

# HEALTH POLICY FORUM 2023

## **COME SFRUTTARE IL REGOLAMENTO EUROPEO PER COSTRUIRE L'HTA DI DOMANI**

Francesco Saverio Mennini, Marco Marchetti, Dario Sacchini, Michele Basile,  
Chiara Bini, Pietro Derrico, Eugenio Di Brino, Francesco Fatiga, Stefano Giardina,  
Lara Gitto, Elisabetta Graps, Adrian Hegenbarth, Roberta Laurita, Michela Liberti,  
Filippo Rumi, Paolo Sciattella



# 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.

# Final Paper 20

---

## *Autori*

FRANCESCO SAVERIO MENNINI, *Coordinatore Health Policy Forum, Presidente SIHTA, Research Director EEHTA-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, Dirigente Medico responsabile della Unità Operativa Semplice HTA, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (AGENAS);*

DARIO SACCHINI, *Direttivo Sihta, Professore Associato Dipartimento di Sicurezza e Bioetica, Sezione di Bioetica e Medical Humanities, Facoltà di Medicina e chirurgia "A. Gemelli", Università Cattolica del Sacro Cuore (UCSC);*

MICHELE BASILE, *Segreteria Scientifica Health Policy Forum, Ricercatore Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS), Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma;*

CHIARA BINI, *Ricercatrice CEIS-EEHTA, Facoltà di Economia, Università di Roma "Tor Vergata";*

PIETRO DERRICO, *Past President SIHTA, Già Presidente AIIIC, Amministratore unico ConsulHTA Srl;*

EUGENIO DI BRINO, *Segreteria Scientifica Health Policy Forum, Ricercatore Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS), Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma;*

FRANCESCO FATIGA, *HTA & Value Operation Head, J&J Innovative Medicine, Johnson & Johnson Innovative Medicine;*

STEFANO GIARDINA, *Direttivo Sihta, Director Market Access & Government Affairs Edwards Lifesciences;*

LARA GITTO, *Professoressa associata del Dipartimento di Economia dell'Università di Messina;*

ELISABETTA GRAPS, *Direttivo Sihta, Direttore Medico Area Valutazione e Ricerca, AReSS Puglia Responsabile del Centro Regionale HTA Puglia (CReHTA);*

ADRIAN HEGENBARTH, *Innovative Value Strategy Lead, AstraZeneca Italia;*

ROBERTA LAURITA, *Assegnista di ricerca, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma;*

MICHELA LIBERTI, *Project Manager presso Cittadinanzattiva onlus;*

FILIPPO RUMI, *Segreteria Scientifica Health Policy Forum, Ricercatore Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari (ALTEMS), Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma;*

PAOLO SCIATTELLA, *Segreteria Scientifica Health Policy Forum, CEIS-EEHTA, Facoltà di Economia, Università di Roma "Tor Vergata".*

# 23

## COME SFRUTTARE IL REGOLAMENTO EUROPEO PER COSTRUIRE L'HTA DI DOMANI

Documento elaborato nel periodo marzo/ottobre 2023

### BACKGROUND

L'Health Technology Assessment (HTA) è un processo che valuta l'impatto multidimensionale (ad es. l'efficacia, la sicurezza, l'efficienza e l'impatto economico) delle tecnologie sanitarie, quali farmaci, dispositivi medici e procedure diagnostiche. Tale processo risulta fondamentale per prendere decisioni informate sulle decisioni, in quanto fornisce evidenze scientifiche e valutazioni oggettive per supportare le scelte di politica sanitaria e di remunerazione dei servizi. Le fasi di un processo valutativo di HTA includono prioritizzazione, assessment e appraisal.

La prioritizzazione intende definire delle scelte di priorità sulle tecnologie da sottoporre ad assessment.

La fase di assessment rappresenta la valutazione tecnico-scientifica delle proprietà e delle caratteristiche di una tecnologia sanitaria; in questa fase vengono raccolte, esaminate e sintetizzate in modo sistematico le informazioni scientifiche relative ai nove domini presenti in un rapporto di HTA. Tali domini coprono una serie di argomenti relativi a: il problema di salute e l'uso corrente di tecnologie sanitarie, le caratteristiche tecniche della tecnologia oggetto di studio e dei comparatori, la sicurezza, l'efficacia, l'impatto economico, l'impatto organizzativo, le questioni etiche, la prospettiva sociale e le implicazioni legali.

La fase di appraisal è una parte essenziale del processo di formulazione di decisioni di politica sanitaria basate sulle evidenze scientifiche prodotte dai rapporti di HTA e rappresenta la fase in cui vengono valutati i risultati dell'assessment. L'appraisal rappresenta un processo deliberativo volto a formulare una raccomandazione, integrando le evidenze scientifiche raccolte e analizzate durante la valutazione tecnico-scientifica nel contesto specifico.

Il processo di HTA è attualmente frammentato, ciò nonostante, si conferma lo stru-

5

mento più idoneo a supporto degli operatori del settore sanitario nel prendere decisioni tempestive e basate sull'evidenza. Per poter abbattere questa frammentarietà e disomogeneità nelle valutazioni, i Paesi Membri dell'Unione Europea hanno lavorato al rilascio di un Regolamento europeo sulla valutazione delle tecnologie sanitarie (EU HTA Regulation), la cui operatività sarà effettiva dal 12 gennaio 2025, che intende centralizzare ed armonizzare la valutazione delle tecnologie sanitarie al fine di accelerare e rendere omogeneo l'accesso ai farmaci e ai dispositivi medici. L'attività a livello di assessment generale verrà uniformata in maniera vincolante per i valutatori, mentre verrà lasciata a livello di ogni singolo sistema sanitario nazionale la regolazione dell'accesso per prezzo e rimborso, quindi la valutazione degli aspetti economici, ma anche degli aspetti organizzativi, sociali, giuridici ed etici. Tale regolamento ha lo scopo di armonizzare i criteri di valutazione delle tecnologie sanitarie e di fornire una base comune per la valutazione dell'efficacia, della sicurezza e della rilevanza clinica dei prodotti e servizi sanitari. Il regolamento copre un'ampia gamma di tecnologie sanitarie, compresi i prodotti farmaceutici, i dispositivi medici, gli strumenti diagnostici e alcune procedure mediche. Si applica sia alle nuove tecnologie sanitarie, sia a quelle esistenti che vengono prese in considerazione per il rimborso o l'accesso al mercato all'interno dell'UE.

Le caratteristiche principali di tale regolamento sono le seguenti:

- valutazioni cliniche congiunte (Joint Clinical Assessment - JCA): gli Stati membri collaboreranno alla valutazione degli aspetti clinici delle tecnologie sanitarie per evitare la duplicazione degli sforzi e condividere le risorse.
- consultazioni scientifiche congiunte (Joint Scientific Consultation - JSC): i produttori potranno richiedere la consulenza scientifica simultanea di più Stati membri durante la fase di sviluppo delle loro tecnologie sanitarie.
- cooperazione continua: gli Stati membri coopereranno nella generazione di prove e nel monitoraggio post-vendita delle tecnologie sanitarie.

La nuova regolamentazione mira a migliorare la trasparenza e la prevedibilità del processo decisionale e incoraggia la cooperazione tra i Paesi dell'UE nella valutazione delle tecnologie sanitarie, al fine di evitare la duplicazione delle valutazioni e di promuovere una maggiore efficacia ed efficienza nella gestione dei rischi sanitari.

In particolare, i principali obiettivi del Regolamento europeo di HTA sono i seguenti:

- armonizzazione delle procedure di valutazione;
- accesso equo alle tecnologie sanitarie;
- trasparenza dei risultati dell'HTA.

Con riferimento all'armonizzazione delle procedure di valutazione, attualmente, esistono differenze significative nelle metodologie e negli standard utilizzati per la valutazione e l'applicazione delle tecnologie sanitarie nei vari Stati membri dell'Unione Europea. Questa mancanza di armonizzazione può portare a risultati eterogenei e a un accesso iniquo alle tecnologie sanitarie all'interno dell'UE. Il regolamento europeo di HTA stabilisce un quadro comune per l'elaborazione delle valutazioni HTA, promuovendo l'adozione di linee guida e criteri condivisi. Ciò consentirà una valutazione più accurata e comparabile delle tecnologie sanitarie in tutta l'Unione Europea. L'armonizzazione delle procedure di valutazione favorirà inoltre la collaborazione tra gli Stati membri, permettendo lo scambio di conoscenze e un utilizzo efficiente delle risorse.

