

HEALTH POLICY FORUM 2024

REGOLAMENTO EUROPEO: QUALE SVILUPPO PER L'HTA IN ITALIA?

Emanuela Arcangeli, Chiara Bini, Francesca Borghetti, Francesco Cattel,
Eugenio Di Brino, Laura Fioravanti, Stefano Giardina, Roberta Laurita, Marco Meneguzzo,
Giandomenico Nollo, Anna Ponzianelli, Dario Sacchini, Paolo Sciattella



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

HEALTH POLICY FORUM

L'Health Policy Forum (HPF) è un'iniziativa della Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA) e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'HTA, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di pazienti, 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 in Italia.

Final Paper 20

COORDINATORI HPF

Eugenio Di Brino *Ricercatore ALTEMS, Co-founder & partner di Altems Advisory, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma*

Paolo Sciattella *Ricercatore CEIS-EEHTA, Facoltà di Economia, Università di Roma "Tor Vergata"*

SEGRETERIA SCIENTIFICA HPF

Chiara Bini *CEIS-EEHTA, Facoltà di Economia, Università di Roma "Tor Vergata"*

Roberta Laurita *Assegnista di ricerca, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma*

COMITATO SCIENTIFICO HPF

Marco Meneguzzo *Professore ordinario di Economia aziendale e responsabile scientifico dell'EEHTA del CEIS, Facoltà di Economica, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"*

Giandomenico Nollo *Presidente Sihta, Professore di Bioingegneria. Laboratori BIOtech, Dipartimento di Ingegneria Industriale, Università di Trento*

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), Roma, Presidente Altems Advisory, UCSC, Roma*

24

REGOLAMENTO EUROPEO: QUALE SVILUPPO PER L'HTA IN ITALIA?

L'*Health Policy Forum* (HPF) è un'iniziativa promossa e organizzata dalla SIHTA in collaborazione con l'Associazione Italiana Ingegneri Clinici (AIC), 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 Consiglio Direttivo e del Comitato Tecnico 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* (HTAi), 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 scelto dai Coordinatori del Forum tra diverse tematiche proposte dal Comitato Tecnico Scientifico della SIHTA. Attraverso discussioni avvenute in sessione plenaria e nei lavori dei sottogruppi, il dibattito ha permesso di fornire le prime risposte alle domande relative alla tematica dell'HPF.

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'in-

formazione 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.

RAZIONALE HPF 2024

Il Regolamento (UE) 2021/2282 (HTAR) sull'*Health Technology Assessment* stabilisce standard comuni per valutare le tecnologie sanitarie nell'Unione Europea, mirando all'armonizzazione dei processi e all'accesso equo alle innovazioni. L'efficacia dell'HTA dipenderà dalla capacità di superare questi ostacoli, richiedendo cooperazione, flessibilità e investimenti in formazione per implementare efficacemente il regolamento, promuovendo l'accesso a cure di qualità e stimolando l'innovazione nel settore delle tecnologie sanitarie in tutta l'Ue. Affrontare queste sfide richiederà un impegno coordinato da parte dei Paesi membri, delle istituzioni europee, degli enti HTA e delle parti interessate del settore sanitario. Sarà fondamentale promuovere il dialogo, la flessibilità e la cooperazione per realizzare gli obiettivi di armonizzazione, efficacia ed equità sottesi al Regolamento europeo di HTA. L'edizione dell'*Health Policy Forum 2024* offre l'occasione di discutere sfide e opportunità del Regolamento, mediante il confronto tra istituzioni e stakeholders, per affrontare le future evoluzioni nel settore sanitario. Nell'introduzione dei lavori dell'*Health Policy Forum* è stato sottolineato come l'HTAR stia avendo un ruolo fondamentale nel promuovere decisioni informate sulla sanità, focalizzando l'attenzione dei Paesi Membri su tre aspetti principali: l'armonizzazione delle procedure di valutazione, l'accesso equo alle tecnologie sanitarie e la trasparenza dei risultati dell'HTA. Sarà fondamentale la promozione del dialogo, della flessibilità e della cooperazione per realizzare gli obiettivi di armonizzazione, efficacia ed equità sottesi al Regolamento europeo di HTA.

