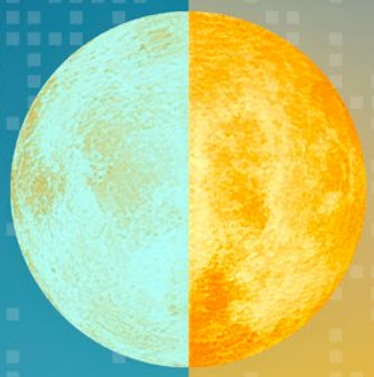

sihta

SOCIETÀ ITALIANA
DI HEALTH TECHNOLOGY
ASSESSMENT

2025

XVIII Congresso Nazionale

La NUOVA ERA dell'HTA

ABSTRACT BOOK

www.sihta.it

Creating
POSSIBLE

Di fronte all'impossibile vediamo un nuovo orizzonte da raggiungere.

Da quasi 40 anni creiamo nuove possibilità insieme a ricercatrici, ricercatori, medici, associazioni di pazienti e istituzioni.

Un approccio innovativo alle terapie oncologiche ed ematologiche, una nuova via per trattare l'HIV, nuovi traguardi nella cura e nel trattamento delle malattie del fegato, una terapia per COVID-19. Sono le scoperte, prima ritenute impossibili, che hanno reso migliore la vita di milioni di persone in Italia e nel mondo.

Con determinazione, coraggio e dedizione abbiamo creato ciò che adesso è possibile.

E lo faremo ancora, a qualunque costo, indipendentemente dalla posta in gioco, indipendentemente da chi dice che non possiamo farlo.

Sfidiamo l'impossibile per renderlo possibile.

GILEAD 25 ANNI IN ITALIA

GILEAD
Creating Possible

sihta

SOCIETÀ ITALIANA
DI HEALTH TECHNOLOGY
ASSESSMENT

2025

XVIII Congresso Nazionale

La NUOVA ERA dell'HTA

ABSTRACT BOOK

www.sihta.it

Sommario

1 APPROCCIO NAZIONALE ALL'HTA

Valutazione economica dell'introduzione del sistema eClaim: un'analisi di Budget Impact Area Tematica 13
Desk Analysis sulle modalità di accesso del farmaco nel contesto delle regioni italiane 15
Evoluzione normativa dei farmaci innovativi in Italia e analisi del loro impatto sulla spesa farmaceutica nazionale 17
Analisi dei processi di valutazione dell'innovatività farmaceutica e dell'impatto economico in Italia 19
Early-Stage Assessment of Medical Devices: The Italian Landscape between challenges and opportunities 21

2 COINVOLGIMENTO DEGLI STAKEHOLDER NEL PROCESSO DI HTA

Applying The Innovation Health Technology Assessment Methods Framework to develop The European Digital Health Technology Assessment Framework 25
Preferenze dei consumatori e degli operatori sanitari per i vaccini combinati per adulti contro COVID-19 e influenza: risultati di uno studio di scelta discreta in Italia 27

3 COSTRUIRE LA CULTURA DELL'HTA

Il burden clinico-epidemiologico delle infezioni urinarie nei pazienti neurologici: un driver per la valutazione hta nel contesto del cateterismo intermittente 31
Percorso del farmacista ospedaliero sul sentiero dell'HTA 33
Dare Voce all'HTA: analisi critica delle strategie di disseminazione a livello internazionale 35
Il sistema informatizzato RATEC per la gestione e la valutazione delle richieste di acquisto di nuove tecnologie: analisi dei primi 18 mesi di utilizzo nella Regione Veneto 37

4 HTA LUNGO IL CICLO DI VITA DELLA TECNOLOGIA

Horizon scanning and future healthcare expenditure projections of emerging therapeutic options in generalized myasthenia gravis 41
Progetto EXPLORARE 3.0: Horizon scanning e modello predittivo di spesa per i farmaci nel trattamento delle malattie rare e per gli orfani nel 2025-2027 in Italia 43
Tecnologie innovative per superare gli standard: il caso della misura della composizione del vapore nella sterilizzazione dei dispositivi medici 45

5 HTA E LE SFIDE DELLA TRASFORMAZIONE DIGITALE

Simulazione Traslazionale e Health Technology Assessment: due rette parallele o complanari che si intersecano? ... 49

Dalla definizione alla valutazione economica dei Digital Health Interventions: il framework PICOTS-ComTeC e l'evoluzione verso CHEERS-DHI ... 51

HTA e digitalizzazione: la sfida delle competenze ... 53

L'Intelligenza Artificiale nella valutazione delle tecnologie sanitarie: revisione della letteratura alla luce del regolamento europeo dell'HTA e dell'AI Act ... 55

Introduzione dell'intelligenza artificiale nello screening del tumore mammario: metodi e risultati attesi di un Health Technology Assessment ... 57

6 HTA LUNGO IL CICLO DI VITA DELLA TECNOLOGIA

Valutazione degli interventi chirurgici e delle complicanze ad essi associate nei pazienti con malattia di Von Hippel Lindau (VHL) prima e dopo il trattamento con belzutifan in Italia ... 61

Analisi dei Costi del Defibrillatore Cardiaco Impiantabile Extravascolare (EV-ICD) rispetto al Sistema Sottocutaneo (S-ICD) nei Pazienti a Rischio di Morte Cardiaca Improvvisa in Italia ... 63

Reassessment del vaccino ricombinante adiuvato RSVPREF3 OA contro il Vvirus respiratorio Sinciziale: HTA 2.0 ... 65

Costo-effcacia della fenfluramina come trattamento aggiuntivo nella gestione della Sindrome di Dravet: uno studio multicentrico real-world ... 67

Valutazione economico-organizzativa del vaccino mRESVIA contro il virus respiratorio sinciziale nella popolazione anziana italiana ... 69

Co-progettazione di un framework concettuale per la valorizzazione degli outcome nei dispositivi medici: un approccio partecipativo multi-stakeholder ... 71

Costo-efficacia del cenobamato come alternativa terapeutica per il trattamento dell'epilessia focale in adulti con controllo inadeguato delle crisi ... 73

L'HTA a supporto della gestione dei finanziamenti del Fondo per lo sviluppo e la coesione (FSC) 2021-2027 per l'ammodernamento del parco tecnologico regionale ... 75

Analisi economica della stimolazione del Nervo vago nella DRE: approccio TD-ABC e Budget Impact Model per valutare la sostenibilità e supportare l'equità di accesso in Italia ... 77

Confronto metodologico tra modelli a transizioni di stato e microsimulazione paziente- specifica: riflessioni applicate al glioma a basso grado ... 79

Sviluppo di una valutazione HTA multidimensionale per l'introduzione di clesrovimab nella prevenzione dell'RSV pediatrico: approccio metodologico integrato ... 81

7 HTA NEI SETTING DI CURA, PERCORSI, PROCESSI E MODELLI ORGANIZZATIVI

Lebrikizumab per il trattamento della dermatite atopica grave:
analisi di budget impact nel contesto italiano 85

Centro DBS Pavia: Efficientamento dei percorsi e dei processi
inter e intra ospedalieri per l'ottimizzazione della gestione delle risorse
nel trattamento del Parkinson con Deep Brain Stimulation (DBS) 87

Developing a Life-Cycle-Based HTA Framework for AI and Digital
Diagnostic Technologies in Rare Pediatric Melanoma: The MELCAYA Approach..... 89

Continuous vital signs monitoring with wearable device
in perioperative setting: a pilot study 91

Impiego di Daridorexant nella gestione dell'insonnia in pazienti neuro oncologici.
Modificazione del paradigma di gestione dell'insonnia nei pazienti neuro-oncologici? 93

A comparative analysis in medicines coverage decisions
in four European countries and factors influencing the divergences 95

Valutazione HTA del test fenotipico rapido ASTar nel paziente critico
con sepsi rispetto al gold standard 97

Costi ed esiti legati ai flussi diagnostici del paziente con carcinoma mammario
nelle anatomie patologiche: un'analisi di budget impact nel contesto italiano..... 99

Analisi dei costi dell'intervento di prostatectomia robotica a seguito
dell'introduzione di un sistema RFId presso l'AOU di Parma 101

Equità e innovazione in urologia: la chirurgia robotica
come strumento sostenibile nei piccoli centri 103

Valutazione HTA di una sonda ecografica per l'utilizzo congiunto con il robot chirurgico..... 105

Proposta di un nuovo modello organizzativo patient centered per le terapie CAR-T 107

Telemonitoraggio da remoto della Pressione Arteriosa Polmonare (PAP)
in pazienti con scompenso cardiaco: analisi HTA del dispositivo CardioMEMS..... 109

Analisi multidimensionale HTA della formulazione sottocutanea
Pertuzumab-Trastuzumab nel carcinoma mammario HER2+:
impatti clinico-organizzativi, economici e gestionali con modello di UFA integrata 111

Implementazione percorso TAVI-FAST: mappatura e ottimizzazione
del percorso dei pazienti affetti da stenosi aortica severa sintomatica sottoposti a TAVI 113

Dalla clinica all'innovazione tecnologica: l'esperienza dell'AOU di Parma 115

Modello City Competent ed Arte Partecipativa per l'Implementazione
dell'Assistenza Sanitaria Territoriale in ASL Roma 3.....117

Studio di fattibilità per la realizzazione di una Radiofarmacia in GMP
per la produzione in house di 177Lutezio-PSMA 119

Conceptualization and development of a micro-costing analysis
for estimating administration costs in non-small cell lung cancer in Italy..... 121

Vaccino ANTIHPV: uno strumento di prevenzione efficace
ed efficiente ancora sottoutilizzato 123

HTA delle Sale Operatore Ibride: Impatto su percorsi clinici
e ruolo strategico dell'ingegnere clinico..... 125

Stato vaccinale dei pazienti con diagnosi di Mieloma multiplo o Gammopatia

monoclonale di significato incerto: valutazione impatto economico ed organizzativo 127
Applicazione del metodo MultiCriteria Decision Analysis (MCDA) per l'HTA: l'esperienza di Regione Lombardia 129
Semaglutide per il trattamento dell'obesità nei soggetti con complicanze ad essa correlate o prediabetici: a threshold analisi 131
Il Dm77 e le Malattie rare 133
Chirurgia robotica con Hugo Ras: aspetti organizzativi e multidisciplinari, l'esperienza di un Policlinico universitario 135
Valutazione teorica di costo-efficacia del telemonitoraggio nella terapia CPAP per OSAS nel progetto PROTEUS dell'Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana..... 137
Ottimizzazione Lean del Percorso TAC in Pre-Ricovero 139
Valutazione HTA della Crioterapia percutanea di tumori solidi..... 141
MIM – Ottimizzazione del Percorso diagnostico e terapeutico in Medicina nucleare e Radioterapia 143
Caratterizzazione della popolazione, dei pattern di trattamento e dei costi sanitari nei pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) metastatico con mutazione di EGFR: studio retrospettivo su database amministrativi e di anatomia patologica italiani 145
Burden of Illness Study among Participants with Central Disorders of Hypersomnolence in Europe: An Analysis of Italian Participants with NT1 147
Analisi economica del percorso ospedaliero di rimozione isteroscopica di poliposi endometriale con sistemi HTR: percorso tradizionale vs percorso ottimizzato a confronto 149
Burden dell'ipoparatiroidismo in Italia: un'analisi basata su real world data 151
Burden of Mitral Regurgitation in Italy: a real-world data analysis 153
Innovazione tecnologica e contesto normativo: l'evoluzione dei modelli assistenziali 155
Valutazione degli impatti derivanti dall'introduzione di dispositivi PoCT presso il Pronto Soccorso dell'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda Area..... 157
La Commissione Tecnologie Sanitarie presso l'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda..... 159

8 HTA NELLA PROGRAMMAZIONE, DALLA PREVENZIONE ALLA CRONICITÀ

Il vaccino coniugato antipneumococcico 21-valente (v116) per la prevenzione delle infezioni da S. Ppneumoniae in età adulta: risultati di una valutazione di Health Technology Assessment 163
L'aderenza terapeutica come priorità di sanità pubblica: evidenze, criticità e risposte istituzionali 165
Analisi della letteratura sull'impatto economico delle Infezioni materno fetali 167
Estensione del programma di screening mammografico in Italia: analisi costi-benefici e impatto della diagnosi precoce nella fascia di età 45-74 anni 169
Prescrizione di sistemi di monitoraggio flash (FGM) ed in continuo (RT CGM)

del glucosio interstiziale in persone con Diabete mellito di Tipo 2
in trattamento con insulina basale: una valutazione di impatto in Puglia 171

L'HTA a supporto dei programmi di screening. L'analisi economica
dello screening della retinopatia diabetica basato sulla telemedicina
a confronto con l'approccio tradizionale nell'ASL TO5 del Piemonte 173

Impatto economico delle amputazioni maggiori degli arti inferiori
per ischemia critica in Italia: un'analisi real-world su database amministrativi 175

Impatto epidemiologico ed economico delle complicanze a breve termine
e delle patologie correlate nei pazienti con stomia in Italia:
un'analisi real-world su dati amministrativi 177

Screening del carcinoma prostatico: analisi economica comparativa
tra modello opportunistico e programma strutturato a invito secondo linee guida 179

9 HTA, VALUE BASED IN HEALTHCARE

Analisi economica-organizzativa dell'utilizzo del test di screening mammario in Italia..... 183

La gestione value-based del paziente adulto con Ipertensione
arteriosa polmonare: Health Technology Assessment di sotatercept 185

Verso un Servizio Sanitario Nazionale basato sul valore:
un modello integrato tra HTA e VBHC per il supporto alle decisioni 187

L'impatto economico e sociale della prevenzione vaccinale
nella popolazione anziana 189

Cost-Effectiveness of Perioperative Pembrolizumab with
Neoadjuvant Chemotherapy for Resectable Stage II–IIIB (T3–4N2) NSCLC in Italy..... 191

Medicazioni a pressione negativa (NPWT): analisi dell'utilizzo clinico
e del costo-effettivo in ambito ospedaliero 193

Fibrillazione Atriale: analisi di budget impact dell'introduzione
della Pulsed Field Ablation nel Sistema Sanitario italiano 195

Il valore degli anticorpi bispecifici in ematologia:
analisi delle valutazioni di HTA di tre paesi europei 197

HTA della tecnologia EVOQUE Tricuspid Valve
Replacement System (EVOQUE System) 199

To be, or not to be willing to pay 201

Giudizio Finale sulla Tecnologia Optune TTFields per il Trattamento
del Glioblastoma Multiforme 203

Un Modello HTA Multidisciplinare per l'Introduzione Efficace
e Sicura dell'AI nella Pratica Clinica 205

Sistemi chiusi sottovuoto per il prelievo, il trattamento e la conservazione
del sangue venoso: revisione sistematica di sicurezza,
efficacia e implicazioni economiche dei sistemi integrati rispetto a quelli combinati 207

Intelligenza Artificiale e HTA: Prevedere l'Inappropriatezza
Diagnostica nella Rete Oncologica Campana 209

Outcome-Based Procurement per l'Innovazione in Regione Toscana:

un Modello di Valutazione degli Esiti 211
Excursus delle valutazioni economiche a supporto
della vaccinazione anti-HPV in Italia 213
Il ruolo dell'Endpoint di disabilità nei report di valutazione
del riconoscimento di innovatività AIFA 215

10 LEA ED HTA - HTA: PERCORSI, PROCESSI E MODELLI ORGANIZZATIVI

Impatto economico dell'approccio diagnostico #FullPhysiology
nella gestione dei pazienti con ANOCA/INOCA 219
Chirurgia Robotica e Laparoscopica a confronto nell'ambito
della Chirurgia Generale Oncologica: l'applicazione della Value-Based Analysis
per la valutazione di costo-efficacia..... 221

11 REGOLAMENTO EU HTA223

Regolamento Europeo sull'Health Technology Assessment (HTA):
Impatti e Riorganizzazione Aziendale 225

1

APPROCCIO NAZIONALE ALL'HTA

Valutazione economica dell'introduzione del sistema eClaim: un'analisi di Budget Impact Area Tematica

Fortunato A.[1], Di Brino E.[1], Basile M.[1], Laurita R.[2], Rumi F.[1], De Medio E.[1]

[1] *Altems Advisory, Università Cattolica del Sacro Cuore, Italia, Roma*
[2] *ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore, Italia, Roma*

Obiettivi - La digitalizzazione dei processi amministrativi nelle strutture sanitarie rappresenta una leva strategica per migliorare l'efficienza gestionale, la qualità dei servizi e l'esperienza del paziente. Tradizionalmente, le procedure di accettazione, verifica della copertura assicurativa e gestione delle pratiche amministrative sono risultate caratterizzate da una marcata frammentazione, con una significativa componente manuale e un elevato rischio di errore o ridondanza. In questo contesto si colloca eClaim, un modulo integrato della piattaforma Adrenaline, progettato per automatizzare e semplificare il processo amministrativo legato alla gestione assicurativa dei pazienti in ambito ambulatoriale e ospedaliero. Obiettivo di questo studio è condurre un'analisi di Budget Impact sull'adozione della soluzione digitale eClaim, al fine di valutare gli effetti in termini di efficienza operativa, impatto economico e assorbimento delle risorse in due distinti setting assistenziali: ambulatoriale e ricovero. Inoltre, è stata sottoposta una survey ai dipendenti delle compagnie assicurative per valutare la soddisfazione sull'utilizzo del sistema eClaim.

Metodologia - L'analisi è stata progettata come uno studio di Budget Impact, per stimare in modo comparativo l'impatto economico derivante dall'introduzione della soluzione digitale eClaim nei processi amministrativi sanitari. L'approccio adottato si è basato sulla metodologia dell'Activity-Based Costing. Sono state coinvolte quattro strutture sanitarie italiane, due localizzate nel Centro e due nel Nord Italia, di tipo poliambulatoriale e ospedaliera, di diverse dimensioni, con diversi livelli di applicazione dell'automazione. All'interno di ciascuna struttura è stata condotta una mappatura analitica del percorso standardizzato del paziente, distinguendo due setting assistenziali: ambulatoriale e ricoveri. Per ogni contesto sono state mappate in dettaglio le fasi del percorso amministrativo, suddivise in attività e sotto-attività rilevanti ai fini dell'analisi. È stato quindi realizzato un rilievo diretto dei tempi di esecuzione per ciascuna fase, attraverso osservazione sul campo e cronometraggio, in due scenari distinti, scenario AS IS, prima dell'introduzione di eClaim, e scenario TO BE, dopo l'introduzione di eClaim. Sulla base dei tempi rilevati, è stato calcolato il costo al minuto del personale amministrativo, utilizzando le tabelle retributive del Contratto Collettivo Nazionale di Lavoro. L'analisi si è focalizzata esclusivamente sui costi diretti sanitari, adottando la prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale. Inoltre, è stata svolta un'analisi quantitativa che ha considerato le percezioni dei dipendenti che uti-

lizzano lo strumento digitale e qualitativa considerando le percezioni delle compagnie assicurative coinvolte in tali processi.

Risultati - Nel setting ambulatoriale, il tempo medio necessario per gestire le attività amministrative per singolo paziente è risultato pari a 39 minuti nello scenario AS IS, mentre si è ridotto a 5 minuti nello scenario TO BE. Questo si traduce in un risparmio temporale dell'87%. Parallelamente, il costo medio per paziente è passato da 10,41 € a 1,38 €. Tale riduzione è dovuta, in parte, all'utilizzo della soluzione applicativa con connettore assicurativo. Infatti, il 22% del risparmio complessivo ottenuto nel contesto ambulatoriale grazie all'introduzione di eClaim è attribuibile all'integrazione del connettore nei processi gestionali. Le principali riduzioni si sono osservate nelle fasi più labor-intensive, come la verifica della copertura assicurativa, la gestione documentale e il caricamento delle pratiche sui portali delle assicurazioni, tutte automatizzate nel nuovo modello operativo.
Nel setting dei ricoveri, il tempo medio per paziente è passato da 4 ore e 23 minuti nello scenario AS IS a 58 minuti con eClaim, evidenziando un risparmio di oltre 3 ore e 25 minuti per ogni paziente e una riduzione complessiva dei tempi del 78%. Il costo medio è sceso da 69,92 € a 15,40€, con un risparmio unitario di 54,52 € e una riduzione percentuale dei costi pari al 78%. Anche nei ricoveri il saving complessivo è rafforzato dalla presenza del connettore, che ha permesso un risparmio temporale pari a 38 minuti, equivalendo a 10€ di risparmio unitario. L'automazione di attività critiche come l'elaborazione dei preventivi, la gestione delle pratiche amministrative post-ricovero e il monitoraggio degli incassi ha contribuito in modo significativo alla maggiore efficienza complessiva del processo.
I risultati della survey mostrano un atteggiamento positivo dei dipendenti verso l'innovazione tecnologica, i quali ne riconoscono i vantaggi ma anche il bisogno di accompagnamento, in particolare per prevenire forme di technostress legate a sovraccarico informativo o complessità percepita. Le compagnie assicurative intervistate vedono nella digitalizzazione un fattore strategico, destinato a migliorare qualità, rapidità e semplicità del servizio. L'integrazione dei sistemi sanitari con quelli assicurativi rappresenta una sfida cruciale, richiedendo interoperabilità e collaborazione tra attori. L'Intelligenza Artificiale è già in uso per ottimizzare flussi, prevenire frodi e migliorare la customer experience. Si profila un'evoluzione verso un ecosistema sanitario-assicurativo pienamente digitalizzato, interoperabile, intelligente e orientato al valore per il paziente.

Autore di riferimento: Elena De Medio, elena.demedio01@icatt.it

Desk Analysis sulle modalità di accesso del farmaco nel contesto delle regioni italiane

Fortunato A.[1], Di Brino E.[1], Antonelli V.[1], Xoxi E.[1], Basile M.[1], Rumi F.[1]

[1] *Altems Advisory, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, Italia*

Obiettivi - L'accesso equo ai farmaci innovativi rappresenta una sfida rilevante per i sistemi sanitari pubblici, in quanto riflette il grado di effettiva attuazione dei principi di equità e universalità su cui si fonda l'intero sistema. Nonostante il principio di universalismo del Servizio Sanitario Nazionale, la regionalizzazione della sanità ha determinato una notevole variabilità nei tempi, nei criteri e negli strumenti adottati per regolare l'accesso ai farmaci. Uno degli snodi principali in questo processo è rappresentato dai Prontuari Terapeutici Regionali (PTR), strumenti di governance farmaceutica che definiscono l'elenco dei farmaci utilizzabili nelle strutture pubbliche e che, di fatto, rappresentano un ulteriore passaggio tra l'autorizzazione nazionale e la reale accessibilità terapeutica a livello locale. L'obiettivo di questo studio è di offrire una visione approfondita dello stato dell'arte relativo ai PTR e alle modalità di accesso ai farmaci in Italia. A partire da questa analisi, l'indagine intende identificare le principali aree di miglioramento e i fattori di successo che caratterizzano le diverse realtà regionali, al fine di fornire contribuire ad una gestione più uniforme, equa ed efficiente dell'accesso alle terapie farmacologiche a livello nazionale.

Metodologia - Il presente studio è stato articolato secondo un disegno metodologico strutturato in tre fasi, finalizzato a fornire una comprensione approfondita delle modalità di istituzione, funzionamento e utilizzo dei Prontuari Terapeutici Regionali (PTR) nel contesto delle Regioni italiane. La prima fase ha previsto lo sviluppo di una desk analysis, consistente in un'analisi documentale sistematica delle fonti normative e istituzionali regionali, con l'obiettivo di raccogliere, mappare e comparare i PTR attualmente vigenti. Tale fase ha comportato l'individuazione e l'estrazione di evidenze specifiche utili alla ricostruzione dei modelli regionali di governance farmaceutica, analizzando in particolare le procedure di aggiornamento dei prontuari, la composizione e l'operatività delle commissioni competenti, e il ruolo attribuito alla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) nei processi decisionali. La seconda fase ha riguardato la validazione dei risultati preliminari ottenuti mediante desk analysis, attraverso un confronto strutturato con un panel scientifico multidisciplinare composto da esperti del settore. Tale confronto ha consentito di approfondire criticamente le evidenze raccolte, di integrare i dati con ulteriori elementi di contesto e di confermarne la solidità interpretativa. La terza e ultima fase ha previsto un'analisi interpretativa approfondita dei risultati emersi, finalizzata a contestualizzare le evidenze

raccolte nella letteratura scientifica e a formulare riflessioni critiche e raccomandazioni operative. Tale fase si è resa necessaria per delineare indicazioni utili al miglioramento dei modelli regionali di accesso al farmaco, con l'obiettivo di promuovere un utilizzo più razionale, equo ed efficiente delle risorse nel rispetto dei principi di appropriatezza e sostenibilità.

Risultati - Nel complesso, l'analisi ha permesso di individuare almeno quattro modelli organizzativi prevalenti: (1) Regioni con PTR vincolanti, Commissioni regionali attive e uso sistematico di HTA; (2) Regioni con PTR formalmente esistenti ma scarsamente operativi o aggiornati; (3) Regioni che delegano il processo a livello aziendale o interaziendale, senza coordinamento regionale; (4) Regioni che non hanno mai istituito un PTR o lo hanno abolito. Queste differenze generano una "geografia dell'accesso" che impatta non solo sulla disponibilità di trattamenti innovativi, ma anche sulla coerenza e l'efficienza dei processi di governo farmaceutico tra i diversi territori.
Alla luce di questi risultati, si evidenzia la necessità di avviare un percorso di armonizzazione nazionale che consenta di definire un set minimo di requisiti per la trasparenza, la periodicità e l'evidenza scientifica delle decisioni regionali. La promozione di standard condivisi per l'uso dell'HTA, la digitalizzazione dei flussi decisionali e la pubblicazione sistematica delle motivazioni delle decisioni potrebbero rappresentare strumenti efficaci per migliorare l'equità e la sostenibilità del sistema. La prospettiva futura dovrebbe orientarsi verso un sistema multilivello integrato, in cui il livello nazionale fornisce linee guida metodologiche e garanzie di accesso, mentre il livello regionale mantiene capacità adattiva e contestuale nella gestione operativa dei farmaci.

Disclosure - Il presente elaborato presenta il contributo non condizionante di AbbVie S.p.a

Bibliografia

- *Nicolucci A, Caputi A. Difformità regionali di accesso ai nuovi farmaci per il diabete a distribuzione territoriale. JAMD. 2021;24(4):257-263.*
- *Bortolami A, Jommi C, Bresciani F, et al. Prontuari Terapeutici Regionali in Italia: stato dell'arte e prospettive future. Glob Reg Health Technol Assess. 2024 Mar 8;11:68-74. Italian. doi: 10.33393/grhta.2024.2677. PMID: 38504973; PMCID: PMC10949060.*

Autore di riferimento: Agostino Fortunato, agostino.fortunato@altemsadvisory.it

Evoluzione normativa dei farmaci innovativi in Italia e analisi del loro impatto sulla spesa farmaceutica nazionale

Martellone L.[1,2], Malandrini K.[2], Servidio C.[2], Coluccia A.[2], Vaccaro M.[2], Di Martino A.[2], Polito G.[2]

[1]*Dipartimento di Sanità Pubblica e Malattie Infettive, Università degli Studi di Roma "La Sapienza", Roma*
[2]*AOU Policlinico Umberto I, Roma*

Obiettivi - Lo scopo di questo lavoro è stato quello di condurre un'indagine sull'evoluzione normativa relativa ai farmaci innovativi, affiancata da un'analisi retrospettiva delle valutazioni di innovatività effettuate da AIFA nel periodo 2017–2024, con particolare riferimento al numero e all'esito delle decisioni, alla spesa per indicazioni innovative e ai tempi di accesso (Time to Access, TTA), alla luce del nuovo assetto del fondo per l'innovatività introdotto dalla Legge 30 dicembre 2024, n. 207
Metodologia. L'analisi normativa è stata condotta mediante l'esame delle principali disposizioni legislative e regolatorie nazionali in materia di farmaci innovativi mentre per l'analisi sulle valutazioni di innovatività di AIFA sono stati impiegati i dati estratti dagli elenchi AIFA dei farmaci innovativi, dalle relative Determine di riconoscimento e dai Report di valutazione pubblicati tra il 2017 e il 2024. I dati di spesa relativi ai farmaci innovativi sono stati invece estratti dai Report annuali di monitoraggio della spesa farmaceutica. Infine, per valutazione del TTA, è stata confrontata la data di adozione della Determina AIFA di innovatività con la data in cui l'EMA ha espresso parere positivo per l'indicazione in questione.

Risultati - Nel contesto italiano, il riconoscimento dell'innovatività terapeutica si è progressivamente strutturato a partire da iniziative regionali e accordi istituzionali, fino a trovare un quadro normativo consolidato con la Legge di Bilancio 2017 (L. 232/2016) che ha istituito i fondi per i farmaci innovativi e demandato all'AIFA la definizione dei criteri di valutazione, successivamente formalizzati con la Determina n. 519/2017. Con la Legge di Bilancio 2018 (L. 205/2017) è stato introdotto l'obbligo di monitoraggio sistemico della spesa associata all'utilizzo di questi fondi mentre la L. 106/2021 ha unificato i fondi e previsto un ulteriore incremento nella dotazione finanziaria fino alla soglia di 1300 milioni nel 2024. La recente Legge di Bilancio (L. 207/2024) ha ristrutturato il fondo garantendo 900 milioni per gli innovativi pieni, 300 milioni per i farmaci con innovatività condizionata e 100 milioni per i nuovi antibiotici Reserve. Dal 2017 AIFA ha effettuato N=266 valutazioni/rivalutazioni di cui N=77 (29,95%) hanno dato come esito l'innovatività piena, N=74 (27,82%) l'innovatività condizionata, N=111 (41,73%) la non innovatività e N=4 (1,50%) l'innovatività potenziale. Oltre la metà delle valutazioni per farmaci innovativi pieni (54,55%) ha riguardato farmaci oncologici. La maggior parte delle valutazioni di innovatività piena (TTA medio = 464 giorni) ha dato come esito un bisogno terapeutico

'importante' (46,75%), un valore terapeutico aggiunto 'importante' (76,62%) e una qualità delle evidenze 'moderata' (40,26%). La spesa lorda per farmaci innovativi ha osservato una crescita fino al 2019, con un picco di circa un miliardo e mezzo di euro, per poi decrescere negli anni della pandemia e stabilizzarsi intorno al miliardo nel biennio 2022-2023. Gli innovativi non oncologici hanno superato la soglia di spesa del fondo solamente nel triennio 2017-2019 mentre gli oncologici hanno prodotto scostamenti positivi nel 2018 e nel biennio 2020-2021. Dal 2022, si sono osservati esclusivamente scostamenti negativi, in virtù soprattutto dell'incremento delle risorse disponibili. I farmaci innovativi a maggior impatto sul fondo nel corso degli anni sono stati Sofosbuvir/Velpatasvir (13,48% della spesa totale), Pembrolizumab (10,28%) e Daratumumab (8,44%).

Bibliografia

- *Italia. Legge 11 dicembre 2016, n. 232. Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2017 e bilancio pluriennale per il triennio 2017-2019. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana. Serie Generale n. 297 (Suppl. Ordinario n. 57); 21 dicembre 2016.*
- *Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Determina 29 novembre 2017, n. 1535. Criteri per la valutazione del mantenimento del requisito di innovatività dei farmaci. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana. Serie Generale n. 288; 11 dicembre 2017.*
- *Italia. Legge 27 dicembre 2017, n. 205. Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2018 e bilancio pluriennale per il triennio 2018-2020. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana. Serie Generale n. 302 (Suppl. Ordinario n. 62); 29 dicembre 2017.*
- *Italia. Legge 23 luglio 2021, n. 106. Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 25 maggio 2021, n. 73, recante misure urgenti per la ripresa economica. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana. Serie Generale n. 176 (Suppl. Ordinario n. 25); 24 luglio 2021.*
- *Italia. Legge 30 dicembre 2024, n. 207. Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2025 e bilancio pluriennale per il triennio 2025-2027. Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana. Serie Generale n. 305 (Suppl. Ordinario n. 43); 31 dicembre 2024.*

Autore di riferimento: Lorenzo Martellone, lorenzo.martellone@uniroma1.it

Analisi dei processi di valutazione dell'innovatività farmaceutica e dell'impatto economico in Italia

Saviano F.[1], Mariano E.E.[1], Bertozzi C.[1], Prada M.[1]

[1] *ProductLife Group, Italia*

Obiettivo - Con la determina n. 1535/2017[1], l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha definito i criteri per la classificazione dei farmaci innovativi, con l'obiettivo di garantire un accesso tempestivo e omogeneo ai nuovi trattamenti su tutto il territorio nazionale e di regolamentare l'accesso al fondo per i farmaci innovativi oncologici e non oncologici, istituito dall'articolo 1, commi 400 e 401, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 (Legge di Bilancio 2017).[2]

Il presente lavoro si propone di analizzare gli esiti del processo di valutazione dell'innovatività farmaceutica e l'andamento della relativa spesa farmaceutica e l'impatto sul fondo innovativi nel periodo compreso tra Gennaio 2021 e Dicembre 2024, quale esercizio prodromico all'implementazione del nuovo processo introdotto dalla legge di Bilancio 2025, attualmente in fase di definizione attuativa.

Metodologia - Per condurre l'analisi è stato costruito un database utilizzando il software Microsoft Excel®. Sono stati inclusi i farmaci la cui indicazione terapeutica è stata sottoposta a valutazione da parte dell'AIFA ai fini del riconoscimento dell'innovatività, nel periodo compreso tra Gennaio 2021 e Dicembre 2024. I dati sono stati estratti dal portale web dell'AIFA, nella sezione dedicata ai "Farmaci innovativi".[3] Per ogni farmaco sono state raccolte le seguenti informazioni: indicazione terapeutica oggetto di valutazione, anno in cui è stata valutata la richiesta di innovatività da parte della Commissione Tecnico Scientifica (CTS) o Commissione Scientifica ed Economica (CSE) dell'AIFA, classificazione secondo il sistema Anatomico, Terapeutico e Chimico (ATC) di primo livello, esito del processo di valutazione (innovatività piena, condizionata e non innovativo), e il giudizio espresso in relazione ai tre domini considerati: bisogno terapeutico, valore terapeutico aggiunto e qualità delle prove a supporto. Per l'analisi della spesa farmaceutica sono stati utilizzati i rapporti OSMED relativi agli anni in analisi.[4]

Risultati - Nel periodo compreso tra gennaio 2021 e dicembre 2024, sono state sottoposte a valutazione ai fini dell'innovatività 156 indicazioni terapeutiche, relative a un totale di 109 farmaci. In media, sono state valutate circa 39 indicazioni ogni anno (SD: ±17), con una riduzione media annua del 23% del numero di richieste di innovatività presentate.
Complessivamente, nel quadriennio considerato, il 52% delle indicazioni terapeutiche valutate (n=

81/156) ha ottenuto il requisito di innovatività, di cui il 49% (n=40/81) come innovatività piena e il 51% (n=41/81) come innovatività condizionata. Il restante 47% (n=74/156), invece, è stato valutato come non innovativo; di questi l'88% (n=65/74) è stato ammesso alla rimborsabilità da parte del Servizio Sanitario Nazionale (SSN), mentre il 12% (n=9/74) non ha ottenuto il rimborso.
Analizzando le indicazioni terapeutiche/farmaci che hanno ottenuto il requisito di innovatività piena o condizionata, secondo la classificazione ATC di primo livello, la classe ATC L – Antineoplastici e agenti immunomodulanti è quella con il maggiore requisito di innovatività (31%; n=49/156), seguita dalla classe ATC A – Apparato gastrointestinale e metabolismo (7%; 11/156) e dalla classe ATC R – Sistema Respiratorio (6%; 10/156).
Esaminando la relazione tra i domini valutati e l'esito della valutazione di innovatività, si osserva che in tutti i casi il riconoscimento del requisito di innovatività piena è stato associato alla presenza di un bisogno terapeutico e/o valore terapeutico aggiunto di grado compreso tra "Moderato" e "Massimo". La qualità delle evidenze era "Alta" nel 30% dei casi (n=12/40) e "Moderata" nel 38% (n=15/40). Tuttavia, in 13 casi (33%) l'innovatività è stata riconosciuta anche in presenza di evidenze con una qualità "Bassa" (77%; n=10/13) o "Molto bassa" (23%; n=3/13), in quanto farmaci destinati al trattamento di patologie ultra-rare o rare, in presenza di un valore terapeutico aggiunto di grado "Importante", ovvero con efficacia su esiti clinicamente rilevanti nel contesto della patologia.
Nel periodo considerato (Gennaio 2021 – Dicembre 2024), la spesa farmaceutica media per i farmaci innovativi, al netto del payback, è stata pari a 831 milioni di euro, con un avanzo medio del 34,54% (SD: ±18%) del fondo dedicato.
Questo scenario si inserisce in un contesto di profondo cambiamento, che coinvolge sia i criteri di valutazione dell'innovatività dei farmaci, sia le modalità di allocazione e gestione dei fondi a essi destinati. Sarà quindi di particolare interesse monitorare e analizzare l'evoluzione del processo valutativo dell'innovatività farmaceutica, così come l'andamento della relavva spesa, alla luce delle novità introdotte con la Legge di Bilancio 2025.

Bibliografia

- *1 https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2017/09/18/17A06376/sg. Ultimo accesso: 28/05/2025*
- *2 https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2016/12/21/16G00242/s. Ultimo accesso: 28/05/2025*
- *3 https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi. Ultimo accesso: 28/05/2025*
- *4 https://www.aifa.gov.it/rapporti-osmed. Ultimo accesso: 28/05/2025*

Autore di riferimento: Francesca Saviano, francesca.saviano@intexo.it

Early-Stage Assessment of Medical Devices: The Italian Landscape between challenges and opportunities

Ruggiero V.[1], Di Resta C.[2], Zullo M.[3], Diamanti L.[3], Alessio D.[3], Bottega F.[3], Ferrari A.[3], La Fauci D.[3], Leporini A.[3], Melodia P.[3], Ranieri P.[3], Rolandi S.[3], Zacchetti D.[2,3], Odone A.[3,4]

1 IRCCS Ospedale San Raffaele - CSTOR, 2 Universita' Vita-Salute San Raffaele,
3 IRCCS Ospedale San Raffaele - commissione HTA, 4 Universita' degli Studi di Pavia

Objectives - Early Awareness and Alert Systems (EAAS) are essential to anticipate the clinical, organizational, and economic impacts of new technologies. Horizon Scanning (HS) is a key component of these systems, traditionally employed to inform strategic planning. However, in the case of medical devices (MDs), which are characterized by rapid development cycles, limited early evidence, and context-sensitive performance, HS reports often appear to overlap with Early Health Technology Assessment (eHTA). eHTA is a more structured tool designed to support decisions on development, pricing, and adoption. This study aims to investigate this methodological overlap in the Italian context and explore whether such convergence reflects the intrinsic evaluation needs of MDs.

Methodology - We conducted a comparative analysis of the conceptual and procedural differences between HS and eHTA, based on international literature and methodological frameworks. Subsequently, we examined a selection of Horizon Scanning reports produced by AGENAS, the Italian national agency responsible for HTA, between 2020 and 2023. To support classification, we applied a supervised natural language processing (NLP) model to identify recurrent patterns, structural elements, and content typical of eHTA. Reports were coded and evaluated according to predefined criteria reflecting the key attributes of both approaches.

Results - The analysis revealed that many AGENAS HS reports go beyond early identification and trend monitoring, often incorporating evaluative components such as clinical evidence synthesis, budget impact considerations, and stakeholder perspectives. These features are traditionally associated with eHTA. Our findings suggest that, in the context of medical devices, where time-sensitive and evidence-light conditions prevail, HS outputs often function as hybrids—blurring the line between early detection and early assessment. This suggests that a rapid HTA model may be more suitable to meet the dual need for timeliness and decision support in MD policy.

References

• *1 Ruggeri M, et al. Multi-Criteria-Decision-Analysis (MCDA) for the Horizon Scanning of Health Innovations. Int*

J Environ Res Public Health. 2020;17(21):7823. doi:10.3390/ijerph17217823

- *2 Wang Y, et al. Using HTA to set priorities and design clinical studies for innovation. Technol Forecast Soc hange. 2021;172:121000. doi:10.1016/j.techfore.2021.121000*
- *3 Oortwijn W, et al. How can health systems prepare for new technologies? Int J Technol Assess Health Care. 2018;34(3):254–259. doi:10.1017/S0266462318000344*
- *4 Drummond M, Griffin A, Tarricone R. Economic evaluation for devices: the next frontier. Value Health. 2009;12(4):402–404. doi:10.1111/j.1524-4733.2008.00469.x 5. IJzerman MJ, Steuten LM. Early assessment to inform product development. Appl Health Econ Health Policy. 2011;9(5):331–347. doi:10.2165/11593340-00000000000000*

Autore di riferimento: Daniele Zacchetti, zacchetti.daniele@hsr.it

2

COINVOLGIMENTO DEGLI STAKEHOLDER NEL PROCESSO DI HTA

Applying The Innovation Health Technology Assessment Methods Framework to develop The European Digital Health Technology Assessment Framework

Tsiasiotis E[1]., Di Bidino R.[2], Basile M.[3], Mezei F.[3], Battaglia L.[4], Strammiello V.[5], Oortwijn W.[6], Sacchini D.[7], Cicchetti A.[8]

[1] Graduate School of Health Economics and Management (ALTEMS), [2] Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS – Department of Health Technologies, [3] Università Cattolica del Sacro Cuore (UCSC), Graduate School of Health Economics and Management (ALTEMS), [4] National Agency for Regional Healthcare Services (AGENAS), [5] European Patients Forum (EPF), [6] Radboud University Medical Center, [7] Università Cattolica Del Sacro Cuore, Department of Healthcare Surveillance and Bioethics, [8] Ministry of Health

Obiettivi - Il framework IHTAM (Innovation of Health Technology Assessment Methods) guida le innovazioni attraverso tre fasi: Identificazione, Sviluppo e Implementazione. Il progetto EDiHTA (European Digital Health Technology Assessment framework), finanziato dall'UE, utilizza questo approccio per rispondere alle esigenze e ai requisiti degli stakeholder nello sviluppo, nella valutazione e nell'implementazione delle tecnologie sanitarie digitali (DHT). L'obiettivo è quello di creare un quadro HTA su misura e adatto allo scopo per le DHT. Il progetto EDiHTA mira a fornire un quadro HTA innovativo per i DHT che integri i metodi esistenti con nuovi metodi per informare il processo decisionale in tutta Europa a diversi livelli. Nella fase di sviluppo del framework EDiHTA, è stato fondamentale identificare tutti gli stakeholder rilevanti e il loro ruolo nel processo di innovazione, cogliendone anche le esigenze e i requisiti.

Metodologia - Il framework IHTAM è stato applicato per identificare gli stakeholder rilevanti, le loro esigenze e i requisiti relativi alla progettazione del framework EDiHTA. Una volta identificati gli stakeholder e il loro ruolo (operatori o beneficiari), le loro esigenze sono state valutate esaminando le metodologie HTA esistenti e utilizzate per i DHT in 17 Paesi europei. Sono stati esaminati gli scenari futuri e sono state determinate le lacune da colmare. Per raccogliere le opinioni dei diversi stakeholder (policy-maker, agenzie di HTA, industria, operatori sanitari, pazienti) sono stati utilizzati diversi metodi, tra cui analisi della letteratura, due sondaggi online, interviste online semi-strutturate e focus group.

Risultati - Abbiamo coinvolto policy-maker di 15 Paesi europei, 15 agenzie HTA di 9 Paesi europei, 29 sviluppatori (start- up e grandi aziende) di 10 diversi mercati europei, 14 operatori sanitari di 9 Paesi europei e 8 di Stati Uniti, Canada e Brasile, nonché 15 rappresentanti dei pazienti di 10 Paesi europei.
L'analisi ha evidenziato l'eterogeneità dei sistemi sanitari europei nel valutare, implementare e rimborsare i DHT. Tutti i gruppi di stakeholder hanno sottolineato la necessità di un quadro HTA armonizzato per valutare i DHT in modo effciente e accurato, includendo elementi specifici del DHT come la cybersicurezza, l'impatto economico e organizzativo e gli esiti incentrati sul paziente, attraverso un

quadro HTA agile, flessibile e multidimensionale che faciliti valutazioni graduali lungo il ciclo di vita della tecnologia e coinvolga tutti gli stakeholder nella valutazione per informare il processo decisionale. L'interazione con gli stakeholder ha inoltre identificato nuovi argomenti e domini HTA essenziali per affrontare effcacemente le sfide uniche dei DHT all'interno del framework EDiHTA.

Bibliografia

- *1. Saisó SG et al. Digital Transformation for More Equitable and Sustainable Public Health in the Age of Digital Interdependence. Am J Public Health. 2022.*
- *2. Burrell A et al. How Useful Are Digital Health Terms for Outcomes Research? An ISPOR Special Interest Group Report. Value Health. 2022.*
- *3. Zrubka Z et al. The PICOTS-ComTeC Framework for Defining Digital Health Interventions: An ISPOR Special Interest Group Report. Value Health. 2024.*
- *4. Mezei F et al. International practices in health technology assessment and public financing of digital health technologies: recommendations for Hungary. Front Public Health. 2023.*
- *5. BfArM. The Fast-Track Process for Digital Health Applications (DiGA) according to Section 139e SGB*
- *V. A Guide for Manufacturers, Service Providers and Users. 2020. Accessed April 29, 2025.*
- *6. HAS. Prise en charge anticipée d'un dispositif médical numérique (Art. L.162-1-23 du CSS). Published online 2024.*
- *7. Haverinen J et al. Digi-HTA: Health technology assessment framework for digital healthcare services. Finnish Journal of eHealth and eWelfare. 2019.*
- *8. Joan Segur Ferrer et al. Health Technology Assessment Framework: Adaptation for Digital Health Technology Assessment: User Guide. STUDIES AND RESEARCH. Published online 2023.*
- *9. NICE. Evidence standards framework for digital health technologies | Guidance. 2018. Accessed April 29, 2025.*
- *10. Vis C et al. Health technology assessment frameworks for eHealth: A systematic review. Int J Technol Assess Health Care. 2020.*
- *11. EDiHTA. Accessed February 14, 2025. https://edihta-project.eu/*
- *12. Jiu L et al. Understanding innovation of health technology assessment methods: the IHTAM framework. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2022.*
- *13. Regulation (EU) 2021/2282 of the European Parliament and of the Council of 15 December 2021 on Health Technology Assessment and Amending Directive 2011/24/EU (Text with EEA Relevance). Vol 458.; 2021. Accessed April 29, 2025.*

Autore di riferimento: Livio Battaglia, battaglia@agenas.it

Preferenze dei consumatori e degli operatori sanitari per i vaccini combinati per adulti contro COVID-19 e influenza: risultati di uno studio di Scelta Discreta in Italia

Ponzianelli A.[1], Servin M.[2], Mehta D.[2], Crocker J.[3], Jindal S.[3], Ismail O.[3], Van de Velde N.[2], Scholz S.[4]

[1]Moderna Italy S.r.l., Rome, Italy, [2]Moderna, Inc, Cambridge, MA, USA, [3]Trinity Life Sciences, Waltham, MA, USA, [4]Moderna Germany GmbH, Munich, Germany

Obiettivi - Quantificare la preferenza dei consumatori e dei fornitori di servizi sanitari (HCP) per un vaccino combinato per adulti contro l'influenza e il COVID-19 rispetto ai singoli vaccini contro l'influenza e il COVID-19 vaccini e stimare l'impatto risultante sui tassi di copertura vaccinale (VCR) per l'influenza e la COVID-19 negli adulti in Francia, Italia e Germania.

Metodologia - In ciascun Paese è stato condotto un esperimento a scelta discreta (DCE) con un ipotetico profilo vaccinale. Ogni DCE includeva i seguenti attributi con livelli variabili: solo influenza, influenza combinata e COVID-19, composizione del vaccino, immunogenicità dell'influenza e del COVID-19, tollerabilità. La popolazione dello studio, reclutata tramite un panel online, comprendeva consumatori di età ≥18 anni (FR: 256, DE: 256, IT: 250) e operatori sanitari responsabili della vaccinazione (FR: 80, DE: 78, IT: 80).
I dati degli intervistati sono stati ponderati per riflettere la popolazione per fascia d'età e per allineare l'influenza e la VCR COVID19 per il 2023-2024. Le preferenze degliintervistati sono state utilizzate per stimare la variazione dei tassi di copertura dell'influenza e del COVID-19 dovuta alla disponibilità di un vaccino combinato.

Risultati - l'età media del campione di consumatori era di 53,9 anni, con maschi (62%) e femmine (38%). I consumatori di tutti i Paesi hanno espresso preferenza per un vaccino combinato; in media, il 53% dei consumatori ha preferito fortemente un vaccino combinato, il 23% ha preferito fortemente i singoli vaccini e il 24% non ha espresso alcuna preferenza.
La maggioranza degli operatori sanitari ha dimostrato un'alta probabilità di raccomandare un vaccino combinato ai pazienti (FR: 52%, DE: 57%, IT: 65%).
Le quote di preferenza modellate hanno previsto un probabile aumento del VCR per l'influenza e il COVID-19 a causa della disponibilità del vaccino combinato in tutti i mercati (aumento del VCR COVID in punti percentuali - FR: 6%, DE: 7%, IT: 5%: FLU VCR aumento in punti percentuali - FR: 5%, DE: 3%, IT: 3%).

Conclusioni - I risultati suggeriscono che la maggior parte dei consumatori e degli operatori

sanitari preferisce e raccomanda il vaccino combinato influenza + COVID-19 rispetto ai vaccini somministrati sigolarmente. Inoltre, la disponibilità di un vaccino combinato potrebbe contribuire ad aumentare la copertura vaccinale verso COVID-19 e l'influenza.

Autore di riferimento: Anna Ponzianelli, anna.ponzianelli@modernatx.com

3

COSTRUIRE LA CULTURA DELL'HTA

Il burden clinico-epidemiologico delle infezioni urinarie nei pazienti neurologici: un driver per la valutazione hta nel contesto del cateterismo intermittente

D'Ambrosio F.[1], Pappalardo C.[1], Del Medico M[1], Risuleo P.E.[1], Scardigno A.[1], Orsini F.[2], Ricciardi R.[3], De Vito E.[4], Ricciardi W.[1], Calabrò G.E.[4]

[1] Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2] Laboratorio di Farmacoepidemiologia e Nutrizione Umana, Dipartimento di Politiche per la Salute, Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Milano, [3] VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma,4 Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - Nel processo di Health Technology Assessment (HTA), il burden clinico-epidemiologico rappresenta il primo e fondamentale dominio di analisi. Esso fornisce il contesto clinico e sanitario entro cui si inserisce la nuova tecnologia, definendone la rilevanza in termini di bisogni insoddisfatti, impatto sulla salute della popolazione e carico assistenziale.
Nei pazienti affetti da lesione del midollo spinale (LMS) o sclerosi multipla (SM), il cateterismo intermittente (CI) rappresenta il trattamento di riferimento per la gestione della disfunzione neurogena del tratto urinario inferiore (NLUTD), una condizione che compromette il normale svuotamento vescicale. La NLUTD interessa fino all'80% dei soggetti con LMS e circa il 25% di quelli con SM, determinando un impatto rilevante sulla qualità della vita e sul benessere psico-fisico complessivo.
Questa disfunzione espone i pazienti a complicanze significative, tra cui le infezioni delle vie urinarie (IVU), che costituiscono una delle problematiche cliniche più comuni e gravose. Sebbene il CI favorisca una maggiore autonomia e migliori la percezione soggettiva di benessere, esso può rappresentare, al contempo, un fattore di rischio per l'insorgenza di IVU ricorrenti, contribuendo ad aumentare il burden complessivo della malattia.
Obiettivo del presente lavoro è stato quello di raccogliere, analizzare e sistematizzare le evidenze disponibili relative al burden epidemiologico delle IVU associate al CI nei pazienti con LMS e SM, al fine di individuare i principali bisogni di salute e supportare una più consapevole valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) in questo ambito.

Metodologia - È stata effettuata una revisione sistematica della letteratura consultando tre database elettronici: PubMed, Scopus e Web of Science. Sono stati selezionati studi internazionali, pubblicati in lingua inglese nel periodo compreso tra il 2015 e il 2025, che riportassero dati sul burden epidemiologico delle IVU correlate al CI in pazienti adulti affetti da LMS e/o SM.

Risultati - Dai 6.868 articoli inizialmente individuati, 30 sono risultati eleggibili per l'inclusione nello

studio. Di questi, il 96,7% (29/30) riguardava pazienti con LMS, mentre solo l'3,3% (1/30) si riferiva a individui affetti da SM. L'incidenza di IVU nei pazienti sottoposti a CI è risultata estremamente variabile, oscillando tra il 24% e il 93,1%. Circa il 15% dei pazienti ha riportato tra 4 e 6 episodi di IVU all'anno, mentre il 10% ha registrato 6 o più episodi annuali. Per quanto riguarda le ospedalizzazioni, il 16,4% dei pazienti ha subito ricoveri legati a IVU correlate al CI. I fattori di rischio predisponenti alle IVU sono stati valutati in soli cinque studi (17% del totale). Tra questi, le caratteristiche tecniche del catetere sono state identificate nel 60% dei casi (3/5), seguite dalle condizioni cliniche generali dei pazienti e dalla scarsa aderenza al trattamento, entrambe riportate nel 40% degli studi (2/5).
Quest'ultima è spesso correlata a una formazione insufficiente sia del paziente sia del caregiver. Nel caso delle IVU nei pazienti con disturbi neurologici sottoposti a cateterismo intermittente, il burden clinico-epidemiologico appare particolarmente significativo. Le IVU rappresentano una delle complicanze più frequenti, potenzialmente ricorrenti, con conseguenze importanti sia in termini clinici sia in termini di consumo di risorse (accessi ospedalieri, antibiotico-resistenza, utilizzo di farmaci).
In quest'ottica, la corretta quantificazione del burden rappresenta un passaggio essenziale per:

- valutare la rilevanza della condizione,
- giustificare l'introduzione di nuove tecnologie,
- e orientare le scelte decisionali in ambito clinico, organizzativo ed economico.

Un dispositivo medico innovativo destinato al CI dovrebbe quindi essere valutato, in prima istanza, alla luce del burden clinico-epidemiologico delle IVU: un parametro non solo descrittivo, ma anche determinante per definire l'impatto atteso e il valore aggiunto della tecnologia oggetto di HTA.

Bibliografia

- *Calabrò GE, D'Ambrosio F, et al. Feasibility study on a new enhanced device for patients with intermittent catheterization (LUJA). J Prev Med Hyg. 2023 Nov 20;64(3 Suppl 1):E1-E89. doi: 10.15167/2421-4248/jpmh2023.64.3s1.*

Autore di riferimento: Manuel Del Medico, manuel.delmedico01@icatt.it

Percorso del farmacista ospedaliero sul sentiero dell'HTA

Demarchi F.[1], Aldieri R.[1], Simonetta F.[1], Traina S.[1], Scaldaferri M.[1], Chiappetta M.R.[1], Cattel F.[2]

[1]Farmacia Ospedaliera, A.O.U. Città della Salute e della Scienza di Torino, [2]A.S.L. VCO

Obiettivi - Costruire una solida cultura dell'Health Technology Assessment (HTA) nel farmacista ospedaliero rappresenta oggi una priorità per garantire processi decisionali basati sull'evidenza, sostenibilità economica e qualità assistenziale. L'obiettivo di questo percorso è rendere il farmacista ospedaliero una figura centrale nella valutazione delle tecnologie sanitarie, grazie a una formazione mirata e alla contaminazione tra saperi clinici, economici e gestionali, promossa in primis dalla Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA).

Metodologia - L'avvio di un percorso strutturato di formazione e aggiornamento sull'HTA per i farmacisti ospedalieri è stato reso possibile grazie all'impulso della SIHTA, che ha favorito una visione multiprofessionale del ruolo del farmacista e promosso una collaborazione attiva con la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera (SIFO). L'approccio si è sviluppato attraverso l'organizzazione di workshop e corsi di formazione nazionali, la partecipazione a iniziative congiunte e l'introduzione di moduli dedicati all'HTA nella Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera. Elemento cardine di questo sviluppo è stato il Laboratorio HTA della SIFO, istituito proprio in risposta al dialogo scientifico avviato con SIHTA e costruito secondo una logica di partecipazione multidisciplinare. Al suo interno, farmacisti, clinici, economisti e rappresentanti istituzionali, collaborano all'analisi e alla valutazione di temi centrali per la sanità pubblica, come i biosimilari, la gestione dell'antimicrobico-resistenza (antimicrobial stewardship) e la valutazione di tecnologie innovative. A partire dall'impulso della SIHTA, per rafforzare questo percorso è intervenuto anche il progetto MasterPharm, che fornisce ai farmacisti competenze avanzate in HTA, farmacoeconomia e governance sanitaria.

Risultati - L'efficacia del percorso è stata misurata attraverso un'analisi SWOT (Strengths, Weaknesses, Opportunities, Threats), che ha permesso di individuare elementi chiave nella diffusione della cultura HTA tra i farmacisti ospedalieri. Tra i punti di forza, si evidenziano l'adozione dell'HTA nella pratica SIFO, grazie alla contaminazione con SIHTA, e la valorizzazione della figura del farmacista come raccordo tra clinica e governance. Le debolezze riscontrate includono la disomogeneità della formazione a livello nazionale e la difficoltà, in alcune realtà, di integrare l'HTA nei processi decisionali quotidiani. Le opportunità emergono dal crescente bisogno di HTA da parte delle istituzioni, dal rafforzamento

della collaborazione pubblico-privato e dalla possibilità di estendere il modello del Laboratorio HTA ad altri contesti. Infine, tra le minacce si segnalano il rischio di dispersione delle competenze, resistenze culturali interne e disomogeneità applicative tra regioni. L'analisi SWOT ha fornito una mappa utile per orientare gli interventi futuri, indicando chiaramente la direzione verso cui muoversi per rafforzare il ruolo del farmacista nell'HTA.

Conclusioni - La costruzione della cultura dell'HTA nel farmacista ospedaliero rappresenta un cambiamento profondo, possibile grazie alla visione multidisciplinare e integrata della SIHTA e al percorso di rinnovamento intrapreso da SIFO. Il farmacista ospedaliero oggi emerge come figura strategica, capace di tradurre l'HTA in pratica clinica e gestionale, di interfacciarsi con decisori e stakeholder, e di guidare scelte sostenibili in sanità. Questa alleanza tra società scientifiche ha creato un modello virtuoso di collaborazione, replicabile e adattabile, per una sanità più equa, efficace e sostenibile.

Autore di riferimento: Federico Demarchi, fdemarchi@cittadellasalute.to.it

Dare Voce all'HTA: Analisi Critica delle Strategie di Disseminazione a Livello Internazionale

D'Ambrosio F.[1], Risuleo P.E.[1], Del Medico M.[1], Ricciardi R.[2], Calabrò G.E.[3]

[1] Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2] VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [3] Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - Sebbene l'Health Technology Assessment (HTA) sia riconosciuto come un processo multidisciplinare fondamentale per l'elaborazione di politiche sanitarie informate[1], la disseminazione efficace dei suoi risultati rimane un aspetto critico e spesso sottovalutato. Nonostante la vasta attenzione metodologica e applicativa, la letteratura evidenzia una lacuna significativa riguardo le strategie ottimali per la diffusione dei report HTA[2]. L'obiettivo del presente studio è quello di valutare questa lacuna, analizzando e sistematizzando le evidenze disponibili sui processi di disseminazione dei report HTA al fine di identificare strategie comunicative efficaci che possano supportare la divulgazione delle valutazioni HTA e, di conseguenza, lo sviluppo di politiche sanitarie basate sul valore.

Metodologia - La ricerca è stata condotta attraverso un approccio bifasico. In prima istanza, è stata realizzata una revisione sistematica della letteratura secondo le linee guida "Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta Analysis (PRISMA)"[3]. Sono stati consultati i database PubMed, Web of Science e Scopus, includendo studi in lingua inglese o italiana che trattassero strategie di comunicazione e/o divulgazione dei report di HTA a livello internazionale.
Successivamente, è stato eseguito un web-screening dei siti istituzionali delle Agenzie/Organizzazioni di HTA affiliate all'European Network for HTA (EUnetHTA), all'International Network of Agencies for HTA (INAHTA) e all'Health Technology Assessment International (HTAi).

