di tale attività è un modello istituzionale nazionale di Hta che prevede la descrizione del processo decisionale all'interno del Sistema Sanitario e che unitamente descriva il flusso di informazioni relative alle responsabilità delle

TABELLA 1 *Le attività di un approccio metodologico per lo sviluppo di una strategia nazionale di Hta. (Nostra elaborazione da Wild, 2017)*

Attività dell'approccio metodologico	Sotto-attività
Analisi delle Caratteristiche del sistema sanitario	• Descrizione dettagliata del sistema sanitario e dei processi decisionali (formali e informali), • Suddivisione delle responsabilità decisionali specifiche (investimento, rimborso, disinvestimento) • Descrizione della legislazione e regolamentazione dell'assistenza sanitaria • Descrizione delle responsabilità e dei processi decisionali sugli interventi di sanità pubblica, Servizio ospedaliero
Analisi delle esperienze internazionali	• Individuazione del quadro legale e normativo tra politica sanitaria e Hta • Utilizzo e applicazioni dell'Hta in sistemi sanitari comparabili • Processi e prodotti Hta • Barriere all'uso di Hta e potenzialità per superarle • Integrazione istituzionale delle attività di Hta • Finanziamento delle attività di Hta
Analisi delle percezioni degli stakeholder	• Interviste strutturate a tutti gli stakeholder al fine di individuare le principali caratteristiche e problematiche percepiti sui processi formali e informali nel processo decisionale, sulle barriere percepite nell'utilizzo dell'Hta, sulle competenze esistenti e le capacità necessarie, nonché sulle priorità di valutazione

istituzioni a tutti i livelli decisionali e definisca gli strumenti normativi da mettere in atto per attuare tali decisioni.
Un aspetto da considerare riguarda la definizione del fabbisogno di personale e le competenze delle risorse umane che sono coinvolte nel processo. Tale aspetto si deve basare sul concetto di Capacity Building e quindi vi è la necessità di programmare la formazione del personale sui concetti e le metodologie Hta, di prevedere il coinvolgimento delle capacità esistenti (rilevanti) presenti nelle istituzioni coinvolte nel processo decisionale e di sensibilizzare alle metodiche Hta tutti gli stakeholder (Wild, 2017).

LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL'AGENZIA NAZIONALE HTA

La valutazione delle tecnologie ed i processi di Hta sono strumenti nelle mani dei governi centrali e regionali nonché del management aziendale. La letteratura evidenzia come le modalità di funzionamento, gli scopi e le metodologie che sottendono l'Hta sono stati influenzati dalle caratteristiche intrinseche dei sistemi sanitari (sistema di governance e finanziamento), dai valori che vengono promossi (in termini di equità, efficienza e efficacia) e dalle esigenze e dai modelli di leadership dei decisori politici (Ferrè, 2017). Questo comporta una pluralità di istituzioni di Hta attive a vari livelli organizzativi che hanno sviluppato diversi approcci all'Hta con conseguente eterogeneità nell'architettura organizzativa e dei processi e nel coinvolgimento degli stakeholder. Nella Tabella 2 si riporta l'organizzazione e la governance delle Agenzie di Hta nei 5 Paesi europei.

L'Agenzia Nazionale di Hta dovrebbe promuovere l'utilizzo a tutti i livelli, di metodi già consolidati nell'ambito della valutazione delle nuove tecnologie, al fine di rendere le valutazioni più uniformi possibile tra di loro in modo da promuovere l'utilizzo dell'Hta come strumento di supporto e di raccordo tra mondo tecnico-scientifico e decisori. In quest'ottica, l'Agenzia Nazionale di Hta, rientra nel progetto di creazione di un ecosistema di Hta, il quale permetterebbe di utilizzare criteri più robusti e trasparenti per l'allocazione delle risorse e l'ottimizzazione degli investimenti.

METODI DI VALUTAZIONE: FONTI DATI E EVIDENCE GENERATION

Negli ultimi anni l'Hta ha acquisito progressivamente il ruolo di strumento a supporto delle scelte per l'introduzione di tecnologie sanitarie costo-efficaci e appropriate. Di conseguenza, nell'ambito della definizione dei metodi a supporto delle attività dell'Agenzia Nazionale di Hta, una sfida riguarda la definizione delle tipologie di evidenze necessarie alla valutazione delle tecnologie sanitarie stesse.

I trial clinici randomizzati (Rct) sono convenzionalmente considerati il metodo più affidabile per stimare l'efficacia comparativa delle tecnologie sanitarie, ma possono presentare limitazioni importanti, quali tempi lunghi, impossibilità di randomizzazione in cieco e problematiche di natura etica. Inoltre, anche in caso di disponibilità di evidenza sperimentale, essa può risultare profondamente dissimile da quella osservata nella reale pratica clinica. In particolare, la complessità dei regimi terapeutici, l'eterogeneità demografica e clinica dei pazienti in

TABELLA 2 *L'organizzazione e la governance delle Agenzie di Hta nei 5 paesi europei*