RACCOMANDAZIONI PER L'IMPLEMENTAZIONE DEL REGOLAMENTO (UE) 2021/2282 NELL'AMBITO DEI PRODOTTI MEDICINALI IN EUROPA E ITALIA

In riferimento all'analisi dell'implementazione del Regolamento (UE) 2021/2282 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie, il Gruppo di lavoro (GdL) Farmaci EU & IT istituito all'interno del *Health Policy Forum 2024*, ha individuato gli aspetti che potrebbero rappresentare le maggiori opportunità di implementazione, sia a livello europeo sia a livello nazionale, e proposto delle possibili indicazioni. Di seguito sono riportate le proposte condivise, suddivise per argomento.

1 - DISEGNO DEGLI STUDI CLINICI

Considerazione

L'HTA è un processo fondamentale nella valutazione di una tecnologia sanitaria per determinare se la stessa debba essere resa disponibile in un sistema sanitario. A differenza della valutazione regolatoria che si basa sul rapporto beneficio/rischio, quello HTA (riferendosi qui all'HTAR) si focalizzerà sulla valutazione dell'efficacia e sicurezza relativa dei domini clinici (JCA, *Joint Clinical Assessment*). Queste differenze (regolatorio vs. HTA) costituiscono ora una forte opportunità di miglioramento. Secondo l'HTAR, l'*Health Technology Developer* (HTD) può richiedere *advice* scientifici al fine di generare evidenze e/o disegnare studi clinici utilizzando in parallelo lo *Scientific Advice* (SA) dell'EMA e il *Joint Scientific Consultation* (JSC) dell'HTAR sia per quanto riguarda i farmaci che i dispositivi medici. Gli HTD possono decidere se richiedere i due *advice* congiuntamente o separatamente. Unica eccezione sono gli IVD per cui ai sensi del Regolamento (EU) n 746/2017 non è possibile chiedere un *advice* parallelo, ma solo quello JSC ai sensi dell'HTAR. Lo scopo è quello di ottimizzare lo sviluppo clinico di una tecnologia venendo incontro ai reali bisogni di salute pubblica.

Proposte

Prevedere una *capacity* adeguata sia a livello europeo che locale.

Potrebbe essere opportuno ragionare in ottica di *cluster* di Stati membri (SM) con maggiori similitudini tali da mutuare eventuali *advice* fatti da alcuni *stakeholder* e immediatamente importabili negli altri SM.

2 - PROLIFERAZIONE DEI PICOS

Considerazione

Secondo l'HTAR, "L'ambito di valutazione del JCA dovrebbe essere inclusivo e dovrebbe riflettere le esigenze di tutti gli SM in termini di dati e analisi che devono essere presentati dallo HTD". La definizione del PICO (assessment scope) da parte degli SM e la possibile proliferazione dei PICO è legata all'eterogeneità e alle caratteristiche delle organizzazioni HTA dei singoli SM: metodologie, criteri, etc.

Proposte

- a. Evitare le diverse prospettive locali facendo ricorso all'utilizzo di *position paper* a livello europeo, in cui poter tenere conto di prospettive dei diversi attori tra i quali si collocano, ad esempio, le società scientifiche europee. Tuttavia, è fondamentale che la responsabilità ultima rimanga in capo ai singoli Paesi Membri.
- b. **Creare un repository in cui far confluire il materiale prodotto rendendolo di facile accesso a livello europeo.** In aggiunta, sarebbe utile definire il livello di accettabilità e di qualità delle evidenze utilizzate per valutare l'efficacia comparativa (es. *standard of care* univoco) in modo che tutti gli SM rendano disponibili le tecnologie più efficaci e sicure (un punto di partenze sono le Linee Guida rilasciate sulla validità degli studi clinici).
- c. **Per i casi in cui il PICO nazionale non rientri nel PICO consolidation bisognerebbe seguire un criterio di gerarchia delle fonti utilizzate** (univocamente e metodologicamente comune) in relazione alla qualità delle evidenze.