Risultati - Dalla ricerca bibliografica condotta, sono risultati 4249 records riportanti informazioni in linea con gli obiettivi della ricerca e riguardanti il contesto internazionale. Dopo la rimozione dei duplicati ed una prima fase di screening per titolo ed abstract, sono stati valutati 113 full texts. Tra gli 11 studi eleggibili, inclusi nella revisione sistematica, il 27,2% (n=3) era contestualizzato nell'ambito europeo. Le modalità di disseminazione più frequentemente riportate per la divulgazione dei report HTA sono risultate essere i formati elettronici (82%, 9/11 studi) e le interazioni interpersonali (55%, 6/11), seguite dai media tradizionali e dai testi stampati (45%, 5/11). Nell'analisi delle 126 Agenzie/Organizzazioni di HTA esaminate, il 72% (n=91) ha fornito dettagli sui propri canali di comunicazione. Tra questi, il materiale scaricabile da siti web era la modalità predominante (90%, 82/91), seguita da pubblicazioni scientifiche (17,6%, 16/91), condivisioni tramite newsletter (11%, 10/91), presentazioni

congressuali (3,3%, 3/91), distribuzione in formato cartaceo (3,3%, 3/91) e diffusione tramite social media (2,2%, 2/91).
L'analisi condotta conferma l'esistenza di una notevole eterogeneità nelle strategie di disseminazione adottate dalle agenzie di HTA a livello internazionale, con una predominanza di modalità passive e un utilizzo ancora limitato di strumenti digitali interattivi e canali social. La revisione sistematica della letteratura e l'indagine sui siti istituzionali delle organizzazioni HTA evidenziano una frammentazione nella comunicazione dei risultati, con scarsa attenzione alla personalizzazione dei messaggi in funzione dei diversi stakeholder. Questi risultati sottolineano la necessità di un ripensamento strategico della disseminazione, affinché diventi una leva effettiva per il trasferimento delle evidenze nella pratica decisionale. Promuovere approcci più proattivi, multicanale e orientati al destinatario può rappresentare un passaggio cruciale per colmare il divario tra produzione e utilizzo dell'evidenza HTA, contribuendo a politiche sanitarie più informate, partecipate e orientate al valore.

Bibliografia

- *1 O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T, Group the IJT. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. Int J Technol Assess Health Care. 2020 Jun;36(3):187–90.*
- *2 Fattal J, Lehoux P. Health technology assessment use and dissemination by patient and consumer groups: Why and how? Int J Technol Assess Health Care. 2008 Oct;24(4):473–80.*
- *3 Page MJ, McKenzie JE, Bossuyt PM, Boutron I, Hoffmann TC, Mulrow CD, et al. The PRISMA 2020 statement: an updated guideline for reporting systematic reviews. The BMJ. 2021 Mar 29;372:n71.*

Autore di riferimento: Pietro Enrico Risuleo, pietroeric.risuleo01@icatt.it

Il sistema informatizzato RATEC per la gestione e la valutazione delle richieste di acquisto di nuove tecnologie: analisi dei primi 18 mesi di utilizzo nella Regione Veneto

Santarossa E.[1], Cavazzana A.[1], Faccioli F.F.[1], Dal Cin L.[1], Friciello L.[1], Libralato M.C.[1], Nocera S.[1], Boscolo R.[2], Gelisio A.[2], Schiavello A.[2], Saia M.[1]

[1]UOC Governo Clinico– UOS DM e Protesi, Azienda Zero - Regione Veneto, [2]UOS Ingegneria Clinica, Azienda Zero - Regione Veneto

Metodologia - Azienda Zero ha partecipato al programma ministeriale di rete "NET 2018-12368077", coordinato dall'ISS e sostenuto da finanziamenti ministeriali e regionali. Il progetto prevedeva lo sviluppo di una piattaforma per la gestione delle richieste di nuove tecnologie da parte delle Aziende Sanitarie, finalizzata alla valutazione evidence based secondo i principi dell'HTA e all'individuazione di tecnologie potenzialmente innovative.
Il processo regionale di valutazione delle tecnologie sanitarie – dispositivi medici (DM), dispositivi diagnostici in vitro (IVD) e apparecchiature biomedicali – prende avvio con la compilazione, da parte del richiedente, di un modulo specifico (DM/IVD Non Urgente, apparecchiature biomedicali, DM/IVD Urgente). Dopo la validazione del responsabile, la richiesta viene valutata da UVA-DM (Unità di Valutazione Aziendale dei Dispositivi Medici). La metodologia prevede una chiara definizione del PICO (Population, Intervention, Comparator, Outcome) e include un Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA) per stimare il profilo beneficiorischio [1,2]. Il modello visualizza graficamente l'esito della valutazione su un piano cartesiano (Y: Valore e X: Rischio) e suggerisce un orientamento decisionale non vincolante. Qualora la tecnologia venga valutata come "innovativa", previa approvazione della Direzione Generale, viene trasmessa per valutazione regionale. Infine, la piattaforma consente a tutte le Aziende Sanitarie di visualizzare le richieste con iter concluso, promuovendo trasparenza e riducendo duplicazioni.
La fase pilota, avviata a novembre 2023 in tre Aziende Sanitarie e un IRCCS, ha permesso di raccogliere i primi dati. Da settembre 2024, l'attività è stata estesa a tutte le Aziende Sanitarie del SSR.
L'analisi presentata di seguito raccoglie le richieste inserite in piattaforma fino al 1 maggio 2025. Per ciascuno dei tre moduli, sono state calcolate le frequenze assolute e relative, e lo stato di avanzamento lungo il percorso di valutazione. Per le richieste con valutazione completata da parte dell'UVA-DM si è verificata la congruenza con l'orientamento decisionale MCDA. Inoltre, sono stati rilevati i tempi medi di transizione tra le fasi chiave del processo, in particolare tra validazione e valutazione, e tra valutazione e trasmissione regionale (ove prevista). Infine è stato valutato l'impatto economico delle richieste approvate in RATEC, nonché il numero di richieste segnalate al PNHTADM.

Risultati - Al 1 maggio 2025, sono state complessivamente inserite 685 richieste in piattaforma,

406 delle quali valutate dall'UVA-DM (modulo richieste valutate: 15,3% DM/IVD non urgente, 5,4% apparecchiature, 79,3% urgente). Nell'83% delle richieste valutate con metodologia MCDA il parere espresso è risultato concorde con l'orientamento decisionale emerso dall'analisi. Delle 10 tecnologie individuate come "innovative" sulle 406 valutate, tre sono state segnalate al PNHTADM.
Per quanto riguarda il tempo necessario ai valutatori aziendali per esprimere un parere, si osservano:19 giorni medi per le richieste urgenti, 82 giorni per quelle non urgenti, 37 giorni per le apparecchiature. Per le richieste trasmesse a livello regionale, i tempi medi tra valutazione aziendale e trasmissione regionale sono stati di giorni: 21 per i DM/IVD non urgenti e 35 per le apparecchiature biomedicali.
La spesa stimata per le richieste approvate è risultata pari a € 1.409.892 per il percorso DM/IVD non urgente; € 754.999 per DM/IVD urgente e € 12.424.703 per apparecchiature biomedicali, con una stima su base quinquennale per queste ultime.
Sulla base dell'analisi effettuata, i dati confermano l'adeguatezza del sistema nel rispondere alle esigenze cliniche, come evidenziato dalla rapidità di gestione delle richieste urgenti, e dall'elevato grado di coerenza (83%) tra le valutazioni MCDA e l'esito della valutazione UVADM.
Alla luce dei primi mesi di utilizzo, l'impiego della piattaforma RATEC è stato individuato come obiettivo strategico per tutte le Aziende Sanitarie del SSR dal 2025.

Bibliografia

- *1 Ruggeri et al. Multi–Criteria–Decision–Analysis (MCDA) for the Horizon Scanning of Health Innovations an Application to COVID 19 Emergency, Int. J. Environ. Res. Public Health 2020, 17, 7823; doi:10.3390/ijerph17217823.*
- *2 Sampietro-Colom L, Morilla-Bachs I, Gutierrez-Moreno S, Gallo P. Development and test of a decision support tool for hospital health technology assessment. Int J Technol Assess Health Care. 2012;28(5):460–465. doi:10.1017/S0266462312000487.*

Autore di riferimento: Elisabetta Santarossa, elisabetta.santarossa@azero.veneto.it

4

HTA LUNGO IL CICLO DI VITA DELLA TECNOLOGIA

Horizon scanning and future healthcare expenditure projections of emerging therapeutic options in generalized myasthenia gravis

Bitonti R.[1], Colalillo E.[1], Adami S.[2], Alboini P. E.[3], Cristinziano A.[4], La Seta C.[5], Marinozzi A.[6]

[1]PharmaLex Italy S.p.A., Milano, Italia, [2] Direzione Farmaceutico - Protesica - Dispositivi medici, Regione Veneto, Venezia, Italia , [3]UOC di Neurologia, Fondazione IRCCS Casa Sollievo della Sofferenza, San Giovanni Rotondo (FG), Italia, [4]UOC di Farmacia, Ospedale Monaldi, A.O. Ospedali Dei Colli, Napoli, Italia ,[5]UOC di Farmacia, A.O. Universitaria Policlinico 'Paolo Giaccone', Palermo, Italia , [6]UOC di Farmacia, ASL 4, Teramo, Italia

Objective - Myasthenia gravis (MG) is a rare chronic autoimmune disorder that causes unpredictable and fluctuating muscle weakness, affecting vital functions such as breathing, swallowing, and mobility[1,2]. The condition is characterized by myasthenic crises and severe exacerbations, requiring significant healthcare resources for management[3,4]. Conventional treatments, such as corticosteroids and immunosuppressants, have limitations in efficacy and tolerability, with up to 50% of patients continuing to experience symptoms or severe adverse events[2,4,5]. Recent clinical research has focused on innovative therapeutic strategies to improve disease control and enhance patients' quality of life 6. This analysis aimed to identify emerging trends and quantify the economic impact of generalized myasthenia gravis (gMG) over the next five years (2025-2029) using Horizon Scanning and expenditure forecasting methodologies.

Methods - The analysis is characterized by conducting Horizon Scanning of therapies for gMG that will be reimbursed in the Italian market over the next five years (2025-2029), followed by the development of a disease expenditure model for the same time frame. The Horizon Scanning methodology for gMG included research on clinicaltrials.gov to identify relevant Phase 2 or 3 studies, excluding non-relevant studies based on multiple exclusion criteria. A forecasting model was developed to evaluate the impact of new therapies for gMG from the perspective of the Italian National Health Service. The total costs associated with patient management were calculated, considering both currently available treatments and future therapies identified through Horizon Scanning. In Italy, it is estimated that approximately 2,619 patients per year are eligible for treatment with approved drugs for gMG. The market share distribution of therapeutic alternatives over the five-year analysis period has been estimated based on market trends. In the first year, it is assumed that 80% of patients will be treated with intravenous immunoglobulins, plasmapheresis, conventional treatments (corticosteroids and immunosuppressants), and off-label rituximab. However, with the introduction of new innovative therapies, this percentage is expected to gradually decrease, reaching 65% in the fifth year. As for eculizumab, its initial market share is estimated at 5%, decreasing in the second year and then stabilizing at 2.6%. The market share of other therapeutic options has been calculated assuming a homogeneous market segmentation. The analysis included acquisition and administration costs of treatments, as well as

costs for managing exacerbations and myasthenic crises. The assumptions were validated by an expert panel.

Results - The Horizon Scanning identified N=14 new drugs for gMG in clinical development. Among these, an estimated N=7 new therapies are expected to enter the Italian market within the next five years (20252029). The expenditure forecast analysis indicates a slight increase in treatment costs for gMG, with administration costs remaining stable, while expenses related to exacerbations and myasthenic crisis management show a slight decline. The projected total expenditure for gMG is estimated to increase moderately (+10.3%) over the next five years, rising from €126 million in 2025 to €139 million in 2029, approximately.
Our Horizon Scanning and expenditure forecasting estimated that, despite the high initial cost of new treatments for gMG on the market, their greater effectiveness could reduce the costs for managing exacerbations and myasthenic crises. This analysis provides essential information to improve the clinical management of the disease, optimize the allocation of healthcare resources and ultimately enhance the quality of life of patients with gMG.

Bibliography

- *1 Kuks, J. B. M. Clinical Presentations of Myasthenia Gravis. Curr. Clin. Neurol. 0, 85–100 (2018).*
- *2 Barnett, C., Tabasinejad, R. & Bril, V. Current pharmacotherapeutic options for myasthenia gravis. Expert Opin. Pharmacother. 20, 2295–2303 (2019).*
- *3 Xin, H., Harris, L. A., Aban, I. B. & Cutter, G. Examining the Impact of Refractory Myasthenia Gravis on Healthcare Resource Utilization in the United States: Analysis of a Myasthenia Gravis Foundation of America Patient Registry Sample. J. Clin. Neurol. 15, 376–385 (2019).*
- *4 Ting, A. et al. A real-world analysis of factors associated with high healthcare resource utilization and costs in patients with myasthenia gravis receiving second-line treatment. J. Neurol. Sci. 445, (2023).*
- *5 Giacomini, E. & et al. Epidemiologia, gestione terapeutica e assorbimento di risorse sanitarie dei pazienti con Miastenia Gravis in Italia: risultati di una analisi di real-world. XVI Congresso Nazionale SIHTA. (2023). 6. Nair, S. S. & Jacob, S. Novel Immunotherapies for Myasthenia Gravis. ImmunoTargets Ther. 12, 25 (2023).*

Autore di riferimento: Rossella Bitonti, Rossella.Bitonti@pharmalex.com

Progetto EXPLORARE 3.0: Horizon scanning e modello predittivo di spesa per i farmaci nel trattamento delle malattie rare e per gli orfani nel 2025-2027 in Italia

Marcellusi A.[1], Aiello A.[2], Bonfanti M.[2], Bitonti R.[2], Guardigni M.[2], Cazzato D.[3], Guarnotta G.[3], Lucchetti C.[2], Luccini F.[2], Canonico P.L.[4], Jommi C.[4]

[1] Departement of Pharmaceutical Science (DISFARM), University of Milan, Milan, Italy , [2]PharmaLex Italy S.p.A., Milan, Italy , [3]CEIS-EEHTA, Università degli studi di Roma di "Tor Vergata", [4] Università degli Studi del Piemonte Orientale "Amedeo Avogadro", Dipartimento di Scienze del Farmaco

Obiettivi - I sistemi sanitari europei sono sempre più sottopressione a causa dei costi dell'assistenza sanitaria e farmaceutica, inoltre i dati italiani mostrano una crescita considerevole per i farmaci nel trattamento delle malattie rare e per i farmaci orfani[1-3]. In questo contesto è fondamentale sviluppare un modello di horizon scanning (HS) e generare previsioni di spesa farmaceutica al fine di pianificare efficacemente l'allocazione delle risorse finanziarie e gestionali nel breve e medio termine. L'obiettivo di questa analisi è di stimare l'impatto sulla spesa farmaceutica per i farmaci nel trattamento delle malattie rare e per quelli con designazione orfana in arrivo in Italia nel triennio 2025-2027.

Metodologia - I farmaci in arrivo sono stati identificati da Biomedtracker [4] con dati di trial clinici e criteri di selezione specifici riguardo ai tempi di approvazione europei e nazionali. Per ogni indicazione sono stati individuati i comparatori, stimando un costo medio della terapia per paziente. Dopo aver valutato gli effetti dei farmaci in ingresso, è stata condotta una stima della spesa totale sulla base dei dati epidemiologici disponibili in letteratura, definendo l'assorbimento dei farmaci nell'orizzonte temporale considerato. Infine, la sensibilità del modello è stata stimata attraverso due analisi deterministiche che hanno testato l'impatto delle variazioni di prezzo e gli effetti sulla spesa farmaceutica. Tutti i dati e le ipotesi sono stati convalidati dall'opinione di esperti.

Risultati - Attraverso l'HS si sono individuati 137 farmaci in arrivo per le malattie rare tra il 2025 e il 2027, con una maggiore presenze nelle aree oncologica/oncoematologica, ematologica e metabolica, per un totale di 74 indicazioni, la maggior parte delle quali con un rilevante livello di innovazione. Nel 2024, nelle stesse indicazioni, si stima che la spesa totale per le malattie rare a livello nazionale sia stata di 2.079.323.090 euro, con un costo medio per paziente trattato di 24.777 euro. L'incremento della spesa rispetto al 2024 è stato pari a +1,9%, +4,0%, +7,1%, rispettivamente nel 2025, 2026 e 2027. Considerando, invece, esclusivamente i farmaci con designazione orfana (n=115), la spesa farmaceutica a livello nazionale nel 2024 è stata di 1.928.862.888 euro, con un costo medio per paziente trattato di 22.984 euro. L'ingresso sul mercato di nuovi farmaci orfani genererebbe un aumento della spesa pari a +1,1%, +2,2% e +3,7%, rispettivamente nel 2025, 2026 e 2027. In conclusione, data l'esiguità e in alcuni casi l'assenza, di evidenze disponibili sia a livello nazionale che internazio-

nale, questo lavoro fornisce un contributo significativo e innovativo alla comprensione della spesa farmaceutica per le malattie rare stimando la disponibilità dei farmaci, le tempistiche di accesso, le popolazioni target e la possibile spesa per queste terapie nei prossimi anni.

Bibliografia

- *1 J. Espin et al., "Projecting Pharmaceutical Expenditure in EU5 to 2021: Adjusting for the Impact of Discounts and Rebates," Appl Health Econ Health Policy, vol. 16, no. 6, pp. 803– 817, Dec. 2018, doi: 10.1007/s40258-018-0419-1*
- *2 Agenzia Italiana del Farmaco. National Report on Medicines use in Italy. Year 2022. Ultimo accesso 24/04/2025. Disponibile a: https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2143103/Rapporto-OsMed-2022_EN.pdf*
- *3 Osservatorio Farmaci Orfani. VII Report Annuale: Malattie Rare e Farmaci Orfani verso una nuova Governance. Ultimo accesso 24/04/2025. Disponibile a: https://www.osservatoriofarmaciorfani.it/wp-content/uploads/2023/12/VII-RapportoAnnuale-OSSFOR-Web.pdf*
- *4 Datamonitor Healthcare. Ultimo accesso 24/12/2024. Disponibile a: https://www.biomedtracker.com/special-reports.cfm*

Autore di riferimento: Marzia Bonfanti, marzia.bonfanti@pharmalex.com

Tecnologie innovative per superare gli standard: il caso della misura della composizione del vapore nella sterilizzazione dei dispositivi medici

Tessarolo F.[1], Masè M.[1], Nollo G.[1]

[1]*Dipartimento ingegneria Industriale, Università degli Studi di Trento*

Obiettivi - La sterilizzazione a vapore è ampiamente utilizzata in ambito ospedaliero per il trattamento di strumentario resistente al calore. La presenza di gas non condensabili (GNC) nel vapore influisce drasticamente sul trasferimento di calore dall'agente sterilizzante allo strumentario, riducendo l'efficacia e la ripetibilità del processo di sterilizzazione[1]. La pratica corrente e gli attuali standard non prevedono il monitoraggio routinario dei GNC nella camera di sterilizzazione. Solamente la norma europea EN 285:2015+A1:2021 fornisce un metodo standardizzato per la quantificazione dei GNC e specifica un limite superiore per la frazione di GNC ammissibile nel condotto che porta il vapore alla camera di sterilizzazione[2]. Tuttavia, tale metodo non fornisce indicazioni precise sui tempi e le modalità di campionamento del vapore necessari alla misura dei GNC. Ciò determina una variabilità nelle pratiche operative adottate dai professionisti addetti alla verifica della qualità del vapore durante le operazioni di qualifica dello sterilizzatore.
In questo contesto, il presente studio si è posto come obiettivi:
I) indagare se la mancanza di specifiche nella norma EN 285:2015+A1:2021 influisca sulle misurazioni di GNC e sui risultati dei test;
II) validare sul campo un sensore di GNC innovativo[3] che consente la misurazione della composizione del vapore direttamente nella camera di sterilizzazione, in ogni processo di sterilizzazione.

Metodologia - Per il primo obiettivo, una serie di esperimenti è stata condotta realizzando processi di sterilizzazione diversi in uno sterilizzatore a vapore commerciale di medie dimensioni. Misure di GNC% (espresse secondo lo standard in mL di GNC per 100 mL di condensa di vapore) sono state eseguite dall'inizio alla fine della fase di sterilizzazione di ogni processo, seguendo il metodo indicato nello standard e considerando diversi volumi di condensa. Le misure sono state confrontate per verificarne la coerenza e comparate con la soglia massima di GNC stabilita dallo standard.
Per il secondo obiettivo, il sensore di GNC da validare è stato installato sullo sterilizzatore e sono stati realizzati una serie di processi di sterilizzazione in presenza di quantità controllate di GNC nella camera di sterilizzazione, valutando la capacità del sensore di detettare e quantificare tali GNC. I test sono stati eseguiti con o senza carico in camera.

Risultati - I risultati ottenuti utilizzando il metodo standard hanno evidenziato la dipendenza della misura di GNC% sia dalla fase di misura che dalla quantità di condensa raccolta, determinando una scarsa ripetibilità della misura e risultati inconsistenti dei test.
Al contrario, il sensore GNC ha fornito misure riproducibili di GNC derivanti sia da un condizionamento inefficace che da aria introdotta durante la fase di condizionamento ed esposizione, con effetti trascurabili dei punti di accesso all'aria o delle quantità di carico[4].
Spesso si presume che gli standard incorporino procedure e metodi generalmente riconosciuti come stato dell'arte. Tuttavia, lo stato dell'arte non implica necessariamente l'adozione delle soluzioni tecnologicamente più avanzate[5]. La mancanza di specifiche metodologiche nell'attuale metodo standard per la misura della composizione del vapore porta a misure di GNC% non univoche, non ripetibili, né affidabili per un confronto con la soglia massima raccomandata.
Per far fronte ai limiti degli attuali standard, sono ora disponibili tecnologie innovative per una misura quantitativa della composizione del vapore. Le informazioni derivanti da queste tecnologie, integrate con le misure di tempo e temperatura presenti nella camera di sterilizzazione, rappresentano un progresso rilevante nel monitoraggio in tempo reale di ogni processo di sterilizzazione per una maggiore sicurezza dei dispositivi sterilizzati, superando di fatto i requisiti minimi prescritti dagli standard attuali.

Bibliografia

- *1 W.J. Minkowycz, E.M. Sparrow, Condensation heat transfer in the presence of noncondensables, interfacial resistance, superheating, variable properties, and diffusion, International Journal of Heat and Mass Transfer 9 (1966) 1125–1144. https://doi.org/10.1016/0017-9310(66)90035-4.*
- *2 European Committee for Standardization, EN 285+A1 Sterilization - Steam sterilizers – Large sterilizers, (2021).*
- *3 A. Bosman, D. van Kemenda, R.A.C. van Wezel, J.G. Buijs, D. (A. J.C. Bulkmans, A.M. van Rosmalen-de Widt, W. (S. F.) Zwinkels, P. Steegh, M. Mulders, C. Plutz, M. Waegemans, T. Heubach, A. van Mensvoort, G. Bassi, R. Vis, C.H. O'Connor, C. Herra, K. Kopinga, J.P.C.M. van Doornmalen, H.W. Oussoren, S. Oostveen, W. De Plecker, K. Henrotin, T. de Laat, M.E.R. Feldkamp, R.C. van der Aa, T. Onsea, Improving parametric load release for steam sterilization, Journal of Hospital Infection (2023). https://doi.org/10.1016/j.jhin.2022.12.015.*
- *4 F. Tessarolo, M. Masè, Field assessment of a novel sensor for measuring noncondensable gases in steam sterilizers, Sci Rep 15 (2025) 9836. https://doi.org/10.1038/s41598-025-94798-1.*
- *5 Essential Principles of Safety and Performance of Medical Devices and IVD Medical Devices l International Medical Device Regulators Forum, (2024). https://www.imdrf.org/documents/essential-principles-safety-and-performance-medical-devices-and-ivd-medical-devices (accessed June 23, 2025).*

Autore di riferimento: Francesco Tessarolo, francesco.tessarolo@unitn.it

5

HTA E LE SFIDE DELLA TRASFORMAZIONE DIGITALE

Simulazione Traslazionale e Health Technology Assessment: due rette parallele o complanari che si intersecano?

Capogna E.[1], Gualano MR.[2], Ricciardi W.[1]

[1]Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore - Campus di Roma, Roma, Italia, [2]UniCamillus-Saint Camillus International University of Health Sciences, Roma, Italia

Obiettivi - La simulazione traslazionale (ST), intesa come approccio simulativo finalizzato alla valutazione, ottimizzazione e implementazione sicura e partecipata delle tecnologie sanitarie nei contesti reali o realistici di cura con il fine di migliorare i processi e gli outcomes dell'assistenza sanitaria, rappresenta uno strumento in rapida espansione. L'Health Technology Assessment (HTA) e l'ST, rappresentano due strumenti metodologici distinti ma potenzialmente sinergici nell'ambito della valutazione, implementazione e miglioramento delle tecnologie sanitarie.
Questo lavoro si propone di esplorare punti in comune e divergenze tra ST e HTA, con l'obiettivo di valutare se un loro utilizzo integrato possa migliorare i processi decisionali e gli outcome in sanità.

Metodologia - È stata condotta un'analisi comparativa tra le due metodologie, considerando le principali dimensioni operative, epistemologiche e applicative. Le variabili considerate includono: obiettivo, approccio multidisciplinare, fase di applicazione, contributo alla sicurezza del paziente, metodo, tipo di output, contesto di utilizzo e tempistica. Le informazioni sono state tratte da fonti accademiche primarie e da pubblicazioni ufficiali delle società scientifiche di riferimento.

Risultati - L'analisi ha evidenziato che entrambe le metodologie condividono l'obiettivo di valutare e migliorare l'efficacia e la sicurezza delle tecnologie sanitarie, pur partendo da approcci differenti. Entrambe si caratterizzano per l'interdisciplinarietà e per il potenziale impatto sulla sicurezza del paziente. Tuttavia, la simulazione traslazionale opera prevalentemente in fase pre-clinica o pre-commerciale, attraverso scenari realistici, generando evidenze qualitative, quantitative e contestuali. Al contrario, l'HTA si fonda su analisi quantitative e documentali, applicate spesso nella fase decisionale, e produce evidenze generalizzabili e orientate alla policy.
La prima è quindi utile per esplorare la complessità del contesto e testare l'interazione uomo-tecnologia; la seconda fornisce una valutazione sistematica dell'efficacia clinica, economica ed etica su scala più ampia. Inoltre, la ST trova applicazione principalmente in ambienti controllati o clinici simulati, come centri di simulazione o direttamente in reparto (in situ), per testare processi, tecnologie e competenze prima dell'introduzione reale. L'HTA, invece, è impiegata in contesti istituzionali e decisionali, come agenzie sanitarie, enti regolatori e comitati tecnico-scientifici, per guidare le scelte di

investimento, dismissione o sostituzione delle tecnologie in uso nel sistema sanitario. In conclusione, i risultati di questa analisi preliminare ci incoraggiano a proseguire nello sviluppo di un progetto volto a integrare in modo strutturato la simulazione traslazionale all'interno dei processi di Health Technology Assessment, ritenendo che tale integrazione possa generare evidenze più robuste, contestualmente rilevanti e potenzialmente capaci di rafforzare l'efficacia, la sicurezza e l'accettabilità delle decisioni in ambito sanitario.

Bibliografia

- *1Brazil V. Translational simulation: not 'where?' but 'why?' A functional view of in situ simulation. Advances in Simulation. 2017;2(1):20.*
- *2 Brazil V, Purdy E, Bajaj K. Connecting simulation and quality improvement: how can healthcare simulation really improve patient care? BMJ Quality & Safety. 2019;28(11):862– 865.*
- *3 Brazil V, Shapiro MJ. Translational simulation: from description to action. Advances in Simulation. 2020;5(1):1–5.*
- *4 Health Technology Assessment International (HTAi). What is HTA? Disponibile su: https://htai.org/*
- *5 EUnetHTA. HTA Core Model Version 3.0. European Network for Health Technology Assessment, 2016.*
- *6 Drummond MF et al. Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes. Oxford University Press, 2015.*
- *7 Società Italiana di Health Technology*

Autore di riferimento: Emanuele Capogna, ema.capogna@gmail.com

Dalla definizione alla valutazione economica dei Digital Health Interventions: il framework PICOTS-ComTeC e l'evoluzione verso CHEERS-DHI

Di Bidino R.[1,2], Carl V. Asche C.V.[3], Zrubka Z.[4], Champion A.[5], Burrell A.[6]

[1] ALTEMS - Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari, Roma, Italia, [2]Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, Roma, Italia, [3]Department of Pharmacotherapy at the University of Utah College of Health, Salt Lake City, USA, [4]Obuda University, Budapest, Ungheria, [5]Healthcare Research Insights, Inc, Lake Forest, IL, USA, [6]Anita Burrell Consulting LLC, Flemington, NJ, USA

Obiettivo - I Digital Health Interventions (DHIs) comprendono le terapie digitali, i dispositivi indossabili, il monitoraggio da remoto, la realtà virtuale etc. Si caratterizzano per la loro marcata eterogenità e dinamicità tendenzialmente superiore a quella di farmaci e device. Di conseguenza si rende necessario un adattamento negli approcci metodologici da da parte del HTA per garantirne una valutazione rigorosa, trasparente e comparabile. Questo lavoro presenta il percorso intrapreso dal Digital Health Special Interest Group (SIG) di ISPOR per supportare la definizione strutturata della digital health e promuovere il miglioramento della qualità delle valutazioni economiche ad esse relative.

Metodologia e Risultati - Il framework PICOTS-ComTeC—che include Population, Intervention, Comparator, Outcome, Timing, Setting, Communication, Technology e Context—è stato sviluppato per rispondere alla carenza di definizioni chiare e standardizzate dei Digital Health Interventions (DHIs). Il framework propone un set minimo di informazioni ritenute essenziali per descrivere con rigore i DHIs che si interfacciano direttamente con i pazienti, garantendo trasparenza e replicabilità. Per lo sviluppo del PICOTS-ComTeC è stata condotta una revisione sistematica, una content analysis e una Delphi survey. Il PICOTS-ComTeC è stato, infine, validato su DHI specifiche disponibili in aree cliniche come l'oncologia e la cardiologia.
Successivamente, dato l'arrichimento del classico PICO, è stato valutato se e come fosse necessaria una estensione degli standard internazionali CHEERS (Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards) per rispondere alle peculiarità dei DHIs. Per lo sviluppo del CHEERS-DHI sono state condotte interviste semi strutturate con esperti internazionali ed successivamente è stata sviluppata una Delphi survey. Le interviste si sono focalizzate sulle informazioni che vengono al momento riportate e quali sono invece trascurate nelle pubblicazioni relative alle valutazione economiche per i DHIs. Lo scopo era comprendere le eventuali carenze del CHEERS 2022 e del CHEERS AI quando applicati a questa variegata classe di tecnologie sanitarie.

Conclusioni - La complessità delle DHIs pone sfide significative anche per l'Health Technology Assessment richiedendo riflessioni sull'adeguatezza dei framework e dei tool a disposizione. Il fra-

mework PICOTS-ComTeC e un'estensione specifica del CHEERS si propongono come strumenti a supporto dei valutatori.

Bibliografia

- *Zrubka Z, Champion A, Holtorf AP, et al. The PICOTS-ComTeC Framework for Defining Digital Health Interventions: An ISPOR Special Interest Group Report. Value Health. 2024;27(4):383-396. doi:10.1016/j.jval.2024.01.009*

- *Zrubka Z, Champion A, Holtorf AP, et al. The PICOTS-ComTeC Framework for Defining Digital Health Interventions: An ISPOR Special Interest Group Report. Value Health. 2024;27(4):383-396. doi:10.1016/j.jval.2024.01.009*

- *Husereau D, Drummond M, Augustovski F, et al. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards 2022 (CHEERS 2022) Statement: Updated Reporting Guidance for Health Economic Evaluations. Clin Ther. 2022;44(2):158-168. doi:10.1016/j.clinthera.2022.01.011*
- *Elvidge J, Hawksworth C, Avşar TS, et al. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards for Interventions That Use Artificial Intelligence (CHEERS-AI). Value Health. 2024;27(9):1196-1205. doi:10.1016/j.jval.2024.05.006*

Autore di riferimento: Rossella Di Bidino, rossella.dibidino@policlinicogemelli.it

HTA e digitalizzazione: la sfida delle competenze

Di Pippo S.[1], Laurita R.[1]

[1]*ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore*

Obiettivi - I sistemi sanitari globali nel corso degli ultimi anni sono stati investiti da un dirompente processo di digitalizzazione, che sta ridisegnando le loro dinamiche e priorità, influenzando in modo crescente anche l'ambito dell'Health Technology Assessment (HTA). Le innovazioni tecnologiche, quali intelligenza artificiale, analisi predittiva, sistemi di supporto alle decisioni cliniche, dispositivi connessi e modelli di raccolta ed utilizzo dei big data, offrono nuove opportunità per rendere i processi di valutazione delle tecnologie sanitarie più tempestivi, precisi e orientati all'evidenza. Nonostante ciò, l'integrazione di queste tecnologie nei processi di HTA presenta una serie di sfide complesse, non solo tecniche o legate all'infrastruttura, bensì anche culturali, organizzative e professionali.
L'obiettivo del presente studio è quello di evidenziare come una delle principali criticità legate all'adozione del digitale in ambito HTA sia rappresentata dalla carenza di specifiche competenze, principalmente quelle digitali, da parte dei professionisti coinvolti. La digitalizzazione, infatti, non può essere interpretata solo come un aggiornamento tecnologico, ma richiede una revisione profonda delle conoscenze, delle abilità e degli atteggiamenti dei valutatori, che devono essere in grado di comprendere, utilizzare e interpretare strumenti e dati digitali all'interno di modelli metodologici rigorosi.

Metodologia - Per approfondire questo tema si sta conducendo un'analisi della letteratura scientifica e grigia a livello nazionale ed internazionale. In particolare, si stanno svolgendo ricerche sui principali database accademici, quali PubMed, Scopus, Web of Science, nonchè sui diversi siti istituzionali.

Risultati attesi - Ci si aspetta che questa analisi evidenzi la necessità di possedere in particolare competenze digitali da parte dei professionisti coinvolti nei processi di HTA. È necessaria infatti un'integrazione di profili con competenze digitali nei team di HTA, al fine di avere una maggiore familiarità con strumenti avanzati di analisi dei dati e machine learning. Devono inoltre essere implementati nuovi framework metodologici capaci di supportare le valutazioni digitali multidimensionali, in cui le competenze tradizionali dell'HTA (cliniche, economiche, organizzative) devono essere

integrate con abilità analitiche e tecnologiche nuove.
In conclusione, lo studio vuole sottolineare come la mancanza di competenze specifiche rappresenti una sfida trasversale e sistemica per l'HTA. Superare tale limite richiede un ripensamento delle strategie di formazione iniziale e continua, un aggiornamento dei profili professionali coinvolti e lo sviluppo di strumenti e metodologie che supportino una valutazione efficace, etica e sostenibile delle tecnologie digitali.

Autore di riferimento: Sofia Di Pippo, sofia.dipippo@unicatt.it

L'Intelligenza Artificiale nella Valutazione delle Tecnologie Sanitarie: Revisione della letteratura alla luce del Regolamento Europeo dell'HTA e dell'AI Act

Melodia P.[1,2],Diamanti L.[1,3], Bottega F.[1,2], Ruggiero V.[1,4], Di Resta C.[1,5], Zullo M.[1,6], Alessio D.[1,7], Ferrari A.[1,8], La Fauci D.[1,9], Leporini A.[1,6], Ranieri P.[1,3], Rolandi S.[1,10], Alfano M.[11], Zacchetti D.[1,12], Signorelli C.[2], Odone A.[1,13]

[1]Commissione HTA, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [2]Scuola di Specializzazione in Igiene e Medicina Preventiva, Università Vita-Salute San Raffaele, Milano, Italia. [3]Servizio di Ingegneria Clinica, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [4]Clinical and Scientific Translation Office for Research (CSTOR), IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [5]Unità di Genomica per la Diagnosi delle Patologie Umane, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia [6]Center for Advanced Technology in Health & Wellbeing, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [7]Servizio di Medicina di Laboratorio, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [8]Clinical Trial Center, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [9]Direzione Pianificazione e Controllo, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia.[10]Direzione Professioni Sanitarie Aziendale, IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [11]Urological Research Institute (URI), IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano, Italia. [12]Facoltà di Medicina e Chirurgia, Università Vita-Salute San Raffaele, Milano, Italia. [13]Dipartimento di Sanità Pubblica, Medicina Sperimentale e Forense, Università di Pavia, Pavia, Italia

Obiettivi - Con l'applicazione, da inizio 2025, dei Regolamenti (UE) 2021/2282 (HTAR) e 2024/1689 (AI Act), il quadro normativo europeo introduce valutazioni cliniche congiunte per le tecnologie sanitarie e requisiti stringenti per i sistemi di Intelligenza Artificiale ad alto rischio, che trovano spesso applicazione in sanità. L'obiettivo è accelerare le valutazioni HTA, armonizzare i processi tra gli Stati membri e garantire maggiore sicurezza, trasparenza e controllo nell'uso dell'IA in ambito sanitario. Tali sviluppi, insieme all'interesse crescente per l'integrazione dell'IA nei processi valutativi, impongono una riflessione sull'adeguatezza dei modelli attuali di valutazione delle tecnologie sanitarie. In questo contesto, la Commissione HTA dell'IRCCS Ospedale San Raffaele, adoperando come modello di training il progetto PHIRE (Grant Agreement ID No. 101113193), si è posta l'obiettivo di analizzare come l'IA venga attualmente integrata nei processi di HTA a livello internazionale, nei diversi contesti applicativi, valutandone la coerenza con le nuove normative europee e con i domini previsti dall'HTA core model EUnetHTA.

Metodologia - È stata condotta una revisione della letteratura scientifica pubblicata tra il 2020 e il 2025, attraverso i database PubMed, Embase e Scopus. Seguendo le linee guida PRISMA, sono stati identificati 1.012 articoli, 773 sottoposti a screening e 56 inclusi nell'analisi qualitativa. Gli articoli sono stati classificati in base al focus: utilizzo dell'IA come supporto nei processi HTA o valutazione HTA di tecnologie con IA integrata.

Risultati - Dei 56 articoli inclusi, 46 affrontano valutazioni sanitarie in modo trasversale, senza un focus clinico specifico. I restanti si concentrano su oncologia, radiologia, cardiologia, terapia intensiva e chirurgia generale.
37 lavori si concentrano sull'impiego dell'intelligenza artificiale – in particolare, attraverso l'impiego di

tecniche di natural language processing (NLP), incluse quelle basate su large language models (LLM) – a supporto di attività chiave dell'HTA, come la revisione sistematica, la generazione di evidenze cliniche ed economiche, la modellizzazione costo-efficacia e l'analisi dei real-world data. I vantaggi principali risiedono in rapidità, scalabilità e standardizzazione dei processi, in linea con il Regolamento (UE) 2021/2282; tuttavia, persistono criticità legate alla qualità dei dati, al bias algoritmico, alla sicurezza informatica e a implicazioni etiche, connesse alla responsabilità nei processi valutativi e al rischio di un utilizzo improprio da parte di operatori privi di adeguata formazione.
Un secondo gruppo di 19 studi esplora l'adattamento dei modelli HTA esistenti alla valutazione di tecnologie che integrano IA. Il modello EUnetHTA è frequentemente testato, applicato in tutti i suoi 9 domini. I domini più approfonditi sono valutazione economica, etica ed efficacia clinica.
Emergono esigenze di aggiornamento metodologico, soprattutto nei domini tecnico-clinici e di sicurezza – per la natura evolutiva degli algoritmi e la necessità di validazione continua – e in quelli economico, etico, sociale e legale, per affrontare criticità legate rispettivamente a costi indiretti, accettabilità, spiegabilità, e responsabilità.
A supporto dell'evoluzione metodologica, dalla letteratura emergono due riferimenti chiave: la checklist CHEERS-AI, che definisce criteri per valutazioni economiche trasparenti, riproducibili e adatte alle peculiarità dell'IA (apprendimento continuo, trasparenza, autonomia); e il progetto europeo EDIHTA, che propone la creazione di un framework multidimensionale e adattabile, integrando dimensioni etiche, organizzative e regolatorie per l'HTA di tecnologie digitali e IA. Queste esperienze evidenziano il bisogno di strumenti valutativi flessibili e adeguati al nuovo contesto normativo, che mantengano centrale il ruolo dei professionisti sanitari e favoriscano il coinvolgimento del paziente. Le agenzie HTA sono chiamate a definire linee guida specifiche e condivise, per garantire valutazioni rigorose e un uso responsabile dell'IA.

Bibliografia

- *Reg. (UE) 2024/1689,- Reg. (UE) 2021/2282.*
- *Ratti M, et al. Artificial intelligence and health technology assessment: challenges andopportunities. Int J Environ Res Public Health. 2020;17(20):7552. doi:10.3390/ijerph17207552. - Husereau D, et al. Reporting standards to support cost-effectiveness evaluations of AI-driven health care: the CHEERS-AI extension. Lancet Digit Health. 2024;6(6):e395–e403. doi:10.1016/S2589-7500(24)00096-2.*
- *Tsiasiotis E, Di Bidino R, Sacchini D, Cicchetti A. PP39 Co-creation of a European digital healthtechnology assessment framework: the EDiHTA EU-funded project. Int J Technol Assess Health Care. 2025;40(Suppl 1):S70. doi:10.1017/S0266462324002113.*

Autore di riferimento: Pietro Melodia, pietromelodia3@gmail.com

Introduzione dell'intelligenza artificiale nello screening del tumore mammario: metodi e risultati attesi di un Health Technology Assessment

Nurchis MC.[1], Riccardi MT.[3], Gigli S.[4], Raspolini GM.[2], Raponi M.[5], Pattavina F.[5], Damiani G.[2,5]

[1]Dipartimento di Scienze della Vita, della Salute e delle Professioni Sanitarie, Università degli Studi Link, 00165 Roma (RM), [2]Dipartimento di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Sezione di Igiene, Università Cattolica del Sacro Cuore, 00168 Roma (RM), [3]UOSD Coordinamento Screening, Dipartimento di Prevenzione, ASL Roma 2, 00157 Roma (RM), [4]Dipartimento di Diagnostica per Immagini, Ospedale Sandro Pertini, ASL Roma 2, 00157 Roma (RM), [5]UOC Igiene Ospedaliera, Dipartimento di Scienze della salute della donna, del bambino e di sanità pubblica, Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma (RM).

Obiettivi - Nel territorio dell'ASL Roma 2, l'azienda sanitaria locale con il maggior numero di assistiti in Italia, la popolazione target del Programma di screening mammografico è di circa 96.000 donne per anno. Al momento, due delle criticità più significative del Programma sono la carenza di personale radiologico e l'elevato tasso di richiami al secondo livello (Recall Rate - RR). Da aprile 2024, il programma di lettura e refertazione delle immagini radiologiche è stato integrato con un software di intelligenza artificiale (AI). L'abstract descrive i metodi e i risultati attesi di un Health Technology Assessment (HTA) sull'integrazione di servizi per l'analisi delle immagini mammografiche basati sull'AI nelle pratiche di screening del tumore della mammella dell'ASL Roma 2.

Metodologia - Per generare le evidenze da includere successivamente nell'HTA, verrà seguito un disegno di ricerca multimetodologico. L'uso corrente e l'impatto dell'analisi AI delle immagini mammografiche nei programmi di screening saranno indagati mediante una revisione sistematica della letteratura. Sarà condotto uno studio osservazionale retrospettivo per individuare i migliori threshold nel punteggio generato dal software AI, e simulare i diversi scenari per valutare in quale momento dell'intero processo sia più efficace l'introduzione di AI. Verranno indagati, tramite apposite survey, gli aspetti organizzativi di fattibilità e quelli sociali di accettabilità dell'integrazione della tecnologia nei programmi di screening, sia tra gli operatori sanitari coinvolti che nella popolazione target. Seguirà uno studio controllato randomizzato (RCT) per confrontare gli esiti di tipo diagnostico e organizzativo tra il percorso standard (AI di supporto ai radiologi) e quello sperimentale (con alert generati da AI nel caso di forte sospetto di negatività ed esito radiologico positivo, o viceversa). Le informazioni raccolte dai due studi primari, svolti in setting assistenziali reali del Servizio Sanitario Nazionale, alimenteranno la produzione del full HTA, basato sul Core Model di EUnetHTA. Per gli aspetti economici, la costo-efficacia dell'intervento verrà studiata adottando un approccio bayesiano, con i parametri estratti dal RCT e le voci di costo derivate dal tariffario regionale. Gli aspetti sociali verranno studiati tramite l'analisi delle opinioni delle pazienti e degli operatori sanitari con un esperimento di scelta discreta. Gli aspetti organizzativi verranno investigati mediante un'analisi tematica. L'analisi delle implicazioni etiche seguirà il modello del principialismo.

Risultati - L'ASL Roma 2 ha condotto due studi preliminari nel suo territorio: il primo ha riscontrato nel punteggio di AI valori predittivi adeguati in caso di discordanze tra i radiologi[1], suggerendo un potenziale di riduzione del RR e aumento dell'appropriatezza degli esami di secondo livello; il secondo studio ha evidenziato un complessivo miglioramento del Detection Rate (DR) o sensibilità del programma di screening in seguito all'introduzione della AI in supporto alla lettura dei radiologi. L'adozione dell'analisi AI delle immagini mammografiche è stata ampiamente studiata in letteratura scientifica[2-7]. Una revisione di scopo del 2025 evidenziava che, sebbene l'AI possa migliorare significativamente i programmi di screening, sono necessarie maggiori evidenze sulla performance al variare della densità della mammella per individuare i tumori di intervallo e sull'integrazione dell'analisi nelle procedure correnti[8].
I risultati attesi dell'HTA includono, per gli aspetti clinici e organizzativi, un maggiore DR, un minor o uguale RR, e un minore carico di lavoro per i radiologi. In merito agli aspetti economici, si prospetta una costoefficacia della strategia innovativa da attribuire ai risparmi sui costi sanitari da diagnosi tardive e ad un aumento degli anni di vita aggiustati per la qualità (QALYs). Per gli aspetti organizzativi, ci si aspetta una riduzione del carico di lavoro dei radiologi, nonché l'individuazione di fattori abilitanti e ostativi dell'acquisizione e implementazione locale della tecnologia. Nell'indagine sulle prospettive sociali ed etiche dell'integrazione della tecnologia, si prevede di registrare un'utilità percepita e un impatto complessivamente positivi.

Bibliografia

- *1 Riccardi MT et al., 2024 Eur J Public Health. doi: 10.1093/eurpub/ckae144.1196*
- *2 Larsen M et al., 2022 Eur Radiol. doi:10.1007/s00330-022-08909-x*
- *3 Hernström V et al., 2025 Lancet Digit Health. doi:10.1016/S2589-7500(24)00267-X*
- *4 Lång K et al., 2023 Lancet Oncol. doi:10.1016/S1470-2045(23)00298-X*
- *5 Koch HW et al., 2023 Eur Radiol. doi:10.1007/s00330-023-09461-y*
- *6 Dembrower K et al., 2023 Lancet Digit Health. doi:10.1016/S2589-7500(23)00153-X*
- *7 Gjesvik J et al., 2024 JAMA Netw Open. doi:10.1001/jamanetworkopen.2024.37402*
- *8 Altobelli E et al., 2025 Healthcare. doi:10.3390/healthcare13040378*

Autore di riferimento: Gianmarco Raspolini, gmraspo@gmail.com

6

HTA LUNGO IL CICLO DI VITA DELLA TECNOLOGIA

Valutazione degli interventi chirurgici e delle complicanze ad essi associate nei pazienti con malattia di Von Hippel Lindau (VHL) prima e dopo il trattamento con belzutifan in Italia

Bini C.[1], Ying X.[1], Sciattella P.[1]

[1]*CEIS-EEHTA, University of Rome "Tor Vergata"*

Obiettivi - La malattia di Von Hippel-Lindau (VHL) è una condizione genetica rara, potenzialmente letale, che predispone allo sviluppo di tumori tra cui il carcinoma a cellule renali (RCC), gli emangioblastomi del sistema nervoso centrale (SNC) e i tumori neuroendocrini pancreatici (pNET) (1, 2). Attualmente non risultano disponibili terapie sistemiche per i pazienti con VHL, ad eccezione della sorveglianza attiva, e l'unica opzione consiste nella chirurgia, laddove altre procedure locali come radioterapia o ablazione risultino inadatte (1). Belzutifan, inibitore di seconda generazione del HIF-2α, contrasta gli effetti della proteina VHL difettosa, contribuendo alla riduzione della massa tumorale nei pazienti affetti dalla malattia di VHL (1). Sulla base dei risultati dello studio clinico LITESPARK-004 (3), la Commissione Europea ne ha autorizzato l'immissione in commercio a febbraio 2025. L'obiettivo dello studio è stato quello di valutare l'impatto del trattamento con belzutifan sul numero di interventi chirurgici correlati alla malattia di VHL e delle complicanze chirurgiche sia in termini di costi, sia in termini di QALYs.

Metodologia - L'analisi è stata condotta mediante lo sviluppo di un modello di Markov con 5 stati di salute mutualmente esclusivi (pre-chirurgia, chirurgia, assenza di eventi dopo chirurgia, malattia metastatica, morte) tali da monitorare l'occorrenza degli interventi chirurgici sul tumore e delle relative complicanze a lungo termine secondo un orizzonte temporale lifetime. Il modello è stato implementato utilizzando i dati provenienti dallo studio clinico LITESPARK-004 (braccio belzutifan) e dal modello di storia naturale di malattia sviluppato negli Stati Uniti (braccio sorveglianza attiva). I costi degli interventi chirurgici e delle complicanze sono stati stimati attraverso l'impiego del tariffario nazionale per la remunerazione delle prestazioni di assistenza ospedaliera.

Risultati - Il modello ha stimato come i pazienti in trattamento con belzutifan possano permanere nello stato di salute di pre-surgery mediamente fino a circa 30 anni, rispetto ai 4 anni circa stimati per i pazienti in sorveglianza attiva. Tale vantaggio si traduce, secondo un orizzonte temporale lifetime, in un guadagno, sia in termini di QALYs (+ 9,4 QALYs per paziente rispetto alla sorveglianza attiva), sia in termini economici (-€ 32.370 per paziente rispetto alla sorveglianza attiva in termini di interventi chirurgici e complicanze ad essi associate).

Bibliografia

- *1 EMA. Available online: https://www.ema.europa.eu/en/newsfirst-medicine-treat-rare-geneticdisorder-causing-cysts-tumours*
- *2 Wang et al. Burden of surgeries and surgical complications in patients with Von Hippel Lindau (VHL) disease before and after treatment with belzutifan. Meeting Abstract: 2023 ASCO Genitourinary Cancers Symposium.*
- *3 Iliopoulos et al. Belzutifan for patients with von Hippel-Lindau disease-associated CNS haemangioblastomas (LITESPARK-004): a multicentre, single-arm, phase 2 study. Lancet Oncol 2024 Oct;25(10):1325-1336.*

Autore di riferimento: Chiara Bini, chiara.bini@uniroma2.it

Analisi dei Costi del Defibrillatore Cardiaco Impiantabile Extravascolare (EV-ICD) rispetto al Sistema Sottocutaneo (S-ICD) nei Pazienti a Rischio di Morte Cardiaca Improvvisa in Italia

Borghetti F.[1], Maglionico G.M.L.[1], Corbo M.[1]

[1]*Value Access & Policy, Medtronic Italia S.p.A., Milano*

Obiettivo - il defibrillatore cardiaco impiantabile extravascolare (EV-ICD) per la prevenzione della morte cardiaca improvvisa presenta diversi vantaggi rispetto ai tradizionali defibrillatori impiantabili. Inoltre, la maggiore durata prevista della batteria del defibrillatore, rispetto al dispositivo sottocutaneo (S-ICD), riduce la necessità di sostituzioni e le possibili complicanze associate, contribuendo a un minore consumo di risorse sanitarie nel lungo termine. L'obiettivo di questo lavoro è stimare l'impatto economico dell'introduzione dell'EV-ICD rispetto all'S-ICD dal punto di vista del Sistema Sanitario Nazionale (SSN), considerando un orizzonte temporale pari all'intera vita del paziente.

Metodologia - È stato sviluppato un modello di Markov con cicli trimestrali, che rappresenta la storia naturale di una coorte ipotetica di 1.000 pazienti a rischio di morte cardiaca improvvisa, con un'età media di 52,5 anni. I dati relativi alla longevità sono stati modellati partendo dai valori forniti nelle specifiche tecniche (11,7 anni per EV-ICD vs. 7,3 anni per S-ICD), integrando la variabilità attesa nella vita reale. I dati demografici e le variabili cliniche sono stati ottenuti dalla letteratura. I costi unitari (€2025), estratti da fonti nazionali, includevano l'impianto iniziale, le sostituzioni, le complicanze e il follow-up. È stato applicato un tasso di sconto annuale del 3%. Sono stati inoltre analizzati scenari alternativi variando l'età di insorgenza e sono state condotte analisi di sensibilità deterministiche per valutare la robustezza dei risultati.

Risultati - L'EV-ICD è stato associato a una riduzione di 1,5 sostituzioni per paziente nell'orizzonte temporale considerato (1,9 vs. 3,4), determinando un risparmio di €€20,277 rispetto all'S-ICD (€68,543 vs. €48,267). I risparmi osservati sono aumentati nei pazienti più giovani, grazie alla loro maggiore sopravvivenza e alla riduzione delle sostituzioni. Le analisi di sensibilità hanno confermato la robustezza dei risultati. L'uso del defibrillatore cardiaco impiantabile extravascolare (EV-ICD) per la prevenzione della morte cardiaca improvvisa potrebbe ridurre significativamente i costi sanitari a lungo termine nei pazienti candidati, grazie alla diminuzione delle sostituzioni previste e delle complicanze associate.

Bibliografia

- *Al-Ghamdi B. Subcutaneous implantable cardioverter defibrillators: An overview of implantation techniques and clinical outcomes. Current Cardiology Reviews. 2018;15(1):38–48. doi:10.2174/1573403x14666180716164740*
- *Medtronic Aurora EV-ICDTM MRI SureScanTM DVEA3E4 Device Manual.*

Autore di riferimento: Francesca Borghetti, francesca.borghetti@medtronic.com

Reassessment del vaccino ricombinante adiuvato RSVPREF3 OA contro il Vvirus respiratorio Sinciziale: HTA 2.0

Calabrò G.E.[1], Vitale F.[2], Icardi G.[3], Rizzo C.[4], Amodio E.[2], Domnich A.[5], De Waure C.[6], Costantino C.[2], Di Pietro M.I.[7], Tarricone R.[8], Rognoni C.[9], Di Marco F.[10], Rumi F.[11], Puggina A.[12], Zarkadoulas E.[13], Ricciardi R.[14,] Tosi F.[4], Tecchio F.[4], Franceschini E.[6], Carnevali E.D.[6], Siliquini R.[15], Ricciardi W.[7]

[1]Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università degli studi di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI, Spin-off Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2]Dipartimento di Promozione della Salute, Materno-Infantile, di Medicina Interna e Specialistica di Eccellenza "G. D'Alessandro", Università degli Studi di Palermo, [3]Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli Studi di Genova; CIRI-IT, Genova; U.O. Igiene, IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, Genova, [4]Dipartimento di Ricerca Traslazionale e delle Nuove Tecnologie in Medicina e Chirurgia, Università degli Studi di Pisa, [5] U.O. Igiene, IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, Genova, [6]Dipartimento di Medicina e Chirurgia, Università degli di Studi di Perugia, [7]Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [8]CERGAS-SDA Bocconi School of Management, Milano; Dipartimento di Scienze Sociali e Politiche, Università Bocconi, Milano, [9]CERGAS-SDA Bocconi School of Management, Milano,[10]Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli Studi di Milano, [11]ALTEMS Advisory, spin-off Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [12]GSK, Italy, [13]GSK, Belgium, [14]VIHTALI, Spin-off Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, 15Dipartimento di Scienze della Sanità Pubblica e Pediatriche, Università degli Studi di Torino

Obiettivi - Il virus respiratorio sinciziale (RSV) è una delle principali cause di infezioni respiratorie acute (ARI) e di malattie del tratto respiratorio inferiore (LRTD), non solo nei bambini sotto i 5 anni ma anche negli adulti, specialmente in quelli anziani, immunocompromessi o con patologie croniche. I vaccini oggi disponibili possono ridurre significativamente il carico epidemiologico ed economico dell'RSV, garantendo benefici clinici ed economici rilevanti. Nel 2024 è stata pubblicata una valutazione HTA del vaccino ricombinante adiuvato RSVPreF3 OA, primo approvato per prevenire la LRTD da RSV negli over 60. Alla luce di nuove evidenze e dell'estensione dell'indicazione alla popolazione 50+, si rende necessario un reassessment del vaccino. Pertanto, obiettivo principale del presente lavoro è quello di effettuare una nuova valutazione del vaccino RSVPreF3 OA al fine di analizzarne le principali implicazioni sanitarie, economiche, organizzative, etiche e sociali.

Metodologia - È in corso una valutazione multidimensionale e multidisciplinare del vaccino RSVPreF3 OA, mediante una revisione critica delle evidenze scientifiche disponibili sui domini clinici e non clinici del Core Model® EUnetHTA. La modellizzazione dell'impatto clinico ed economico prevede l'utilizzo del modello di Costo-Efficacia del Virus Respiratorio Sinciziale per Adulti (ARIEL), modello Markov statico multi-coorte, adattato al setting italiano, al fine di valutare il rapporto costo-efficacia del vaccino RSVPreF3 OA rispetto alla non vaccinazione nella popolazione 60+ e nella popolazione adulta a rischio, con particolare riferimento alla popolazione con broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO). Risultati I dati preliminari confermano che l'RSV comporta un rilevante carico di malattia per anziani e adulti fragili. Di seguito si riportano alcuni punti chiave riguardo al peso delle infezioni da RSV negli adulti a rischio e negli anziani:

- Maggiore gravità: le infezioni da RSV negli anziani e nelle persone con condizioni di salute preesistenti possono comportare esiti più gravi rispetto agli adulti sani. Questi individui sono a maggior rischio di sviluppare polmonite, riacutizzazioni di malattie respiratorie croniche (come BPCO o asma), e altre complicanze che richiedono il ricovero ospedaliero;
- Tassi di ospedalizzazione più elevati: diversi studi hanno dimostrato che gli anziani e le persone con determinate patologie sono più inclini a essere ricoverati a causa di infezioni da RSV.
- Rischio di mortalità: le infezioni da RSV possono contribuire ad aumentare i tassi di mortalità tra gli adulti a rischio e la popolazione anziana, in particolare tra coloro con patologie preesistenti.
- Impatto sulle risorse sanitarie: le infezioni da RSV negli adulti a rischio e negli anziani possono mettere sotto pressione le risorse sanitarie, inclusi posti letto ospedalieri, unità di terapia intensiva e personale medico. La gestione dei casi gravi di RSV può richiedere cure specialistiche e interventi mirati, aggravando ulteriormente il carico sui sistemi sanitari.
- Costi economici: il peso economico delle infezioni da RSV negli adulti a rischio e negli anziani comprende le spese sanitarie associate a ricoveri ospedalieri, visite ambulatoriali, farmaci e perdita di produttività dovuta alla malattia.
- Strategie preventive: data la rilevanza del carico rappresentato dalle infezioni da RSV negli adulti a rischio e negli anziani, cresce l'interesse verso strategie preventive come la vaccinazione.

Le infezioni da RSV hanno un impatto significativo su salute e benessere di adulti a rischio e anziani, sottolineando l'importanza di prevenzione, diagnosi precoce e gestione adeguata. Nel 2024, anche il Board del Calendario per la Vita ha raccomandato l'uso del vaccino anti-RSV nei soggetti ≥75 anni, fascia in cui è frequente la coesistenza di cronicità. Per le stesse ragioni, ne raccomanda l'estensione anche ai soggetti ≥60 anni con patologie croniche.

La valutazione HTA dei vaccini, anche in fase di reassessment, è cruciale per:

- Aggiornare i dati di sicurezza e valutare nuove evidenze derivanti dall'estensione dell'indicazione;
- Verificare l'efficacia in nuovi scenari epidemiologici o in popolazioni target diverse;
- Valutare l'impatto del vaccino sugli esiti di salute pubblica;
- Rivedere la costo-efficacia alla luce di nuove stime economiche, tenendo conto sia della prospettiva del SSN che della società;
- Rafforzare la fiducia nei vaccini, affrontando in modo trasparente eventuali preoccupazioni su sicurezza ed efficacia.

In sintesi, la ri-valutazione tramite HTA consente di mantenere le raccomandazioni vaccinali aggiornate e fondate su evidenze, rispondendo in modo dinamico ai bisogni della popolazione e sostenendo decisioni sanitarie basate sul valore.

Bibliografia

- *Calabrò GE, et al. Health Technology Assessment del vaccino ricombinante adiuvato contro il virus respiratorio sinciziale (Arexvy®). J Prev Med Hyg. 2024 Jun 30;65(2 Suppl 1):E1-E159.*

Autore di riferimento: Giovanna Elisa Calabrò, alisacalabro@icloud.com

Costo-effcacia della fenfluramina come trattamento aggiuntivo nella gestione della Sindrome di Dravet: uno studio multicentrico real-world

Fornari C.[1], Cortesi P.A.[1], Boncristiano A.[2], Facchetti R.[1], Mantovani L.G.[1], Guerrini R.[2]

[1]Centro di Studio e Ricerca sulla Sanità Pubblica (CESP), Università degli Studi di Milano-Bicocca, Monza, Italia,
[2]Ospedale pediatrico A. Meyer IRCCS, Firenze, Italia

Obiettivi - La Sindrome di Dravet (SD) è una malattia rara con un elevato impatto clinico e socio-economico sui pazienti, sulla società e sul sistema sanitario. La recente approvazione di terapie come la fenfluramina (FFA) ha trasformato il panorama del trattamento, tuttavia i dati sulla loro costo-efficacia sono ancora scarsi. Questo studio, condotto in un contesto di real-world, valuta la costo-efficacia dell'aggiunta di FFA alle terapie esistenti per i pazienti con SD dalla prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale Italiano.

Metodologia - Questo studio osservazionale retrospettivo ha incluso 124 pazienti italiani con SD, arruolati in 9 centri italiani, che hanno iniziato FFA come trattamento aggiuntivo tra febbraio 2017 e agosto 2022 e che sono stati osservati fino a dicembre 2022 o al termine del trattamento con FFA. Sono stati raccolti dati sui trattamenti farmacologici, sull'utilizzo delle risorse sanitarie e sugli esiti principali – uso di farmaci di emergenza (proxy di un evento acuto), ospedalizzazioni ed episodi di Stato Epilettico (SE) – sia nel periodo post-FFA sia in un periodo pre-FFA corrispondente alla durata del follow-up di ciascun paziente (tempo mediano 2,9 anni). I costi sono stati calcolati moltiplicando le quantità delle risorse per i costi unitari. Sono stati determinati i tassi di esito e i costi annuali per paziente, con intervalli di confidenza (IC) al 95%, per ciascun esito in entrambi i periodi. Sono stati calcolati i rapporti incrementali di costo-e□cacia (ICER) con IC al 95% e le curve di accettabilità di costo-efficacia (CEAC) per ciascun esito analizzato.

Risultati - L'età mediana all'inizio della FFA era di 8,5 anni. I costi medi sanitari stimati erano di €5.740 (IC95% 2.896 - 9.930) per paziente-anno nel periodo pre-FFA. L'introduzione della FFA ha comportato un costo annuale di acquisizione del farmaco per paziente-anno di €16.476, ma ha ridotto significativamente la frequenza e i costi associati a ospedalizzazioni ed eventi acuti. Gli ICER stimativi erano pari a €2.187 per evitare l'utilizzo di un farmaco di emergenza, €12.935 per evitare un'ospedalizzazione e €17.301 per evitare un episodio di SE. Sebbene la FFA aumenti i costi di acquisizione del farmaco, questo svantaggio è parzialmente compensato dalla ridotta frequenza di eventi acuti e dai relativi costi sanitari. L'investimento necessario per ridurre gli eventi acuti è giustificabile data la giovane età dei pazienti con SD e il suo impatto sul sistema sanitario, sulle famiglie

e sui caregiver. Future valutazioni dovrebbero incorporare i costi indiretti e utilizzare la prospettiva della società per valutare appieno il valore della FFA.

Autore di riferimento: Carla Fornari, carla.fornari@unimib.it

Valutazione economico-organizzativa del vaccino mRESVIA contro il virus respiratorio sinciziale nella popolazione anziana italiana

Rumi F., Michele B. Di Brino E. Laurita R.

ALTEMS Advisory, spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - Il virus respiratorio sinciziale (RSV) rappresenta una causa significativa di morbidità e mortalità negli adulti di età pari o superiore a 60 anni, in particolare tra coloro con comorbidità. La recente approvazione di mRESVIA, un vaccino a base di mRNA contro il RSV, offre l'opportunità di ridurre il carico clinico ed economico del virus in questa popolazione. Al fine di supportare le decisioni di policy, è stata condotta una Valutazione delle Tecnologie Sanitarie (HTA) del vaccino mRESVIA, adottando un approccio multidisciplinare per valutarne l'efficacia clinica, la sicurezza, la costo-efficacia, l'impatto organizzativo e le implicazioni etiche all'interno del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) italiano.

Metodologia - È stata effettuata una revisione strutturata della letteratura per raccogliere evidenze sul carico clinico ed epidemiologico dell'RSV, nonché sull'efficacia, tollerabilità e profilo di sicurezza di mRESVIA. È stato sviluppato un modello decisionale statico dalla prospettiva del SSN italiano, confrontando due strategie: "vaccinazione con mRESVIA" versus "nessuna vaccinazione". Gli esiti considerati includevano: casi prevenuti, ricoveri evitati, QALY (anni di vita aggiustati per la qualità) guadagnati, rapporti incrementali di costo-efficacia (ICER) e valutazioni qualitative dell'impatto organizzativo e socio-etico.

Risultati - L'RSV rappresenta un carico rilevante nella popolazione anziana italiana, con un rischio aumentato di ospedalizzazione e mortalità tra gli over 75 anni; uno studio basato su modello ha stimato tassi di ospedalizzazione cardiorespiratoria attribuibili all'RSV pari a 1.064–1.527 per 100.000 persone/anno, e tassi di mortalità di 59–85 per 100.000 persone/anno in questa fascia di età. mRESVIA ha dimostrato un'elevata efficacia nella prevenzione delle malattie del tratto respiratorio inferiore associate all'RSV. I dati di sicurezza provenienti dagli studi clinici indicano una buona tollerabilità. Dal punto di vista economico, mRESVIA è risultato essere costo-efficace secondo le soglie di disponibilità a pagare comunemente accettate in Italia, in tutti gli scenari ipotizzati. L'ICER nel caso base è stato stimato in 16.441 € per QALY guadagnato. Dal punto di vista organizzativo, la vaccinazione contro l'RSV potrebbe essere integrata con i programmi esistenti contro l'influenza e il COVID-19 senza necessità di grandi investimenti infrastrutturali. Dal punto di vista etico,

l'ampliamento della prevenzione dell'RSV tramite mRESVIA promuove l'equità, dando priorità alla protezione dei soggetti più vulnerabili. Questa valutazione HTA supporta l'adozione di mRESVIA nella strategia vaccinale italiana per gli adulti più anziani. Il profilo clinico ed economico favorevole del vaccino, unito all'elevata fattibilità organizzativa e alle implicazioni in termini di equità, fornisce prove convincenti per orientare le politiche nazionali di immunizzazione.

Autore di riferimento: Roberta Laurita, roberta.laurita@unicatt.it

Co-progettazione di un framework concettuale per la valorizzazione degli outcome nei dispositivi medici: un approccio partecipativo multi-stakeholder

Rumi F., Di Brino E., Basile M.[1], De Chiara C.[1], Mottola R.[2]

[1]ALTEMS Advisory, spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma. [2] Area Sanità e Sociale, Regione Veneto

Obiettivi - Nel contesto dell'adozione dei dispositivi medici innovativi, l'assenza di criteri strutturati per la definizione del valore rappresenta una barriera all'implementazione di modelli di pricing condizionati ai risultati clinici.
Questo studio ha l'obiettivo di costruire un framework concettuale per l'applicazione di meccanismi di value-based pricing e managed entry agreements ai dispositivi medici, attraverso il coinvolgimento diretto di stakeholder istituzionali, clinici e associazioni pazienti.

Metodologia - Il framework è stato elaborato sulla base dell'adattamento dei modelli MEA utilizzati in ambito farmaceutico, articolandosi in cinque dimensioni chiave:
1) identificazione e definizione condivisa degli outcome clinici ed economici target;
2) valutazione del valore economico del beneficio;
3) struttura contrattuale (risk-sharing, payment-by-results);
4) meccanismi di monitoraggio;
5) gestione dei rischi e delle criticità operative.
A validare e raffinare il framework, sono stati condotti focus group multi-stakeholder, con il coinvolgimento di rappresentanti di Regioni, clinici esperti (neuro-urologia e medicina riabilitativa), e presidenti di associazioni nazionali di pazienti. Le sessioni hanno avuto l'obiettivo di raccogliere osservazioni operative, suggerimenti di adattamento e valutazioni di fattibilità.

Risultati - Il framework è stato considerato uno strumento utile a favorire un accesso più equo e trasparente alle tecnologie, premiando il valore reale misurato attraverso outcome rilevanti e condivisi. È emersa la necessità di identificare indicatori clinici facilmente monitorabili nella pratica, come la riduzione delle infezioni urinarie o l'aderenza all'uso di dispositivi di classe I.
Le principali criticità identificate riguardano: la variabilità d'uso tra pazienti e operatori, la limitata disponibilità di dati strutturati per i dispositivi di classe I, e la necessità di sistemi informativi interoperabili per il monitoraggio real-world.
Il coinvolgimento delle associazioni pazienti è stato ritenuto essenziale per assicurare che gli outcome selezionati riflettano i bisogni concreti dell'utenza e non solo criteri tecnico-clinici. I con-

tributi raccolti hanno rafforzato la validità operativa del framework, identificando leve organizzative e contrattuali per la sua applicabilità a livello regionale.

Autore di riferimento: Carlotta De Chiara, carlotta.dechiara@altemsadvisory.it

Costo-efficacia del cenobamato come alternativa terapeutica per il trattamento dell'epilessia focale in adulti con controllo inadeguato delle crisi

Paoletti M.[1], Ragonese A.[1], Marcellusi A.[2]

[1]Economic Evaluation and HTA (EEHTA-CEIS), Centre for Economic and International Studies, Faculty of Economics, University of Rome "Tor Vergata", Rome, Italy, [2]Department of pharmaceutical sciences (DISFARM), University of Milan, Milan, Italy

Obiettivi: - Lo scopo di questo studio è stato quello di valutare il rapporto costo-efficacia di cenobamato rispetto a brivaracetam, lacosamide, eslicarbazepina acetato e perampanel per il trattamento delle crisi ad insorgenza focale nei pazienti con epilessia.

Metodologia - L'analisi è stata condotta secondo la prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e considerando un orizzonte temporale lifetime.
I costi inclusi nell'analisi facevano riferimento al costo di acquisizione dei trattamenti per le crisi ad insorgenza focale, al costo di acquisizione della terapia di supporto, al costo delle risorse utilizzate per il monitoraggio della malattia e per la gestione delle crisi epilettiche.
È stato calcolato il rapporto incrementale costoefficacia (ICER) al fine di confrontare i QALYs (Quality-Adjusted Life Years) e i costi associati al trattamento con cenobamato rispetto a quelli associati alle altre opzioni terapeutiche.

Risultati - I risultati dell'analisi mostrano come, a fronte di un costo iniziale di acquisizione superiore rispetto ai comparatori, al trattamento con cenobamato possa corrispondere un risparmio a carico del SSN in termini di costi di gestione delle crisi, di monitoraggio e di costo di acquisizione di farmaci antiepilettici successivi pari a € 27.503 vs brivaracetam, € 17.882 vs lacosamide, € 42.140 vs eslicarbazepina acetato e €24.481 vs perampanel. Inoltre, al trattamento con cenobamato è risultato associato un maggior incremento della qualità della vita rispetto ai comparatori, poiché ad esso sono risultati associati un tasso di risposta (>50% di riduzione delle crisi) e un tasso di remissione (100% di riduzione delle crisi) superiori.
Questo ha portato a stimare, per il paziente in trattamento con cenobamato, un guadagno in termini di QALYs pari a 0,71 vs brivaracetam, 0,63 vs lacosamide, 0,95 rispetto a eslicarbazepina acetato e 0,68 vs perampanel.
L'analisi di costo efficacia ha evidenziato come il cenobamato possa risultare una strategia di trattamento dominante rispetto a tutte le alternative terapeutiche valutate, poiché ad esso risultano associati un incremento della qualità di vita e una riduzione dei costi totali a carico del SSN.
Tale risultato suggerisce come il cenobamato possa rappresentare una opzione di trattamento per

l'epilessia focale con controllo inadeguato delle crisi non solo più efficace rispetto alle alternative terapeutiche esistenti ma anche sostenibile da un punto di vista economico.

Autore di riferimento: Martina Paoletti, martina.paoletti@uniroma2.it

L'HTA a supporto della gestione dei finanziamenti del Fondo per lo sviluppo e la coesione (FSC) 2021-2027 per l'ammodernamento del parco tecnologico regionale

Perino G., Bellelli S., Rivoiro C., Romano V.., Scelfo B.

IRES Piemonte, Area Salute e Sviluppo del Sistema Sanitario, Centro di ricerca e innovazione in HTA e HTM (CeRHTAM)

Obiettivi - Il Fondo per lo sviluppo e la coesione (FSC) è, congiuntamente ai Fondi strutturali europei, lo strumento finanziario principale attraverso cui vengono attuate le politiche per lo sviluppo della coesione economica, sociale e territoriale e la rimozione degli squilibri economici e sociali, in stretta coerenza con le più importanti e recenti politiche nazionali, per il PNRR, l'Agenda Digitale, l'Agenda Urbana Europea, la Strategia Nazionale di Specializzazione Intelligente, la Strategia Nazionale Aree Interne e Strategia per lo Sviluppo sostenibile.
Gli obiettivi strategici individuati, a livello nazionale, per i fondi FSC 2021-2027 sono declinati in 12 Aree tematiche: tra queste, l'Area "Sociale e Salute" nella quale si prevede di "potenziare il parco tecnologico degli ospedali e dei presidi territoriali per garantire una più alta qualità di assistenza sanitaria, in ottica complementare al PNRR". La Regione Piemonte, attraverso il macro-progetto "Rilancio della sanità pubblica", ha stabilito di supportare interventi strutturali, comprensivi della modernizzazione dei sistemi e delle apparecchiature sanitarie, ritenuti urgenti e improcrastinabili. Per l'ammissione al finanziamento con tali Fondi, la Direzione Sanità ha stabilito un iter valutativo delle richieste nel quale la valutazione, secondo criteri HTA da parte dell'organismo competente regionale – la Cabina di regia regionale HTA – rappresentava criterio necessario, da possedere al momento della presentazione delle istanze.

Metodologia - La Regione Piemonte, a fronte dell'Accordo con il Governo sottoscritto in data 07/12/2023, per l'assegnazione ordinaria delle risorse del FSC, ai fini della realizzazione del macro-progetto di cui sopra, ha individuato 3 linee di intervento prioritarie. Tra questela Linea 10.02 "Strutture e attrezzature sanitarie", i progetti relativi all'"ammodernamento del parco tecnologico (apparecchiature/attrezzature sanitarie) e arredi", con una dotazione finanziaria complessiva di 47.696.321 euro. A seguito di ricognizione e analisi tecnica dei fabbisogni delle Aziende Pubbliche del Sistema Sanitario Regionale, sono stati selezionati i progetti presentati e avviati dopo luglio 2023, seppur programmati in data antecedente, e finanziabili se in "possesso di un preliminare parere autorizzativo dell'Health Tecnology Assessment regionale (HTA), di cui alla D.G.R. n.84-13579 del 16 marzo 2010 e D.G.R. n. 82-5513 del 3 agosto 2017, per l'acquisizione delle grandi e medie attrezzature".

Risultati - I lavori della Cabina di Regia regionale HTA, nell'anno 2024, hanno consentito di supportare gli obiettivi previsti dal macro-progetto "Rilancio della sanità pubblica", anche attraverso la valutazione con approccio HTA delle richieste di ammodernamento del parco tecnologico avanzate da tutte le Aziende Sanitarie Regionali e da Azienda Zero.
Oltre alla positiva valutazione preliminare degli aspetti di ricevibilità, ammissibilità e degli elementi tecnico/finanziari, l'iter complessivo ha previsto una fase interlocutoria durante la quale il referente della Cabina di Regia regionale di HTA, con il CeRTHAM dell'IRES Piemonte, ha incontrato le Aziende Sanitarie per verificare la completezza delle informazioni restituite, perfezionarle quando necessario, al fine di condurre una valutazione HTA.
A conclusione del percorso di valutazione sono state ritenute ammissibili al finanziamento con fondi FSC le richieste di ammodernamento del parco tecnologico presentate dalle Aziende Sanitarie Regionali con la dotazione finanziaria prevista.
Tale esperienza di gestione di finanziamento pubblico può considerarsi un esempio di programmazione mirata che, pur con interessanti margini di miglioramento, ha permesso di rispondere ai fabbisogni reali dei territori, grazie alla collaborazione diretta tra il decisore politico di livello regionale, la Cabina di Regia regionale HTA, le Aziende Sanitarie Regionali, con il contributo scientifico del CeRHTAM dell'IRES Piemonte.

Bibliografia

- *D.L. n. 124 del 19 settembre 2023*
- *D.G.R. n. 30-7794 del 27 novembre 2023*
- *D.G.R. n. 1-8791 del 18 giugno 2024*
- *D.D. n. 547 del 7 agosto 2024*

Autore di riferimento: Chiara Rivoiro, c.rivoiro@ires.piemonte.it

Analisi economica della Stimolazione del Nervo Vago nella DRE: approccio TD-ABC e Budget Impact Model per valutare la sostenibilità e supportare l'equità di accesso in Italia

Rumi F., Di Brino E., Basile M., Fortunato A., Sciomenta I., Calosci E.M., De Medio E., Valentini I., Raimondi C.

ALTEMS Advisory, spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - La Stimolazione del Nervo Vago (VNS) rappresenta una terapia adiuvante riconosciuta per l'epilessia farmacoresistente (DRE), con evidenze consolidate in termini di efficacia clinica, riduzione dell'utilizzo di risorse sanitarie e miglioramento della qualità della vita.
Tuttavia, l'adozione della VNS in Italia è limitata e disomogenea, a causa di barriere economiche e organizzative. Il presente studio mira a valutare la sostenibilità economica della VNS attraverso una doppia metodologia: l'analisi dei costi tramite approccio TD-ABC e la costruzione di un modello di Budget Impact (BIM), al fine di fornire evidenze a supporto di politiche sanitarie più uniformi e sostenibili.

Metodologia - Il progetto prevede due fasi principali:
1. Time-Driven Activity-Based Costing (TD-ABC): analisi dettagliata del percorso clinico del paziente sottoposto a VNS, con raccolta dati su attività pre-operatorie, intervento chirurgico, programmazione e follow-up. Verranno rilevati tempi, ruoli professionali coinvolti e costi associati, per stimare il costo reale per paziente.
2. Budget Impact Model (BIM): costruzione di un modello economico fondato sui dati di costo del TD-ABC e sull'efficacia clinica desunta dalla letteratura, con simulazione di scenari alternativi (uso attuale vs. accesso pieno ai pazienti eleggibili). Il modello adotterà la prospettiva del SSN e includerà analisi di sensibilità deterministiche.

Risultati attesi - L'analisi TD-ABC potrebbe evidenziare un divario significativo tra i costi effettivi sostenuti dalle strutture sanitarie per l'erogazione della VNS e i rimborsi attualmente previsti. Il modello di impatto sul budget potrà stimare, in scenari di maggiore accesso alla tecnologia, un miglioramento dell'efficienza allocativa e una riduzione dell'utilizzo di risorse ospedaliere, con potenziali risparmi per il SSN nel medio-lungo periodo.
È inoltre atteso un punto di pareggio economico entro due anni dall'impianto, come suggerito da modelli internazionali.
L'approccio integrato tra TD-ABC e BIM potrà offrire un quadro robusto per la valutazione della sostenibilità economica della VNS e supportare decisioni informate in ambito regolatorio e program-

matorio. I risultati finali del progetto saranno oggetto di confronto con esperti clinici e valutatori per identificare il grado di robustezza dei risultati ottenuti.

Autore di riferimento: Costanza Raimondi, costanza.raimondi@unicatt.it

Confronto metodologico tra modelli a transizioni di stato e microsimulazione paziente- specifica: riflessioni applicate al glioma a basso grado

Rumi F., Di Brino E., Basile M., Refolo P.

ALTEMS Advisory, spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - Il glioma a basso grado è una neoplasia cerebrale caratterizzata da evoluzione lenta, eterogeneità clinica marcata e gestione terapeutica altamente individualizzata.
Queste peculiarità pongono sfide rilevanti nella modellazione economica a supporto dell'Health Technology Assessment (HTA).
Il presente lavoro ha l'obiettivo di confrontare criticamente due approcci modellistici -uno basato su transizioni di stato (State Transition Model, STM) e uno fondato su simulazione a livello individuale (Patient-Level Simulation, PLS)- al fine di valutarne l'idoneità metodologica nella rappresentazione del percorso clinico e degli outcome in questo specifico contesto.

Metodologia - Sono stati analizzati due modelli economici sviluppati per descrivere il decorso della malattia e le sequenze terapeutiche nel glioma a basso grado:

- un modello STM a nove stati, con probabilità di transizione tempo-invarianti e struttura coorte-based;
- un modello PLS basato su microsimulazione, con transizioni tempo-dipendenti e tracciamento individuale di eventi e caratteristiche dei pazienti.

Il confronto si è focalizzato sulla capacità dei modelli di rappresentare la storia naturale della malattia, l'impatto delle strategie terapeutiche personalizzate, la gestione dell'eterogeneità clinica e l'integrazione dell'incertezza strutturale. Sono stati analizzati gli output principali (sopravvivenza, costi, qualità di vita), le assunzioni metodologiche sottostanti e la flessibilità di ciascun approccio rispetto a differenti esigenze decisionali.

Risultati - Il modello PLS ha dimostrato una maggiore capacità di catturare la complessità del decorso clinico del glioma a basso grado, consentendo di modellare sequenze terapeutiche flessibili, eterogeneità tra pazienti, tempi evento-specifici e storicità clinica. Al contrario, il modello STM, pur più semplice e trasparente, risulta limitato nella rappresentazione dinamica di eventi clinici e nella gestione della variabilità interindividuale. Il confronto ha evidenziato l'importanza, nei contesti oncologici a basso volume e alta complessità, di adottare strutture modellistiche capaci di riflettere in modo granulare i percorsi assistenziali reali. Inoltre, l'analisi ha rafforzato la rilevanza della va-

lutazione esplicita dell'incertezza strutturale come componente metodologica imprescindibile nelle valutazioni HTA, soprattutto in fase precoce o in presenza di tecnologie altamente innovative.

Autore di riferimento: Pietro Refolo, pietro.refolo@unicatt.it

Sviluppo di una valutazione HTA multidimensionale per l'introduzione di clesrovimab nella prevenzione dell'RSV pediatrico: approccio metodologico integrato

Rumi F.[1], Di Brino E.[1], Basile M.[1], Sacchini D.[1], Calabrò G.E.[2]

[1]ALTEMS Advisory, spin-off dell'Università Cattolica, Roma, Italia, [2]Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università degli Studi di Cassino e del Lazio

Obiettivi - L'infezione da Virus Respiratorio Sinciziale (RSV) rappresenta una delle principali cause di ospedalizzazione nei neonati e lattanti nei primi mesi di vita.
L'introduzione di clesrovimab, anticorpo monoclonale long-acting sviluppato per la profilassi stagionale dell'RSV in età pediatrica, apre nuove prospettive di prevenzione universalistica.
Il presente studio descrive l'approccio metodologico adottato per la strutturazione di una valutazione multidimensionale di Health Technology Assessment (HTA), finalizzata a supportare decisioni informate sull'introduzione della tecnologia in ambito nazionale.

Metodologia - Il progetto si basa sul framework Core Model di EUnetHTA, che integra nove domini di valutazione, dalla dimensione clinica a quella etico-organizzativa. La metodologia ha previsto:

- una revisione della letteratura scientifica su burden di malattia, efficacia e sicurezza del principio attivo clesrovimab;
- l'adattamento di un modello decisionale di costo-efficacia (CEM) e di un modello di impatto economico (BIM) al contesto del SSN italiano;
- la conduzione di due focus group multi-stakeholder con clinici, rappresentanti istituzionali e associazioni pazienti, per la validazione di ipotesi modellistiche e la selezione degli outcome rilevanti.

L'analisi è condotta con prospettiva del SSN e orizzonte stagionale, considerando i costi diretti sanitari, i QALY guadagnati e l'organizzazione dei servizi coinvolti nella somministrazione.

Risultati - Il modello di costo-efficacia permetterà di stimare l'ICER per clesrovimab rispetto all'assenza di profilassi sistematica, valutando l'impatto sull'incidenza di RSV grave e sulle ospedalizzazioni pediatriche.
I dati di efficacia suggeriscono un effetto protettivo significativo nei primi mesi di vita, in linea con le evidenze registrative.
La valutazione della sicurezza mostra un profilo favorevole con eventi avversi lievi e autolimitanti.
L'impatto organizzativo sarà analizzato in relazione all'integrazione della somministrazione sta-

gionale nei percorsi vaccinali esistenti, mentre il dominio etico-sociale esplorerà la rilevanza della profilassi per la riduzione delle disuguaglianze e il miglioramento dell'accesso equo alle cure.

Autore di riferimento: Dario Sacchini, dario.sacchini@unicatt.it

7

HTA NEI SETTING DI CURA, PERCORSI, PROCESSI E MODELLI ORGANIZZATIVI

Lebrikizumab per il trattamento della dermatite atopica grave: analisi di budget impact nel contesto italiano

Antonazzo I.C.[1,2], Girolomoni G.[3], Cataldo P.[4], Langella R.[5], Ottobrino V.[6], Mantovani L.G.[1,2], Cortesi P.A,[1,2]

[1]Centro studi Dipartimentale in Sanità Pubblica (CESP), Università degli studi di MilanoBicocca, Monza, Italia, [2]Laboratorio di Sanità Pubblica, IRCCS Auxologico, Milano, Italia, [3]Dipartimento di Medicina, unità di Dermatologia e Venereologia, Università di Verona, Verona, Italia, [4]Dipartimento di Medicina e Scienza della Salute "Vincenzo Tiberio", Università del Molise, Campobasso, Italia, [5]Agenzia di Tutela della Salute di Milano (ATS-Milano), Milano, Italia, [6]Almirall S.p.A., Milano, Italia.

Obiettivi - Lebrikizumab è un nuovo anticorpo monoclonale per il trattamento dei soggetti con dermatite atopica (DA), che agisce legandosi all'interleuchina-13 inibendone i suoi effetti biologici (es. formazione complesso eterodimero IL13Rα/IL-4Rα e successiva segnalazione). Le linee guida più recenti raccomandano l'uso di terapie sistemiche avanzate nei soggetti con DA che non rispondono alle terapie topiche quali emollienti, corticosteroidi ed altri. In Italia, lebrikizumab è stato recentemente rimborsato per il trattamento della DA grave, secondo i criteri dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (soggetti con età ≥12 anni ed EASI≥24). Tenuto conto del notevole impatto economico e sociale associato alla DA, la disponibilità di nuove terapie efficaci e sicure potrebbero contribuire a migliorare la qualità di vita dei pazienti e ridurre la pressione economica sui sistemi sanitari. Ad oggi, seppure diversi studi registrativi abbiano evidenziato il favorevole profilo beneficio-rischio di lebrikizumab, sono ancora assenti dati sul suo impatto economico. Per tale motivo, il presente studio ha avuto lo scopo di valutare l'impatto sul budget di lebrikizumab quale trattamento per i pazienti con DA grave nel contesto italiano.

Metodologia - È stata condotta un'analisi d'impatto sul budget (budget impact analysis-BIA), considerando un orizzonte temporale di 3 anni ed adottando il punto di vista del Sistema Sanitario Nazionale italiano. Partendo dalla popolazione italiana ≥12 anni, grazie ai dati di letteratura e ricerche di mercato è stato stimato il numero di soggetti con DA grave eleggibile al trattamento con anticorpi monoclonali. Il modello confrontava uno scenario attuale in cui i pazienti con DA grave erano trattati con le terapie attualmente disponibili, dupilumab e tralokinumab, (scenario A) con uno scenario alternativo (scenario B) in cui è stato ipotizzato un aumento progressivo dell'utilizzo di lebrikizumab (dal 8% nel primo anno al 25% nel terzo anno). I dati clinici utilizzati per popolare il modello (es. efficacia dei trattamenti analizzati, occorrenza e modalità di gestione dei flare, e occorrenza di reazioni avverse durante il trattamento) sono stati reperiti dalla letteratura e dagli studi registrativi, e validati da un gruppo di esperti nella gestione della DA. Per la valorizzazione economica delle risorse sono state considerate le seguenti voci di costo: 1) trattamenti farmacologici, 2) monitoraggio dei pazienti, 3) gestione dei flare e 4) gestione degli eventi avversi. È stata condotta un'analisi di sensibilità ad una via (one-way analysis) per testare la robustezza del modello.

Resultati - Nei 3 anni simulati sono stati stimati 14.973 soggetti con DA nel primo anno, 18.716 nel secondo e 23.395 nel terzo anno. Nello scenario B, i pazienti trattati con lebrikizumab aumentavano da 1.198 nel primo anno a 5.849 nel terzo. Rispetto a quanto osservato nello scenario A, nello scenario B si è osservata una riduzione dell'uso di tralokizumab in favore di lebrikizumab. L'introduzione di lebrikizumab è stato associato ad un risparmio complessivo nel periodo simulato di €3,3 milioni, con una spesa iniziale di €786.000 nel primo anno a cui è seguito un risparmio pari a -€1,7 milioni nel secondo anno e -€2,4 milioni nel terzo anno. L'introduzione di lebrikizumab ha comportato una riduzione della spesa farmaceutica e somministrazione dei trattamenti pari a -€2,8 milioni nei tre anni simulati con una variazione da €814,241 durante il primo anno a -€2.1 milioni nel terzo anno. Dalla one-way sensitivity analisi è emerso che i fattori che maggiormente influenzavano la stima erano il numero di pazienti eleggibili al trattamento, il costo e la frequenza delle reazioni nel sito di iniezione.
In conclusione, i risultati suggeriscono che l'uso di lebrikizumab comporta un risparmio economico per il sistema sanitario italiano. Data la scarsità di dati economici disponibili relativi al presente farmaco, sono auspicabili ulteriori studi per valutarne l'impatto economico in contesti sanitari differenti.

Autore di riferimento: Ippazio Antonazzo, ippazio.antonazzo@unimib.it

Centro DBS Pavia: Efficientamento dei percorsi e dei processi inter e intra ospedalieri per l'ottimizzazione della gestione delle risorse nel trattamento del Parkinson con Deep Brain Stimulation (DBS)

Baldiraghi C.[1], Pacchetti C.[2], Pisano P.[1], Servello D.[2], Zangaglia R.[2], Gerletti M., Bivona R.[1], Palmieri A.[1], Parussini M.1, Accardi F.3, Chiapparini L.[1], Spena G.[1], Locatelli A.[1], Muzzi A.[1], Ambrosio A.[1], Bosone D.[2], Lago P.[1]

[1]Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo, [2]Fondazione IRCCS Mondino, [3]HealthCare Solution & Partnerships Boston Scientific

Obiettivi - Pavia si candida a diventare uno dei più importanti poli sanitari per l'impianto di sistemi Deep Brain Stimulation (DBS) di ultima generazione per il trattamento della malattia di Parkinson. Il Centro DBS Pavia, promosso dalla Fondazione IRCCS Mondino e Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo, le cui attività operative sono facilitate dalla SC Ingegneria Clinica Aziendale di quest'ultima, si inserisce nel contesto del Dipartimento funzionale Interaziendale sperimentale Neuroscienze (DIN).
Il progetto ha come focus operativo la riduzione di inefficienze organizzative inter e intra-aziendali, ottimizzando i processi a supporto in tutte le fasi, l'innovazione dei processi della presa in carico dei pazienti attraverso il consolidamento della rete referral e l'efficientamento del percorso chirurgico, il tutto seguendo la metodologia Lean&SixSigma accanto a valutazioni Health Technology Assessment (HTA).

Metodologia - Nelle fasi più complicate della malattia di Parkinson è possibile ricorrere a terapie più avanzate, sicure ed efficaci, come l'impianto DBS. Il trattamento consiste nell'impiantare un neuro-stimolatore, che attraverso sottili elettrodi posizionati nei nuclei profondi del cervello genera impulsi capaci di correggere la comunicazione cortico-sottocorticale dei circuiti neurali motori malfunzionanti, migliorando i sintomi della malattia e la qualità di vita delle persone.
I candidati all'intervento, selezionati tra i pazienti afferenti presso la SC Parkinson e Disordini del Movimento del Mondino, sono inviati presso la SC Neurochirurgia del San Matteo e sottoposti alla procedura chirurgica. Il paziente operato al San Matteo viene dimesso e trasferito presso il Mondino per i follow-up di controllo periodici.
Per definire il contesto attuale "as is", sono stati condotti dei colloqui tecnici con 15 stakeholders coinvolti nelle varie fasi del processo a diversi livelli, consentendo l'estrazione di Voice Of Customer (VOC). Le VOC sono una rappresentazione delle esigenze comuni e dei messaggi principali trasmessi dai vari stakeholders. I dati ottenuti nei colloqui tecnici sono stati utilizzati per svolgere anche l'analisi scoring tool, realizzando così un approfondimento multidisciplinare e multidimensionale.
La progettualità prevede l'adozione di un approccio HTA per valutare gli effetti potenziali e reali

dell'introduzione di azioni correttive, l'implementazione di esse e il successivo monitoraggio.

Risultati - I risultati ad oggi conseguiti consistono nella definizione delle VOC, con la relativa esplicazione dei punti di forza e delle potenziali aree di miglioramento. Lo scoring tool ha permesso di illustrare graficamente le sette aree analizzate durante i colloqui tecnici: selezione del paziente, assetto organizzativo, gestione dei referral, coinvolgimento del paziente, gestione pre e post operatoria, gestione perioperatoria, situazione finanziaria.
È stata elaborata la mappatura di processo su vari livelli di dettaglio, a partire da una mappatura macro si è arrivati a diagrammi di flusso che descrivessero con dettaglio tutte le fasi del processo.
La definizione del contesto ha permesso di individuare gli obiettivi su cui si concentrerà la progettualità, che sono risultati essere l'ottimizzazione del percorso chirurgico DBS, la presa in carico di pazienti Parkinson con una gestione ottimale dei livelli ambulatoriali e il rafforzamento della rete referral, la formazione del personale, l'efficientamento dei percorsi inter e intra-ospedalieri, l'implementazione di un PDTA inerente l'intero processo e la valutazione Value Based Medicine.
Per ogni obiettivo sono definiti dei gruppi di lavoro, fondati sulla multidisciplinarità e sulla multiprofessionalità, grazie al coinvolgimento di ingegneri, neurologi, neurochirurghi, anestesisti, radiologi e infermieri.
Partendo dall'individuazione delle principali cause radice, l'attività si è focalizzata come primo obiettivo sull'ottimizzazione del percorso chirurgico, aggredendo tre specifiche cause: l'inadeguatezza e ripetizione delle immagini diagnostiche acquisite tramite Risonanza Magnetica il giorno prima dell'impianto, la non visualizzazione in sala operatoria delle immagini diagnostiche acquisite tramite TC e l'assenza di un protocollo operativo comune tra le varie figure coinvolte in sala operatoria.
Nell'ambito di ottimizzazione del percorso chirurgico DBS è stata definita una prima CTQ, valutata con i dati storici a partire da Marzo 2023. Il lavoro di ottimizzazione continuerà nel corso del 2025, con l'obiettivo di aggredire ulteriori cause radice, consolidando in questo modo il PDTA interaziendale strategico desiderato dal team di progetto.
Risulta evidente come sia adottato un approccio HTA nella valutazione non solo delle tecnologie, effettuando considerazioni tecnico-economiche anche relativamente alla scelta del dispositivo impiantabile, ma anche nel setting del processo e del percorso inter e intra-ospedaliero.

Autore di riferimento: Chiara Baldiraghi, c.baldiraghi@smatteo.pv.it

DEVELOPING A LIFE-CYCLE-BASED HTA FRAMEWORK FOR AI AND DIGITAL DIAGNOSTIC TECHNOLOGIES IN RARE PEDIATRIC MELANOMA: THE MELCAYA APPROACH

Battaglia L.[1], Di Santo G.[1], Marchetti M.[1], Lo Scalzo A.[1], Refolo P.[2,3], Sacchini D.[2,3], Raimondi C.[2,3], Fibla-Reixachs J.[4], Sampietro-Colom L.[4]

[1] National Agency for Regional Health Services (AGENAS), 00187 Rome, Italy, [2]Department of Health Care Surveillance and Bioethics, Section of Bioethics and Medical Humanities, Università Cattolica del Sacro Cuore, 00168 Rome, Italy, [3]Research Centre for Clinical Bioethics & Medical Humanities, Università Cattolica del Sacro Cuore, 00168 Rome, Italy, [4]Fundació de Recerca Clínic Barcelona, Institut d'Investigacions Biomèdiques August Pi i Sunyer (FRCB-IDIBAPS), 08036 Barcelona, Catalonia, Spain

Objectives - This study aims to design and validate a tailored Health Technology Assessment (HTA) framework for the evaluation of Digital Health Technologies (DHTs) developed within the MELCAYA EU project for the secondary prevention and diagnosis of melanoma in Children, Adolescents, and Young Adults (CAYA). The framework supports a life-cycle-based assessment aligned with the maturity level of each technology, including stand- alone AI tools and connected diagnostic devices, considering different stages of technology maturity/life-cycle stages.

Methodology - We followed a mixed-methods approach using triangulation of different data sources to ensure relevance and adaptability in the rare disease context. The process began with a scoping literature review and background analysis of MELCAYA technologies, followed by semi-structured interviews with HTA experts and clinicians identified via expert networks and snowball sampling. A supplementary documentary search expanded the scope to cover HTA frameworks for broader categories of DHTs. These insights informed the draft MELCAYA framework, which was designed to reflect the specificities of the MELCAYA technologies and their developmental context. The draft framework was then proof-tested with MELCAYA developers (WP5 and WP6) using structured checklists and interviews at two key development stages: pilot studies (Innovation Maturity Level (IML) 4–7) and market readiness (IML 8–10). Finally, the framework was refined, and a transferability tool was developed to support its application beyond MELCAYA technologies.

Results - The literature review yielded only three HTA report addressing rare diseases and digital diagnostics, confirming a significant gap. These were mostly focused on advanced genomic technologies (e.g., NGS, RT- PCR), highlighting challenges in clinical and economic evidence generation, ELSI domains, and regulatory applicability in rare settings.
Insights from Key Opinion Leaders underscored the need to adapt HTA methods to the realities of rare disease contexts. Challenges identified included diffculty in applying conventional clinical trial designs, economic modelling limitations due to small populations, and ethical tensions between innovation and equity. Experts emphasized the importance of aligning the assessment with the technology's maturity

and context-specific feasibility of evidence collection.
Based on this input, a preliminary MELCAYA HTA framework was drafted and then subjected to proof-testing. This phase involved AI and connected-device developers from MELCAYA. Their feedback, captured via self- administered checklists and interviews, revealed key feasibility barriers in early stages (IML 4–7), including immature safety data, incomplete economic models, and limited usability information. In contrast, at IML 8– 10, most domains could be robustly addressed, although organizational and legal dimensions remained complex. The feedback was used to refine the framework's domains and highlights which were realistically addressable at different maturity levels.
The resulting MELCAYA HTA framework incorporates both clinical and non-clinical domains and is sensitive to technology-specific issues. It differentiates between AI and connected devices and provides flexibility depending on Innovation Maturity Level.
A transferability tool was developed to operationalize the framework and enable its application to other DHTs for rare diseases. Built as a dual-track matrix aligned with IML stages, the tool maps assessment domains to early development (IML 4–7) and market-readiness (IML 8–10), allowing structured planning for evidence generation. It supports users in identifying domain relevance at each maturity phase, while distinguishing between features unique to AI and those generalizable to digital diagnostics. The tool ensures broader use of the MELCAYA framework across rare oncology technologies and supports informed, stage-appropriate HTA practices.

References

- *O'Rourke B. et al., 2020*
- *de Haan M. et al., 2021*
- *Refolo P. et al., 2025*
- *Mak S. et al., 2022*
- *Bélanger S. et al., 2022–2023*
- *Hamidi V. et al., 2022*
- *Garbe C. et al., 2022*
- *Munn P. et al., 2018*

Autore di riferimento: Livio Battaglia, battaglia@agenas.it

Continuous vital signs monitoring with wearable device in perioperative setting: a pilot study

Bignami E.G., Marconi F., Domenichetti T., Guarnieri M., Panizzi M., Bellini V.

Anesthesiology, Critical Care and Pain Medicine Division, Department of Medicine and Surgery, University of Parma, Viale Gramsci 14, 43126 Parma, Italy

Objectives - Monitoring vital sign trends, rather than evaluating isolated alarms from wearable devices based on clinician established thresholds, can enhance decision-making efficiency by fostering a proactive rather than reactive approach: to reach the goal a portable and user-friendly continuous monitor is needed[1]. The cosinuss° c-med° alpha is a class IIa MDR in-ear wearable that continuously monitors core temperature, heart rate, and oxygen saturation. Integrated with digital platforms, it enables remote monitoring, early deterioration detection, and improved outcomes in hospital and home care[2,3].
The main objective of the study was to evaluate the signal quality of the device across different perioperative settings, to assess its safe integration into the Italian perioperative context. Methodology
This is a pilot study conducted with a multidisciplinary HTA perspective. Participants were physicians and medical residents in anaesthesia and intensive care who provided informed consent for the use of anonymized clinical data. Continuous monitoring of vital signs was performed using the wearable in-ear sensors across three perioperative hospital contexts: intra-hospital transport via stretcher (T, ~10 minutes), overnight monitoring (N, ≥4 hours), and during clinical activity in the operating room (OR, ~1 hour). The device generates real-time measurements of the Quality Index (QI) and Perfusion Index (PI), which were analysed using boxplots as indicators of signal quality and data reliability. The QI shows the quality of the photoplethysmogram signal (PPG) relating to the calculation of heart rate values. It should always be above 30 to ensure valuable calculated data. The PI can be used to assess the quality of the PPG signal relating to the calculation of SpO2 values; in cases of low PI, different sensor sizes may be required for correct ear canal positioning. Additionally, we also included a preliminary cost-estimate analysis to explore the potential economic impact and sustainability of integrating this technology into perioperative care pathways.

Results - The boxplot analysis shows that the QI was generally above the reliability threshold (QI > 30) across most recording conditions. Two recordings in the OR showed significantly lower signal quality values, but this was compatible with an incorrect sensor size choice. In the remaining 13 sessions the QI remained above the value of 50 (good quality) for 75% of the entire recording time, with median values above 60. The PI showed greater variability, with more consistent and reliable values

(>0.2) observed during continuous monitoring at night. In 11 of 15 sessions, the PI remained above 0.3 (good quality) for more than 75% of the time. While PI was highest during transport sessions, all conditions yielded generally reliable PI values. However, due to individual physiological variability, direct comparisons across sessions and participants should be interpreted with caution. No adverse events were reported. The device demonstrates the ability to provide continuous and reliable data on key vital signs, even in complex clinical settings. This suggests a concrete potential for optimizing perioperative pathways and enabling early detection of clinical deterioration. Preliminary cost analysis indicates also promising sustainability. The absence of disposable accessories and the possibility of full sanitization help reduce recurring expenses and environmental impact, potentially offering savings compared to traditional technologies requiring consumables. Overall, both indices support the feasibility of using wearable sensors for vital sign monitoring in diverse clinical settings. Cosinuss° c-med° alpha signal quality was satisfactory in perioperative settings in hospital. Nevertheless, it also performed well in the other settings in which it was used, suggesting the potential for broader application. The adoption of the in-ear monitor, combined with its dedicated web platform, supports remote supervision, early intervention and reduces the need for constant presence at the patient's bedside. Its versatility can improve patient mobility, promote earlier discharge from intensive care units and optimize bed management. The device proves valuable in perioperative care, intensive care units and home monitoring, encouraging the transition to more efficient and flexible monitoring models.

References

- *1Bignami EG et al. Wearable devices as part of postoperative early warning score systems: a scoping review. Journal of Clinical Monitoring and Computing (2025) 39:233–244*
- *2 Zellhuber, Incinur et al. Transforming in-clinic post-operative and intermediate care with cosinuss°. Computational and Structural Biotechnology Journal, 2024, Volume 24, 630 – 638*
- *3 Catherina AB Bubb et al. "Wearable in-ear pulse oximetry validly measures oxygen saturation between 70% and 100%: A prospective agreement study". In: Digital Health 9 (2023), p. 20552076231211169.*

Autore di riferimento: Elena Giovanna Bignami, elenagiovanna.bignami@unipr.it

Impiego di Daridorexant nella gestione dell'insonnia in pazienti neuro oncologici. Modificazione del paradigma di gestione dell'insonnia nei pazienti neuro-oncologici?

Botturi A.[1], A. Pasquariello[2], C. Lucchiari C.[3]

[1]SC Neuro-oncologia, Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano, [2]Responsabile SS Farmacia Ospedaliera) Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta, Milano, [3]Dipartimento di Filosofia, Università degli Studi di Milano

L'insonnia è il disturbo del sonno tra i più comuni ed interessa fino al 30% della popolazione generale.[1] Circa il 95% dei pazienti affetti da cancro presenta un disturbo del sonno nelle diverse fasi della malattia oncologica. Anche i caregiver ne sono affetti (40-70%).[2]
In ambito neuro oncologico vengono riportate percentuali tra il 30 e l'80 %.[3]
Come è noto il disturbo può ridurre la qualità della vita (QoL) ed è in grado di esacerbare le comorbidità in ambito psicologico (ansia e depressione), cognitivo ed fattore di rischio per altre patologie neurologiche ed internistiche.
Il Daridorexant è un antagonista del recettore dell'Orexina che agisce inibendo l'eccessivo arousal cerebrale, diversamente dai sedativi ipnotici, approvato dall'European Medicines Agency (EMA)[4] nel 2022.

Obiettivi - Valutazione della letteratura inerente all'utilizzo di Daridorexant nella gestione dell'insonnia in pazienti neuro oncologici e/o fragili.

Materiali - Interrogazione banche dati Medline (Pubmed). Parole chiave.

Metodi - P.I.C.O. Valutazione dell'appropriatezza degli articoli sulla base di titoli e abstract in aderenza ai criteri di inclusione e di esclusione. Creazione di una tabella di estrazione dati e sintesi dei risultati. Patient and Problem: insomnia; sleep disorder, oncology; neuro oncology; unhealthy aging. Intervention: Daridorexant. Comparison: hypntotics drug; benzodiazepin; sedatives Outcome: improving sleep.

Risultati - Risultati preliminari dello studio non hanno evidenziato studi clinici specifici.

Discussione - Il Daridorexant si è rivelato in breve tempo, dalla data della sua immissione sul mercato, affidabile per le popolazioni definite "unhealthy" e con malattie neurologiche (Alzheimer e Parkinson). [4]Potrebbe ricoprire una ruolo specifico nella ricerca della medicina di precisione nei pazienti neuro oncologici rispondendo a specifiche esigenze tra cui: pazienti con politerapia e par-

tecipanti a trial clinici in cui è fondamentale l'assenza di interferenza farmacologica.

Conclusioni - Nonostante non vi sia una letteratura specifica riguardante paziente neuro oncologici, vi sono le premesse per un eventuale cambio di paradigma nella gestione dei disturbi del ritmo sonno veglia a breve e medio termine sia in ambito ospedaliero (in patient) sia domiciliare (out patient).
Sono necessarie rivalutazioni periodiche della letteratura ed esecuzione di trial clinici mirati.

Bibliografia

- *1 Wang Qi et al. Clinical safety of daridorexant in insomnia treatment: Analysis of FDA adverse event reports.*
- *J Affect Disord. . 2024 Oct 1:362:552-559. doi: 10.1016/j.jad.2024.07.034. Epub 2024 Jul 15.*
- *2 Grassi L et al. Insomnia in adult patients with cancer: ESMO Clinical Practice Guideline. Practice Guideline ESMO Open. 2023 Dec;8(6):102047. doi: 10.1016/j.esmoop.2023.102047. Epub 2023 Nov 21.*
- *3 Jason A Martin et al. Prevalence and management of sleep disturbance in adults with primary brain tumours and their caregivers: a systematic review. J Neurooncol . 2023 Mar;162(1):25-44. doi: 10.1007/s11060-023-04270-1. Epub 2023 Mar 2.*
- *4 Kron J O-Z J et al. Orexin Receptor Antagonism: Normalizing Sleep Architecture in Old Age and Disease. Review Annu Rev Pharmacol Toxicol. . 2024 Jan 23:64:359-386. doi: 10.1146/annurevpharmtox-040323-031929. Epub 2023 Sep 14.*

Autore di riferimento: Andrea Botturi, andrea.botturi@istituto-besta.it

A comparative analysis in medicines coverage decisions in four European countries and factors influencing the divergences

Cangini A.[1], Trotta F.[2], Di Filippo A.[3]

[1]Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma, [2]Agenzia Italiana del Farmaco, [3]Università la Sapienza, Scuola di specializzazione in Statistica Sanitaria e Biometria

In the last two decades several e orts were made in fostering HTA collaboration and in methodology harmonization at European level. Nevertheless, the HTA landscape in Europe remains quite heterogeneous, particularly in terms of organizational structure, methods and approaches used to handle the evidence uncertainty[1,2]. This resulted in divergent coverage decisions and di erent level of access[3,4]. The aim of the present work was to compare the medicines availability rate in Italy, France, UK and Netherlands, to analyze the agreement level in coverage decisions and to investigate if contrast decisions are associated with the quality of evidence.

Methods - Medicines authorized by EMA in 2020 and 2021 were selected. Generics, biosimilars, vaccines, oral contraceptives and active ingredients already authorized were excluded. First coverage decisions regarding the first authorized indications were extracted for Italy, France, Netherlands and England. Coverage decisions were categorized as follows:(a) “list” (L), where the medicine has been accepted as applied for; (b) “list with criteria” (LWC), where the medicine has been accepted with restrictions; and (c) “do no list” (DNL), where the application has been rejected. For each country availability rate was calculated; it was calculated as the proportion of drug-indication pairs categorised as “LIST” and “List with criteria” against the total number of drug-indication pairs authorized by EMA. In order to measure accordance between national coverage decisions k scores will be used. For each drug-indication pair the quality of evidence was assessed and the score ranged between 0 (very low quality) and 5 (high quality of evidence). The association between level of agreement in coverage decisions and quality of evidence was assessed.

Results - Overall, 79 active ingredients and 92 drug-indication pairs were identified. The higher number of medicines belonged to ATC level L (Antineoplastic and Immunomodulating Agents; 34 out of 79; 43%), followed by J (Antiinfectives for Systemic Use; 12 out of 79; 15%) and C (Cardiovascular System 6 out of 79; 8%). 29 medicines (35.4%) were designed as an orphan medicine, 3 medicines were approved under exceptional circumstances and 10 medicines obtained a conditional approval. Italy assessed the highest number of drug-indication pairs (88; 96%), followed by Netherlands (84; 91%), France (83;

90%) and England (66; 72%). The availability rate was 80.4%, 72.8%, 68.5% and 62.0% respectively in Italy, France, Netherlands and England.

Discussion - Although several e orts were made in the HTA methodology harmonization worldwide, di erences in in coverage decisions and availability still remain. Understanding the di erent determinants for pricing and reimbursement decisions is paramount for the reproducibility of decisions, while ensuring the transparency of the decision-making process, also in view of the application of the European HTA Regulation.

References

- *1 Fernandez J, de Boissieu P, Galbraith M. Health Technology Assessment in Europe: a comparison of organizations and introduction to the European regulation. Presse Med. 2025 Apr 7:104282.*
- *2 Fontrier AM, Visintin E, Kanavos P. Similarities and Di erences in Health Technology Assessment Systems and Implications for Coverage Decisions: Evidence from 32 Countries. Pharmacoecon Open. 2022 May;6(3):315-328.*
- *3 Allen N (b), Liberti L, Walker SR, Salek S. A Comparison of Reimbursement Recommendations by European HTA Agencies: Is There Opportunity for Further Alignment? Front Pharmacol. 2017 Jun 30;8:384.*
- *4 EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey https://efpia.eu/media/oeganukm/efpia-patientswait-indicator-2024-final-110425.pdf*

Autore di riferimento: Agnese Cangini, agnese.cangini@unicatt.it

Valutazione HTA del test fenotipico rapido ASTar nel paziente critico con sepsi rispetto al gold standard

Castrofino A.[1], Baletti T.[2], Merli M.[3], Tedesco D.[1], Casati P.[1], Vismara C.[4], Monti G.[5], Colombo P.[1]

[1]Qualità e Rischio Clinico, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milano, Italia; [2]Radiologia, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milano, Italia; [3]Malattie Infettive, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milano, Italia; [4]Microbiologia Attività Diagnostica, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milano, Italia; [5]Anestesia e Rianimazione Dei Trapianti, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milano, Italia

Obiettivi - La sepsi, definita come una disfunzione d'organo pericolosa per la vita causata da una risposta disregolata dell'ospite ad un'infezione, rappresenta una condizione clinica frequente, di difficile gestione e
caratterizzata da un'elevata letalità. La sepsi è stata identificata dai rapporti nazionali come una delle principali cause di morte evitabili in ospedale con tassi di mortalità che variano dal 20 al 70%. [1]
Il gold standard per la diagnosi e trattamento del paziente con sepsi è l'emocoltura seguita da esame colturale e antibiogramma di primo livello, per un totale di 24-72 ore dalla positivizzazione dell'emocoltura per l'ottenimento dei valori di MIC* e l'impostazione di una terapia antibiotica mirata. Nel caso di pazienti critici, il percorso prevede invece l'esecuzione di film array seguito da antibiogramma di primo livello, per un totale di circa 19 ore.
La sepsi è una patologia tempo-dipendente, il cui esito clinico è strettamente correlato con la rapidità del suo riconoscimento e la tempestività dell'avvio di una terapia mirata. È stato dimostrato che ogni ora di ritardo nell'instaurazione della corretta terapia antimicrobica nella sepsi comporta un incremento della mortalità del 9%. [2]
Il sistema ASTar di Q-linea mira a ridurre il tempo necessario per fornire i risultati dei test di sensibilità agli antibiotici a circa 6 ore. ASTar è un dispositivo medico diagnostico in vitro per la determinazione fenotipica quantitativa della sensibilità agli antimicrobici. È uno strumento completamente automatizzato che utilizza un sistema con imaging microscopico time-lapse ad alta velocità in grado di fornire un antibiogramma con valori di MIC in 6 ore dalla positività dell'emocoltura. Questa tecnologia consente la refertazione precoce degli antibiogrammi gram negativi monomicrobici, permettendo di impostare una terapia antibiotica mirata in modo tempestivo.
L'obiettivo della presente valutazione HTA è quello di analizzare il sistema ASTar di Q-linea paragonandolo allo standard di cura attuale nei pazienti critici affetti da sepsi o shock settico.
Minimum Inhibitory Concentration*, la più bassa concentrazione di antibiotico che inibisce la crescita batterica in vitro

Metodologia - Per valutare il dispositivo medico ASTar abbiamo deciso di condurre una valutazione utilizzando la metodologia HTA.

La popolazione di riferimento è stata identificata nei pazienti critici con sepsi o shock settico ricoverati presso l'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda che eseguono emocoltura con esito positivo seguita da film array con esito positivo per batteri gram negativi monomicrobici.
La definizione di paziente critico è stata identificata con i seguenti criteri:
1) Sepsi o shock settico, oppure
2) Febbre di sospetta natura infettiva con nota colonizzazione da enterobatteri/P. aeruginosa/A. baumannii resistenti ai carbapenemi nei 6 mesi precedenti, oppure
3) Febbre di sospetta natura infettiva in pazienti che hanno ricevuto terapia antibiotica nei 7 giorni antecedenti.

I pazienti verranno reclutati a partire da giugno 2025 e l'analisi proseguirà fino all'esaurimento dei 200 kit/paziente a disposizione. La tecnologia verrà confrontata con l'attuale standard of care per i pazienti critici affetti da sepsi, ovvero emocoltura seguita da film array, in pazienti con esito positivo per gram negativi monomicrobici. I dati per la popolazione di confronto verranno estratti dal database di ASST GOM Niguarda in riferimento al 2024.
L'outcome primario della valutazione è stato definito come l'intervallo di tempo tra il prelievo per l'emocoltura e la somministrazione di antibioticoterapia mirata.
Gli outcome secondari sono invece stati definiti come:
1) Durata della terapia antibiotica,
2) Costo della terapia antibiotica,
3) Durata del ricovero in terapia intensiva,
4) Sopravvivenza a 14 giorni,
5) DeltaSOFA* score, ovvero la differenza tra il SOFA score assegnato al paziente al momento dell'invio della richiesta per emocoltura e il SOFA score calcolato 72 ore più tardi.

** Sequential Organ Failure Assessment score*

Risultati - Al momento della stesura del presente abstract non sono ancora disponibili dati. Tuttavia, si ritiene che l'impiego di questa tecnologia innovativa, con la conseguente aumentata rapidità nell'avvio della terapia antibiotica mirata, possa apportare benefici significativi in termini di outcome primari e secondari nei pazienti critici con sepsi.

Bibliografia

- *1Decreto 20674_2023 SEPSI*
- *1June 2006 - Volume 34 - Issue 6: Critical Care Medicine.; 2006. Accessed September 22, 2021. https://journals.lww.com/ccmjournal/toc/2006/06000*

Autore di riferimento: Ambra Castrofino ambra.castrofino@ospedaleniguarda.it

Costi ed esiti legati ai flussi diagnostici del paziente con carcinoma mammario nelle anatomie patologiche: un'analisi di budget impact nel contesto italiano

Cortesi P.A.[1,2,3], Antonazzo I.C.[1,2,3], L'Imperio V.[3], Pepe F. [4], Cazzaniga M.[3], Zambelli A.[3], Damati G.[5], Castellano I.[6], Malapelle U.[4], Fusco N.[7], Marchesini D.[8], Gribaudo G.[1], Pagni F.[3], Mantovani L.G.[1,2]

[1]Centro studi Dipartimentale in Sanità Pubblica (CESP), Università degli studi di MilanoBicocca, Monza, Italia, [2]Laboratorio di Sanità Pubblica, IRCCS Auxologico, Milano, Italia, [3]Dipartimento di Medicina e Chirurgia, Università degli studi di Milano-Bicocca, Monza, Italia, [4]Dipartimento di Sanità Pubblica, Università degli studi di Napoli Federico II, Napoli, Italia, [5]Dipartimento di scienze radiologiche, oncologiche e anatomo-patologiche, Università la Sapienza, Roma, Italia, [6]Dipartimento di Scienze Mediche, Università di Torino, Torino, Italia, [7]Istituto Europeo di oncologia (IEO), Milano, Italia, [8]Fondazione CHARTA, Milano, Italia.