Un altro aspetto importante del regolamento europeo di HTA è quello di garantire un accesso alle tecnologie sanitarie equo per tutti i cittadini dell'Unione Europea. Attualmente, l'accesso a determinate tecnologie può variare notevolmente tra i diversi Paesi a causa di procedure di valutazione e di rimborso divergenti. Il regolamento promuove l'adozione di una valutazione congiunta della tecnologia sanitaria al fine di favorire la collaborazione tra i Paesi e di contribuire a ridurre le differenze di accesso alle tecnologie sanitarie. Per i Paesi che partecipano alle valutazioni congiunte il regolamento prevede anche la possibilità di negoziare prezzi e condizioni di acquisto più vantaggiose consentendo così un utilizzo più efficiente delle risorse finanziarie.

Infine, la trasparenza dei risultati di un documento di HTA è fondamentale per garantire decisioni informate sulla sanità. Tutti gli stakeholder coinvolti nel processo di HTA dovrebbero avere accesso alle informazioni impiegate per la valutazione delle tecnologie sanitarie al fine di riuscire a comprendere le evidenze utilizzate e a partecipare al processo decisionale. Il regolamento incoraggia la partecipazione degli stakeholder nel processo di valutazione, fornendo opportunità per commenti e contributi. Stabilisce inoltre norme chiare per la trasparenza dei risultati dell'HTA, per cui gli Stati membri sono tenuti a rendere pubblici i rapporti di valutazione delle tecnologie sanitarie al fine di consentire un accesso aperto alle informazioni.

Di seguito, sono riportati gli aspetti legati al framework per la cooperazione tra gli Stati Membri, i principi chiave che regolano il regolamento e le tappe fondamentali di implementazione (Fonte: Commissione Europea).

#### QUADRO DI RIFERIMENTO PER LA COOPERAZIONE HTA:

- Valutazioni cliniche congiunte (JCA).
- Consultazioni scientifiche congiunte (JSC).

- Identificazione di tecnologie sanitarie emergenti.
- Procedure e metodologie comuni in tutta l'UE.

#### PRINCIPI CHIAVE DEL REGOLAMENTO HTA:

- Valutazioni sui soli domini clinici: Nessuna valutazione economica né alcuna conclusione sulla determinazione dei prezzi e sui rimborsi.
- Gli organismi HTA dell'UE rimangono responsabili di trarre conclusioni sul valore aggiunto per i loro sistemi sanitari.
- Alta qualità, tempestività e trasparenza.
- Utilizzo del lavoro congiunto nei processi nazionali di HTA.
- Contributo di esperti indipendenti.
- Coinvolgimento e inclusione delle parti interessate.
- Implementazione progressiva.

#### TIMELINE

- **12 gennaio 2025:** Nuovi farmaci oncologici e terapie avanzate saranno valutati a livello UE.
- **13 gennaio 2028:** i medicinali orfani da aggiungere al lavoro delle consultazioni scientifiche congiunte.
- **13 gennaio 2030:** tutti i nuovi farmaci rientreranno nell'ambito di applicazione del regolamento.

In base a quanto descritto, è importante sottolineare cosa verrà valutato a livello EU e cosa verrà valutato a livello nazionale. Per quanto concerne i farmaci, la valutazione degli aspetti legati alla sicurezza e all'efficacia (clinical assessment) verrà condotta a livello europeo, mentre gli aspetti economici, organizzativi, sociali, giuridici ed etici verranno valutati a livello locale. Per quanto riguarda i dispositivi medici, saranno oggetto di valutazione quelli che presentano un alto rischio e un alto impatto clinico ed economico, basandosi su valutazioni condotte a livello europeo e locale, analogamente a quanto previsto per i farmaci.

In particolare, con riferimento ai dispositivi medici, il Programma Nazionale HTA - Dispositivi Medici (PNHTA) 2023-2025 è stato progettato per essere allineato e integrato con le disposizioni del regolamento europeo di HTA. Il PNHTA si riferisce

ai processi di HTA, che comprendono l'analisi multidimensionale e multidisciplinare delle implicazioni mediche, cliniche, sociali, organizzative, economiche, etiche e legali di una tecnologia. Include anche il processo di Horizon Scanning (HS) per individuare e valutare le tecnologie con potenziale impatto sul SSN prima della loro diffusione nella pratica clinica. È stato istituito in conformità alla Legge italiana del 23 dicembre 2014 n. 190, al fine di promuovere l'uso razionale dei dispositivi medici sulla base del principio costo/efficacia. La legge prevedeva anche l'istituzione di una Cabina di regia per definire le priorità assistenziali in collaborazione con le regioni, l'AGENAS e l'AIFA, coinvolgendo rappresentanti dei pazienti, dei cittadini e dell'industria, seguendo le indicazioni del Piano sanitario nazionale.

La Cabina di Regia è stata creata con un decreto ministeriale nel marzo 2015 e ha successivamente approvato il documento strategico "Programma Nazionale HTA dei Dispositivi medici" nel 2017, con il coinvolgimento della Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano.

Nel Patto per la Salute 2019-2021, si è auspicata la creazione di un unico soggetto responsabile delle funzioni di Health Technology Assessment (HTA) in rete con i centri regionali, al fine di garantire l'autorevolezza e l'indipendenza del processo di valutazione. La Legge 53 del 22 aprile 2021 ha sottolineato la necessità di riordinare e coordinare le attività degli enti pubblici che si occupano dei dispositivi medici, incluso l'adeguamento delle attività dell'Osservatorio dei prezzi di acquisto dei dispositivi.

In attuazione della Legge 53/2021, sono stati emanati i Decreti Legislativi (D.lgs.) 137 e 138 dell'agosto 2022, che prevedono compiti specifici per AGENAS e l'adozione del Programma Nazionale HTA (PNHTA) da parte del Ministero della Salute, previa intesa nella Conferenza permanente. I decreti stabiliscono inoltre l'aggiornamento triennale del PNHTA e l'istituzione di un fondo per il governo dei dispositivi medici, alimentato da una quota del fatturato delle vendite al SSN dei dispositivi medici.

Il PNHTA 2023-2025 mira a soddisfare i requisiti normativi e ad incorporare le evidenze scientifiche acquisite sull'utilizzo dell'HTA a livello internazionale. In tale contesto, ne consegue che un utilizzo efficace ed efficiente dell'HTA dovrebbe rispondere a due criteri principali:

- utilizzo della valutazione HTA a tutti i livelli decisionali del Servizio Sanitario Nazionale in modo integrato, evitando duplicazioni e potenziando i benefici potenziali dell'HTA a livello sistemico;
- utilizzo della valutazione HTA in tutte le fasi del ciclo di vita di una tecnologia, dalla sua fase di sviluppo e ricerca fino alla sua introduzione sul mercato e all'obsolescenza.

L'integrazione dell'HTA nei processi decisionali a vari livelli avviene attraverso la connessione con i seguenti sistemi:

- Sistema di aggiornamento e manutenzione dei LEA (Livelli Essenziali di Assistenza) previsto dalla Legge 190/2014, che prevede l'identificazione delle condizioni di erogabilità o di appropriatezza avvalendosi delle valutazioni HTA sulle tecnologie sanitarie e biomediche e sui modelli e le procedure organizzative.
- Processi di formulazione delle richieste di acquisto e acquisto dei dispositivi medici al fine di promuovere il razionale uso dei dispositivi medici basato sul principio di costo-efficacia.

Il PNHTA 2023-2025 si propone di raggiungere questa integrazione coinvolgendo i livelli decisionali centrali e regionali, rispettando le attribuzioni e le competenze di ciascun livello istituzionale. Viene avviata la Rete delle Regioni, coordinata dall'AGENAS, per gestire i dispositivi medici e il processo di HTA. L'obiettivo principale del PNHTA è quello di supportare le regioni nell'implementazione delle tecnologie nei rispettivi Servizi Sanitari Regionali (SSR) e nel rafforzamento della loro governance. Inoltre, l'utilizzo dell'HTA nelle diverse fasi del ciclo di vita di una tecnologia può orientare lo sviluppo di tecnologie che soddisfano le esigenze del Servizio Sanitario Nazionale. L'HTA può facilitare l'introduzione nella pratica clinica di nuove tecnologie che sono efficaci ed efficienti. Durante la fase di obsolescenza, l'HTA supporta la sostituzione di tecnologie obsolete con tecnologie più innovative ed efficienti, riducendo così i costi aggiuntivi derivanti dall'utilizzo contemporaneo di tecnologie con le stesse finalità terapeutiche.

Per raggiungere questi obiettivi, l'AGENAS coordina la creazione e il coordinamento di una rete di Centri collaborativi per la produzione di documenti HTA e una Rete delle Regioni per l'implementazione delle valutazioni HTA nelle politiche sanitarie.

