

Farmaci orfani e Hta

## Servono numeri per sostenere le disruptive innovation

L'iniziativa connotata da altri elementi che la rendono altamente meritevole di attenzione. Il motivo risiede nella percepita utilità che un approccio metodologico, validato e condiviso, di applicazione dei criteri e delle metodiche dell'Hta adattate alle casistiche con piccoli numeri avrebbe anche in altri contesti sanitari.

di Matteo Ritrovato\*

La consapevolezza di quanto sia importante l'Hta anche per un settore che, per caratteristiche intrinseche, potrebbe, in un certo senso, sentirsi esonerato da questo tipo di valutazioni è certamente il messaggio più importante che cogliamo come Sihta, Società Italiana di Health Technology Assessment.

Anche per questa ragione Sihta appoggia in pieno l'iniziativa, connotata da altri elementi che la rendono altamente meritevole di attenzione. Alcuni di tali elementi sono già ben evidenziati all'interno del position paper di Ossfor.

Il motivo risiede nella percepita utilità che un approccio metodologico, validato e condiviso, di applicazione dei criteri e delle metodiche dell'Hta adattate alle casistiche con piccoli numeri avrebbe anche in altri contesti sanitari. Basti pensare, in primis, alle sfide della sperimentazione e della valutazione della medicina di precisione o delle advanced therapies. Ma i vantaggi dati dalla possibilità di esperire una valutazione sufficientemente robusta per determinare un indirizzo nelle politiche sanitarie e/o nella gestione delle aziende sanitarie non risulterebbero circoscritti ai suddetti ambiti.

È infatti facile pensarne un'estensione al settore dei Dispositivi Medici e delle tecnologie biomedicali dove, in virtù di una regolamentazione del settore e di particolari caratteristiche del mercato, si evince un continuo evolversi della tecnologia e, pertanto, i decisori ed i valutatori costantemente si confrontano col problema dei "piccoli numeri". A maggior ragione se trattasi di cosiddette disruptive innovation, dove anche i tradizionali parametri di riferimento e misura possono venire a mancare.

Infine, parafrasiamo quanto ascoltato durante la presentazione del position paper: se l'approccio alle malattie rare e ai farmaci orfani si connota fortemente di una valenza etica, altrettanto forte diventa la rilevanza dello studio di Hta e della consapevolezza che da esso deriva ai decisori politici e manageriali. Perché in assenza di consapevolezza l'esercizio etico del decisore verrebbe se non svuotato di significato quantomeno menomato nel risultato.



\* Segretario Comitato Tecnico Scientifico SIHTA; Responsabile UO HTA Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma