

HEALTH POLICY FORUM 2022

HTA ED ESITI

Americo Cicchetti, Francesco Saverio Mennini, Marco Marchetti, Michele Basile,
Eugenio Di Brino, Alessandra Fiore, Irene Colangelo, Alessandra Lo Scalzo,
Anna Ponzianelli, Filippo Rumi, Paolo Sciattella, Andrea Silenzi, Maria Assunta Veneziano



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

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 dell'Hta e di sviluppare conoscenze nell'ambito della valutazione delle tecnologie sanitarie.

22 HTA ED ESITI

BACKGROUND

La misura e la valutazione comparativa degli esiti degli interventi sanitari sono considerate strategie fondamentali per promuovere la qualità e l'equità dell'assistenza sanitaria. Considerando i gap tra evidenze scientifiche e pratica clinica, la variabilità dei processi assistenziali e la notevole difformità degli esiti, è cresciuta la consapevolezza che per misurare la qualità dell'assistenza siano necessari gli strumenti dell'Evidence Based Medicine (EBM). Infatti, l'utilizzo di tali strumenti permetterebbe di individuare delle possibili aree critiche a cui destinare gli investimenti sanitari e contestualmente di monitorare l'andamento della qualità delle cure nel tempo.

Tali azioni dovrebbero essere basate su elementi espliciti (standard di riferimento), cioè valori misurabili di performance che indicano la qualità delle cure da raggiungere sulla base delle migliori evidenze o, laddove non disponibili, sulla base dell'opinione degli esperti. I criteri di valutazione dovrebbero riferirsi ad aspetti assistenziali misurabili/quantificabili e quindi traducibili in indicatori che rappresentano la misura quantitativa del grado di adesione ad un certo criterio, a loro volta distinti in indicatori di struttura, processo ed esito. Gli indicatori dovrebbero rispondere ad alcuni requisiti essenziali che ne connotano la validità a partire dagli strumenti che ne hanno consentito la rilevazione. In generale, l'indicatore deve discriminare gli episodi assistenziali in cui il criterio di valutazione sia stato rispettato da quelli in cui sia stato disatteso per ragioni attinenti alla qualità dei servizi e non per fattori di contesto e/o per circostanze cliniche specifiche.

Lo sviluppo e la produzione di indicatori di esito potrebbero supportare il livello centrale a (I) definire e misurare gli esiti di una serie di interventi sanitari; (II) misurare la variabilità di esito dei trattamenti sanitari fra strutture, Aziende Sanitarie Locali e/o aree territoriali, gruppi di popolazione; (III) definire e misurare nuovi indicatori, specifici per alcune malattie croniche (es. il diabete) o di monitoraggio dei processi assistenziali;

(IV) sperimentare nuove metodologie di analisi su alcuni indicatori; (V) disegnare un sistema di valutazione dell'utilità, validità e impatto degli indicatori di esito e valutare programmi di formazione da offrire a diverse figure professionali (MdS, 2017).

A livello nazionale, un esempio di programma per la valutazione degli esiti è il "Piano Nazionale Esiti" (PNE), sviluppato da AGENAS su mandato del Ministero della Salute, ai sensi della Legge 7 agosto 2012, n.135 che all'art. 15, comma 25-bis, pone in capo all'Agenzia le "funzioni di valutazione degli esiti delle prestazioni assistenziali e delle procedure medico-chirurgiche nell'ambito del Servizio sanitario nazionale". Il programma di valutazione degli esiti si è sviluppato in analogia con gli studi osservazionali di fase IV della ricerca clinica post-marketing, in cui, l'efficacia di un principio attivo preventivamente testata in setting sperimentali (trial clinici randomizzati) viene ulteriormente monitorata e valutata a livello di popolazione per verificare gli effetti benefici a medio-lungo termine in condizioni reali (effectiveness), nonché la tollerabilità e la sicurezza (reazioni avverse) a seguito di un utilizzo su vasta scala. Di conseguenza, il PNE potrebbe essere considerato lo strumento per valutare l'effectiveness, l'appropriatezza clinica e organizzativa, l'equità e la sicurezza delle cure, mediante lo studio della variabilità (analisi comparativa) dei processi e degli esiti dell'assistenza sanitaria garantita dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN) nell'ambito dei LEA e supporta i programmi di audit clinico-organizzativo per il miglioramento della qualità e dell'equità delle cure nel SSN. Accanto al PNE, un importante strumento che a livello nazionale potrebbe essere impiegato nella valutazione dell'effectiveness è rappresentato dai Registri di monitoraggio istituiti dall'AIFA per monitorare l'appropriato utilizzo di specifici farmaci e gli outcome di salute di pazienti trattati.

Un ulteriore sistema di monitoraggio è il Nuovo Sistema di Garanzia (NSG), regolato dal decreto ministeriale 12 marzo 2019, che consente di misurare secondo le dimensioni dell'equità, dell'efficacia, e della appropriatezza che tutti i cittadini italiani ricevano le cure e le prestazioni rientranti nei Livelli essenziali di assistenza (LEA). Il NSG è un sistema descrittivo, di valutazione, di monitoraggio e di verifica dell'attività sanitaria erogata in tutte le Regioni e ha lo scopo di verificare i criteri affinché le Regioni possano accedere alla quota integrativa del finanziamento prevista dall'art. 2, comma 68, della Legge n. 191/2009, ai sensi dell'art. 15, comma 24, del D.L. n. 95/2012 (convertito, con modificazioni, in Legge n. 135/2012). (MdS, 2022)

Un sistema di monitoraggio delle prestazioni sanitari potrebbe aiutare i decisori a indirizzare le risorse economiche verso investimenti sanitari che migliorino sia l'efficacia che l'efficienza del SSN, unitamente all'individuazione dei livelli di Salute che consentendo di fornire prestazioni, percorsi, tecnologie che siano sicuri, efficaci ed

efficienti in modo equo e sostenibile.

Nell'ambito della riorganizzazione del nostro SSN, un ruolo da protagonista lo ha assunto senza dubbio il Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza (PNRR) messo in campo dall'Italia, su fondi principalmente erogati dall'Unione Europea (UE). Il PNRR rappresenta il volano per un rilancio che l'SSN sta richiedendo da molti anni. L'obiettivo principale è quello di "mettere a sistema" quanto realizzato sotto la spinta dell'emergenza, per integrare le soluzioni realizzate all'interno dei processi clinico-assistenziali e poter capitalizzare sui risultati raggiunti utilizzandoli come base per i successivi passi di evoluzione digitale del sistema sanitario, nell'ottica della continuità del percorso di cura del paziente e secondo le linee guida del PNRR (Cicchetti et al., 2022).

L'attuazione degli interventi descritti nel PNRR, richiedono una programmazione e una progettazione che riguarda non solo le singole Regioni ma anche le singole aziende sanitarie, fortemente sollecitate a causa della pandemia. In questo contesto, l'Health Technology Assessment (HTA) rappresenta un valido supporto per una valutazione degli investimenti, poiché permette di utilizzare le risorse per quegli investimenti che sono in grado di generare un 'Valore' da un punto di vista tecnico, sociale ed economico. Affinché gli investimenti possano generare valore aggiunto, al fianco delle riforme, è necessario costruire un sistema di monitoraggio coerente e organico che definisca in maniera congiunta metriche e target ex ante, controllando metriche e target in itinere, in coerenza con gli obiettivi di processo e che verifichi il raggiungimento di target ex post. Per poter valutare correttamente il valore di una tecnologia sanitaria occorre effettuare:

- *valutazione di processo*, qualora l'intervento scelto abbia una valida base di prove di efficacia, la valutazione che deve essere effettuata si può limitare ad una valutazione di qualità. Si tratta, cioè, di documentare, attraverso indicatori adeguati, che l'intervento effettuato è simile a quello di riferimento, o standard, (per esempio la copertura vaccinale raccomandata è stata raggiunta), mentre non è necessaria una valutazione formale dell'efficacia, cioè del suo impatto sulla salute;
- *valutazione di efficacia* qualora un progetto, programma o politica non sia mai stato oggetto di *valutazione di efficacia*, o nel caso in cui le prove raccolte non siano sufficienti, è essenziale condurre una valutazione formale del suo impatto sulla salute in termini di *effectiveness* (efficacia nella reale pratica clinica). (De Belvis, 2020)

La misurazione dell'impatto di un investimento, al fine di garantire una decisione in-

formata, è legata al concetto di “dati sanitari”. Oggi la raccolta dei dati rappresenta una delle principali criticità in quanto è estremamente difficile avere tracciabilità di ciò che è stato fatto a livello organizzativo. Risultati differenti vuol dire risultati che difficilmente possono comunicare tra loro. È necessario quindi elaborare un know-how 2.0 che introduca un monitoraggio mirato e multidisciplinare per poter identificare e misurare le variabili che governano la performance di quelle misure attuate. Non basta ragionare quindi esclusivamente in termini di “*health outcome*” ma bisogna allargare la visione di esito e commisurarla alle dimensioni che sono proprie del HTA Core Model EuneHta® 3.0 (economico, organizzativo, etico, legale, sociale).

La Sanità si avvia ad entrare in uno scenario inedito, in cui non sarà più possibile tracciare con chiarezza una linea di demarcazione tra mondo online e mondo offline. Questa nuova dimensione è stata definita dal filosofo italiano naturalizzato britannico Luciano Floridi come “*infosfera*”: come la biosfera è il luogo in cui tutti i viventi formano la loro vita biologica, così l’infosfera è l’ambiente, costruito da dati e informazioni, in cui si vivono le esperienze della vita quotidiana, comprese quelle che riguardano la malattia. Si pensi, solo per fare un semplice esempio, ai profondi mutamenti antropologici introdotti dall’uso di *Whatsapp* nella comunicazione con il proprio medico di base, per il quale l’esercizio della medicina non richiede più, come in passato, di condividere lo stesso spazio e lo stesso tempo, ma può essere interamente realizzato attraverso uno scambio di dati e immagini e senza la mediazione del proprio corpo. In questo nuovo ambiente ci si muove rimanendo sempre connessi: si tratta di un’esperienza, che intreccia offline e online, dove «ciò che è reale è informazionale e ciò che è informazionale è reale», e che può essere definita *onlife*. Sotto questo punto di vista, la pandemia ha reso l’esperienza *onlife* una realtà comune e probabilmente irreversibile. Con la rivoluzione digitale e, ancora di più a seguito dell’emergenza sanitaria e del conseguente lockdown generalizzato, la tecnologia è diventata il canale principale per il diffondersi delle informazioni e per instaurare e realizzare le relazioni interpersonali, comprese quelle che riguardano l’ambito della salute.

Come detto, “*l’infosfera*” è un ambiente nel quale viene gradualmente abbattuta la distinzione tra reale e virtuale e nel quale analogico e digitale si fondono, confondono e rinforzano vicendevolmente. In secondo luogo, l’*infosfera* è un ambiente nel quale co-abitano sia organismi biologici che artefatti ingegnerizzati e il confine tra processore e processato si dissolve gradualmente nello scopo finale dell’acquisizione di informazione, alla cui realizzazione contribuiscono tutti gli agenti (viventi e non viventi). In terzo luogo, “*l’infosfera*” è un ambiente nel quale, soprattutto a seguito dello svi-

luppo degli strumenti di intelligenza artificiale, lo svolgimento di determinate mansioni viene sempre più svolto autonomamente dalle macchine, senza la necessità dell'intervento umano. Da ultimo, *l'infosfera* è un ambiente nel quale tutti i soggetti umani finiscono per trasformarsi da spettatori a utenti. Molte delle problematiche che l'HTA si troverà ad affrontare in un prossimo futuro è conseguenza dal fatto che un gran numero delle nuove tecnologie non si costituiscono più come mere *utility* da valutare singolarmente, ma finiscono per rappresentare un vero e proprio ambiente in cui ci si trova immersi. Valutare un ambiente è ben diverso dal valutare una tecnologia.

Dallo sviluppo dei vaccini al monitoraggio del virus, il mondo non avrebbe gestito efficacemente gli ultimi due anni senza un massiccio ricorso alla tecnologia. Pandemia a parte, lo stesso percorso è avvenuto nel settore sanitario, dalla gestione delle cure mediche programmabili alla diffusione delle cartelle cliniche elettroniche. Tutto questo si basa su un elemento comune: i dati dei pazienti. Gli attuali programmi mirano alla creazione di uno spazio europeo di dati sanitari per la promozione di un migliore scambio e accesso tra gli Stati membri di informazioni come le cartelle cliniche elettroniche (*Electronic Health Record – EHR*), i dati genomici e dei registri dei pazienti. Ad oggi, i dati in ambito sanitario rappresentano il 30% dei dati archiviati a livello globale: un singolo paziente genera fino a 80 megabyte all'anno solo di dati di imaging e di cartelle cliniche digitali. Molti pazienti hanno già sperimentato consulenze mediche virtuali o ricevuto diagnosi da remoto. In un mondo sempre più invaso dai dispositivi wearable e dove la ricerca medica progredisce a ritmo sostenuto, assistenza sanitaria e dati sono ormai così interconnessi che è impossibile avere l'uno senza l'altro. In ambito sanitario si è da sempre delineato un rapporto fiduciario tra i pazienti ed il medico che dispongono dei dati degli assistiti. Questa inclinazione permane nonostante violazioni dei dati di alto profilo come l'attacco *WannaCry* del 2017, che ha colpito più di un terzo delle strutture del sistema sanitario nazionale del Regno Unito. Secondo le ricerche, nel 2021 sono state segnalate in media 1,95 violazioni di dati sanitari al giorno su più di 500 record.

Si è rilevato che oltre la metà (56%) dei consumatori in Europa si sente a proprio agio o è entusiasta dei videoconsulti medici come primo contatto ed una tendenza ad adottare un maggior numero di applicazioni digitali e di condivisione dei dati. Il 46% è propenso a sottoporsi ad un intervento chirurgico invasivo gestito da un medico di comprovata esperienza attraverso la robotica a distanza rispetto al sottoporsi al medesimo intervento realizzato da un medico meno qualificato che lo esegue di persona, mentre il 61% è propenso ad utilizzare sensori di monitoraggio dei dati in tempo reale per consentire a un familiare di prevedere quando e se avrà bisogno di assistenza medica.

La combinazione tra una tecnologia sempre più diffusa e l'opportunità di utilizzare i dati e lo storico proveniente dalle generazioni meno giovani per migliorare le cure per le nuove generazioni rende i dati e le informazioni la nostra più grande arma di difesa nella lotta contro la fallibilità o la fragilità.

Come questa tendenza evolverà nel tempo è ancora tutto da scoprire: aumentando la pervasività della tecnologia in ambito sanitario stiamo riducendo l'onere e la necessità dell'uomo ad eseguire determinate compiti, al punto che molti finiranno per essere completamente *human-free* e alcuni già lo sono. Ma, nella maggior parte dei casi, non si tratterà di uno scontro uomo-macchina, bensì di un binomio sinergico.

Il futuro dell'*healthcare* dipende dalla capacità delle organizzazioni di liberare il potenziale dei dati, trasformandoli in conoscenza e utilizzandoli per ottenere i migliori risultati per i pazienti. È questa la nuova frontiera digitale del settore sanitario, che negli ultimi tempi ha fatto passi da gigante non solo per quanto riguarda l'utilizzo dei dati, ma anche per le modalità con cui vengono estratti, archiviati, condivisi e salvaguardati.

Il PNRR prevede un fortissimo impulso all'integrazione sociosanitaria dei servizi previsti a livello distrettuale: in vista di ciò che si andrà a realizzare o potenziare nell'ambito delle nuove strutture territoriali, con i relativi sistemi informativi, è opportuno porsi da subito il problema di come integrare e rendere fruibili al meglio tutte le informazioni di carattere sanitario e sociale già disponibili, o che andranno a generarsi a seguito della creazione di nuovi "luoghi di cura".

Per valorizzare al massimo quanto finora realizzato in proposito, *Agenas* e *Feder-sanità* hanno recentemente presentato l'*Osservatorio per la raccolta delle buone pratiche di Integrazione Sociosanitaria* (OIS), che lavorerà alla creazione di una grande libreria in cui raccogliere esperienze e *case history* per poterle classificare i contenuti e renderle immediatamente fruibili. In questo senso il PNRR offre una grande opportunità: realizzare nuovi modelli organizzativi delle strutture territoriali, con i relativi sistemi informativi, che si pongano da subito il problema dell'utilizzo integrato delle informazioni di carattere sociosanitario. L'esigenza è quella di raccogliere e rendere disponibili ad una lettura integrata informazioni provenienti da fonti eterogenee, riguardanti tematiche diverse e situate fisicamente in sistemi differenti.

L'obiettivo da perseguire sarà quello di consentire su larga scala, al sistema di governo sia periferico sia centrale, di identificare e comprendere tendenze più estese, conducendo così a migliori strategie di salute per la popolazione, in un'ottica orientata ad una visione integrata del sanitario e del sociale: sistemi che implementeranno al loro interno una piattaforma informativa integrata saranno in grado

di identificare prima e meglio i bisogni sociosanitari dei soggetti e le conseguenti azioni da mettere in atto, supportando gli operatori delle strutture della rete di prossimità nella erogazione dei servizi sociosanitari previsti, con un approccio sistemico e in ottica di collaborazione multidisciplinare. Il suggerimento è quindi quello di affrontare da subito, già in sede di elaborazione progettuale, il problema dell'integrazione informativa tra sociale e sanitario con l'obiettivo di facilitare e accelerare il cambiamento dei processi, in un'ottica di condivisione informativa tra tutti gli operatori sanitari e sociali presenti nelle filiere assistenziali, volta a migliorare la governance sociosanitaria.

Il Nuovo Scenario di riferimento: il regolamento EU- HTA

A livello europeo, uno schema di valutazione olistica dell'impatto di nuove tecnologie è rappresentato dal Core Model®, sviluppato nell'ambito del Progetto EuNetHTA. Tale framework definisce "topic and issues" da considerare in ciascun dominio dell'HTA sia di tipo clinico (problema di salute e uso attuale della tecnologia, caratteristiche tecniche, sicurezza, efficacia clinica) che non clinico (costi ed efficacia economica, analisi etica, aspetti organizzativi, aspetti sociali e relativi al paziente, aspetti legali). L'obiettivo principale dell'HTA Core Model è di armonizzare a livello europeo le metodologie di valutazione delle nuove tecnologie e la condivisione efficiente dei risultati in modo da evitare la possibile sovrapposizione, ridondanza e duplicazione delle valutazioni. Dal momento che le valutazioni HTA possono variare in modo significativo tra i diversi Paesi europei tanto per contenuti, obiettivi, qualità e rendicontazione dei report HTA, il Core Model® si propone di fornire un quadro di riferimento comune per la valutazione HTA, definendo gli elementi di contenuto da considerare in un HTA e consentendo una rendicontazione standardizzata e uniforme, fornisce di conseguenza un quadro comune per la produzione di HTA.

A livello europeo, occorre tener presente che il 13 dicembre 2021 è stato pubblicato il Nuovo Regolamento europeo sulla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA), che a partire dal 2025 consentirà a tecnologie sanitarie innovative, come farmaci innovativi, alcuni dispositivi medici, attrezzature mediche e metodi di prevenzione e trattamento, di essere più ampiamente disponibili nei diversi Stati Membri. Il regolamento avrà applicazione partendo dall'area oncologica e ATMP.

Le principali novità contenute nel Regolamento Europeo 201/2022 sono relative alla creazione di:

- Un meccanismo di coordinamento a livello europeo in ambito HTA.

- La realizzazione di valutazioni congiunte su specifiche tecnologie (farmaci, dispositivi medici, altre tecnologie) che non saranno vincolanti (binding nature) per i diversi Stati Membri ma che gli stessi Paesi "...terranno nella dovuta considerazione i report, pur nel pieno controllo della loro applicazione, interpretazione e adattamento". Si evidenzia che gli aspetti di contesto legati alle aree di impatto non clinici e la definizione di prezzo e rimborso rimangono di competenza del livello nazionale così come il processo di *appraisal* e di valutazione di *unmet need*, valore terapeutico aggiunto e innovatività.

Il regolamento prevede un'applicazione differita di tre anni, durante i quali la Commissione dovrà:

- Istituire il Gruppo di Coordinamento.
- Istituire la rete degli stakeholders.
- Adottare i necessari atti di esecuzione.
- Facilitare lo sviluppo di una metodologia per il lavoro congiunto di HTA da parte del gruppo di coordinamento, come richiesto dal regolamento. Il Gruppo di Coordinamento ha in particolare i seguenti compiti:
 - Elaborare l'iter procedurale dettagliato e la relativa tempistica per le valutazioni cliniche congiunte.
 - Elaborare norme distinte per i medicinali, i dispositivi medici e i dispositivi medico-diagnostici in vitro.
 - Elaborare orientamenti sulla nomina di valutatori e co-valutatori per le valutazioni cliniche congiunte e le consultazioni scientifiche.
 - Supportare la Commissione Europea nella preparazione degli atti di esecuzione di cui al presente regolamento.

Il gruppo di coordinamento identificherà dei suoi sottogruppi di lavoro per le categorie di tecnologie sanitarie seguenti: medicinali, dispositivi medici, dispositivi medico-diagnostici in vitro e altre tecnologie sanitarie.

Il Regolamento dovrebbe:

1. garantire l'uso efficiente delle risorse;
2. rafforzare la qualità delle valutazioni HTA in tutta l'UE;
3. limitare la produzione di duplicati di report di HTA;
4. garantire la sostenibilità a lungo termine della cooperazione in materia di HTA dell'UE.

OBIETTIVO

Questo lavoro sintetizza la discussione emersa nella XIV edizione dell'Health Policy Forum (HPF), iniziativa promossa dalla Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA) per favorire la condivisione di esperienze e di metodi per la promozione e la diffusione dell'approccio dell'HTA, considerando le differenti prospettive degli stakeholder impegnati a livello nazionale, regionale e locale. L'obiettivo di questa edizione del Forum è di definire come l'HTA possa supportare la definizione di una metodologia per misurare gli esiti di Salute prodotti dall'adozione di una tecnologia sanitaria

La discussione tra i membri del Forum ha permesso di chiarire il ruolo che una valutazione multidimensionale, multi-professionale, trasparente e robusta, propria dell'approccio HTA nel contesto sanitario, possa contribuire alla valutazione degli esiti in Sanità. La discussione è strutturata su tre ambiti principali:

- **PNRR e HTA** che ha individuato le modalità con cui l'utilizzo delle metodiche HTA possano supportare gli investimenti definiti dell'ambito del PNRR;
- **HTA e Esiti** che ha definito un framework che valorizzi la valutazione degli esiti nell'ambito del processo HTA al fine di promuovere l'equità di accesso delle tecnologie ai pazienti/cittadini.
- **Digitalizzazione del percorso del paziente ed esiti che ha evidenziato** l'impatto della digitalizzazione sul SSN a diversi livelli decisionali, fornendo una analisi sul livello di completezza dell'informazione disponibile alla luce degli attuali framework di raccolta delle informazioni e della esigenza di misurare gli esiti in un'ottica di ottimizzazione dei processi e di integrazione nell'erogazione dei servizi nei vari ambiti del settore salute nonché di evidenziare criticità tecniche e di governance che se non affrontate mineranno il corretto sviluppo delle tecnologie digitali in sanità.

MATERIALI E METODI

L'HPF è un'iniziativa promossa e organizzata dalla SIHTA in collaborazione con l'Associazione Italiana Ingegneri Clinici (AIIC), l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (AIES), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (SITI) la Società Italiana dei Farmacisti Ospedalieri (SIFO) e la Società Italiana di Epidemiologia (AIE). 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 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. 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 definita dal Royal Institute of International Affairs di Londra nel 1927 ed è oggi 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 così 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. Le riflessioni espresse in questo documento emergono dalle discussioni articolate nelle sessioni plenarie e nei gruppi di lavoro attivati nell'ambito del Forum stesso.

RISULTATI

Gruppo di lavoro 1: PNRR e HTA

L'attuale scenario in cui l'HTA andrà a evolversi è fortemente condizionato dal Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza (PNRR) che, tra le diverse missioni in essere, ne ha disegnata una specifica sul tema salute con l'obiettivo di riammodernamento del SSN. Ad oggi, però, la misurazione dei risultati del PNRR è posta sui «numeri» e non sull'impatto che questo ha sui cittadini: una misurazione di ciò che viene realizzato ma non una misurazione degli esiti (es. n° case di comunità anziché esiti di salute) sia a livello macro sia a livello di messa a terra regionale (meso e micro). La misurazione non può non fare i conti con la necessità di implementare nuovi modelli organizzativi: basti pensare alla convergenza che devono trovare i rispettivi DM 70 e DM77 nell'integrazione ospedale-territorio sia per far fronte ad una continuità di cura e presa in carico sia ad una marcata necessità derivante dall'assistenza territoriale sempre più frastagliata, non misurata e poco incentivata. Per far ciò è necessario corredarsi di un'analisi del fabbisogno che in qualche modo porti il decisore ad orientarsi sulla correlazione tra gli accessi potenziali presso le future case di comunità rispetto all'ospedale, evitando che tali aspetti vengano valutati esclusivamente nell'ottica organizzativa per arrivare ad un'applicazione coraggiosa dell'*evidence based policy making*. Risulta necessario quindi andare a catturare i reali benefici che il PNRR genera facendo interagire la missione 6 "salute" con altre missioni strettamente connesse, ad esempio la missione 5 "inclusione e coesione sociale". In ultimo non possiamo non tenere in considerazione la prospettiva degli utenti finali, ossia dei cittadini/pazienti. È di recente pubblicazione l'atto di indirizzo del Ministero della Salute sulla partecipazione in sanità che va a rafforzare il messaggio di "co-progettazione e co-produzione" rilanciato nel testo del DM77 in merito alle case di comunità e ai servizi del territorio. Sicuramente un grande passo in avanti, ma le modalità e i dettagli su come mettere in pratica questo coinvolgimento risultano ancora poco chiari, così come sono poco chiari i GANTT relativi alle progettualità che le regioni metteranno in campo, ai fini di un attento monitoraggio e valutazione degli esiti ad essi correlati.

Per fare ciò, il gruppo di lavoro dell'HPF SIHTA ha elaborato una serie di opportunità generate da questo periodo storico che devono però fare i conti con delle necessità che un'attenta valutazione del gruppo di studio ha rilevato e che riportiamo nella tabella 1.

Questo quadro ha generato un ripensamento dell'idea di scenario futuro della sanità in quanto le variabili che intervengono portano ad evidenziare:

Tabella 1 Opportunità/necessità del PNRR

OPPORTUNITÀ	NECESSITÀ
Integrare la formazione del personale	Ripensare la capacità produttiva in base alla formazione e ai nuovi modelli organizzativi
Rompere gli attuali silos di finanziamento	Ripensare l'attuale modello di finanziamento in base agli obiettivi declinati dai nuovi modelli organizzativi
Rafforzamento della necessità di una valutazione multidimensionale	Necessità di utilizzare gli strumenti disponibili per la misurazione dell'esito quali-quantitativo (es. database amministrativi, FSE 2.0)
Possibilità di usare in maniera ordinaria il partenariato pubblico/privato	Ecosistema in cui tutti gli attori devono concorrere alla salute
Programmazione sanitaria correlata agli esiti	Necessità di concentrarsi sull'impatto di valore generato dai progetti del PNRR in un'ottica di potenzialità
Condivisione di best practice regionali	Standardizzare la misurazione tra enti attuatori differenti (variabilità regionale)
Disinvestimento per garantire un'innovazione incrementale	Valutare strumenti condivisi per il disinvestimento (ad es. partendo dal Piano Nazionale HTA Dispositivi Medici e rilanciandolo)
Programmazione sanitaria basata sulla stratificazione della popolazione e sul fabbisogno	Estendere l'utilizzo di strumenti avanzati di analisi dell'evoluzione demografica
Programmazione sanitaria correlata alla riduzione della mobilità	Politiche relative alla misurazione degli esiti correlata al funzionamento di una maggiore attrattività

- un DM 77 che sposta sul territorio la cura e la presa in carico, con l'obiettivo di ripensare nuovi modelli organizzativi per l'accesso alle tecnologie sanitarie tra ospedale e territorio (farmaci, device, servizi, ...), avere tecnologie innovative adatte al cambiamento e definire, applicare e valutare standard della domiciliarità delle cure;
- *l'attivazione di Partnership* pubblico-privato in ottica anche di misurabilità degli esiti generati da progetti e tecnologie impiegate e di standardizzazione della partecipazione a bandi;
- consolidamento della partecipazione dei cittadini in termini di creazione dei servizi e della loro misurazione (*patient experience*);
- spinta per un'evoluzione dei ruoli (infermiere di comunità, *digital assistant*,

data manager, ...) in relazione ai nuovi modelli tramite l'acquisizione di nuove competenze;

- una capillare formazione e creazione di nuove figure per il supporto trasversale alle azioni di implementazione dei progetti (*project management*).

Da queste analisi, la **proposta dell'HPF SIHTA** si declina in:

1. un obiettivo a breve-medio termine: un Osservatorio SIHTA di valutazione delle iniziative progettuali individuate dal PNRR sulla base delle dimensioni dell'HTA;
2. un obiettivo a medio-lungo termine: un Monitoraggio di attuazione delle proposte regionali e valutazione dei loro esiti sulla base delle dimensioni dell'HTA: collaborazione SIHTA-Istituzioni (Ministero della Salute, AGENAS, AIFA, ISS, Regioni, ...).

L'Osservatorio SIHTA, da realizzare nel breve-medio termine, si focalizzerebbe sull'analisi delle piattaforme esistenti, una valutazione delle iniziative progettuali messe in campo dalle regioni secondo la logica dell'HTA per arrivare a definire un position paper e sua supervisione/validazione e divulgazione/consenso con gli stakeholder (Politica & Istituzioni, Società Scientifiche, Industria, Cittadinanza).

Nel medio-lungo termine si partirebbe dal position paper per andare ad implementare delle collaborazioni così delineate:

- istituzione di un Tavolo Nazionale/SIHTA per definire l'impostazione della metodologia con l'obiettivo di darne mandato agli attori;
- istituzione di Tavoli di Lavoro Multi Stakeholders Regionali;
- condivisione del dato con Tavolo Nazionale/SIHTA;
- restituzione analisi agli SH per dare forza all'idea dei centri regionali di HTA in un'ottica di Rete Nazionale;
- condivisione Esiti per poter dare giusto seguito all'Evoluzione del PNRR in un'ottica di programmazione sanitaria flessibile e adattiva al contesto e ai fabbisogni.

Gruppo di Lavoro 2: HTA e Esiti

Il Gruppo di lavoro 2, partendo dall'analisi dello scenario attuale e in vista dei cambiamenti che saranno introdotti dal nuovo Regolamento Europeo, ha definito un framework che valorizzi la valutazione degli esiti nell'ambito del processo HTA al fine di promuovere l'equità di accesso delle tecnologie ai pazienti/cittadini.

La discussione è stata orientata in un primo momento sulle attuali criticità del framework di valutazione delle tecnologie sanitarie. È stata fatta un'analisi distinta in base al tipo di tecnologia:

- Farmaco.
- Medical device.
- Servizi.
- Percorsi.
- Procedure mediche e chirurgiche e modell organizzativi.

In particolare, è emerso che, mentre per il farmaco esiste un percorso strutturato di “Price & Reimbursement (P&R)” che include già alcuni dei domini del Core Model® di EUnetHTA, per il medical device, e-health il percorso è al momento meno regolamentato. Ugualmente incerto è lo scenario che si prospetta per le “connected care”, combinazioni di medical device digitali e principi attivi farmacologici. Entrambi i processi richiederanno tuttavia una revisione alla luce dell'entrata in vigore del regolamento EU HTA.

Per *il farmaco* è emerso come nell'ambito del processo di P&R e alla luce delle nuove linee guida per la submission del dossier, i domini richiesti ad oggi sono i domini di tipo clinico ed economico (CEA e BIM) e l'esito che viene considerato nell'ambito della valutazione clinica è prettamente di efficacy e safety. Per quanto riguarda l'attuale disponibilità di dati di *real world*, è stato messo in luce come esistano attualmente delle fonti che consentirebbero di valutare l'effectiveness dei farmaci in real life a patto che esse non vengano effettivamente o solo parzialmente impiegate. È questo il caso specie dei Registri AIFA, che potrebbero fornire informazioni utili di effectiveness a supporto di un'eventuale rivalutazione del farmaco.

Il gruppo di lavoro ha evidenziato in primo luogo, la scarsa consapevolezza dell'impatto dei report HTA e delle relative raccomandazioni nell'orientare la pratica clinica e la programmazione sanitaria, enfatizzando le differenze che sussistono nel valutare un farmaco o un medical device soprattutto per quanto concerne le tempistiche ed i requisiti regolatori di approvazione. È quindi necessario un monitoraggio e una verifica del rispetto delle raccomandazioni scaturite dagli *assessment* (ad es: maggiore efficacia in determinate popolazioni target, o fasce d'età, o in presenza di particolari condizioni cliniche; maggiore sostenibilità/risparmi con particolari accorgimenti organizzativi, etc...). In tale contesto il gruppo di lavoro ha evidenziato lo scarso utilizzo di dati disponibili (o potenzialmente disponibili a fronte di minimi accorgimenti) per tracciare l'innovazione e consentire la correlazione con gli esiti;

ciò anche in prospettiva se si pensa a quanto previsto dal Piano Nazionale HTA dei Dispositivi Medici in esito alle procedure di *appraisal* (es. utilizzo di una tecnologia con obbligo di monitoraggio e raccolta dati). È necessario dunque superare le difficoltà inerenti alla privacy con impatto negativo sulla possibilità di linkage di basi dati e adottare sistemi di codifica puntuale delle tecnologie e degli approcci utilizzati nei differenti setting assistenziali.

In merito alla raccolta dei dati per definire gli esiti, il gruppo di lavoro ha evidenziato che sarebbe auspicabile la promozione all'interno dei gruppi dei professionisti che operano nel settore sanitario della "cultura" ed analisi dei dati a disposizione.

Il gruppo ha discusso anche della scarsa tempestività e dei tempi troppo lunghi nella produzione dei report. Per far fronte a questa criticità è necessario pensare ad un format che garantisca il giusto equilibrio fra robustezza della valutazione e tempestività dei riscontri. Occorre inoltre evidenziare come il timing della valutazione sia tecnologia-dipendente. In particolare, nell'ambito dei dispositivi è importante sottolineare il concetto della "learning curve" che potrebbe avere un impatto anche sugli esiti dei dispositivi oggetto di valutazione. In tale contesto si è discusso anche della scarsa correlazione che sussiste con le procedure di acquisto.

Infine, relativamente alla utilità di una più ampia standardizzazione e qualità nella attuale produzione dei report HTA, il gruppo di lavoro auspica una diffusione della cultura della valutazione *multidominio* e la definizione di meccanismi di "riconoscimento della qualità" dei report HTA. Ciò passa anche attraverso percorsi di *capacity building* dei professionisti a vari livelli (HTA *doers*, HTA *users*). Nell'ambito della discussione in merito a quest'ultimo punto è emersa la necessità di prevedere periodici aggiornamenti degli assessment in un'ottica di disinvestimento e di *lifecycle approach* al fine di informare decisioni che possano massimizzare l'efficienza allocativa delle scarse risorse del Servizio Sanitario Nazionale.

L'ultimo punto affrontato riguarda il ruolo delle associazioni dei pazienti all'interno dei processi valutativi e di *appraisal*. I pazienti dovrebbero essere portati all'interno dei processi decisionali come "portatori di bisogni e di un sapere specifico" e non come "portatori di interesse". In tale contesto, è importante perseverare nell'individuazione e/o formazione di figure esperte, da coinvolgere con strumenti diversi ed in fasi differenti di un *assessment*. Le associazioni di pazienti, infatti, potrebbero giocare un ruolo fondamentale nella raccolta e produzione di informazioni e dati specifici (non di competenza degli altri stakeholder).

Alla luce della discussione avvenuta con il gruppo di lavoro, al fine di rispondere in maniera concreta alle attuali criticità esistenti e cogliere appieno le opportunità, è

stato proposto un modello di valutazione:

- snello;
- focalizzato sui domini “non clinici”;
- gestibile in tempi contenuti;
- che coniughi la robustezza dell’assessment a con la fruibilità delle informazioni;
- che preveda la possibilità di periodica rivalutazione e monitoraggio esiti, con cadenze differenti in funzione della tipologia di tecnologia.

Tale framework dovrebbe esplorare aspetti inerenti all’inclusione di nuovi servizi, all’equità di accesso, al coinvolgimento dei pazienti, al governo e alla valorizzazione dell’innovazione. Utile in questo senso, anche alla luce di quanto previsto dal regolamento EU HTA, lasciare che i domini inerenti al “current management” della condizione oggetto di valutazione, alle caratteristiche tecniche della tecnologia e agli aspetti di efficacia e sicurezza, siano affrontati a livello “più alto” e dedicare particolare attenzione allo studio dell’organizzazione (fortemente legata al contesto di utilizzo), ai costi (correlati anche all’organizzazione), agli aspetti relativi alla società e pazienti rifacendosi all’architettura del Core Model EUnetHTA, ma utilizzati a comporre dimensioni di analisi che possono variare in funzione del tipo di tecnologia e che siano maggiormente improntati al contesto specifico di utilizzo. In particolare, si propone per il dominio organizzativo la metodologia di assessment proposta da Cacciatore et al. [1], che unisce elementi di rigore metodologico a istanze di fattibilità, in cui si identificano 4 tipologie di tecnologie (device, tecnologie diagnostiche, tecnologie terapeutiche, procedure organizzative): per ciascuna si risponderà a 4 predeterminate issue del Core Model 3.0 di EUnetHTA dimostratesi meglio rispondenti ai bisogni informativi sulla tipologia di tecnologia in oggetto.

Il gruppo infine ha sottolineato l’importanza nel discutere il nuovo modello con figure istituzionali (garante della Privacy, Ministero - direzione dei sistemi informativi, della programmazione, dei DM, Cabina di regia HTA PN HTA DM, ISS, AGENAS, etc.), con rappresentanti dei cittadini/pazienti e con i diversi stakeholders, evidenziando, per ciascuno di loro le possibili ricadute positive specifiche e sul sistema.

A livello nazionale, dunque, il gruppo si è focalizzato sui seguenti aspetti principali che andranno declinati separatamente per farmaci e medical device/altre tecnologie:

- Definizione della governance e organizzazione
- Definizione di processi e chiare timeline adattabili in base al tipo di tecnologia (ad es., device, farmaci, modelli organizzativi, vaccini, digital health, connected care, etc...)

TABELLA 2 Indicazioni per assessment del dominio organizzativo come da articolo di Cacciatore et al. [1], con riferimento per ciascuna tipologia di tecnologia in esame alle specifiche issue da indagare proposte nel Core Model 3.0 di EUnetHTA

Tipologia di tecnologia in esame	Issue EUnetHTA da indagare	Dimensione delineata dalle issue [1]
Device	1 - G0001 6 - G0012 12 - G0008 13 - G0009	Governance of Innovation
Tecnologie diagnostiche	5 - G0004 7 - G0005 9 - G0006 10 - D0023	Demand Analysis
Tecnologie terapeutiche	1 - G0001 8 - G0101 12 - G0008 14 - G0010	Patients/Stakeholders involvement
Procedure organizzative	2 - G0100 4 - G0003 11 - G0007 15 - G0011	Patient-centered care

- Metodologia
- Domini: focus su domini non clinici: economico, organizzativo, sociale, etico, legale/giuridico. Tali domini sono ben regolati dal core model e linee guida nazionali (specie per quello che riguarda il dominio economico).