Gli attori coinvolti nel PNHTA 2023-2025 sono:

- Cabina di Regia (CdR). v Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (AGENAS).
- Rete delle Regioni.
- Centri collaborativi produttori di valutazioni HTA.
- Stakeholder del PNHTA sono invece le società scientifiche, produttori e loro associazioni, cittadini/pazienti e loro associazioni.

La Cabina di Regia (CdR) è l'organo decisionale e di indirizzo del Programma Nazionale HTA (PNHTA). Ha il compito di validare i metodi utilizzati per la produzione dei

rapporti di valutazione tecnica multidimensionale, definire le priorità delle tecnologie da sottoporre a valutazione e formulare raccomandazioni basate sui risultati delle valutazioni. La Cabina di Regia stabilisce anche le procedure di funzionamento entro 90 giorni dalla sua approvazione.

AGENAS è l'organo responsabile del coordinamento a livello nazionale di tutti gli enti e le istituzioni pubbliche e private coinvolti nel PNHTA. Si occupa di coordinare la Rete delle Regioni per la definizione e l'utilizzo degli strumenti per il governo dei dispositivi medici e dell'HTA. AGENAS si occupa anche di produrre valutazioni di HTA e supportare la Cabina di Regia nelle fasi di prioritizzazione e appraisal. Monitora l'impatto del processo di valutazione e implementazione, nonché i consumi dei dispositivi medici.

La Rete delle Regioni è una rete nazionale composta da rappresentanti regionali coordinati da AGENAS. Si occupa della definizione e dell'utilizzo degli strumenti per il governo dei dispositivi medici e dell'HTA.

I centri collaborativi sono soggetti pubblici e privati che producono valutazioni nell'ambito del PNHTA. Sono registrati in un apposito albo e contribuiscono alla produzione di valutazioni HTA.

Gli stakeholder, i portatori di interessi, sono coinvolti nel PNHTA secondo le disposizioni del Regolamento (UE) 2021/2282 sull'HTA. È prevista l'istituzione di una rete di portatori di interesse per facilitare il dialogo e il supporto alle attività del PNHTA. AGENAS fornisce il supporto per l'avvio e la gestione di questa rete, mentre la Cabina di Regia, con il supporto di AGENAS, definisce le modalità di coinvolgimento degli stakeholder nelle attività del PNHTA.

Il PNHTA prevede una serie di attori che devono svolgere compiti specifici in diverse fasi del processo di HTA e nel ciclo di vita delle tecnologie sanitarie. Sono state identificate sette fasi principali all'interno del PNHTA 2023-2025: fabbisogno/ricieste di acquisto, segnalazione, prioritizzazione, valutazione, appraisal, implementazione degli esiti HTA e valutazione delle performance e dell'impatto del PNHTA.

Inoltre, sono state definite delle aree di integrazione funzionale che il PNHTA deve considerare in relazione agli attori coinvolti nel governo dei dispositivi medici. Queste aree comprendono l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), i flussi dei dispositivi medici e delle apparecchiature, il regolamento europeo sull'HTA, l'Osservatorio Prezzi, il Programma Nazionale Esiti, la sanità digitale, il sistema di classificazione DRG e il rimborso dei dispositivi medici.

Per garantire l'integrazione del PNHTA con queste attività, è previsto che il PNHTA

e gli attori coinvolti sviluppino gli strumenti necessari. AGENAS, nella fase iniziale del PNHTA, preparerà tutti i documenti metodologici e procedurali per le diverse fasi e azioni del PNHTA, in linea con le funzioni assegnate ad AGENAS dalle normative vigenti.

La richiesta di tecnologie sanitarie da parte dei professionisti rappresenta l'inizio del processo di governo dei dispositivi medici. Queste richieste devono essere correlate alle procedure di acquisto delle centrali di acquisto e delle strutture del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) a livello regionale. È fondamentale per il successo del PNHTA la capacità di individuare i reali fabbisogni di tecnologie sanitarie da parte delle strutture del SSN.

L'analisi dei fabbisogni reali può derivare sia dalle richieste di acquisto generate all'interno delle strutture del SSN sia dagli acquisti effettivi. A livello regionale, l'analisi del fabbisogno rappresenta uno strumento utile per la pianificazione, mentre a livello nazionale consente di interpretare i bisogni e comprendere l'evoluzione del mercato dei dispositivi medici.

Affinché il processo di richieste dei professionisti sia integrato nel governo dei dispositivi medici, è essenziale coinvolgere il livello aziendale. AGENAS e la Rete delle Regioni lavoreranno per creare strumenti correlati alle richieste di acquisto, ad esempio attraverso la creazione di un flusso di richieste di acquisto che le regioni implementeranno a livello aziendale e territoriale. AGENAS supporterà questo processo anche nel suo ruolo di Agenzia di Sanità Digitale, creando flussi informativi e report analitici sulle richieste di acquisto per il governo della sanità regionale, compresi la segnalazione e la prioritizzazione delle tecnologie da sottoporre a valutazione.

La segnalazione delle tecnologie sanitarie è un momento in cui si esprime la necessità di valutazione e si analizza il fabbisogno delle richieste di acquisto. Le proposte di valutazione possono provenire da diverse entità, tra cui il Ministero della Salute, le Regioni, le aziende sanitarie, i professionisti del Servizio Sanitario Nazionale, le società scientifiche, i produttori e le associazioni di pazienti.

La valutazione può riguardare tecnologie emergenti, in diffusione, diffuse o presunte obsolete, richiedendo una rivalutazione dell'uso appropriato nel SSN. Le proposte di valutazione vengono inviate tramite un modulo apposito attraverso il sistema di notifica di AGENAS. Le informazioni necessarie vengono documentate per la fase successiva di prioritizzazione.

La prioritizzazione delle tecnologie è fondamentale per gestire le risorse limitate e si basa su criteri come l'impatto sulla pratica clinica, le implicazioni etiche e sociali, l'impatto organizzativo, economico e finanziario, la rilevanza tecnica e l'incertezza

sull'efficacia comparativa. AGENAS proporrà aggiornamenti dei criteri di prioritizzazione in base alle nuove evidenze scientifiche e alle esperienze internazionali.

La Cabina di Regia elabora un programma di lavoro annuale che definisce le tecnologie da valutare, considerando le risorse disponibili. AGENAS coordina le attività di valutazione e dei Centri Collaborativi del Programma Nazionale di HTA dei dispositivi medici. Le valutazioni sono condotte a livello nazionale, ma possono essere effettuate anche valutazioni regionali per tecnologie non prioritarie ma importanti per specifiche regioni.

L'introduzione dei dispositivi medici nella pratica clinica avviene in modo rapido, ma difficile da monitorare completamente tramite segnalazioni volontarie. Risulta dunque necessario sviluppare un'attività di analisi e valutazione delle richieste di acquisto e delle autorizzazioni all'acquisto. Queste attività saranno gestite dalle Regioni, responsabili dell'organizzazione sanitaria. È importante integrare il Piano Nazionale HTA (Health Technology Assessment) con i flussi informativi sui consumi dei dispositivi medici al fine di monitorare l'uso delle tecnologie sanitarie nell'ambito dell'assistenza fornita dal Servizio Sanitario Nazionale (SSN). Le strutture sanitarie svolgono un ruolo cruciale nell'introduzione e nella gestione delle tecnologie sanitarie, poiché ne influenzano gli acquisti, la gestione e l'utilizzo. Il PNHTA fornisce una banca dati di valutazioni nazionali ed europee, promuove la formazione sugli HTA, monitora la diffusione delle raccomandazioni e integra i flussi informativi esistenti. Il monitoraggio valuta l'accettabilità, l'efficacia e l'efficienza delle attività del programma e il loro impatto sui processi decisionali, sulle politiche sanitarie, sulla pratica clinica e sugli acquisti del SSN.

La legge 53/2021 ha introdotto l'istituzione di un fondo per il governo dei dispositivi medici, finanziato con una quota dello 0.75% del fatturato, al netto dell'imposta sul valore aggiunto, derivante dalla vendita dei dispositivi medici e delle grandi apparecchiature da parte delle aziende che producono o commercializzano dispositivi medici. I successivi D.lgs. del 5 agosto 2022 n. 137 articolo 28 (ripreso anche nell'articolo 24 del D.lgs. del 5 agosto 2022 n.138) hanno stabilito che 1/3 di tali risorse siano destinate alle attività di HTA e ad AGENAS per le funzioni a lei attribuite. Tutte le attività descritte in tale documento vengono finanziate con tale quota del fondo per il governo dei dispositivi medici, ove non altrimenti specificato.

