

Abbiamo titolato questo numero di Panorama della sanità: Hta e Lea: parresia 2.0. Non una indulgente virata umanistica, semmai una nota a margine al percorso del sistema multidimensionale di valutazione delle tecnologie e delle terapie in campo sanitario. Ci piace pensare che il Diogene Laerzio, indissolubilmente connesso al concetto di parresia, il dovere di dire sempre la verità, sia l'incarnazione più felice del frutto del lavoro di quanti si cimentano nelle valutazioni basate sull'Hta col fine di dare ai decisori pubblici uno strumento oggettivo per prendere le decisioni migliori a favore della collettività. Gli spunti offerti dal congresso Sihta che si apre a Roma l'11 ottobre a Roma sono tutti orientati in questa direzione. Una parresia dei giorni nostri, 2.0 appunto.

Hta: evidenza scientifica e coinvolgimento dei cittadini

A braccetto nelle procedure per l'aggiornamento dei Lea

Pietro Derrico: «Plauso al ministro Grillo. Per la prima volta c'è un percorso che assegna un ruolo esplicito alla valutazione sistematica nel processo di decisione del pacchetto di servizi che compone il diritto alla tutela della salute degli italiani».

«Come società di riferimento nazionale per l'Hta non possiamo che plaudere alla recentissima delibera del Ministro alla Salute Giulia Grillo sulla nuova procedura per l'aggiornamento dei Lea (Livelli Essenziali di Assistenza). L'attuazione di un percorso chiaro e condiviso di Health Technology Assessment coinvolgente tutti i portatori di interesse a partire dai cittadini, è infatti la strada corretta per affrontare i complessi processi decisionali sui temi dell'innovazione e del riconoscimento delle prestazioni essenziali rimborsabili dal Ssn» così il presidente della Società italiana di health technology assessment Sihta, Pietro Derrico, commenta la delibera del Ministro della salute in tema di Hta. «Con questa procedura rilasciata dal Ministero e dall'Istituto Superiore di Sanità, per la prima volta - prosegue il presidente Sihta - c'è un percorso che assegna un ruolo

esplicito alla valutazione sistematica nel processo di decisione del pacchetto di servizi che compone il diritto alla tutela della salute degli italiani e che fa fare un passo indietro alla negoziazione da bottega in favore dell'evidenza scientifica».

«La nuova proposta del Ministro Grillo - sottolinea Derrico - è sicuramente una spinta positiva a questo complesso e delicato tema, ma occorre fare ancora passi avanti verso una efficace applicazione dell'Hta come strumento di riferimento disponibile per tutti gli attori, garantendo a tutti la giusta rilevanza e possibilità di intervenire nel processo di valutazione purché si mantenga un contesto metodologico dove è fondamentale non solo la qualità delle evidenze scientifiche ma anche "il peso" di ciascun stakeholder nelle varie valutazioni. L'approccio metodologico internazionale proprio dell'Hta contempla

questi aspetti e ne prevede l'applicazione nelle seguenti macrofasi:

1. priority setting (definizione delle Priorità): definizione delle priorità di analisi sulla base di prove ed evidenze scientifiche e di rilevanza sociale della tecnologia;
2. assessment (valutazione tecnica): valutazione tecnica delle varie dimensioni (sociale, etica, economica, sicurezza, etc.);
3. appraisal (analisi di contesto): valutazione dei risultati dell'assessment e relativo utilizzo all'interno di un sistema sanitario (in quest'ultima fase sono coinvolti tutti gli stakeholder)".

Come negli anni passati, ma con maggior e rinnovato impegno determinato dalla assoluta attualità del tema, questi aspetti saranno affrontati ed

approfonditi nel corso del nostro XI Congresso Nazionale dal titolo "L'Hta per la salute: prospettive in Italia ed Europa" che si svolgerà nei giorni 11-13 ottobre 2018, presso il Centro Congressi Auditorium Aurelia di Roma con il coinvolgimento attivo dei professionisti, delle associazioni, delle istituzioni, delle aziende dei settori pharma e biotech e non ultimo dei cittadini.

Negli ultimi anni questa metodologia di lavoro sta sempre più consolidando il suo ruolo di strumento di governo clinico capace di coinvolgere nel processo di valutazione tutte le parti interessate: professionisti, istituzioni, società scientifiche, università, industrie, cittadini, pazienti, etc. Sin dalla sua fondazione nel 2007, la Sihta, ha impostato le proprie attività di divulgazione e formazione sulla base di un approccio multidisciplinare e multistakeholder puntando negli anni alla diffusione dei principi propri dell'Hta tra tutti gli interlocutori del sistema salute. Nonostante le evidenze riguardanti la necessità e i benefici derivanti dall'inclusione dei cittadini e dei pazienti nei processi di Hta, anche a livello internazionale, è finora scarso il loro effettivo coinvolgimento ed emergono ancora diverse barriere alla loro comprovata partecipazione attiva nei tavoli tecnici. Il coinvolgimento della rappresentanza e rappresentatività di associazioni e interlocutori laici, in mancanza di regole e procedure ben stabilite può infatti risolversi in un sterile esercizio, difficilmente portatore di elementi utili alla decisione.

La formazione dei cittadini (nelle loro forme associative di cittadini e pazienti), oltre che dei decisori, è senz'altro un primo passo per garantire l'apprendimento di teorie e tecniche proprie delle valutazioni sanitarie in modo tale da costituire tavoli tecnici decisionali con interlocutori "alla pari" con la possibilità di portare evidenze "profane ma rilevanti" provenienti dall'esperienza dei cittadini/pazienti.



La valutazione delle tecnologie sanitarie...

...i risultati raggiunti e le nuove sfide

Diffondere nel miglior e più ampio modo possibile la cultura dell'Hta, coinvolgendo tutti gli attori del Servizio sanitario nazionale, era e resta la principale finalità della Società italiana di health technology assessment.

di Pietro Derrico*

Con il nostro undicesimo convegno, siamo felici di dare testimonianza della crescita della Hta avvenuta in questi anni, sia a livello nazionale, sia internazionale ed europeo in particolare, ma consapevoli che c'è ancora molta strada da fare, ci auguriamo che questo processo sia in continua progressione. Sul piano istituzionale, auspichiamo il consolidamento delle strategie nazionali ed europee avviate in questi anni, che assegnano un ruolo centrale nel governo dell'innovazione alle metodiche della valutazione delle tecnologie sanitarie e ai processi decisionali basati sulle evidenze. Come appare dalla robusta adesione delle società scientifiche al XI congresso di Sihta, e dall'avvio entro molte di esse di percorsi di formazione, sezioni gruppi tematici dedicati alla valutazione delle tecnologie sanitarie, la Hta sta finalmente uscendo dal suo ruolo elitario per divenire progressivamente cultura diffusa. Nei prossimi anni il coinvolgimento delle Società scientifiche e delle Associazioni professionali del mondo della sanità sarà cruciale per veicolare, tra i professionisti afferenti alle diverse discipline mediche e non, le nozioni, le istanze e le finalità proprie della Hta. Lo sviluppo di competenze proprie sull'Hta all'interno delle società scientifiche sarà inoltre determinante nelle future attività che le stesse società scientifiche saranno chiamate a svolgere nell'ambito dello sviluppo delle Linee guida (Lg) e nel programma nazionale Hta coordinato dal Ministero della Salute. Il D.Lgs 24 dell'8 marzo 2017, ha sancito la rilevanza delle Lg nello svolgimento delle prestazioni sani-



tarie, codificandone anche la necessità e la cadenza dell'aggiornamento. Come cultori dell'Hta sottolineiamo come anche su questo tema occorra garantire un approccio multidimensionale per assicurare che, unitamente agli outcome clinici, l'aggiornamento delle Lg consideri anche gli aspetti organizzativi, tecnici, economici ed etici al fine di compiere una effettiva valutazione basata sul valore (Value Based Healthcare). Ciò con il duplice obiettivo di garantire il valore trasferito al paziente e al Ssn e massimizzare il contributo delle tecnologie ai moderni processi di cura.