3 - FORMAZIONE DEGLI STAKEHOLDER

Considerazione

L'HTAR all'art. 29 comma 1 stabilisce che "la Commissione istituisce lo *stakeholder network* che supporta il lavoro del HTAR *Coordination Group* (HTACG) e dei suoi sottogruppi su richiesta". Poi, lo stesso Articolo al comma 5 cita: "L'HTACG si riunisce con lo *stakeholder network* almeno una volta all'anno per: (a) aggiornare gli *stakeholder* sul lavoro congiunto del HTACG, compresi i suoi principali risultati; (b) prevedere uno scambio di informazioni." Inoltre, l'HTAR all'art. 30.1(b,c,d) definisce la "Creazione di un'intranet sicuro per lo scambio di informazioni tra i membri del HTACG e i suoi sottogruppi, incluso lo scambio di informazioni con HTDs ed esperti di tecnologie sanitarie, con l'EMA e il gruppo di coordinamento dei dispositivi medici

(MD); nonché tra i membri del *stakeholder network*” ed ancora, l’art. 30 IT platform comma 3c riporta “criteri di eleggibilità per gli *stakeholder*”. Infine, l’HTAR all’art. 29.4 riporta “A seguito dell’invito a presentare candidature per aderire all’HTA *Stakeholder Network* del 12 dicembre 2022, la Commissione ha valutato le candidature e pubblicato l’elenco delle organizzazioni selezionate come stabilito dall’Art. 30(3)(r)”.

Proposte

- a. È auspicabile che le società scientifiche e le università che si occupano di HTA continuino e incrementino l’erogazione di percorsi di formazione destinati a chi può e deve effettivamente prendere decisioni in ambito dell’HTAR. A livello locale, risulta fondamentale una formazione più strutturata per i decisori nazionali e gli esperti che rappresenteranno l’Italia all’interno del contesto europeo, elaborando una formazione congiunta tra tutti i Paesi Membri, che impegni le Istituzioni nell’erogazione della stessa facendo sinergia con le università.
- b. **Necessità di ampliare il paniere degli *stakeholder* che hanno competenze HTA** per affrontare con qualità il JCA e lo JSC. Con particolare riferimento a competenze ed *expertise*, risulta altresì complementare anche l’aspetto legato al coinvolgimento di *stakeholder* nazionali che possano intervenire attraverso una consultazione in fase di definizione del PICO a livello nazionale (come risposta italiana alla proposta del PICO [*survey*] avviata dagli assessor del JCA *subgroup*). Essi andranno definiti e identificati secondo l’approccio HTA selezionando portatori di interessi, quali industria, società scientifiche, associazioni pazienti, esperti clinici e operatori sanitari, nel rispetto della multidisciplinarietà. Un esempio è quello di fare riferimento al database AIFA degli esperti clinici con competenze in HTA.
- c. **La formazione degli *stakeholder* in HTA non rappresenta un’attività ex-novo, ma un processo già avviato** che può mutuare delle esperienze già consolidate: si basti pensare quanto fatto da parte di SIHTA e dell’HPF da oltre un decennio.

4 - MONITORAGGIO DELL'ANDAMENTO HTAR

Considerazione

Secondo l'HTAR *“Per garantire che il quadro di sostegno continui a essere il più efficiente e conveniente possibile, la Commissione dovrebbe riferire al Parlamento europeo e al Consiglio sull'applicazione del presente regolamento entro tre anni dalla sua data di applicazione. La relazione dovrebbe concentrarsi sulla revisione del valore aggiunto del lavoro congiunto per gli SM. In particolare, la relazione dovrebbe valutare se vi sia la necessità di introdurre un meccanismo di pagamento delle tariffe, che garantirebbe l'indipendenza del HTACG, attraverso il quale gli HTDs contribuirebbero anche al finanziamento delle JCA. Inoltre, la relazione dovrebbe esaminare l'effetto della non duplicazione della richiesta di informazioni, dati, analisi e altre prove per la JCA in termini di riduzione dell'onere amministrativo per gli SM e gli HTD, facilitando l'accesso al mercato per prodotti nuovi e innovativi e riducendo i costi. La relazione potrebbe innescare una valutazione sui progressi compiuti per quanto riguarda l'accesso dei pazienti a tecnologie sanitarie innovative, la sostenibilità dei sistemi sanitari e la capacità di HTA a livello di SM.”*

Proposta

Proporre un cruscotto di monitoraggio attraverso cui gli SM possano fornire e aggiornare i propri dati dettagliando gli impatti e gli esiti derivanti dall'adozione dell'HTAR.