La promozione di decisioni informate sulla sanità attraverso l'armonizzazione delle procedure di valutazione, l'accesso equo (equità verticale) alle tecnologie sanitarie e la trasparenza dei risultati dell'HTA porterà a un miglioramento della qualità delle cure e alla promozione della salute per tutti i cittadini europei.

Il Regolamento HTA, infatti, è un passo importante verso un sistema sanitario a livello europeo più equo ed efficiente e rappresenta un passo significativo verso decisioni informate sulla sanità in tutta l'Unione Europea. L'armonizzazione delle procedure di valutazione, l'accesso equo alle tecnologie sanitarie e la trasparenza dei risultati dell'HTA sono elementi fondamentali per garantire un utilizzo efficiente delle risorse sanitarie e migliorare l'equità nell'accesso alle cure.

L'implementazione del regolamento richiederà uno sforzo collaborativo tra gli Stati membri e gli stakeholder coinvolti. Tuttavia, i benefici derivanti da una valutazione condivisa e comparabile delle tecnologie sanitarie supereranno le sfide associate all'armonizzazione. La nuova procedura avrà un impatto nella valutazione delle tecnologie sanitarie e fungerà da base per le valutazioni nazionali del valore e le negoziazioni sui prezzi. Pertanto, sono della massima importanza per l'industria ed i payers, anche in un'ottica di nuova organizzazione dell'assetto regolatorio interno, valutare (anche in modo molto anticipato) le condizioni sotto le quali un'innovazione potrà trovare spazio nei budget dei sistemi pubblici, in quanto in grado di assicurare quel "Valore" che la collettività si aspetta e intende pagare.

Per i farmaci il contesto di valutazione sembrerebbe avere dei contorni più delineati rispetto a quello dei dispositivi medici, questo perché il contesto nazionale è più regolamentato.

Obiettivo quindi fondamentale del PNHTA è quello di essere uno strumento di supporto alle Regioni per rafforzare e implementare la loro governance sui processi di adozione e utilizzo delle tecnologie nei rispettivi Servizi Sanitari Regionali (SSR). Infine, un PNHTA dei dispositivi medici che sia realmente efficace ed efficiente, e che sia orientato al miglioramento continuo, non può prescindere dal realizzare un programma che sia trasparente e misurabile nelle sue performance e nei suoi risultati. Solo attraverso un governo efficiente ed efficace a livello regionale dei processi di introduzione ed utilizzo delle tecnologie è infatti possibile realizzare un sistema di governance delle tecnologie sanitarie, che consenta di rispondere ai fabbisogni di salute dei pazienti in maniera efficace e con un utilizzo realmente efficiente delle risorse, facilitando quindi la sostenibilità economica- finanziaria dei servizi sanitari regionali.

In un quadro così eterogeneo, definire un sistema di valutazione dei dispositivi è molto complesso e il percorso di individuazione deve coinvolgere tutti i portatori di interesse al fine di individuare le possibili soluzioni che siano coerenti con lo sviluppo del settore, la sicurezza dei cittadini ed i programmati vincoli di bilancio. Si riporta in appendice la tabella di sintesi con le caratteristiche del PNHTA dei dispositivi medici.

## OBIETTIVO

Questo lavoro sintetizza la discussione emersa nella XV 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 stato esaminare il Regolamento Europeo sull'HTA e il suo ruolo nel promuovere decisioni informate sulla sanità.

Nel corso dei lavori dell'Health Policy Forum 2023, è stato analizzato l'impatto del Regolamento HTA sul processo valutativo delle tecnologie sanitarie, tenendo conto degli attuali processi regolatori nazionali. L'attenzione è stata posta sulla fase di integrazione tra i due livelli, europeo e nazionale. Per procedere ad un'analisi più efficiente, sono stati individuati dei gruppi di lavoro, ciascuno focalizzato su diversi ambiti di intervento del Regolamento HTA. La discussione è stata poi strutturata su tre ambiti principali:

- HTA e Farmaci: ricognizione degli aspetti a cui rivolgere attenzione per migliorare l'implementazione del Regolamento riguardo all'accesso dei farmaci nel contesto sanitario italiano;
- HTA e ATMPs: valutazione dell'impatto del Regolamento Europeo nell'ambito dell'armonizzazione dei criteri di valutazione delle Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs), al fine di evidenziare quale potrebbe essere la base comune per la valutazione dell'efficacia, della sicurezza e della rilevanza clinica dei prodotti e dei servizi sanitari;
- HTA e Medical Device: discussione circa l'impatto del Regolamento Europeo di HTA nell'ambito dell'armonizzazione dei criteri di valutazione dei dispositivi medici, contestualizzandolo al Programma Nazionale di HTA dei dispositivi medici (PNHTA).

I lavori dei gruppi Farmaci e ATMPs si sono evoluti nel corso degli incontri in un lavoro congiunto. L'attenzione è stata posta sia sugli aspetti del regolamento di HTA che devono essere definiti nel dettaglio, sia sull'integrazione delle valutazioni europee con i processi valutativi/decisionali a livello italiano.

## 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](http://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 online 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](http://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

EU HTA Regulation implicazioni ed opportunità per farmaci e ATMP

### RACCOMANDAZIONI

Le priorità così identificate sono state ulteriormente discusse e commentate relativamente agli aspetti su cui intervenire per un efficace recepimento all'interno del contesto regolatorio italiano.

#### 1. Early engagement tra AIFA ed i portatori d'interesse

- Definire un processo strutturato e trasparente per coinvolgere associazioni di cittadini/pazienti nella definizione dei PICO rilevanti nel contesto sanitario

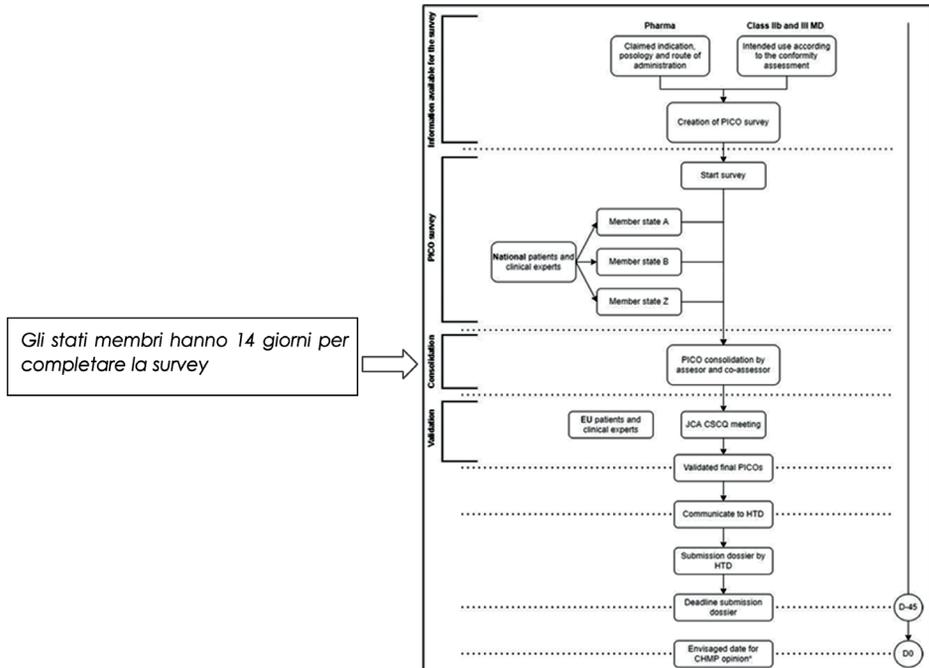
**Tabella 1** Dai due gruppi di lavoro sono emerse le seguenti priorità:

<p>1. Modalità di “early engagement” tra AIFA ed i portatori d'interesse</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Definire un processo strutturato e trasparente per coinvolgere associazioni di cittadini/pazienti nella definizione dei PICO rilevanti nel contesto sanitario italiano</li> <li>• Coinvolgere esperti clinici esterni per garantire rilevanza e tempestività del PICO</li> <li>• Coinvolgere nella discussione di una proposta PICO anche lo sviluppatore, in modo da consentire la preparazione di un piano di analisi completo ed efficace</li> <li>• Definire modalità atte a garantire la tempestività della sottomissione (draft JCA) e della valutazione nazionale</li> </ul>
<p>2. Ruolo ed accettabilità delle evidenze</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Definire le evidenze accettabili sia dal punto di vista metodologico sia per la completezza dei dati in base alle varie casistiche regolatorie</li> <li>• Definire e condividere delle linee guida per gli aspetti che riguardano assenza/scarsità di comparatori e/o problematiche oggettive e specifiche per la produzione di evidenze</li> <li>• Formulare delle linee guida per la richiesta di evidenze aggiuntive (vs JCA) e l'aggiornamento delle valutazioni (Art 14 par. 4)</li> </ul>
<p>3. Modalità di raccordo con il processo nazionale di prezzo e rimborso</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Dopo avere individuato le dimensioni misurabili e incommensurabili su cui effettuare la valutazione, procedere alla:</li> <li>• Razionalizzazione delle sezioni dedicate ai domini clinici</li> <li>• Valorizzazione delle sezioni dedicate a domini non-clinici</li> <li>• Previsione di meccanismi per gestire residue incertezze e garantire accesso tempestivo</li> </ul>

italiano. Il Regolamento, oltre a prevedere la creazione e l'ingaggio sistematico di un network Europeo di stakeholders esprime la necessità di coinvolgere attivamente i pazienti, i loro rappresentanti e gli esperti clinici. È specificamente previsto che nel processo di definizione del campo di valutazione siano considerate "le informazioni fornite dai produttori di tecnologie sanitarie, nonché i contributi provenienti dai pazienti, dagli esperti clinici e da altre figure professionali rilevanti" [come indicato nell'Articolo 8 sulle valutazioni cliniche congiunte]. Si consiglia vivamente di includere le associazioni di cittadini e pazienti nel processo di definizione dei PICO rilevanti per il contesto nazionale. A livello di stato membro, questa rete potrebbe essere costituita in maniera simile all'istituzione della rete di portatori di interessi (network di stakeholder) istituita dalla Commissione. Tale rete sostiene, su richiesta, i lavori del gruppo di coordinamento e dei suoi sottogruppi. Quest'ultima è istituita tramite un invito a presentare candidature rivolto a tutte le organizzazioni di portatori di interessi idonee.

- **Coinvolgere esperti clinici esterni per garantire rilevanza e tempestività del PICO.** Come rappresentato nel Diagramma 1, la procedura JCA inizia con il processo di scoping, avviato dal sub-group. Successivamente sarà definita una survey per dare a ciascuno Stato membro l'opportunità di trasmettere i propri requisiti per il PICO. Una volta trasmessa all'autorità nazionale, si prevede che queste abbiano circa 2 settimane di tempo per rispondere. Considerando che sarà richiesta una conoscenza estremamente specifica e puntuale dell'ambito terapeutico in questione, risulta difficile prescindere dal coinvolgimento di esperti esterni che conoscano l'attuale pratica clinica. Al fine di garantire responsabilità, si raccomanda la costituzione di un network di esperti selezionati in via preventiva assicurando una risposta concreta entro i limiti temporali stabiliti.
- **Coinvolgere nella discussione sulla proposta di PICO anche lo sviluppatore,** in modo da consentire la preparazione di un piano di analisi completo ed efficace. Considerata la ristrettezza dei tempi e la complessità del tema sarebbe necessario prevedere un tempestivo ingaggio anche dello Sviluppatore già nella fase di definizione dei PICO in modo da concordare gli elementi essenziali (ad es., il comparatore) ed abilitare lo sviluppo di adeguate evidenze.
- **Definire modalità atte a garantire la tempestività della sottomissione (draft JCA) e della valutazione nazionale.** Per contribuire ad un avvio tempestivo

**Figura 1** Il processo dai PICO al JCA (fonte EUneHTA)



delle procedure regolatorie nazionali il coinvolgimento dello sviluppatore, anche nelle fasi che precedono la definizione della versione finale del JCA, potrebbe avere elevato valore aggiunto. Questa ulteriore fase di confronto potrebbe contribuire infatti, a definire un piano di analisi efficace e condiviso, avendo già recepito le diverse prospettive.

## 1. Ruolo ed accettabilità delle evidenze

- **Definire metodi e tempi atti a garantire tempestività e rilevanza.** L'implementazione del Regolamento e l'avvio delle JCA porteranno ad affrontare, fin da subito, problematiche metodologiche legate alla tipologia di evidenze a disposizioni per i farmaci e ATMPs attualmente in fase di sviluppo. In queste circostanze, quindi, non sempre sarà possibile raggiungere un alto livello di

affidabilità e riproducibilità delle prove secondo lo standard GRADE. L'Agenzia ha finora dimostrato un atteggiamento caratterizzato da pragmatismo, dato che in molti casi, in presenza di una "forte indicazione di Valore Terapeutico Aggiunto importante", la bassa qualità delle prove non è risultata ostativa per ottenere lo status di innovatività. Il tema rimane, comunque, da attenzionare per garantire una implementazione piena ed efficace del regolamento HTA.

- **Identificare delle linee guida per i casi in cui si rilevi assenza/scarsità di comparatori e/o problematiche oggettive e specifiche per la produzione di evidenze.** Si raccomanda lo sviluppo di linee guida pragmatiche, atte ad abilitare un approccio efficace al tema dell'evidenze, specie nell'ottica della valutazione dell'innovatività di un farmaco. Quest'ultimo è un requisito necessario per garantire il riconoscimento del valore terapeutico aggiunto, contribuendo così all'accesso tempestivo sul mercato di farmaci e ATMPs. A titolo esemplificativo, sarebbe opportuno lo sviluppo di indicazioni su problematiche metodologiche specifiche quali: studi clinici a braccio singolo per i farmaci orfani, le modalità di conduzione di confronti indiretti, gli approcci da adottare nelle analisi così come per la valutazione di end point intermedi e/o surrogati.
- **Formulare delle linee guida per la richiesta di evidenze aggiuntive (rispetto al JCA) e l'aggiornamento delle valutazioni (Art 14 par. 4).** Alla luce del testo normativo del Regolamento occorrerà rivedere l'attuale struttura del dossier di P&R per evitare di presentare evidenze già sottomesse e valutate nel JCA. Sarebbe importante chiarire le evidenze cardinali per AIFA, soprattutto riguardo al processo di valutazione dell'innovatività e al relativo metodo di presentazione all'Autorità. Infine, si è rilevato come nel Regolamento non vengano al momento dettagliati i criteri per l'aggiornamento dei JCA per riflettere quanto emerso dallo sviluppo di ulteriori evidenze o del raggiungimento della maturità per taluni endpoint.

## 2. Modalità di raccordo con il processo di prezzo e rimborso

- **Razionalizzazione delle sezioni dedicate ai domini clinici.** È stata suggerita una ulteriore semplificazione della struttura del dossier tenendo in quanto i domini clinici saranno oggetto di discussione a livello europeo; per tale motivo si ritiene legittima l'aspettativa di una semplificazione soprattutto all'interno delle sezioni B e C, con una sostanziale rifocalizzazione sul valore

terapeutico aggiunto rispetto allo standard of care o comparatore in uso nella pratica clinica locale.

- **Valorizzazione delle sezioni dedicate a domini non-clinici.** Per quanto riguarda i domini non clinici occorre ricordare che le valutazioni di costo-efficacia, per le quali già esistono delle linee guida, andranno sicuramente ad occupare un ruolo ancor più centrale nella valutazione di P&R, magari valorizzando ulteriormente le preferenze dei pazienti. La creazione delle condizioni abilitanti l'accesso ed in generale la valutazione degli impatti organizzativi dovrebbe essere valorizzata adeguatamente, in quanto si tratta di aspetti rilevanti per le aziende sanitarie che andranno ad erogare le terapie e dovranno altresì implementare adeguati percorsi assistenziali.
- **Meccanismi per gestire residue incertezze e garantire accesso tempestivo.** Sempre più spesso si dovranno gestire evidenze intermedie o non convenzionali e sarà dunque necessario definire meccanismi che aiutino a gestire le incertezze connaturate alle procedure di P&R di questi prodotti sia attraverso la generazione di evidenze successive all'immissione in commercio (ad esempio attraverso i registri AIFA) sia tramite l'utilizzo di meccanismi di condivisione del rischio. In particolare, l'accesso alle ATMP è caratterizzato da molteplici complessità per l'innovatività del processo produttivo, l'incertezza sulla dimensione e sulla durabilità degli effetti così come per il disallineamento strutturale tra costi iniziali e benefici/costi evitati. Si auspica che nella valutazione ai fini della rimborsabilità venga adottata una visione d'insieme di lungo periodo, che, pur nell'incertezza, consenta di cogliere gli effetti presunti della terapia con l'obiettivo di promuovere l'accessibilità e la sostenibilità. In questo modo sarà possibile misurare il reale valore delle terapie, coprendo il divario tra costo iniziale richiesto al sistema e la reale maturazione del beneficio rispetto ai costi evitati, che si riscontrano solo nel lungo periodo, superando l'approccio della gestione delle risorse di breve periodo, spesso adottato nei sistemi sanitari. Si potrà così abilitare un accesso "adattivo" al farmaco, gestendo l'incertezza in maniera bilanciata per le diverse parti coinvolte, evitando che i tempi di ricerca di un accordo si traducano in un ritardo nell'accesso alle terapie per i pazienti.