Lo scorso gennaio è stata avanzata la proposta legislativa della Commissione europea riguardante il rafforzamento della cooperazione dell'Ue in materia di valutazione delle tecnologie sanitarie. Ci auguriamo che l'iter di approvazione prosegua, possibilmente con le opportune correzioni segnalate all'indomani della sua presentazione. Vi sono in questa proposta importanti opportunità di miglioramento e standardizzazione sovranazionale del processo di valutazione delle tecnologie. La realiz-

zazione di studi di clinical benefit uniformi, con la formalizzazione di obiettivi, coordinamento, tempistica, designazione e coinvolgimento degli stakeholder sono, assieme alla trasparenza e alla condivisione dei risultati di valutazione, le migliori garanzie di equità nell'accesso alle cure migliori per tutti i cittadini degli Stati membri Ue. Assodata la validità scientifica e le opportunità introdotte dalla tecnologia innovativa in esame, la nuova legge europea dovrà però lasciare alle comunità locali la fase di appraisal, ovvero di valutazione di applicabilità e impatto negli specifici contesti. La messa in vigore di questa nuova disciplina porterebbe un contributo di chiarezza sul ruolo e la necessità di integrare competenze finalitate dei diversi livelli decisionali, da quelli più vicini al paziente ai sistemi regolatori internazionali.

A partire dalla legge finanziaria del 2016 si sono fatti passi avanti nella realizzazione del piano nazionale sull'Hta, che a regime dovrà operare attraverso il contributo dei centri collaborativi regionali, ma ancora molto rimane da fare. Ove possibile e necessario, Sihta conferma la propria disponibilità a sostenere il processo di costruzione del network nazionale per un avvio sostanziale del programma nazionale di Hta e il coinvolgimento di tutto il Ssn. Perché la nuova organizzazione possa rispondere alle esigenze di tutti gli operatori e dei cittadini, per completare l'ecosistema nazionale di Hta rimane ad esempio da definire e ridisegnare il ruolo delle Aziende Sanitarie e degli Ospedali. Per essere davvero portatrice di valore, l'Hta deve, infatti, svilupparsi a tutti i livelli, ognuno per le proprie competenze, e divenire metodo pervasivo di governo clinico.

Allo stesso tempo, così come si intende coinvolgere un numero sempre maggiore di società scientifiche nella cul-

tura della valutazione, nonché nelle attività operative ad essa associate, sarebbe necessario, a livello istituzionale, allargare l'orizzonte ad altri attori (dall'Inail all'Inps, dal Ministero Economia e Finanze al Ministero dello Sviluppo Economico) per poter dare valore, nell'ambito delle valutazioni condotte, anche ad elementi che, discendono dall'applicazione di una tecnologia in ambito sanitario, ma che possono essere apprezzati in altri settori della vita sociale ed economica del Paese. Crediamo che questo passaggio (che porta in sé un maggiore respiro e capacità di incidere sulla qualità e innovazione dei prodotti e dei servizi del Ssn) sia risolutivo per poter, concretamente, superare l'approccio di silos budgeting che negli anni ha fortemente limitato le possibilità di innovare, anche quando l'innovazione avrebbe consentito notevoli risparmi di spesa al sistema Paese nel suo complesso ed incrementato ulteriori elementi socialmente virtuosi della filiera della salute (occupazione intellettuale qualificata, export in Ue e Paesi emergenti, etc.).

Emerge, infine forte e chiara, la necessità di diffondere la cultura dell'Hta e la conoscenza delle finalità delle valutazioni in ambito sanitario sia ai pazienti/cittadini/elettori sia ai decisori politici. Ciò in maniera molto più ampia di quanto è possibile ipotizzare e realizzare rispetto al loro coinvolgimento operativo durante l'iter valutativo. Tutto ciò con l'obiettivo di riequilibrare da un lato aspettative, cresciute a dismisura, difficilmente assicurabili sotto il profilo clinico, organizzativo ed economico, e dall'altro aiutare il decisore politico, a massima garanzia della sua libertà di azione, ad operare scelte avendo chiara conoscenza delle evidenze scientifiche disponibili e della loro forza.