Paese	Governance	Finanziamento	Coinvolgimento degli Stakeholder
FRANCIA (HAS)	Indipendente dal governo centrale, dal Ministero della Sanità e dai fondi di assicurazione. Risponde al parlamento francese	Fonti diverse (e.g. le tasse sulle spese di pubblicità delle aziende farmaceutiche, i contributi per l'accreditamento degli ospedali, tasse sui produttori, l'assicurazione nazionale (NHI), il governo, i redditi da investimento)	Sì, in parte formalizzati
GERMANIA (IQWiG)	Fondato dal Comitato misto federale (G - GA), indipendente dal governo, riceve commissioni da G-BA e dal Ministero della Sanità e rilascia pareri al FJC che emette le raccomandazioni ai fondi di assicurazione sanitaria	Fonti diverse (attività ospedaliere out of pocket, l'incremento del tasso di rimborso per i servizi ambulatoriali e odontoiatrici pagati dai fondi di assicurazione).	Sì, in parte formalizzati
Italia Aifa (farmaci) **MdS/Agenas** (dispositivi medici)	Indipendente dal governo centrale e dal Ministero della salute fornisce linee dal governo guida per il Ssn e per altri stakeholders (e.g. autorità regionali e locali)	Aifa finanziato dalle tasse sulle spese di pubblicità delle aziende farmaceutiche. Agenas finanziato dal Ministero della Salute	Sì, processo molto formalizzato e completo, nel quale risultano formalmente coinvolti i principali soggetti interessati (cioè Agenas), ma in realtà gli altri stakeholder risultano poco coinvolti
Spagna AETS (livello nazionale)	Fondato dall'Istituto di Salud Carlos III, indipendente dal governo centrale, emette raccomandazioni al ISCIII che, a sua volta, dà indicazioni al ministero della Salute	Finanziato principalmente dal Dipartimento della salute (Department of Health)	Sì, ma non formalizzato
Inghilterra (NICE)	Indipendente dal governo centrale, fornisce indicazioni direttamente al servizio sanitario e ad altri stakeholders. Risponde al parlamento inglese	Finanziato principalmente dal Dipartimento della salute (Department of Health)	Sì, processo molto formalizzato e completo, coinvolti i principali stakeholder (ad esempio industria, pazienti, fornitori)

Fonte: Nostra elaborazione da Ferrè 2017

trattamento, il protrarsi nel tempo di molte terapie, e la spesso discutibile aderenza dei prescrittori alle linee guida basate sulle evidenze, oltre che dei pazienti alle raccomandazioni dei medici, spiegano la distanza tra le evidenze generate nell'ambiente controllato, mafittizio, tipico degli Rct, e il loro effettivo impatto nel cosiddetto mondo reale (Corrao, 2017).

In questo contesto, i Real World Data (Rwd) possono rappresentare una fonte informativa fondamentale per supportare i decisori pubblici nelle loro scelte, a complemento dei dati sperimentali, ove disponibili, o in loro sostituzione quando assenti.

Le definizioni di Rwd sono molteplici e non sempre consistenti. Il Policy Forum dell'Htai definisce i Rwdcome "*dati amministrativi e osservazionali che forniscono informazioni sui servizi erogati e sullo stato di salute della popolazione"*. L'International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (Ispor), definisce i Rwd come caratterizzati dal fatto "*che vengono raccolti fuori dagli studi clinici controllati interventistici tradizionali nelle circostanze di vita reale*".

In generale, i Rwd consentono di misurare l'efficacia ed i costi delle nuove tecnologie come riscontrati nella pratica sanitaria reale, con popolazioni (e non campioni selezionati) di pazienti reali e negli ospedali reali, ovvero nei contesti assistenziali quotidiani, tipicamente non in grado di discriminare se gli effetti misurati conseguono alla tecnologia, alle modalità del suo uso, alle condizioni organizzative, o a specifiche caratteristiche dei pazienti trattati. Le evidenze sperimentali (Rct) e quelle osservazionali (Rwd) rappresentano fonti informative complementari. Mentre gli Rct consentono di raccogliere informazioni di buona validità su campioni di pazienti "ottimizzati" per la ricerca ma assai difficilmente generalizzabili alla popolazione di pazienti "qualsiasi" assistiti nella pratica, i Rwd consentono di registrare informazioni potenzialmente applicabili a larga parte della popolazione ma assai difficilmente attribuibili con certezza a qualche specifico fattore (Cabina di Regia, SG5, 2018).

In accordo con quanto definito dall'Ispor, mentre i dati (Rwd) sono semplici materie prime da sole non informative, l'evidenza (Rwe) presuppone l'organizzazione dei dati stessi e il loro trattamento secondo un piano di ricerca predefinito (protocollo) e la conseguente presentazione e interpretazione dei metodi e dei risultati in un documento (report).

L'utilizzo delle Rwe rappresenta un imprescindibile supporto alle valutazioni Hta e alle decisioni di adozione delle tecnologie sanitarie innovative nell'intero ciclo di vita, anche se in letteratura non c'è un chiaro consenso sul valore aggiunto di Rwe nel contesto dell'Hta (Oortwijn, 2019).