Obiettivi - Il carcinoma mammario è il tumore più comune nelle donne a livello globale (2,3 milioni di nuove diagnosi e 670.000 decessi nel 2022). Diagnosticato in fase iniziale, il 41.0% delle pazienti riceve diagnosi in stadio avanzato di malattia (mBC). Il campione bioptico rappresenta il campione d'elezione sia per l'indagine morfologica che per la valutazione dell'assetto recettoriale (ER+/HER2, HER2+ o triplo negativo). L'avvento dell'era della "genomica" ha ulteriormente migliorato le prospettive di trattamento delle pazienti mBC attraverso la valutazione di biomarcatori predittivi di risposta al trattamento con farmaci a bersaglio molecolare. L'analisi delle alterazioni genomiche è sempre più importante per personalizzare la terapia, rendendo cruciale la disponibilità di test diagnostici in grado di rilevare mutazioni di impatto clinico in campioni della routine diagnostica. Pertanto, il presente progetto si è posto l'obiettivo di valutare l'impatto economico derivante dall'introduzione di nuovi test diagnostici finalizzati all'individuazione di mutazioni utili per la personalizzazione della terapia farmacologica nei pazienti affetti da mBC e richiesti dai nuovi trattamenti che saranno disponibili nei prossimi 3 anni.

Metodologia - È stata condotta un'analisi di costo dei percorsi diagnostici e del relativo impatto sul budget (Budget Impact Analysis - BIA) adottando la prospettiva del Sistema Sanitario Nazionale (SSN) italiano. Il modello simula gli esiti clinici e i costi associati a una coorte di 1000 pazienti con una nuova diagnosi di mBC e confronta uno scenario attuale (scenario A), in cui sono stati inclusi i test diagnostici correntemente eseguiti nel percorso di cura del paziente, con uno scenario alternativo (scenario B) in cui, in aggiunta ai test dello scenario A, sono stati implementati test utili per orientare le decisioni terapeutiche in linea con i potenziali farmaci per il trattamento del mBC previsti in commercializzazione nei prossimi tre anni. In entrambi gli scenari, gli esiti e i costi sono stati stimati a livello globale e stratificati per sottotipo mutazionale iniziale (ER+/HER2-, HER2+ e triplo negativo). Utilizzando dati di letteratura validati da un panel di clinici esperti, è stata stimata la distribuzione dei pazienti tra i diversi sottogruppi di mBC e, all'interno di ciascun sottogruppo, la probabilità di switch terapeutico, momento in cui vengono generalmente eseguiti i test diagnostici

per la (ri)caratterizzazione del paziente. La valorizzazione economica delle risorse impiegate è stata effettuata utilizzando le tariffe di rimborso erogate dal SSN.

Resultati - Nei 3 anni simulati, si è stimato che nei 700 pazienti ER+/HER2- si è osservato un incremento del numero di test (210) per PIK3CAm+, 490 per la combinazione ESR1/AKT1/PTEN/ERBB2, 700 per ESR1, 490 per la combinazione BRCA1/2 somatic/PALB2 e 250 per ERBB2. Inoltre, nello scenario B si è stimata l'esecuzione di 1480 test aggiuntivi per la valutazione di mutazioni in ER-PRG-HER2-Ki67. Nei 150 pazienti HER2+, nello scenario B è stata prevista l'esecuzione di 150 test supplementari rispetto allo scenario A per la ricerca di PIK3CAm+ ed ERBB2, rispettivamente. Per 150 pazienti con mBC triplo negativo, lo scenario B è stato associato all'esecuzione di 150 test aggiuntivi per la valutazione di ER-PGR-HER2-Ki67 rispetto allo scenario
A. L'implementazione dei nuovi test si traduce in un aumento della spesa complessiva pari a €2.816.007,74, così ripartita: €2.385.489,75 per i pazienti ER+/HER2-, €120.017,99 per i pazienti HER2+ e €310.500,00 per i pazienti con mBC triplo negativo. Nello specifico, per i pazienti ER+/HER2-, l'introduzione di nuovi test comporta un incremento di spesa pari a €553.000,00 per la prima linea di trattamento, €1.681.925,00 per la seconda e €150.564,75 per la terza. Analogamente, per i pazienti con mutazione HER2+ è stato previsto un aumento dei costi pari a €118.500,00 per la prima linea di trattamento e €1.517,99 per la quarta linea di trattamento e successive. Infine, per i pazienti con tumore triplo negativo si prevede un aumento della spesa pari a €310.500,00 durante la prima linea di trattamento. I principali fattori determinanti dell'aumento dei costi sono stati i test eseguiti mediante l'utilizzo di tecnologie target di NGS per l'analisi molecolare su campioni di tessuto, per la valutazione su tessuto di biomarcatori complessi (HRD), per la caratterizzazione molecolare dei campioni di biopsia liquida, e per le valutazioni delle alterazioni germinali dei geni BRCA1/2(BRCAg).
In sintesi, i risultati ottenuti suggeriscono che l'introduzione dei nuovi test comporterà un incremento della spesa complessiva per la diagnosi e il monitoraggio dei pazienti affetti da mBC. Tuttavia, l'esecuzione dei nuovi test consentirà di targetizzare la terapia e, di conseguenza, di migliorare la gestione clinica delle pazienti, ottimizzando le risorse investite dal SSN nella cura e gestione dei pazienti con mBC.

Autore di riferimento: Paolo Cortesi, paolo.cortesi@unimib.it

Analisi dei costi dell'intervento di prostatectomia robotica a seguito dell'introduzione di un sistema RFId presso l'AOU di Parma

Cristaldi S.[1], Vici A.[2], Manotti P.[2], Berghenti M.[1], Giordano B.[1], Rossi S.[3]

[1]SCI Ingegneria Clinica AOU-AUSL Parma, [2]Direzione Sanitaria AOU Parma, [3]Direttore Sanitario AOU Parma

Obiettivi - Il presente studio ha l'obiettivo di valutare l'impatto organizzativo ed economico derivante dall'implementazione di un sistema di tracciamento basato su tecnologia RFId (Radio Frequency Identification) installato presso il Blocco Operatorio Ala Ovest dell'Azienda Ospedaliero Universitaria di Parma. In particolare, l'installazione del sistema RFId consente di incrementare l'efficienza operativa e la sicurezza dei processi, favorendo l'identificazione univoca dei dispositivi associati a singolo paziente, la tracciabilità in tempo reale di materiali e strumentazioni chirurgiche, la razionalizzazione dei flussi di lavoro e l'ottimizzazione della gestione delle risorse.

Metodologia - Il blocco operatorio dell'Ala Ovest è un blocco multidisciplinare costituito da 6 sale operatorie, con un'attività che si aggira intorno a circa 4.000 interventi annui. A fronte della complessità, si è proceduto con l'installazione del sistema RFId in tale blocco operatorio mediante 11 armadi, 6 cestini RFId e un software di gestione in grado di raccogliere i dati dei dispositivi taggati e di interfacciarsi con l'applicativo di sala.
Elaborando i dati riguardanti le procedure chirurgiche e i relativi dispositivi utilizzati ottenuti tramite software di gestione, è stata individuata come procedura di studio quella chirurgica della prostatectomia robotica, poiché tra quelle maggiormente effettuate dal blocco. Si è quindi svolta l'analisi inerente il costo a procedura per tale operazione.

Analisi della letteratura - Dall'analisi della letteratura condotta sui principali database scientifici, utilizzando le parole chiavi "robotic prostatectomy and cost analysis", "robot surgery and cost analysis", è risultato che tale procedura attualmente è più diffusa rispetto a quelle in laparoscopia e laparotomia. Infatti, dal punto di vista clinico, la chirurgia robotica si associa ad una riduzione dei giorni di degenza post-operatoria, con conseguente risparmio a livello ospedaliero e miglioramento della qualità di vita del paziente. Per quanto riguarda l'analisi economica sulla procedura in esame, la letteratura riporta che il costo medio di acquisizione, di manutenzione e dei materiali consumabili della chirurgia robotica ammonta circa a 5.661,95 €[1].

Risultati - Partendo dai risultati presenti in letteratura, si è proceduto ad un'analisi della procedura

chirurgica individuata nella realtà del blocco operatorio attraverso l'esame dei dati presenti sul gestionale del sistema RFId. In particolare, l'analisi ha preso in considerazione il periodo fra novembre-dicembre 2024, durante il quale il sistema risultava essere pienamente a regime. In questo periodo sono stati effettuati 23 interventi di prostatectomia robotica. Dall'analisi dei dispositivi utilizzati è stata calcolata una media di utilizzo per ciascun dispositivo. Estrapolando i dispositivi che presentavano una percentuale di utilizzo superiore all'80%, è stato individuato un kit procedurale per la prostatectomia robotica, il cui costo complessivo stimato è risultato essere di circa 3.200 €, tenuto conto che i prezzi utilizzati si riferiscono ad un affidamento avvenuto nel 2019. Il confronto con i dati di letteratura conferma la coerenza del valore rilevato: ad esempio, in un articolo pubblicato nel 2022 sull'analisi dei costi per la medesima procedura in Olanda relativo al periodo 2018-2020[2], il prezzo medio per il costo dei materiali è risultato essere circa 2.800 €. Nel corso del 2025 è in programma un approfondimento dell'analisi dei costi per la prostatectomia robotica, e un ampliamento di tale analisi ad altri interventi di maggior rilievo effettuati presso il blocco operatorio.

Bibliografia

- *1 Ministero della Salute AGE.NA.S "Sistemi di Chirurgia Robotica in Chirurgia Generale, Ginecologia e Urologia - Documento di valutazione HTA Ver.1.0" (2025).*
- *2 Lindenberg, Melanie A., et al. "Cost-utility analysis on robot-assisted and laparoscopic prostatectomy based on long-term functional outcomes." Scientific reports 12.1 (2022): 7658.*

Autore di riferimento: Sebastiana Cristaldi, scristaldi@ao.pr.it

Equità e innovazione in urologia: la chirurgia robotica come strumento sostenibile nei piccoli centri

D'Onofrio M., Munegato S., Centrella D.

Struttura complessa di urologia , ASL VCO Ospedale "San Biagio" di Domodossola, Domodossola (VB), Italia

Metodologia - È stata condotta una revisione sistematica della letteratura tramite le banche dati PubMed, Cochrane Library e MDPI, seguendo le linee guida PRISMA. Sono stati selezionati studi pubblicati negli ultimi 15 anni inerenti l'utilizzo della chirurgia robotica in urologia (soprattutto prostatectomia, cistectomia radicale e nefrectomia parziale) condotti anche in centri di basso volume. Sono stati esclusi studi non in lingua inglese o non focalizzati su aspetti clinico-economici.

Risultati - La letteratura suggerisce che la chirurgia robotica apporta vantaggi significativi rispetto alla chirurgia laparoscopica e tradizionale anche nei centri periferici o a basso volume. I principali benefici emersi includono:

- Migliori esiti clinici: minori perdite ematiche, riduzione delle complicanze post-operatorie, riduzioni delle infezioni post-operatorie, incisioni più piccole con cicatrici meno visibili.[1]
- Riduzione della degenza: la degenza postoperatoria è generalmente inferiore rispetto alla chirurgia laparoscopica, contribuendo alla riduzione dei costi indiretti.[2]
- Efficienza nei centri periferici: l'adozione della chirurgia robotica nei piccoli centri urologici, quando supportata da training adeguato e pianificazione centralizzata, può offrire risultati clinici sovrapponibili a quelli dei grandi centri, promuovendo l'equità di accesso.[3]
- Formazione e curva di apprendimento: la chirurgia robotica presenta una curva di apprendimento più rapida rispetto alla laparoscopia pura, riducendo il tempo necessario per raggiungere le stesse competenze chirurgiche.[4] Questo aspetto è cruciale per i centri periferici, dove la rotazione degli operatori è frequente.
- Economia di scala e materiali: benché i costi iniziali siano elevati (robot, manutenzione, materiali monouso), questi vengono in parte bilanciati dalla riduzione delle complicanze e dalla standardizzazione delle procedure.[5,6] Inoltre, la disponibilità di nuove piattaforme robotiche (Hugo RAS, Versius, Hinotori) può generare concorrenza e ridurre i costi di accesso per i piccoli ospedali.[7]

L'evidenza attuale supporta l'integrazione della chirurgia robotica nei piccoli centri urologici, dimostrando come, con un'adeguata organizzazione, tale tecnologia non solo migliori gli esiti clinici, ma rappresenti anche una soluzione economicamente sostenibile a lungo termine. Sono necessarie ulteriori analisi costobeneficio e studi prospettici multicentrici per ottimizzare l'allocazione delle risorse.

Bibliografia

- *1 Zhang Y, et al. Comparisons of Efficiency, Safety, and Hospital Costs of Four-Arm Robotic-Assisted Partial Nephrectomy (RAPN) Versus Three-Arm Technique. J Clin Med. 2025;14(8):2739.*
- *2 Ramsay C, et al. Systematic review and economic modelling of laparoscopic vs robotic prostatectomy. Health Technol Assess. 2012;16(41):1-313.*
- *3 Tanal M, et al. Surgical outcomes of robot-assisted radical prostatectomy in low-volume centres:*
- *experience of a Turkish academic institution. J Robot Surg. 2024. [DOI: 10.1007/s11701-024-01930w]*
- *4 Millan B, Nagpal S, Ding M, Lee JY, Kapoor A. A Scoping Review of Emerging and Established Surgical Robotic Platforms with Applications in Urologic Surgery. SIU J. 2021;2(5):300-310.*
- *https://doi.org/10.48083/EWWQ2677*
- *5 Larcher A, et al. Does surgical approach influence continence outcomes after radical prostatectomy? A systematic review and meta-analysis. Surg Endosc. 2016;30(10):4061-4073. [DOI:*
- *10.1007/s00464-016-4852-7]*
- *6 Yates JWR, et al. The impact of robotic surgery on the surgical workforce. Gynecol Oncol.*
- *2011;123(1):180-183. [DOI: 10.1016/j.ygyno.2011.11.036]*
- *7 Hughes T, Rai B, Madaan S, Chedgy E, Somani B. The Availability, Cost, Limitations, Learning Curve and Future of Robotic Systems in Urology and Prostate Cancer Surgery. J Clin Med.*
- *2023;12(6):2268. https://doi.org/10.3390/jcm12062268*
- *8 Gandaglia G, et al. The impact of robotic surgery adoption on the quality of prostate cancer treatment in the Italian health care system. Medicina (Kaunas). 2019;55(11):739. [https://doi.org/10.3390/medicina55110739]*
- *9 Close A, et al. Comparative cost-effectiveness of robot-assisted and standard laparoscopic prostatectomy. Eur Urol. 2013;64(3):361-369.*

Autore di riferimento: Manuel D'Onofrio, dr.manuel.donofrio@gmail.com

Valutazione HTA di una sonda ecografica per l'utilizzo congiunto con il robot chirurgico

Dagradi S.[1], Boccuni C.[2], Giordano B.[3], Pagano R.[4], Linguadoca C.[4], Rosi C.4, Santoro M.[5], Barbata I.[6], Castellano S.[6], Glielmi A.[7], Berghenti M.[3], Zanardi A.[4], Azzali G.[6], Ventura A.[7], Rossi S.[2]

[1]Scuola di Specializzazione in Igiene e Medicina Preventiva, Università di Parma, [2]Direzione Sanitaria, AOU PR; [3]SCI Servizio Ingegneria Clinica, AOU-AUSL PR, [4]UOC Farmacia e Governo Clinico del Farmaco, AOU PR, [5]UOC Farmaceutica Ospedaliera ed Assistenza Diretta, AUSL PR; [6]SCI Servizio Acquisizione Beni, AOU-AUSL PR, [7]SCI Controllo di Gestione, AOU-AUSL PR

Obiettivi - La chirurgia robotica rappresenta un ambito altamente innovativo nel panorama delle tecniche chirurgiche moderne. Si avvale di dispositivi robotici avanzati che supportano il chirurgo e consentono di realizzare interventi con una precisione e una destrezza superiori rispetto alle metodiche tradizionali. Questi sistemi integrano bracci robotici articolati, strumenti chirurgici miniaturizzati e una visione tridimensionale ad alta definizione, permettendo un controllo più fine e una maggiore visibilità delle aree anatomiche.
Il robot chirurgico è una tecnologia in continua evoluzione in tutte le sue componenti, consentendo l'ottimizzazione delle prestazioni e il miglioramento delle opzioni terapeutiche. L'obiettivo di questo lavoro è illustrare il percorso svolto dal Nucleo Provinciale di Valutazione dei Dispositivi Medici nella valutazione di una sonda per l'ecografia intraoperatoria durante gli interventi di chirurgia robotica, partendo dalla richiesta dei clinici.

Metodologia - La richiesta di introduzione di una sonda ecografica intraoperatoria è pervenuta all'attenzione del Nucleo Provinciale di Valutazione dei Dispositivi Medici da parte dell'UOC Clinica Chirurgica Generale dell'Azienda Ospedaliero-Universitaria di Parma, al fine di poter disporre di una sonda ecografica per l'utilizzo congiunto con il robot, essendo attualmente prevista l'esecuzione dell'ecografia intraoperatoria da parte di un operatore al tavolo operatorio mediante sonda ecografica.
Come previsto dalle procedure aziendali, la richiesta è stata sottoposta al vaglio del Nucleo Provinciale di Valutazione dei Dispositivi Medici, che ha effettuato una valutazione multidisciplinare con approccio HTA analizzando efficacia, sicurezza, appropriatezza e costi del dispositivo in esame. Le informazioni per la valutazione sono state reperite dalla documentazione tecnica del dispositivo, dalla ricerca della letteratura scientifica e dal confronto con i professionisti medici richiedenti.
L'analisi della letteratura scientifica è stata effettuata consultando le principali banche dati (PubMed, Embase, Scopus, ecc.) inserendo alcune parole chiave come «intraoperative», «ultrasound», «laparoscopic» e «robotic». Da tale ricerca sono emersi vari studi attestanti l'interesse della comunità scientifica circa l'attuale utilità dell'ecografia intraoperatoria in chirurgia robotica.

Risultati - Dalla letteratura scientifica è emerso che l'ecografia intraoperatoria è un supporto prezio-

so per il personale medico, in quanto migliora la precisione, la sicurezza e l'efficacia degli interventi chirurgici. La capacità dell'ecografia di fornire immagini in tempo reale rende questa tecnica particolarmente utile in molte discipline chirurgiche.
Nel caso della chirurgia robotica, la sonda ecografica robotica offre diversi vantaggi:
• possibilità di essere manovrata direttamente dal primo operatore alla console;
• possibilità di esplorare anche le sedi anatomiche difficili da raggiungere; • migliore versatilità dei movimenti operatori;
• migliore qualità dell'immagine visualizzata.
A fronte di quanto riportato, il Nucleo Provinciale di Valutazione dei Dispositivi Medici ha autorizzato l'acquisizione dell'apparecchiatura e il suo inserimento nel repertorio aziendale.

Bibliografia

- *D'Hondt M., Vandenbroucke-Menu F., Préville-Ratelle S., et al. Is intra-operative ultrasound still useful for the detection of a hepatic tumour in the era of modern pre-operative imaging? HPB. 2011;13(9):665-669*
- *Weinstein S., Morgan T., Poder L., et al. Value of Intraoperative Sonography in Pancreatic Surgery. Journal of Ultrasound in Medicine. 2015;34(7):1307-1318*
- *Antico M., Sasazawa F., Wu L., et al. Ultrasound guidance in minimally invasive robotic procedures. Medical Image Analysis. 2019;54:149-167*
- *Coco D., Leanza S. Routine Intraoperative Ultrasound for the Detection of Liver Metastases during Resection of Primary Colorectal Cancer – A Systematic Review. Maedica. 2020; 15(2):250-252*
- *Pavone M., Seeliger B., Teodorico E., et al. Ultrasound-guided robotic surgical procedures: a systematic review. Surgical Endoscopy. 2024;38(5):2359-2370*

Autore di riferimento: Stefano Dagradi, stefano.dagradi@unipr.it

Proposta di un nuovo modello organizzativo patient centered per le terapie CAR-T

De Belvis A.G.[1], De Donno R.[1], Laurita R.[1], Di Brino E.[1], Sovani R.[2], D'Amico G.[2], El Messih M.[2], Statello A.[2], Ladetto M.[3], Petruzzelli D.[4], Toro G.[5], Punzi Fontana A.[6], Taroni P.[6], Ciceri F.[7]

[1]Altems Advisory, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2]LS Cube, [3]Fondazione Italiana Linfomi, AOU Santi Antonio e Biagio e Cesare Arrigo, Alessandria, [4]Associazione "La Lampada di Aladino"; Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM), [5]Associazione Italiana contro Leucemie, Linfomi e Mieloma (AIL), [6]Gilead Sciences / Kite – Gilead, [7]IRCCS Ospedale San Raffaele, Milano

Obiettivi - Le terapie con cellule CAR-T rappresentano un'innovazione ad alto impatto nel trattamento di neoplasie ematologiche refrattarie, con potenziali benefici clinici rilevanti ma anche sfide sistemiche in termini di equità e sostenibilità. In tale contesto, l'adozione dei principi della ValueBased Health Care (VBHC) consente di orientare l'organizzazione sanitaria verso modelli che massimizzano gli esiti per i pazienti in rapporto alle risorse impiegate. Il presente studio propone un modello nazionale per l'erogazione delle CAR-T che, attraverso l'analisi del contesto italiano e il confronto con esperienze europee, favorisca un accesso equo, efficiente e fondato sul valore.

Metodologia - È stato adottato un approccio di Health Services Research (HSR) per valutare l'interazione tra fabbisogno clinico, domanda espressa e capacità di offerta. È stata sviluppata una mappatura nazionale dei centri italiani attivi e potenziali e per ciascun centro è stata verificata l'aderenza ai requisiti AIFA. Il fabbisogno regionale è stato stimato su base epidemiologica e confrontato con i volumi di trattamento registrati nel 2024. Le analisi geografiche e i tassi standardizzati sono stati elaborati tramite software R. È stata inoltre svolta un'analisi comparativa, sotto il profilo normativo-regolatorio, dei requisiti clinici, strutturali e di qualità richiesti ai fini dell'accreditamento dei centri ospedalieri per la somministrazione di terapie CAR-T in Italia, Francia, Spagna e Germania, attraverso la consultazione di fonti ufficiali e accessibili al pubblico, incluse linee guida istituzionali, pubblicazioni scientifiche e siti web di enti sanitari nazionali.

Risultati - In Italia la concentrazione dei centri in alcune aree produce diseguaglianze nell'accesso. Nel 2024 sono state erogate 741 terapie CAR-T. I centri attivi sono risultati 44 al febbraio 2025, distribuiti in modo disomogeneo: Nord (1 centro ogni 1.311.209 abitanti), Centro (1 ogni 1.171.095), Sud (1 ogni 1.337.495), Isole (1 ogni 2.200.000). Le somministrazioni per milione di abitanti sono state: Lazio 20, Lombardia 19, Piemonte 15, Emilia-Romagna 11, Puglia 9. Il tasso di bisogno soddisfatto ha mostrato forti disuguaglianze: Lazio 50,6%, Lombardia 47,9%, ma solo 22,3% in Puglia, 18,9% in Abruzzo, 13,4% in Campania e 11,1% nelle Marche. Inoltre, dall'analisi comparativa normativo-regolatoria è emerso che Spagna, Francia e Germania hanno introdotto, nei rispettivi ordinamenti, normative specifiche che definiscono analiticamente i requisiti nazionali necessari ai fini della somministrazione

di terapie CAR-T. A differenza dei predetti Paesi, l'Italia richiederebbe ai centri nazionali che intendono procedere alla somministrazione di terapie CART, oltre al rispetto di alcuni requisiti nazionali, di avviare e completare la specifica procedura di accreditamento JACIE, facendosi carico di un ulteriore burden amministrativo e finanziario.

Conclusione - La rete CAR-T italiana, pur in espansione, presenta disomogeneità significative nella capacità di presa in carico e nella risposta al fabbisogno clinico. In linea con i principi della Value-Based Health Care, si propone un modello hub & spoke avanzato, supportato da percorsi diagnosticoterapeutici formalizzati, sportelli informativi, strumenti digitali di monitoraggio, indicatori di esito e performance, e dal coinvolgimento strutturato delle associazioni di pazienti. L'integrazione di buone pratiche regionali ed europee rappresenta una leva strategica per promuovere un sistema equo, sostenibile e orientato al valore nell'accesso alle terapie avanzate.

Autore di riferimento: Rita De Donno rita.dedonno01@icatt.it

Telemonitoraggio da remoto della Pressione Arteriosa Polmonare (PAP) in pazienti con Scompenso Cardiaco: Analisi HTA del dispositivo CardioMEMS

Dotti A.[1], Gattuso D.[2], Tedesco D.[2], Casati P.[3], Magliocca S.[4], D'Angelo L.[5], Gentile P.[5], Perna E.[5], Mazzali C.[6], Garascia A.[7], Colombo P.[8]

[1]Psicologa Clinica, Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, Italia, [2]Ingegnere Gestionale, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [3]Economista Sanitario, Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, Italia, [4]Matematico, ASST-GOM Niguarda, Milano, Italia, [5]Dirigente Medico, ASST-GOM Niguarda, Milano, Italia, [6]Biostatistico, Dipartimento Unità di Epidemiologia, ATS Milano, Italia, [7]Direttore SC Cardiologia 2-Insufficienza Cardiaca e Trapianti, ASST-GOM Niguarda, Milano, Italia, [8]Dirigente Medico, Coordinatore Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, Italia

Obiettivi - Il presente studio ha sviluppato l'obiettivo assegnato a Regione Lombardia e all'ASST-GOM Niguarda in qualità di Applicant Institution, nell'ambito del progetto di Ricerca Finalizzata NET-2018-12368077, di telemonitoraggio della pressione arteriosa polmonare con il dispositivo CardioMEMS (CardioMEMS HF System, Abbott, Sylmar, CA) per pazienti con diagnosi di Scompenso Cardiaco (SC). Il progetto ha previsto la realizzazione di un Alert HTA volto all'individuazione di costi-benefici e criteri organizzativo-gestionali al fine di estendere l'utilizzo di CardioMEMS nei centri specializzati nel trattamento dell'SC della Lombardia, considerando il valore non solo del device, ma anche dell'intero percorso di gestione sia in termini di costo-efficacia che di esperienza per il paziente. Un ulteriore obiettivo ha riguardato la valutazione HTA del dispositivo da parte della Commissione Regionale HTA.

Metodologia - Lo studio si configura come osservazionale monocentrico ed è svolto dalla SC Qualità e Rischio Clinico in collaborazione con la SC Cardiologia 2-Insufficienza Cardiaca e Trapianti. La durata è stata di 12 mesi e la popolazione in studio ha riguardato un sottogruppo di pazienti affetti da SC in classe NYHA III (New York Heart Association), candidabili o non candidabili per la lista trapianto e con almeno un ricovero per SC all'anno. Sono stati osservati 17 pazienti sottoposti ad impianto CardioMEMS e a monitoraggio da remoto con l'ausilio del software Merlin.net (Patient Care Network, Abbott, Sylmar, CA). Tale campione è stato confrontato con un gruppo di controllo composto da pazienti, gestiti attualmente tramite lo standard of care (Comparator) in accordo con le linee guida ESC 20211, che hanno iniziato il trattamento prima dell'introduzione di CardioMEMS, oltre che da pazienti per i quali non è stato possibile impiantare il device per ragioni cliniche. Per poter effettuare una valutazione economica finalizzata ad una futura proposta di rimborso per le procedure di impianto e di monitoraggio di CardioMEMS è stata realizzata una mappatura di processo. Da ultimo, l'indagine della Quality of Life e dell'esperienza soggettiva del paziente è stata condotta tramite la somministrazione di questionari clinici al gruppo di pazienti con impianto del dispositivo in due tempi differenti (T0: Baseline prima dell'impianto; T1: follow-up 6 mesi dopo l'impianto). Infine, per poter svolgere una

valutazione HTA della tecnologia con il contributo della Commissione Regionale è stata utilizzata la metodologia Multi-Criteria Decision Analysis (MCDA).

Risultati - Tra il 2022 e il 2024 sono stati impiantati 17 pazienti, di cui 11 attualmente sottoposti a telemonitoraggio e 6 decessi.
Rispetto alla valutazione economica costi-benefici, è stato mappato il percorso clinico seguito da un paziente con le peculiarità cliniche sopra descritte. Il periodo considerato è stato di 12 mesi. Il presente flusso è stato il punto di partenza per poi mappare i costi sostenuti dal paziente e dal Sistema Sanitario Nazionale nei due scenari considerando i costi relativi ad ogni attività. Successivamente è stata eseguita un'analisi differenziale tra i due gruppi che ha evidenziato un costo maggiore per il gruppo CardioMEMS con un delta finale di € 10.000 dovuto al costo del device e del monitoraggio. Tuttavia, la riduzione dei ricoveri successivi ha un impatto economico positivo. Rispetto all'analisi dell'esperienza del paziente, dal questionario Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ), per il quale sono stati analizzati specifici items di interesse, si può notare che la media dei punteggi delle risposte al tempo
T0 risulta essere lievemente maggiore che al tempo T1; pertanto, si può dedurre un miglioramento dell'umore dei pazienti al T1 rispetto che al T0. Risultati confermati anche dai questionari STAY Y-1 e Beck Depression Inventory (BDI) per i quali si osserva un trend dei tratti ansioso-depressivi rispettivamente stabile o in lieve miglioramento nel tempo.
Contestualmente il gruppo HTA di Regione Lombardia ha portato avanti la valutazione HTA del dispositivo CardioMEMS tramite la
Commissione Regionale. In seguito alla stesura dell'Alert si è passati alla fase di Appraisal dalla quale è emerso un indice di appropriatezza d'uso di 0.60 che supportato dall'analisi dei criteri qualitativi e delle raccomandazioni fornite dai commissari ha permesso di dare parere favorevole all'introduzione del device nel sistema sanitario lombardo, sebbene sia fondamentale individuare centri Hub per l'SC in grado di gestire il telemonitoraggio.

Bibliografia

- *1 McDonagh, Theresa A., et al. 2021 ESC Guidelines for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure: Developed by the Task Force for the diagnosis and treatment of acute and chronic heart failure of the European Society of Cardiology (ESC) With the special contribution of the Heart Failure Association (HFA) of the ESC. European heart journal42.36 (2021): 3599-3726.*

Autore di riferimento: Arianna Dotti, arianna_dotti_ext@regione.lombardia.it

Analisi multidimensionale HTA della formulazione sottocutanea Pertuzumab-Trastuzumab nel carcinoma mammario HER2+: impatti clinico-organizzativi, economici e gestionali con modello di UFA integrata

Fantini I., Esposito C., Matteo F., Pecere A.

ASL Roma 6

Obiettivi - L'evoluzione delle terapie oncologiche ha visto l'introduzione di formulazioni sottocutanee (SC) come alternativa efficace e potenzialmente più sostenibile alla somministrazione endovenosa (EV), in particolare nel setting di mantenimento nel carcinoma mammario HER2-positivo. Il presente lavoro si propone di condurre una valutazione approfondita, secondo i principi dell'Health Technology Assessment (HTA), dell'impatto clinico, organizzativo ed economico derivante dall'adozione della formulazione SC fissa di Pertuzumab-Trastuzumab rispetto alla tradizionale somministrazione EV.
In particolare, l'analisi mira a quantificare i benefici in termini di efficienza produttiva, utilizzo ottimale delle risorse umane e logistiche, sostenibilità economica, nonché il valore aggiunto derivante dall'integrazione dell'Unità Farmaci Antiblastici (UFA) all'interno del Reparto di Oncologia, finalizzata a migliorare la gestione del percorso terapeutico.

Metodologia - L'analisi ha coinvolto 17 pazienti con carcinoma mammario HER2-positivo nel setting di mantenimento, reclutati presso un centro oncologico della Regione Lazio e trattati tra agosto 2023 e maggio 2025. Sono state analizzate un totale di 253 somministrazioni effettuate con la formulazione sottocutanea di PertuzumabTrastuzumab.
L'analisi comparativa ha riguardato le due modalità di somministrazione (EV vs SC) in termini di tempi medi di preparazione, somministrazione e osservazione post-infusione, con dati raccolti direttamente dall'Unità Farmaci Antiblastici. Inoltre, sono stati valutati i costi diretti associati a ciascuna modalità, comprensivi di materiali sanitari e risorse professionali, con valori medi per dose di €2.386,50 per EV vs €2.417,61 per SC.
È stata inoltre stimata l'incidenza economica evitata grazie alla riduzione degli accessi venosi centrali (PICC), includendo i costi di installazione (€162,74 per ogni dispositivo), manutenzione settimanale (€19,53) e ore di personale sanitario dedicate (2,25 ore per installazione e 0,5 ore settimanali di assistenza infermieristica).
La durata media di mantenimento è stata stimata in circa 40 settimane per paziente. L'organizzazione dell'UFA integrata nel reparto oncologico ha permesso un allestimento delle terapie su conferma clinica giornaliera, riducendo i tempi di attesa dei pazienti tra decisione terapeutica e somministra-

zione, migliorando il coordinamento multidisciplinare e minimizzando gli sprechi associati a eventuali annullamenti della terapia.

Risultati - L'analisi condotta ha evidenziato una significativa riduzione dei tempi operativi con la formulazione SC rispetto alla EV. In media, ogni somministrazione SC ha richiesto 198 minuti in meno (circa 3,3 ore), per un totale di 835 ore risparmiate su 253 somministrazioni effettuate nel periodo in esame. La ripartizione del tempo risparmiato è stata stimata in circa 33,7 ore per la preparazione, 232 ore durante la somministrazione e 569,3 ore per l'osservazione post-infusione. Dal punto di vista economico, la formulazione SC ha comportato un lieve aumento dei costi diretti per ciascuna dose di mantenimento (+31,11€), che si traduce in un differenziale totale di circa €7.878 in 22 mesi. Tuttavia, questo aumento è stato ampiamente controbilanciato dal risparmio sui costi indiretti legati alla mancata gestione degli accessi venosi centrali. L'eliminazione dei PICC ha permesso un risparmio di €2.767,58 in costi di installazione e circa 38,25 ore di lavoro sanitario, oltre a un risparmio di €13.280,40 e 340 ore di attività infermieristica dedicate alla manutenzione e assistenza durante il ciclo di trattamento.
Nel complesso, i costi indiretti evitati ammontano a circa €16.047,98, accompagnati da una riduzione complessiva di circa 378 ore di impegno del personale sanitario. L'integrazione dell'UFA nel reparto ha consentito una migliore sincronizzazione tra valutazione clinica e allestimento terapeutico, garantendo una maggiore flessibilità gestionale e un'efficace ottimizzazione dei flussi di lavoro, con un impatto positivo sulla qualità e sicurezza del percorso di cura. Questi risultati indicano che l'introduzione della combinazione sottocutanea Pertuzumab-Trastuzumab, in un modello organizzativo innovativo che prevede l'UFA integrata, rappresenta un'opportunità di miglioramento complessivo in termini di efficienza, sostenibilità economica e qualità assistenziale. Tale modello può pertanto configurarsi come una best practice replicabile in altri contesti sanitari, dove il farmacista di reparto sia incluso attivamente all'interno di un team multidisciplinare.

Autore di riferimento: Ivan Fantini, ASL Roma 6

Implementazione percorso TAVI-FAST: mappatura e ottimizzazione del percorso dei pazienti affetti da stenosi aortica severa sintomatica sottoposti a TAVI

Gattuso D.[1], Tedesco D.[2], Reggiori P.[3], Bruschi G.[4], Belluschi I.[4], Soriano F.S.[5], Oreglia J.A.[5], Russo C.[6], Oliva F.G.[7], Sgaria L.G.[8], Colombo P.[9]

[1]Ingegnere Gestionale. S.C. Gestione Operativa – S.S. Organizzazione Sale Operatorie. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [2]Ingegnere Gestionale. S.C. Qualità e Rischio Clinico - .S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [3]Economista. S.C. Gestione Operativa S.S. Organizzazione Sale Operatorie. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [4] Dirigente Medico. S.C. Cardiochirurgia e del trapianto di cuore. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [5]Dirigente Medico. S.C. Cardiologia 1 - Emodinamica. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [6]Direttore S.C. Cardiologia 1 - Emodinamica. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [7]Direttore S.C. Cardiochirurgia e del trapianto di cuore. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [8]Direttore SS.CC. Controllo di Gestione e Gestione Operativa. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [9]Direttore S.C. Qualità e Rischio Clinico. Responsabile S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.

Obiettivi - Il progetto TAVI-FAST, sviluppato all'interno dell'ASST GOM Niguarda, nasce con l'obiettivo di ottimizzare e innovare il percorso clinico dei pazienti affetti da stenosi aortica severa sintomatica sottoposti a impianto transcatetere della valvola aortica (TAVI). Date le più recenti evidenze scientifiche e con le esperienze di centri avanzati a livello nazionale e internazionale, il progetto mira a rendere l'intervento più efficiente, sicuro e standardizzato.
L'iniziativa si propone di migliorare la qualità complessiva della procedura, intervenendo sia sugli aspetti tecnici dell'intervento sia sull'organizzazione della gestione pre e post-operatoria. Grazie a criteri di selezione chiari e a un approccio integrato tra le figure cliniche coinvolte, il protocollo consente di ridurre tempi di degenza e costi, non compromettendo la sicurezza del paziente o l'efficacia clinica. Oggi la TAVI è raccomandata non solo per pazienti ad alto rischio o inoperabili, ma anche per i pazienti over 75, come da linee guida, ampliando così la platea dei pazienti eleggibili. Un altro obiettivo strategico del progetto è ampliare la capacità di trattamento del centro, rispondendo alla domanda crescente legata all'invecchiamento della popolazione e ai ritardi accumulati dopo la pandemia da Covid-19.
La realizzazione di TAVI-FAST è stata possibile grazie alla collaborazione con Edwards Lifesciences, che ha fornito supporto attraverso il Benchmark Program – Transcatheter Valve Care Pathway. Questo programma ha messo a disposizione strumenti di analisi e ottimizzazione del percorso clinico, consentendo all'ASST GOM Niguarda di adottare un modello organizzativo più efficace, sostenibile e orientato alla centralità del paziente.

Metodologia - La metodologia del progetto TAVI-FAST si basa su una mappatura dei percorsi clinici della S.C. Cardiochirurgia e del trapianto di cuore e della S.C. Cardiologia 1 - Emodinamica.

L'analisi ha consentito di valutare le peculiarità organizzative, dimensionare i volumi di attività e identificare aree di miglioramento. In collaborazione con Edwards Lifesciences, l'approfondimento si è concentrato sulle tre fasi chiave del percorso TAVI: Pre, Peri e PostProcedura.
Per la fase pre-procedurale è stata realizzata una checklist per la selezione dei pazienti eleggibili al percorso Fasttrack che valuta in modo strutturato l'anamnesi, l'eleggibilità TC, il ricovero nel medesimo giorno della procedura, il trasferimento precoce in reparto post procedura e la possibilità di dimissione anticipata. Inoltre è fondamentale la corretta informazione a pazienti e caregiver, supportata da materiale dedicato e da incontri multidisciplinari. La fase peri-procedurale si basa su pratiche standardizzate volte a migliorare sicurezza e rapidità, tra cui l'anestesia locale come standard, l'uso della guida ecografica per l'accesso vascolare, la rimozione immediata in sala di guaine femorali e pacemaker e l'eliminazione dell'utilizzo del catetere vescicale.
Infine, la fase post-procedurale è pensata per agevolare il recupero e ridurre la degenza e le complicanze, include check-list infermieristiche per il trasferimento in reparto post procedura, la mobilizzazione e la dimissione precoce e la gestione strutturata dei disturbi di conduzione. Il percorso garantisce continuità assistenziale fino al domicilio prevedendo lo sviluppo di un sistema di comunicazione con i medici curanti per il monitoraggio a lungo termine.

Risultati - Il progetto TAVI-FAST è attualmente in fase di attuazione. Finora è stato definito e condiviso il protocollo operativo che regolamenta il nuovo percorso clinico per i pazienti candidati a TAVI. È stata inoltre sviluppata e implementata la checklist per l'arruolamento dei pazienti, volta alla selezione strutturata dei pazienti eleggibili. Tra le prime azioni concrete rientra la riorganizzazione degli slot ambulatoriali per l'esecuzione delle TC, con l'obiettivo di ridurre i tempi di degenza pre-operatoria.
Sono stati individuati i principali indicatori di performance che verranno utilizzati per monitorare l'andamento del progetto. Poiché il protocollo è in fase di adozione, la rilevazione dei dati e l'analisi degli impatti sarà avviata nel 2024–2025. I risultati attesi comprendono un miglioramento complessivo dell'efficienza organizzativa, una riduzione della durata della degenza, una gestione più rapida e sicura dei pazienti idonei e un utilizzo più razionale delle risorse. L'obiettivo finale è costruire un percorso strutturato e sostenibile, capace di garantire qualità e continuità assistenziale.

Bibliografia

- *Lauck SB, Wood DA, Baumbusch J, et al. Vancouver transcatheter aortic valve replacement clinical pathway: Minimalist approach for the next generation. Circ Cardiovasc Qual Outcomes. 2016;9(3):312–21.*
- *Lauck SB, McAllister FA, Carroll S, et al. Implementation of processes of care to support minimalist transcatheter aortic valve replacement in a real-world setting. Cardiovasc Revasc Med. 2020;21:1573–8.*

Autore di riferimento: Daniela Gattuso, daniela.gattuso@ospedaleniguarda.it

Dalla clinica all'innovazione tecnologica: l'esperienza dell'AOU di Parma

Giordano B.[1], Boccuni C.[2], Pagano R.3, Linguadoca C.[3], Rosi C.[3], Barbata I.[4], Castellano S.4, Santoro M.[5], Dagradi S.[6], Zanardi A.[3], Berghenti M.[1], Azzali G.[4], Rossi S.[2]

[1]SSDI Ingegneria Clinica AOU-AUSLPR; [2]Direzione Sanitaria AOUPR; [3]Servizio Farmacia e Governo Clinico Farmaco AOUPR; [4]SCI Acquisizione Beni AOUPR; [5]Servizio Farmacia Ospedaliera e Assistenza Diretta AUSLPR; [6]Scuola di Specializzazione in Igiene e Medicina Preventiva, Università di Parma.

Obiettivi - La pubblicazione delle linee guida dell'Associazione Urologica Europea (2025) ha introdotto la necessità di aggiornare la procedura clinica nell'effettuazione delle biopsie nell'ambito della diagnostica delle neoplasie prostatiche. Il seguente lavoro si pone come obiettivo quello di illustrare il percorso sinergico effettuato nell'ambito del Nucleo Provinciale di Valutazione (NPV), al fine di introdurre un sistema innovativo che consenta l'allineamento alle nuove indicazioni cliniche dettate dalle linee guida.

Metodologia - Partendo dalla richiesta pervenuta da parte dell'UOC di Urologia, è stata aperta un'istruttoria da parte del NPV al fine di valutare l'introduzione di un sistema per l'esecuzione delle biopsie transperineali per la diagnosi del cancro alla prostata. Per garantire la centralità del paziente nel percorso di cura, a fronte dell'innovazione tecnologica richiesta, il gruppo di lavoro multidisciplinare si è confrontato partendo dall'analisi della letteratura e approfondendo gli aspetti di efficacia, di sicurezza e di ottimizzazione dei percorsi.

Analisi della letteratura - A seguito della consultazione delle principali banche dati (Pubmed, Embase, ecc.) sono emerse evidenze in merito al minore rischio infettivo della biopsia transperineale rispetto a quella transrettale e di come la prima rappresenti il nuovo standard nella diagnosi del tumore alla prostata.
Descrizione del sistema oggetto di valutazione - Al fine dell'implementazione della nuova modalità di esecuzione delle biopsie, è stato oggetto di valutazione un apposito sistema che prevede la tecnica "fusion" per la visualizzazione delle immagini di Risonanza Magnetica insieme a quelle ecografiche.
L'apparecchiatura ecografica già presente, oggetto di specifico aggiornamento software, sarà equipaggiata con una sonda ecografica, supportata da un apposito stepper, che consentirà l'accesso transperineale. Il sistema, inoltre, prevede l'utilizzo di grids monouso, la cui finalità è quella di consentire al clinico l'esecuzione della biopsia "a mano guidata", in modo che sia garantito il migliore posizionamento per l'effettuazione della biopsia.

Analisi dei benefici e impatto organizzativo - Come riportato dalle evidenze presenti in letteratura,

l'erogazione della nuova procedura consentirà una notevole riduzione del rischio di infezione nei pazienti rispetto all'esecuzione della tecnica con accesso transrettale, garantendo un'ottimale gestione del paziente ed il miglioramento del percorso di cura.

Analisi economica - Il gruppo di lavoro ha effettuato l'analisi del sistema anche dal punto di vista dei costi, rilevando una criticità relativa al materiale di consumo monouso in relazione al numero di procedure/anno indicate dal clinico nella richiesta. Essendo state fornite da parte della Regione Emilia-Romagna indicazioni alle singole aziende sanitarie, in merito alla spesa da prevedere nel corso del 2025 per i dispositivi medici monouso, si è proceduto con una richiesta di miglioria dell'offerta economica del sistema a fronte dell'elevato numero di prestazioni previste, non essendo stato possibile rimodulare il fabbisogno annuo a seguito di confronto con il clinico.

Risultati lavoro - L'analisi del sistema sotto i diversi domini di valutazione previsti dall'HTA, ha consentito al gruppo di lavoro multidisciplinare di approfondire sia gli aspetti inerenti l'efficacia e la sicurezza, ma anche l'impatto dei costi nell'ambito del percorso di cura, riconoscendo la necessità di introdurre il sistema, seppur con una rimodulazione dei costi al fine di attenersi alle indicazioni regionali e all'ottimizzazione della spesa. Al fine dell'acquisizione del sistema, è in corso una specifica valutazione con il servizio preposto, per l'individuazione della corretta procedura da intraprendere.

Bibliografia

- *European Association of Urology (EAU), European Society of Urogenital Radiology (ESUR), European Association of Nuclear Medicine (EANM), European Society for Radiotherapy & Oncology (ESTRO), International Society of Urological Pathology (ISUP). Guidelines of Prostate Cancer, 2025;*
- *Jim C. Hu et all, Transperineal Versus Transrectal Magnetic Resonance Imaging–targeted and Systematic Prostate Biopsy to Prevent Infectious Complications: The PREVENT Randomized Trial. European Urology, 2024*
- *Emily Cheng 1, Meenakshi Davuluri, Patrick J Lewicki, Jim C Hu, Spyridon P Basourakos. Developments in optimizing transperineal prostate biopsy. Current Opinion in Urology, 2022.*

Autore di riferimento: Bruna Giordano, bgiordano@ausl.pr.it

Modello City Competent ed Arte Partecipativa per l'Implementazione dell'Assistenza Sanitaria Territoriale in ASL Roma 3

Giordano V.[1], Scozzafava A.[2], Martorelli M.[3], Sgroi D.[4], Figori/li L.[5]

[1]Direzione Strategica ASL Roma3, [2]Direttore Amministrativo ASL Roma3, [3]Mikavideo, [4]Direttore Dipartimento Cure Primarie e I.S. S. ASL Roma3, [5]Direttore Generale ASL Roma3

Obiettivi - Il progetto è sviluppato nell'ambito della componente M6C1 della Missione 6 — Salute del PNRR, con l'obiettivo di potenziare i servizi sanitari territoriali, focalizzandosi sull'assistenza domiciliare e continuativa per pazienti con patologie croniche. La tecnologia in questo caso si concretizza nell'innovativo processo rappresentato dal modello City Competent, che integra l'arte partecipativa per favorire la partecipazione attiva e consapevole dei cittadini nei percorsi di cura. Gli obiettivi principali del progetto sono alfabetizzare cittadini ed anche operatori sanitari sulle nuove modalità di assistenza territoriale, inclusa la telemedicina, e creare un sistema integrato e sostenibile di cura, sviluppato in collaborazione con gli Enti del Terzo Settore (ETS), per migliorare l'accesso e la continuità delle cure.

Metodologia - Il progetto è stato implementato nei territori di Ostia e Fiumicino, coinvolgendo ETS locali attivi nel supporto alla popolazione fragile. È stato realizzato un corso di alfabetizzazione sociosanitaria in collaborazione con IPACS (Institutional & Public Coaching Services), che ha formato 18 operatori sanitari e 12 cittadini. L'approccio partecipativo ha incluso attività di co-progettazione, formazione esperienziale, l'uso di materiali didattici, questionari pre e post-intervento (Org-EIQ) e la produzione di sette video di arte partecipativa. I video, creati congiuntamente con la partecipazione proattiva di cittadini e operatori, illustrano i percorsi di assistenza territoriale, la presa in carico post-dimissione, la telemedicina domiciliare e l'accesso a servizi specialistici quali protesica, consultori e salute mentale. Il modello City Competent, che rappresenta l'elemento innovativo del processo, ha potenziato il ruolo dei cittadini "guida", dotati di soft skills (comunicazione, intelligenza emotiva, negoziazione), per favorire il dialogo e la collaborazione tra cittadini e operatori sanitari.

Risultati - I dati preliminari raccolti fino ad ora indicano un miglioramento nelle competenze comunicative e nella conoscenza reciproca dei servizi tra i partecipanti. La rete collaborativa tra ASL, ETS e territorio ha puntato a migliorare l'accesso e la continuità delle cure. L'uso dell'arte partecipativa, come tecnologia innovativa per la governance di integrazione socio-sanitaria (progetto "Landing Page" di M. Martorelli), ha svolto un importante ruolo, incrementabile, nel rafforzare la consapevolezza e la responsabilizzazione degli utenti e degli operatori sanitari. Gli indicatori quantitativi,

come il numero di comportamenti virtuosi osservati, la qualità dell'interazione medico-paziente, i report delle prenotazioni e gli spazi co-gestiti, supportano la validità e la sostenibilità del modello. Il progetto è stato replicato in altre aziende locali sanitarie e non ed apprezzato in sede di promozione ad eventi istituzionali coinvolgendo Regione Lazio, Camera dei Deputati, Comuni e Municipi, consolidando il modello City Competent come esportabile e scalabile per l'HTA territoriale e finanche nazionale.

Bibliografia

- *1 NRRP Missions and Component. Update nov 2022. Disponibile da: www.governo.it*
- *2 Cioffi et al. City Competent Model to Implement Care at Home. 2024. DOI: 10.5772/intechopen:1004650*
- *3 IPACS Institutional & Public Coaching Services. wwwxipecsejt / www,oomp„eienc„eœonomyat*

Autore di riferimento: Valeria Giordano, valeria.giordano@aslroma3.it

Studio di fattibilità per la realizzazione di una Radiofarmacia in GMP per la produzione in house di 177Lutezio-PSMA

Graps E.A.[1], Di Fazio P.[2], Ancona D.[3], Giuliani R.[4], Migliore G.[5]

[1]Direttore Medico Area Valutazione e ricerca e Centro Regionale HTA AReSS Puglia, [2]Direttore Medico U.O.C. Medicina Nucleare P.O. Mons. Di Miccoli – ASL BT, [3]Direttore Dipartimento Farmaceutico ASL BT, [4]Dirigente Servizio Ricerca sanitaria e sperimentazioni gestionali AReSS Puglia, [5]Direttore Generale AReSS Puglia

Obiettivo - Il Tumore della prostata è il cancro più comune negli uomini; in Italia sono 484.882 gli uomini che vivono dopo tale diagnosi e, nel 2024, sono state stimate circa 40.192 nuove diagnosi. La terapia di deprivazione androgenica (ADT) rappresenta il trattamento medico di riferimento. Entro 5 anni dalla diagnosi una percentuale di soggetti dal 10% al 20% sviluppa meccanismi di resistenza e va incontro a Tumore metastatico della prostata resistente alla castrazione chimica (mCRPC).
Le prove disponibili in letteratura indicano che la terapia con radioligando 177Lu-PSMA è un trattamento sicuro ed efficace per i pazienti con mCRPC. La terapia con Radioligandi (RLT) del mCRPC con Lu177-PSMA è un intervento di terza linea riconosciuto efficace e autorizzato da AIFA con un farmaco specifico (177Lu-PSMA617); esiste tuttavia in farmacopea europea una monografia che consente la produzione di analogo farmaco (177Lu -PSMA-I&T) secondo buone norme di preparazione riconosciute (GMP).
Obiettivo dello studio è valutare la fattibilità di allestimento di una radiofarmacia (RF) in GMP nella Radioterapia metabolica di una UOC di Medicina Nucleare (MN) ospedaliera e operare nell'ambito della RLT per il trattamento del mCRPC efficientando i processi di presa in carico, il contenimento dei costi di trattamento con produzione in house di radiofarmaci (RFF), usufruire degli esiti di protocolli di ricerca nazionali ed internazionali sull'utilizzo della RLT in prima linea terapeutica.

Metodologia - Si è provveduto a: un'analisi di scenario approfondendo l'impatto del DLgs n.101/2020 sulle MN in Italia e in Puglia, le potenzialità della RTL e gli ambiti di principale applicazione; una disamina dei RFF terapeutici per il mCRPC e dei presupposti per la produzione in house di RFF; un inquadramento epidemiologico del tumore della prostata e dei relativi trattamenti di provata efficacia con definizione fabbisogno regionale di radioligandi per RLT del mCRPC in funzione della sua prevalenza e incidenza; un'analisi organizzativa delle strutture di MN pugliesi e dei flussi di ricovero in Puglia e in mobilità passiva per radioterapia; l'identificazione dei costi strutturali e di gestione, dei risparmi annui sulla produzione di singola dose di farmaco e delle complessive dosi necessarie, del risparmio annuo sulla spesa farmaceutica regionale. Sono state consultate fonti informative da registri, flussi amministrativi/sanitari, esiti di aggiudicazioni di gare

regionali, piani finanziari di progetti nazionali in corso, etc.

Risultati - La stima dei costi riferibili al primo anno di funzionamento della RF in GMP è pari a 2.746.792,25€, nel secondo e terzo anno è sovrapponibile ed è pari a €5.031.380,25. Il risparmio per ciascuna dose di farmaco nel primo anno di gestione della RF in GMP è pari a €7.076,39 e nel complesso è pari a €2.335.207,75; dal secondo anno di gestione è pari a €7.776,70 e nel complesso di €5.132.619,75; i medesimi risparmi del secondo anno sono previsti per il terzo anno di gestione della RF. La sostenibilità economico-finanziaria dell'iniziativa basata sulla produzione del PSMA marcato con il 177 lutezio (177Lu-PSMA-I&T) e destinato al trattamento dei pazienti con mCPRC della sola ASL BT mostra evidenza di pieno rientro dall'investimento iniziale a partire dal secondo anno di attività della RF in GMP. Lo studio di fattibilità ha esitato nella proposta di realizzazione di una RF in GMP nel reparto di MN dell'Ospedale Mons. Di Miccoli di BT per il trattamento del mCPRC.

Bibliografia

- *1 I numeri del Cancro in Italia 2024 al link https://www.aiom.it/wpcontent/uploads/2024/12/2024_NDC-web.pdf.*
- *2 La terapia con RadioLigandi in oncologia - LIBROBIANCO www.sifoweb.it/images/pdf/eventi-edecm/atri-eventi/patrocini-congressi/RLT_LibroBianco_Set2022.pdf*
- *3 Radio-223 nel trattamento del carcinoma della prostata metastatico resistente alla castrazione (mCRPC): risultati di una valutazione di Health Technology Assessment" disponibile al link https://www.ijph.it/hta-radio-223-carcinoma-prostata-metastatico-mcrpc*
- *4 HTA report del 26 Aprile 2024 177Lutetium PSMA radioligand therapy for the treatment of metastatic castrate resistant prostate cancer disponibile al link https://www.hiqa.ie/sites/default/files/2024-04/2023-004-Report.pdf*

Autore di riferimento: Elisabetta Anna Graps elisabettagraps@gmail.com;

Conceptualization and development of a micro-costing analysis for estimating administration costs in non-small cell lung cancer in Italy

Graziosi G.[1], Sansone C.[2], Canali B.[1], Vassallo C.[1], Marconi L.[2], Caputo A.[2], Francesa Morel PC.[2]

[1]IQVIA Solutions Italy S.r.l., Milan, Italy, [2]Johnson & Johnson Innovative Medicine S.p.A. Italy, Milan,Italy

Objectives - Non-small cell lung cancer (NSCLC) accounts for the majority of lung cancer cases and remains one of the leading causes of cancer-related mortality in Italy [1]. In the treatment of Epidermal Growth Factor Receptor-mutated (EGFR+) NSCLC, intravenous (IV) therapies are widely used, possibly imposing a significant burden on patient quality of life and healthcare costs [2]. Emerging subcutaneous (SC) formulations, showing non-inferiority in efficacy and safety to their IV versions [2], may present as an alternative. Estimating the economic impact of these two administration methods might provide valuable insights for optimizing treatment decisions and resource allocation. This study aims to conceptualize and develop a cost model to estimate and compare the costs associated with IV and SC administration routes in EGFR+ NSCLC.

Methods - To conceptualize the model, first a structured review of hospital protocols, national guidelines and published Italian literature[3,5] supported the identification of patient pathways relating to IV and SC administrations in EGFR+ NSCLC. To determine the most appropriate cost estimation methodology for the study context, available literature and guidelines on approaches adopted in health economics evaluations were reviewed[6,7]. The type of calculation approach (bottom-up or top-down[7,8] and the perspective of the analysis were then defined. A stepwise approach guided the model development:
1) identification of key cost categories and associated resource consumption for IV/SC administration,
2) retrieval of unit costs from national tariffs, publicly available sources and hospital-based sales data,
3) expert validation,
4) integration of inputs into a Microsoft Excel model.

Results - Among the main costing methodologies, micro-costing was selected for its transparency, reliability and specificity and its indication for estimating costs of a new or existing health intervention. To improve accuracy, a bottom-up approach was adopted, as it allows for a detailed cost a ssessment by tracking resource use directly at patient level. The perspective of the Italian National Healthcare Service was chosen and direct healthcare costs (expressed in 2024 Euros [€]) were included. Selected cost items were pre-medications, blood exams, medical consumables necessary for catheter

management, drug preparation and administration, and healthcare professional (HCP) active time, categorized by profession. Overhead costs were applied to non-drug consumable costs and to HCP salaries. The gathered information was validated with an external syndicated panel of clinical experts composed of oncological specialists, nurses, and hospital pharmacists. The final Excel-based model, integrating the retrieved information by cost category, estimates total and average costs for IV and SC administration, and the difference between the two, with additional analyses on cost distribution by process, phase, and cost driver, as well as total HCP active time per administration. Deterministic sensitivity analyses were run to confirm the model's robustness, varying the most uncertain parameters. This study provides a comprehensive micro-costing analysis framework, identifying key cost drivers and generating transparent cost estimates for IV and SC administration in EGFR+ NSCLC and the findings may support more informed decision-making in clinical practice.