*Presidente Sihta



Non c'è Hta senza coinvolgimento dei professionisti

La diffusione dell'Hta in questo Paese è stata fondamentale spinta da un piccolo gruppo di "esperti" provenienti dalle più disparate aree professionali. Nonostante il grande impegno e la grande dedizione, ideale e materiale, credo che noi "esperti" di Hta abbiamo fallito nell'ottenere un sistematico coinvolgimento dei clinici nel sostenere questo percorso di diffusione di una cultura che ancora fatica ad affermarsi.

di Americo Cicchetti*

Nel suo oramai famoso "Ted Talk" del 2012, Atul Gwande chirurgo generale al Brigham and Women Hospital di Boston ed "inventore" delle check list chirurgiche (quando era esperto presso il Who a Ginevra), sosteneva che per "Salvare la Medicina" l'arma fondamentale sia proprio il medico. Atul parla di una nuova figura di professionista chiamata a sviluppare tre competenze: la capacità di valutazione e misurazione dei fenomeni critici (errori, sprechi, ecc.), la ricerca delle soluzioni in merito ai problemi che ogni giorno si affrontano sotto il profilo della gestione e infine la capacità di implementare le soluzioni grazie al lavoro di gruppo. L'esempio eclatante che Gwande riporta nel suo video di 18 minuti è quello delle check list per la chirurgia di derivazione aeronautica. Se la variabilità degli esiti in chirurgia è il "fenomeno", la check list che lui stesso ha progettato per il Who è lo strumento, e la diffusione del suo utilizzo è ciò che effettivamente può fare la differenza. Solo così è possibile ridurre la mortalità in sala operatoria di oltre il 47% (questi i dati dello studio pubblicato nel 2011, J Am Coll Surg. 2011 Aug;213(2):212-217).

In tutti e tre gli step è fondamentale l'esperienza, la conoscenza e la sensibilità dei professionisti.

Il suggerimento di Gwande credo debba essere preso in considerazione anche per quanto attiene l'Hta.



La diffusione dell'Hta in questo Paese è stata fondamentale spinta da un piccolo gruppo di "esperti" provenienti dalle più disparate aree professionali: medici di sanità pubblica, ingegneri clinici, economisti, farmacisti, fisici, e chi più ne ha più ne metta. Tutti hanno portato un sincero contributo di competenza nella convinzione che l'Hta fosse effettivamente lo strumento per sostenere una politica sanitaria basata sulle evidenze. Un modo per rendere sostenibile il sistema sanitario garantendo comunque l'innovazione.

Nonostante questo grande impegno e questa grande dedizione, ideale e materiale, credo che noi "esperti" di Hta abbia-



mo fallito nell'ottenere un sistematico coinvolgimento dei clinici nel sostenere questo percorso di diffusione di una cultura che ancora fatica ad affermarsi.

Questo non vuol dire che nelle attività di Hta non siano stati coinvolti i colleghi clinici, sia nell'ambito delle funzioni di Hta ospedaliera (quando esistevano), che nei gruppi di lavoro regionali (vedi ad esempio in Lombardia) o nazionali (Agenas).

Quello che però credo sia mancata è una alleanza politica e strategica tra l'area della sanità pubblica (in senso generale) e l'area clinica a supporto della cultura dell'Hta. E questa è stata responsabilità principale di noi cosiddetti "esperti" di Hta. Troppo presi a provare a convincere le istituzioni e nostri politici in una azione top down. È mancata l'azione bottom up che, invece di puntare al coinvolgimento di una "minoranza" (i decision maker) per ottenere un effetto immediato, avrebbe dovuto mirare alla creazione di quel tessuto culturale proprio tra i professionisti e che è fondamentale per dare impatto all'Hta in senso pratico.

È proprio sulla base di queste considerazioni che il Congresso Nazionale di Sihta di quest'anno, nella giornata di apertura ha dedicato una sessione plenaria al rapporto tra Hta e clinica: un dibattito aperto tra i presidenti di alcune delle più significative società scientifiche cliniche proprio sul tema del coinvolgimento dei professionisti dell'Hta come chiave per la sua definitiva affermazione. Come Sihta, crediamo sia tempo e ora per sfruttare il momentum che nasce dalla concomitanza dell'avvio del programma nazionale linee guida che ha chiamato a raccolta le società mediche e del programma nazionale di Hta che individua proprio nelle società mediche un interlocutore fondamentale e la presa di coscienza comune dell'importanza di impostare piani diagnostici e terapeutici sulla base delle evidenze, di ottimizzare l'uso delle tecnologie sulla base della loro efficacia e sostenibilità, insomma di mettere l'appropriatezza al centro della decisione.