5 - ACCESSO NAZIONALE

Considerazione 1

L'efficienza guadagnata dal *Joint Clinical Assessment* JCA [HTAR Articoli 7-15] in termini di facilitazione del processo (HTAR), pur garantendo una omogeneizzazione delle valutazioni, non assicurerebbe la velocizzazione attesa dei tempi di accesso nazionale. Le opportunità di accesso prioritario previste dalle normative locali, quali ad esempio la legge Balduzzi (Legge 8 novembre 2012, n. 189 - GU Serie Generale n.263 del 10-11-2012 - Suppl. Ordinario n. 201) applicabile ai farmaci di eccezionale rilevanza terapeutica e sociale, ospedalieri e orfani, potrebbero venir meno. L'HTAR, infatti, prevede che il JCA venga rilasciato e pubblicato entro 30 giorni dalla *European Commission* (EC) decision di EMA e quindi circa 90 giorni dopo la *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP) *opinion*. Ciò si tradurrebbe in un ritardo nei tempi di accesso locali che potrebbe arrivare sino a 100 giorni.

Proposta

Mantenere le regole attuali - ai sensi delle normative menzionate - della sottomissione del dossier P&R, al netto dei domini clinici oggetto della valutazione europea, che potrebbe essere inviato a integrazione in un secondo momento (visto le tempistiche della pubblicazione del report HTAR JCA). Questo consentirebbe di mantenere la sussistenza della procedura prioritaria e di garantire l'accesso alle nuove terapie nei tempi.

Considerazione 2

Incertezza di avere un PICO consolidation rappresentativo in tutti gli SM (HTAR Art. 8 Assessment scope)

Proposte

- a. Sarà **fondamentale e inevitabile un confronto a livello locale tra i rappresentanti della comunità scientifica, con l'inclusione attiva di associazioni pazienti/cittadini** e le istituzioni.
- b. Tale approccio – tenendo presente le fasi e le tempistiche di JCA - richiede necessariamente una cooperazione programmata tra l'HTD e AIFA che può essere distinto in:
 - **PRIMO INCONTRO AIFA – HTD PRE-PICO SURVEY/PROPOSAL.** Lo scopo è di informare in anticipo l'AIFA sulla specialità medicinale e l'indicazione terapeutica soggetto di valutazione EMA e JCA HTAR tenendo in considerazione eventuali criteri di prioritizzazione, le linee guida italiane e internazionali e soprattutto la pratica clinica italiana. La riunione potrebbe avvenire face to face o in modalità online, al fine di chiarire bene gli aspetti rilevanti.
 - **SECONDO INCONTRO AIFA – HTD PRE-PICO CONSOLIDATION.** L'obiettivo è di condividere con l'Agenzia lo status dei PICO italiani, propedeutico sia al dossier JCA HTA, ma soprattutto ai fini della preparazione del dossier P&R.
 - **TERZO INCONTRO AIFA – HTD PRIMA DELLA SOTTOMISSIONE DEL DOSSIER PR.** L'obiettivo è di ottimizzare la scrittura del dossier P&R, a seguito dell'indicazione terapeutica approvata, l'esito del PICO consolidation e report HTA JCA, tenendo presente gli scenari di incertezza che potrebbero necessitare di approfondimento (es. PICO spopolato, comparatore non identificabile, non conoscenza del PICO italiano), elaborare una lista esaustiva di tutti gli elementi necessari a supporto della valutazione nazionale. Tale confronto potrebbe avvenire anche su piattaforma AIFA al fine di evitare un dispendio di risorse.

Considerazione 3

Rischio – al livello nazionale - di non essere in coerenza con l’HTAR in quanto “Il JCA dovrebbe essere realizzato seguendo i principi di buona prassi amministrativa e dovrebbe mirare a raggiungere il massimo livello di qualità, trasparenza e indipendenza.” e “La trasparenza e la consapevolezza pubblica del processo sono essenziali. Laddove vi siano dati riservati per motivi commerciali, le ragioni della riservatezza devono essere chiaramente stabilite e giustificate e i dati riservati ben delimitati e protetti”.

Proposte

- a. Possibilità di **efficientare i procedimenti di valutazione attraverso una comunicazione periodica** dei tempi di accesso delle diverse pratiche negoziali (che includono medicinali eleggibili al HTAR JCA oppure no) al fine di poter dare trasparenza ai processi nazionali e permettere una adeguata prioritizzazione in linea con le tempistiche indicate dall’HTAR.
- b. Tali attività devono prevedere un corretto **capacity building** (vedere anche 1), in particolar modo sugli aspetti legati all’HTAR e alle sue ricadute e implicazioni, al fine di attuare un’adeguata programmazione delle attività di HTA.