## EU HTA Regulation – implicazioni ed opportunità per Dispositivi Medici

Il seguente documento rappresenta la sintesi della discussione avvenuta tra i membri del gruppo dell'HPF sul tema Dispositivi Medici e vuole essere di supporto

all'implementazione di un processo di HTA nazionale provando a dare spunti utili su come attuare il PNHTA per una efficace governance dei Dispositivi Medici.

Il PNHTA pubblicato di recente in Gazzetta Ufficiale<sup>1</sup> tra i suoi primi punti esplicita che:

*“(I) l'utilizzo dell'HTA a tutti i livelli decisionali del nostro Servizio Sanitario Nazionale in maniera integrata, evitando duplicazioni e avviando un processo di potenziamento a livello sistemico dei potenziali benefici dell'HTA; e (II) utilizzare l'HTA in tutti i momenti del ciclo di vita di una tecnologia, dal momento del suo sviluppo nelle diverse fasi di ricerca e sviluppo sino alla sua introduzione sul commercio e poi sino al momento della sua obsolescenza.”*

Si definisce inoltre che *“le fasi del processo nell'ambito del PNHTA 2023-2025 all'interno delle quali si collocano le attività dei vari attori coinvolti sono: (I) fabbisogno/ricieste acquisto; (II) segnalazione; (III) prioritizzazione; (IV) valutazione; (V) appraisal; (VI) implementazione esiti HTA; (VII) valutazione delle performance e dell'impatto del PNHTA.*

*A questo processo si aggiungono delle aree di integrazione funzionale che il PNHTA deve avere con tutti gli attori coinvolti nel governo dei dispositivi medici e che sono rappresentati da:*

- aggiornamento LEA connessi anche ai processi di rimborsabilità e di codifica delle prestazioni;
- flussi DM e apparecchiature;
- regolamento europeo HTA (Regulation (EU) 2021/2282);
- Osservatorio Prezzi (DL 19 giugno 2015, n. 78 e D.lgs. 5 agosto 2022 n. 137 e 138);
- Programma Nazionale Esiti;
- sanità digitale;
- sistema di classificazione DRG e rimborsabilità dei DM”

Il PNHTA si pone quindi come scopo quello di contribuire significativamente alla governance dei Dispositivi Medici, provando a mettere in connessione tutti gli ambiti che vi contribuiscono.

## INDIVIDUAZIONE DEI FABBISOGNI per programmare le attività di HTA

È evidente che l'**individuazione dei bisogni di salute ad oggi rilevabili nonché la loro evoluzione sia il primo punto cardine** per una adeguata programmazione/prioritizzazione delle attività di valutazione. Nel PNHTA si afferma che *“uno degli elementi fondamentali affinché il PNHTA sia realmente efficace è rappresentato dalla capacità di rilevare i reali fabbisogni di tecnologie sanitarie da parte delle strutture SSN”* identificando poi nel livello micro (le richieste di acquisto delle strutture ospedaliere) il punto di partenza per definire tali fabbisogni, integrandoli a livello regionale.

Da questo punto di vista risulta fondamentale riconoscere che l'emergenza Covid-19 e la programmazione ad essa seguita col Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza (PNRR) hanno reso evidente come, per una adeguata governance sanitaria, non sia adeguato ragionare in termini di interventi contingenti, né in una logica “a silos” con approcci scollegati e categorizzati come domiciliari, distrettuali, ospedalieri. È necessario, invece, partire dalle caratteristiche epidemiologiche della popolazione e dallo studio del bisogno di salute che, in parte, trova espressione in una “domanda” e che deve trovare riscontro in un continuum di cura che vede integrarsi livelli di assistenza ad intensità crescente, erogati in setting differenti (dal domicilio del paziente, fino all'ospedale, passando per l'assistenza territoriale); tutto ciò articolato in percorsi strutturati sulla base di prove di efficacia per poter assicurare una reale presa in carico della persona ammalata.

Nel documento del PNHTA si afferma che “...è infatti nel contesto dei diversi Servizi Sanitari Regionali che si crea il fabbisogno di tecnologie sanitarie e che si avviano i conseguenti processi di acquisto. Solo attraverso un governo efficiente ed efficace a livello regionale, dei processi di introduzione ed utilizzo delle tecnologie, è infatti possibile **realizzare un sistema di governance delle tecnologie sanitarie, che consenta di rispondere ai fabbisogni di salute dei pazienti in maniera efficace e con un utilizzo realmente efficiente delle risorse, facilitando quindi la sostenibilità economica- finanziaria dei servizi sanitari regionali. Obiettivo quindi fondamentale del PNHTA è quello di essere uno strumento di supporto alle Regioni per rafforzare e implementare la loro governance sui processi di adozione e utilizzo delle tecnologie nei rispettivi Servizi Sanitari Regionali (SSR)”**.

I **flussi di acquisto** possono quindi certamente essere utili nel comprendere cosa oggi venga richiesto in termini di dispositivi medici per rispondere alla domanda di salute nei singoli contesti, tenendo conto che è nell'**integrazione dei diver-**

**si flussi informativi** (ad es., flusso consumi dispositivi medici, flusso contratti, schede di dimissione ospedaliera, prestazioni di specialistica ambulatoriale, flusso assistenza domiciliare integrata, protesica, etc.). Il vero potere informativo utile alla programmazione sanitaria e una corretta lettura delle informazioni rivenienti da flussi informativi adeguati, e appropriatamente assicurati (in termini di qualità e completezza) è **fondamentale per** superare la logica del consumo storico per individuare i fabbisogni ai fini delle procedure di acquisto ed essere in grado di “leggere il bisogno di salute” anche in prospettiva, tenendo conto della transizione epidemiologica e della **conseguente evoluzione dei fabbisogni di cura. Questo potrebbe mettere in luce l’utilità di valutare dispositivi medici (DM) che ricadono non per forza nelle classi IIb o III.**

Questo tipo di approccio, che si auspica in futuro possa essere percorribile, anche se certamente più oneroso per il “*sistema dell’assessment*”, potrebbe avere un impatto molto importante anche in termini di esiti della **valutazione stessa**. Laddove il sistema di valutazione delle tecnologie potesse infatti contare su una **visione integrale di sistema** si avrebbero elementi per comprendere quanto una determinata tecnologia possa realmente contribuire o meno alla sostenibilità complessiva del sistema, potendo acquisire informazioni sull’impatto reale che essa porta/porterà a livello di modelli organizzativi che prevedono l’uso di varie tecnologie e, “in primis”, sugli esiti di salute dei pazienti.

### 3. LE VALUTAZIONI

Il Regolamento Europeo di HTA dichiara che “*l’HTA può contribuire a promuovere l’innovazione, che offre i migliori risultati per i pazienti e la società in generale e rappresenta uno strumento importante per garantire l’introduzione e l’utilizzo adeguati delle tecnologie sanitarie*”<sup>2</sup>. Viene inoltre affrontato il tema della programmazione annuale delle tecnologie da valutare tenendo conto sia di un processo di horizon scanning rispetto alle tecnologie in arrivo sul mercato sia delle tecnologie già con marchio CE e consigliate dal gruppo di coordinamento. Si dichiara che “*l’HTA può quindi aiutare gli Stati membri a creare e gestire sistemi sanitari sostenibili e promuovere l’innovazione che porti a risultati migliori per i pazienti*”.

L'individuazione dei fabbisogni di salute così come enunciato nel precedente punto di questo documento dovrebbe portare a lavorare innanzitutto su quelle **tecnologie innovative cruciali per l'impatto positivo** che possono avere **per la salute dei pazienti**, favorendone l'introduzione, lì dove per il loro sviluppo siano stati presi in considerazione *outcome di salute* rilevanti; a tal proposito l'HTA potrebbe svolgere un ruolo di "early advise" per i produttori, indicando un percorso di sviluppo su gap rilevati e importanti dal punto di vista del "valore di quella tecnologia". L'avvio delle valutazioni a livello nazionale potrebbe quindi avere il proprio focus proprio sulle **tecnologie di nuova introduzione** (già con marchio CE), provando a governarne l'accesso.