Per quanto riguarda l'uso di Rwe da parte degli organismi Hta, uno studio condotto da Murphy et al nel 2018 ha concluso che, come per le Agenzie di Regolamentazione, gli organismi di Hta utilizzano le Rwe per confermare o integrare i risultati degli Rct sugli effetti del trattamento dei farmaci. Tuttavia, gli organismi di Hta preferiscono i dati Rct e nel caso di utilizzo della Rwd richiedono una giustificazione esplicita del loro utilizzo, nonché una discussione sui potenziali bias e sulle conseguenze delle stime applicate agli outcome del trattamento (Oortwijn, 2019).
L'utilizzo dei Rwd da parte di un Agenzia Nazionale di Hta richiede una collaborazione efficace tra tutti gli stakeholder del sistema al fine di guidare lo sviluppo e l'uso ottimali delle Rwe a supporto del decision making, unitamente all'applicazione di alcune strategie che permettano il superamento di alcune problematiche come la qualità dei dati, la loro accessibilità e infine la loro trasferibilità.

OBIETTIVI

Obiettivo del presente lavoro è quello di definire (I) le attività, (II) la governance e la metodologia di lavoro e (III) le modalità di utilizzo dei dati di un'Agenzia Nazionale di Hta. In particolare, tale obiettivo, declinatosi nell'ambito dei lavori di gruppo dell'Edizione 2020 dell'Health Policy Forum della Sihta, si propone di chiarire il ruolo che potrà essere ricoperto da un'Agenzia Nazionale di Hta nella produzione delle valutazioni a supporto delle decisioni sanitarie a tutti i livelli decisionali.

METODOLOGIA DI LAVORO DELL'HPF 2020

L'Hpf, giunto alla sua undicesima edizione, è un'iniziativa della Sihta svolta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (SitI), la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo) e l'Associazione Italiana di Epidemiologia (Aie). Il Forum rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università e caratterizzati da prospettive diverse e diverse specificità.
L'Hpf si ispira al Policy Forum dell'Health Technology Assessment International (Htai) (www.htai.org). I lavori del Forum si ispirano alle regole della Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), una serie di principi atti a mantenere la confi-

denzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione. In base a tali principi, ciascuno esprime opinioni di natura strettamente personale, non necessariamente rappresentative della posizione dell'organizzazione di afferenza. La tematica guida del 2020 è stata scelta mediante una consultazione on line, per mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno espresso la propria preferenza in merito alle proposte avanzate dal Segretariato Scientifico. Il programma di questa edizione dell'Hpf è stato articolato, come di consueto, in tematiche specifiche volte ad alimentare lo scambio di opinioni. Il Segretariato Scientifico ha guidato la discussione che ha avuto luogo sia in sessioni plenarie che in tre gruppi di lavoro.

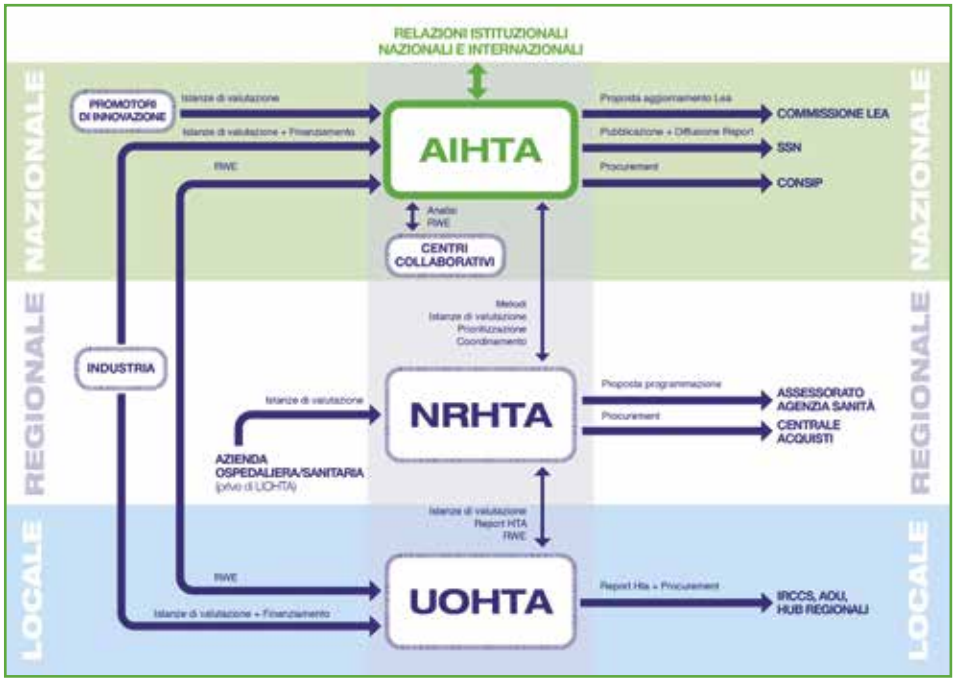
RISULTATI

I gruppi di lavoro sono stati impegnati a definire (1) le attività che l'Agenzia deve compiere approfondendo le modalità di l'integrazione di tali attività con quelle gli altri enti dell'Ssn dedite alla produzione di report di Hta; (2) il modello di governance ottimale dell'Agenzia approfondendo le modalità di coinvolgimento degli stakeholder e le possibili modalità di finanziamento; (3) il ruolo dell'Evidence generation a supporto delle valutazioni di Hta prodotte dall'Agenzia, con particolare riferimento all'utilizzo dei real world data e delle real world evidence. Ciascun gruppo ha lavorato sulla base delle linee di indirizzo approvate dal Direttivo Sihta. I tre gruppi, dunque, si sono cimentati nell'analisi e nella validazione/implementazione della struttura data al documento Sihta.