... meglio tardi che mai.

**Past President Sihta*

Health Technology Assessment

Hta: lo stato dell'arte in Italia

Il governo dell'innovazione è un tema prioritario per lo sviluppo del Ssn, considerato l'incremento dei costi ad essa associati.

di **Marcella Marletta***

La crisi finanziaria e la situazione di grave deficit registrato negli ultimi anni nel comparto sanitario hanno via via indotto l'adozione di politiche di contenimento della spesa pubblica che hanno determinato una compressione del livello di qualità dei servizi sanitari erogati ai cittadini italiani ed una diminuzione del grado di attrattività del nostro Paese nei confronti degli investitori internazionali. Proprio alla luce di questi fatti è necessario porre al centro del dibattito la necessità di sviluppare una, oramai, inderogabile nuova visione per la Sanità del futuro. Dobbiamo, in altre parole, essere in grado di ricostruire un sistema sanitario su basi nuove che tenga conto della evoluzione scientifica e delle specificità settoriali.

Si rende necessario un cambio di passo che dovrà basarsi essenzialmente su tagli selettivi, disinvestimenti mirati e riallocazione delle risorse - così ottenute - sui capitoli più strategici, minimizzando o annullando l'impatto in termini di iniquità. Oltre a ciò, le politiche sanitarie dovranno sempre più essere ispirate dalle evidenze scientifiche in grado di dirci cosa produce di più in termini di salute tra diverse ipotesi di allocazione delle risorse pubbliche.

Sarà, di conseguenza, ineludibile adottare tutti quegli strumenti in grado di migliorare la capacità del Ssn di selezionare le diverse opzioni disponibili in relazione al reale valore generato nel sistema. Ad oggi, il più incisivo metodo per esercitare questa scelta è quello di appoggiarla sulle migliori prove di efficacia. Tale si dota di strumenti operativi tra i quali, particolare importanza, assume l'Health technology assessment (Hta). Il mio intento, dopo gli importantissimi risultati raggiunti nel corso degli ultimi anni, è quello di innalzare l'Hta come il vero strumento di governo del sistema sanitario



con impatti reali sulle decisioni che contano. Credo, infatti, che l'approccio trasparente, multidisciplinare e multi-stakeholder dell'Hta sia l'unico in grado di supportare decisioni fondate su un bagaglio di evidenze scientifiche analizzate con metodi robusti e che, allo stesso tempo, siano anche accettabili e condivisibili da parte dei diversi portatori di interesse. Ciò che vogliamo adottare è un approccio attivo in grado di allontanare il rischio di tagli generalizzati. Una politica che si limitasse a tagliare indiscriminatamente la spesa del Ssn, oltre a mettere a rischio la tutela della salute dei cittadini garantita dalla nostra Costituzione, avrebbe ricadute negative sull'intero sistema economico-produttivo che ruota intorno al mondo sanitario.

In questo contesto, il governo dell'innovazione è un tema prioritario per lo sviluppo del Ssn, considerato l'incremento dei costi ad essa associati. Il modello istituzio-

SEGUE A PAGINA 23

*Direttore Generale della Direzione Generale dei Dispositivi Medici e del Servizio Farmaceutico del Ministero della Salute

L'Hta per valorizzare ricerca industriale e investimenti

La sfida per la sostenibilità del sistema paese, passa indiscutibilmente per la sua capacità di alimentare il proprio sistema produttivo con innovazione ad alto valore aggiunto. La presenza di forti investimenti di ricerca produce un tessuto più favorevole allo sviluppo di competenze e di eccellenze con importanti ricadute economiche e produttive.

di Francesca Patarnello* e Giandomenico Nollo*

La sanità offre in questo senso uno dei terreni più appetibili, vuoi per la incessante domanda di tecnologia, vuoi per l'alto livello di competizione internazionale, vuoi per i benefici indotti dall'efficienza di sistema sulla salute dei cittadini e sull'economia.