Prima di descrivere quali potrebbero essere i meccanismi d'accesso delle tecnologie innovative valutate, occorre specificare che risulta essenziale per un efficace processo di HTA nazionale assicurare i seguenti requisiti:

- **procedura chiara di richiesta di valutazione** da parte dei diversi portatori di interesse;
- **trasparenza nella prioritizzazione** delle richieste (basata anche sull'individuazione dei fabbisogni di cui sopra);
- **metodologia delle valutazioni chiara e condivisa** con gli stakeholder, che tenga conto delle *caratteristiche peculiari delle tecnologie*, così come anche enunciato nel Regolamento Europeo di HTA: *"Le metodologie di esecuzione delle valutazioni cliniche congiunte e delle consultazioni scientifiche congiunte dovrebbero essere adattate per includere le specificità delle nuove tecnologie sanitarie per le quali alcuni dati potrebbero non essere facilmente disponibili"*. Nel Regolamento Europeo si aggiunge inoltre che *"La fissazione della tempistica per le valutazioni cliniche congiunte dei dispositivi medici e dei dispositivi medicodiagnostici in vitro dovrebbe tener conto della via di accesso al mercato molto decentralizzata di tali dispositivi e della disponibilità di pertinenti evidenze comprovate necessarie per effettuare una valutazione clinica congiunta. Poiché le evidenze richieste potrebbero essere disponibili soltanto dopo che il dispositivo medico o il dispositivo medico-diagnostico in vitro è stato immesso sul mercato, e al fine di consentirne la selezione per la valutazione clinica congiunta in un momento opportuno, dovrebbe essere possibile che le valutazioni di tali dispositivi avvengano dopo la loro immissione sul mercato"*.

- tempistiche certe di produzione delle valutazioni;
- esito delle valutazioni che deve necessariamente avere un impatto, così come anche dichiarato dal PNHTA, sul finanziamento della tecnologia stessa nei Livelli Essenziali di Assistenza nonché nelle tariffe di rimborso (tariffe DRG).

#### 4. L'IMPATTO DELLE VALUTAZIONI

La valutazione delle tecnologie dovrebbe portare a raccomandazioni chiare che immettano la tecnologia in un percorso trasparente di accesso al mercato. In particolare, nel PNHTA viene richiamato che *“a seguito dei giudizi di appraisal, la Cabina di Regia potrà esprimere le seguenti raccomandazioni:*

- *“la tecnologia non presenta (al momento) elementi che ne suggeriscano l'introduzione nella pratica diffusa del SSN (per efficacia non dimostrata, o elementi di sicurezza non valutati etc.)”*. In questo caso, se la tecnologia valutata ha il marchio CE e quindi gli elementi di efficacia e sicurezza richiesti a livello di certificazione europea, sarebbe utile motivare adeguatamente la valutazione negativa (ad es., costo troppo elevato a fronte dei benefici dimostrati) e prevedere, se del caso, un'interlocuzione strutturata con le aziende produttrici per intervenire, in prospettiva, sulle criticità rilevate.
- *“L'introduzione della tecnologia in un percorso assistenziale comporterebbe benefici”*. Come descritto più avanti, perché il programma di HTA sia realmente efficace, ad una raccomandazione positiva deve seguire il legame con una revisione dei Livelli Essenziali di Assistenza nonché con un intervento sul piano delle tariffe e dei finanziamenti.
- *“La tecnologia è raccomandata solo per l'utilizzo in programmi di ricerca, condotti secondo la disciplina attuale, per la produzione di ulteriori prove scientifiche”*. In questo caso va chiarito se sono necessari ulteriori studi clinici ed esattamente quali endpoint questi studi dovrebbero prevedere, tenendo conto che il regolamento europeo di HTA, per la certificazione dei Dispositivi Medici, prevede già un ampliamento dei dati a supporto della marcatura CE.
- *“L'introduzione della tecnologia nel SSN può essere ammessa subordinatamente alla raccolta contestuale di prove scientifiche sull'efficacia reale e dati di costo, previa approvazione della Cabina di Regia.”*. Nel documento del PNHTA viene riportato che *“in merito alla produzione di valutazioni HTA, il PNHTA, considerando l'importanza del tema legato alla produzione di*

*ulteriore evidenza, tiene nella massima considerazione la possibilità di avviare una attività di generazione di evidenza, anche in considerazione dell'evoluzione sia delle conoscenze scientifiche sia del contesto normativo*". Sarebbe estremamente utile che, per le tecnologie su cui è necessario produrre ulteriori evidenze di pratica clinica, vi sia una metodologia omogenea e condivisa per la raccolta del dato (o almeno di un set minimo di dati) e la creazione di eventuali Registri. Nel caso, inoltre, in cui la tecnologia valutata sia di nuova introduzione, potrebbe essere attuato un percorso come quello dei *Market Entry Schemes*.

In questo ambito, il processo di HTA nazionale potrebbe essere l'occasione per lavorare **all'introduzione di nuovi meccanismi di accesso al mercato** che portino a sperimentare **nuovi modelli**, supportati anche grazie al finanziamento richiesto ai produttori di tecnologie (0,75% del fatturato annuale).

Lavorare ad un processo di HTA che renda più sostenibile il sistema significa infatti poter realmente **agevolare le tecnologie che hanno impatto positivo sulla salute dei pazienti e/o sulla capacità del sistema di erogare prestazioni sanitarie di qualità** andando a costituire un **fondo nazionale per la loro implementazione** e nello stesso tempo **finanziare la raccolta di esiti clinici ed economici**.

Da molti anni su tecnologie innovative in ambito farmacologico si utilizzano i **Managed Entry Schemes**<sup>3</sup>, che consentono di introdurre una nuova tecnologia garantendone la "copertura" per un tempo necessario a garantire la raccolta di **esiti di interesse** e per comprendere quanto una diffusione più ampia della tecnologia stessa possa portare o meno valore per il sistema. Tutto questo richiede ovviamente la **messa a punto di documenti metodologici** che indirizzino di volta in volta all'individuazione degli **esiti clinici, economici e organizzativi** da rilevare, all'individuazione di criteri per i centri in cui la tecnologia può essere introdotta al fine di raccogliere evidenze, a definire **gli aspetti regolatori, amministrativi, autorizzativi** relativi ad accordi di questo tipo, andando innanzitutto a capire se i dati già usualmente raccolti ad esempio tramite i flussi amministrativi (ad es., le schede di dimissione ospedaliera [SDO]) possano concorrere alla valutazione ed alla raccolta dati di pratica clinica.

Sempre guardando alla possibilità di sfruttare al meglio un processo strutturato di

3 <https://www.oecd.org/health/health-systems/pharma-managed-entry-agreements.htm>

HTA nazionale, altro punto fondamentale è **la possibilità di “tracciare” l'utilizzo dell'innovazione nella pratica clinica.**

Ad oggi questo legame va creato ex-novo, partendo da un sistema di codifica obsoleto che non è in grado di mettere in evidenza l'utilizzo di nuovi approcci o tecnologie, né di conseguenza di misurarne adeguatamente l'impatto clinico e tantomeno economico. Poter strutturare un percorso in cui sia possibile introdurre nuovi codici di codifica o proporre combinazioni convenzionali di codici che indichino l'utilizzo di una tecnologia porterebbe a poter **tracciare** in maniera molto più precisa **l'utilizzo delle tecnologie**, a monitorarne le performances, valutarne i costi e **misurarne gli esiti** (aggiornando così più facilmente anche i report di HTA prodotti) e a comprendere in questo modo il valore che le tecnologie portano all'interno del sistema. La rilevazione degli esiti e la determinazione del consumo di risorse potrebbero quindi essere elementi utili anche ad un eventuale **adeguamento o differenziazione delle politiche tariffarie a seconda della tecnologia usata, coerenti con la valutazione HTA e ad esse collegate**

È utile infine affrontare anche il **tema del procurement** tra gli impatti del processo nazionale di HTA. I **tradizionali procedimenti di gara** utilizzati per acquistare i dispositivi medici non risultano spesso adeguati e al passo con l'evoluzione tecnologica, sia perché da una parte si basano spesso sulla **misurazione del fabbisogno storico** anziché su una programmazione integrata di cui gli acquisti rappresentano solo una parte, sia per la **lunghezza dei procedimenti**, sia per la mancanza di utilizzo di elementi “sul valore” della tecnologia nella redazione dei capitolati di gara, intendendo per “valore” la capacità di produrre esiti di salute precisi ed informati da opportuni rapporti HTA (non solo quindi l'attenzione alla qualità del dispositivo medico, ma anche all'impatto che il suo utilizzo è in grado di assicurare sul percorso paziente). Da questo punto di vista, il processo di HTA potrebbe costituire la base per lavorare a **modelli di procurement innovativo**, tra cui i **modelli “value-based”**<sup>4</sup>, aiutando il sistema ad acquistare in base alle necessità individuate per una determinata patologia e andando ad includere la **misurazione dell'esito** che la tecnologia deve produrre all'interno dei requisiti di gara. L'affiancamento di strumenti e servizi digitali utili a registrare parametri clinici aiuterebbe ad ottenere in maniera automatica dati da utilizzare a questo scopo, garantendo misurazioni oggettive e tempestive. Questo, se da una parte potrebbe agevolare la raccolta di dati utili a monitorare l'effettiva capacità di produrre salute, dall'altra implicherebbe la necessità di trovare un modello di gara che possa includere anche questa tipologia di servizi, utili alla generazione delle evidenze.