Considerazione 4

La mancanza di un approccio Full-HTA tenendo in considerazione oltre i domini clinici [Health problem and current use of technology (CUR), Description and technical characteristics of technology (TEC), Safety (SAF), Clinical effectiveness (EFF)] anche i domini non-clinici in particolare: *Costs and economic evaluation (ECO)*, *Ethical analysis (ETH)*, *Organisational aspects (ORG)*, *Patients and Social aspects (SOC)*, *Legal aspects (LEG)*

Proposta

Necessità di includere i domini non-clinici nel processo negoziale seguendo la metodologia del Full-HTA, che possa attribuire un valore specifico all’impatto organizzativo e ai domini ELSI nel processo negoziale. Tale proposta non rappresenta l’intenzione di dare indicazioni circa il processo valutativo, piuttosto mira a trasferire un approccio metodologico che permetta una valutazione a 360 gradi della tecnologia tramite la considerazione di tutti i domini dell’HTA.

RACCOMANDAZIONI PER L'IMPLEMENTAZIONE DEL REGOLAMENTO (UE) 2021/2282 NELL'AMBITO DEI DISPOSITIVI MEDICI IN EUROPA E ITALIA

La discussione del gruppo di lavoro Dispositivi Medici EU & IT si è sviluppata considerando gli elementi rilevanti dell'implementazione dell'HTAR, alla luce del possibile impatto sul livello nazionale e tenendo in considerazione la coerenza con il Programma Nazionale HTA dei Dispositivi Medici.

I dispositivi medici sono caratterizzati da alcuni elementi quali l'eterogeneità dei prodotti, la differente durata del ciclo di vita secondo la tipologia del dispositivo, l'evoluzione mediante innovazioni incrementali, la presenza di curve di apprendimento nell'utilizzo del dispositivo medico nonché l'interazione con gli operatori. Queste caratteristiche richiedono processi di valutazione e metodologie appropriate che siano adattabili alla natura del dispositivo e all'utilizzo previsto (es dispositivo impiantabile, diagnostico, digitale o terapeutico). Di seguito si riportano alcuni approfondimenti sugli elementi caratterizzanti dei dispositivi medici che sono stati considerati nello sviluppo delle riflessioni del gruppo di lavoro:

- *ciclo di vita del prodotto breve/innovazione incrementale*: i dispositivi medici evolvono attraverso innovazioni incrementali e sono spesso soggetti a modifiche tecnologiche una volta giunti sul mercato. Il ciclo di innovazione di un dispositivo medico è in media di due anni, con diversi miglioramenti tecnologici che diventano disponibili molto più velocemente rispetto ad altre tecnologie sanitarie (ad esempio rispetto ai farmaci). Nello stesso tempo, i dispositivi medici non beneficiano di esclusività di brevetto per un periodo di tempo definito.
- *curva di apprendimento/interazioni dispositivo-operatore/capacità dell'utente*: l'efficacia di un dispositivo medico dipende non solo dal suo contenuto tecnologico, ma anche da come viene utilizzato e gestito sia dai professionisti sanitari che dai pazienti/caregiver. Se questo da una parte implica la necessità di un'adeguata formazione nell'utilizzo del dispositivo stesso, dall'altra implica la necessità di tenere conto, nei processi valutativi, del potenziale impatto che l'esperienza degli utilizzatori ha sulle performance del dispositivo stesso.
- *dispositivi medici diagnostici*: esiste una grande eterogeneità nelle tecnologie diagnostiche, che spaziano da un test genetico a una nuova tecnologia di imaging diagnostico. È necessario tenere in considerazione che il valore delle tecnologie diagnostiche può non essere separato dal valore del miglioramento degli esiti per i pazienti risultante dal trattamento successivo. È necessario

tenere in considerazione queste specificità e se e quanto esse possano impattare sulla costruzione degli studi di efficacia e sicurezza.

- *impatto organizzativo delle tecnologie mediche*: poiché il valore dei dispositivi medici non risiede solo negli esiti clinici prodotti, ma spesso nell'impatto e nel miglioramento dell'organizzazione della gestione sanitaria e dei servizi lungo il percorso di cura o nella capacità di migliorare la capacità del sistema, è importante che questo aspetto sia adeguatamente considerato.
- *generazione e analisi delle evidenze*: i dispositivi medici sono tecnologie complesse, per le quali lo sviluppo delle evidenze deve essere adeguato allo scopo. L'uso di studi sperimentali e di studi osservazionali che producono evidenze real world dovrebbe essere incluso per dimostrare il valore delle tecnologie nel percorso di cura. È importante che nel processo HTA si tenga conto correttamente delle evidenze disponibili al momento del marchio CE, lavorando su standard fissati ad hoc per i dispositivi medici.