Nel nostro paese la ricerca e sviluppo (R&S) di tecnologie per la salute ha un ruolo importante, sia per i farmaci che per i dispositivi medici. Nello sviluppo di tecnologie per la salute è però importante assicurare tutta la filiera dell'innovazione, dalla generazione dell'idea-prodotto (molecola o soluzione tecnologica) alla sua verifica e affinamento nei diversi contesti sperimentali, alla sua produzione e infine valutazione attraverso studi di ricerca sul campo (trial clinici). Farindustria stima che nel solo campo farmaceutico in Italia l'investimento in R&S è di 3,6 milioni di euro, tra investimenti diretti dell'industria e dell'indotto. Con il progredire della scienza, si pensi alla produzione di biosimilari, o alle potenzialità delle terapie geniche, anche l'industria del farmaco è attraversata da un importante cambiamento derivato dallo sviluppo di start up di piccole o medie dimensioni, spesso associate alla ricerca accademica. Questo nuovo modello di R&S se adeguatamente sostenuto può consentire l'introduzione di soluzioni farmacologiche nella pipeline industriale in modo indipendente rispetto alle linee di ricerca interne delle grandi società, con effetti positivi sul trasferimento tecnologi-



co. Dopo l'entrata in vigore della nuova regolamentazione sui dispositivi medici, il lungo e costoso percorso di trasferimento tecnologico si applica sostanzialmente in egual misura agli strumenti diagnostici e terapeutici determinando una barriera d'accesso e, ancora, la necessità di attenta pianificazione e valutazione economica. L'investimento in R&S delle aziende di dispositivi medici era nel 2016 di 1,1 miliardi di euro, di cui circa 231 milioni di euro sono stati dedicati alle valutazioni cliniche pre e post market. (Elaborazioni di Asso-biomedica 2017, su dati Ocse 2016), con una quota di investimento complessivo in R&S del 7% sul fatturato.

In tutti i paesi occidentali, per garantire la competitività delle proprie aziende il trasferimento tecnologico è generalmente incentivato attraverso politiche che premiano gli investimenti rendendo la competizione in molti casi dipendente dalla pianificazione economica nazionale. An-



che per paesi di non grandi dimensioni e con limitate risorse economiche, come il nostro, è comunque possibile (e i risultati attuali lo dimostrano) stare al passo del mercato internazionale soprattutto facendo leva sulle proprie eccellenze, siano esse pubbliche o private. Tuttavia, per assicurare un futuro di medio periodo è necessario e urgente sviluppare una cultura della collaborazione tra settori e in particolare tra pubblico e privato, guidata dal rispetto dei reciproci interessi e dalla trasparenza.

Ma come decidere in che settori investire? a chi tocca il rischio di impresa della ricerca di base? I risultati di una ricerca condotta da aziende private, ma con finanziamenti e contributi culturali pubblici, come devono essere ripartiti tra profitti aziendali e bene comune? Fin dove si deve spingere il sistema accademico nella formulazione di prodotti innovativi?

Sono queste domande basilari a cui non è facile dare risposta, ma a cui ancora una volta i metodi di valutazione scientifica propri della Hta possono dare un contributo. Infatti, se è importante misurare l'impatto di un prodotto tecnologico sulla salute

delle persone e sui costi dell'assistenza, altrettanto e forse anche di più, lo è valutare l'impatto degli investimenti in ricerca e delle politiche di incentivazione per lo sviluppo di innovazione per indirizzare gli studi, l'aggregazione di competenze, le scelte strategiche. Solo con un uso coerente "across-sylos", di questi strumenti possiamo ambire a produrre decisioni valide e affidabili e per affrontare le sfide dell'evoluzione del sistema sanitario nel medio lungo termine.

Questo tema va affrontato urgentemente essendo esso basilare per l'attrattività degli investimenti in R&S. Ancora una volta si apre una sfida culturale, dove da un lato si devono sviluppare strumenti ad hoc e dall'altro si deve aprire questa conoscenza alle agenzie di Hta e ai policy makers i quali solo conoscendo in modo integrato i fenomeni che riguardano la Ricerca e Sviluppo e le implicazioni derivanti dalle politiche sull'innovazione tecnologica e sul rewarding possono indirizzare una corretta governance delle decisioni in grado di garantire innovazione, sostenibilità crescita produttiva e sociale.