LE ATTIVITÀ DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA

Riguardo le attività di un'Agenzia Nazionale di Hta e di come tali attività debbano integrarsi ai vari livelli decisionali, si è analizzata la proposta avallata dalla Sihta che suggerisce di implementare un ecosistema di Hta che, sulla scorta di quanto avviene in altri contesti internazionali, vede innanzitutto un processo di produzione dei report di valutazione trasparente e condivisa, fondata sul livello nazionale e che poi si ramifica con responsabilità e attività diverse ma chiaramente definite, fino a quello locale/ospedaliero. Nella figura sottostante di riporta la struttura e le relazioni tra i vari organi del sistema.
L'Agenzia Italiana di Hta (AiHta) è definita come organo che supporta e coordina tutte le attività di Hta sviluppate a livello regionale e locale. L'AiHta deve essere una tecnostruttura che ha come obiettivo quello di formare il personale, standardizzare i processi e uniformare gli output nell'ambito delle attività di Hta svolte a tutti i livelli decisionali. Per definire le specifiche attività che l'AiHta dove

FIGURA 1 *L'ecosistema Hta nazionale proposto dalla Sihta: struttura e relazioni*



svolgere, c'è bisogno di individuare il Committente dell'Agenzia e di chiarire in modo univoco il mandato che questo ultimo le affida. In particolare, il Committente deve definire in modo trasparente quale sia (I) il bisogno di valutazione e le modalità di prioritizzazione di tali bisogni; (II) la gerarchia dei report prodotti ai vari livelli decisionali; e (III) la natura delle conclusioni delle valutazioni di Hta prodotte, esplicitando se queste siano vincolanti per i decisori politici oppure se siano solo delle semplici raccomandazioni.

Alla luce di quanto già definito nel position paper della Sihta, le attività da assegnare all'AiHta già emergono in modo chiaro dai lavori della Cabina di Regia del Programma Nazionale di Hta, il cui scopo era quello di definire un nuovo modello istituzionale di cooperazione tra livello centrale e livello regionale per la ricerca di comportamenti atti a conseguire obiettivi di efficacia clinica, efficienza gestionale e sostenibilità dell'innovazione.

Tra le attività definite nel Position Paper della Sihta, è esplicitata l'identificazione

e la condivisione degli aspetti metodologici e dei format di valutazione dei report di Hta specifici per tipologia di tecnologia sanitaria. Tale impostazione risulta confermata da parte degli stakeholder presenti nel Policy Forum Sihta e si evidenzia come tra i compiti dell'Agenzia ci sia anche quello di definire le priorità di valutazione, di individuare il percorso di definizione delle raccomandazioni e di specificare le modalità di comunicazione di tali raccomandazioni ai diversi stakeholder. Al fine di definire come tali attività debbano essere realizzate, i membri del gruppo di lavoro suggeriscono di considerare i documenti metodologici definiti nell'ambito della Cabina di Regia e le metodologie di lavoro determinate nell'ambito di progetti di ricerca EUnetHta e AdhopHta.

Secondo quanto descritto nel position paper della Sihta, l'attività che deve svolgere l'AiHta in merito all'accreditamento delle Unità Ospedaliere di Hta (UoHta) e dei Centri Collaborativi (CC), ha lo scopo di definire un network collaborativo e formale che realizza e sviluppa iniziative, progetti e interventi volti a ottimizzare le valutazioni sistematiche di Hta. Al fine di definire al meglio la metodologia di accreditamento è necessario considerare sia l'esperienza condivisa nell'ambito dei lavori della Cabina di Regia che quella maturata dall'Agenas nel coordinamento della Rete Italiana di Hta (RiHta). Inoltre, al fine di massimizzare il contributo tecnico scientifico che i CC devono offrire alle attività di valutazione condotte dall'AiHta e dai NrHta, si auspica la definizione di regole trasparenti di ingaggio e l'individuazione degli ambiti valutativi più idonei per un loro coinvolgimento. Il modello auspicato è un modello a rete, stabile, competente e permanente, dove i vari CC collaborano nella produzione di valutazioni di tecnologie e interventi sanitari rilevanti, basandosi sulle capacità e le competenze disponibili al loro interno.

Un ulteriore compito dell'AiHta è definire il fabbisogno di competenze e suggerire un percorso formativo nell'ambito dell'Hta, in tale contesto si evidenzia la necessità che vengano individuati i requisiti professionali di chi si occupa delle attività di Hta sia come personale dell'Agenzia che per quei professionisti che lavorano per conto dell'AiHta.