Sarà fondamentale includere nella valutazione HTA informazioni dalla prospettiva dei pazienti che catturano tanto l'esperienza del paziente (PREMs - Patient Reported Experience Measures) quanto gli esiti (PROMs - Patient Reported Outcome Measures) e dalla prospettiva dei professionisti sanitari (vedi esperienze strutturate di raccolte dati su protesi ortopediche, protesi mammarie, dispositivi cardiovascolari... o su specifici setting assistenziali come quelle sviluppate da GiVITI- Gruppo italiano per la valutazione degli interventi in Terapia Intensiva) 4) Fonti: esistono a

livello nazionale molteplici flussi informativi Ministero della Salute, AIFA, PNE, Registri AIFA, Registri Patologia e di tecnologia per medical device, PROMs/PREMs ma sarà fondamentale facilitare accesso ai dati e favorire interoperabilità dei sistemi informativi/fonti al fine di consentire valutazioni omincomprehensive che catturino il valore della tecnologia lungo tutto il percorso.

Il nuovo modello di valutazione dovrebbe prevedere un *assessment* iniziale in cui viene definita in maniera chiara la timeline di ricerca, bilanciando l'accuratezza e la robustezza dei dati e delle informazioni che andranno a comporre gli esiti da valutare e la tempestività dell'output derivante dal report HTA. Tale framework presuppone una comunicazione agile ai decisori in modo tale da accelerare il processo valutativo dei risultati dei processi HTA. A tal proposito, il nuovo framework dovrebbe prevedere altresì una fase di monitoraggio utilizzando i "real world data" anche per supportare scelte di eventuale disinvestimento (lifecycle approach). Perché tale modello possa essere implementato in maniera efficace, sarebbe opportuno promuovere politiche di collaborazione e partnership con società scientifiche da sviluppare sulla base di interessi reciproci (medical device con cardiologi, ortopedici, chirurghi...) o mandati (testare in setting limitati le variabili da integrare poi in database nazionali es PNE). In questo modo, l'HTA potrebbe essere promosso in un'ottica di miglioramento continuo fornendo informazioni evidence based, aggiornate e tempestive a supporto del processo di policy e decision making.

Di seguito si riportano in tabella le principali aree di intervento emerse dalla valutazione dello scenario attuale e le possibili soluzioni implementabili nello scenario futuro suddivise per:

- Metodologia.
- Processo ex ante.
- Processo ex post.
- Cultura e capacity building.

In conclusione, il modello sopra descritto fornisce potenziali soluzioni implementabili a livello nazionale in materia di valutazione HTA, con focus sugli esiti, al fine di preparare il terreno alla luce dei cambiamenti che saranno introdotti dal nuovo Regolamento EU HTA, in ottica di trasparenza, tempestività, uniformità ed equità di accesso alle nuove tecnologie.

Dimensione	Descrizione scenario attuale/area di intervento	Soluzioni/Scenario Futuro
Metodologia	Focus prevalentemente su domini hard (clinico, efficacia, safety, economico) nell'ambito delle valutazioni HTA	<p>Ampliare la valutazione a domini di tipo "non clinico" e definirne metodologie che siano standardizzate e condivise dall'ente valutatore</p> <ul style="list-style-type: none"> • Organizzativo • Etico • Sociale • Giuridico <p>Di fondamentale importanza risultano:</p> <ul style="list-style-type: none"> • l'inclusione di PREMs& PROMs per catturare l'impatto della tecnologia in esame sul paziente • la standardizzazione dei processi per garantire qualità nella produzione dei report HTA.
	Scarso/Mancato utilizzo delle fonti di dato per lo sviluppo di RWE e mancanza di linee guida standardizzate di riferimento nazionale per condurre analisi di RW di qualità	<p>Definire linee guida che siano condivise per lo sviluppo dei analisi di RW e valorizzare le fonti di dato di RW già disponibili, in primis:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Registri AIFA/Piani terapeutici web • Registri di patologia
Processo (ex ante)	<p>Differenze nei processi e nei criteri di valutazione di farmaci e medical device sia in termini di tempistiche che di regolamentazione</p> <p><i>NB. Il processo valutativo per farmaci è più strutturato rispetto ai medical device (Linee Guida AIFA pubblicate a marzo 2021)</i></p>	<ul style="list-style-type: none"> • Per i medical device: definire un chiaro processo per la valutazione dei medical device e requirements • Per i farmaci: definire tempistiche chiare per iter valutativo completo di P&R/HTA e definire chiaramente come il processo e l'organizzazione dell'Agenzia cambierà dopo l'implementazione del regolamento EU HTA <p><i>NB. Fondamentale definire timing della valutazione tecnologia-dipendente e garantire il giusto equilibrio fra robustezza della valutazione e tempestività dei riscontri</i></p>
	Scarso/Mancato coinvolgimento dei pazienti tra gli attori coinvolti nel processo di HTA	<ul style="list-style-type: none"> • Definire processo strutturato che preveda il coinvolgimento dei pazienti all'interno del processo di valutazione delle tecnologie sanitarie • Prevedere partecipazione attiva delle associazioni dei pazienti all'interno dei processi valutativi e di appraisal. • Considerare cittadini e pazienti "portatori di bisogni e di un sapere specifico" e non come "portatori di interesse"



segue

Dimensione	Descrizione scenario attuale/area di intervento	Soluzioni/Scenario Futuro
Processo (ex post)	Scarsa consapevolezza dell'impatto dei report HTA e delle relative raccomandazioni nell'orientare la pratica clinica e la programmazione sanitaria	Necessità di rendere pubblici i report contenenti gli output delle valutazioni HTA/P&R nell'ambito dei siti istituzionali che si occupano di valutazioni HTA: <ul style="list-style-type: none"> • Sito AIFA per i farmaci e i vaccini • Sito Agenas per i medical device
	Scarso utilizzo di dati disponibili per tracciare l'innovazione e consentire la correlazione con gli esiti; ciò anche in prospettiva se si pensa a quanto previsto dal PN HTA DM in esito alle procedure di appraisal.	<ul style="list-style-type: none"> • Necessità di un cambio di mindset da debito a credito informativo • Adottare sistemi di codifica puntuale delle tecnologie e degli approcci utilizzati nei differenti setting assistenziali per superare problemi inerenti alla privacy (linkage basi dati).
	Mancato monitoraggio e verifica del rispetto di quanto emerso dagli assessment per supportare scelte di disinvestimento	<ul style="list-style-type: none"> • Introdurre sistemi di monitoraggio strutturati a livello istituzionale sul rispetto delle raccomandazioni HTA • Adottare un approccio Lifecycle e logiche di disinvestimento • Considerare il concetto di «learning curve» per i dispositivi medici □ impatto sugli esiti
Cultura e capacity building	Mancata diffusione della cultura del dato	<ul style="list-style-type: none"> • Promuovere attività di formazione su cultura del dato rivolta agli addetti ai lavori • Diffondere la cultura della valutazione multidominio
	Eterogeneità sul livello di informazione e formazione dei pazienti in materia di HTA	<ul style="list-style-type: none"> • Promuovere di attività di formazione sul processo e metodologia HTA rivolta ai pazienti

Gruppo 3: Digitalizzazione del percorso del paziente ed esiti

Il Gruppo di Lavoro si è interrogato sulle inefficienze e i possibili sviluppi in merito alla fonte dei dati sanitari. Si avverte, infatti, ad oggi la necessità di integrare e validare (*qualità* del dato) i dati amministrativi dei flussi sanitari con i dati prodotti direttamente dai pazienti mediante l'ausilio di dispositivi personali e/o medici. Un fattore importante in questo senso è il grado di accessibilità a tali dati. È infatti cruciale, nell'attuale panorama, definire gli attori con facoltà di accesso ai RWD, che possono consistere

in dati privati e quindi soggetti alla normativa GDPR e per il cui utilizzo è necessario un consenso informato. Quel che si rileva è la difficoltà nel controllare il dato originale nel caso in cui venga elaborato, ad esempio, da software proprietari di specifiche aziende. Altro punto fondamentale riguarda la mancanza di equità nella gestione del dato tra attori pubblici e privati sul territorio.