Di seguito sono riportate le proposte condivise dal GdL, suddivise per argomento.

1 - Coinvolgimento degli stakeholders nel processo di HTA

Proposta

I principali stakeholder dovrebbero essere coinvolti nella:

- fase pre-JCA (definizione PICO a livello nazionale e riunioni di inquadramento per allinearsi sui requisiti delle evidenze necessarie e sui tempi per la presentazione del dossier per JCA);
- fase JCA (ossia presentazione del dossier e revisione della prima bozza del JCA e non solo per la verifica del rapporto finale del JCA);
- fase post-JCA (uso e adozione del JCA per informare decisioni tempestive su rimborso, finanziamento e utilizzo delle tecnologie).

Questo dovrebbe essere facilitato attraverso un dialogo precoce con i diversi *stakeholders* e con gli HTD per definire i requisiti delle evidenze, le tempistiche e il PICO.

2 - Implementazione nel processo nazionale di HTA

Proposta

È importante definire il processo di implementazione del risultato del JCA a livello

nazionale. Le dimensioni non cliniche riguardanti accesso, rimborso, impatto organizzativo ecc. sono infatti a carico di ogni Stato membro, che deve svilupparle secondo le proprie peculiarità di sistema. In tale processo di implementazione, può risultare rilevante l'interlocuzione con i diversi *stakeholder*.

3 - Horizon scanning (HS)

Considerazione

Nel Regolamento Europeo HTA (al punto 42) si afferma che *“Al fine di garantire l'uso efficiente delle risorse disponibili, è opportuno prevedere un sistema di horizon scanning per consentire la tempestiva individuazione delle tecnologie sanitarie emergenti che potrebbero avere un impatto significativo sui pazienti, sulla sanità pubblica e sui sistemi sanitari nonché per orientare la ricerca. Tale sistema di horizon scanning potrebbe essere utilizzato per sostenere il gruppo di coordinamento nella pianificazione dei suoi lavori, in particolare in relazione alle valutazioni cliniche congiunte e alle consultazioni scientifiche congiunte, e potrebbe altresì fornire informazioni ai fini di una pianificazione a lungo termine a livello sia dell'Unione che nazionale”*. Sempre nel Regolamento Europeo HTA al punto 44 si afferma che *“Al fine di garantire l'inclusività e la trasparenza delle attività congiunte, il gruppo di coordinamento dovrebbe coinvolgere e consultare ampiamente le organizzazioni di portatori di interessi nel settore della cooperazione dell'Unione in materia di HTA, comprese le organizzazioni dei pazienti, le organizzazioni degli operatori sanitari, le società cliniche e scientifiche, le associazioni di sviluppatori di tecnologie sanitarie, le organizzazioni dei consumatori e altre pertinenti organizzazioni non governative in campo sanitario. Dovrebbe essere istituita una rete di portatori di interessi per facilitare il dialogo tra le organizzazioni dei portatori di interessi e il gruppo di coordinamento”*.

Proposta

A tal proposito, e in coerenza con i criteri di selezione delle tecnologie citati più avanti, si potrebbe prevedere la possibilità da parte degli *stakeholder* di segnalare la valutazione di tecnologie (DM sottoposti a expert panel e IVD) che potrebbero avere un impatto significativo sui pazienti e sui sistemi sanitari in termini di: (I) carico della malattia (DALYs, PREMs, PROMs); (II) impatto sulla salute pubblica (equità di accesso tecnologia/equità di impatto tra gruppi con caratteristiche socioeconomiche diverse. Orientamento alla prevenzione); (III) impatto sull'organizzazione sanitaria (capacità del personale, necessità di formazione degli operatori sanitari,

necessità infrastrutturali, flusso di lavoro ecc.).

Il processo inizia prima dell'ottenimento del marchio CE. Le informazioni devono essere inviate tramite una piattaforma convalidata.