La prioritizzazione delle richieste di valutazione a livello centrale deve essere realizzata tramite la definizione di criteri di prioritizzazione specifici per tipologia di tecnologia sanitaria, già definiti nell'ambito dei lavori della Cabina di Regia. Per quanto riguarda le valutazioni di tecnologie sanitarie particolarmente innovative, l'AiHta può avvalersi delle competenze dei CC, tenendo conto che tali tecnologie non debbano necessariamente essere valutate a livello centrale, ma che possano essere valutate anche a livello regionale nel caso in cui sorgessero delle particolari necessità di contesto.

In accordo con il position paper della Sihta, si evidenza che un'attività core dell'AiHta deve essere quella di garantire il coordinamento delle attività di valutazione svolte sull'intero territorio nazionale, al fine di evitare la duplicazione dei report su medesime tecnologie. Il coordinamento deve essere verticale ovvero l'Agenzia Nazionale coordina il lavoro delle Regioni che al loro volta coordinano le attività di Hta svolte a livello ospedaliero. Lo scopo di questo coordinamento è di (I) evitare duplicazioni delle valutazioni; (II) incentivare la collaborazione tra le Regioni; (III) garantire che i tempi di valutazione siano rispettati; e infine (IV) monitorare l'attuazione delle raccomandazioni da parte dell'organo centrale. Al fine di ottimizzare il lavoro svolto e evitare la duplicazione delle valutazioni, si rende necessario utilizzare il modello del Pop Database, definito nell'ambito del progetto EUnetHta, che rappresenta uno strumento destinato a raccogliere informazioni sulle tecnologie che i differenti organi di Hta hanno in corso di valutazione o hanno in programma di valutare.
Tra le attività che l'AiHta sarebbe chiamata a svolgere, vi è necessariamente la programmazione delle attività di Hta. Al fine di garantire una corretta programmazione, bisogna considerare sia le tempistiche che i contenuti della valutazione, individuando unitamente i diversi soggetti valutatori da coinvolgere.
La verifica della qualità dei Report Hta nazionali, regionali e/o ospedalieri, rappresenta un'attività cruciale dell'AiHta poiché garantisce la qualità delle raccomandazioni. A tal proposito, il compito dell'AiHta dovrebbe essere quello di realizzare una revisione burocratica di tutti i report di Hta prodotti, e che tale valutazione debba essere realizzata grazie all'adozione di griglie di valutazione definite nell'ambito del network di InaHta o del progetto Europeo AdhopHta. L'AiHta può entrare nel merito della valutazione, e quindi garantire la qualità della metodologia adottata nella produzione di report a livello regionale e ospedaliero, solo nel caso in cui le raccomandazioni di tali report fossero adottate a livello centrale.

LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA

In questo paragrafo si affronta il tema della definizione di un Modello di Governance e della metodologia di lavoro che dovrebbe avere un'Agenzia Nazionale di Hta. In particolare, è complesso definire un'analisi/valutazione della tecnologia e di Governance di un ecosistema per l'Hta nel contesto nazionale se non è ben chiaro cosa vi sia intorno, quale è il contesto in cui si opera. Nel sistema costituzionale ed istituzionale italiano la governance a livello nazionale potrebbe prevedere sia la soluzione di un'Agenzia che di una Autorità. In ogni caso sareb-

be importante tutelare la "indipendenza tecnica" dell'istituzione e la sufficiente continuità della sua direzione.
Da qui l'importanza del concetto di ecosistema. Il termine ecosistema richiede l'esistenza di una pluralità di attori, di un certo livello di eterogeneità in termini di natura, ruoli e competenze degli attori stessi, e di un equilibrio tra le parti in tutte le fasi di assessment e appraisal. In questo senso, chi fa parte dell'ecosistema, deve agire nell'interesse dell'ecosistema stesso e dei suoi equilibri. L'ecosistema necessità di un coordinamento al fine di evitare duplicazioni e di indirizzare le azioni di tutti gli attori, combinando gli sforzi individuali e creando sinergie tra di essi così da raggiungere gli obiettivi prefissati nel modo più efficace possibile. Particolare attenzione va riservata allo stakeholder cittadino/paziente/caregiver, alle società scientifiche e all'industria. Il cittadino/paziente/caregiver riveste il ruolo plurimo e differenziato di portatore di interessi della comunità, contribuente, fruitore del servizio, portatore di patient evidence, valutatore di outcome. Le società scientifiche e associazioni/ordini professionali possono fornire le migliori ed aggiornate competenze in fase di valutazione e supportare la diffusione capillare e la comprensione corretta dei report prodotti. L'industria si propone come portatore di innovazione tecnologia e metodologie di supporto alla generazione e alla valutazione delle evidenze in ottica "Value Based". Come largamente dibattuto, ci saranno 3 livelli principali (e quindi 3 livelli di strutture): quello centrale (Agenzia), quello regionale (unità regionali) e quello locale (unità ospedaliere). A queste si affiancheranno altre Istituzioni come Aifa, Iss ed Agenas a livello centrale, e gli uffici di Hta a livello sia regionale sia eventualmente delle singole strutture sanitarie. Dalla mappatura delle relazioni tra i suddetti soggetti, emergono criticità che portano alla seconda tematica e quindi alla definizione della metodologia di lavoro. Si rende necessario l'utilizzo di metodologie multidisciplinari e multidimensionali che devono essere chiare e condivise. I metodi da adottare dovrebbero essere quelli già consolidati anche a livello internazionale. Tuttavia, tali metodi spesso sono poco seguiti oppure interpretati con discrezionalità e adottati in forme poco omogenee tra loro. L'Agenzia indicherà, al proponente, il metodo valido per il raggiungimento dell'obiettivo (es. corretto tipo di analisi economica, corretta dimensione del dato epidemiologico, modalità patient reported outcome) con eventuale supporto dei centri collaborativi. La problematica dei metodi va di pari passo con dei dati disponibili che sono molto frammentati. Ci deve essere condivisione dei dati ed armonizzazione dei database (i database devono dialogare tra loro e i sistemi informativi ed informatici -amministrativi e clinici- devono essere interoperabili) in modo da superare la disponibilità frammentata sul territorio dei dati stessi (superare i silos organizzativi