Bibliography

- *1 AIOM, AIRTUM., I numeri del cancro in Italia. 2024, (n.d.).*
- *2 D. Rocco, L. Della Gravara, M.C. Boccia, G. Palazzolo, C. Gridelli, Novel Combination of Therapeutic Approaches in Advanced NSCLC with EGFR Activating Mutations, Targets 2 (2024) 237–249. https://doi.org/10.3390/targets2030014.*
- *3 AIOM, Linee guida NEOPLASIE DEL POLMONE, (2024).*
- *4 SIFO - Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei servizi farmaceutici delle aziende sanitarie - Standard tecnici di Galenica Oncologica, (2012-2016).*
- *5 B. Sousa, J. Furlanetto, M. Hutka, P. Gouveia, R. Wuerstlein, J.M. Mariz, D. Pinto, F. Cardoso, Central venous access in oncology: ESMO Clinical Practice Guidelines, Annals of Oncology 26 (2015) v152–v168. https://doi.org/10.1093/annonc/mdv296.*
- *6 J.C. Jacobs, P.G. Barnett, Emergent Challenges in Determining Costs for Economic Evaluations, Pharmacoeconomics 35 (2017) 129–139. https://doi.org/10.1007/s40273-016-0465-1.*
- *7 X. Xu, C.M. Lazar, J.P. Ruger, Micro-costing in health and medicine: a critical appraisal, Health Economics Review 11 (2021) 1. https://doi.org/10.1186/s13561-020-00298-5.*
- *8 S.S. Tan, F.F.H. Rutten, B.M. van Ineveld, W.K. Redekop, L. Hakkaart-van Roijen, Comparing methodologies for the cost estimation of hospital services, Eur J Health Econ 10 (2009) 39–45. https://doi.org/10.1007/s10198-008-0101-x.*

Autore di riferimento: Carmen Sansone, csansone@its.jnj.com

Vaccino ANTIHPV: uno strumento di prevenzione efficace ed efficiente ancora sottoutilizzato

Grieco V.[1], Fiorito D.[2], Sciattella P.[3], Di Brino E.[4], Irato E.[5], Di Prima A.[5], Mereu L.[2], Giorgianni G.[6], Ragusa R.[7]

[1]Scuola di Specializzazione in Igiene e Medicina Preventiva, Università di Catania, [2]UOC Ginecologia ed Ostetricia - AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania, [3]CEIS-EEHTA, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata", [4]ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma, [5]Registro Tumori Integrato Catania-Messina-Enna - AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania, [6]UOS Attività Vaccinali metropolitane e provinciali ASP 3 Catania, [7]Coordinatore Commissione HTA – AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania

Obiettivi - Numerosi studi hanno confermato nel tempo la sicurezza e l'efficacia dei vaccini nella prevenzione delle infezioni da Papilloma virus (HPV). Negli anni, i vaccini si sono arricchiti di ceppi patogeni, estendendo la possibilità di prevenzione ad altri tumori e malattie correlate all'HPV. Una maggiore copertura vaccinale della popolazione pu ridurre significativamente il rischio di altri tumori urogenitali, del collo, della testa e lesioni benigne come le verruche genitali.
Oltre alla prevenzione primaria, è stato osservato un effetto adiuvante della vaccinazione nella riduzione della displasia cervicale persistente o recidivante.
Il nostro studio mira a determinare la proporzione di donne affette da displasia cervicale o carcinoma cervicale che hanno ricevuto la vaccinazione anti-HPV, distinguendo tra chi è stata vaccinata prima o dopo la diagnosi

Metodologia - È stato condotto uno studio osservazionale retrospettivo dalla Commissione HTA dell'Azienda Ospedaliero Universitaria Policlinico "G. Rodolico- San Marco" di Catania in collaborazione con la Azienda Sanitaria Provinciale di Catania.
Sono state incluse tutte le donne residenti nella provincia di Catania (circa 1 milione di abitanti), che hanno avuto una diagnosi citologica o istologica confermata di lesioni squamose intraepiteliali di alto grado (H-SIL) o cancro al collo dell'utero tra gennaio 2003 e dicembre 2020 codificati dal Registro Tumori della provincia di Catania.
Le valutazioni citologiche hanno seguito il sistema Bethesda per la segnalazione della citologia cervicale, mentre i campioni di biopsia sono stati classificati secondo indicazioni previste dall'Agenzia internazionale per la ricerca sul cancro. La morfologia è stata codificata secondo la classificazione internazionale delle malattie per l'oncologia, terza edizione (ICDO-3).
Lo stato di vaccinazione è stato determinato utilizzando il Registro provinciale delle vaccinazioni di Catania, includendo tipo di vaccino, numero di dosi e date di somministrazione. Le pazienti sono state classificate come completamente vaccinate, parzialmente vaccinate, se le dosi ricevute erano inferiori a quelle raccomandate, e non vaccinate, se non avevano ricevuto alcuna dose. Lo stato in vita dei pazienti è stato verificato utilizzando il Registro Nazionale delle Cause di Morte, aggiornato al 31 dicembre 2023.

Risultati - Nel periodo 2003-2020 sono state osservate 751 neoplasie cervicali e 1.901 diagnosi di H-SIL. Tra le donne con diagnosi di H-SIL, 1.620 (85,2%) non avevano mai ricevuto una vaccinazione contro l'HPV, 275 (14,5%) erano state vaccinate dopo la diagnosi di lesione cervicale e 6 (0,3%) avevano sviluppato una lesione HSIL dopo il vaccino (tutte avevano ricevuto il vaccino quadrivalente e presentavano età superiore ai limiti raccomandati al momento della somministrazione). In quattro casi la lesione si è manifestata entro 15 mesi dalla somministrazione del vaccino, indicando una lesione probabilmente già presente, ma misconosciuta.
L'intervallo mediano tra la diagnosi e la prima dose è stato di 623 giorni; l'età media alla vaccinazione era 37,1 anni.
Tra le donne affette da cancro del collo dell'utero, nessuna era stata vaccinata prima della diagnosi. mentre 30 pazienti (4,0%) sono state vaccinate dopo la diagnosi di tumore, con un intervallo medio tra la diagnosi e la prima dose di 1872 giorni e un'età media alla vaccinazione di 39,5; solo 23 hanno completato il ciclo previsto.
Dal 2008, anno in cui il vaccino è diventato disponibile, sono state registrate 1575 diagnosi di H-SIL potenzialmente evitabili con corretta vaccinazione. Queste lesioni precancerose, vengono trattate con procedure excissionali, procedure ospedaliere che hanno un costo per il sistema e possono lasciare reliquati nelle pazienti.
La vaccinazione completa post-conizzazione, offerta gratuitamente dal SSN, contribuisce ad una riduzione del rischio di evoluzione neoplastica, di recidiva e di un secondo tumore primario per la paziente HPV+ e pu ridurre ulteriormente la circolazione del virus, contribuendo alla riduzione, a lungo termine, dell'incidenza del cancro cervicale e tumori associati a HPV. Tuttavia, l'uso del vaccino adiuvante è ancora limitato: solo il 14,5% delle donne con H-SIL e il 4,0% donne con carcinoma hanno eseguito la vaccinazione come prevenzione secondaria e terziaria.

Bibliografia

- *Boccalini S, Ragusa R, Panatto D, et al. Health Technology Assessment of Vaccines in Italy: History and Review of Applications. Vaccines. 2024 Oct;12(10):1090.*
- *Di Donato V, Caruso G, Petrillo M, et al. Adjuvant HPV Vaccination to Prevent Recurrent Cervical Dysplasia after Surgical Treatment: A Meta-Analysis. Vaccines. 2021 May;9(5):410.*

Autore di riferimento: Rosalia Ragusa, ragusar@unict.it

HTA delle Sale Operatore Ibride: Impatto su percorsi clinici e ruolo strategico dell'ingegnere clinico

Iadanza E.[1], Martucci C.[2], Nante N.[2], Messina G.[2] Cartocci A.[2], Cevenini G.[1]

[1]Dipar&mento di Biotecnologie Mediche, Università di Siena, [2]Dipar&mento di Medicina Molecolare e dello Sviluppo, Università di Siena

Obiettivi - L'evoluzione della chirurgia moderna, sempre più orientata a interventi complessi e mininvasivi, rende le Sale Operatorie Ibride (SOi) una risorsa strategica per garantire efficacia clinica, sicurezza e sostenibilità.
Questo lavoro si propone di valutarne l'implementazione in ambito ospedaliero attraverso una prospettiva multidimensionale, secondo l'approccio dell'Hospital-Based Health Technology Assessment (HB-HTA), al fine di fornire ai decisori una base solida per orientare investimenti e scelte gestionali.

Metodologia - Il percorso valutativo si è fondato sui principi dell'Evidence-Based Medicine (EBM) e sul Core Model di EUnetHTA, adattati al contesto decisionale ospedaliero italiano. È stata condotta una revisione sistematica della letteratura scientifica internazionale pubblicata tra il 2010 e il 2024, arco temporale in cui le SOi hanno registrato una diffusione crescente e un consolidamento tecnologico. Le fonti consultate sono PubMed, Google Scholar, ResearchGate e report HTA ufficiali, come l'AdHopHTA Handbook, selezionando studi secondo criteri di rilevanza clinica, validità metodologka e aggiornamento. L'analisi è stata strutturata sui principali domini del Core Model: efficacia, sicurezza, ilmpatto organizzativo, economico e accettabilità. È stata prodotta una sintesi narrativa dei dati disponibili, integrata da confronti quantitativi ove presenti tra soluzioni ibride e convenzionali. Inoltre, sono stati considerati modelli di decision analysis e valutazioni comportamentali degli stakeholder, facendo riferimento agli schemi teorici proposti da von Winterfeldt e Edwards.

Risultati - L'introduzione delle SOi porta benefici clinici, organizzativi ed economici significativi. L'impiego di imaging intraoperatorio avanzato (TC sliding gantry, angiografi robotizzati, fluoroscopia 3D) migliora la precisione chirurgica, riduce i tempi operatori del 15-20% e abbassa il rischio di complicanze e reinterventi, con vantaggi evidenti in chirurgia vascolare, neurochirurgia, ortopedia e oncologia. La sicurezza aumenta grazie a una riduzione della dose radiante fino al 50% per i pazienti e del 20-25% per il personale, grazie a schermature, protocolli ottimizzati e sistemi di navigazione.
Sul piano organizzativo, le SOi permettono la gestione di casi complessi senza trasferimenti interni, semplificando i percorsi e migliorando l'efficienza. Layout multifunzionali e collaborazione tra specialisti favoriscono flussi più agili e un migliore utilizzo delle risorse. Dal punto di vista economico, nono-

stante gli elevati costi iniziali, si osservano risparmi a medio termine per la riduzione delle degenze e dei reinterventi. Le analisi di cost-effectiveness risultano favorevoli nei centri ad alta complessità, dove l'uso intensivo delle tecnologie è più sostenibile.
Infine, l'accettabilità è elevata nei contesti con volumi aliti e team multidisciplinari rodati, grazie alla formazione avanzata e al coinvolgimento degli operatori. Restano invece criticità nei centri periferici, legate a costi, logistica e necessità di riorganizzazione.

Conclusioni - L'introduzione di una SOi si configura come un investimento strategico per gli ospedali che gestiscono patologie ad alta complessità. L'approccio HB-HTA consente di valutarne il valore aggiunto in modo rigoroso e sistemico, integrando dimensioni cliniche, organizzative ed economiche. L'integrazione strutturale e funzionale di tecnologie avanzate non solo innalza il livello di sicurezza e qualità delle cure, ma rappresenta anche una leva concreta per l'innovazione sostenibile del sistema sanitario, contribuendo alla modernizzazione delle infrastrutture chirurgiche e al rafforzamento dei percorsi assistenziali.

Bibliografia

- *1. Giménez M, et al. Definitions of Computer-Assisted Surgery and Intervention, Hybrid Operating Room, and Guidance Systems: Strasbourg International Consensus Study. Ann Surg Open. 2020.*
- *2. Patel S, et al. Understanding the Costs of Surgery: A Bottom-Up Cost Analysis of Both a Hybrid Operating Room and Conventional Operating Room. Int J Hea/th Policy Manag. 2022.*
- *3. Liao CH, et al. Treating cerebrovascular diseases in hybrid operating room equipped with a robotic angiographic fluoroscopy system: level of necessity and 5-year experiences. Acta Neurochir. 2019.*
- *4. Sampietro Colom L, et al. The AdHopHTA Handbook. Barcelona; 2015.*
- *5. Winterfeldt D von, Edwards W. Decision Analysis and Behavioural Research. Cambridge University Press; 1971.*
- *6. Rehman ZU, et al. Comparison of Patient Radiation Dose and Contrast Use during EVAR in a Dedicateci Hybrid Vascular OR and Mobile Imaging. Ann Vasc Surg. 2019.*
- *7. Muennig P, Bounthavong M. Cost-Effectiveness Analysis in Hea/th: A Practica/ Approach, 3rd Ed. Jossey-Bass, 2016.*

Autore di riferimento: Ernesto Iadanza, ernesto.iadanza@unisi.it

Stato vaccinale dei pazienti con diagnosi di Mieloma multiplo o Gammopatia monoclonale di significato incerto: valutazione impatto economico ed organizzativo

Ippolito A.[1], Grieco V.[2], Sciattella P.[3], Di Brino E.[4], Romano A.[5], Torrisi A.[6], Di Prima A.[6], Chillari C.[2], Giorgianni G.[7], Ragusa R.[8]

[1]Scuola di Specializzazione Statistica Sanitaria e Biometria – Università di Pavia, [2]Scuola di Specializzazione in Igiene e Medicina Preventiva, Università di Catania, [3]CEIS-EEHTA, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata", [4]ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore di Roma, [5]UOC Ematologia - AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania, [6]Registro Tumori Integrato Catania-Messina-Enna - AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania, [7]UOS Attività Vaccinali metropolitane e provinciali ASP 3 Catania, [8]Coordinatore Commissione HTA – AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco" Catania

Obiettivi - Il paziente con diagnosi di mieloma multiplo o gammopatia monoclonale di significato incerto (MGUS) è considerato un paziente fragile, a rischio di outcomes severi post-infettivi per cui è raccomandata e viene offerta dal SSN, una prevenzione vaccinale all'interno di finestre specifiche. Poiché una tra le complicanze più temibili è la polmonite, sono raccomandate le vaccinazioni contro il virus influenzale, il SARS-CoV-2, lo pneumococco, il virus Herpes Zoster (con vaccino ricombinante adiuvato), tutti causa di patologie a trasmissione aerea, altamente contagiose e quindi difficili da evitare in caso di circolazione dell'agente etiologico, se non vaccinati.
Nonostante le raccomandazioni esistenti, ci sono evidenze limitate riguardo l'effettiva copertura vaccinale di questi pazienti.
Questo studio mira a valutare lo stato vaccinale in una coorte di pazienti ematooncologici, in particolare la vaccinazione post-diagnosi, la completezza del ciclo vaccinale, le tempistiche delle vaccinazioni, correlandole con lo stato in vita e la presenza di complicanze infettive (polmoniti).

Metodologia - È stato condotto uno studio di coorte retrospettivo sui pazienti affetti da mieloma multiplo o MGUS diagnosticati nella provincia di Catania nel periodo 2000 - 2023 raccolti da database del Registro Tumori Integrato Ct-Me-En. Lo stato vaccinale è stato recuperato incrociando i casi con i dati raccolti nel database dell'anagrafe vaccinale Provinciale. Sono state esaminate le cartelle cliniche ed i dati relativi alle vaccinazioni raccolti durante le visite ambulatoriali, i flussi ospedalieri per eventuale ricovero per patologia infettiva ed è stata verificata la presenza di diagnosi di patologia infettiva tra le cause di morte. Le variabili considerate sono state: diagnosi di tumore, data ultimo follow-up, data di decesso, data e componenti delle vaccinazioni effettuate. Sono state ricercate le polmoniti tra le cause di ricovero o di decesso.

Risultati - Sono stati osservati 737 casi di MGUS e mieloma multiplo con follow up aggiornato al 31 marzo 2025. Le coperture vaccinali osservate, in entrambi i tipi di malattia, risultano per l'influenza del 30,9%, per Varicella Zoster 6%, per SARS-CoV2 39% e per pneumococco del 10%

dei soggetti vaccinabili. Dalle analisi preliminari su 662 casi analizzati sono stati riscontrati 25 casi di ricoveri per polmoniti di cui 21 causa di decesso.
In totale, sono stati osservati 176 decessi, il 12% dei quali per polmonite. La mortalità per tutte le cause è risultata pari al 45,4% tra i soggetti mai vaccinati e al 18,4% tra i soggetti con almeno una dose di vaccino. L'analisi del rischio relativo (RR) mostra che la vaccinazione è significativamente associata a una riduzione della mortalità nella coorte complessiva (comprendente pazienti con MGUS e mieloma multiplo).
Nonostante l'esistenza di raccomandazioni da parte delle società scientifiche (AIOM, AIE, SITI), linee guida internazionali e la previsione di questi vaccini per patologia e per età nel Piano Nazionale Prevenzione Vaccinale 2023 - 2025 e Piani vaccinali precedenti, le coperture vaccinali rimangono insufficienti a garantire protezione di questi soggetti fragili con complicanze e costi evitabili.
Le finestre temporali nelle quali le vaccinazioni possono essere eseguite nei soggetti oncoematologici, per avere il massimo dell'efficacia, devono essere ben conosciute e rispettate. Il modello organizzativo emergente proposto è la realizzazione di sedute vaccinali in ambiente ambulatoriale nei reparti di ematologia ed oncologia contestualmente ai controlli periodici o di follow-up. Questo consentirebbe di ridurre la vaccine hesitancy da parte dei pazienti, mantenere le corrette tempistiche e migliorare l'appropriatezza della somministrazione dei vaccini con riduzione delle complicanze infettive e costi correlati. Sarà necessario garantire un supporto a livello regionale dei reparti di ematologia ed Oncologia con personale dedicato o personale condiviso con azienda territoriale, ente preposto alla gestione delle politiche vaccinali.

Bibliografia

- *Ludwig H, Kumar S. Prevention of infections including vaccination strategies in multiple myeloma. Am J*
- *Hematol. 2023 Mar;98 Suppl 2: S46-S62*
- *Interventions to reduce infections in patients with hematological -analysis. Blood Adv. 2023 Jan 10;7(1):20-31*
- *Chai KL, Wong J, Weinkove R, et al. malignancies: a systematic review and meta*
- *Anttalainen A, Havula E, Kysenius K, et al. A real-world study on the impact of infection load on mortality in multiple myeloma patients in Finland. Ann Hematol. 2025 Apr;104(4):2373-2385*

Autore di riferimento: Rosalia Ragusa, ragusar@unict.it

Applicazione del metodo MultiCriteria Decision Analysis (MCDA) per l'HTA: l'esperienza di Regione Lombardia

Magliocca S.[1], Casati P.[2], Dotti A.[3], Tedesco D.[4], Puleo G.[5], Mantione R.[6], Tubbiolo D.[7], Colombo P.[8]

1Matematico. S.C. Qualità e Rischio Clinico - S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda. Milano, 2 Economista Sanitario. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 3 Psicologa Clinica. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 4 Ingegnere Gestionale. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 5 Ingegnere Clinico. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 6 ngegnere Clinico. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 7 Farmacista. Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, 8 Dirigente Medico. Coordinatore Gruppo Regionale HTA. DG Welfare U.O Polo Ospedaliero. Regione Lombardia. Milano, Italia

Obiettivi - La MultiCriteria Decision Analysis (MCDA) è una metodologia che si occupa dello sviluppo di modelli analitici volti alla gestione dei processi decisionali in contesti caratterizzati dalla presenza di molteplici criteri. Nell'ambito Health Technology Assessment (HTA) l'approccio MCDA si presenta come uno strumento utile per supportare i decisori nell'analisi delle tecnologie sanitarie, permettendo una valutazione strutturata, trasparente e riproducibile. Questo tipo di analisi permette di integrare informazioni eterogenee e diminuire la complessità nell'elaborazione della decisione. L'obiettivo di questo abstract è, pertanto, quello di illustrare il modello decisionale adottato nelle fasi di valutazione condotte dalla Commissione Regionale HTA di Regione Lombardia, descrivendone in breve la struttura e le principali caratteristiche.

Metodologia - La struttura del modello MCDA in esame prevede complessivamente la selezione di 20 criteri per la valutazione in ambito HTA, suddivisi in 15 criteri quantitativi, impiegati per l'elaborazione dell'indice complessivo di valutazione, e in 5 criteri qualitativi, non soggetti a valutazione numerica, la cui analisi si basa sulla selezione di opzioni predefinite volte a rappresentare l'opinione del decisore, in questo caso i membri della Commissione Regionale. Relativamente ai criteri quantitativi il modello MCDA presentato adotta il metodo del ranking per l'assegnazione dei pesi. Tale approccio prevede di stabilire un ordinamento gerarchico espresso dai decisori così da determinare l'importanza di ciascun criterio rispetto agli altri.
La valutazione della tecnologia avviene attraverso la combinazione di diversi fattori che concorrono alla definizione dell'indice complessivo tramite l'aggregazione con i valori dei pesi associati a ciascun criterio. Un primo fattore consiste nell'attribuzione di un punteggio, su una scala da 1 a 5, assegnato direttamente ai criteri in relazione alla tecnologia oggetto di valutazione. Un secondo fattore invece riguarda la presenza o assenza di informazioni; tale valore ha esito binario (presenza/assenza) e consente di annullare l'influenza del giudizio qualora non vi siano sufficienti evidenze per una valutazione

consapevole. Un ultimo fattore considera la certezza dell'informazione intesa come la combinazione tra la qualità e la quantità di informazioni, qualora disponibili, e viene valutato mediante una scala a 3 livelli. Questi fattori, unitamente ai pesi associati ai criteri, vengono successivamente normalizzati al fine di generare un indice complessivo della valutazione compreso tra 0 e 1. La soglia selezionata per l'eventuale raccomandazione della tecnologia è pari a 0.50.
La formulazione del giudizio finale sulla tecnologia si fonda sul valore dell'indice risultante dalla valutazione dei criteri quantitativi, e viene integrato dalle osservazioni e dalle raccomandazioni derivanti dall'analisi dei criteri qualitativi. A completamento del processo valutativo viene consegnata ai membri della commissione una scheda che raccoglie eventuali riflessioni e commenti circa le modalità con cui potrebbe essere introdotta la tecnologia.

Risultati - Il modello MCDA presentato, analogamente ad altri approcci di analisi decisionale multicriterio, fornisce al decisore una struttura schematica di riferimento al fine di orientare il processo decisionale in contesti complessi nei quali è necessario considerare molteplici criteri contemporaneamente. Tale modello è caratterizzato dall'assenza di un comparatore esplicito e dall'utilizzo del metodo del ranking per l'attribuzione del peso ai criteri. Ciò consente ai decisori, spesso provenienti da ambiti disciplinari diversi, di esprimere le loro priorità in modo semplice e strutturato, riducendo l'impatto di giudizi più soggettivi, come accade nell'attribuzione diretta dei pesi ai criteri. Si rileva tuttavia una limitazione nel metodo del ranking, in quanto non consente di quantificare l'intervallo di importanza tra i criteri ma si limita all'ordine gerarchico.
Inoltre, il modello proposto prevede l'integrazione di fattori relativi alla presenza e alla certezza delle informazioni. In particolare, qualora non siano disponibili evidenze informative rispetto a uno specifico criterio, quest'ultimo non concorre al calcolo dell'indice complessivo finale. Ciò comporta la penalizzazione implicita della tecnologia valutata qualora essa risulti priva di evidenze informative riferibili all'ambito considerato dal criterio.
In conclusione, il modello MCDA utilizzato da Regione Lombardia ha consentito di ottenere risultati riproducibili e strutturati, dimostrandosi uno strumento valido ed efficace per supportare il decisore nel contesto multidimensionale e complesso dell'HTA nella formulazione di un giudizio finale. Da gennaio a maggio 2025 sono state valutate tre tecnologie dalla Commissione Regionale HTA di Regione Lombardia; l'obiettivo entro fine anno sarà portare a termine la valutazione di sette tecnologie in totale.

Autore di riferimento: Silvia Magliocca, silvia.magliocca@ospedaleniguarda.it

Semaglutide per il trattamento dell'obesità nei soggetti con complicanze ad essa correlate o prediabetici: a threshold analisi

Mantovani L.G.[1,2], Antonazzo I.C.[1,2], Cortesi P.A.[1,2]

[1]*Centro studi Dipartimentale in Sanità Pubblica (CESP), Università degli studi di Milano-Bicocca, Monza, Italia.*
[2]*Laboratorio di Sanità Pubblica, IRCCS Auxologico, Milano, Italia.*

Obiettivi - Il profilo beneficio-rischio di semaglutide per il trattamento di soggetti con obesità, sia con e senza comorbidità correlate al peso, che prediabete, è stato ampiamente valutato e confermato attraverso un ampio programma di sviluppo clinico. Nonostante un profilo beneficio-rischio positivo comprovato, ad oggi questo medicinale non è rimborsato per tale indicazione, e mancano, inoltre, dati sulla sua valorizzazione economica in questo contesto. L'obiettivo della presente analisi è stato quello di stimare il prezzo potenzialmente più appropriato per semaglutide, in diverse popolazioni di pazienti con obesità e complicanze correlate, adottando la prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Metodologia - È stato utilizzato un modello di Markov per confrontare semaglutide in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico verso la sola dieta e l'esercizio fisico in due popolazioni differenti: soggetti con obesità
(BMI≥30 kg/m2) ed almeno una comorbidità correlata al peso e soggetti con obesità (BMI≥30 kg/m2) e prediabete (pazienti con emoglobina glicata, HbA1c, compresa tra 42 e 47 mmol/mol). Il modello simula la transizione dei soggetti tra 19 stati di salute, da quelli senza comorbidità a quelli in cui ne è presente più di una contemporaneamente ed include due stati aggiuntivi che prevedono la possibilità di sviluppare osteoartrite o di sottoporsi ad un intervento di chirurgia bariatrica. Nell'analisi è stato adottato un orizzonte temporale di 40 anni, con cicli trimestrali nel primo anno, e mensili negli anni successivi al primo. Per ogni ciclo della simulazione, i soggetti potevano transitare tra i diversi stati di salute o rimanere nello stesso stato. Nel modello sono stati stimati gli anni di vita guadagnati (LYs), gli anni di vita aggiustati per la qualità (QALYs) e il rapporto incrementale di costo-efficacia (ICER). Per testare la robustezza dello studio, sono state condotte sia un'analisi di sensibilità deterministica (one-way) che un'analisi di sensibilità probabilistica. Le analisi sono state condotte considerando diverse soglie di disponibilità a pagare (Willingness to Pay, WTP) da parte del SSN.

Risultati - Considerando una Willingness to Pay media di € 33.000, nella popolazione con obesità ed almeno una comorbidità correlata al peso, il costo di semaglutide variava da € 230,45 (penna pre-riempita da 0,25 mg) a € 353,80 (penna preriempita da 2,4 mg), corrispondente ad un costo terapia annuo di € 4.217 nel primo anno di trattamento (fase di titolazione e di mantenimento) e di € 4.615

dal secondo anno di trattamento in poi (fase di mantenimento). Allo stesso modo, nei soggetti con obesità e prediabete, il costo variava da € 357,16 a € 548,33, pari ad un costo terapia annuo di € 6.536 nel primo anno di trattamento e di € 7.153 dal secondo anno di trattamento in poi. L'analisi di sensibilità probabilistica ha confermato che semaglutide rimane costoefficace in tutte le simulazioni eseguite, corroborando di fatto quanto osservato nell'analisi principale. L'analisi di sensibilità one-way ha evidenziato che i parametri maggiormente determinanti per i costi erano: il tasso di sconto sui costi ed i benefici ed i costi associati alla gestione delle comorbidità microvascolari. Considerando una WTP minima pari a € 20.000 e massima di € 60.000, i prezzi stimati per i soggetti con obesità ed almeno una comorbidità correlata al peso, erano pari a € 3.262 per il primo anno e € 3.570 per gli anni successivi nello scenario WTP= € 20.000, mentre salivano a € 6.200 per il primo anno e a € 6.785 per gli anni successivi nello scenario WTP= € 60.000. In modo analogo, per i soggetti con obesità e prediabete, il prezzo per il trattamento con semaglutide era pari a € 5.022 nel primo anno e € 5.496 negli anni successivi nello scenario WTP= € 20.000, mentre raggiungeva € 9.681 nel primo anno e € 10.593 negli anni successivi nello scenario con una WTP= € 60.000. I risultati della presente analisi suggeriscono un maggior valore di semaglutide quando utilizzato nei soggetti con obesità, rischio cardiovascolare e prediabete. Data la mancanza di evidenze farmaco-economiche relative all'utilizzo di medicinali rimborsati per il trattamento dell'obesità, i risultati di questo studio potrebbero fornire ai decisori politici nuove informazioni sull'impatto clinico ed economico di tali terapie in Italia.
Studi futuri realizzati in altri Paesi europei ed in diversi setting sanitari, potranno contribuire a definire ulteriormente il valore associato all'uso di semaglutide nei soggetti con obesità, con e senza complicanze correlate al peso, cardiovascolari e prediabete.

Autore di riferimento: Lorenzo Mantovani, lorenzo.mantovani@unimib.it

Il Dm77 e le Malattie rare

Marcellusi A., Manellari S., Managò M.

Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche (DISFARM)

Obiettivi - Il Decreto Ministeriale 77/2022 ha ridefinito l'assistenza territoriale nel Servizio Sanitario Nazionale, promuovendo modelli organizzativi innovativi per la presa in carico dei pazienti, tra cui quelli affetti da malattie rare.
Queste condizioni richiedono continuità assistenziale e integrazione multiprofessionale, elementi centrali nell'architettura del DM77.

Metodologia - È stata condotta una revisione sistematica della normativa e degli atti di programmazione sanitaria EMA nati dalle Regioni e Province Autonome italiane nel periodo 2022–2025. La ricerca è stata effettuata mediante una stringa dedicata alle malattie rare e successivamente raffinata per selezionare esclusivamente la normativa regionale.
È stato infine applicato un filtro temporale per includere solo i documenti pubblicati a partire dall'entrata in vigore del DM77 fino al 2025. In totale sono state analizzate 679 delibere ufficiali.

Risultati - Sono stati identificati 36 documenti che affrontano congiuntamente il DM77 e le malattie rare. L'analisi ha evidenziato una forte eterogeneità tra Regioni. Alcune hanno sviluppato percorsi assistenziali specifici, integrando le malattie rare nella rete territoriale mediante Case della Comunità, équipe multidisciplinari e servizi domiciliari. Ad esempio, in Campania, sono stati individuati 12 centri/presidi di riferimento per gruppi e/o singole patologie rare e 6 centri di eccellenza (European Reference Network, ERN); sono stati definiti anche gli aspetti organizzativi relativi alla struttura Hub-Spoke-centri satelliti, nonché i percorsi assistenziali per la persona con malattia rara[1]. Un approccio simile è stato adottato anche dalla Regione Piemonte[2].
Altre Regioni, invece, si limitano a riferimenti formali, senza previsione di misure operative concrete. Si segnalano anche esperienze regionali innovative, come modelli sperimentali di presa in carico precoce previsti dalla Regione Lombardia[3]. Questa variabilità riflette approcci divergenti alla programmazione sanitaria e differenti stadi di implementazione territoriale del DM77.
Questa analisi rappresenta la prima mappatura nazionale dell'integrazione tra DM77 e malattie rare, evidenziando la necessità di un coordinamento interregionale e di un monitoraggio sistematico per garantire equità e qualità dell'assistenza sull'intero territorio nazionale.

Bibliografia

- *1 Delibera della Giunta regionale 25/01/2024, n. 29 – Campania. Approvazione piano regionale malattie rare 2023-2026 e riordino della rete regionale delle malattie rare.*
- *2 Delibera della Giunta regionale 18/11/2024, n. 21-380 – Piemonte. Rete regionale malattie rare - aggiornamento indicazioni ai sensi del "Piano Nazionale malattie rare 2023-2026" e del documento per il "Riordino della rete nazionale delle malattie rare".*
- *3 Delibera n.7592- (DL) attuazione del DM 23 maggio 2022, n. 77 - Documento regionale di programmazione dell'assistenza territoriale*

Autore di riferimento: Martina Manago, martina.manago@unimi.it

Chirurgia robotica con Hugo Ras: aspetti organizzativi e multidisciplinari, l'esperienza di un Policlinico universitario

Miele J.[1], Di Mattia A.[1], Hart J.G.[2], Castrini F.[2], Cacciuttolo M.G.[2], Sanna A.[2], Di Marino M.[1], Vitiello A.[1], Pecoraro C.[1], Angelone M.[1], Lombardo M.[1], Bussone A.[1], Salerno M.[1], Amato C.[1], Bloisi M.[1], Venditti A.[2]

[1]UOC Farmacia Fondazione Policlinico Campus Bio-Medico di Roma, [2]Direzione Sanitaria Fondazione Policlinico Campus Bio-Medico di Roma

Obiettivi - L'introduzione della chirurgia robot-assistita ha determinato un'evoluzione significativa nelle pratiche chirurgiche, offrendo numerosi vantaggi clinici rispetto alla chirurgia tradizionale. Tra i principali benefici si annoverano un approccio mininvasivo, una maggiore precisione dell'atto chirurgico, con una riduzione del tremore ed una maggiore stabilità per il chirurgo, una visuale 3D ad alta definizione ed ingrandita, una diminuzione del dolore post-operatorio e non ultime, una riduzione delle complicanze ed una miglior ripresa per il paziente.
Tuttavia, i rilevanti costi iniziali legati all'acquisizione, alla manutenzione e ai materiali di consumo dei sistemi robotici, rappresentano un ostacolo alla diffusione su larga scala di questa tecnologia.
In questo contesto, l'esperienza del Policlinico Universitario Campus Bio-Medico con la piattaforma robotica HUGO™ RAS, ha consentito di condurre una valutazione sull'impatto organizzativo derivante dall'introduzione di una nuova tecnologia innovativa all'interno di una struttura sanitaria, attraverso un'analisi di tipo Health Technology Assessment (HTA).

Metodologia - È stata condotta un'analisi retrospettiva osservazionale presso il Policlinico Universitario Campus Bio-Medico, con l'obiettivo di valutare l'impatto organizzativo e multidisciplinare, con un approccio qualitativo e quantitativo.
La valutazione qualitativa consente di rilevare i potenziali ostacoli all'implementazione dell'innovazione: anche se il robot può offrire vantaggi in termini di facilità di apprendimento delle manovre rispetto alla laparoscopia, è necessaria una formazione specifica per il suo utilizzo a tutti gli operatori e personale coinvolto.
Per quanto riguarda il punto di vista quantitativo, sono stati analizzati i tempi medi di occupazione di sala operatoria per le due differenti tecnologie e per ciascuna procedura chirurgica.
La valutazione è stata supportata dalla Commissione per la Valutazione dei Dispositivi Medici (CVDM), composta da rappresentanti della Direzione Sanitaria, della Direzione Acquisti, dell'Area Economico-Finanziaria e della UOC Farmacia, incaricata di analizzare i costi di acquisizione, gestione e impiego della tecnologia, i costi dei consumabili ad esso associati ed il personale.
Per i criteri di inclusione definiti, sono stati analizzati 181 interventi eseguiti dalla UOC Urologia nell'anno 2024 (prostatectomia radicale, nefrectomia parziale e radicale) di cui 96 mediante chirurgia

robot-assistita e 85 mediante tecnica laparoscopica per le medesime tipologie di procedura.

Risultati - L'analisi quantitativa permette di comprendere quali siano i cambiamenti necessari da implementare all'interno della struttura ospedaliera per l'introduzione di una nuova tecnologica.
Dalla letteratura presa in analisi, si evince, come nella maggior parte dei setting chirurgici, vi sia una differenza statisticamente significativa nei tempi di sala operatoria, che risultano essere superiori nella robotica se confrontata alla laparoscopia. Nel nostro Ospedale tale aumento iniziale per docking/setup, è andato via via diminuendo, fino ad equiparare i tempi di sala per gli interventi in laparoscopia (3.56 ore VS 3.56 ore).
L'analisi qualitativa ha presentato diversi vantaggi già ampiamente descritti in letteratura, per la chirurgia robot-assistita rispetto alla chirurgia laparoscopica tradizionale: console ergonomica che riduce la fatica fisica per il chirurgo, a differenza della laparoscopia, dove l'operatore è costretto a posizioni scomode per un lungo tempo; visione immersiva e visuale 3D, che consente una visione dettagliata del campo operatorio e la possibilità di eseguire movimenti complessi con estrema precisione.
Inoltre, grazie all'accuratezza dei movimenti e ad una visione migliorata, si ha una possibile riduzione delle complicanze per il paziente.
Tutti i benefici descritti, compensano in parte i costi di acquisizione della tecnologia, infatti, non si tratta solo di vantaggi per i pazienti ma anche per l'azienda ospedaliera che può in questo modo offrire trattamenti con tecnologie di ultima generazione e contribuire allo sviluppo scientifico e tecnologico.

Bibliografia

- *Robot-assisted laparoscopic surgery versus conventional laparoscopic surgery in randomized controlled trials: A systematic review and meta-analysis. Roh et al., 2018*
- *Ferrari D, Violante T, Novelli M, Starlinger PP, Smoot RL, Reisenauer JS, Larson DW. The death of laparoscopy. Surg Endosc. 2024 May;38(5):2677-2688. doi: 10.1007/s00464-024-10774-2. Epub 2024*
- *Kamarajah SK, Bundred J, Marc OS, Jiao LR, Manas D, Abu Hilal M, White SA. Robotic versus conventional laparoscopic pancreaticoduodenectomy, a systematic review and meta-analysis. Eur J Surg Oncol. 2020*

Autore di riferimento: Jessica Miele, jmiele838@gmail.com

Valutazione teorica di costo-efficacia del telemonitoraggio nella terapia CPAP per OSAS nel progetto PROTEUS dell'Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana

Miotto E.[1], Menzella F.2, Ballarin A.2, Anello P.[1]

[1]Direzione Medica Ospedali di Montebelluna e Castelfranco Veneto – AULSS 2 Marca Trevigiana, [2]UOC Pneumologia Ospedale di Montebelluna – AULSS 2 Marca Trevigiana

Obiettivi - La sindrome delle apnee ostruttive del sonno (OSAS) è una patologia ad alta prevalenza, associata a un aumento dei costi sanitari e sociali, legati a eventi cardio- e cerebrovascolari, minore produttività e maggior rischio di incidenti. Per affrontare queste criticità, l'Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana ha avviato il progetto PROTEUS, introducendo il telemonitoraggio domiciliare dei pazienti in CPAP per migliorarne l'aderenza. Il modello è stato oggetto di uno studio multicentrico, condotto su scala aziendale, che ha coinvolto 558 pazienti seguiti per oltre cinque anni, con controlli digitali periodici e intervento sanitario in caso di scarsa aderenza o parametri respiratori alterati. Il presente lavoro ha l'obiettivo di integrare la valutazione di efficacia terapeutica con una valutazione teorica di costo-efficacia, basata su dati di letteratura, finalizzata a stimare il risparmio sanitario associato al miglioramento dell'aderenza osservato nello studio, in vista di una futura integrazione con analisi basate su dati real life.

Metodologia - È stato sviluppato un modello economico che confronta due scenari di aderenza alla CPAP: quello osservato nel progetto PROTEUS (87%) ed uno scenario standard ipotetico, basato su un dato medio di aderenza tratto dalla letteratura (60%). La popolazione analizzata corrisponde ai 558 pazienti arruolati. Per ciascuna comorbidità associata all'OSAS, tra cui diabete di tipo II, ipertensione essenziale, sindrome metabolica, cardiopatia ischemica e ictus, sono stati considerati la prevalenza stimata nei pazienti con OSAS ed il costo medio annuo attribuibile a ciascuna condizione. Il modello applica la formula per ciascuna comorbidità: [risparmio annuale riferito all'aderenza = prevalenza patologia tra pazienti con OSAS × costo medio della patologia associata × numero di pazienti × (1 – aderenza)], confrontando i due scenari (standard vs PROTEUS). Il risparmio, tenendo conto del costo della tecnologia, è stato stimato secondo la formula: [∑ (risparmio annuo per comorbilità)] – [(costo annuo medio del modello PROTEUS – costo annuo medio CPAP standard) × numero di pazienti].

Risultati - L'applicazione del modello ai 558 pazienti ha evidenziato un risparmio sanitario complessivo stimato in circa 134.600 euro all'anno, che include sia i costi evitati grazie al miglioramento dell'aderenza terapeutica alla CPAP, sia la riduzione dei costi associata all'adozione del telemonitoraggio, il cui costo medio annuo per paziente risulta inferiore rispetto alla CPAP standard. Il solo risparmio

legato alla componente tecnologica è stimato in circa 19.250 euro/anno. L'impatto economico varia sensibilmente in base alla prevalenza e ai costi medi delle diverse comorbidità. Le condizioni che generano il maggiore risparmio annuo sono: la sindrome metabolica (circa 68.910 euro), la steatosi epatica non alcolica (13.510 euro), il diabete di tipo II (10.650 euro) e il cancro (6.450 euro).

Conclusioni - Il modello proposto fornisce una prima stima teorica del rapporto costo-efficacia del telemonitoraggio nei pazienti con OSAS trattati con CPAP. I risultati indicano un potenziale risparmio sanitario, sebbene l'analisi presenti alcuni limiti metodologici: non considera la possibile sovrapposizione tra comorbidità, assume un beneficio pieno della CPAP nei pazienti che recuperano l'aderenza, non tiene conto della latenza temporale degli effetti clinici e si limita ai costi sanitari diretti, senza considerare quelli sociali, assistenziali e produttivi. Questa analisi rappresenta un primo passo verso una valutazione più completa del rapporto tra efficacia clinica e sostenibilità economica. In un contesto di innovazione digitale e risorse definite, integrare i dati di efficacia con stime di costo-efficacia rappresenta un passaggio sempre più necessario per orientare le scelte nel sistema sanitario pubblico.

Riferimenti bibliografici

- *1 Drigo R. et al., Management of CPAP Follow-up by Telemonitoring in Obstructive Sleep Apnea: The PROTEUS Project, Nat Sci Sleep. 2025*
- *2 CEIS EEHTA, Cost-of-illness study of OSAS in Italy – Report 29, Università Bocconi, 2023*
- *3 Borsoi G. et al., The invisible costs of obstructive sleep apnea (OSA): Systematic review and cost-of-illness analysis, PLoS ONE, 2022*
- *4 Regione Veneto, DGR n. 1274 del 2016 – Allegato A*
- *5 Pirolo R. et al., Cost-of-illness della patologia diabetica in Italia: focus sul paziente con diabete di tipo 2, Global & Regional Health Technology Assessment, 2016*
- *6 Mennini FS, Le malattie cardiovascolari in Italia: costi sanitari e indiretti, Clin Drug Investig, 2024*
- *7 Frost & Sullivan, Hidden health crisis costing America billions, American Academy of Sleep Medicine, 2016*

Autore di riferimento: Edoardo Miotto, edoardo.miotto@aulss2.veneto.it

Ottimizzazione Lean del Percorso TAC in Pre-Ricovero

Nardone A.[1], Baroni M.[2], Romeo M.R.[3], Monteleone A.[4], Trapuzzano T.[4], Baratta S.[5]

[1]Ingegnere Biomedico HTA, Fondazione Monasterio, [2]Direttrice UOC Governo Clinico, Fondazione Monasterio, [3]Referente HTA e Gestione Operativa, Fondazione Monasterio, [4]UOC Diagnostica per Immagini, Fondazione Monasterio, [5]Direttrice UOC SITRA e Staff di Direzione, Fondazione Monasterio

Obiettivi - L'evoluzione dei sistemi sanitari impone una sempre maggiore attenzione all'appropriatezza, alla sostenibilità e all'efficienza organizzativa. In questo contesto, la valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) si estende anche agli aspetti gestionali e organizzativi, promuovendo un'analisi critica dei percorsi assistenziali per ottimizzare l'uso delle risorse e migliorare gli esiti per i pazienti. Il presente progetto, sviluppato presso la Fondazione Monasterio, si colloca in quest'ottica, proponendo l'applicazione della metodologia Lean alla riorganizzazione del percorso in pre-ricovero di pazienti adulti, elettivi e a indirizzo cardiologico o cardiochirurgico, sottoposti a tomografia computerizzata (TAC) in pre-ricovero. L'obiettivo è ottimizzare la gestione di tali pazienti, migliorando la loro esperienza e quella degli operatori e minimizzando il rischio di errori.

Metodologia - Un team multidisciplinare ha analizzato il percorso in pre-ricovero, utilizzando strumenti del Lean Management, quali la mappatura del flusso del valore (Value Stream Mapping) e l'analisi dei flussi (Flow Chart), al fine di identificare le principali criticità organizzative e proporre azioni di miglioramento. Le criticità sono state categorizzate mediante Affinity Diagram, e approfondite attraverso il Diagramma di Ishikawa e la tecnica dei 5 Whys. Questo approccio ha consentito di individuare in modo strutturato le cause delle inefficienze e di proporre soluzioni pratiche per ottimizzare il percorso, integrando l'analisi organizzativa all'interno di un framework valutativo più ampio.

Risultati - Tra le criticità rilevate: quadro clinico non completo alla visita specialistica (dati essenziali per esecuzione TAC e protocollo TAC non sempre specificati); ritardi nella gestione dei pazienti in ambulatorio pre-ricovero, legati in particolare alla presenza di pazienti fragili; attese per l'esito di creatinina, necessario all'esecuzione della TAC con mezzo di contrasto; tempi lunghi di refertazione dell'esame TAC e la non tempestiva comunicazione di eventuali anomalie, con possibili impatti sulla programmazione del ricovero. Per affrontare queste problematiche, il team ha proposto delle azioni di miglioramento che includono: la definizione dei dati necessari e del protocollo TAC; una gestione più efficace dell'accesso all'ambulatorio pre-ricovero (priorità ai pazienti in attesa di TAC e richiesta la presenza di caregiver); rapida elaborazione della creatinina tramite flag "urgenza" sulle provette ed eventualmente impiego del point of care (POC); definizione di criteri organizzativi per la refertazione

prioritaria e la comunicazione immediata di eventuali anomalie cliniche rilevate. L'adozione di queste misure favorirà un percorso più efficiente, migliorando la qualità dell'assistenza.
Il progetto rappresenta un esempio concreto di valutazione organizzativa, evidenziando come l'adozione di strumenti Lean possa integrare e rafforzare le analisi HTA, contribuendo a generare valore non solo clinico, ma anche gestionale. Infine, sono emersi ulteriori spunti di approfondimento, come la mappatura dell'intero percorso clinico del paziente per stimare la dose complessiva ricevuta, individuare eventuali esami evitabili e, in un'ottica di appropriatezza e responsabilità etica, ridurre l'esposizione alle radiazioni.

Bibliografia

- *1 J. F. P. Bridges, «Lean Systems Approaches to Health Technology Assessment», 2006.*
- *2 Caterina Bianciardi, Letizia Bracci, Luca Burroni, e Jacopo Guercini, Lean thinking in sanità: da scelta strategica a modello operativo. Società editrice Esculapio, 2015.*

Autore di riferimento: Annalisa Nardone, anardone@ftgm.it

Valutazione HTA della Crioterapia percutanea di tumori solidi

Pavesi R., Di Geronimo A., Olivieri F., Sanna N.

Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano

Obiettivi - La criochirurgia rappresenta una tecnologia terapeutica avanzata, innovativa e minimamente invasiva, per il trattamento dei tumori solidi. L'obiettivo principale dell'utilizzo della crioterapia percutanea è la distruzione selettiva delle cellule tumorali attraverso il congelamento controllato dei tessuti, preservando il più possibile l'integrità di quelli sani. Questo approccio si configura come una valida alternativa alla chirurgia tradizionale, soprattutto in pazienti non operabili o inoperabili per via delle condizioni cliniche generali. L'obiettivo clinico è garantire un trattamento efficace, ripetibile, sicuro e ben tollerato, con risultati comparabili (e in alcuni casi superiori) rispetto agli approcci chirurgici, specialmente in ambito urologico, ortopedico e nei tumori desmoidi.

Metodologia - La tecnologia si basa sull'utilizzo di criosonde brevettate in grado di raggiungere temperature estremamente basse (-185°C), collegate a un'apparecchiatura altamente specializzata (Cryocare CS). Questa consente il controllo individuale e in tempo reale di 8 criosonde e il collegamento simultaneo di altrettante termocoppie per il monitoraggio costante della temperatura. Ogni criosonda presenta un cursore manuale sull'impugnatura per la regolazione della dimensione della palla di ghiaccio, garantendo massima adattabilità al volume della lesione da trattare. L'ecografo integrato (con sonda biplana) e la compatibilità con TAC, RM ed ecografia offrono un supporto fondamentale per il posizionamento preciso della sonda all'interno della massa tumorale. Il trattamento viene eseguito in regime percutaneo, riducendo drasticamente il rischio di infezioni, il tempo di anestesia e la durata della degenza post-operatoria. Le principali indicazioni includono:

- Tumori renali e prostatici
- Tumori desmoidi e sarcomi dei tessuti molli
- Neoplasie ossee primitive e secondarie, cordomi
- Neoplasie polmonari (tale metodica si distingue per la possibilità di applicazioni multiple anche su lesioni recidivanti o multifocali, senza compromettere la funzionalità degli organi o dei tessuti adiacenti).

Risultati - La crioterapia ha mostrato un'elevata efficacia nel controllo locale dei tumori solidi, in particolare nei tumori desmoidi dove, secondo studi retrospettivi internazionali, i tassi di controllo della malattia e la sopravvivenza libera da recidiva risultano comparabili a quelli ottenuti con la chirurgia. Il

trattamento si dimostra:
• estremamente preciso nella distruzione delle cellule tumorali;
• sicuro, grazie alla guida imaging e all'assenza di radiazioni ionizzanti;
• minimamente invasivo, con ridotti tempi di anestesia e ricovero;
• ripetibile senza compromettere i tessuti circostanti;
• adatto anche a pazienti con controindicazioni chirurgiche.
La tecnologia risulta inoltre infungibile, ovvero non sostituibile da altre tecnologie attualmente disponibili sul mercato per la stessa indicazione clinica e lo stesso livello di efficacia e selettività. Dal punto di vista economico-finanziario, il contratto di service 2023–2024 ha permesso l'esecuzione di 70 interventi (55 renali, 15 desmoidi) per un valore complessivo di € 427.000,00 + iva, con un costo medio per intervento di € 6.100,00. Il nuovo contratto per il biennio 2025–2026 prevede 80 interventi con un importo complessivo di € 488.000,00 + iva. I DRG associati (303 per tumore renale,
239 per tumore desmoide) garantiscono rimborsi pari rispettivamente a € 9.189 e € 4.104, rendendo il trattamento sostenibile anche sotto il profilo economico. Le previsioni di attività per i prossimi 12 mesi indicano almeno 40 interventi, con un impatto organizzativo positivo in termini di efficienza e turn-over ospedaliero.
La rapidità della procedura, la brevità della degenza e la possibilità di integrare la tecnologia in percorsi oncologici multidisciplinari rafforzano ulteriormente la sua rilevanza nel panorama delle tecnologie sanitarie avanzate.
L'impatto organizzativo è favorevole: la ridotta durata degli interventi e la rapida ripresa postoperatoria contribuiscono a un utilizzo efficiente delle risorse ospedaliere. In conclusione, la crioterapia rappresenta una tecnologia unica per efficacia, sicurezza e precisione nel trattamento dei tumori solidi, senza attuali alternative equivalenti, e risponde in modo ottimale alle esigenze cliniche delle moderne strutture sanitarie.

Riferimenti bibliografici

- *Sporadic Desmoid Tumours: Systematic Review with Reflection on the Role of Cryoablation Cardiovasc Intervent Radiol (2022)*
- *Percutaneous cryoablation for desmoids fibromatosis: initial experience at a UK centre Clinical Radiology 77 (2022)*
- *Percutaneous cryoablation for advanced and refractory extra-abdominal desmoids tumors International Journal of Clinical Oncolgy (2021)*
- *Cryodesmo-O1: A prospective, open phase II study of cryoablation in desmoid tumour patients progressing after medical treatment European Journal of Cancer 143 (2021)*

Autore di riferimento: Roberta Pavesi, roberta.pavesi@istitutotumori.mi.it

MIM – Ottimizzazione del Percorso diagnostico e terapeutico in Medicina nucleare e Radioterapia

Pavesi R., Di Geronimo A., Olivieri F., Sanna N., Proietti M.

Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano

Obiettivi - Il presente HTA ha come obiettivo la valutazione del software MIM, fornito in esclusiva da Tema Sinergie, come strumento strategico per l'ottimizzazione e la standardizzazione dei percorsi clinici in medicina nucleare e radioterapia. MIM rappresenta una piattaforma integrata per la fusione e l'analisi avanzata delle immagini diagnostiche, supportando i professionisti nella presa di decisioni cliniche più precise e tempestive, con importanti ricadute sia sull'efficacia terapeutica che sull'efficienza operativa delle strutture sanitarie.

Metodologia - Il software MIM si distingue per le sue capacità avanzate di elaborazione delle immagini, sfruttando algoritmi di registrazione rigida e deformabile per l'allineamento multimodale di dati PET, SPECT, CT e MRI.
La sua tecnologia di deformable image registration (DIR) utilizza trasformazioni spline basate su voxel per correggere variazioni anatomiche inter-sessione e intra-sessione, migliorando la precisione della fusione. Inoltre, MIM supporta la segmentazione automatizzata basata su soglie SUV (Standardized Uptake Value) per l'identificazione e la quantificazione delle regioni di interesse nelle immagini PET, permettendo così un notevole efficientamento del tempo attualmente impiegato per la contornazione manuale di strutture target.
Il campo di applicazione più determinante sia per le implicazioni cliniche che quelle medico-legali è costituito dalle applicazioni del sistema MIM nella Dosimetria interna e nell'ottimizzazione e verifica della terapia medico nucleare.
In ambito radioterapico, ogni trattamento oncologico con un acceleratore lineare o con la brachiterapia è preceduto da un piano di trattamento (simulazione), che permette allo specialista in fisica medica di fornire al radioterapista la mappa di dose di radiazioni. Il software MIM oggetto di questa relazione consente la generazione di dose deformation maps, cruciali per l'adattamento del piano terapeutico in trattamenti frazionati o adattativi, ovvero coregistrazione di mappe di dose provenienti da sistemi di pianificazione diversi permettendo quindi una valutazione migliore, in particolare nei casi di reirradiazione di pazienti trattati in altri centri e di cui si dispone del piano di trattamento completo. MIM integra inoltre strumenti di analisi radiomica, permettendo l'estrazione di feature quantitative da immagini mediche per applicazioni in radioterapia personalizzata e ricerca clinica e

la compatibilità con DICOM-RT e i moduli di scripting personalizzabili ne ampliano la versatilità nei flussi di lavoro clinici e di ricerca.

Risultati - L'adozione del software MIM richiede personale tecnico formato e certificato, diagnostica remota attiva, aggiornamenti automatici e strumenti completi per la manutenzione. L'implementazione si integra agevolmente nei flussi di lavoro multidisciplinari esistenti in medicina nucleare e radioterapia, favorendo un uso trasversale tra clinici, fisici medici e tecnici, e garantendo una standardizzazione dei processi.

- *Medicina Nucleare:* Implementazione di dosimetria personalizzata, segmentazione automatica delle lesioni e registrazione deformabile multimodale, migliorando la precisione diagnostica e la conformità alle normative.
- *Radioterapia:* Miglioramento dell'adattamento dei piani terapeutici grazie a mappe di deformazione della dose, gestione avanzata dei casi di reirradiazione e integrazione di strumenti di radiomica per una terapia personalizzata .

A livello aziendale si ottiene quindi un'ottimizzazione dei flussi di lavoro clinici, riduzione del rischio medico-legale e allineamento agli standard qualitativi europei e regionali.
Il software MIM rappresenta un avanzamento tecnologico significativo per l'ottimizzazione della diagnosi e del trattamento nei settori della medicina nucleare e della radioterapia. Garantisce standard qualitativi elevati, maggiore precisione clinica e conformità normativa, offrendo una piattaforma solida per il futuro della medicina personalizzata.

Bibliografia

- *1 MIM Software Inc. (2025). MIM SurePlan MRT: Dosimetry for MRT and Theranostics. Retrieved from https://mimsoftware.com/theranostics/sureplan-mrt*
- *2 MIM Software Inc. (2025). Radiology & Nuclear Medicine Solutions. Retrieved from https://www.mimsoftware.com/solutions/nuclear-medicine*
- *3 MIM Software Inc. (2025). Workflow Automation for Radiation Oncology & Therapy. Retrieved from https://www.mimsoftware.com/solutions/radiation-oncology*
- *4 MIM Software Inc. (2025). MIM Encore: Oncologic PET. Retrieved from from https://go.mimsoftware.com/nuclear-medicine/oncologic-pet*

Autore di riferimento: Roberta Pavesi, roberta.pavesi@istitutotumori.mi.it

Caratterizzazione della popolazione, dei pattern di trattamento e dei costi sanitari nei pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) metastatico con mutazione di EGFR: studio retrospettivo su database amministrativi e di anatomia patologica italiani

Perrone V.[1], Sansone C.[2], Mazzoni S.[1], Degli Esposti L.[1], Marconi L.[2], Caputo A.[2], Francesa Morel P.C.[2]

[1]CliCon S.r.l. Società Benefit Health, Economics & Outcomes Research, Bologna, Italia; [2]Johnson & Johnson Innovative Medicine S.p.A. Italy, Milan, Italy.

Obiettivi - La disponibilità di dati real-world in oncologia può fornire preziose informazioni sulla gestione del carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico (mNSCLC), sulle mutazioni EGFR, sulle terapie mirate e sull'impatto clinico ed economico della patologia. La frequenza delle mutazioni del gene EGFR, che può variare in base all'etnia e alle aree geografiche, è pari a circa il 12% dei pazienti caucasici con NSCLC[1]. L'obiettivo dell'analisi era descrivere le caratteristiche demografiche, il profilo di comorbidità, i pattern di trattamento, l'utilizzo di risorse sanitarie e i costi diretti nei pazienti affetti da mNSCLC con mutazione EGFR nella reale pratica clinica italiana.

Metodologia - Da database amministrativi di enti sanitari Italiani (corrispondenti a circa 5,4 milioni di assistiti) sono stati estratti i dati relativi a pazienti adulti con mNSCLC che tra gen-2017 e feb-2024, soddisfacevano uno dei seguenti criteri: (A) almeno un ricovero con diagnosi principale o secondaria di tumore polmonare e presenza di metastasi, con chemioterapia; oppure (B) almeno una prescrizione di farmaci antineoplastici specifici per mNSCLC. Da questi sono stati poi identificati i portatori di mutazioni di EGFR tramite flussi amministrativi e di anatomia patologica che avevano iniziato la prima linea di terapia metastatica nello stesso periodo (gen-2017/feb-2024). In base al criterio di inclusione utilizzato, la dataindice è stata definita o dalla diagnosi di mNSCLC o del primo trattamento associato alla diagnosi. Sono stati analizzati dati demografici, clinici, pattern di trattamento, utilizzo di risorse sanitarie e costi diretti a carico del SSN.

Risultati - Sono stati identificati 1.252 pazienti con mNSCLC EGFR mutato, indipendentemente dalla linea di trattamento in corso. Tra questi, 588 pazienti con almeno 12 mesi di dati disponibili pre- e post-dataindice avevano iniziato la prima linea di trattamento dal 2017. L'età media era 69 anni, con una prevalenza femminile del 60% (63% nei trattati post-2017) e Charlson Comorbidity Index medio pari a 0,6 (0,5 nei trattati post-2017). Nel 28,2% e nel 24,7% di pazienti erano presenti metastasi ossee e metastasi cerebrali, rispettivamente (queste ultime tracciate considerando anche i codici di radioterapia stereotassica).

Tra i 588 pazienti, 325 sono stati trattati con osimertinib, 221 con inibitori tirosin-chinasici (TKIs) di prima o seconda generazione (gefitinib, erlotinib, afatinib) e 42 con altre terapie (chemioterapia, immunoterapia, terapia target o loro combinazioni). Le metastasi cerebrali erano presenti nel 17,2% dei pazienti trattati con osimertinib, nel 23,4% con erlotinib/gefitinib e nel 30,2% con afatinib.
Nel primo anno di follow-up, i pazienti trattati con osimertinib hanno registrato un consumo medio più elevato di prescrizioni farmacologiche (20,3) e prestazioni ambulatoriali (14,2) rispetto agli altri gruppi (p<0,001), a fronte di ricoveri ospedalieri comparabili (p=0,161). Nel secondo anno, il consumo di risorse si è ridotto in tutti i gruppi, mantenendo comunque una tendenza a un maggiore utilizzo nei trattati con osimertinib.
I costi medi per paziente durante il primo anno sono stati €45.229 con osimertinib, €28.186 con TKIs e €26.631 con altre terapie (p<0,001). Nel secondo anno, si è osservata una generale riduzione dei costi (€26.629 osimertinib, €20.700 TKIs, €19.202 altre terapie), con una contrazione della differenza tra gruppi (p=0,096). L'analisi dei costi è stata approfondita utilizzando un modello lineare generalizzato per esaminare l'associazione tra la terapia di prima linea e i costi sanitari diretti nei primi due anni di followup. Nel primo anno, il trattamento con osimertinib è risultato predittore indipendente di costi significativamente più elevati rispetto ai pazienti trattati con TKIs o con altre terapie (p<0,001). Nel secondo anno, pur rimanendo il gruppo osimertinib quello associato ai costi medi più alti, le differenze tra i gruppi si sono attenuate e non hanno raggiunto la significatività statistica.

Conclusioni - Questa analisi real-world descrive le caratteristiche cliniche, i pattern terapeutici e l'impatto economico dei pazienti affetti da mNSCLC con mutazione EGFR in Italia. I risultati evidenziano come i pazienti trattati con osimertinib, pur presentando una minore incidenza di metastasi cerebrali rispetto ad altre terapie, registrino un maggiore consumo di risorse sanitarie e costi più elevati, soprattutto nel primo anno di follow-up. Seppure l'impatto economico tenda a ridursi nel tempo, il burden clinico iniziale e il maggior utilizzo di risorse richiedono un'attenta valutazione nella gestione terapeutica di questi pazienti.