È altresì ritenuto necessario un coordinamento tra il processo di HS, lo scientific advice e la JSC (deve esserci allineamento tra i requisiti normativi e i requisiti richiesti dal processo di HTA per includerli nello sviluppo delle evidenze prodotte).

4 - Fase JCA

Considerazione

Al punto 24 dell'HTAR viene dichiarato che *“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”*.

Proposta

Riteniamo che il JCA debba essere adattabile e flessibile nell'incorporare considerazioni specifiche per le malattie e le tecnologie mediche. È necessario che vi sia coerenza tra le dimensioni valutate nel JCA e la valutazione effettuata per l'ottenimento del marchio CE per i dispositivi medici integrando gli studi clinici per il marchio CE con quanto richiesto dal HTAR.

In particolare, in merito alla necessità delle evidenze, il JCA: (I) dovrebbe garantire una certa prevedibilità di processo e di risultati per gli sviluppatori di tecnologie innovative e gli stakeholder; (II) incoraggiare approcci innovativi nella conduzione della valutazione e nella generazione delle evidenze considerando un approccio legato al ciclo di vita nella generazione delle evidenze stesse come da definizione di HTA.

L'adattabilità e la flessibilità delle metodologie dovrebbero considerare le seguenti tre dimensioni: (I) la natura della tecnologia (es. dispositivi medici impiantabili, diagnostici, tecnologie digitali non in classe 2a ma superiore, ecc.); (II) la natura della malattia (es. malattie cardiovascolari, diabete, oncologia, ecc.); (III) le evidenze: identificare il set di dati minimi sufficienti (non necessariamente limitato solo ai requisiti normativi) in linea con il ciclo di vita del prodotto attraverso un'interazione precoce con organismi regolatori (panel di esperti e organismi notificati) e organismi HTA (es. nel disegno degli *“early trial”*; nella raccolta continua di RWE/RWD).

5 - Tempistiche per la selezione delle tecnologie per il processo JCA

Proposta

In accordo con quanto dichiarato dal Regolamento Europeo di HTA all'Art. 5 "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", è estremamente importante che il processo di JCA sia tempestivo ed efficace per consentire un migliore accesso dei dispositivi medici innovativi sul mercato. Da questo punto di vista è importante un allineamento tra le valutazioni preliminari pre-marchio CE, il processo di HS, le JSC e le JCA. In riferimento allo scambio di informazioni pre-marchio CE tra HTD, stakeholder e gruppo di coordinamento, è necessario che sia garantita la stretta riservatezza per lo scambio di informazioni.

Un JCA il più vicino possibile alla certificazione CE risulta essere una strada percorribile, ma va considerata la disponibilità delle evidenze secondo il piano di sviluppo clinico predisposto dagli HTD. È necessario trovare il giusto equilibrio tra la rilevanza dei dati clinici disponibili e la necessità di non ritardare/negare l'accesso nei Paesi europei.

CRITERI DI SELEZIONE (ART. 7.4)

In merito alla discussione, il gruppo di lavoro ha provato a identificare alcune definizioni per:

Bisogni di salute non soddisfatti:

- Un bisogno di salute non soddisfatto è una condizione o sintomo il cui trattamento non è adeguatamente affrontato in base agli interventi disponibili. Include un bisogno immediato per una popolazione definita.
- È estremamente importante che il valutatore HTA comprenda come funziona la tecnologia e perché è stata sviluppata (quale bisogno clinico l'azienda sta cercando di soddisfare) e in che punto la tecnologia o il servizio si inserisce nel percorso di cura completo.
- È necessario includere linee guida cliniche aggiornate e principalmente letteratura aggiornata per comprendere le attuali necessità mediche non soddisfatte e il contesto sanitario. Pazienti e diversi *stakeholder* devono essere coinvolti nella definizione dei bisogni non soddisfatti mirati dalla terapia.

Qual è l'entità del bisogno di salute non soddisfatto?

Impatto sui pazienti:

- Carico della malattia (DALYs, PREMs, PROMs).
- Qual è l'entità del bisogno di salute non soddisfatto per i pazienti?

Impatto sulla salute pubblica:

- Miglioramento dell'accesso alle cure e dell'equità all'accesso/ equità di impatto tra gruppi con caratteristiche socioeconomiche diverse (valutazione di appannaggio nazionale e non europea)
- Impatto su categorie a maggiore fragilità/vulnerabilità
- Promozione della salute in termini di longevità
- Prevenzione delle malattie/progressione della malattia.