Un esempio di questa modalità innovativa di procurement sono le recenti esperienze di gare “*valuebased*” maturate da Consip proprio relative all’acquisto di dispositivi medici<sup>4</sup>.

## 5. LA FORMAZIONE E L’INFORMAZIONE

La necessità di formazione in tema di HTA è stata particolarmente sottolineata durante i lavori dell’HPF, dove i diversi stakeholders chiamati al tavolo hanno sottolineato la carenza di competenze adeguate alla valutazione dei DM e per la comprensione degli esiti delle valutazioni stesse.

Più volte nel Programma Nazionale HTA si afferma la necessità di formare/informare i vari attori del sistema, il cui compito viene affidato ad Agenas: *“per favorire il processo di implementazione del PNHTA, AGENAS... predispone e promuove attività di informazione/formazione degli utilizzatori sul processo HTA e sull’utilizzo e implementazione delle raccomandazioni e degli esiti delle valutazioni HTA nella pratica clinica e nei processi gestionali all’interno delle strutture del SSN”*.

È necessario che questa formazione abbia connotazione multidisciplinare e su domini differenti e coinvolga chi lavora da tempo sui dispositivi medici, essendo necessarie competenze e know-how specifici per una loro valutazione a 360°.

Per quanto attiene all’informazione, sarebbe opportuno che le attività della Cabina di Regia Nazionale HTA fossero rese pubbliche sul sito del Ministero della Salute in forma di brevi rapporti sullo stato di avanzamento delle attività a beneficio di tutti i portatori di interesse. Una comunicazione Istituzionale chiara e periodica aiuterebbe a rendere conto di quanto prodotto e al contempo migliorare la consapevolezza anche di quelle Regioni che non partecipano alle attività in Cabina di Regia, non svolgendo un ruolo di Regioni Titolari o Sostitute. Parimenti sarebbe utile dare evidenza sul sito del Ministero della Salute o dell’Agenzia Nazionale dei Servizi Sanitari alle attività del “*coordination group*” europeo per il tramite dei rap-

<sup>4</sup> Si veda, per una disamina delle gare Value based Procurement Consip, i documenti di consultazione del mercato questionario generale/tecnico rispettivamente e a titolo esemplificativo: i) Gara per la fornitura di trocar per le pubbliche amministrazioni – II Edizione quesiti 9-11 (Roma, 28/03/2023); ii) Gara per la fornitura di suturatrici meccaniche per le pubbliche amministrazioni – I Edizione quesiti 13 e 14 (Roma, 15/02/2023); iii) Gara per la fornitura di valvole cardiache di tipo percutaneo – II Edizione quesito 14 (Roma, 29/11/2019); iv) Gara a procedura aperta per l’affidamento di un Accordo Quadro avente ad oggetto la fornitura di dispositivi impiantabili attivi per funzionalità cardiaca – II Edizione – (Roma, 07/2023).

presentanti nazionali che in esso operano, o quanto meno riportare il link al sito della Commissione Europea che pubblica le minute degli incontri.

## 6. IL RUOLO DEI PAZIENTI

Secondo il PNHTA per le associazioni di pazienti e di cittadini, secondo la metodologia dell'HTA, è necessaria la loro partecipazione durante il processo di HTA. A tale riguardo è fondamentale un processo che possa essere in linea con il PNHTA partendo dall' "Atto di indirizzo riguardante le modalità di partecipazione ai processi decisionali del Ministero della Salute da parte delle Associazioni o Organizzazioni dei cittadini e dei pazienti impegnate su tematiche sanitarie".<sup>5</sup>

In linea con quanto previsto dal Regolamento Europeo 2021/2021 sull'HTA, il PNHTA ha previsto come meccanismo di coinvolgimento lo Stakeholder Network, in cui sono incluse le Società scientifiche, Produttori e loro associazioni, Cittadini/Pazienti e loro associazioni.

Concludendo, nel testo del PNHTA si afferma che *"obiettivo delle attività di monitoraggio del PNHTA è relativo alla comprensione di quanto i risultati del PNHTA abbiano impattato sui processi decisionali, sulle politiche sanitarie, sulla pratica clinica, sui processi di acquisto e in linea generale sui livelli di efficienza ed efficacia del Servizio Sanitario Nazionale e sulla sua capacità di rispondere ai fabbisogni di salute della popolazione."* Quest'ultimo punto risulta particolarmente importante: l'impatto di un efficace processo di HTA si misurerà non tanto sul numero dei report prodotti o delle tecnologie valutate, quanto sul miglioramento degli esiti di salute dei pazienti in un contesto che garantisca la sostenibilità del sistema nel suo complesso. Ovviamente la misurazione di impatto degli elementi sopraindicati risulta essere sfidante, ma proprio per questo è necessaria una collaborazione chiara e trasparente con tutti gli attori del sistema e con tutti i portatori di interesse per concorrere insieme all'obiettivo prefissato.

## BIBLIOGRAFIA

- REGOLAMENTO (UE) 2021/2282 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 15 dicembre 2021 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie e che modifica la direttiva 2011/24/UE. Disponibile al link <https://eur-lex.europa.eu/legalcontent/IT/TXT/PDF/?uri=CELEX:32021R2282&from=EN>. Ultimo accesso 8/06/2023
- Proposta Tecnica del Programma Nazionale HTA per i dispositivi medici. Disponibile al link <https://www.quotidianosanita.it/allegati/allegato1680244103.pdf>. Ultimo accesso 09/06/2023
- [https://www.salute.gov.it/imgs/C\\_17\\_pubblicazioni\\_2855\\_ulterioriallegati\\_ulterioreallegato\\_2\\_alleg.pdf](https://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2855_ulterioriallegati_ulterioreallegato_2_alleg.pdf)

## SITOGRAFIA

[https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/regulation-health-technologyassessment\\_en](https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/regulation-health-technologyassessment_en)

APPENDICE

**Tabella 2** Sintesi caratteristiche del PNHTA dei dispositivi medici

Governance e attori coinvolti	Attività
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Il Programma Nazionale HTA dispositivi medici (PNHTA) è stato istituito per promuovere l'uso razionale dei dispositivi medici sulla base del principio costo/efficacia</li> <li>• La Cabina di Regia è l'organo decisionale e di indirizzo del PNHTA</li> <li>• AGENAS coordina il PNHTA a livello nazionale e supporta la Cabina di Regia</li> <li>• La Rete delle Regioni gestisce i dispositivi medici e l'HTA a livello regionale</li> <li>• I centri collaborativi producono valutazioni HTA nell'ambito del PNHTA</li> <li>• Gli stakeholder coinvolti nel PNHTA includono società scientifiche, produttori, cittadini/pazienti e loro associazioni</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Il PNHTA 2023-2025 si propone di integrare l'HTA a tutti i livelli decisionali del Servizio Sanitario Nazionale e in tutte le fasi del ciclo di vita delle tecnologie</li> <li>• Il processo di HTA comprende sette fasi principali: fabbisogno/ricieste di acquisto, segnalazione, prioritizzazione, valutazione, appraisal, implementazione degli esiti HTA e valutazione delle performance e dell'impatto</li> <li>• L'analisi del fabbisogno/ricieste di acquisto è fondamentale per individuare i reali bisogni di tecnologie sanitarie</li> <li>• La segnalazione, prioritizzazione e valutazione delle tecnologie sono fasi cruciali per gestire le risorse limitate e valutare l'impatto delle tecnologie sul SSN</li> <li>• Il PNHTA si integra con altre attività come l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza, i flussi dei dispositivi medici, il regolamento europeo sull'HTA, l'Osservatorio Prezzi, il Programma Nazionale Esiti, la sanità digitale, il sistema di classificazione DRG e il rimborso dei dispositivi medici</li> </ul>



---

**KOS** | EDITRICE

© 2023, KOS Comunicazione e servizi srl Roma  
segreteria@koscomunicazione.it [www.koscomunicazione.it](http://www.koscomunicazione.it)

Edizione HPF marzo/ottobre 2023

---



# HEALTH POLICY FORUM



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

[www.sihta.it](http://www.sihta.it)