A livello istituzionale sarebbe neces-

sario allargare l'orizzonte ad altri attori (dall'Inail all'Inps, dal Ministero Economia e Finanze al Ministero dello Sviluppo Economico) per poter dare valore, ad elementi che, discendono dall'applicazione di una tecnologia in ambito sanitario, ma che possono essere apprezzati in altri settori della vita sociale ed economica. Crediamo che questo passaggio (che porta in sé un maggiore respiro e capacità di incidere sulla qualità e innovazione dei prodotti e dei servizi del Ssn) sia risolutivo per poter, concretamente, superare l'approccio di "silos budgeting" che negli anni ha fortemente limitato le possibilità di innovare, anche quando l'innovazione avrebbe consentito notevoli risparmi di spesa al sistema Paese nel suo complesso.

Non abbiamo molti dati nazionali sul ritorno dell'investimento in R&S in Italia e nelle regioni, ma misurarne congiuntamente l'impatto sugli outcome di salute ed economici sarebbe molto importante anche per dare elementi utili allo stanziamento di ulteriori risorse nel fondo sanitario e nei fondi dedicati ai farmaci innovativi, in particolare. Su questo fronte è importante definire quale deve essere il ruolo dei decisori politici e quale la metodologia adottare per analizzare il futuro, sia rispetto al potenziale sviluppo tecnologico (Horizon Scanning), sia rispetto a quali siano le priorità reali della popolazione, per indirizzare il mondo della R&S nella sua azione. Rispetto alla definizione tradizionale di "orfani" che deriva dall'ambito regolatorio, oggi si potrebbe, ad esempio, ripensare il concetto di "orfano" per dare maggiore

rilevanza ai bisogni di salute del cittadino su aree come la cronicità dove la cura è il risultato di investimenti nella ricerca che si declina in stili di vita, modelli sanitari, dispositivi di erogazione dei farmaci e educazione all'operatore e al paziente e in cui il beneficio del singolo diviene beneficio collettivo, là dove si riduce d'esempio, il ricovero ospedaliero, la morbilità e il carico familiare. In conclusione, crediamo che il sostegno della competitività e quindi della "salute" del Paese, passi, almeno per quanto riguarda le tecnologie per la salute, attraverso la costruzione di una governance e un sistema valutativo che indirizzi gli investimenti in ricerca e definisca in modo appropriato le priorità di ricerca facilitando le azioni trasversali pubblico-privato.

*Direttivo Sihta

SEGUE DA PAGINA 20

nale in via di definizione condurrà, sostanzialmente, al governo su scala nazionale dell'innovazione, in un contesto di riferimento caratterizzato da un alto grado di coordinamento e collaborazione tra i livelli di governo centrale e regionale.

In pratica, si tratta di trarre un sistema in cui l'innovazione entri nell'ambito dell'offerta standard del Ssn solo attraverso un percorso che ne garantisca efficacia, sicurezza e sostenibilità.

In questo contesto il ruolo che si apprestano a svolgere la Commissione nazionale per l'aggiornamento dei Lea e la promozione dell'appropriatezza nel Ssn e la CdR Hta per i dispositivi medici sarà chiave. Esse si configurano come strumenti in grado di migliorare la capacità del Ssn di selezionare le diverse opzioni disponibili in relazione al reale valore generato nel sistema.



Hta e malattie rare

Evidenze scientifiche e modelli di valutazione dell'innovazione

di Bruno Dallapiccola* e Francesco Saverio Mennini°

Le 7-8.000 malattie rare, anche se individualmente poco comuni (circa 5.000 colpiscono meno di una persona per milione di cittadini) hanno globalmente dimensioni sociali, in quanto interessano complessivamente oltre 1 persona su 20 e circa il 90% di queste ha una base genetica.



La rivoluzione tecnologica in ambito genomico sta accelerando ed abbattendo i costi della diagnosi, con un impatto positivo sulla presa in carico e sulla appropriatezza prescrittiva dei test genetici.

Di contro, la programmazione e la gestione degli interventi sui pazienti è complessa e va oltre il trattamento farmacologico, che comunque non è disponibile nel 95% di queste malattie. L'accelerazione della ricerca apre alla scoperta di nuove molecole e terapie innovative i cui costi, molto elevati, dovrebbero essere razionalizzati e negoziati su base sovranazionale.