e centrare sui cittadini/pazienti), l'utilizzo dei dati in modalità disomogenee, oltre ai problemi di natura giuridica ed organizzativa. L'Agenzia deve fare da collettore e coordinatore dei dati, senza trascurare l'interoperabilità dei sistemi informativi e informatici, sia amministrativi che clinici. A livello centrale occorre stabilire delle Linee Guida da condividere con l'intero Ecosistema, anche grazie alla costituzione di uffici per "regolare" specifici argomenti (ad es. divisione tra farmaci e dispositivi medici). Avere maggior condivisione in termini di metodologie e dati non vuol dire generare soltanto sforzi e report più omogenei tra loro, ma anche avere degli strumenti e un piano di azione ben definiti che consentono maggior tempestività di intervento. Nell'Ecosistema Hta, i Centri Collaborativi devono avere funzione di collegamento e di supporto a livello regionale e locale, ovvero dove c'è maggior disomogeneità nella raccolta dei dati e nella produzione dei report, anche a causa delle disuguaglianze. Tra i Centri Collaborativi ci sono prevalentemente centri universitari, centri di ricerca, associazioni di pazienti, che però abbiano un background verificabile di esperienza nel settore tramite curriculum e siano coordinati in termini di priorità. Una rete di Hta Doers diffusa per essere funzionale al sistema, è opportuno che condivida un processo di priority setting. Inoltre, la produzione di Hta a livello di centri collaborativi necessita di una condivisione dell'impostazione della valutazione con i decisori centrali, regionali e con gli utilizzatori dell'Hta, e dello scoping dei report con stakeholders e decisori.

Altro punto è il coinvolgimento dei rappresentanti delle regioni a livello centrale. Per l'operatività dell'Agenzia Nazionale è importante che i rappresentanti regionali abbiamo una forte delega decisionale, per meglio trasferire a livello regionale e eventualmente locale le decisioni assunte.

Per quanto riguarda il finanziamento, la principale fonte dovrà sicuramente essere di tipo pubblico, quindi lo Stato dovrà mettere a disposizione le risorse per il progetto attraverso un finanziamento pubblico diretto (costituzione di un fondo ad hoc per finanziare l'Agenzia).

A questo si potranno affiancare forme di finanziamento privato, dichiarate e condivise, a fronte di risultati utili e tangibili e di un ritorno immediato. Una possibilità potrebbe essere, ad esempio, quella di correlare il processo di valutazione di una tecnologia sanitaria (che sia essa una terapia farmacologia o un dispositivo medico) ad un sistema prestabilito di tariffazione (va quindi considerata la possibilità di istituzione dello stesso), differenziato per livello di valutazione adottato e per tipo di tecnologia studiato. Ulteriori finanziamenti privati potranno arrivare da chiunque abbia interesse, come associazioni di pazienti e cittadini (non in forma di tassazione ma 5x1000).

EVIDENCE GENERATION A SUPPORTO DELLE VALUTAZIONI DI HTA DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA

Nell'ambito della generazione di evidenze a supporto delle valutazioni Hta è necessario valutare le evidenze dal punto di vista del valore, della "robustezza" e del metodo con cui sono generate. Su questo punto vengono individuate due principali criticità. La prima riguardante la scarsità di evidenze multidimensionali. La seconda riguardante la difformità nei metodi di "evidence generation". Inoltre, come è ben noto, vi è un'intrinseca difformità in termini di "evidenze necessarie/richieste" tra il mondo del farmaco e quello del dispositivo medico, senza considerare altri tipi di "tecnologie sanitarie" quali eHealth, Pdta, biotecnologie o quelle legate a politiche di sanità pubblica (prevenzione, screening, igiene ecc.) e questo si riflette anche sul tema dei Rwe. Un altro punto cruciale individuato riguarda i ruoli e le responsabilità delle organizzazioni sanitarie coinvolte nei processi decisionali. In tale contesto si verifica una situazione di centralizzazione vs decentramento delle decisioni, il che potrebbe portare al rischio di limitare l'innovazione o a far proliferare tecnologie sanitarie che non incontrano bisogni sanitari inespressi. Una possibile soluzione a questa situazione potrebbe essere rappresentata dal fatto di affidare l'adozione di nuove tecnologie sanitarie a centri selezionati. Un altro tema molto rilevante è rappresentato dalla disponibilità e l'accesso ai dati (dati ospedaliere, i dati inerenti al fascicolo sanitario elettronico, i dati amministrativi cross-silos - sanitari, sociali, territoriali, sociodemografici, assicurativi e ambientali). Sull'accesso a tali dati, è necessario però prendere in considerazione delle criticità quali il tema della privacy e la sicurezza. Relativamente alla validità dei dati Rwe è importante privilegiare gli studi prospettici; inoltre, si ritiene di fondamentale importanza specificare la policy question e gli outcome di interesse nella fase di disegno dello studio. È necessario altresì implementare un protocollo di norme di buona pratica della ricerca clinica e valutare un possibile co-design con i principali stakeholder (produttore, cittadino, pazienti, Sistema Sanitario, Società Scientifiche). Sarebbe inoltre auspicabile la creazione di una rete di servizi regionali che raccolgono i dati sotto coordinamento di centri collaborativi per la raccolta di dati clinici amministrativi e centri operativi a cui verrebbe assegnato il ruolo di "sperimentatore" per la raccolta in "corso d'uso". Alla base dell'utilizzo di Rwe ci dovrebbe essere per prima cosa un processo di prioritizzazione delle tecnologie da valutare (innovazione e disinvestimento) ed una valutazione multidimensionale, coerente con l'approccio Hta, che mira alla valutazione dell'impatto clinico, sociale, economico, organizzativo e di valutazione delle evidenze disponibili. In