Bibliografia

- *1 Zhou C, et al. Prevalence of EGFR mutations in non-small cell lung cancer patients in Europe: a systematic review and meta-analysis. Oncotarget. 2016;7(22):31320-31330.*

Autore di riferimento: Carolina Sansone, csansone@its.jnj.com

Burden of Illness Study among Participants with Central Disorders of Hypersomnolence in Europe: An Analysis of Italian Participants with NT1

Plazzi G.[1], Pizza F.[2], Crawford S.[3], Watt M.[3], Parisi L.[4], Marsico A.[4], Polichetti L.[5]

[1]IRCCS Instituto delle Scienze Neurologiche di Bologna, Bologna, Italy, [2]IRCCS Instituto delle Scienze Neurologiche di Bologna, Bologna, Italy; Department of Biomedical and Neuromotor Sciences, Alma Mater Studiorum-University of Bologna, Bologna, Italy, [3]Takeda Development Center Americas, Inc., Cambridge, MA, USA, [4]Takeda Italia S.p.A., Medical & Regulatory, Rome, Italy, [5]Takeda Italia S.p.A., Patient, Value & Access, Rome, Italy

Objectives - Narcolepsy type 1 (NT1) is a central disorder of hypersomnolence (CDH) that is characterized by excessive daytime sleepiness (EDS), cataplexy, sleep paralysis, hypnagogic/hypnopompic hallucinations, and disrupted nighttime sleep.1 NT1 significantly impacts individuals' quality of life (QoL), poses substantial clinical burdens and is often accompanied by comorbidities such as depression and anxiety.2 While previous studies have reported the impacts of NT13,4, there remains a gap in understanding the relationship between the burden of NT1 and disease severity. This study investigated the disease burden, costs and QoL in individuals with CDH (NT1, narcolepsy type 2 [NT2], and idiopathic hypersomnia) in Europe. This abstract reports the findings from Italian participants with NT1 and contextualizes them against QoL results from the broader population with CDH in Italy.

Methodology - This burden of illness study estimated the annual costs and health utilities in participants with NT1, NT2 or IH across six countries, including Italy, France, Germany, Sweden, Switzerland, and the United Kingdom. No patient identifiable information was collected, and approval by each country's ethics review committee was obtained. Eligible participants were adults (≥18 years), with a self-reported CDH diagnosis who could understand the questionnaire in their local language. Individuals enrolled in another clinical trial were excluded. The survey collected sociodemographic information, workforce participation, disease symptoms, treatment patterns, health care resource utilization and health related QoL. QoL was assessed using the EuroQol-5 dimensions (EQ-5D-5L). Disease severity was assessed using validated instruments including the Epworth Sleepiness Scale (ESS) and Narcolepsy Severity Scale for Clinical Trials (NSS-CT). Participants were grouped into five approximately equalsized groups (quintiles) by their ESS scores using the 20%, 40%, 60% and 80% percentiles as cut points.

Results - In total, 130 participants with NT1 in Italy were included. Mean (range) age was 37.4 (18–89) years and 66.2% were female. Mean (range) age at onset and age at diagnosis was 18.1 (5–65) and 26.8 (6–72), respectively. Mean (range) weight and BMI were 71.8 kg (40-155) and 25.4 (16.0-52.4), respectively. In the last 30 days prior to the survey date, 102 (93.6%) participants reported receiving narcolepsy medications, including sodium oxybate (64 [58.7%]), pitolisant (48 [44.0%]), solriamfe-

tol (44 [40.4%]) and modafinil (18 [16.5%]). The most prevalent comorbidities were anxiety disorder (27.6%), back pain (23.3%), and depression (18.1%). Mean (range) ESS total score was 11.2 (0–22) and NSS-CT score was 14.1 (1–43). Daytime naps, fatigue and cognitive challenges were reported by 88.8%, 51.4% and 46.2% of participants, respectively. 35.7% of participants reported working part time due to their condition and 72.4% reported that their work was affected by their condition. Mean (range) for health utilities was 0.85 (0.1–1) for the NT1 group. In the total population of participants with CDH (n=174), mean (range) EQ-5D-5L utility scores decreased with increasing ESS quintiles, from 0.9 (0.2–1) in quintile 1 (ESS score ≤11) to 0.5 (-0.0–1.0) quintile 5 (ESS score 19-24) for all three conditions, indicating that as disease severity increased, participants' health related QoL scores decreased. For the NT1 group, mean (SD) for all condition-related costs was
€15,556 (11,630), which included productivity loss (€4,740 [8,729]) as well as informal care (€1,016 [2,807]). In line with previous reports from the Italian population5,6, the findings from this study highlight the impact of NT1 on participants' QoL and daily functioning. A substantial residual disease burden remains, despite most participants receiving treatment for NT1, highlighting the debilitating nature of this disorder. The negative correlation between EQ-5D5L utility scores and disease severity indicates that worsening symptoms are associated with a significant deterioration in overall health related QoL. These results confirm that there is an unmet medical need for effective treatment for individuals with NT1 in Italy.

Acknowledgements

- *Authors would like to acknowledge Gisela Kobelt from EHE International GmBH, St Moritz, Switzerland, and Linus Jonsson from Karolinska Institutet, Solna, Sweden, for their valuable contributions to study design, and data collection, analysis, and interpretation. Funding was provided by Takeda Development Center Americas, Inc.*

References

- *1 N Engl J Med. 2025;392(19):1905-16*
- *2 Am Health Drug Benefits. 2017;10:233-41*
- *3 Sleep Med. 2024;124:141-145*
- *4 J Sleep Res. 2024;33(3):e14087*
- *5 Sleep Med. 2011 Jan;12(1):19-23*
- *6 Sci Rep. 2024 23;14(1):11837*

Autore di riferimento: Lidia Polichetti, lidia.polichetti@takeda.com

Analisi economica del percorso ospedaliero di rimozione isteroscopica di poliposi endometriale con sistemi HTR: percorso tradizionale vs percorso ottimizzato a confronto

Respigo R.[1], Villa A.[2], Borghetti F.[1] , Corbo M.[1]

[1]Value Access & Policy, Medtronic Italia S.p.A., Milano; [2]Dip. Area della donna e materno infantile - Ostetricia e Ginecologia – ASST Lecco

Obiettivo - I polipi endometriali sono piuttosto comuni (prevalenza 8-35%), con una percentuale di prevalenza che può raggiungere il 45% nelle donne infertili. La morcellazione isteroscopica dei polipi endometriali mediante dispositivi meccanici come il Truclear® (sistema di Hysteroscopic Tissue Removal o HTR) rappresenta un'evoluzione rispetto alla resezione elettrochirurgica tradizionale, grazie a tempi ridotti, assenza di danni termici e maggiore accettazione da parte delle pazienti. L'obiettivo del presente lavoro è quello di analizzare l'impatto economico e organizzativo del percorso di morcellazione isteroscopica dei polipi endometriali con sistemi HTR in un ospedale italiano comparando il percorso tradizionale di day-h con un percorso ottimizzato nel setting ambulatoriale dopo il 2023.

Metodologia - Attraverso interviste al personale sanitario, sono stati analizzati i percorsi in day-h e ambulatoriale, considerando costi diretti (personale, materiali, dispositivi, occupazione di sala) e indiretti (perdita di produttività per i pazienti). I costi sono stati calcolati con la metodologia activity-based costing.

Risultati - Sino al 2023, la morcellazione isteroscopica con HTR per polipi endometriali era utilizzata solo all'interno di un percorso di day-h, con un costo totale di €1.788,62 per paziente sostenuto dalla struttura ospedaliera per ogni paziente. I costi sono determinati dal prericovero, che richiede l'esecuzione di diversi esami e vistie, nonchè dall'utilizzo della sala operatoria e dalla degenza in day-h, a cui sono stati sommati i costi del personale (infermieri, anestestista, ginecologo) e i costi del materiale di sala e dei dispositivi medici. Dal 2023 è stato introdotto un percorso ambulatoriale dedicato, in cui il costo totale per paziente è pari a €798,33 per paziente (-55% rispetto al day-h). Il risparmio è principalmente dovuto all'assenza del pre-ricovero, all'utilizzo di una sala ambulatoriale attrezzata per le procedure chirurgiche di questo tipo invece che una sala operatoria tradizionale e al tempo di permanenza post-procedura trascorso in una sala di osservazione ambulatoriale anzichè in regime di degenza in day-h. Inoltre non si prevede la presenza dell'anestesista. Dal punto di vista dell'impatto sociale, il percorso in ambulatoriale consente una riduzione della perdita di produttività: da €190,8 calcolati per le pazienti che effettuano la procedura in day-h a €63,6 per le pazienti che ci sottopongono al regime ambulatoriale. Infine, l'introduzione di un percosro ambulatoriale ha consen-

tito di ridurre la lista d'attesa, portando ad una maggiore capacità operativa (36 pazienti/mese vs 28 pazienti mese). L'introduzione del percorso ambulatoriale ha portato quindi diversi vantaggi sia per la struttura ospedaliera che per le pazienti. L'ottimizzazione dei percorsi ospedalieri, possibile anche grazie all'innovazione tencologica, rappresenta quindi un'opportunità per ridurre i costi sanitari e migliorare l'accesso alle cure, senza compromettere gli esiti clinici. Tuttavia, permane una discrepanza tra i risparmi ottenuti e i meccanismi di remunerazione regionale, che spesso non coprono adeguatamente i costi del percorso ambulatoriale. Questa analisi evidenzia quanto sia essenziale un supporto istituzionale per allineare i sistemi di finanziamento a tali innovazioni e la necessità di adeguare i sistemi di pagamento per supportare l'adozione di modelli più sostenibili.

Bibliografia

- *Ceci O, Franchini M, Cannone R, Giarrè G, Bettocchi S, Fascilla FD, Cicinelli E. Office treatment of large endometrial polyps using truclear 5C: Feasibility and acceptability. J Obstet Gynaecol Res. 2019 Mar;45(3):626-633. doi: 10.1111/jog.13874. Epub 2018 Dec 2. PMID: 30506805.*
- *Pampalona JR, Bastos MD, Moreno GM, Pust AB, Montesdeoca GE, Guerra Garcia A, Pruñonosa JC, Collado RC, Torras PB. A comparison of hysteroscopic mechanical tissue removal with bipolar electrical resection for the management of endometrial polyps in an ambulatory care setting: preliminary results. J Minim Invasive Gynecol. 2015 MarApr;22(3):439-45. doi: 10.1016/j.jmig.2014.12.004. Epub 2014 Dec 10. PMID: 25497165.*

Autore di riferimento: Roberta Respigo, roberta.respigo@medtronic.com

Burden dell'ipoparatiroidismo in Italia: un'analisi basata su real world data

Sciattella P., Ragonese A.

Economic Evaluation and HTA (EEHTA CEIS) – Facoltà di Economia, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"

Obiettivi - L'ipoparatiroidismo è una condizione endocrina rara, caratterizzata da una carenza dell'ormone paratiroideo (PTH), con conseguente ipocalcemia cronica e iperfosfatemia.
La prevalenza è stimata tra 6,4 e 37 casi ogni 100.000 abitanti, mentre l'incidenza annuale è compresa tra 0,8 e 2,3 nuovi casi ogni 100.000 persone, a seconda delle popolazioni e dei criteri diagnostici adottati.
Le complicanze a lungo termine includono calcificazioni ectopiche nei tessuti molli, insufficienza renale, aumento del rischio di nefrolitiasi e nefrocalcinosi, nonché alterazioni cardiovascolari, con incremento del rischio di aritmie e disturbi della conduzione elettrica cardiaca.
L'obiettivo della presente analisi è stimare il ricorso all'assistenza ospedaliera dei pazienti con diagnosi di ipoparatiroidismo in Italia, utilizzando i dati provenienti dal flusso della Scheda di Dimissione Ospedaliera (SDO) nazionale.

Metodo - È stata condotta un'analisi retrospettiva sui dati provenienti dal flusso della SDO, che registra tutte le ospedalizzazioni effettuate negli ospedali pubblici e privati accreditati presenti sul territorio nazionale, disponibile per il periodo 2010-2019.
Sono state selezionate tutte le dimissioni, in regime ordinario e in day hospital, di pazienti residenti in Italia, con età ≥18 anni e diagnosi principale o secondaria di ipoparatiroidismo (codice ICD-9-CM 252.1), avvenute da specialità per acuti o post-acuti.
Per ciascun anno di dimissione sono stati calcolati i tassi di ospedalizzazione per sesso, rapportando il numero di soggetti ospedalizzati alla popolazione residente al 1 gennaio.
Per l'anno 2019, i tassi di ospedalizzazione sono stati stratificati per sesso e regione di residenza, al fine di evidenziare eventuali differenze geografiche.

Risultati - Nel periodo in studio si è osservata una progressiva riduzione del tasso di ospedalizzazione per ipoparatiroidismo, passato da 3,65 casi ogni 100.000 abitanti nel 2010 a 1,78 nel 2019 (–51,3%). L'analisi per sesso ha evidenziato un differenziale rilevante e pressocché costante nel tempo: nel 2010 il tasso di ospedalizzazione era pari a 5,37 per 100.000 donne e 1,77 per 100.000 uomini (rapporto F/M = 3,0), mentre nel 2019 il tasso si attestava a 2,54 per 100.000 donne e 0,96 per

100.000 uomini (rapporto F/M = 2,7).
L'analisi regionale, relativa al 2019, ha evidenziato una marcata eterogeneità nei tassi di ospedalizzazione totali, con valori che oscillano da un minimo di 0,70 casi ogni 100.000 residenti nella P.A. di Bolzano a un massimo di 4,21 per 100.000 in Molise. Tra le regioni con i tassi più elevati figurano, oltre al Molise, la Liguria (2,72), la Calabria (2,50), la Toscana (2,54) e la Calabria (2,50), mentre tra quelle con valori più bassi figurano Lombardia e Umbria, entrambe con un tasso pari a 0,94 per 100.000 residenti.

Bibliografia

- *1 Cipriani, C., et al. "Presentation of hypoparathyroidism in Italy: a nationwide register-based study." Journal of Endocrinological Investigation 47.8 (2024): 2021-2027.*
- *2 Ministero della Salute – Il manuale ICD9CM – Versione italiana 2007 https://www.salute.gov.it/portale/temi/p2_6.jsp?area=ricoveriOspedalieri&id=1278&menu=cla ssificazione*
- *3 Demo - Statistiche demografiche – Istat – https://demo.istat.it*

Autore di riferimento: Angela Ragonese, angela.ragonese@uniroma2.it

Burden of Mitral Regurgitation in Italy: a real-world data analysis

Sciattella P.[1], Martí-Sánchez B.[2], Vernia M.[3], Giardina S.[3], De Marco F.[4]

[1]Economic Evaluation and HTA (EEHTA), CEIS, Faculty of Economics, University of Rome "Tor Vergata", Rome, Italy, [2]Edwards Lifesciences Europe, Nyon, Switzerland, [3]Edwards Lifesciences Italia srl, Milan, Italy, [4]Centro Cardiologico Monzino IRCCS, Department of Invasive Cardiology, Structural and Valvular, Interventional Cardiology Unit, Milan, Italy

Objectives - Mitral regurgitation (MR) is the second most common valve disease in Europe with an increasing prevalence, causing significant healthcare burden and impacting quality of life. Despite its clinical importance, real-world data on MR burden is limited.
This study aims to estimate MR prevalence, describe patient profiles, and assess healthcare resource utilization and related costs, stratified by degenerative (DMR) and functional (FMR) aetiologies, using real-world data from Italy.

Methods - A retrospective study using Italy's Hospital Discharge Records was conducted including patients discharged in 2018 with diagnosis of MR.
The cohort was stratified into degenerative (DMR) and functional MR (FMR) based on comorbidities and clinical criteria. Patients were followed for 12 months to assess interventions received, including surgical (SMVr) and transcatheter mitral valve repair (TMVr), as well as length of stay, in-hospital mortality, and associated costs.

Results - In 2018, 5,816 patients who met the eligibility criteria were hospitalised with MR (83.6% DMR, 16.4% FMR). Among DMR patients, 44.2% underwent isolated valve repair (89.7% SMVr, 10.3% TMVr), while 29.1% of FMR patients received repair (59.6% SMVr, 40.4% TMVr). TMVr patients were older (DMR 41.6%, 42.9% in FMR were 75+) and had more comorbidities.
Untreated patients had higher 1-year in-hospital mortality (DMR:4.7%, FMR:8.5%) compared to treated groups and highest reinterventions' rate at 1-year (DMR:19.9%; FMR:13.3).
Reinterventions rates were lower in DMR (SMVr: 0.4%, TMVr: 0%) versus FMR (SMVr: 0.6%; TMVr: 0.9%).
The cost differences between interventions were neglectable, primarily reflecting the different DRG tariffs applied for each intervention type.
Untreated MR is associated with worse clinical outcomes and higher long-term resource use. These findings support early intervention strategies and highlight the need to improve access to care, especially for high-risk populations. Further studies are warranted to explore outpatient care and address treatment disparities.

References

- *1 Kriechbaum SD, Hausleiter J, Näbauer M, et al. Mitral valve leaflet repair with the new PASCAL system:*
- *early real-world data from a German multicentre experience. Clin Res Cardiol. 2020 May;109(5):549–59. doi:10.1007/s00392-019-01538-3.*
- *2 Douedi S. Mitral Regurgitation. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing;*
- *[accessed 2024 Oct 25]. Available from: https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK553135/*
- *3 Apostolidou E, Maslow AD, Poppas A. Primary mitral valve regurgitation: update and review. Doha (QA): HBKU Press; 2017 Mar. doi:10.21542/gcsp.2017.3.*
- *4 Vahanian A, Beyersdorf F, Praz F, et al. 2021 ESC/EACTS Guidelines for the management of valvular heart disease. Eur Heart J. 2022 Feb;43(7):561–632. doi:10.1093/eurheartj/ehab395.*
- *5 Frankenstein L, Dewey TM, Hofmann R, et al. Impact of the introduction of percutaneous edge-to-edge mitral valve reconstruction on clinical practice in Germany compared to surgical valve repair. Clin Res Cardiol. 2021 May;110(5):620–7. doi:10.1007/s00392-020-01675-0.*
- *6 Bedogni F. Trattamento transcatetere dell'insufficienza mitralica per i pazienti non eleggibili all'intervento chirurgico: epidemiologia, diagnosi, equità di accesso ed impatto economico. G Ital Cardiol (Rome). 2017 Feb;18(2 Suppl 1):3S–8S. doi:10.1714/2657.27242.*

Autore di riferimento: Sciattella Paolo, paolo.sciattella@uniroma2.it

Innovazione tecnologica e contesto normativo: l'evoluzione dei modelli assistenziali

Tacconi E., Borghetti F., Mariani F., Corbo M.

1Value Access & Policy, Medtronic Italia S.p.A., Milano

Obiettivi - Negli ultimi anni, in Italia, diversi provvedimenti normativi hanno colto l'esigenza di riorganizzare gli assetti assistenziali abilitando la transizione verso modelli di cura più efficienti e a minor consumo di risorse. A seguito del COVID-19, l'assistenza territoriale è stata teoricamente potenziata con reti di prossimità (Case e Ospedali di Comunità), assistenza domiciliare e telemedicina, mentre la digitalizzazione del sistema sanitario mira a integrare i flussi informativi per una gestione più efficace e continua dei pazienti.
L'evoluzione verso modelli di cura a minore assorbimento di risorse è stata resa possibile anche dal Decreto Tariffe di Novembre 2024 e dal suo successivo recepimento a livello regionale. Tale Decreto consente la riconversione in prestazioni ambulatoriali di diverse attività attualmente svolte in regime di ricovero, riconoscendo il ruolo dell'innovazione tecnologica nell'abilitare questa transizione.
L'obiettivo di questo lavoro è individuare i provvedimenti normativi pubblicati negli ultimi anni in Italia relativamente a questo contesto, ed esemplificare, attraverso l'analisi di alcuni casi, il legame tra innovazione tecnologica e shift di setting.

Metodologia - L'analisi è stata condotta attraverso una revisione della normativa recente, con particolare riferimento ai documenti nazionali (DM 77/2022, Decreto Tariffe 25/11/2024) e regionali (DGR Puglia 1863/2024 e DGR Lombardia 3036/2024) in merito ad assistenza ospedaliera, assistenza territoriale e Livelli Essenziali di Assistenza (LEA).

Risultati - Gli atti normativi analizzati hanno evidenziato diverse procedure chirurgiche incluse all'interno del nuovo nomenclatore tariffario ambulatoriale nazionale, poiché le nuove tecnologie ne facilitano l'esecuzione in questo setting.
Sono stati esaminati due casi specifici: il trattamento dell'ernia e l'impianto di un dispositivo miniaturizzato per il monitoraggio cardiaco continuo (Implantable Loop Recorder o ILR). Per quanto riguarda il trattamento dell'ernia, la procedura ambulatoriale è oggi ammessa nei vari casi di riparazione di ernia inguinale/crurale/ombelicale - con/senza innesto protesi - diretta/indiretta. Il trattamento in regime di ricovero ordinario è stato disincentivato anche dall'inclusione dei DRG dedicati (160 e 162) nell'elenco dei DRG ad alto rischio di inappropriatezza, poiché sussiste la fattibilità in un setting a minor impiego

di risorse e con il medesimo beneficio clinico per il paziente. Inoltre, le Regioni hanno deliberato soglie massime per l'erogazione in ricovero ordinario della riparazione di ernia oltre le quali si verifica un abbattimento del rimborso.
In merito all'impianto di ILR, a livello nazionale, l'ultimo aggiornamento del Nomenclatore tariffario presenta una tariffa ambulatoriale dedicata. La tariffa però non garantisce in diverse Regioni la copertura dei costi procedurali. A questo scopo Regione Lombardia ha adottato una tariffa che crea condizioni favorevoli per l'esecuzione nel setting ambulatoriale. Allo stesso modo, anche Regione Puglia, attraverso l'implementazione di un PACC (Percorsi Ambulatoriali Complessi e Coordinati) ad hoc, ha incentivato l'impianto al di fuori del setting di ricovero ospedaliero.
L'adozione di setting a minor assorbimento di risorse, in condizioni di appropriatezza clinica, permette di ampliare la capacità assistenziale, consentendo di trattare un numero maggiore di persone con le stesse capacità strutturali e professionali. Questo agevola la riduzione delle liste d'attesa favorendo l'accessibilità delle cure, soprattutto nelle aree in cui la domanda supera l'offerta disponibile.
La combinazione tra innovazione tecnologica, impulso normativo e riorganizzazione territoriale del SSN rappresenta oggi una concreta opportunità per orientare il SSN verso modelli più sostenibili e vicini al cittadino.
La transizione dall'ospedale all'ambulatorio non è solo un obiettivo organizzativo, ma una necessità clinica e sociale, resa possibile dalla disponibilità di tecnologie mininvasive e digitali, che possono migliorare l'efficienza del sistema mantenendo o addirittura aumentando la qualità dell'assistenza erogata.

Autore di riferimento: Elisa Tacconi, elisa.tacconi@medtronic.com

Valutazione degli impatti derivanti dall'introduzione di dispositivi PoCT presso il Pronto Soccorso dell'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda Area

Tedesco D 1, Mazzola V 2, Casati P 3, Gadda G 4, Sciarini F C L 5, Danesi R 6, Colombo P 7

[1]Ingegnere Gestionale. S.C. Qualità e Rischio Clinico – S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [2]Tecnico Sanitario di Laboratorio con incarico di funzione professionale – Referente in tecnologie Point-Of-Care. S.C. Microbiologia Clinica. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [3] Economista Sanitario. S.C. Qualità e Rischio Clinico – S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [4]Infermiere incaricato della funzione di Coordinamento Pronto Soccorso. SC Medicina d'Urgenza e Pronto Soccorso.ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [5]Dirigente Biologo. S.C. Analisi Chimico Cliniche. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [6]Direttore S.C. Analisi Chimico Cliniche. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [7]Direttore S.C. Qualità e Rischio Clinico. Responsabile S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.

Obiettivi - Il frequente sovraffollamento del Pronto Soccorso (PS) causa prolungati tempi di attesa che compromettono l'assistenza ai pazienti. Una delle problematiche rilevate, su cui è possibile intervenire pur mantenendo criteri di sicurezza ed efficacia, è il Tempo Totale di Analisi (TAT). Le tecnologie Point-of-Care-Test (PoCT), che si avvalgono di sistemi analitici dedicati che eseguono test di laboratorio in prossimità del paziente, sono di facile esecuzione poiché predisposti per l'impiego di campioni di sangue intero senza alcun trattamento preanalitico. I risultati dei test sono disponibili rapidamente e consentono di prendere decisioni cliniche più rapide e sicure per il paziente durante la diagnosi, la selezione e il monitoraggio del trattamento, la prognosi e le decisioni operative, nonché un miglior utilizzo delle risorse. L'obiettivo del progetto è l'implementazione del minor numero di PoCT che rispettino i criteri di efficacia e sicurezza e che permettano al PS dell'ASST GOM Niguarda di eseguire esami di laboratorio riducendo i tempi di refertazione ed i tempi di attesa dei pazienti, anche al fine di evitare aggressioni agli operatori sanitari. Inoltre, mediante l'utilizzo di PoCT che impiegano sangue intero da capillare, si eviterebbe il prelievo venoso ai pazienti pediatrici afferenti al Pronto Soccorso ed ai pazienti con accessi venosi difficili. Infine, un ulteriore obiettivo è la verifica dell'impatto economico e di processo atta a dimostrare che l'utilizzo di PoCT migliori i percorsi e l'esperienza dei pazienti in PS.

Metodologia - Sono stati definiti la tipologia di pazienti (codici minori e pediatrici) e gli esami ematochimici necessari per coprire ogni pannello diagnostico di dolore toracico e addominale, sanguinamento e sepsi. È stata effettuata una valutazione HTA, partendo da un'analisi di letteratura ed integrandola con i dati real-word risultati dalla prova d'uso, e sono stati valutati gli indicatori di performance per misurare i risultati dell'implementazione. Gli outcome del progetto hanno valutato: la presenza di correlazione lineare tra i risultati ottenuti da metodica PoCT in prova con i risultati ottenuti mediate strumentazione del laboratorio centrale (gold standard), ove possibile; valutare l'appropriatezza diagnostica

dell'utilizzo dei PoCT; valutare la possibile riduzione del TAT e la conseguente riduzione della permanenza dei pazienti afferenti al PS; valutare il beneficio del prelievo capillare da digitopuntura rispetto al prelievo venoso; valutare l'incidenza di errori preanalitici rispetto al laboratorio; valutare la riduzione di aggressioni agli operatori; valutare le implicazioni economico-organizzative dell'implementazione.

Risultati - Dalle mappature dei processi, differenziate per tipologia di paziente ed in percorso "as is" versus "to be", è emerso che l'utilizzo di tecnologie PoCT in PS impatta principalmente sulla fase di attesa dei risultati degli esami, con conseguenti impatti sulla riduzione del sovraffollamento e sui tempi di attesa. Sono stati confrontati i risultati dei PoCT con il gold standard per 80 campioni di normale pratica clinica. Le analisi effettuate, basate su confronti statistici e sulla validazione clinica dei risultati, hanno confermato che i test eseguiti in PoCT rispettano i criteri di validazione e possono essere considerati affidabili per l'utilizzo nel setting di PS. Il TAT medio è risultato di 117 minuti per i campioni inviati al laboratorio e di 32 minuti per i campioni analizzati con i PoCT. Le nuove tecnologie permetterebbero quindi una riduzione del TAT di circa il 73%. Inoltre, gli errori preanalitici, a seguito di adeguata formazione del personale, sono risultati minori in caso di PoCT (da 2% coagulati, 18% diluizione errata, 3,5% plasma emolizzato, 14% siero emolizzato del laboratorio, a 2% risultati inibiti, 3,8% campione scarso, 4,9 % errore di dispensazione e barcode tronco dei PoCT). Infine, è stata effettuata un'analisi di impatto economico ed organizzativo. Il risultato emerso evidenzia un maggior costo delle tecnologie PoCT, di bassa entità e dipendente da vari fattori, quali la numerosità di test inclusi nel preventivo, il periodo del noleggio e le "card" incluse nel pacchetto. Considerando un approccio conservativo, con una tariffa ridotta del 20% (per includere eventuali costi esclusi dall'analisi), i PoCT risulterebbero più costosi rispetto ai ricavi del 4%, passando da 9,05€ a 9,44€ in media per singolo esame. Infine, dall'analisi di impatto organizzativo è emerso che il laboratorio sarebbe sgravato di 40h di lavoro rispetto alle 144h totali (-28%) che potrebbero essere riutilizzate per altre attività e/o per fornire supporto al PS nell'esecuzione dei PoCT. Al contrario, il PS incrementerebbe la sua attività lavorativa di 16h al giorno, per cui sarebbe auspicabile incrementare l'organico almeno nella fascia oraria di maggior affluenza.

Autore di riferimento: Daniela Tedesco, daniela.tedesco@ospedaleniguarda.it

La Commissione Tecnologie Sanitarie presso l'ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda

Tubbiolo D.[1], Casati P.[2], Dotti A.[3], Mantione R.[4], Puleo G [5], Tedesco D.[6],Colombo P.[7]

[1]Farmacista . S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [2]Economista sanitario. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Gra nde Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [3]Psicologa Clinica. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [4]Ingegnere Clinico. S.C. Ingegneria Clinica. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [5]Ingegnere Clinico. S.C. Ingegneria Clinica. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia, [6]Ingegnere Gestionale. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. A SST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [7]Dirigente Medico , D irettore SC Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.

Obiettivi - Il presente abstract si propone di descrivere l'organizzazione e il funzionamento del processo di valutazione delle tecnologie sanitarie, con particolare attenzione ai dispositivi medici, presso l'ASST Grande Ospedale Metropolitano (GOM) Niguarda. In questo ambito, la Commissione Tecnologie Sanitarie (CTS) opera come organismo multidisciplinare, con l'obiettivo di condurre analisi strutturate finalizzate alla stima del profilo rischio-beneficio, dell'impatto clinico-organizzativo e della costo-efficacia delle tecnologie proposte.
Le attività della CTS sono orientate a garantire l'adozione di tecnologie sicure, efficaci e sostenibili, in coerenza con i principi di appropriatezza e razionalizzazione delle risorse. Il processo si basa su una metodologia sistematica, ispirata ai criteri dell'HTA regionale, e integra evidenze scientifiche con considerazioni etiche, clinico-assistenziali ed economiche, a supporto di decisioni aziendali informate e condivise.

Metodologia - La CTS è composta da un team multidisciplinare che include medici, farmacisti, infermieri, ingegneri, economisti sanitari e personale amministrativo, con l'obiettivo di garantire una valutazione delle tecnologie sanitarie che sia integrata, trasversale e metodologicamente solida. Le attività si basano su un approccio evidence-based, che integra competenze cliniche, tecnico-scientifiche e gestionali per supportare decisioni informate, appropriate e coerenti con i principi di efficacia, sicurezza e sostenibilità del sistema sanitario. Il processo operativo ha inizio con la trasmissione della documentazione firmata, comprendente modulo di richiesta, scheda tecnica, istruzioni per l'uso e per la sterilizzazione (se necessaria), certificato CE, dichiarazioni di conformità e infungibilità, oltre a moduli specifici per ciascuna tipologia di richiesta. Successivamente, la documentazione viene presa in carico e valutata dal nucleo operativo della CTS, che analizza ogni proposta in termini di appropriatezza clinica, sicurezza, sostenibilità economica, coerenza etica, conformità normativa e compatibilità organizzativa. L'esito della valutazione è restituito entro un massimo di sei mesi e può consistere in approvazione, introduzione controllata con condizioni, sospensione o rigetto motivato, sempre subor-

dinato alla disponibilità economica e ai vincoli normativi. La CTS gestisce diverse tipologie di richiesta: la prova d'uso gratuita, che prevede un utilizzo temporaneo e limitato senza obbligo d'acquisto; la nuova introduzione, destinata all'inserimento strutturato della tecnologia nei percorsi clinici; e le richieste urgenti, riservate a dispositivi non contrattualizzati da utilizzare su singoli pazienti, ammesse solo in assenza di alternative clinicamente valide e in presenza di documentati requisiti clinico-organizzativi che giustifichino la deroga al percorso ordinario. Presso l'ASST GOM Niguarda, le tecnologie sanitarie ad alto impatto vengono invece valutate dalla Struttura Semplice Health Technology Assessment (SS HTA), che opera secondo la metodologia regionale HTA. Questa struttura adotta un approccio sistematico, multidimensionale e basato sull'evidenza, finalizzato alla valutazione del valore clinico, organizzativo, economico e sociale delle tecnologie proposte. L'attività della SS HTA si inserisce nella rete HTA della Regione Lombardia e contribuisce a rafforzare i processi decisionali aziendali, garantendo coerenza metodologica, trasparenza e tracciabilità nell'introduzione di nuove tecnologie sanitarie.

Risultati - Su base annuale vengono condotte numerose valutazioni (circa 500), articolate in tre principali categorie: richieste urgenti (25%), nuove introduzioni (25%) e prove d'uso (50%).
Per quanto concerne gli esiti, si osserva che circa il 5% delle richieste urgenti non viene approvato o rimane sospeso; mentre per le nuove introduzioni la percentuale è pari a circa il 13%. Relativamente alle prove d'uso, circa il 4% non viene approvato o permane in stato di sospensione, a conferma di un processo decisionale rigoroso e orientato alla sicurezza e all'efficacia.
Le cause principali di mancata approvazione risultano differenti tra le categorie: per le nuove introduzioni e le prove d'uso, la criticità più ricorrente è rappresentata dall'incompletezza della documentazione tecnica e clinica; nel caso delle richieste urgenti, la non approvazione è maggiormente determinata dall'eventuale disponibilità di alternative terapeutiche già contrattualizzate e presenti all'interno dell'ASST GOM Niguarda.

Autore di riferimento: Davide Tubbiolo, davideattilio.tubbiolo@ospedaleniguarda.it

8

HTA NELLA PROGRAMMAZIONE, DALLA PREVENZIONE ALLA CRONICITÀ

Il vaccino coniugato antipneumococcico 21-valente (v116) per la prevenzione delle infezioni da S. Ppneumoniae in età adulta: risultati di una valutazione di Health Technology Assessment

Calabrò G.E.[1], Rizzo C.[2], Baldo V.[3], Cocchio S.[3], Domnich A.[4], Icardi G.[5], Prato R.[6], Costantino C.[7], Amodio E.[7], Sharomi O.[8], Lang, J.C.[9], Cozzolino C.[3], Cozza A.[3], Compagno L.[3], Salvò V.[3], Frasson E.[3], Scarpaleggia M.[10], Di Serafino F.[2], Pipitone L.[7], Tocco M.[7], Zarcone E.[7], Vitale F.[7], Ricciardi W.[11]

[1]Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università degli Studi di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2]Dipartimento di Ricerca Traslazionale e delle Nuove Tecnologie in Medicina e Chirurgia, Università degli Studi di Pisa, [3]Dipartimento di Scienze Cardio-Toraco-Vascolari e Sanità Pubblica, Università degli Studi di Padova, [4]U.O. Igiene, IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, Genova, [5]Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli Studi di Genova; Centro Interuniversitario di Ricerca sull'Influenza e le altre Infezioni Trasmissibili (CIRI-IT), Genova; U.O. Igiene, IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, Genova, [6]Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche, Università degli Studi di Foggia, [7]Dipartimento di Promozione della Salute, Materno-Infantile, di Medicina Interna e Specialistica di Eccellenza "G. D'Alessandro", Università degli Studi di Palermo, [8]Merck & Co., Inc., Rahway, NJ, USA, [9]Merck Canada Inc, Kirkland, Quebec, Canada, [10]Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli Studi di Genova, [11]Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Obiettivi - La Commissione Europea ha recentemente approvato il vaccino pneumococcico coniugato 21-valente (V116) indicato per la prevenzione della malattia invasiva e della polmonite causata da Streptococcus pneumoniae - sierotipi 3, 6A, 7F, 8, 9N, 10A, 11A, 12F, 15A, 15B, 15C, 16F, 17F, 19A, 20A, 22F, 23A, 23B, 24F, 31, 33F e 35B - in individui di età pari o superiore a 18 anni. Si specifica che il sierotipo 15C rappresenta la risposta immunitaria al polisaccaride deOAc15B, poiché la struttura molecolare di deOAc15B e 15C è simile.
Obiettivo del lavoro è stato sviluppare un rapporto di HTA sull'utilizzo di V116 nella popolazione adulta italiana.

Metodologia - È stata eseguita una revisione sistematica e critica delle evidenze disponibili sui domini clinici (CUR, TEC, EFF, SAF) e non clinici (ECO, ORG) del Core Model® EUnetHTA. Per stimare l'impatto clinico ed economico è stato sviluppato un modello di trasmissione dinamico, deterministico e di tipo S-I-S (Suscettibile, Infetto, Suscettibile), stratificato per età e classe di sierotipo. Il confronto è stato effettuato tra V116 e PCV20, considerando un orizzonte temporale di 50 anni, con un tasso di sconto del 3% annuo, e adottando sia la prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) sia quella della società. È stata inoltre eseguita un'analisi di sensibilità deterministica univariata.

Risultati - Streptococcus pneumoniae (S. pneumoniae o pneumococco) è il principale agente pa-

togeno batterico responsabile delle Malattie Batteriche Invasive (MaBI) e rappresenta, a livello globale, una delle maggiori cause infettive di mortalità e morbilità. Può causare manifestazioni cliniche di diversa gravità: da infezioni localizzate, come polmoniti, otiti medie acute e infezioni delle alte vie respiratorie, fino a forme invasive più severe – meningiti, batteriemie, polmoniti batteriemiche e sepsi – complessivamente note come Malattie Invasive Pneumococciche (MIP). Le categorie maggiormente a rischio sono i bambini di età inferiore ai 5 anni e gli anziani oltre i 65 anni. Lo stato di portatore asintomatico, in cui il batterio colonizza il nasofaringe senza causare sintomi, è particolarmente frequente nei bambini sotto i 5 anni (30-60%) ma si riscontra anche, in misura minore, negli adulti.
In Italia, la popolazione adulta-anziana e i soggetti con comorbosità (es. diabete, malattie cardiovascolari, respiratorie croniche) rappresentano – insieme ai bambini sotto i 2 anni – i gruppi a più alto rischio di infezione pneumococcica e con maggiore burden of disease. Le evidenze scientifiche disponibili indicano che V116 è altamente immunogeno, efficace e sicuro. Il modello economico, calibrato sui dati di sorveglianza francese, ha stimato che V116, coprendo sierotipi specifici per la protezione della popolazione adulta, potrebbe evitare oltre 6.144 casi di malattia pneumococcica invasiva, 398 casi di sequele post-meningite, 12.218 ricoveri per polmonite pneumococcica non batteriemica e 162.382 casi assistiti in regime ambulatoriale, nonché 1.709 decessi, generando risparmi sia in termini di costi sanitari diretti che indiretti. L'analisi economica è in corso di validazione finale.
L'efficacia delle strategie vaccinali richiede un'attenta pianificazione basata sulla sorveglianza epidemiologica dei sierotipi circolanti. L'introduzione di V116 impone un aggiornamento delle strategie vaccinali, con particolare attenzione allo stato vaccinale individuale e alla semplificazione degli schemi vaccinali, anche in considerazione dell'ampia offerta destinata alla popolazione adulta-anziana. Risulterà fondamentale una comunicazione chiara ed efficace, in grado di supportare le campagne vaccinali e favorire l'adesione della popolazione target.
Le patologie da pneumococco, incluse le polmoniti, sono un problema rilevante di sanità pubblica, soprattutto per adulti e anziani con o senza comorbosità. V116 è specificamente progettato per proteggere gli adulti dai sierotipi responsabili della maggior parte dei casi di malattia pneumococcica invasiva. Questo vaccino può essere considerato una soluzione "su misura" perché è stato disegnato sulla base dell'epidemiologia specifica di questa popolazione, estendendo la copertura sierotipica a quei ceppi che interessano specificatamente adulti e anziani.
L'introduzione del vaccino V116 rappresenta una rilevante opportunità di prevenzione per la popolazione adulta e anziana, con un potenziale impatto positivo in termini di salute pubblica, sostenibilità del sistema e riduzione della pressione sui servizi sanitari. La protezione di queste fasce vulnerabili mediante strumenti di prevenzione mirati contribuisce alla tutela della salute individuale e collettiva e al rafforzamento della resilienza del SSN.

Autore di riferimento: Giovanna Elisa Calabrò, alisacalabro@icloud.com

L'aderenza terapeutica come priorità di sanità pubblica: evidenze, criticità e risposte istituzionali

De Giorgio E.[1], Guareschi G.[2], D'Angiolella L.[2]

[1]LUISS, Libera Università Internazionale degli Studi Sociali "Guido Carli", Roma, Italy,Novo Nordisk S.p.A., Roma, Italia,
[2]Novo Nordisk S.p.A., Roma, Italia

Obiettivi - Le continue sfide legate alla cronicità delle patologie e l'importanza di garantire la sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) configurano l'aderenza terapeutica come una priorità strategica per la sanità pubblica. Infatti, gli scarsi livelli di aderenza contribuiscono non solo a compromettere l'efficacia dei trattamenti, ma anche ad aggravare il carico assistenziale e la pressione sulle risorse del SSN. La presente analisi ha esaminato in modo integrato e multidimensionale le evidenze disponibili sul ruolo dell'aderenza come leva strategica e di governance, approfondendo anche le posizioni delle istituzioni nazionali sul tema e possibili soluzioni per affrontare efficacemente il fenomeno.

Metodologia - L'analisi è stata realizzata attraverso una ricerca narrativa della letteratura articolata in più fasi. È stata inizialmente condotta una selezione di referenze istituzionali e scientifiche includendo portali del Ministero della Salute, AIFA e delle Regioni italiane, nonché banche dati scientifiche come PubMed. Sono stati esaminati siti ufficiali di società scientifiche e organizzazioni civiche di riferimento. La ricerca è stata affinata mediante l'utilizzo di parole chiave specifiche quali "aderenza terapeutica", "impatto economico e aderenza" e "aderenza e cronicità" allo scopo di individuare articoli scientifici, position paper, report istituzionali e studi retrospettivi rilevanti. I materiali, analizzati sulla base di criteri di rilevanza tematica, attendibilità scientifica e aggiornamento temporale, sono stati integrati anche da un'analisi delle principali iniziative attivate a livello regionale.

Risultati - Dall'indagine è emerso che in Italia l'aderenza terapeutica ha ancora livelli subottimali, in particolare nelle patologie croniche a più alta prevalenza. I pazienti che aderiscono correttamente alle terapie continuano ad essere una percentuale limitata: solo il 34% per i soggetti affetti da diabete di tipo 2, il 53% per i pazienti con ipertensione arteriosa e circa il 52% per pazienti in terapia anticoagulante. Nell'analisi si riscontra che l'aderenza terapeutica ha un impatto sia clinico che economico, sull'intero sistema. Il costo per il SSN della mancata aderenza alle terapie è di circa 2 miliardi di euro l'anno, ed anche solo un aumento dell'aderenza del 15%, ridurrebbe i costi assistenziali di 300 milioni. Valutazioni, in grado di quantificare l'impatto complessivo dell'aderenza, dato da una tecnologia, potrebbero supportare i decisori sanitari nell'effettuare scelte informate, oltre a contribuire alla definizione del suo valore. Dal punto di vista clinico, l'adozione di tecnologie in grado di semplificare la

terapia e la gestione delle patologie si riflette positivamente non solo sugli esiti clinici ma anche sulla qualità di vita dei pazienti (QoL). Patient-Reported Outcomes (PROs) dimostrano che una terapia più semplice e flessibile determina una maggiore soddisfazione dei pazienti al trattamento, con impatti positivi anche sull'efficacia clinica, oltre al beneficio psico-emozionale. Esempi di semplificazione sono l'adozione di farmaci a rilascio o emivita prolungata (long-acting), con una più bassa frequenza d'assunzione; farmaci che utilizzano sistemi di somministrazione più semplice, ad esempio i sistemi a "penna" dell'insulina o formulazioni orali; polipillole, ovvero formulazioni contenenti più farmaci. In questo contesto, tali interventi rispondono all'urgenza dei decisori verso un approccio OneHealth, ovvero l'integrazione di dimensioni cliniche, organizzative, sociali, economiche ed ambientali, basate su evidenze scientifiche con un impatto rilevante sull'intera società. Alcuni interventi si stanno già attuando a livello regionale, tra cui l'introduzione di programmi che coinvolgono molteplici attori sanitari, terapie meno complesse, telemedicina e pratiche di deblistering. Il riconocimento dell'aderenza come indicatore diventa sempre più rilevante, non solo nella programmazione ma anche nella valutazione delle tecnologie da parte del sistema sanitario.

Autore di riferimento: Giorgia Guaresch, grgc@novonordisk.com

Analisi della letteratura sull'impatto economico delle Infezioni materno fetali

Di Brino E., Fortunato A., Calosci E.M., Basile M., Rumi F.

Altems Advisory Srl

Obiettivo - L'obiettivo principale del presente studio è analizzare le evidenze presenti in letteratura in materia di infezioni materno fetali, al fine di esplicitare il burden clinico ed economico che la contrazione delle stesse comporterebbe per il Sistema Sanitario Nazionale. Poiché gran parte delle complicazioni derivanti dal complesso TORCH può essere evitata attraverso un'adeguata profilassi e un trattamento tempestivo, tale lavoro si colloca nel contesto dell'attuale necessità di promuovere la consapevolezza e fornire una corretta educazione alle donne, a partire dalla fase pre-concezionale fino al periodo postnatale iniziale, al fine di evitare patologie congenite, parti prematuri e decessi intrauterini, con conseguenze durature per la vita dei bambini affetti di cui il complesso TORCH è responsabile.

Metodologia - Per raggiungere gli obiettivi prefissati, sono state condotte tre revisioni sistematiche della letteratura scientifica attualmente disponibile, i cui risultati sono stati successivamente arricchiti da fonti di letteratura grigia e con evidenze scientifiche individuate tramite una ricerca manuale. Nello specifico, sono state formulate tre differenti domande di ricerca utilizzando la metodologia PICO (Paziente/Popolazione, Intervento, Comparatore e Outcome). Nel dettaglio, in ciascun PICO è stata mantenuta costante sia la popolazione, costituita da donne in gravidanza e/o neonati affetti da infezioni del complesso TORCH, che l'outcome, ovvero gli aspetti economici legati alla gestione di tali infezioni durante la gravidanza o nel periodo neonatale, mentre sono stati differenti gli interventi d'interesse esplorati che hanno indagato: una ricerca "generale", senza focus su nessun intervento e outcome specifico, un'analisi relativa all'ambito dello 'screening e prevenzione' ed un approfondimento sulle 'linee guida'.

Risultati - asintomatici ridurrebbe notevolmente il rischio di complicanze a lungo termine, migliorando la qualità della vita. Dal punto di vista economico I risultati evidenziano che le infezioni materno-fetali, in particolare quelle causate dal citomegalovirus (CMV), rappresentano una sfida significativa per i sistemi sanitari. Lo screening neonatale mirato, pur dimostrando un'efficacia elevata nel rilevare i neonati sintomatici, non riesce a identificare una parte considerevole dei casi di infezione congenita, soprattutto nei neonati asintomatici alla nascita. Emerge quindi la necessità di implementare uno screening universale per tutti i neonati, gli studi dimostrano che il trattamento tempestivo anche dei

neonati, l'implementazione di uno screening universale rappresenta un tema dibattuto. Mentre il costo iniziale di uno screening universale appare elevato rispetto a quello di uno screening mirato, le evidenze mostrano che le spese sanitarie associate alle complicanze del CMV congenito, come SNHL e ritardi cognitivi, sono molto più alte. I neonati con infezione congenita possono necessitare di cure ospedaliere intensive e programmi di riabilitazione, che comportano costi considerevoli per le famiglie e il sistema sanitario. Un altro aspetto cruciale è la prevenzione dell'infezione durante la gravidanza, che richiede un approccio integrato, che combini le raccomandazioni igieniche e sanitarie al momento in vigore, con programmi di screening mirati. Tuttavia, al momento, le misure preventive si concentrano solamente sulle raccomandazioni igieniche e comportamentali per le donne sieronegative e non esistono programmi di screening prenatale universale per il CMV in molti Paesi, a causa di incertezze sull'efficacia del trattamento prenatale. Pertanto, gli studi presenti in letteratura suggeriscono che uno screening prenatale mirato per le donne con infezioni primarie potrebbe migliorare gli esiti per i neonati, ma è necessario condurre ulteriori studi randomizzati controllati per confermare l'efficacia di questi interventi su larga scala. In conclusione, le evidenze indicano che l'adozione di uno screening universale e di politiche di prevenzione integrate migliorerebbe significativamente gli esiti clinici ed economici delle infezioni maternofetali, in particolare del CMV congenito. Queste strategie potrebbero ridurre il carico delle complicanze a lungo termine, ottimizzando l'uso delle risorse sanitarie e migliorando la qualità di vita dei pazienti. Parallelamente, è emersa la necessità di introdurre campagne di sensibilizzazione rivolte alle donne in età fertile e alle gestanti, al fine di aumentare la consapevolezza sui rischi delle infezioni, e di formare gli operatori sanitari con programmi di formazione continua per rafforzare la capacità diagnostica e gestionale delle infezioni congenite. Infine, l'adozione di sistemi di monitoraggio continuo, attraverso la raccolta sistematica di dati qualitativi e quantitativi, risulta essenziale per valutare l'efficacia degli interventi adottati, identificare eventuali aree di miglioramento e orientare decisioni future in modo più informato.

Autore di riferimento: Elena Maria Calosci, elenamaria.calosci@altemsadvisory.it

Estensione del programma di screening mammografico in Italia: analisi costi-benefici e impatto della diagnosi precoce nella fascia di età 45-74 anni

Di Brino E., Fortunato A., Calosci E.M., Basile M., Rumi F.

Altems Advisory Srl

Obiettivi - Il presente studio intende valutare l'impatto economico e sanitario dell'estensione del programma di screening mammografico in Italia alle donne di età compresa tra i 45 e i 74 anni. L'obiettivo è analizzare il rapporto costi-benefici associato a questa estensione, alla luce delle evidenze sulla diagnosi precoce, sull'efficienza delle risorse sanitarie e sull'equità territoriale, in un'ottica di sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Metodologia - L'analisi si è sviluppata in due fasi. La prima ha previsto la stima della popolazione eleggibile, attraverso l'esame delle linee guida regionali e dei dati demografici ISTAT aggiornati. La seconda fase ha comportato lo sviluppo di un modello economico basato su un albero decisionale, integrando i costi diretti della mammografia e le spese associate ad accertamenti diagnostici successivi (ecografia, biopsia, risonanza). Sono stati confrontati due scenari: l'attuale (AS IS), in cui solo alcune regioni adottano l'estensione, e un potenziale (TO BE), in cui l'estensione è applicata a livello nazionale.

Risultati - L'estensione interesserebbe 3.894.331 donne, con un investimento complessivo stimato in €135,7 milioni. Attualmente, 2.040.097 donne rientrano in programmi regionali già estesi, mentre 1.854.234 restano escluse. Nell'AS IS, il costo complessivo è di €45,3 milioni, con 8.998 casi diagnosticati; nel TO BE, i costi scendono a €42,9 milioni per 8.529 casi, con risparmi associati alla gestione anticipata della malattia. I costi di trattamento dei casi avanzati risultano significativamente ridotti nello scenario esteso (€42,6 milioni vs €44,9 milioni), con un beneficio netto di €35 milioni. La maggiore equità e l'inclusione nei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA) garantirebbero benefici sostenibili per il SSN e un miglioramento della qualità di vita delle pazienti.

Autore di riferimento: Eugenio Di Brino, eugenio.dibrino@unicatt.it

Prescrizione di sistemi di monitoraggio flash (FGM) ed in continuo (RT CGM) del glucosio interstiziale in persone con Diabete mellito di Tipo 2 in trattamento con insulina basale: una valutazione di impatto in Puglia

Giuliani R.[1], Cangialosi F.[2], Chetta G.[3], Graps E.A.[4]

[1]Responsabile del Servizio Ricerca sanitaria e sperimentazioni gestionali _Area Valutazione e Ricerca AReSS, [2]Dirigente del Servizio Valutazione e governo dell'innovazione_Area Valutazione e Ricerca AReSS, [3]IdFP CPS Infermiere Area Valutazione e Ricerca AReSS, [4]Direttore medico Area Valutazione e ricerca e Centro Regionale HTA AReSS

Obiettivo - La natura progressiva del Diabete mellito di tipo 2 (DM2) implica per molti pazienti (pz) la necessità di ricorrere all'uso di insulina, generalmente come terapia insulinica basale. Per questi pz l'uso dell'automonitoraggio della glicemia (AG) è associato a un controllo glicemico leggermente migliore, rispetto all'assenza di monitoraggio. Tuttavia, sia in studi clinici che in studi su dati reali, il CGM ha dimostrato di migliorare il controllo glicemico aumentando il tempo trascorso nel corretto intervallo glicemico, riducendo il n. di eventi ipoglicemici e migliorando i livelli di emoglobina glicata (HbA1c).
Nelle more del rilascio nel Programma Nazionale HTA dei Dispositivi Medici del rapporto HTA elaborato dal Centro collaborativo affidatario del "Report sui dispositivi per il monitoraggio continuo della glicemia (CGM)" di cui all'avviso pubblicato da AgeNaS il 15 Aprile 2025, il Centro Regionale HTA di AReSS Puglia (CReHTA) ha inteso produrre una valutazione d'impatto regionale della prescrizione di sistemi di monitoraggio Flash ed in Continuo del glucosio interstiziale alla popolazione affetta da DM2 in trattamento con insulina basale, in sostituzione dell'approccio standard di AG capillare tramite digitopuntura. Inoltre ha voluto produrre una stima del tempo necessario alla presa incarico dei soggetti (sg) eleggibili da parte dei centri abilitati alla prescrizione (CP), sulla scorta delle performances dei CP riconosciuti in Puglia.

Metodologia - Per l'identificazione del n. di sg. affetti da DM 2 in terapia insulinica basale in Puglia si è fatto ricorso ai dati di letteratura; il costo annuo terapia per FGM e RT CGM riviene dalla pubblicazione della gara regionale sulle tecnologie complesse per il monitoraggio della glicemia cui ha partecipato il CReHTA; i dati di performances dei centri abilitati alla prescrizione di Piani terapeutici (PT) per tecnologie complesse di monitoraggio della glicemia rivengono dalla III survey regionale sui CP condotta dal CReHTA. La valutazione è stata condivisa fra i componenti del Tavolo tecnico HTA di diabetologia istituito con DCS AReSS 36/2017 e ss.mm.ii. e coordinato dal CReHTA.

Risultati - Tenendo conto della prevalenza della malattia diabetica in Italia (7% Min. Sal.) applicata ai 3.874.166 abitanti residenti in Puglia (Istat 2025), il n. di sg. con DMT1 e DMT2 in Puglia è pari a 271.192. Considerando la percentuale di sg. affetti da DM2 (90% Min. Sal) la coorte di pz. con DM2 in Puglia è di circa 244.073 persone. Fra queste, la prevalenza di sg. con DM2 in terapia con insulina

basale è pari al 30% circa (Annali AMD 2018), pertanto il sottogruppo di sg. con DMT2 in terapia con insulina basale che risulterebbero destinatari della tecnologia FGM/RT CGM, risulta pari a 73.222 sg. Applicando il costo annuo terapia previsto per i sensori della gara regionale Puglia, (€ Base d'asta: Flash - 900,00 €; RT CGM senza avvisi predittivi 1.500,00 €) l'esborso previsto per l'erogazione alla coorte dei 73.222 sg. eleggibili all'utilizzo di FGM e RT CGM (sg. con DMT2 in terapia con insulina basale) si aggira in media intorno agli 88 MLN di €.
Inoltre, tenuto conto del n. di CP per adulti che possono prescrivere FGM e RT CGM secondo l'attuale configurazione regionale (pari a 21), i sg. da arruolare per giungere a copertura del target dei 73.222 sg. sarebbero pari a 3.487 pz/aa/centro. Tenuto conto delle performances prescrittive per RT CGM e FGM dei 21 CP (nel 2023, 6.012 PT per RT_CGM e FGM), la capacità prescrittiva media per RT CGM ed FGM dei CP rilevata nella III survey regionale è risultata pari a 286 PT/aa/centro, e ciò porterebbe alla copertura della popolazione target in oltre 10 anni. Dalla combinazione di azioni di incremento del n. di CP/identificazione di specifici orizzonti temporali/aumento delle performances, si può identificare una strategia di copertura della coorte con le risorse a disposizione. Ipotizzando di estendere la prescrizione a tutti i 133 poliambulatori di diabetologia regionali (senza applicare alcun criterio qualitativo di selezione) e ipotizzando livelli di performances pari a quelli attuali, la copertura dell'intera coorte dovrebbe potersi raggiungere in 2-3 anni.

Bibliografia

- *Machry RV, Rados DV, Gregório GR, Rodrigues TC. Self-monitoring blood glucose improves glycemic control in type 2 diabetes without intensive treatment: a systematic review and meta-analysis. Diabetes Res Clin Pract. 2018;142:173-187.*
- *Deshmukh H, Wilmot EG, Gregory R, et al. Effect of flash glucose monitoring on glycemic control, hypoglycemia, diabetes-related distress, and resource utilization in the Association of British clinical Diabetologists (ABCD) Nationwide audit. Diabetes Care. 2020;43(9): 2153-2160*

Autore di riferimento: Elisabetta Anna Graps elisabettagraps@gmail.com

L'HTA a supporto dei programmi di screening. L'analisi economica dello screening della retinopatia diabetica basato sulla telemedicina a confronto con l'approccio tradizionale nell'ASL TO5 del Piemonte

Piatti A.[1], Borghese R.[1], Perino G.[2], Bellelli S.[2], Rivoiro C.[2], Tassone F.[1], Romeo F.[1], Doglio M.[1], Messori Ioli G.[3]

[1]ASL TO5, Torino, [2]IRES Piemonte, Area Salute e Sviluppo del Sistema Sanitario, Torino, [3]AO Regina Margherita, Torino

Obiettivi - La retinopatia diabetica (RD) è la principale complicanza oculare del diabete mellito (DM) di tipo 1 e 2 con una prevalenza media del 30%, in drammatico aumento per effetto della crescente diffusione del diabete, del prolungamento dell'aspettativa di vita e dei cambiamenti negli stili di vita della popolazione. La RD ha un impatto sociale rilevante, trattandosi di una delle principali cause di ipovisione e cecità in età lavorativa. Dal momento che la RD può progredire verso le forme più gravi 0senza dare disturbi visivi, la diagnosi tempestiva risulta cruciale nella prevenzione della cecità dovuta al diabete, attraverso l'identificazione di lesioni precoci, ancora suscettibili di trattamento risolutivo. Attraverso i programmi di screening è possibile identificare la retinopatia nei primi stadi, seguirla nel tempo e, ove necessario, intervenire tempestivamente, riducendo il "burden of disease". In Italia, lo standard per lo screening della RD è la visita ambulatoriale da parte del medico oculista mediante l'esame del fundus oculi che richiede, dal punto di vista del SSN, un importante consumo di tempo e risorse di personale con elevati impatti economici e, dal lato del paziente e del caregiver, discomfort e perdite di produttività. Un approccio alternativo è rappresentato dallo screening tele-oftalmologico con retinografo digitale non midiatrico. Il programma di screening è adottato in Piemonte nell'ASL Torino 5 che ha in carico circa 14.000 pazienti con diabete e propone di eseguire la procedura lo stesso giorno della visita diabetologica con una frequenza biennale per i pazienti senza retinopatia. Al fine di fornire evidenze scientifiche per valutare l'opportunità di adottare lo screening per la RD tele-oftalmologico in alternativa all'approccio tradizionale, è stato condotto uno studio di valutazione economica per assicurare l'adozione del programma con il massimo valore in termini di salute e sostenibilità economica, garantendo equità di accesso alla popolazione.

Metodologia - Lo studio osservazionale retrospettivo è stato condotto in ASL TO5 attraverso un'analisi delle cartelle cliniche digitali, utilizzate nella SC Diabetologia, relative a 3.635 pazienti adulti con DM sottoposti a screening per la RD negli anni 2023-24 durante la visita annuale presso il Centro Diabetico. Lo screening basato sulla telemedicina ha coinvolto i 4 distretti dell'ASL TO5 utilizzando la retinografia digitale non midriatica eseguita da personale infermieristico qualificato. Solo i pazienti con una refertazione di "fundus non valutabile" hanno eseguito l'esame del fundus oculi o la visita oculistica (1,2%/anno). Le immagini ottenute con il retinografo digitale sono state refertate a livello

centralizzato dal medico oculista.
La metodologia HTA è stata adottata attraverso la valutazione economica comparativa del programma di screening basato sulla telemedicina rispetto all'esame del fundus oculi. Per l'analisi dei due scenari è stato redatto un questionario ad hoc per valutare i costi diretti sanitari e i costi indiretti di un "paziente standard" per un "procedura standard" di screening. L'approccio di microcosting nella prospettiva della Società è stato adottato per stimare sia i costi diretti sanitari – costi del personale, attrezzature e farmaci - sia i costi indiretti - perdite di produttività del paziente e del caregiver. I costi indiretti sono stati quantificati secondo l'approccio del capitale umano, considerando le perdite di produttività dovute all'assenteismo dei lavoratori e dei caregiver in base al tipo di screening eseguito. Tutti i dati sono stati trattati nel rispetto della normativa vigente riguardo la privacy (Reg. UE 2016/679, c.d. "GDPR").

Risultati - La prevalenza complessiva della RD nei pazienti sottoposti a screening è pari al 17,1%, di cui il 13,9% (95% IC, Intervallo di confidenza: 12,8%-15,1%) presenta una retinopatia lieve. Il costo medio (diretto e indiretto) per paziente dello screening tele-retinico è pari a € 13,5 (± 5,3 DS Deviazione Standard), significativamente inferiore al costo del programma tradizionale (pari a € 40,9 ± 28 DS, p-value < 0,001). Nel biennio, il costo stimato del programma di screening tele-oftalmologico è pari a € 48.976, mentre quello con esame tradizionale ammonta a € 148.486. I risultati dello studio suggeriscono che il programma basato sulla tele-oftalmologia è economicamente vantaggioso rispetto all'esame tradizionale in ambulatorio, con un risparmio delle spese a carico del SSN e della società, migliora la sostenibilità del sistema, favorisce l'accessibilità e l'adesione allo screening da parte della popolazione diabetica. L'intervento rappresenta una buona pratica in Regione Piemonte replicabile in altri contesti che si occupano della presa in carico e della gestione integrata dei pazienti diabetici.

Bibliografia

- *Piatti A , Rui C, Gazzina S, Tartaglino B, Romeo F, Manti R, Doglio M, Nada E, Giorda CB. Diabetic retinopathy screening with confocal fundus camera and artificial intelligence –assisted grading Eur J Ophthalmol. 2025 Mar;35(2):679-688*
- *Regione Piemonte, Azienda Zero. Linee di indirizzo della Retinopatia Diabetica, 2024*

Autore di riferimento: Stefania Belelli, s.bellelli@ires.piemonte.it

Impatto economico delle amputazioni maggiori degli arti inferiori per ischemia critica in Italia: un'analisi real-world su database amministrativi

Scortichini M., Sciattella P.

Economic Evaluation and HTA (EEHTA) – CEIS, Facoltà di Economia, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"

Obiettivi - L'arteriopatia obliterante periferica (PAD) degli arti inferiori costituisce una rilevante sfida di sanità pubblica ed è riconosciuta come la principale causa di amputazioni degli arti inferiori a livello mondiale. Secondo le stime più recenti, nel 2015 la prevalenza globale della malattia ha raggiunto i 236 milioni di casi. In Italia, la PAD interessa oltre il 20% della popolazione di età superiore ai 65 anni e fino al 30% dei pazienti affetti da diabete, configurandosi come una delle complicanze più frequenti e gravi di questa patologia.
La fase più avanzata della PAD è rappresentata dall'ischemia critica degli arti inferiori, condizione che comporta un elevato rischio di eventi avversi, tra cui dolore a riposo, lesioni trofiche e ulcere, fino ad arrivare all'amputazione maggiore (AM).
Le amputazioni maggiori rappresentano l'esito clinico più invalidante per i pazienti, essendo associate a una marcata riduzione dell'aspettativa di vita (con tassi di mortalità fino all'80% a 5 anni) e a una significativa compromissione della qualità della stessa, determinata dalla perdita di mobilità e autonomia funzionale.
Oltre al rilevante impatto clinico e umano sui pazienti, le amputazioni maggiori rappresentano anche il risultato più oneroso in termini di costi sanitari per il Servizio Sanitario Nazionale (SSN), soprattutto quando vengono eseguite come primo intervento, in assenza di strategie di rivascolarizzazione. L'obiettivo di questo studio è stimare il numero di AM degli arti inferiori in Italia, e quantificare il relativo burden economico per il SSN in termini di ospedalizzazioni.

Metodologia - L'analisi è stata condotta utilizzando i dati delle Schede di Dimissione Ospedaliera (SDO) per il 2021, che raccolgono informazioni su tutte le ospedalizzazioni, sia ordinarie sia diurne, avvenute negli ospedali pubblici e privati accreditati in Italia.
Sono state identificate tutte le ospedalizzazioni di pazienti maggiorenni in acuto e in regime ordinario che riportassero un codice di diagnosi ICD9-CM relativo alle AM degli arti inferiori, nello specifico:
- Disarticolazione della caviglia (84.13);
- Amputazione della caviglia a livello dei malleoli della tibia e fibula (84.14);
- Altra amputazione al di sotto del ginocchio (84.15);
- Disarticolazione del ginocchio (84.16);

- Amputazione al di sopra del ginocchio (84.17);
- Disarticolazione dell'anca (84.18);
- Amputazione addomino-pelvica (84.19).

L'impatto economico per il SSN è stato stimato sulla base delle tariffe DRG; inoltre è stato stimato il numero delle giornate di degenza.

Risultati - Nel 2021 si sono registrati in Italia 3.985 ricoveri ospedalieri associati ad AM, per un totale di 81.317 giornate di degenza e una spesa annua a carico del SSN pari a 46,4 milioni di euro. La degenza media per ricovero è risultata pari a 20,5 giorni. Le amputazioni sopra il ginocchio hanno rappresentato il 71,5% degli interventi, seguite dalle amputazioni sotto il ginocchio (27,4%).
Questi risultati offrono un quadro aggiornato del burden ospedaliero legato alle AM in Italia. L'elevata prevalenza di amputazioni sopra il ginocchio evidenzia la necessità di una diagnosi precoce e di una gestione tempestiva dell'ischemia critica degli arti inferiori, tramite interventi di rivascolarizzazione, al fine di prevenire la progressione della malattia e ridurre la gravità degli interventi chirurgici. Il potenziamento delle linee guida regionali e l'ottimizzazione della rete ospedaliera potrebbero contribuire a migliorare gli esiti clinici e a ridurre il burden economico per il Servizio Sanitario Nazionale.

Bibliografia

- *1 Song P, Fang Z, Wang H, Cai Y, Rahimi K, Zhu Y, et al. Global and regional prevalence, burden, and risk factors for carotid atherosclerosis: a systematic review, meta-analysis, and modelling study.*
- *Lancet Glob Health. 2020;8(5).*
- *2 Baviera M, Foresta A, Fernandez LO, Torrigiani G, Tettamanti M, Roncaglioni MC, et al. Peripheral artery disease in patients with stable coronary artery disease in general practice: results from an Italian nationwide study—PAD & CAD study. Intern Emerg Med. 2024 Jan 1;*
- *3 Giurato L, Vainieri E, Meloni M, Izzo V, Ruotolo V, Fabiano S, Pampana E, Lipsky B, Gandini R, Uccioli L. Limb salvage in patients with diabetes is not a temporary solution but a life-changing procedure. Diabetes Care. 2015 Oct;38(10):e156-7. doi: 10.2337/dc15-0989. Epub 2015 Aug 20. PMID: 26294664.*
- *4 Bellia A, Meloni M, Andreadi A, Uccioli L, Lauro D. Geographic and Ethnic Inequalities in Diabetes Related Amputations. Front Clin Diabetes Healthc. 2022 Mar 11;3:855168. doi: 10.3389/fcdhc.2022.855168. PMID: 36992760; PMCID: PMC10012100.*

Autore di riferimento: Matteo Scortichini, matteo.scortichini@uniroma2.it

Impatto epidemiologico ed economico delle complicanze a breve termine e delle patologie correlate nei pazienti con stomia in Italia: un'analisi real-world su dati amministrativi

Scortichini M., Sciattella P.

Economic Evaluation and HTA (EEHTA) – CEIS, Facoltà di Economia, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata"

Obiettivi - Nonostante i progressi nelle tecniche chirurgiche e nella gestione perioperatoria, la creazione di una stomia rimane un esito frequente nel trattamento del tumore del colon-retto (CC) e delle malattie infiammatorie intestinali (IBD), in particolare la malattia di Crohn (MdC) e la colite ulcerosa (CU). Si stima che ogni anno, negli Stati Uniti, tra 100.000 e 120.000 pazienti siano sottoposti a colostomia o ileostomia, e tendenze analoghe sono osservate in tutta Europa. In Italia, sebbene manchino dati ufficiali da registri nazionali, le stime suggeriscono che circa 75.000 persone vivano con una stomia, con oltre 18.000 nuovi casi ogni anno. Sebbene tali interventi siano spesso necessari per gestire patologie gastrointestinali complesse o in fase avanzata, questi comportano un notevole carico in termini di complicanze a lungo termine, in particolare l'ernia parastomale. L'obiettivo di questo studio è quantificare la popolazione a rischio di sviluppare un'ernia parastomale che necessita di un intervento di riparazione in Italia e stimare l'impatto economico associato agli interventi di chirurgia addominale e alle principali patologie correlate a questa complicanza.

Metodologia - L'analisi è stata condotta utilizzando i dati delle Schede di Dimissione Ospedaliera (SDO) del periodo 2015-2019, che raccolgono informazioni su tutte le ospedalizzazioni, sia ordinarie sia diurne, avvenute negli ospedali pubblici e privati accreditati in Italia.
Un'analisi trasversale è stata condotta per stimare il volume di ospedalizzazioni con diagnosi di MdC, CU, CC o procedure di colostomia/ileostomia, identificate tramite codici ICD-9-CM. È stato stimato il numero di ricoveri, la spesa a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e la mobilità regionale. I risultati sono stati stratificati per patologia/procedura e anno di dimissione.
Inoltre, è stata condotta un'analisi longitudinale identificando tutti i pazienti residenti in Italia con almeno un ricovero ospedaliero (evento indice) tra il 2015 e il 2018 per colostomia o ileostomia. I pazienti sono stati seguiti per un anno (follow-up) dall'evento indice, al fine di stimare l'incidenza di interventi per riparazione dell'ernia addominale, individuati tramite codici di procedura. L'analisi è stata stratificata per tipo di procedura, fattori di rischio (Diabete, BPCO, malnutrizione e obesità) e fmalattie predisponenti (MdC, CU, CC). Per valutare la presenza di malattie predisponenti e fattori di rischio sono stati analizzati anche i ricoveri registrati nei due anni precedenti l'evento indice.

Risultati - Nel periodo 2015-2019, in Italia sono stati dimessi complessivamente 337.281 pazienti con diagnosi di MdC, CU, CC o sottoposti a colostomia/ileostomia. La diagnosi più frequente è quella di CC (198.686 pazienti, 58,9%), mentre 93.341 pazienti (27,7%) si sono sottoposti a un intervento.
Nello stesso periodo si sono registrati 449.087 ricoveri ospedalieri per le medesime condizioni, con una spesa complessiva stimata per il SSN pari a circa 3,2 miliardi di euro. I pazienti con tumore colorettale hanno rappresentato la quota più rilevante, con 249.223 ricoveri e oltre 1,7 miliardi di euro di spesa. I costi medi più elevati per ricovero sono stati osservati nei pazienti sottoposti a colostomia (€11.983), ileostomia (€11.557) o a intervento combinato di colostomia e ileostomia (€14.993).
L'analisi della mobilità regionale ha evidenziato un indice di mobilità pari all'8,2%. È stata registrata un'elevata percentuale di ricoveri extraregionali tra i pazienti con MdC (12,8%) e ileostomia (12,2%), mentre un indice più contenuto è stato osservato per il CC (6,6%) e la colostomia (6,5%).
In totale, nel quadriennio 2015-2018 sono stati identificati 57,517 soggetti con un primo ricovero per ileostomia o colostomia. L'analisi longitudinale ha evidenziato un rischio complessivo di ospedalizzazione per intervento di riparazione di ernia addominale a un anno dall'intervento pari al 5,2%. Un rischio più elevato è stato osservato nei pazienti con obesità (9,9%), mentre un dato inferiore alla media è stato stimato nei soggetti con diagnosi di malnutrizione (3,3%). I pazienti con MdC hanno mostrato un'incidenza a 365 giorni pari al 5,4%, mentre i soggetti con CC hanno presentato un'incidenza del 3,9%, leggermente inferiore alla media.

Bibliografia

- *1 Hendren S, Hammond K, Glasgow S C. et al. Clinical practice guidelines for ostomy surgery. Dis Colon Rectum. 2015;58(4):375–387. doi: 10.1097/DCR.0000000000000347.*
- *2 Londono-Schimmer EE, Leong AP, Phillips RK. Life table analysis of stomal complications following colostomy. Br J Surg. 1994;81(5):727–729. doi:10.1002/bjs.1800810522*
- *3 Dharmarajan S, Miyahara K, Vogel JD, Remzi FH, Kiran RP. Factors associated with early hernia development in patients with stomas: a large prospective cohort study. Int J Colorectal Dis. 2016;31(2):401–408. doi:10.1007/s00384-015-2477-4*

Autore di riferimento: Matteo Scortichini, matteo.scortichini@uniroma2.it

Screening del carcinoma prostatico: analisi economica comparativa tra modello opportunistico e programma strutturato a invito secondo linee guida

Rumi F.[1], Basile M.[1], Di Brino E.[1], Sciomenta I.[1], Calosci E.M.[1], Fortunato A.1, Antonini D.[1], Ficarra V.[2], Falagario U.[2], Carrieri G.[2]

[1]ALTEMS Advisory, spin-off Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2]Società Italiana di Urologia (SIU)

Obiettivi - Il carcinoma prostatico rappresenta una delle principali cause di morbilità maschile in Italia. L'uso del test PSA per lo screening precoce è diffuso ma spesso eterogeneo, con criticità in termini di sovradiagnosi e inefficienza.
Questo studio si propone di confrontare due scenari di gestione della prevenzione: l'attuale approccio opportunistico (scenario AS IS), e uno scenario alternativo (TO BE) che prevede un programma di screening organizzato a invito conforme alle linee guida.
L'obiettivo è valutare l'impatto economico e organizzativo della transizione verso un modello strutturato, al fine di ottimizzare l'impiego delle risorse nel Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Metodologia - L'analisi è stata condotta tramite un modello decisionale ad albero con orizzonte temporale a 5 anni, applicato alla popolazione maschile italiana di età compresa tra 55 e 69 anni. Lo scenario AS IS prevede una gestione eterogenea: 50% con percorso aderente alle linee guida, 30% con test PSA senza utilizzo di risonanza magnetica (RM), e 20% senza alcuno screening. Lo scenario TO BE assume una completa adesione al percorso diagnostico raccomandato (PSA →RM →biopsia).
Il modello considera i costi diretti sanitari, le complicanze, le strategie terapeutiche per ciascun gruppo di rischio, e integra una valutazione dell'incertezza tramite analisi di sensibilità deterministica e probabilistica.

Risultati - L'implementazione di un programma di screening strutturato è attesa aumentare l'uso della risonanza magnetica, ma ridurre significativamente il numero di biopsie e di diagnosi di tumori a basso rischio, con conseguente ottimizzazione del percorso diagnostico e terapeutico. Sebbene i costi totali nello scenario TO BE risultino lievemente superiori, la redistribuzione delle risorse suggerisce un uso più efficiente e mirato, con benefici clinici e organizzativi.
L'analisi probabilistica su oltre 5.000 simulazioni mostra che lo scenario TO BE può risultare economicamente vantaggioso in presenza di elevata incidenza di pratiche inappropriate (es. biopsie senza RM).
Al contrario, un alto tasso di popolazione oggi non sottoposta a screening comporterebbe un au-

mento dei costi a fronte di una maggiore copertura, da valutare in ottica di equità e impatto clinico.

Bibliografia

- *1 Eklund M. et al., NEJM, 2021*
- *2 Hugosson J. et al., BMJ, 2019*
- *3 Mian M. et al., Urologia, 2024*
- *4 Vynckier T. et al., Health Econ Rev, 2024*

Autore di riferimento: Ilaria Sciomenta, ilaria.sciomenta@altemsadvisory.it

9

HTA, VALUE BASED IN HEALTHCARE

Analisi economica-organizzativa dell'utilizzo del test di screening mammario in Italia

Basile M., Antonini D., Di Brino E., Fortunato A., Rumi F.

ALTEMS Advisory s.r.l.

Obiettivo - Obiettivo della presente analisi è stimare il profilo di costo-utilità ed il burden economico derivante dall'impiego del test Oncotype DX® nel setting assistenziale italiano per le pazienti affette da carcinoma mammario.

Metodi - Al fine di indagare il valore dell'impiego di test multigenici, e in particolare di Oncotype DX®, nel contesto sanitario italiano, il presente studio ha sviluppato due analisi economiche: un'Analisi di Costo-Utilità (CUA), uno strumento essenziale per bilanciare l'efficacia clinica dei trattamenti con la sostenibilità economica; ed un'Analisi di Cost-Of-Illness (COI), uno strumento utile per quantificare il burden economico complessivo della patologia e analizzare l'impatto dell'integrazione del test Oncotype DX® nella pratica clinica.
Il modello economico sviluppato per le due analisi si compone di due strutture metodologiche principali: un albero decisionale, che ha consentito il confronto fra diverse strategie terapeutiche integrando informazioni su costi, benefici e probabilità di ciascun esito, al fine di identificare l'opzione più vantaggiosa; ed un modello di Markov a 5-stadi, utile per simulare l'evoluzione della condizione clinica nel tempo attraverso la transizione dei pazienti tra differenti stati di salute.
La valutazione è stata condotta adottando due prospettive di analisi: quella del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e quella sociale. La prospettiva sociale, in termini di perdita di produttività, è stata indagata tramite la somministrazione di una survey rivolta alle associazioni di pazienti e alle categorie di riferimento attive nel contesto italiano.
Il profilo di costo-utilità della tecnologia è stato espresso in termini di Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER), definendo un threshold per singolo QALY guadagnato pari a €80.000/QALY[1].
Infine, per valutare il profilo di costo-utilità del test Oncotype DX, nell'ambito della CUA è stata considerata una coorte ipotetica di 1.000 pazienti. Diversamente, nella COI è stata analizzata la popolazione reale affetta dalla patologia nel contesto sanitario italiano. Più nel dettaglio, nella COI si è stimata nel 2023 una popolazione italiana incidente affetta da EBC HR+/HER2- N0 ed N1 pari a 25.409 nuovi casi, di cui il 69% (17.532) N0 ed il 31% (7.877) N1[2-3]. All'interno della COI si è inoltre definito un tasso di copertura del test di screening per l'intera popolazione pari all'50%.

Risultati - I risultati delle analisi condotte nel presente elaborato evidenziano come l'utilizzo del test Oncotype DX per la popolazione complessiva rappresenti una strategia costo-efficace sia dalla prospettiva del SSN che dalla prospettiva sociale, riportando un ICER rispettivamente pari a €23.605,63/QALY e €23.589,11/QALY. Di fatto, i risultati dimostrano come, nonostante il costo iniziale più elevato del test rispetto alla sola valutazione clinica del rischio, il test Oncotype DX offre un miglior rapporto costo-utilità, grazie ai benefici clinici aggiuntivi che comporta e alla capacità di guidare in modo più mirato le decisioni terapeutiche.
A conferma di tali risultati, i risultati della COI, considerando la popolazione complessiva, sia nella prospettiva del SSN che sociale, hanno evidenziato come l'utilizzo del test comporti una riduzione dei costi complessivi rispetto alla strategia tradizionale basata sulla sola valutazione clinica del rischio, rispettivamente pari a €918,47 per paziente e €1.031,66 per paziente.

Conclusioni - In conclusione, il test Oncotype DX si dimostra una tecnologia non solo clinicamente efficace, ma anche economicamente sostenibile, offrendo benefici sia in termini di outcome clinici che di ottimizzazione dei costi. Questi risultati supportano l'adozione del test Oncotype DX come parte integrante della gestione del carcinoma mammario in stadio precoce, evidenziando il suo contributo a una migliore allocazione delle risorse sanitarie e a un impatto positivo sulla sostenibilità del sistema sanitario. L'utilizzo del test, infatti, consente di ridurre significativamente i costi complessivi associati al trattamento, grazie a una gestione più mirata delle risorse e alla diminuzione delle terapie non necessarie.

Bibliografia

- *1 Martone, N., Lucioni, C., Mazzi, S., & Fadda, V. (2014). Cost-Effectiveness Evaluation of Oncological Drugs Newly Marketed in Italy: Valutazione di costo-efficacia dei nuovi farmaci oncologici immessi sul mercato italiano. Global and Regional Health Technology Assessment, 1(2), 31–43. https://doi.org/10.33393/grhta.2014.315*
- *2 I numeri del cancro in Italia (Anno 2023) – Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). Disponibile presso: https://www.aiom.it/wp-content/uploads/2023/12/2023_AIOM_NDC-web.pdf*
- *3 Cognetti F. et al. (2021). PONDx: real-life utilization and decision impact of the 21-gene assay on clinical practice in Italy. NPJ breast cancer, 7(1), 47. https://doi.org/10.1038/s41523-021-00246-4*

Autore di riferimento: Debora Antonini, debora.antonini@unicatt.it

La gestione value-based del paziente adulto con Ipertensione arteriosa polmonare: Health Technology Assessment di sotatercept

Calabrò G.E.[1], De Belvis A.g.[2], Bert F.[3], Lo Moro G.[3], Scaioli G.[3], D'ambrosio F.[4], De Donno R.4, Scarfagna C.[4], Ricciardi R.[5], D'alto M.[6], Ghio S.[7], Limongelli G.[8] , Poscia R.[9] , Sciattella P.[10] , Paoletti M.[10], Marcellusi A.[11] , Ferrara P.[12] , Vivenzio V.[13] , Nicoletti T.[14], Fava V.[14], Vizza D.[15] , Ricciardi W.[4]

[1] Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università degli Studi di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spinoff dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2] Dipartimento di Scienze dell'economia e della gestione aziendale, Facoltà di Economia, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma; UOC Percorsi e Valutazione Outcome Clinici (PeVOC), Fondazione Policlinico Universitario "Agostino Gemelli" IRCCS, [3] Dipartimento di Scienze della Sanità Pubblica e Pediatriche, Università degli Studi di Torino, [4] Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [5] VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma,[6] U.O.S. "Management cardiocircolatorio dell'ipertensione polmonare" - Cardiologia SUN, Azienda Ospedaliera Specialistica dei Colli – Monaldi – Cotugno – CTO di Napoli, [7] U.O.C. di Cardiologia, Fondazione I.R.C.C.S. Policlinico San Matteo Pavia, [8]U.O. Malattie cardiovascolari rare ed ereditarie dell'Ospedale Monaldi, Napoli; Centro coordinamento malattie rare Regione Campania, [9] Centro Interdipartimentale Malattie Rare, AOU Policlinico Umberto I, Roma, [10]Economic Evaluation and HTA (EEHTA) CEIS; Università degli Studi di Roma "Tor Vergata", [11]Dipartimento di Scienze Farmaceutiche, Università degli Studi di Milano, [12] Presidente Associazione Ipertensione Polmonare Italiana (AIPI), [13] Presidente Associazione Malati Ipertensione Polmonare (AMIP), [14]Cittadinanzattiva, Roma, [15] Centro per l'Ipertensione Polmonare, Policlinico Umberto I; Università degli Studi La Sapienza, Roma

Obiettivi - L'Ipertensione Arteriosa Polmonare (IAP) è una malattia rara, progressiva e invalidante, caratterizzata da rimodellamento dei vasi polmonari e aumento della pressione arteriosa polmonare, con evoluzione verso insufficienza del ventricolo destro e, nei casi più gravi, trapianto di polmone. La diagnosi avviene spesso tardivamente (fino a 2,5 anni dopo l'insorgenza dei sintomi), compromettendo le possibilità di trattamento precoce. Il presente lavoro ha avuto l'obiettivo di elaborare, attraverso un approccio multidisciplinare e multistakeholder, un report di Health Technology Assessment (HTA) su sotatercept, nuova terapia per l'IAP nell'adulto, e di definire un percorso assistenziale value-based per la gestione ottimale della patologia nel contesto italiano.

Metodologia - È stata condotta una valutazione multidimensionale e multidisciplinare della tecnologia innovativa sotatercept, mediante una revisione critica delle evidenze scientifiche disponibili sui domini clinici e non clinici del Core Model® EUnetHTA, al fine di analizzarne le principali implicazioni sanitarie, economiche ed organizzative. Per l'ambito organizzativo, l'assessment si è articolato in tre fasi:

una fase esplorativa, mediante web-screening dei siti regionali e mappatura dei centri accreditati specializzati per descrivere l'attuale presa in carico della IAP in Italia;

una fase di assessment, con coinvolgimento di esperti per identificare punti di forza e debolezza dei modelli gestionali regionali;

una fase di policy per definire un meta-percorso value-based nazionale.
Coerentemente con l'approccio dell'HTA, la stesura del report ha previsto l'attivazione di un tavolo multidisciplinare di esperti (cardiologi, referenti regionali malattie rare, professionisti di sanità pubblica, economisti sanitari, associazioni di cittadini e pazienti), per discutere e approfondire le tematiche legate alla tecnologia sanitaria oggetto di valutazione.
Risultati - In Italia si stimano circa 3.500 pazienti affetti da IAP, con prevalenza femminile nei due terzi dei casi. La sopravvivenza a 5 anni varia in base al rischio: dal 51,9% nei pazienti a rischio intermedio al 32,4% per quelli ad alto rischio. La malattia ha un impatto crescente sulla qualità della vita: il 97% ha difficoltà nell'esercizio fisico, il 72% nello svolgimento di attività quotidiane, e oltre l'80% subisce una compromissione lavorativa dopo la diagnosi. La malattia comporta anche un significativo burden socio-economico: in Italia la spesa complessiva annua è stimata in circa €470 milioni, di cui il 69% legata a costi sanitari diretti. I costi variano da €46.000 (Classe Funzionale – CF - I) fino a oltre €264.000 (CF IV), con un costo medio di €134.000 per paziente/anno, correlato alla gravità della patologia, alle ospedalizzazioni e al trattamento con farmaci ad alto costo come le prostacicline. Sotatercept, recentemente approvato in Europa e negli Stati Uniti, è una proteina di fusione che agisce sul riequilibrio dei fattori di proliferazione vascolare, rallentando la progressione della IAP. Gli studi ne confermano efficacia clinica e sicurezza. Il suo valore è stato analizzato in tre ambiti:

- Clinico: aumento della capacità fisica e riduzione della progressione della malattia;
- Economico: potenziale risparmio per il SSN e minore perdita di produttività;
- Sociale: incremento degli anni vita con coseguente miglioramento della qualità di vita e della capacità lavorativa.

A livello organizzativo, è stato elaborato un meta-percorso assistenziale value-based per la gestione della IAP, con una chiara definizione di ruoli tra Centri Hub (diagnosi, piano terapeutico personalizzato) e Centri Spoke (follow-up, rivalutazione). Elementi chiave del percorso sono: la diagnosi tempestiva della malattia; la presenza di un team multidisciplinare; la gestione del follow up; l'identificazione di un set di KPI; l'inserimento di elementi innovativi quali ad esempio la gestione da remoto del paziente, la valutazione costante del rischio, la valutazione del quadro clinico e dello stato psico-fisico del paziente, anche mediante utilizzo della telemedicina e di wearables.
L'adozione di sotatercept, in un contesto strutturato e centrato sul valore, rappresenta un'opportunità concreta per migliorare la presa in carico dei pazienti con IAP, riducendone il burden clinico, economico e sociale. In un'ottica di sanità pubblica, la sua introduzione può essere letta come un investimento strategico ad alto impatto, capace di rispondere a un rilevante unmet medical need nel campo delle malattie rare. Il modello proposto di gestione value-based può contribuire a standardizzare l'assistenza, promuovere equità di accesso e favorire l'appropriatezza clinica sull'intero territorio nazionale.

Autore di riferimento: Floriana D'Ambrosio, florianadambrosio@libero.it

Verso un Servizio Sanitario Nazionale basato sul valore: un modello integrato tra HTA e VBHC per il supporto alle decisioni

Calabrò G.E.[1], D'ambrosio F.[2], Maida A.[2], Nisticò A.[2], Scarfagna C.[2], Lettieri M.[2], Ricciardi R.[3], Giuliani G.[4], Grillo F.[5], Hegenbarth A.[6], Ponzianelli A.[7], Zancocchia B.[8], Ricciardi W.[2]

[1]Dipartimento di Scienze Umane, Sociali e della Salute, Università di Cassino e del Lazio Meridionale, Cassino; VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2] Sezione di Igiene, Dipartimento Universitario di Scienze della Vita e Sanità Pubblica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [3]VIHTALI (Value In Health Technology and Academy for Leadership & Innovation), Spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [4]Roche S.p.A.[5]Bracco SpA, Presidente Federated Innovation Mind. [6]AstraZeneca S.p.A. [7]Moderna Italy, [8]Novartis Farma

Obiettivi - L'aumento della pressione economica sui sistemi sanitari, l'introduzione di tecnologie sempre più avanzate e l'incremento costante della domanda di servizi assistenziali stanno mettendo a dura prova la sostenibilità, l'equità e la qualità dell'assistenza sanitaria. In tale contesto, risulta evidente la necessità di rivedere in modo sistematico i criteri di allocazione delle risorse e i modelli organizzativi, orientandoli verso un paradigma che ponga il valore al centro delle decisioni. Il concetto di Value-Based Health Care (VBHC), nato per massimizzare gli esiti rilevanti per i pazienti rispetto ai costi sostenuti, rappresenta una risposta strategica alle sfide odierne. Allo stesso tempo, l'Health Technology Assessment (HTA) fornisce una base metodologica rigorosa per valutare l'impatto delle tecnologie sanitarie e guidare decisioni informate. Questo progetto si propone di sviluppare un framework integrato evidence-based che combini i principi del VBHC e dell'HTA per supportare l'evoluzione del sistema decisionale e assistenziale italiano verso modelli più sostenibili, efficienti, equi e orientati agli esiti di salute.

Metodologia - Il progetto è stato strutturato in tre fasi principali, caratterizzate da un approccio multidisciplinare e partecipativo:

1. Fase esplorativa: è stata condotta una scoping review della letteratura scientifica pubblicata su PubMed, con particolare attenzione agli studi europei sull'applicazione dei modelli VBHC nella prevenzione, diagnosi e trattamento, incluse le malattie infettive prevenibili con vaccinazione. Parallelamente, è stato realizzato un webscreening dei principali siti istituzionali italiani e internazionali, finalizzato all'individuazione di iniziative rilevanti già in atto.
2. Fase di assessment multistakeholder: attraverso una survey strutturata rivolta a esperti del settore sanitario (clinici, decisori, ricercatori, rappresentanti istituzionali), sono stati raccolti dati qualitativi e quantitativi utili a mappare la percezione, le criticità e le opportunità legate all'adozione del modello VBHC nel contesto del Servizio Sanitario Nazionale (SSN).
3. Fase di policy: in questa fase, è stato avviato un processo di consultazione partecipativa per la

definizione di raccomandazioni operative condivise, finalizzate a orientare i processi decisionali verso un modello di assistenza realmente centrato sul valore. Gli esperti coinvolti hanno contribuito alla validazione delle priorità emerse, delineando le condizioni abilitanti per la loro implementazione.

Risultati - La revisione della letteratura ha portato all'analisi di 71 articoli scientifici europei selezionati e alla mappatura di 140 iniziative italiane riferibili al paradigma VBHC. Di queste, il 50% erano sperimentazioni applicative in contesti clinici, prevalentemente ospedalieri; il 19,2% progetti di formazione e capacity building; il 15% materiali informativi destinati agli stakeholder; l'11,5% pubblicazioni di tipo divulgativo e il 4,3% linee guida teoriche. Sulla base di tali evidenze è stato costruito un questionario articolato in tre macro-aree tematiche: conoscenza del modello VBHC, impatto sui processi decisionali e implementazione pratica. La survey ha coinvolto 14 esperti e ha permesso di identificare 18 priorità operative, suddivise in:

- 6 azioni per aumentare la conoscenza del modello VBHC tra operatori sanitari e decisori;
- 6 strategie per facilitare l'integrazione del VBHC nei processi decisionali, attraverso strumenti HTA, indicatori di esito, benchmarking e modelli di finanziamento coerenti;
- 6 raccomandazioni per promuovere l'implementazione concreta del VBHC nel SSN, tra cui la definizione di standard minimi, il coinvolgimento attivo dei cittadini e l'adozione di sistemi digitali interoperabili per la raccolta e l'analisi degli outcome.

L'adozione di un modello sanitario orientato al valore costituisce un'opportunità strategica per affrontare le sfide attuali del SSN, migliorando al contempo qualità, equità, efficienza e sostenibilità. Il framework sviluppato in questo progetto dimostra come l'integrazione tra HTA e VBHC possa guidare l'evoluzione dei sistemi decisionali verso approcci più informati, trasparenti e centrati sui reali bisogni di salute della popolazione. Tuttavia, la realizzazione di tale transizione richiede l'impegno congiunto di tutti gli attori del sistema – dai policy maker ai professionisti sanitari, dai cittadini all'industria – in un'ottica collaborativa e intersettoriale. La promozione di cultura del valore, la diffusione di buone pratiche e l'adozione di indicatori condivisi rappresentano elementi chiave per garantire una trasformazione sistemica del SSN che sia realmente centrata sul paziente e orientata agli esiti.

Bibliografia

- *Expert Panel on Effective Ways of Investing in Health (EXPH). Opinion on Defining value in "value-based healthcare". 2019.*

Autore di riferimento: Giovanna Elisa Calabrò, alisacalabro@icloud.com

L'impatto economico e sociale della prevenzione vaccinale nella popolazione anziana

Falasca G.1, Antonini D.1,2, Basile M.2, Di Brino E.2, Fortunato A.1,2, Rumi F.2

1Università Cattolica del Sacro Cuore, 2Altems Advisory, Università Cattolica del Sacro Cuore

Obiettivi - L'invecchiamento demografico è una delle principali sfide che il paese italiano sta affrontando. Secondo le proiezioni demografiche dell'ultimo report ISTAT, il 24,7% della popolazione — circa un quarto — ha oggi almeno 65 anni, e tra questi 4,6 milioni hanno già superato gli 80. Entro il 2050, si prevede che l'Italia perderà circa 8,5 milioni di lavoratori nella fascia d'età 15–64 anni rispetto al 2010, mentre la popolazione over 65 aumenterà di oltre 5 milioni. Questo squilibrio demografico esercita una crescente pressione sui sistemi di welfare, in particolare su quello pensionistico e sanitario. Inevitabilmente, con la diminuzione dei lavoratori e l'aumento dei pensionati, il numero di beneficiari cresce mentre quello dei finanziatori si riduce, sollevando interrogativi sulla sostenibilità del sistema nel lungo termine. A ciò si aggiunge un aumento della domanda di assistenza, ed il carico di cura ricade sempre più spesso sui caregiver familiari. Ciò aumenta il fenomeno della perdita di produttività, determinando conseguenze significative sulla loro partecipazione al mercato del lavoro.
In questo contesto, la vaccinazione assume un ruolo strategico per garantire un invecchiamento sano e sostenibile, contribuendo a ridurre l'incidenza di malattie trasmissibili e i relativi costi sanitari, come quelli associati a visite specialistiche, ricoveri ospedalieri e trattamenti complessi. Essa, infatti, rappresenta uno degli strumenti di sanità pubblica più efficaci in termini di costo-beneficio, in particolare per le popolazioni anziane e fragili: nella recente pandemia di COVID-19, la vaccinazione ha mostrato un'efficacia significativa, con una riduzione dell'88,4% dei ricoveri ospedalieri e del 97,0% dei decessi rispetto ai non vaccinati. Per i decisori pubblici, è quindi fondamentale adottare una prospettiva economica allargata nella valutazione del valore dei vaccini e delle politiche sanitarie. Accanto ai costi sanitari diretti, è necessario includere quelli indiretti, come la perdita di produttività dei caregiver e i costi dell'assistenza informale. L'approccio basato sul capitale umano rappresenta uno strumento metodologico consolidato per stimare l'impatto economico delle perdite di produttività, assumendo che il reddito rifletta il contributo del lavoratore al sistema economico.
Alla luce di queste evidenze, questo studio propone un modello integrato economico-finanziario e sociale per valutare l'impatto complessivo di politiche di ampliamento della copertura vaccinale, in accordo ai target proposti dal Piano Nazionale Prevenzione Vaccinale (PNPV). In particolare, si analizzano gli effetti della vaccinazione sugli anziani e sul carico assistenziale dei caregiver, stimando l'impatto fiscale netto in termini di costi evitati, produttività recuperata e aumento del gettito.

Metodi - Il lavoro consta di due fasi: una revisione della letteratura per estrapolare i dati epidemiologici e un'analisi dei costi (budget impact analysis), volta a stimare i costi diretti, i costi indiretti (perdite di produttività dovute ai giorni lavorativi persi) e l'aumento delle entrate fiscali derivante dall'aumento della copertura vaccinale tra gli anziani.
Per la stima dei costi sociali dovuti alle perdite di produttività e, quindi, per stimare l'impatto fiscale (fiscal impact), verrà utilizzato l'approccio del capitale umano. L'analisi considererà un orizzonte temporale di 3 anni e, al fine di caratterizzare l'incertezza dei parametri utilizzati nel modello, saranno inoltre condotte analisi di sensibilità deterministiche e probabilistiche.

Risultati - Si prevede che l'analisi dell'impatto sul budget evidenzi un aumento dei costi diretti per il servizio sanitario a seguito dell'ampliamento della copertura assistenziale nella popolazione anziana. Tuttavia, tale incremento sarà parzialmente compensato da una riduzione dei costi indiretti, in particolare quelli legati all'aumento di produttività dei caregiver familiari, grazie a un alleggerimento del carico assistenziale. L'analisi dell'impatto fiscale mira a stimare un potenziale incremento del gettito pubblico derivante dalla maggiore partecipazione lavorativa dei caregiver e dalla riduzione dell'assenteismo. In questo contesto, l'investimento in prevenzione attraverso le vaccinazioni non solo genererebbe un ritorno economico complessivo, ma contribuirebbe anche a rafforzare il loro riconoscimento come strumento efficace per migliorare l'efficienza allocativa delle risorse sanitarie. Concentrare risorse su interventi ad alto valore aggiunto, come la prevenzione delle malattie, consente infatti di ottimizzare l'impiego dei fondi pubblici, ridurre la pressione sui servizi assistenziali e massimizzare i benefici per l'intero sistema.

Riferimenti bibliografici

- *Ruggeri, M., Di Brino, E., & Cicchetti, A. (2020). Estimating the fiscal impact of three vaccination strategies in Italy. International Journal of Technology Assessment in Health Care, 36(2), 133-138.*
- *Naumann, E., & Hess, M. (2021). Population ageing, immigration and the welfare state: the political demography in Western Europe. In Global political demography: The politics of population change (pp. 351- 371). Cham: Springer International Publishing.*
- *Bloom, D. E., Pecetta, S., Scorza, F. B., Carfi, A., Carleton, B., Cipriano, M., ... & Rappuoli, R. (2024). Vaccination for healthy aging. Science Translational Medicine, 16(745), eadm9183.*
- *Rapporto annuale 2025 ISTAT, Disponibile online: https://www.istat.it/comunicato-stampa/rapportoannuale-*
- *2025/*
- *Ciarambino, T., Crispino, P., Buono, P., Giordano, V., Trama, U., Iodice, V., ... & Giordano, M. (2023). Efficacy*
- *and safety of vaccinations in geriatric patients: a literature review. Vaccines, 11(9), 1412.*

Autore di riferimento: Giulia Falasca, giulia.falasca@unicatt.it

Cost-Effectiveness of Perioperative Pembrolizumab with Neoadjuvant Chemotherapy for Resectable Stage II–IIIB (T3–4N2) NSCLC in Italy

Fan H.[1], Feng H.[2], Gridelli C.[3], Rai P.[2], Riccaboni M.[1]

[1]IMT School for Advanced Studies, Lucca, Italy. [2]Merck & Co., Inc., Rahway, NJ, USA
[3]Division of Medical Oncology, S.G. Moscati Hospital, Avellino, Italy

Objectives - Lung cancer is the leading cause of cancer-related mortality globally, with particularly high incidence in both high- and middle-income countries (1). In Italy, the 2024 age-standardized mortality rate is estimated at 22.8 per 100,000 men and 11.2 per 100,000 women (2). Non-small cell lung cancer (NSCLC) accounts for almost 85% of all lung cancer cases, with about 30% diagnosed at early stages (I–III), where a high unmet need remains (3,4). In the perioperative NSCLC setting, pembrolizumab (Keytruda®) is approved for patients with resectable NSCLC at increased risk of recurrence based on the results of KEYNOTE-671 trial, where patients receive 4 cycles of neoadjuvant pembrolizumab in combination with platinum-based chemotherapy every 3 weeks, followed by surgery and up to 13 cycles of adjuvant pembrolizumab monotherapy. This regimen improved both event-free survival (EFS) and overall survival (OS) compared to neoadjuvant chemotherapy alone (5). No economic evaluation has been conducted in the Italian setting to-date. This study aims to evaluate the cost-effectiveness of perioperative pembrolizumab versus neoadjuvant chemotherapy alone in resectable NSCLC patients at high recurrence risk, from the Italian National Health Service (SSN) perspective over a 20-year time horizon.

Methods - A Markov model was developed to evaluate the cost-effectiveness of perioperative pembrolizumab compared to neoadjuvant chemotherapy alone. The model consisted of four health states: event-free, locoregional recurrence or progression, distant metastases and death. A hypothetical cohort with a mean age of 63.1 years was simulated in weekly cycles over 20 years. The analysis adopted the SSN perspective and included only direct medical costs. Health outcomes were expressed in quality-adjusted life years (QALYs). Costs and QALYs were discounted at an annual rate of 3%, in accordance with Italian Medicines Agency (AIFA) guidelines (6). Transition probabilities, utility values, and cost inputs were derived from KEYNOTE-671, other clinical trials (KEYNOTE-189/407), realworld evidence, published literature, and expert opinion reflecting the Italian clinical and economic context. Model robustness was tested via scenario, deterministic and probabilistic sensitivity analysis.

Results - Perioperative pembrolizumab combined with neoadjuvant chemotherapy was cost-effective, yielding an incremental cost-effectiveness ratio (ICER) of €19,079 per QALY compared to neoa-

djuvant chemotherapy alone. This was well below the average negotiated ICER of €33,000/QALY in Italy (7) and the €40,000/QALY threshold recommended by AIES (8). The corresponding incremental net monetary benefit (INMB) was €26,575 at the €33,000/QALY level and €39,974 at €40,000/QALY. The strategy incurred €36,455 in costs and gained 1.91 QALYs. These cost results were overestimated, as acquisition costs were calculated net of the mandatory discount and did not include further negotiated reductions typically applied by the SSN. The strategy remained cost-effective across scenario and deterministic sensitivity analyses. Probabilistic analysis showed a 93.3% probability of costeffectiveness at the €33,000/QALY level, increasing to 96.3% at €40,000/QALY.

References

- *1 Bray F, Laversanne M, Sung H, Ferlay J, Siegel RL, Soerjomataram I, Jemal A. Global cancer statistics 2022: GLOBOCAN estimates of incidence and mortality worldwide for 36 cancers in 185 countries. CA Cancer J Clin. 2024 May-Jun;74(3):229–263.*
- *2 Santucci C, Mignozzi S, De Pinto G, Negri E, La Vecchia C, Vecchia B. Previsioni di mortalità per tumore in Italia per l'anno 2024. Presented at: 24th AIRTUM Scientific Meeting: Epidemiologia dei tumori in un mondo che cambia; 2024 May 8–10; Caserta, Italy.*
- *3 Soo RA, Reungwetwattana T, Perroud HA, Batra U, Kilickap S, Tejado Gallegos LF, et al. Prevalence of EGFR Mutations in Patients With Resected Stages I to III NSCLC: Results From the EARLY-EGFR Study. Journal of Thoracic Oncology. 2024 Oct;19(10):1449–59.*
- *4 Donington J, Hu X, Zhang S, Song Y, Arunachalam A, Chirovsky D, et al. Real-World Neoadjuvant Treatment Patterns and Outcomes in Resected Non–Small-Cell Lung Cancer. Clinical Lung Cancer [Internet]. 2024 Mar 22;25(5):440–8.*
- *5 Wakelee H, Liberman M, Kato T, Tsuboi M, Lee SH, Gao S, et al. Perioperative pembrolizumab for early-stage non–small-cell lung cancer. N Engl J Med. 2023;389(6):491– 503.*
- *6 Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Guidelines for submitting health economic evaluations to AIFA for pricing and reimbursement of medicines. Rome: AIFA; 2020.*
- *7 bRusso P, Zanuzzi M, Carletto A, Sammarco A, Romano F, Manca A. Role of economic evaluations on pricing of medicines reimbursed by the Italian National Health Service. Pharmacoeconomics. 2023;41(1):107–117.*
- *8 Associazione Italiana di Economia Sanitaria (AIES). Proposta di linee guida per la valutazione economica degli interventi sanitari. Milan: AIES; 2009.*

Autore di riferimento: Massimo Riccaboni, massimo.riccaboni@imtlucca.it

Medicazioni a pressione negativa (NPWT): analisi dell'utilizzo clinico e del costo-effettivo in ambito ospedaliero

Mantovani M.[1], Filosofo M.[1], P. Cannone[1], Martignoni I.[2], Grotto A.[2], Gambera M.[2]

[1]Università degli studi di Milano (Milano). [2]Ospedale P. Pederzoli (Peschiera del Garda)

Obiettivi - Il wound care, ovvero la cura e la gestione delle ferite acute e croniche, rappresenta un ambito con un impatto clinico, organizzativo ed economico non indifferente per le strutture sanitarie. In questo contesto, il progetto ha inteso valutare diverse soluzioni di medicazioni avanzate, anche in relazione a tipologie già in uso, per mantenere o migliorare gli esiti clinici riducendo nel contempo i costi complessivi della presa in carico del paziente. L'obiettivo di questo lavoro è quello di ottimizzare la gestione clinica ed economica delle lesioni cutanee complesse attraverso l'adozione di medicazioni avanzate, selezionate sulla base di criteri di efficacia e sostenibilità.

Metodologia - È stata condotta preliminarmente un'analisi tecnica delle medicazioni avanzate già in uso presso la struttura ed è stato redatto un documento contenente le specifiche caratteristiche tecniche che si intendeva valutare sulla base delle esigenze clinico-assistenziali ed economiche della struttura stessa. Tale documento è stato inviato a 15 aziende alle quali è stata chiesta una campionatura rappresentativa per ogni prodotto proposto. I campioni sono stati valutati in collaborazione con personale medico infermieristico specializzato in wound care, prendendo in considerazione la rispondenza alle specifiche tecniche richieste e criteri clinici quali efficacia nel processo di guarigione, gestione dell'essudato, facilità di applicazione e rimozione. Conseguentemente è stata realizzata una comparazione tra le offerte delle diverse aziende produttrici calcolando i costi per cm^2 per ciascuna tipologia e formato di medicazione. Sulla base del miglior rapporto costo/efficacia sono state selezionate le medicazioni ritenute più idonee.
Infine, a partire dai fabbisogni dell'anno precedente, è stata stimata la spesa annuale teorica con l'adozione delle nuove medicazioni e confrontata con la spesa sostenuta nel 2024 per le medicazioni avanzate già in uso presso la struttura sanitaria.

Risultati - L'analisi iniziale ha evidenziato la presenza in prontuario di due medicazioni con indicazioni e composizione sovrapponibili: la medicazione con peggior rapporto costo/efficacia è stata rimossa, contribuendo alla razionalizzazione della spesa.
Delle 15 aziende coinvolte, 13 hanno risposto fornendo una campionatura relativa a 125 medicazioni avanzate. La valutazione congiunta con il personale medico ed infermieristico esperto ha

permesso di identificare prodotti clinicamente validi e più sostenibili economicamente.
Il confronto tra la spesa teorica stimata 2025 con le nuove medicazioni, sulla base dei consumi 2024, e quella reale sostenuta nel 2024 ha evidenziato un potenziale risparmio pari all'11% (-10184,92€).
Essendo il progetto appena concluso, tra le azioni future potrebbe essere utile l'elaborazione e la distribuzione di un questionario di valutazione rivolto agli operatori sanitari, con l'obiettivo di raccogliere un feedback qualitativo sull'efficacia e applicabilità delle medicazioni introdotte.

Autore di riferimento: Maria Filoso, meryfilosofo@gmail.com

Fibrillazione Atriale: analisi di budget impact dell'introduzione della Pulsed Field Ablation nel Sistema Sanitario italiano

Fiumalbi E.[1], Valentini I.[2], Giaccardi M.[3], Bartoli C.[4], Narducci M.L.[4], Arcuri G.[6], Furno C.[6]

[1]Dipartimento di Farmaceutica e Logistica - ESTAR, Firenze, Italia, [2]Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, Italia, [3]Dipartimento di Cardiologia, Ospedale Santa Maria Annunziata, Bagno a Ripoli, Firenze, Italia, [4]Dipartimento di Cardiologia, Azienda USL Toscana Nord Ovest, Massa Carrara, Italia, [5]Dipartimento di Medicina Cardiovascolare, Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma, Italia, [6] Dipartimento Direzione Tecnica, ICT, Processi ed Innovazione Tecnologie Sanitarie, Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS, Roma, Italia

Obiettivi - La Fibrillazione Atriale (FA) rappresenta una delle aritmie più diffuse a livello mondiale, con circa 610.000 casi stimati in Italia (1% della popolazione totale). L'invecchiamento della popolazione e la maggiore sopravvivenza alle malattie croniche stanno contribuendo all'aumento della sua incidenza, generando un impatto significativo in termini di morbilità, mortalità e costi sanitari. La Pulsed Field Ablation (PFA) è una nuova tecnologia ablativa non termica per il trattamento della FA che utilizza una forma d'onda proprietaria per ablare i cardiomiociti, i quali mostrano una maggiore suscettibilità all'esposizione al campo elettrico rispetto ai tessuti circostanti, pur essendo anch'essi esposti. La PFA ha dimostrato un'efficacia sovrapponibile a quella delle tecniche convenzionali di ablazione transcatetere, presentando al contempo un profilo di sicurezza superiore, con una minore incidenza di complicanze e una riduzione dei tempi procedurali. Questo studio valuta l'impatto economico dell'introduzione della PFA nel Servizio Sanitario (SSN) Italiano, confrontandola con le tecniche tradizionali di crioablazione con pallone (CB) e ablazione laser-assistita (LA).

Metodologia - È stata sviluppata un'analisi di Budget Impact con orizzonte temporale di 5 anni (2024–2028), confrontando due scenari: scenario as-is (assenza di PFA) e scenario to-be (introduzione progressiva della PFA fino al 67% dei pazienti entro il 2028). L'analisi ha incluso costi diretti relativi a personale sanitario, durata della procedura, costo dei dispositivi, recidive e complicanze, utilizzando dati epidemiologi nazionali, letteratura scientifica ed expert opinion. L'analisi è stata condotta dal punto di vista del SSN. Al fine di testare la robustezza dei risultati, è stata effettuata un'analisi di sensibilità deterministica a una via.

Risultati - Per una coorte cumulativa di circa 10.248 pazienti elegibili al trattamento, l'introduzione della PFA nel 20% dei trattamenti a partire dal 2024 comporta un risparmio complessivo di € 5.327.797,62 rispetto allo scenario senza PFA. In particolare, si registrano riduzioni nei costi procedurali e del personale (€ 3.412.348,73), nella gestione delle complicanze (€ 713.148,74) e nelle recidive (€ 2.772.748,79), a fronte di un aumento dei costi per dispositivi (€ 1.570.448,64). L'analisi di sensibilità ha mostrato che una riduzione del 20% nel costo dei dispositivi PFA porterebbe a un risparmio massimo di € 10 milioni, mentre un aumento dei costi potrebbe comunque far risparmiare

circa € 574.834. Il risparmio è guidato anche dalla ridotta incidenza di reinterventi e complicanze nei pazienti trattati con PFA.
La PFA si conferma una tecnologia promettente, come evidenziato dalle prime evidenze cliniche disponibili. L'analisi di budget impact condotta nel contesto italiano suggerisce che una progressiva adozione della PFA potrebbe generare risparmi significativi nella gestione della fibrillazione atriale, grazie alla maggiore efficacia e al miglior profilo di sicurezza rispetto alle tecniche convenzionali. Tuttavia, sono necessari ulteriori studi, basati su dati a lungo termine, per superare i limiti della presente analisi e convalidarne pienamente i risultati.

Bibliografia

- *Di Carlo A, Bellino L, Consoli D, Mori F, Zaninelli A, Baldereschi M, et al. Prevalence of atrial fibrillation in the Italian elderly population and projections from 2020 to 2060 for Italy and the European Union: the FAI Project. Europace. 2019;21(10):1468–75.*
- *Verma, A., Haines, D. E., Boersma, L. V., Sood, N., Natale, A., Marchlinski, F. E., ... & PULSED AF Investigators. (2023). Pulsed field ablation for the treatment of atrial fibrillation: PULSED AF pivotal trial. Circulation, 147(19), 1422-1432.*
- *Duxbury C, Begley D, Heck PM. Pulsed field ablation with the pentaspline catheter compared with cryoablation for the treatment of paroxysmal atrial fibrillation in the UK NHS: a cost-comparison analysis. BMJ Open. 2024;14(5):e079881.*
- *ARS Toscana. Malati cronici di fibrillazione atriale non valvolare. Regione Toscana; 2024. Disponibile su: https://www.ars.toscana.it*

Autore di riferimento: Ilaria Valentini, ilaria.valentini@unicatt.it

Il valore degli anticorpi bispecifici in ematologia: analisi delle valutazioni di HTA di tre paesi europei

Gozzo L.[1], Vetro C.[2], Romano G.L.[3], Lombardo G. E.[3], Palumbo F.E.,[4] Ragusa L.[1], Bucolo C.[5], Drago F.[1]

[1]Commissione HTA, AOU Policlinico G. Rodolico-San Marco, Catania, [2]Hematology and Bone Marrow Transplantation Unit, Hospital of Bolzano (SABES-Azienda Sanitaria dell'Alto Adige), Teaching Hospital of Paracelsus Medical University, Bolzano, Italy, [3]Università Kore, Enna, [4]UOC Ematologia con Trapianto di Midollo Osseo, AOU Policlinico G. Rodolico-San Marco, Catania 5UOC Farmacia, AOU Policlinico G. Rodolico, Catania

Obiettivi - Gli anticorpi bispecifici rappresentano una nuova classe terapeutica, sviluppata negli ultimi anni soprattutto per il trattamento di malattie onco-ematologiche[1]. In generale, questi farmaci sono accomunati da un meccanismo d'azione peculiare rispetto agli altri anticorpi, legandosi su due bersagli differenti[2]. Nello specifico, sono disegnati per legare due diversi antigeni, bloccando diverse vie di segnalazione intracellulari o stimolando reazioni immunitarie contro le cellule tumorali. Questo consente di ridurre il rischio di insorgenza di resistenze. Numerosi anticorpi sono stati approvati a seguito della dimostrazione di un miglioramento dell'outcome dei pazienti affetti da malattie onco-ematologiche, e molti altri sono in fase di valutazione. Il presente studio si propone di analizzare il valore degli anticorpi bispecifici definito nell'ambito delle valutazioni di Health Technology Assessment (HTA) effettuate da alcuni paesi europei dopo l'approvazione dell'Agenzia europea dei medicinali (EMA) per neoplasie ematologiche.

Metodologia - In una prima fase sono stati identificati gli anticorpi bispecifici approvati da EMA per il trattamento di pazienti affetti da neoplasie ematologiche fino al dicembre 2024[3]. Per ogni farmaco individuato sono stati consultati i report di HTA pubblicati dalle autorità regolatorie nazionali di Francia (report dell'Haute Autorité de Santé, HAS[4]), Germania (report del Federal Joint Committee, G-BA[5]) e Italia (report innovatività dell'Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA[6]). Nello specifico, sono stati confrontati gli esiti delle valutazioni in termini di valore terapeutico aggiunto (VTA), assegnati dai tre paesi secondo scale comparabili[7-11].

Risultati - Nel periodo di riferimento, sono stati identificati otto anticorpi bispecifici autorizzati in Europa per il trattamento di malattie ematologiche, quattro (mosunetuzumab, glofitamab, epcoritamab, odronextamab) per alcune forme di linfomi (linfoma follicolare, FL, e linfoma diffuso a grandi cellule B, DLBCL), tre (teclistamab, elranatamab, talquetamab) per il mieloma multiplo e uno per la leucemia linfoblastica acuta a cellule B (LLA-B, blinatumomab); tutti sono stati approvati con approvazione condizionata, cinque sono stati classificati come farmaci orfani e tre sono stati sviluppati nell'ambito dello schema PRIME di EMA. Per quanto riguarda le valutazioni di HTA, nessuna agenzia regolatoria tra quelle selezionate ha riconosciuto un VTA 'massimo' o 'importante' per la maggior parte dei farmaci in studio. In particolare, per l'agenzia francese il VTA era 'assente' per cinque dei sette farmaci valutati (glofitamab, epcoritamab indicazione DLBCL, teclistamab, elranatamab, talquetamab), mentre nel caso di mosunetuzumab non è stato assegnato un VTA poiché il beneficio clinico del farmaco è risultato insufficiente. Per blinatumomab

è stato assegnato un VTA 'minore' o 'assente' per l'indicazione LLA recidivata-refrattaria (RR) negli adulti e nei bambini e per la LLA in risposta completa (CR) con malattia residua minima (MRD) ≥ 0.1% negli adulti, e un VTA 'moderato' per la terapia di consolidamento nei pazienti pediatrici ad alto rischio di ricaduta. Anche per l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), le valutazioni disponibili riportavano un VTA 'assente' per glofitamab, epcoritamab (indicazione DLBCL) e blinatumomab per l'indicazione LLA RR Ph+ negli adulti. Per le altre indicazioni di blinatumomab è stato assegnato un VTA 'basso' per l'indicazione LLA RR Ph- nei bambini, un VTA 'moderato' per la terapia di consolidamento nei pazienti adulti con LLA in CR e MRD ≥ 0.1% e un VTA 'importante' per la terapia di consolidamento nei pazienti pediatrici ad alto rischio di ricaduta. Per quanto riguarda l'agenzia tedesca, il VTA è stato considerato 'non quantificabile' per tre dei sette farmaci valutati (mosunetuzumab, glofitamab, talquetamab) e per tre indicazioni di blinatumomab (LLA RR Ph+ negli adulti, LLA RR Ph- nei bambini e LLA in CR con MRD ≥ 0.1% negli adulti. Un VTA 'importante' è stato riconosciuto a blinatumomab per la terapia di consolidamento nei pazienti pediatrici ad alto rischio di ricaduta, mentre nessun VTA è stato riconosciuto per epcoritamab (indicazione DLBCL), teclistamab ed elranatamab. Il VTA di un farmaco rappresenta un parametro focale per la definizione del place in therapy a livello nazionale, e di conseguenza l'accesso per i pazienti. In conclusione, i risultati di questo studio dimostrano l'allineamento delle tre agenzie nazionali nella valutazione del valore degli anticorpi bispecifici approvati da EMA per malattie onco-ematologiche, con un mancato riconoscimento del VTA per quasi tutte le indicazioni. Le cause e le conseguenze di questi esiti in termini di accesso saranno valutate con studi successivi.