Per definizione, le malattie rare rappresentano, per la popolazione generale, un carico basso, con il rischio che alla valutazione delle tecnologie non venga data una priorità adeguata. Pertanto, anche per queste malattie, l'Hta, secondo un moderno approccio di sanità pubblica, deve essere inquadrata concettualmente

nel modello generale di funzionamento dei sistemi sanitari, tenendo però in considerazione il fatto che si tratta di numeri notevolmente più piccoli rispetto a quelli di solito considerati nelle valutazioni Hta. Proprio per queste ragioni, l'analisi non deve riguardare esclusivamente l'ambito del Ssn, ma deve essere allargata all'insieme del sistema di Welfare, considerando tanto i costi diretti sanitari quanto quelli indiretti per il paziente e le famiglie. Quando si valutano i costi di una malattia normalmente si fa riferimento ai costi diretti sanitari e, alcune volte, ai costi diretti non sanitari. Di conseguenza, anche gli studi di Hta si focalizzano sui soli costi diretti sanitari. Nella realtà, ricorrendo alla metafora dell'iceberg, sulla superficie emergono solo i costi diretti, mentre al di sotto si accumulano i costi indiretti e sociali, che rappresentano la parte più consistente. I costi indiretti e sociali dipendono dalla perdita di produttività (remunerata o meno) causata dalla malattia, e si esprimono, ad esempio, in giornate di lavoro perse, pensionamenti prematuri o perdita di opportunità occupazionali.

Anche se l'essere affetto da una malattia rara non costituisce di per sé un requisito sufficiente per ottenere il riconoscimento dell'invalidità civile o dello stato di disabilità, la stima dell'impatto e del potenziale aumento dei costi indiretti e della spesa previdenziale dovuta all'intro-

duzione delle nuove patologie nell'elenco delle malattie rare rappresenta un ulteriore passaggio fondamentale al fine di effettuare una corretta valutazione del loro peso sociale. In questo modo potrebbe essere stimato il burden complessivo di queste malattie, in grado di fornire uno strumento di previsione del loro impatto sull'Ente previdenziale.

Sull'importanza della valutazione di questi costi all'interno del percorso di Hta e sulle metodologie da utilizzare si è interrogato l'XI congresso Sihta con una sessione interamente dedicata e incentrata sui dati più importanti emersi da studi recenti che hanno considerato questa categoria di costi.

Tra questi, una recente analisi (condotta presso l'EE Hta del Ceis della Facoltà di Economia dell'Università Tor Vergata) ha selezionato 23 malattie rare (Sla, distrofia muscolare di Duchenne, sindrome di Dravet, etc...) e 7 tumori rari (mesotelioma, leucemia mieloide cronica, carcinoma midollare della tiroide, etc...). Dal 2006 al 2015 sono state esaminate una media annua di 417 domande per Assegno Ordinario di Invalidità e Pensione di Inabilità relative al gruppo delle malattie rare considerate, di cui circa il 70% sono state accolte. Nello stesso periodo sono state esaminate una media annua di 1.850

domande relative a tumori rari, di cui il 64,3% sono state accolte come prestazioni di invalidità previdenziale. In termini di costi è interessante notare come, con riferimento all'assegno ordinario di invalidità (Aoi), si stia evidenziando un incremento medio annuo del 3%, che risulta ancora più alto con riferimento alle Pensioni di Invalidità (PI) con un incremento medio annuo dei costi pari al 7%. Anche per quanto riguarda i tumori, è stato registrato un incremento medio annuo dei costi che si attesta sul 7% tanto per gli Aoi che per le PI. Appare evidente dalle considerazioni di cui sopra, con riferimento specifico alla malattia rara, quanto sia importante seguire un approccio completo di Hta caratterizzato da una visione globale dei costi e delle conseguenze (non solo Ssn bensì sistema sociale nel suo complesso) accompagnato da una valutazione mirata a cogliere le peculiarità di un numero limitato di pazienti. Va da sé che una valutazione attenta deve tenere in forte considerazione anche i costi relativi alla spesa sociale e previdenziale.

*Direttore Scientifico Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma
*Vice presidente Sihta; Research Director, EE Hta Ceis, Università di Roma "Tor Vergata"