tale contesto, si dovrebbe dare maggior peso ai dati inerenti al reale esito sul paziente (Prom), utilizzando metodi specifici per l'assessment di tali dati. Infine, una possibile soluzione per implementare un sistema per utilizzare i Rwe superando le problematiche intrinseche esistenti potrebbe essere rappresentato dal creare appositi tool per omogenizzare i dati e renderli fruibili; creare un framework per la valutazione del Valore del dato e trovare dei meccanismi volti ad incentivare la generazione di Rwe. In conclusione, si ipotizzano gli eventuali elementi caratterizzanti un'Agenzia che si occuperebbe di raccogliere e gestire questi dati.

Tra gli elementi dell'Agenzia ritroviamo:

- Capacità professionale;
- Interlocutore di raccordo tra Azienda Servizio Sanitario Cittadino, Comunità scientifica;
- Autorizzazione al Trattamento dei Dati;
- Fulcro di un Network di ricerca i cui elementi rispondono a criteri predefiniti;
- Inserita nei Network internazionali.

Tra le azioni che quest'Agenzia dovrebbe svolgere ritroviamo:

- Generazione di studi e rispondere alle richieste del Sistema;
- Prioritizzazione;
- Disegno degli Studi;
- Commissione di Studi a centro di riferimento;
- Definire i criteri di competenza per l'introduzione condizionata di innovazioni;
- Capacità di sintesi e armonizzazione delle valutazioni commissionate.

Infine, tra le criticità ritroviamo:

- Step di avvio dell'Agenzia;
- Sovrapposizione potenziale di ruoli;
- Corretto dimensionamento.

CONCLUSIONI

L'Hta rappresenta lo strumento più adatto a supporto del Ssn per migliorare l'erogazione delle cure, gestire in modo ottimale le risorse economiche e promuovere la diffusione nella pratica clinica di tecnologie efficaci.
Nonostante quanto auspicato nel Patto per la Salute, ad oggi l'architettura del sistema Hta in Italia mostra alcune criticità legate alla frammentazione delle re-

sponsabilità e delle competenze. Questo potrebbe comportare un'elevata disomogeneità nei report prodotti e una scarsa tempestività nella produzione delle valutazioni.
L'istituzione di un'Agenzia Nazionale di Hta potrebbe promuovere l'utilizzo di metodi di valutazione basati sulle logiche Hta, ampliamente condivisi nella comunità scientifica, in modo da garantire il governo dell'innovazione riducendo quindi le possibilità di accesso dei pazienti a prestazioni non efficaci.
In questa edizione dell'Health Policy Forum, i membri sono stati ingaggiati in una riflessione multidisciplinare e multistakeholder atta a definire la struttura organizzativa, la governance e la metodologia di lavoro di un organo centrale dedito a svolgere attività di Hta.
Il primo gruppo di lavoro, nel delineare le attività che deve svolgere un'Agenzia Nazionale di Hta, ha evidenziato l'importanza di considerare il contributo fornito dalla Cabina di Regia nell'ambito del Piano Nazionale Hta. Secondo il Gruppo di lavoro l'Agenzia Nazionale di Hta ha funzione di coordinamento delle strutture regionali e ospedaliere che svolgono attività di Hta e che le attività che devono essere svolte a livello centrale riguardano la valutazione dei farmaci, dei dispositivi medici e delle procedure e spaziano dalla prioritizzazione delle richieste di valutazione, alla produzione di report di interesse nazionale, fino al monitoraggio dell'implementazione delle raccomandazioni.
Il secondo gruppo ha evidenziato che per definire un modello di governance è necessario realizzare un'analisi di contesto al fine fornire una visione integrata del contesto in cui l'Agenzia deve lavorare. Inoltre, un modello di governance, per garantire un governo efficace ed efficiente, deve prevedere delle attività di coordinamento e creare delle sinergie tra tutti gli attori in modo da raggiungere gli obiettivi prefissati. Secondo il gruppo di lavoro, particolare attenzione va riservata allo stakeholder cittadino/paziente/caregiver, alle società scientifiche e all'industria. Per quanto riguarda la metodologia di lavoro dell'Agenzia, il gruppo di lavoro auspica l'utilizzo di metodologie multidisciplinari e multidimensionali e che devono essere chiare e condivise. I metodi da adottare dovrebbero essere quelligià consolidati anche a livello internazionale. Infine, nel definire le modalità di finanziamento, il gruppo di lavoro indica che la principale fonte dovrà sicuramente essere di tipo pubblico, a cui si potranno affiancare forme di finanziamento privato, dichiarate e condivise.
Infine, il terzo gruppo di lavoro nel definire come l'Evidence generation possa supportare le valutazioni di Hta prodotte dall'Agenzia Nazionale di Hta, ha indicato che è necessario valutare le evidenze dal punto di vista del valore, della "forza"