Impatto sui sistemi sanitari – impatto sulla capacità (valutazione di appannaggio nazionale e non europea):

- La nuova tecnologia sarà inclusa nel percorso di cura attuale? Sono necessarie modifiche minori/maggiori?
- Miglioramento/semplificazione del percorso del paziente.
- Impatto sul cambio di setting.
- Impatto nella riduzione della degenza ospedaliera.
- Impatto sullo spostamento delle mansioni.
- Impatto nella riduzione delle liste d'attesa.
- Impatto sul recupero precoce.
- Impatto sul percorso paziente

Maggiore valore aggiunto a livello dell'Unione Europea

- Coerente con gli obiettivi dell'UE (sostenibilità, priorità sanitarie).

CONCLUSIONI

L'implementazione del Regolamento (UE) 2021/2282 sull'*Health Technology Assessment* rappresenta una sfida significativa per il sistema sanitario europeo, mirata ad armonizzare le procedure di valutazione delle tecnologie sanitarie e migliorare l'accesso alle innovazioni. Questo processo richiede la collaborazione coordinata tra Stati membri, istituzioni sanitarie, industria e pazienti. In Italia, sarà cruciale integrare efficacemente questo regolamento, garantendo che l'HTA supporti le decisioni sanitarie in modo rapido ed efficiente. Il dialogo strutturato tra le parti interessate, la trasparenza e la flessibilità saranno elementi centrali per evitare ritardi nell'accesso alle tecnologie innovative. Le raccomandazioni per l'implementazione del regolamento sottolineano la necessità di promuovere la cooperazione tra gli Stati membri, rafforzare la formazione per chi prende decisioni, e sviluppare un sistema di monitoraggio che valuti l'impatto dell'HTA. Inoltre, è essenziale che il processo HTA si adatti alle specificità dei dispositivi medici, tenendo conto delle loro caratteristiche peculiari, quali i cicli di innovazione brevi e l'interazione con gli operatori. Allo stesso modo, garantire un accesso rapido ed equo alle tecnologie sanitarie, riducendo i tempi di valutazione, sarà fondamentale. Si raccomanda anche di integrare i domini non clinici nel processo negoziale nazionale (Full-HTA), in modo che le valutazioni tengano conto degli aspetti economici, etici, legali, organizzativi e sociali. Queste azioni garantiranno che l'adozione del regolamento HTA in Italia avvenga in modo efficace, promuovendo innovazione, equità e sostenibilità.

KOS | EDITRICE

© 2024, KOS Comunicazione e servizi srl Roma
segreteria@koscomunicazione.it www.koscomunicazione.it

Edizione HPF marzo/ottobre 2024

BIBLIOGRAFIA

- Facey KM, Rannanheimo P, Batchelor L, Borchardt M, de Cock J (2020). Real-world evidence to support Payer/HTA decisions about highly innovative technologies in the EU—actions for stakeholders. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 36 459–468. <https://doi.org/10.1017/S026646232000063X>
- Polisena J, Jayaraman G (2020). Use of real-world data and evidence for medical devices: a qualitative study of key informant interviews. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 36 579–584. <https://doi.org/10.1017/S0266462320000859> -
- 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
- Setting High Quality Standards in EU Regulation on HTA: Applying an Adaptive Approach to assess the value of medical technology innovation along the lifecycle. Discussion Paper by a Community of Interest of Topic Leads and Experts facilitated by MedTech Europe. Accessibile a: <https://www.medtecheurope.org/resource-library/setting-high-quality-standards-in-eu-regulation-on-hta-applying-an-adaptive-approach-to-assess-the-value-of-medical-technology-innovation-along-the-lifecycle/>
- Taylor et al. Assessing the Clinical and Cost-Effectiveness of Medical Devices and Drugs: Are They That Different? *Value In Health*. (2009): 12(4): 404-6 - Drummond et al. Economic Evaluation for Devices and Drugs— Same or Different? *Value In Health*. (2009): 12(4): 402-4.
- Taylor et al. Medtech HTA D1.2: review of international HTA activities on medical devices. https://www.medtechta.eu/wps/wcm/connect/cff6d4bd-7ce6-40e-a-8209-88e7528cdf4/MedtechHTA_D1.2.pdf?MOD=AJPERES&CVID=ku1iTNS -

HEALTH POLICY FORUM



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

www.sihta.it