Bibliografia

- *1 Klein C, et al. The present and future of bispecific antibodies for cancer therapy. Nat Rev Drug Discov. 2024 Apr;23(4):301-319. doi: 10.1038/s41573024-00896-6*
- *2 Herrera M, et al. Bispecific antibodies: advancing precision oncology. Trends Cancer. 2024 Oct;10(10):893-919. doi: 10.1016/j.trecan.2024.07.002*
- *3 Europea Medicines Agency. EMA. Medicines. https://www.ema.europa.eu/en/medicines*
- *4 Haute Autorité de Santé, HAS. https://www.has-sante.fr/*
- *5 Federal Joint Committee, G-BA. https://www.g-ba.de/*
- *6 Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA. Farmaci innovativi. https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi*
- *7 Boucaud-Maitre D, et al. Added Therapeutic Value of Medicinal Products for French and German Health Technology Assessment Organizations: A Systematic Comparison. Value Health. 2021 Mar;24(3):346-352. doi: 10.1016/j.jval.2020.10.020*
- *8 Casilli G, et al. Do France, Germany, and Italy agree on the added therapeutic value of medicines? Int J Technol Assess Health Care. 2023 Aug 15;39(1):e54. doi: 10.1017/S026646232300048X*
- *9 Gozzo L, et al. Access to Innovative Neurological Drugs in Europe: Alignment of Health Technology Assessments Among Three European Countries. Front Pharmacol. 2022 Feb 4;12:823199. doi: 10.3389/fphar.2021.823199*
- *10 Gozzo L, et al. The therapeutic value of treatment for multiple sclerosis: analysis of health technology assessments of three European countries. Front Pharmacol. 2023 Apr 28;14:1169400. doi: 10.3389/fphar.2023.1169400*
- *11 Gozzo L, et al. Health Technology Assessment of Advanced Therapy Medicinal Products: Comparison Among 3 European Countries. Front Pharmacol. 2021 Oct 8;12:755052. doi: 10.3389/fphar.2021.755052*

Autore di riferimento: Lucia Gozzo, luciagozzo86@icloud.com

HTA della tecnologia EVOQUE Tricuspid Valve Replacement System (EVOQUE System)

Mantione R.[1,3], Colombo P.[1,2], Viganò G.L.[1], Puleo G.[1,3], Casati P.[1,2], Dotti A.[1,2], Tubbiolo D.[1,2], Magliocca S.[2], Tedesco D.[1,2]

[1]U.O. Polo Ospedaliero – D.G. Welfare Regione Lombardia, Milano, Italia, [2]Qualità e Rischio Clinico ASST GOM Niguarda, Milano, Italia, [3]Ingegneria Clinica ASST GOM Niguarda, Milano, Italia

Obiettivi - Il presente lavoro si focalizza sull'analisi del sistema EVOQUE, una tecnologia innovativa per la sostituzione transcatetere della valvola tricuspide, destinata al trattamento del rigurgito tricuspidale (TR) severo. Il TR è una patologia caratterizzata da insufficiente chiusura della valvola tricuspide, che provoca il reflusso di sangue dal ventricolo destro all'atrio destro durante la sistole, condizione associata a elevata morbilità e mortalità, in particolare in pazienti con comorbidità cardiovascolari e insufficienza cardiaca destra.
Il TR severo è associato a un elevato tasso di mortalità (fino al 45,6% a 1 anno e 70% a 5 anni) e a frequenti ospedalizzazioni per insufficienza cardiaca. I pazienti presentano sintomi invalidanti quali dispnea, edema periferico, ascite, ridotta tolleranza allo sforzo e compromissione marcata della qualità della vita. Il trattamento della TR rappresenta una sfida clinica significativa, dato che molti pazienti non sono eleggibili per la chirurgia tradizionale a causa dell'alto rischio operatorio.
EVOQUE si propone come un'alternativa meno invasiva rispetto all'intervento a cuore aperto, offrendo la possibilità di sostituire la valvola tricuspide tramite un approccio percutaneo transvenoso, eseguito in sala di emodinamica.
Il dispositivo consiste in una valvola biologica stentata autoespandibile, realizzata con lembi in tessuto pericardico bovino e struttura in nitinol, progettata per l'impianto transcatetere per via femorale senza necessità di chirurgia a cuore aperto. Il dispositivo si avvale di un sistema di rilascio con catetere da 28 Fr, dotato di manopole per il controllo preciso del posizionamento, oltre a un set di accessori per la preparazione del sito di accesso e il caricamento della valvola.

Metodologia - Nel mese di maggio 2025, la tecnologia EVOQUE è stata oggetto di appraisal da parte della Commissione Regionale HTA di Regione Lombardia. È stata quindi condotta una valutazione HTA secondo il modello Core EunetHTA, applicando criteri specifici definiti dal programma regionale di Regione Lombardia. Le dimensioni indagate includono efficacia clinica, sicurezza, impatto economico-finanziario e organizzativo. L'analisi ha considerato fonti bibliografiche primarie, documentazione tecnica della tecnologia, e dati clinici provenienti da studi multicentrici, prospettici e randomizzati, in particolare gli studi TRISCEND I e II.
Sono state inoltre raccolte opinioni e percezioni da professionisti sanitari per comprendere la rilevanza

clinica della tecnologia, i criteri di eleggibilità e le modalità di impiego nella pratica clinica.
Risultati
Lo studio pivotale TRISCEND II ha dimostrato la superiorità del trattamento EVOQUE in associazione a terapia medica ottimale (OMT) rispetto alla sola OMT in pazienti con TR severo o maggiore non eleggibili a chirurgia o riparazione transcatetere. A un anno, il 95,3% dei pazienti trattati con EVOQUE ha raggiunto una riduzione del rigurgito valvolare a grado ≤1+, con il 72,6% che ha ottenuto una completa assenza o rigurgito trascurabile (grado 0+) [1]. Inoltre, si è registrato un significativo miglioramento della qualità della vita, misurata con il Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ-OS), con un incremento medio di circa 19,6 punti a 12 mesi, superiori rispetto ai miglioramenti marginali del gruppo solo OMT. La classe funzionale NYHA è migliorata nel 78,9% dei pazienti EVOQUE+OMT, con una riduzione della percentuale di pazienti in classe III-IV dal 92% al 20%. Anche la distanza percorsa nel test dei 6 minuti (6MWD) è aumentata mediamente di 56 metri. Questi risultati evidenziano un impatto clinico rilevante e sostenuto nel tempo, migliorando la sintomatologia e l'autonomia funzionale.
La sicurezza della tecnologia è stata valutata sia nello studio TRISCEND I (studio prospettico a braccio singolo) sia nel TRISCEND II (studio randomizzato). Il tasso di eventi avversi maggiori (MAE) a 30 giorni è stato del 27,4%, molto inferiore al tasso storico superiore al 50% associato alla chirurgia tradizionale. La mortalità a 1 anno è risultata pari al 9,1%, e le ospedalizzazioni per scompenso cardiaco al 10,2%. La stabilità dell'impianto è stata ottimale, con assenza di dislocazioni o embolizzazioni valvolari e un'incidenza di leak paravalvolari moderati nel 10,6% dei pazienti, senza casi di leak grave.
La tecnologia ha un costo stimato di circa 47.000 euro per trattamento, comprensivo di dispositivo e spese ospedaliere. Si prevede un bacino di circa 500-1000 pazienti eleggibili in Regione Lombardia, con un utilizzo progressivo stimato a circa 60 pazienti all'anno entro 3 anni dall'introduzione. Il costo totale annuo previsto si aggira su circa 2,8 milioni di euro, un investimento ritenuto sostenibile in relazione ai benefici clinici dimostrati.
L'adozione di EVOQUE potrebbe comportare risparmi indiretti significativi, riducendo le riospedalizzazioni per scompenso cardiaco e l'utilizzo di farmaci sintomatici. La degenza ospedaliera mediana di 4 giorni e l'alto tasso di dimissioni a domicilio (oltre il 90%) favoriscono una gestione efficiente delle risorse ospedaliere.

Autore di riferimento: Rocco Mantione, rocco.mantione@ospedaleniguarda.it

To be, or not to be willing to pay

Marcellusi A, Managò M.

Università degli Studi di Milano, Dipartimento di Scienze Farmaceutiche (DISFARM) Area

Obiettivi - Le soglie di costo-efficacia (Cost-Effectiveness Thresholds, CET) rappresentano un elemento centrale nella valutazione delle tecnologie sanitarie (Health Technology Assessment, HTA), in quanto orientano le decisioni in materia di rimborso e prezzo delle tecnologie sanitarie. Mentre Paesi come il Regno Unito e il Canada hanno adottato soglie esplicite—£20.000–30.000 per QALY per il NICE[1]e 50.000 CAD per il CADTH[2]—l'Italia non dispone ancora di una soglia formalmente definita, nonostante richieda con sempre maggiore frequenza valutazioni economiche nei propri iter regolatori.

Metodologia - Questo studio propone una revisione sistematica della letteratura relativa alle metodologie CET adottate in 27 Paesi.
L'analisi evidenzia una significativa eterogeneità sia nei valori soglia sia nelle modalità di applicazione.
In diversi contesti, le soglie vengono adattate tenendo conto di fattori specifici come la gravità della malattia, la rarità della condizione o end-of-life.
I Paesi Bassi, ad esempio, adottano il metodo del proportional shortfall[3] per rappresentare la gravità, la Norvegia utilizza una stratificazione basata sulla perdita assoluta di QALY, mentre il programma "Highly Specialised Technologies" (HST) in Inghilterra[4] prevede soglie fino a £300.000 per QALY in caso di condizioni ultra-rare.
Questi approcci cercano di bilanciare l'efficienza economica con i valori e le preferenze sociali.

Risultati - In Italia, lo studio di Russo et al[5] suggerisce una soglia implicita pari a €33.004 per QALY, con incrementi modesti in caso di farmaci orfani (€37.157) o malattie gravi (€41.411).
Tuttavia, questi valori risultano inferiori rispetto a quelli adottati da altri Paesi in situazioni analoghe. Alla luce delle esperienze internazionali, lo studio propone l'adozione di moltiplicatori strutturati—variabili tra 1,2x e 1,7x per la gravità e tra 3x e 10x per le malattie rare—come possibile soluzione pragmatica in assenza di una soglia formale.
I risultati sottolineano l'importanza di definire anche in Italia un sistema di soglie CET chiaro e flessibile, capace di garantire equità, coerenza e trasparenza nelle decisioni di rimborso.

Bibliografia

- *1 2024 voluntary scheme for branded medicines pricing, access and growth: summary of the heads of agreement. 2023*
- *2 Binder, L., et al., Health Technology Assessment Process for Oncology Drugs: Impact of CADTH Changes on Public Payer Reimbursement Recommendations. Curr Oncol, 2022. 29(3): p. 1514-1526.*
- *3 Schurer, M., et al., Varying Willingness to Pay Based on Severity of Illness: Impact on Health Technology Assessment Outcomes of Inpatient and Outpatient Drug Therapies in The Netherlands. Value Health, 2022. 25(1): p. 91-103.*
- *4 NICE-wide topic prioritisation: the manual. 2025;*
- *5 Russo, P., et al., Role of Economic Evaluations on Pricing of Medicines Reimbursed by the Italian National Health Service. Pharmacoeconomics, 2023. 41(1): p. 107-117.*

Autore di riferimento: Martina Managò, martina.manago@unimi.it

Giudizio Finale sulla Tecnologia Optune TTFields per il Trattamento del Glioblastoma Multiforme

Puleo G.[1,3], Colombo P.[1,2], Viganò G.L.[1], Mantione R.[1,3], Casati P.[1,2], Dotti A.[1,2], Tubbiolo D.[1,2], Magliocca S.[2], Tedesco D.[1,2]

Il XV Congresso Nazionale Sihta 2022 ha riservato ampi spazi ai numerosi lavori scientifici che ancora una volta sottolineano il sempre più alto interesse per il tema dell'Hta.

Obiettivi - Il presente lavoro riassume il giudizio finale espresso dalla Commissione Regionale HTA della Regione Lombardia sulla tecnologia Optune TTFields (NovoTTF-200A), un dispositivo medico innovativo destinato al trattamento dei pazienti con Glioblastoma Multiforme (GBM). Il GBM è una neoplasia maligna primaria del sistema nervoso centrale caratterizzata da prognosi sfavorevole e limitate opzioni terapeutiche efficaci, con una sopravvivenza mediana di circa 15 mesi. Optune TTFields utilizza campi elettrici alternati a bassa intensità con effetto antimitotico diretto sulle cellule tumorali, offrendo un trattamento non invasivo complementare a chirurgia e chemioradioterapia.

Metodologia - L'analisi della tecnologia Optune TTFields ha seguito la metodologia MCDA (Multiple Criteria Decision Analysis) integrata con valutazioni qualitative basate su checklist. Sono stati considerati dati clinici, sicurezza, impatto economico, organizzativo ed etico, in linea con il modello Core EUnetHTA e gli standard regionali.
La valutazione di appropriatezza d'uso di questa tecnologia è stata condotta dalla Commissione Regionale HTA, organismo multidisciplinare istituito dalla Regione Lombardia e composto da professionisti del settore. Tale Commissione è incaricata di analizzare le tecnologie sanitarie innovative mediante un processo strutturato di prioritizzazione, assessment tecnico e appraisal basato su evidenze scientifiche multidimensionali, formulando raccomandazioni per un'implementazione efficace e sostenibile nel Sistema Sanitario Regionale.

Risultati - La valutazione multidimensionale conferma che l'uso add-on del dispositivo Optune, in combinazione con la chemioterapia, determina un beneficio terapeutico modesto ma significativo, con miglioramento della sopravvivenza e stabilizzazione della malattia. Tuttavia, l'elevato costo limita l'accesso e la sostenibilità del trattamento.
L'indice di appropriatezza d'uso della tecnologia è risultato pari a 0.35.
Pur esprimendo un indice inferiore alla soglia di accettabilità, la Commissione HTA sottolinea che, data la gravità della malattia e la mancanza di alternative, l'introduzione della tecnologia potrebbe

essere considerata solo in centri di riferimento con percorsi specifici e criteri rigorosi di selezione dei pazienti. Inoltre, sarebbe necessario prevedere un percorso domiciliare strutturato, un codice dedicato per il monitoraggio degli esiti e un finanziamento specifico per garantirne la sostenibilità economica.

Autore di riferimento: Greta Puleo, greta.puleo@ospedaleniguarda.it

Un Modello HTA Multidisciplinare per l'Introduzione Efficace e Sicura dell'AI nella Pratica Clinica

Ravanelli D.[1], Miori G.[1], Widesott L.[1], Torri E.[2], Bazziga A.[3], Trianni A.[1]

[1]UO Fisica Sanitaria, APSS, Trento, [2]Servizio Governance Clinica, APSS, Trento [3]Dipartimento tecnologie, APSS, Trento

Obiettivi - L'introduzione di soluzioni software basate su Intelligenza Artificiale (AI) nella pratica clinica richiede una valutazione accurata e multidimensionale: efficacia clinica, sicurezza, integrazione organizzativa, sostenibilità e compliance normativa. In questo contesto, il Regolamento (EU) 2021/22821 istituisce un quadro per la cooperazione europea sulla valutazione delle tecnologie sanitarie a partire dal gennaio 2025, con l'obiettivo di garantire un accesso equo alle tecnologie sanitarie. Il nostro progetto propone un modello replicabile di deployment AI nella pratica clinica, fondato su un gruppo di lavoro sinergico formato da medico specialista, informatico e fisico medico. L'obiettivo è definire un processo HTA strutturato – dalla selezione alla valutazione, fino all'adozione e al monitoraggio – supportato da criteri e da indicatori di performance (KPI – Key Performance Indicators) robusti, in grado di generare evidenze concrete.

Metodologia - L'approccio proposto prevede diverse fasi di valutazione in carico ai diversi stakeholder a cui fa seguito una valutazione condivisa. I vari step del processo sono sinteticamente descritti nel seguito.

Indagine di mercato A seguito della richiesta clinica, viene effettuata un'indagine di mercato che permette l'individuazione delle soluzioni AI più adeguate.

Richiesta di informazioni A seguito dell'individuazione dei prodotti maggiormente rispondenti alle richieste, vengono raccolte le specifiche riguardanti sia la conformità (ad es.: certificazione, MDR, ecc) sia la sicurezza relativamente a gestione del dato e integrazione nel workflow. Vengono inoltre valutate le caratteristiche del modello AI, in particolare per quanto riguarda l'incertezza dei risultati e l'explainability.

Valutazione delle specifiche tecniche. Vengono inizialmente valutate alcune caratteristiche tecniche come il tipo di piattaforma (centralizzata vs modulare) e la possibilità di integrazione con i sistemi informativi ospedalieri esistenti (SIO/RIS/PACS).

Definizione KPI per valutazione. Si individuano quindi tre tipologie di indicatori di performance cruciali: clinici, tecnici e organizzativi. Di seguito sono riportati a titolo di esempio alcuni KPI che si possono definire per la valutazione di software utilizzati in ambito radiologico:

Clinici: Performance diagnostica (tramite valutazione di parametri quali confusion matrix,

curve ROC, errori di misura, ecc);

Tecnici: Qualità dell'immagine e processing (valutazione della robustezza, del tempo di elaborazione, della ripetibilità, ecc.)

Organizzativi: Engagement dell'utente (adozione da parte di radiologi, feedback, explainability); efficienza del processo clinico (incremento rilevazioni, riduzione errori, time-saving diagnostico).

Questi KPI possono essere in parte valutati con test e stress-test su set predefiniti di dati sia reali che sintetici.

Raccomandazioni per l'acquisto Le valutazioni effettuate andranno a costituire un dossier che consentirà di formulare puntuali raccomandazioni per l'acquisto, considerando costo-efficacia, impatto operativo e sicurezza.

Il processo descritto può essere inizialmente proposto come progetto pilota, ovvero attivandolo su scala ridotta, con una formazione dedicata e interfacce utente validate, per poi essere adottato su larga scala.

In seguito all'acquisizione del software viene istituito un programma di controllo di qualità e monitoraggio continuativo dei KPI attraverso audit periodici e gestione delle non conformità.

Risultati - Il modello proposto di deployment AI è conforme al Regolamento (UE) 2021/2282, che promuove la collaborazione tra Stati membri, EMA e organismi HTA per valutazioni cliniche condivise a livello europeo. Si ispira anche ai principi del framework FUTURE AI2 per sistemi AI affidabili in ambito sanitario: equità, tracciabilità, explainability e robustezza. I benefici attesi includono: maggiore efficacia diagnostica, riduzione degli errori critici, miglioramento della sicurezza, efficienza operativa, ottimizzazione delle risorse e governance trasparente. Questo approccio, con un gruppo di lavoro integrato, criteri HTA rigorosi e governance basata su dati, offre una roadmap replicabile per un'AI applicata alla pratica clinica che sia sicura, efficiente e sostenibile, promuovendo valore clinico concreto, governance responsabile e sostenibilità del Servizio Sanitario.

L'approccio promuove la value-based integration dell'AI e supporta i comitati decisionali nel garantire qualità, appropriatezza e innovazione nella diagnostica per immagini.

Riferimenti bibliografici

- *1 Regulation (EU) No. 2021/2282 of 15 December 2021 on health technology assessment and amending Directive 2011/24/EU*
- *2 Lekadir, Karim et al. "FUTURE-AI: international consensus guideline for trustworthy and deployable artificial intelligence in healthcare." BMJ (Clinical research ed.) vol. 388 e081554. 5 Feb. 2025.*
- *3 Regulation (EU) 2024/1689 of 13 June 2024 laying down harmonised rules on artificial intelligence*

Autore di riferimento: Daniele Ravanelli, daniele.ravanelli@apss.tn.it

Sistemi chiusi sottovuoto per il prelievo, il trattamento e la conservazione del sangue venoso: revisione sistematica di sicurezza, efficacia e implicazioni economiche dei sistemi integrati rispetto a quelli combinati

Rigoni M.[1,2], Nollo G.[3], Tessarolo F.[3,4]

[1] Dipartimento di Scienze Biomediche, Chirurgiche e Odontoiatriche, Università degli Studi di Milano, Milano, Italia. [2] IRCCS Fondazione Ca' Granda, Policlinico Maggiore, Milano, Italia. [3]Dipartimento di Ingegneria Industriale, Università degli Studi di Trento, Trento, Italia. [4]Programma di Ricerca e Innovazione in Sanità, Fondazione Bruno Kessler, 38123 Trento, Italia

Obiettivi - I sistemi chiusi sottovuoto per il prelievo, il trattamento e la conservazione del sangue venoso (SPCS) sono combinazioni di dispositivi medici e diagnostici in vitro in genere disponibili come set integrato. Tuttavia, l'acquisto e l'utilizzo di combinazioni di dispositivi derivanti da set differenti åo per ridurre i costi di acquisto[1].
Questa contributo presenta i risultati di una revisione sistematica volta a identificare le prove di evidenza disponibili in letteratura riguardanti la sicurezza, l'efficacia e gli aspetti economici dei SPCS, con un focus sulle differenze tra sistemi integrati e combinati.

Metodologia
La revisione della letteratura è stata effettuata in PubMed. Sono stati inoltre esaminate le referenze bibliografiche dei documenti inclusi e i documenti rilasciati dalle organizzazioni scientifiche di settore. Le prove di evidenza individuate sono state raggruppate in base a tre domini di valutazione: Qualità/Efficacia/Prestazioni, Sicurezza, Costi/Approvvigionamento. I risultati sono stati discussi nell'attuale quadro normativo europeo.

Risultati - La revisione ha incluso venti documenti pubblicati tra il 2010 e il 2021. Non sono state riscontrate evidenze che suggerissero un'equivalenza tra SPCS combinati e integrati in termini di sicurezza ed efficacia. I documenti di consenso delle società scientifiche e gli standard di prodotto riportano che l'utilizzo di SPCS combinati può influire sulla sicurezza degli operatori e dei pazienti [2–6]. Le prestazioni analitiche e l'efficacia complessiva dei SPCS combinati non sono garantite in assenza di verifica e convalida dell'intero sistema. In fase di gara, è spesso presente una mancanza di consapevolezza dei possibili rischi connessi all'utilizzo di sistemi combinati, basando la scelta del dispositivo principalmente sull'indicazione d'uso, trascurando gli aspetti di reciproca compatibilità e integrabilità dei componenti. Quando le procedure di acquisto sono centralizzate, anche la possibilità di intervento del laboratorio clinico nella procedura di gara è limitata, con una inefficace interazione tra chi stabilisce i requisiti di gara per l'acquisizione dei SPCS e chi li utilizza nella pratica clinica.

L'attuale quadro normativo europeo assegna in modo chiaro le responsabilità per la convalida e la verifica di un SPCS integrato. Tale responsabilità non è, invece, ben definita per i SPCS combinati, in quanto mancano informazioni chiare sulla gestione delle non conformità dei prodotti e sulla sorveglianza post-commercializzazione[7].
La convalida del SPCS combinato da parte del L aboratorio richiede un'analisi del rischio-beneficio e del costo-beneficio. L'onere organizzativo ed economico che ne deriva non è trascurabile, richiedendo investimenti rilevanti anche per l'acquisizione di competenze specifiche. Le implicazioni in termini di responsabilità etica e giuridica del laboratorio dovrebbero far parte di una valutazione completa della sicurezza, dell'efficacia e dei costi, effettuata quale parte integrante della procedura di approvvigionamento del dispositivo stesso.

Bibliografia

- *1 M. Plebani, M. Caputo, D. Giavarina, G. Lippi, Note metodologiche sull'acquisizione e sull'uso dei sistemi chiusi sottovuoto per il prelievo, il trattamento e la conservazione dei campioni ematici venosi destinati alla diagnostica di laboratorio, BIOCHIMICA CLINICA 37 (2013) 303–311.*
- *2 A.-M. Simundic, K. Bölenius, J. Cadamuro, et al. Joint EFLM-COLABIOCLI Recommendation for venous blood sampling, Clin Chem Lab Med 56 (2018) 2015–2038. https://doi.org/10.1515/cclm-2018-0602.*
- *3 R.A.R. Bowen, D.M. Adcock, Blood collection tubes as medical devices: The potential to affect assays and proposed verification and validation processes for the clinical laboratory, Clinical Biochemistry 49 (2016) 1321–1330. https://doi.org/10.1016/j.clinbiochem.2016.10.004.*
- *4 S. Kitchen, D.M. Adcock, R. Dauer, et al. International Council for Standardisation in Haematology (ICSH) recommendations for collection of blood samples for coagulation testing, International Journal of Laboratory Hematology 43 (2021) 571–580. https://doi.org/10.1111/ijlh.13584.*
- *5 G. Lippi, A. von Meyer, J. Cadamuro, st al. PREDICT: a checklist for preventing preanalytical diagnostic errors in clinical trials, Clinical Chemistry and Laboratory Medicine (CCLM) 58 (2020) 518–526. https://doi.org/10.1515/cclm-2019-1089.*
- *6WHO guidelines on drawing blood: best practices in phlebotomy, https://www.who.int/publications/i/item/9789241599221.*
- *7M. Rigoni, F. Tessarolo, Venous blood collection systems using evacuated tubes: a systematic review focusing on safety, efficacy and economic implications of integrated vs. combined systems, Clin Chem Lab Med (2024). https://doi.org/10.1515/cclm-2024-0460.*

Autore di riferimento: Francesco Tessarolo, francesco.tessarolo@unitn.it

Intelligenza Artificiale e HTA: Prevedere l'Inappropriatezza Diagnostica nella Rete Oncologica Campana

Rivieccio G.[1], Di Iorio A.P.[2], Schiavone F.[3], Pignata S.[4], Bastone A.[5], Crispo A.[6], D'Errico D.[7], Coppola E.[8]

[1]Professore Associato in Statistica Economica, Università degli Studi di Napoli "Parthenope", [2]Dottoranda in Economia, Statistica e Sostenibilità, Università degli Studi di Napoli "Parthenope", [3]Professore ordinario in Economia e Gestione delle Imprese, Università degli Studi di Napoli "Parthenope", [4]Direttore dell'Unità di Oncologia Medica Uro-Ginecologica, IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione "G. Pascale", Napoli e Responsabile Scientifico della Rete Oncologica Campana, [5]Assegnista di ricerca in Economia e Gestione delle imprese, Università degli Studi di Napoli "Parthenope", [6]Dirigente Statistico, IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione "G. Pascale", Napoli, 7Referente/ Coordinatore dei case manager della Rete Oncologica Campana, IRCCS Istituto Nazionale Tumori, Fondazione "G. Pascale", Napoli, [8]Ricercatore Sanitario, presso l'Unità di Oncologia Medica Uro-Ginecologica, IRCCS Istituto Nazionale Tumori Fondazione "G. Pascale", Napoli

Obiettivo - L'innovazione in ambito sanitario è un elemento fondamentale nell'ottimizzazione dei percorsi terapeutici dei pazienti. L'introduzione di nuove tecnologie, modelli organizzativi e approcci collaborativi consente di coordinare meglio le attività tra professionisti e ridurre la frammentazione dei servizi. In questa direzione, le reti oncologiche regionali si sono qualificate come modello organizzativo per migliorare l'assistenza sanitaria, garantendo efficienza e tempestività della presa in carico e promuovendo, di conseguenza, l'innovazione dei processi assistenziali. In tale contesto, le tecnologie dell'Industria 4.0, tra cui Machine Learning, Intelligenza Artificiale e Big Data, ricoprono un ruolo cruciale nello stimolare l'adozione di modelli orientati a massimizzare il valore per il paziente.
Negli ultimi tempi, sta assumendo maggiore rilevanza l'applicazione di modelli predittivi alla base dell'Apprendimento automatico. Questi modelli, che includono tecniche come reti neurali, alberi decisionali e Random Forest, permettono di analizzare grandi quantità di dati e di produrre previsioni più accurate rispetto ai modelli statistici tradizionali (Sidey-Gibbons & Sidey-Gibbons, 2019). In ambito medico, ad esempio, l'applicazione di modelli predittivi di machine learning ha migliorato la diagnosi e la prognosi di malattie croniche e acute, anche se la loro affidabilità e generalizzabilità dipendono fortemente dalla qualità dei dati e dalla corretta validazione dei modelli (Nguyen, et al., 2021). Tali premesse hanno posto le basi per l'applicazione di un modello di deep learning orientato alla previsione dei costi legati all'Inappropriatezza diagnostica, che possono impattare sull'efficienza del sistema sanitario regionale.

Metodologia - Per perseguire l'obiettivo dello studio, è stato sviluppato un modello predittivo per stimare l'inappropriatezza diagnostica in ambito oncologico, intesa come la quota di esami non aderenti ai PDTA o ripetuti inutilmente nel percorso ROC (Pre-GOM e GOM). È stato utilizzato un modello di rete neurale artificiale del tipo Multi-Layer Perceptron (MLP), progettato per catturare la complessità non lineare delle interazioni tra variabili cliniche, organizzative e sociodemografiche. La rete è stata addestrata su un campione strutturato di 491 pazienti afferenti a due annualità di rilevazione (giugno

2022 – maggio 2024) contenente informazioni relative ai costi diagnostici, modalità di accesso, distanza geografica dal centro, durata della fase PreGOM, età, genere e sede della patologia. L'output target era la quota di costi classificati come "inappropriati" rispetto al totale per ciascun paziente. L'interpretabilità del modello è stata garantita tramite l'analisi dei valori SHAP, che ha permesso di individuare i principali fattori di rischio associati all'inappropriatezza. L'intero framework è stato progettato per fornire supporto alle decisioni strategiche, con l'obiettivo di migliorare l'efficienza del percorso diagnostico senza compromettere la qualità dell'assistenza.

Risultati - Il modello MLP ha mostrato una buona capacità predittiva nel classificare l'inappropriatezza diagnostica, evidenziando pattern significativi tra le variabili in input e l'esito economico. L'analisi dei valori SHAP ha rivelato che la durata della fase PreGOM è il principale determinante dell'aumento dei costi inappropriati, seguito dalla modalità di accesso (diagnosi sintomatica vs Screening), dalla distanza tra residenza e centro di cura e dall'età del paziente. In particolare, nei pazienti con neoplasia polmonare si osserva una maggiore incidenza di esami ripetuti e un'incidenza più alta di inappropriatezza. I costi derivanti da inefficienze diagnostiche rappresentano il 28% del totale. Il modello ha inoltre identificato gruppi a maggiore rischio economico, suggerendo la possibilità di interventi mirati. L'impiego dei valori SHAP ha reso trasparente il contributo di ciascuna variabile alla previsione, favorendo un'interpretazione clinicamente rilevante. I risultati suggeriscono che azioni correttive sui tempi del percorso e una gestione più appropriata dei profili a rischio possono ridurre significativamente i costi senza compromettere la qualità del processo diagnostico.

Bibliografia

- *https://doi.org/10.1093/ecco- Nguyen, N., Picetti, D., Dulai, P., Jairath, V., Sandborn, W., Ohno-Machado, L., Chen, P., & Singh, S. (2021). Machine Learning-based Prediction Models for Diagnosis and Prognosis in Inflammatory Bowel Diseases: A Systematic Review Journal of Crohn's & colitis. jcc/jjab155 https://doi.org/10.1186/s12874-019-0681-4*
- *Sidey-Gibbons, J., & Sidey-Gibbons, C. (2019). Machine learning in medicine: a practical introduction. BMC Medical Research Methodology, 19.*

Autore di riferimento: Anna Pia Di Iorio, diiorio.annapia98@gmail.com

Outcome-Based Procurement per l'Innovazione in Regione Toscana: un Modello di Valutazione degli Esiti

Romeo M.R.[1,2] , Messori A.[2], Trippoli S.[2], Fadda V.[2]

[1]Referente HTA, Fondazione Monasterio, [2]Centro Operativo HTA, Regione Toscana, Firenze

Obiettivi - L'adozione di un approccio di Outcome-Based Procurement (OBP) rappresenta un'opportunità strategica per la valutazione e l'introduzione dell'innovazione tecnologica in sanità. Regione Toscana ha avviato un percorso pionieristico che prevede l'approvazione condizionata di nuove tecnologie sanitarie, subordinata alla valutazione degli esiti in centri selezionati. L'obiettivo è garantire l'efficacia e la sicurezza delle soluzioni implementate, assicurando che gli investimenti in nuove tecnologie siano basati su evidenze di valore clinico e organizzativo.
Metodologia Il sistema HTA della Regione Toscana è strutturato secondo il modello approvato dalla Delibera della Giunta Regionale n. 302 dell'11 aprile 2016, che prevede una Commissione per la valutazione delle tecnologie e degli investimenti sanitari supportata da un Centro Operativo. Questo centro - composto da professionisti delle Aziende sanitarie e degli Enti del Servizio Sanitario Regionale con competenze specifiche in ambito clinico, farmaco-economico, epidemiologico e organizzativo - garantisce valutazioni metodologicamente solide per l'introduzione delle nuove tecnologie. Il percorso di valutazione, utilizzato per un innovativo defibrillatore extravascolare monocamerale, è stato articolato in più fasi:

1) selezione delle tecnologie basata su un'analisi preliminare delle evidenze disponibili e sulla rilevanza clinica per il SSR;
2) individuazione di centri di riferimento nei quali condurre la sperimentazione con una raccolta sistematica di dati sugli esiti clinici, di qualità della vita e organizzativi;
3) coinvolgimento di stakeholder – clinici, amministratori e fornitori – per definire i criteri di valutazione e outcome da monitorare.

Risultati - Gli esiti dell'impianto del device e del questionario EQ5D5L mostrano che vi sono effettivamente miglioramenti nell'index medio QALY (al ricovero 0,82±0,12, al follow up 0,91±0,08). L'integrazione dell'OBP nel processo di valutazione HTA consente di ottimizzare le decisioni di investimento in tecnologie sanitarie, garantendo che solo le soluzioni con un impatto documentato sugli esiti clinici e sulla sostenibilità del sistema vengano adottate su larga scala. Questo approccio promuove un utilizzo più razionale delle risorse pubbliche e stimola un dialogo costruttivo con i fornitori, incentivandoli a proporre soluzioni realmente efficaci e sostenibili. L'esperienza della Regione Toscana dimostra che

l'integrazione tra HTA e OBP rappresenta una leva potente per guidare l'introduzione dell'innovazione in sanità. Il modello implementato consente di orientare le scelte pubbliche verso tecnologie ad alto valore aggiunto, promuovendo trasparenza, appropriatezza e sostenibilità.

Bibliografia

- *1 Porter ME. What is value in health care? NEJM. 2010; 363(26):2477-2481.*
- *2 H.-G. Eichler, B. Bloechl-Daum, E. Abadie, D. Barnett, F. König, e S. Pearson, «Relative efficacy of drugs: an emerging issue between regulatory agencies and third-party payers», Nat. Rev. Drug Discov., vol. 9, fasc. 4, pp. 277–291, apr. 2010, doi: 10.1038/nrd3079.*
- *3 Miller FA, Lehoux P, Peacock S, Rac VE, Neukomm J, Barg C, Bytautas JP, Krahn M. How Procurement Judges The Value of Medical Technologies: A Review of Healthcare Tenders. Int J Technol Assess Health Care. 2019 Jan;35(1):50-55. doi: 10.1017/S0266462318003756. Epub 2019 Feb 8. PMID: 30732667.*
- *4 Regione Toscana, Delibera GRT n. 302/2016.*

Autore di riferimento: Maria Rita Romeo, mromeo@ftgm.it

Excursus delle valutazioni economiche a supporto della vaccinazione anti-HPV in Italia

Salvati C., Bechini A., Bonanni P., Boccalini S.

Dipartimento di Scienze della Salute, Università degli studi di Firenze

Obiettivi - La vaccinazione contro il papillomavirus umano (HPV) è stata introdotta in Italia nel 2007 mediante l'impiego dei vaccini quadrivalente (HPV4) e bivalente (HPV2), con l'adozione del vaccino nonavalente (HPV9) nel 2017. Obiettivo del presente lavoro è condurre una revisione delle valutazioni economiche realizzate in Italia in relazione alla vaccinazione anti-HPV.

Metodi - È stata effettuata una ricerca della letteratura scientifica pubblicata tra il 2007 e il 2025, focalizzata sulle analisi economiche della vaccinazione anti-HPV nel contesto italiano.

Risultati - Sono stati identificati dieci studi [1-10], di cui cinque report di Health Technology Assessment (HTA). Le valutazioni relative all'HPV2 hanno evidenziato la costo-efficacia della vaccinazione nelle adolescenti, dato confermato anche per l'HPV4, con un profilo di efficacia incrementale in caso di somministrazione antecedente l'inizio dell'attività sessuale. Nel 2014, le evidenze hanno supportato una valutazione economica favorevole della schedula vaccinale a due dosi [1-3]. Il report HTA del 2017 sull'HPV9 ha evidenziato una maggiore costo-efficacia, attribuibile alla più ampia copertura genotipica, comprendente ulteriori ceppi oncogeni [4]. Nel 2019, un'analisi HTA sull'uso dell'HPV9 in donne già trattate per patologie HPV-correlate ha evidenziato una sostanziale riduzione dei costi sanitari diretti (da >€543.000 a circa €124.000 in due anni) [5]. Nello stesso anno, uno studio ha stimato il burden complessivo delle patologie HPV-correlate in oltre €540 milioni annui, con il 61% dei costi attribuibili a genotipi prevenibili mediante l'HPV9 [9]. Una recente valutazione ha esaminato la costo-efficacia dell'estensione vaccinale alle donne adulte. Secondo la strategia del Piano Nazionale di Prevenzione Vaccinale 2023-2025, l'intervento si conferma costo-efficace. La vaccinazione fino a 45 anni nelle donne risulta in grado di prevenire un numero significativamente maggiore di casi e decessi. Inoltre, la vaccinazione opportunistica in concomitanza con lo screening cervicale è risultata costo-efficace entro 5 anni (€38.127/QALY), mentre l'estensione fino a 45 anni ha mostrato un profilo favorevole nel medio termine (<€40.000/QALY dopo 7 anni) [10]. Le evidenze raccolte confermano che la vaccinazione anti-HPV rappresenta un efficace strumento di prevenzione primaria e un intervento economicamente vantaggioso, soprattutto se integrato con i programmi di screening cervicale.

Bibliografia

- *1 La Torre, G.; Chiaradia, G.; Mannocci, A.; de Waure, C.; Ricciardi, W.; Capri, S.; Bamfi, F.; Bianchi, C.; Lapinet-Vera, J.; Marocco, A.; et al. Health Technology Assessment della vaccinazione anti-HPV. Italian Journal of Public Health 2007, 5 (Suppl. S1), S1–S60;*
- *2 La Torre, G.; Chiaradia, G.; de Waure, C.; Nicolotti, N.; Monteduro, A. Report HTA del vaccino quadrivalente anti-HPV Gardasil. Italian Journal of Public Health 2009, 6 (Suppl. S2), S1–S64;*
- *3 Favaretti, C.; Di Pietro, M.L.; Kheiraoui, F.; Capri, S.; Specchia, M.L.; Cadeddu, C.; Lovato, E.; Ferriero, A.M.; de Waure, C.; Poscia, A.; et al. Rivalutazione della vaccinazione anti-HPV a 5 anni dalla sua introduzione. HTA 2.0. Italian Journal of Public Health 2014, 3, 1–136;*
- *4 Favaretti, C.; Kheiraoui, F.; de Waure, C.; Poscia, A.; Sacchini, D.; De Vincenzo, R.; Bechini, A.; Boccalini, S.; Bonanni, P.; Zanella, B.; et al. Il vaccino anti-HPV 9-valente: Report di*
- *Health Technology Assessment (HTA). Italian Journal of Public Health 2017, 6, 142; Proprietario-Proprietary;*
- *5 Basile, M.; Bonanni, P.; Calabrò, G.E.; Carini, E.; Cicchetti, A.; Conversano, M.; De Vincenzo, R.; Favaretti, C.; Ghelardi, A.; Tafuri, S. Report di approfondimento e valutazione, con metodologia HTA (Health Technology Assessment), della vaccinazione anti-HPV nelle donne trattate per lesioni HPV-correlate. Italian Journal of Public Health 2019, 8, 1–76;*
- *6 Marcellusi, A.; Mennini, F.S.; et al. Economic burden of HPV9-related diseases: a real-world cost analysis from Italy. The European Journal of Health Economics 2019;*
- *7 Calabrò, G.E.; et al. Call to Action for HPV related cancers elimination: raccomandazioni e strategie da implementare a livello nazionale. QIJPH – R022. Italian Journal of Public Health World 2022;*
- *8 Mennini, F.S.; et al. HPV Vaccination during the COVID-19 Pandemic in Italy: Opportunity Loss or Incremental Cost. Vaccines 2022, 10(7), 1133;*
- *9 CEIS – Economic Evaluation and HTA (EEHTA), Università degli Studi di Roma "Tor Vergata". Il Burden delle Patologie HPV Correlate in Italia: Stima dell'Impatto Epidemiologico ed Economico e Analisi dei Principali Indicatori di Eliminazione. 2024. [Link: Relazione_finale_Scorecards_2024.pdf (ceistorvergata.it)];*
- *10 Cherif, A.; Palmer, C.; Senese, F.; Bechini, A.; Salvati, C.; Bonanni, P.; Boccalini, S. A costeffectiveness analysis of adult human papillomavirus vaccination strategies in Italy. Human Vaccines & Immunotherapeutics 2025*

Autore di riferimento: Sara Boccalini, sara.boccalini@unifi.it

Il ruolo dell'Endpoint di disabilità nei report di valutazione del riconoscimento di innovatività AIFA

Xoxi E.[1], Calosci E.M.[1]*, Sciomenta I.[1]*, Azzi M.V.[2], Coccia C.[2], Damele F.[2], Rummi F[1], Basile M[1], Di Brino E.[1]

[1]Altems Advisory, Università Cattolica Sacro Cuore Roma, [2]Sanofi Italia, Milano
** Hanno contribuito in egual misura*

Obiettivi - L'obiettivo di questa analisi è stato esaminare il ruolo degli endpoint di disabilità nelle valutazioni dell'AIFA sul riconoscimento dell'innovatività, attraverso l'analisi sistematica di 29 prodotti medicinali (MP) approvati tra il 2017 e il 2024 in ambito neurologico, metabolico e malattie rare. Si è inoltre valutato l'impatto di elementi quali la qualità delle prove (GRADE), il disegno dello studio, la tipologia di comparatore e l'eventuale Orphan Designation (OD), secondo il framework AIFA e in coerenza con il Regolamento (UE) 2021/2282 sugli esiti clinici rilevanti.

Metodologia - È stato analizzato un set di 29 report AIFA di innovatività integrando con dati regolatori EMA. Per ciascun MP sono stati identificati:
1) presenza e ruolo dell'endpoint disabilità (primario, secondario o assente),
2) tipo di comparatore (placebo vs attivo),
3) disegno dello studio (RCT vs single-arm),
4) livello di evidenza GRADE,
5) bisogno terapeutico (BT),
6) valore terapeutico aggiunto (VTA),
7) presenza di OD e (7) giudizio finale di innovatività (piena, condizionata, non riconosciuta).

Risultati - La disabilità come endpoint primario ha mostrato una forte associazione con l'attribuzione dell'innovatività, specialmente se accompagnata da efficacia statisticamente e clinicamente rilevante (es. nusinersen, onasemnogene abeparvovec, cerliponase alfa, atidarsagene autotemcel ed eladocagene exuparvovec). Al contrario, quando la disabilità era solo secondaria o non misurata, l'innovatività è stata negata (es. esketamina cloridrato, galcanezumab, erenumab, vosoritide). Inoltre, la qualità delle evidenze ha avuto un impatto selettivo: GRADE basso o molto basso sono state accettate nei medicinali con OD per malattie gravi prive di alternative (BT massimo), ma non in patologie con trattamenti consolidati. Tra i farmaci per sclerosi multipla, solo fingolimod ha ottenuto l'innovatività (in popolazione pediatrica); ocrelizumab e cladribina, seppur destinati a forme attive o progressive, non hanno ricevuto tale riconoscimento. Questo conferma che in ambiti ad alta prevalenza, l'innovatività richiede studi robusti, endpoint funzionali e un chiaro vantaggio clinico. Farmaci con comparazione

diretta (es. fenfluramina, cannabidiolo) hanno ricevuto valutazioni più favorevoli rispetto a quelli con comparazione storica o indiretta (es. ravulizumab in NMOSD), sottolineando l'importanza del disegno dello studio. Infine, l'impatto sulla qualità di vita è stato spesso trascurato o era marginale, riducendo così la forza sull'efficacia funzionale complessiva.

Conclusione - L'impiego di endpoint funzionali sulla disabilità rappresenta un elemento determinante per il riconoscimento dell'innovatività, specialmente in combinazione con un BT elevato e un VTA tangibile. Tuttavia, in assenza di endpoint patient-centred, di confronti diretti o di evidenze cliniche solide, AIFA tende a non riconoscere l'innovatività, anche con livelli di GRADE elevati. La designazione orfana, se presente, agisce da facilitatore, ma non è di per sé sufficiente. Questi risultati evidenziano l'importanza di allineare i report di innovatività AIFA alle raccomandazioni europee sugli esiti clinici significativi, con particolare attenzione alla misurazione e dimostrazione dell'impatto sulla disabilità.

Il progetto è stato finanziato da Sanofi Italia, ma le valutazioni e le analisi contenute nel presente lavoro sono frutto di un'elaborazione indipendente e non condizionata da parte di ALTEMS Advisory.

Bibliografia

- *1 AIFA. Criteri per la valutazione dell'innovatività dei medicinali. G.U. n. 121, 2017*
- *2 AIFA Farmaci innovativi. Disponibile su https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi*
- *Accesso il 25 maggio 2025*
- *3 EMA Download medicine data. Disponibile su https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data Accesso il 25 maggio 2025*
- *4 European Commission Health technology assessment - Key documents. Disponibile su https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/key-documents_en Accesso il 25 maggio 2025*

Autore di riferimento: Entela Xoxi, entela.xoxi@unicatt.it

10

LEA ED HTA

HTA: PERCORSI, PROCESSI E MODELLI ORGANIZZATIVI

Impatto economico dell'approccio diagnostico #FullPhysiology nella gestione dei pazienti con ANOCA/INOCA

Di Brino E.[1], Rumi F.[1], Basile M.[1], Valentini I.1, Leone AM.[2], Galante D.[2], Porto I.[2], Campo G.[4]

[1]Altems Advisory -Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [2]Centro di Eccellenza in Scienze Cardiovascolari-Ospedale Isola Tiberina Gemelli Isola -Università Cattolica del Sacro Cuore Roma, [3]UO Cardiologia Interventistica presso- Ospedale Policlinico San Martino, Genova, [4]Laboratorio di Interventistica Cardiovascolare - Azienda Ospedaliero-Universitaria, Ferrara

Obiettivi - I pazienti ANOCA/INOCA sono pazienti con Angina/Ischemia con malattia non ostruttiva delle coronarie, e rappresentano più del 50% dei pazienti sottoposti ad angiografia coronarica. I pazienti con ANOCA/INOCA non sono diagnosticabili tramite approccio diagnostico di fisiologica convenzionale (CP). In questo contesto si inserisce l'approccio sistematico #FullPhysiology (FP) che permette di valutare ogni componente della circolazione coronarica, includendo lo studio dell'epicardio, del microcircolo e dell'attività funzionale motoria. #FP garantisce una diagnosi di precisione, identificando i vari endotipi di ANOCA/INOCA e facilitando trattamenti medici specifici.
L'obiettivo del seguente lavoro è valutare l'impatto economico dell'approccio #FP rispetto all'approccio CP in due ospedali italiani. Il secondo obiettivo è stimare i benefici economici derivanti dall'adozione dell'approccio #FP sull'intera popolazione italiana potenzialmente eleggibile, attraverso analisi di scenario.

Metodologia - Dalle banche dati del Policlinico Gemelli di Roma e dell'AOU di Ferrara sono stati selezionati, retrospettivamente, 751 pazienti: 543 valutati con CP e 208 con #FP. È stata condotta un'analisi economica adottando la prospettiva del Servizio Sanitario Nazionale, al fine di valutare l'impatto economico dell'approccio #FP e CP. Sono stati identificati i drivers di costo per ciascun approccio e ogni parametro è stato associato alla tariffa di rimborso. Per ridurre il bias di selezione, è stata condotta un'analisi di propensity score matching, che ha portato a confrontare 169 pazienti per gruppo. Inoltre, utilizzando dati SICI-GISE 2023, sono state sviluppate analisi di scenario per stimare l'impatto della crescita progressiva del numero di pazienti sottoposti a #FP in termini di risparmio generato per il SSN. L'analisi ha considerato due scenari di partenza diversi di pazienti sintomatici con valutazione epicardica FFR negativa (scenario reale: 4.997 e scenario ipotizzato: 9.881), e 3 scenari di adozione dell'approccio #FP (50%, 75%, 100% dei pazienti candidabili).

Risultati - #FP ha dimostrato una riduzione significativa dell'endpoint primario (combinazione di morte cardiaca, infarto miocardico, rivascolarizzazioni e riospedalizzazioni per cause cardiache) ad 1 anno rispetto a CP (1,4% #FP vs 5,9% CP, p=0,01), principalmente guidata da riduzione di ospedalizzazioni non necessarie (1,4% #FP vs. 5,7% CP, p=0,01) e rivascolarizzazioni (0% #FP vs.

2,6 CP). I costi medi annui per paziente sono stati inferiori nel gruppo #FP rispetto a CP (3,74 #FP vs €274,71 CP). La riduzione è stata confermata anche per la popolazione matched, ovvero € 46,45 per #FP vs. € 437,80 per CP, con riduzione annua per paziente di € 391,36 a favore del gruppo #FP. Attualmente in Italia ci sono 4.997 pazienti sintomatici con FFR negativa e solo il 24,18% di questi pazienti (Dati GISE 2023: 1.208) viene sottoposto ad approccio #FP. L'attuale scenario di utilizzo di #FP genera sul SSN un risparmio totale annuo di ~€2,2 milioni. Estendere tale percentuale dal 24,18% al 100% comporterebbe risparmi fino a ~€3,7 milioni, con potenziale espansione a ~€7.3 milioni se applicato a tutte le coronarografie con stenosi intermedie. Questo lavoro dimostra come un maggior utilizzo dell'approccio #FP generi importanti benefici economici per il SSN, ottimizzando l'utilizzo delle risorse e migliorando la risposta diagnostica, l'outcome clinico e la qualità di vita dei pazienti.

Bibliografia

- *1 Scarsini R et al. Minerva Cardiol Angiol. 2023;71(5):504–514.*
- *2 Leone AM et al. Eur Heart J. 2025 Jan 10; ehae926;*
- *3 ESC Guidelines 2024. Eur Heart J. 2024;45(36):3415–3456;*
- *4 GISE – Società Italiana di Cardiologia Interventistica. www.gise.it,*
- *5 Ford TJ et al. JACC Cardiovasc Interv. 2020;13(1):33–45;*
- *6 Heggie R et al. Int J Cardiol. 2021;337:44–51*

Autore di riferimento: Michele Basile, michele.basile@altemsadvisory.it

Chirurgia Robotica e Laparoscopica a confronto nell'ambito della Chirurgia Generale Oncologica: l'applicazione della Value-Based Analysis per la valutazione di costo-efficacia

Casati P.[1], Tedesco D.[2], Gattuso D.[3], Toscano F.[4], Dotti A.[4], Puleo G.[5], Dall'Aglio M.[6], Carnevali P.[7], Ferrari G.C.[8], Colombo P.[9]

[1]Economista S anitario. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano, Niguarda, Milano, Italia. [2]Ingegnere Gestionale. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [3]Ingegnere Gestionale. S.C. Gestione Operativa ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [4]Psicologa Clinica. S.C. Qualità e Rischio Clinico S.S. Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano, [5]Ingegnere Clinico. S.C. Ingegneria Clinica ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia. [6]Dirigente Farmacista. S.C. Farmacia ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.[7]Dirigente Medico. S.C. Chirurgia Generale Oncologica e Mininvasiva ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.[8]Direttore S.C. Chirurgia Generale Oncologica e Mininvasiva ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.[9]Di rettore S C Qualità e Rischio Clinico. Responsabile S S Health Technology Assessment. ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italia.

Obiettivi - Il presente studio si propone di analizzare il valore dell'impiego del Robot da Vinci® XI (Intuitive Surgical) negli interventi di chirurgia generale oncologica, adottando la metodologia dell'Health Technology Assessment (HTA) per la valutazione di costo-efficacia. L'obiettivo è offrire una valutazione complessiva che consideri sia gli aspetti clinici sia quelli non clinici, tenendo conto dell'intero percorso assistenziale. Nel contesto attuale, l'introduzione della robotica rappresenta un'innovazione radicale nell'ambito chirurgico. Pertanto, risulta necessaria una sua valutazione rispetto al miglioramento dell'efficacia dei risultati clinici e dell'intero percorso del paziente, analizzando anche la sostenibilità economico-organizzativa del sistema. Il lavoro adotta la prospettiva della Value Based Health Care, che mette in relazione i costi sostenuti lungo il percorso di cura con gli esiti per i pazienti, considerando la Quality of Life (QoL) dei pazienti e dei professionisti sanitari.

Metodologia - Lo studio è osservazionale e si suddivide in retrospettivo per l'analisi di costo-efficacia e prospettico per l'analisi sulla QoL. Per impostare in modo strutturato il quesito sanitario, è stato definito il modello PICO. La Popolazione di riferimento include pazienti maggiorenni sottoposti ad Intervento di duodenocefalopancreasectomia (DCP), emicolectomia destra, esofagectomia e gastrectomia nel periodo 01.2021 – 08.2023 per lo studio retrospettivo e nel periodo 07.2023 – 09.2024 per quello prospettico. Per l'indagine sulla QoL dei professionisti sanitari coinvolti nel percorso sono stati considerati i chirurghi, gli anestesisti, gli infermieri e gli OSS con comprovata esperienza sia nella tecnica robotica che in quella laparoscopica, la quale è stata definita come Comparator. Gli Outcome principali da analizzare sono l'efficacia clinica, la sicurezza, il costo, l'impatto organizzativo e la QoL. La valutazione degli Outcome è stata eseguita inizialmente tramite una revisione sistematica della letteratura, successivamente integrata e validata dall'analisi dei dati real-word raccolti presso l'ASST

GOM Niguarda. La misurazione dell'efficacia clinica e della sicurezza è stata effettuata mediante un cruscotto di KPI costituito dagli indicatori più rilevanti emersi dalla letteratura. La valutazione economica si è basata sulla mappatura del percorso assistenziale del paziente e, a seguire, è stata effettuata un'analisi Time Driven Activity Based Costing (ABC). Per lo studio della QoL sono stati selezionati alcuni questionari PREMs-PROMs standardizzati, somministrati agli operatori e ai pazienti a sette giorni dall'intervento chirurgico.

Risultati - Il campione selezionato nello studio è composto da 262 pazienti (131 Popolazione - 131 Comparator), omogenei in termini di età, sesso, ASA e POSSUM Score e suddivisi per tipologia di intervento secondo le seguenti percentuali: 30% DCP, 45% emicolectomia destra, 10% esofagectomia e 15% gastrectomia. Rispetto all'analisi sull'efficacia clinica e sicurezza, i risultati dell'analisi dei dati real-world sono in linea con la letteratura scientifica corrente. Tuttavia, la numerosità della casistica divisa per tipologia di intervento risulta limitata, pertanto l'analisi statistica non è stata riportata in quanto non consente una rappresentazione adeguata e generalizzabile. Gli indicatori di processo hanno registrato un aumento del tempo di occupazione sala e del tempo chirurgico per tutte le tipologie di intervento, mentre si osserva una riduzione della durata di degenza.
L'analisi economica non ha rilevato costi differenziali tra i due campioni rispetto alla fase di pre-ricovero e di follow-up, mentre rispetto alla fase di intervento la chirurgia robotica ha un costo superiore rispetto alla laparoscopica, determinato anche dall'aumento dei tempi di sala operatoria. Tra i costi rilevati, i più impattanti sono legati all'attrezzatura e al materiale di consumo. La riduzione della durata di degenza con la chirurgia robotica ha un impatto economico positivo per tutti i tipi di intervento. A livello organizzativo è emersa una riduzione annua di 434 giornate di degenza ordinaria e 17 di terapia intensiva, rendendo disponibili in media 1,2 posti letto in più al giorno.
Dalla somministrazione dei questionari relativi alla QoL somministrati a 36 pazienti è emerso che la media dei punteggi delle risposte risulta lievemente a favore della chirurgia robotica rispetto alla laparoscopia. Relativamente ai questionari somministrati a 25 operatori tra chirurghi, anestesisti, infermieri e OSS, non si osservano differenze significative riguardo alla QoL. Tuttavia, per i chirurghi è emerso che la qualità dell'immagine, la postura e la percezione di eventi spiacevoli risultano maggiormente positive nella chirurgia robotica rispetto alla laparoscopia.

Autore di riferimento: Paola Casati, paola.casati2@ospedale.niguarda.it

11

REGOLAMENTO EU HTA

Regolamento Europeo sull'Health Technology Assessment (HTA): Impatti e Riorganizzazione Aziendale

Prati F.[1], Laurita R.[2], Ponzianelli A.[3], Di Brino E.[2]

[1]ICON plc, Italia, [2]ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma, [3]Moderna, Italia

Obiettivi - Obiettivo dello studio è stato analizzare il livello di preparazione e adattamento delle aziende sanitarie italiane al Regolamento Europeo sull'Health Technology Assessment (Reg. EU 2021/2282), valutandone gli impatti economico-organizzativi e le strategie aziendali in risposta all'implementazione degli strumenti chiave come Joint Clinical Assessment (JCA), Joint Scientific Consultation (JSC) e criteri PICO.

Metodologia - È stato condotto uno studio esplorativo tramite un questionario semi-quantitativo, distribuito online a un panel eterogeneo di 31 stakeholder, tra cui aziende farmaceutiche, di dispositivi medicali e istituzioni pubbliche.
Il questionario ha indagato livello di consapevolezza normativa, azioni di conformità intraprese, impatti economici attesi e cambiamenti organizzativi, mediante domande chiuse e aperte.

Risultati - Il 35% delle aziende ha avviato azioni concrete di adeguamento, come creazione di team interni HTA e collaborazioni con consulenti. Il 50% si trova ancora in fase esplorativa, mentre il 15% non ha ancora adottato misure specifiche.
Le grandi aziende mostrano un approccio più strutturato e proattivo; al contrario, le PMI evidenziano limiti in termini di risorse e consapevolezza. Il 74% ha coinvolto il dipartimento regolatorio, il 100% quello di market access, e il 58% l'area clinica. Il 70% delle aziende ha richiesto supporto formativo specifico, e il 60% linee guida più dettagliate da parte delle istituzioni.
L'adeguamento ai criteri PICO è percepito positivamente per la qualità degli studi (50%), ma anche come causa di incremento dei costi operativi (+15-25%) e modifiche complesse dei processi aziendali. Le principali sfide emerse includono incertezza normativa, mancanza di risorse e difficoltà nel reclutare personale specializzato.

Bibliografia

• *1 European Commission. Health Technology Assessment: new rules to improve access. 2021.*

- *2 Julian E et al. Health Econ Rev. 2022;12(1):30.*
- *3 Regulation (EU) 2021/2282 of the European Parliament.*
- *4 Drummond M, Tarricone R, Torbica A. Eur J Health Econ. 2022;23(6):913–915.*
- *5 EUnetHTA. Methodology Guidelines. https://www.eunethta.eu*

Autore di riferimento: Federica Prati, federica.prati01@gmail.com

sihta

SEGRETERIA SCIENTIFICA
segreteriascientifica@sihta.it

SEGRETERIA
segreteria@sihta.it

www.sihta.it

ORGANIZZAZIONE E PROVIDER ECM 5146
KOS | COMUNICAZIONE E SERVIZI

segreteria@koscomunicazione.it
+39 3513343839

RELAZIONE CON GLI SPONSOR
danilovinci@koscomunicazione.it
+39 3926686266

www.koscomunicazione.it

Platinum sponsor

ALFASIGMA
AMGEN
AstraZeneca
Medtronic
MENARINI group
MSD
NOVARTIS
Roche
sanofi
Takeda
VIATRIS
Johnson&Johnson

Media partner

PS PANORAMA SANITÀ
INFORMAZIONE & ANALISI DEI SISTEMI DI WELFARE