La fruibilità del dato, inoltre, implica la necessità di sintetizzare la mole di dati disponibile in modo che possa generare informazioni utili al *decision making* in un processo che sia in grado di garantire anche un ritorno del dato sintetizzato ai soggetti coinvolti nella raccolta. Si rileva, inoltre, l'opportunità di definire la possibilità di un utilizzo congiunto delle informazioni, mediante, ad esempio, collaborazioni tra settore pubblico e privato che cooperino per la raccolta e l'integrazione delle informazioni necessarie al supporto al *decision making*, cooperazione utile anche al fine della realizzazione di specifici progetti di ricerca.

La disponibilità e formalizzazione di dati *real world* potrebbe dare, nell'ottica di un'integrazione dei dati RWE con quelli degli RCT, l'opportunità di utilizzare il RWD per andare a confermare gli esiti clinici da trial clinico. Inoltre, gli studi potrebbero essere strutturati in modo tale da prevedere già un ricorso congiunto ai dati RCT-RWD prevedendo il coinvolgimento di specifici *stakeholder*, come i pazienti, l'industria e i professionisti. Tale impostazione garantirebbe l'auspicato continuum nella gestione del paziente e della raccolta e lettura del dato, l'idonea presa in carico del paziente mediante la definizione di figure professionali preposte (es.: case manager), la garanzia nella raccolta e completezza del dato trasversale al setting di riferimento (es.: ospedale vs territorio). Per tale motivo è necessario prevedere la definizione di nuove figure dedicate alla raccolta e alla interpretazione del dato: ciò è realizzazione mediante campagne di espansione delle competenze digitali nel personale già operante nel setting sanitario ed il conseguente superamento della logica dei silos nella programmazione e nel finanziamento delle prestazioni.

Il Gruppo di lavoro ha discusso dell'esigenza di garantire l'interoperabilità e integrazione tra i sistemi informativi ad oggi esistenti mediante la strutturazione di un framework di raccolta e sintesi dell'informazione standard, quantomeno nelle sue caratteristiche principali, in modo che si garantisca la comunicazione ed il confronto fra le varie esperienze territoriali. Si rileva poi l'opportunità di definire un sistema in grado di indicare agli enti regionali se le singole esperienze sono *idonee* (in linea, nell'ottica di una successiva integrazione) rispetto ai sistemi che saranno implementati in altri contesti. Cruciali sono state ritenute in questo senso le *partnership* pubblico-privato volte ad integrare, nel sistema sanitario pubblico, ecosistemi digitali privati esistenti e

funzionanti all'interno della nuova cornice definita dal PNRR. Si sottolinea la necessità di superare i limiti normativi: sussistono differenze significative anche in questo senso tra i vari contesti regionali e spesso la normativa non è in grado di governare l'attuale produzione dei dati.

L'obsolescenza è un fattore chiave da considerare nello sviluppo dei sistemi informativi, per la valutazione della quale sarà necessario definire specifici indicatori che informino il *decision making* sull'opportunità di investimento su nuove alternative a discapito di quelle in uso fino a quel momento. Un idoneo livello di sviluppo è da considerarsi come *conditio sine qua non* per l'implementazione e il raggiungimento dei punti discussi.

Prima di intraprendere qualsiasi revisione dell'attuale sistema di codifica e misurazione degli esiti, è essenziale avere una comprensione completa dei sistemi attualmente in uso nel settore sanitario, fondamentali per monitorare l'andamento delle cure, valutare l'efficacia dei trattamenti e allocare risorse in modo appropriato. È necessario valutare l'efficacia dei sistemi in uso, realizzando un'analisi critica dei loro punti di forza e delle loro limitazioni: se essi non sono in grado di fornire una rappresentazione accurata degli esiti sanitari, è urgente apportare modifiche.

La revisione dei sistemi di codifica/misurazione dovrebbe includere un'attenta analisi delle migliori pratiche a livello globale in quanto è essenziale rimanere all'avanguardia nelle metodologie di valutazione degli esiti sanitari per garantire che i pazienti ricevano la migliore assistenza possibile.

Inoltre, l'adozione di tecnologie moderne può migliorare notevolmente la precisione e l'efficienza dei sistemi di codifica e misurazione.

Il ritardo nella revisione potrebbe comportare conseguenze negative immediate, come la possibilità di cure inadeguate o l'allocazione inefficace delle risorse sanitarie. Potrebbe, inoltre, mettere a rischio la salute pubblica, specialmente in situazioni di crisi o pandemie.

Ad oggi ci si interroga sulla possibilità di integrare misure riguardanti gli esiti ai tradizionali indicatori riguardanti i consumi e l'efficienza delle prestazioni. Considerando il divario esistente tra evidenze scientifiche e pratica clinica, la variabilità dei processi assistenziali e degli esiti, non solo tra i professionisti ma anche tra gli amministratori e le istituzioni è cresciuta la consapevolezza che per misurare la qualità dell'assistenza sono necessari gli strumenti della *clinical governance*. Tale integrazione dovrebbe essere una priorità, se il fine è quello di non misurare solo i fattori produttivi (personale, beni, servizi) ma essere in grado di valutare anche l'appropriatezza degli interventi sanitari (preventivi, diagnostici, terapeutici, riabili-

tativi, palliativi, assistenziali) prescritti ai pazienti, documentando la qualità dell'atto professionale e l'efficacia ed efficienza del percorso assistenziale.

Il Gruppo di lavoro ha ritenuto di proporre indicatori di esito aggiuntivi in grado di integrare l'informazione ai vari livelli di governo. Per quanto concerne l'inquadramento clinico del paziente, si propone di introdurre driver che possano informare sugli stili di vita, il profilo genomico e che consentano la profilazione rischio *clinico* del paziente e del supporto ricevuto da parte di un caregiver (formale/informale). Si propone, una maggiore comunicazione tra la letteratura scientifica e la *real practice* clinica, in particolare ipotizzando la realizzazione di studi clinici che possano tener conto anche di basi informative provenienti da database alimentati con dati registrati dalla struttura ospedaliera o direttamente dal paziente mediante il supporto di appositi dispositivi di monitoraggio per rendere più aderenti i risultati di letteratura al contesto di riferimento. Si propongono, inoltre, al fine di ottimizzare, il percorso diagnostico e terapeutico ospedaliero ed extra-ospedaliero, nell'ottica di una maggiore comunicazione ed integrazione tra i due ambiti assistenziali: l'organizzazione di prestazioni extraospedaliere non in FSE (visite MMG, visite private, esami diagnostici terapeutici ambulatoriali, ADI, etc...), il tracking dispositivi medici, il tracking delle terapie farmacologiche al fine di garantire una misura della appropriatezza (tipologia, aderenza alle indicazioni, corretta sequenzialità delle prestazioni (medico specialista prescrittore) ed una maggiore omogeneità organizzativa nell'erogazione delle prestazioni sanitarie. Relativamente all'outcome clinico, si indica l'opportunità di poter ricostruire a posteriori il luogo in cui è avvenuta l'erogazione delle cure (ospedale, ADI, Case di comunità, telemedicina).

Lo sviluppo di tali indicatori consentirebbe una ottimizzazione della stima degli outcome economici, con una più accurata determinazione dei costi diretti prestazioni sanitarie nonché, soprattutto, dei costi indiretti (perdita di produttività paziente/caregiver) di cui ad oggi si può procedere alla stima solo mediante la realizzazione di apposite survey. Un impatto positivo lo si avrebbe anche mediante l'integrazione di dati riguardanti lo stato socio-economico del paziente e i relativi dati INPS, i quali consentirebbero di individuare rapidamente la terapia più idonea.

Il GdL propone inoltre indicatori specifici riguardanti la sfera dell'accesso ai servizi, in grado di informare sul livello di presa in carico (Accesso ai percorsi), accesso alle terapie, alla medicina digitale, alle liste d'attesa, alla distanza dell'assistito dal centro di presa in carico.