e del metodo con cui sono generate. Un altro tema molto discusso dal gruppo è rappresentato dalla disponibilità e dall'accesso ai dati e il ruolo dell'Agenzia potrebbe essere quello di fare da collettore e coordinatore dei dati, senza trascurare l'interoperabilità dei sistemi informativi e informatici, sia amministrativi che clinici. Sarebbe, inoltre, auspicabile la creazione di una rete di servizi regionali che raccolgono i dati per la raccolta di dati clinici amministrativi e centri operativi a cui verrebbe assegnato il ruolo di "sperimentatore" per la raccolta in "corso d'uso".

BIBLIOGRAFIA

- *Cabina di Regia/Tavolo Innovazione – Programma Nazionale di Hta Dispositivi Medici Gruppo di lavoro 2 Sotto Gruppo 1 (SG1) – GDL2 "Metodi, Formazione e Comunicazione". Disponibile on line all'indirizzo http://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2855_ulteriorialegati_ulteriorealegato_0_alleg.pdf. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Cabina di Regia/Tavolo Innovazione – Programma Nazionale di Hta Dispositivi Medici Gruppo di lavoro 2 Sotto Gruppo 5 (SG5) – GDL2 "Metodi, Formazione e Comunicazione". Disponibile on line all'indirizzo http://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2855_ulteriorialegati_ulteriorealegato_0_alleg.pdf. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Corrao G, Mugelli A, Rossi F, Lanati LP, Real World Data e Real World Evidence: Considerazioni e proposte da un network di società scientifiche. Disponibile on line all'indirizzo https://www.fadoi.org/sdm_downloads/real-world-data-real-world-evidence-considerazioni-proposte-un-network-societa-scientifiche/. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Ferrè F, Betttelli C, Torbica A, Breve rassegna dei modelli di governance e l'uso dell'Hta in Europa. 2017 Oortwijn W. Real-world evidence in the context of health technology assessment processes – from theory to action. 2019. Brochure informativa dell'HTAi Global Policy Forum*
- *Position Paper della Sihta. Per un sistema italiano di Health Technology Assessment (Hta)*
- *2020. Disponibile on line all'indirizzo https://www.sihta.it/web/position-paper-sihta/. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Wild C, Stricka M, Patera N, Guidance for the development of a National Hta-strategy, Health Policy and Technology, Volume 6, Issue 3, 2017, ISSN 2211-8837, https://doi.org/10.1016/j.hlpt.2017.06.006*
- *Use of real-world evidence in single-drug assessments. Ottawa: CADTH; 2018 (Environmental scan; no. 74)*

Finito di stampare: Luglio 2021
Nella tipografia Pressup - Nepi

La Società Italiana di Health Technology Assessment (Sihta), *nata nel 2007 come società scientifica multidisciplinare, condivide la missione e gli obiettivi della Società Scientifica Health Technology Assessment International (Htai) e si ispira ai principi del Network Italiano di Health Technology Assessment stabiliti nella Carta di Trento del 2006. La Sihta rappresenta l'unica società scientifica che prevede soci di tipo multidisciplinare e che include nella propria governance rappresentanti di società scientifiche, Istituzioni, organizzazioni di cittadini/pazienti e imprese. Nello specifico riunisce persone e organizzazioni, qualificate scientificamente e professionalmente, interessate a cooperare, promuovendo:*

- *Attività formative, anche a livello regionale o territoriale*
- *Sviluppo scientifico e culturale dell'Hta nell'ambito nazionale*
- *Collaborazioni con società scientifiche e sinergie tecnico-scientifiche/ culturali nazionali e internazionali.*

L'Health Policy Forum è una iniziativa della Sihta *tesa ad offrire alle istituzioni del Ssn a livello Nazionale e Regionale e ai diversi stakeholder nel processo di Hta (pazienti e associazioni, industria, in primis) un'occasione di incontro e dibattito sui temi dell'Health Technology Assessment. L'incontro avviene a "porte chiuse" tra persone che hanno un interesse strategico nell'Hta e che sono in grado di contribuire ad un dibattito che ha natura tecnica e scientifica sui metodi dell'Health Technology Assessment applicati nel contesto del Ssn.*

www.sihta.it

979-12-80397-02-7