Infine, nell'ottica di includere maggiormente la prospettiva del paziente, si propone lo sviluppo di indicatori che possano informare in merito alla qualità di vita

TABELLA 3 Proposte di integrazione degli attuali set di dati

Inquadramento clinico del paziente	Outcome clinico	Percorso diagnostico e terapeutico ospedaliero e extra-ospedaliero	Setting organizzativo	Outcome economici	Accesso ai servizi	Prospettiva paziente
<p>Stili di vita</p> <p>Profilo Genomico</p> <p>Profilazione rischio «clinico»</p> <p>Supporto da parte di un caregiver (formale/informale)</p>	<p>Effectiveness vs efficacy (limiti RCT)</p>	<p>Prestazioni extraospedaliere non in FSE (visite MMG, visite private, esami diagnostici terapeutici ambulatoriali, ADI, etc...)</p> <p>Tracking dispositivi medici</p> <p>Tracking terapia farmacologica</p> <p>Sequenzialità prestazioni (medico specialista prescrittore)</p>	<p>Luoghi di cura (Ospedale, ADI, Case di comunità, Telemedicina)</p>	<p>Costi prestazioni sanitarie</p> <p>Costi indiretti (perdita di produttività paziente/caregiver)</p> <p>Stato socio-economico</p> <p>Costi previdenziali e sociali</p>	<p>Livello di presa in carico (Accesso ai percorsi)</p> <p>Accesso alle terapie</p> <p>Accesso alla Medicina digitale</p> <p>Liste d'attesa</p> <p>Distanza dal centro di presa in carico</p>	<p>Qualità di vita PREMs PROMs</p> <p>Soddisfazione paziente</p> <p>Accettazione trattamento</p>

del paziente, alle sue preferenze (PREMs, PROMs, ...) e livello di soddisfazione e accettazione del trattamento (Tabella xx)

Il Gruppo di lavoro ha discusso i possibili benefici derivanti dall'implementazione di un sistema omnicomprensivo di indicatori supportati dal ricorso alle nuove tecnologie digitali sulla definizione delle politiche sanitarie per livello decisionale.

Il principale impatto positivo lo si avrebbe sull'applicazione della metodologia HTA con la possibilità di poter contare sulla disponibilità di dati proveniente non solo da

trial clinici ma anche da fonti informative alternative e più vicine alla pratica clinica. Questo comporterebbe un beneficio per la realizzazione di una serie di documenti tra cui: Full HTA, Horizon Scanning, Early HTA, Rapid HTA, HTA nel *life cycle*, i quali potrebbero essere basati su dati locali RWE per valutazioni Europee. Il riscontro positivo lo si vedrebbe conseguentemente sull'allocazione delle risorse sanitarie, con la possibilità di definire piani di investimento/disinvestimento più accurati che potrebbero rispondere meglio a fabbisogni specifici (es.: personale sanitario), supporterebbero nel processo di aggiornamento dei LEA, nonché sarebbero utili nella programmazione di programmi di screening e prevenzione primaria. Ulteriori vantaggi si vedrebbero nella definizione dei MEA, che potrebbero tener conto non solo delle evidenze scientifiche di letteratura ma anche dell'effettivo impatto dato dall'introduzione di nuovi farmaci per la gestione di specifiche patologie consentendo la modulazione nel tempo degli accordi alla luce del concreto riscontro di tali farmaci nel mercato. Inoltre, la digitalizzazione del servizio sanitario potrebbe comportare nuove e più strutturate sinergie per lo sviluppo di progetti di ricerca compartecipati dal settore pubblico e da quello privato.

A livello regionale, l'implementazione dei nuovi strumenti comporterebbe una ottimizzazione dei percorsi di cura dei pazienti, rappresentando la base per la realizzazione di nuovi approcci di assistenza, come, ad esempio, la costituzione di *reti di patologia* territoriali che potrebbe identificarsi come riferimento territoriale per i pazienti affetti da una determinata condizione. Inoltre, potrebbe essere ottimizzato a livello regionale il processo di programmazione delle attività sanitarie, dei trend epidemiologici rispetto a specifiche patologie associate ad un elevato assorbimento di risorse. Come conseguenza della possibilità di stimare al meglio le attività, i volumi e i trend epidemiologici, vi potrebbe essere una maggiore consapevolezza nella definizione di specifici programmi di prevenzione volti ad ottimizzare la qualità dell'assistenza e il risultato atteso delle strategie terapeutiche.

A livello di ASL e distretto, l'impatto previsto è quello di un ottimale indirizzamento dei pazienti ai servizi (COT – *Centrale Operativa Territoriale*) e all'assistenza domiciliare.

A livello ospedaliero, il miglior monitoraggio consentito dal ricorso ai dispositivi digitali permetterebbe di ottenere maggiori livelli di aderenza al percorso di cura assegnato al paziente (*continuum* assistenziale) oltre che un'ottimizzazione dei percorsi e dei processi sanitario.

Per quanto concerne il singolo operatore (es.: MMG, specialista, etc...), il sistema consentirebbe un migliorato accesso alla reportistica del paziente, la possibilità di

implementare un sistema di *alert* per la pronta erogazione delle terapie non appena giudicate necessarie per la gestione del paziente, il coinvolgimento nella rete di raccolta dei dati utili e nei processi decisionali anche dei cittadini e delle associazioni dei pazienti in qualità di destinatari e componenti attivi dei servizi erogati, nell'ottica di un maggior coinvolgimento di tutti gli stakeholder dei servizi sanitari.

Il Gruppo di Lavoro ha discusso in merito alla necessità che tali strumenti non solo siano disponibili e vengano adottati per il raggiungimento degli obiettivi precedenti, ma che siano utilizzati da operatori (intesi di sia come professionisti sanitari ma anche pazienti) che abbiano seguito specifici programmi di formazione e che siano dunque messi nelle condizioni di trarre la maggior utilità possibile dal ricorso a tali tecnologie.

Infine, la discussione ha individuato il ruolo che dovrebbe essere ricoperto dalla Società al fine di contribuire al raggiungimento degli obiettivi discussi: in primo luogo si dovrebbe instaurare una collaborazione con AGENAS per lo sviluppo di *strumenti metodologici* per la valutazione dei mezzi digitali. In questo senso, si individua nella cooperazione congiunta con l'Agenzia Nazionale per la Sanità Digitale (ASD) una strategia per il successo dell'applicazione dei nuovi strumenti, anche nell'ottica di definizione di un nuovo PNE che tenga conto dei nuovi indicatori proposti, della definizione di programmi di formazione che sensibilizzino sul valore dell'RWE per lo sviluppo di revisioni sistematiche aggiornate sulla produzione di studi di RWE a supporto dell'HTA, sulla sensibilizzazione sul tema dello *sviluppo delle nuove competenze digitali*, sul supporto al superamento della *logica dei silos* nel finanziamento (es.: finanziamento per percorso) e alla definizione di modelli di finanziamento coerenti con la nuova struttura organizzativa.

REFERENCE

- Cicchetti A., (a cura di) (2022). *Analisi dei modelli di risposta al Covid-19 in Italia: Instant Report ALTEMS # 2020-2022. Una fotografia a due anni dal primo caso in Italia*, Università Cattolica del Sacro Cuore (Milano)
- **PIANO NAZIONALE DI RIPRESA E RESILIENZA**. Disponibile on line www.governo.it/sites/governo.it/files/PNRR.pdf
- Flora Giorgio, *New HTA Regulation: key elements and next steps*. CAT Industry Interested Parties Meeting, 26 October 2021
- Antonio De Belvis. *Gli studi per la valutazione d'impatto degli interventi di Sanità Pubblica*. Disponibile on line https://cipesalute.org/cedo/allegati/3566-Zooprofil.%20Teramo%20Sanit%C3%A0%20Pubblica-MARINO_1.pdf
- **REGOLAMENTO (UE) 2017/745 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO**. Disponibile on line <https://www.trovanorme.salute.gov.it/norme/renderNormsanPdf?anno=2017&codLeg=59843&parte=1%20&serie=null>

SITOGRAFIA

- <https://pne.agenas.it/>
- <https://www.deplazio.net>
- <https://www.salute.gov.it/portale/lea/dettaglioContenutiLea.jsp?lingua=italiano&id=5238&area=Lea&menu=monitoraggioLea>

KOS | EDITRICE

© 2023, KOS Comunicazione e servizi srl Roma
segreteria@koscomunicazione.it www.koscomunicazione.it

Edizione HPF 2022

Allegato a Panorama della Sanità • N. 10 OTT 2023

HEALTH POLICY FORUM



www.sihta.it