

10-11
OTTOBRE
2019
MILANO
PALAZZO
LOMBARDIA



Early HTA

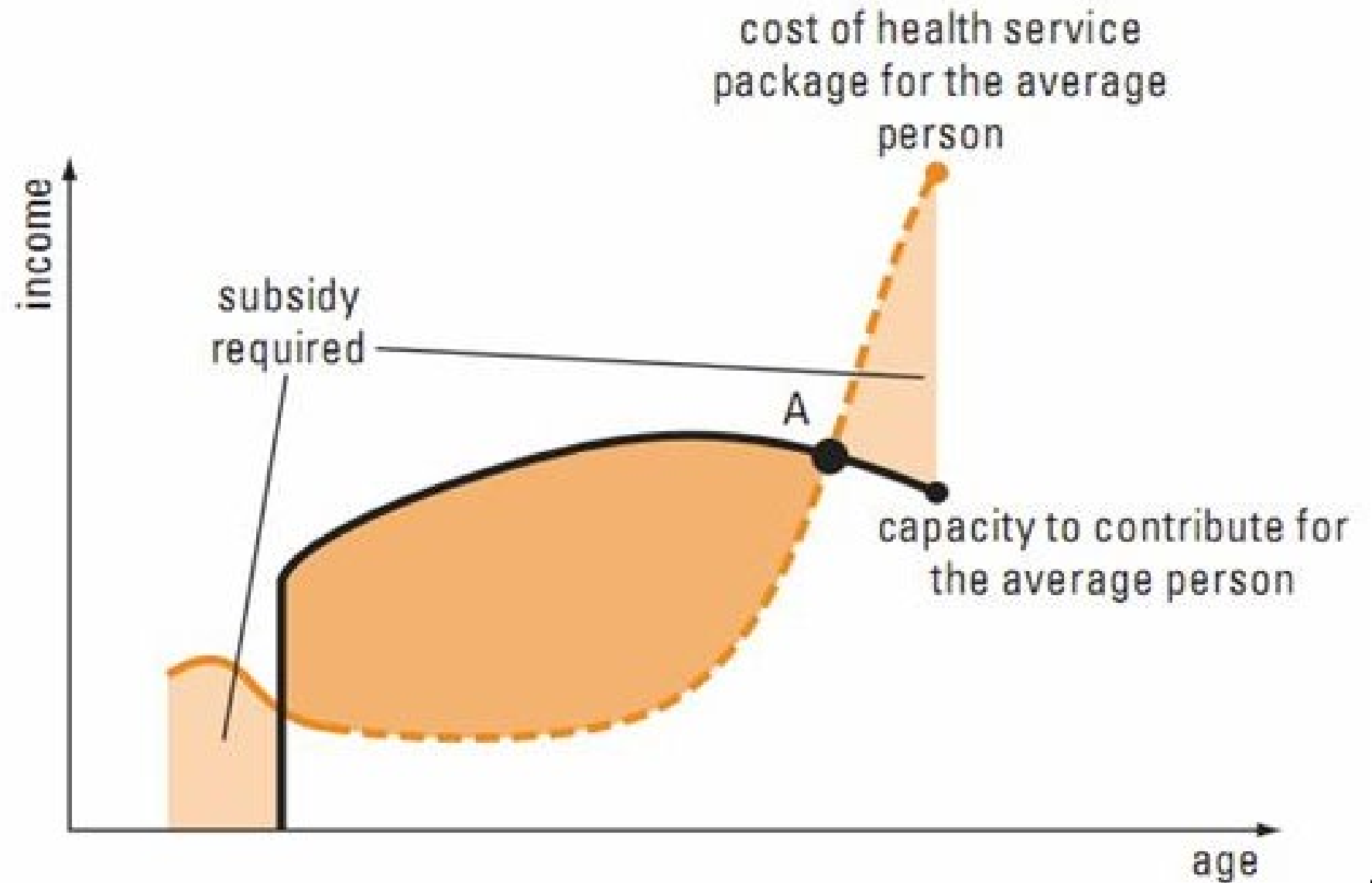
Un possibile strumento per l'indirizzo della ricerca biomedica traslazionale

Umberto Restelli

IRCCS Ospedale San Raffaele

Center for Health Economics, Social and Health Care Management LIUC - Università
Cattaneo

Background



Source: ILO/STEP 2002.

Early HTA

- ✓ Early HTA: «all methods used to inform industry and other stakeholders about the potential value of new medical products in development, including methods to quantify and manage uncertainty». (Ijzerman et al., 2017)
- ✓ Finanziatori della ricerca biomedica → necessità di evidenze preliminari sul possibile successo di progetti di sviluppo di nuove tecnologie

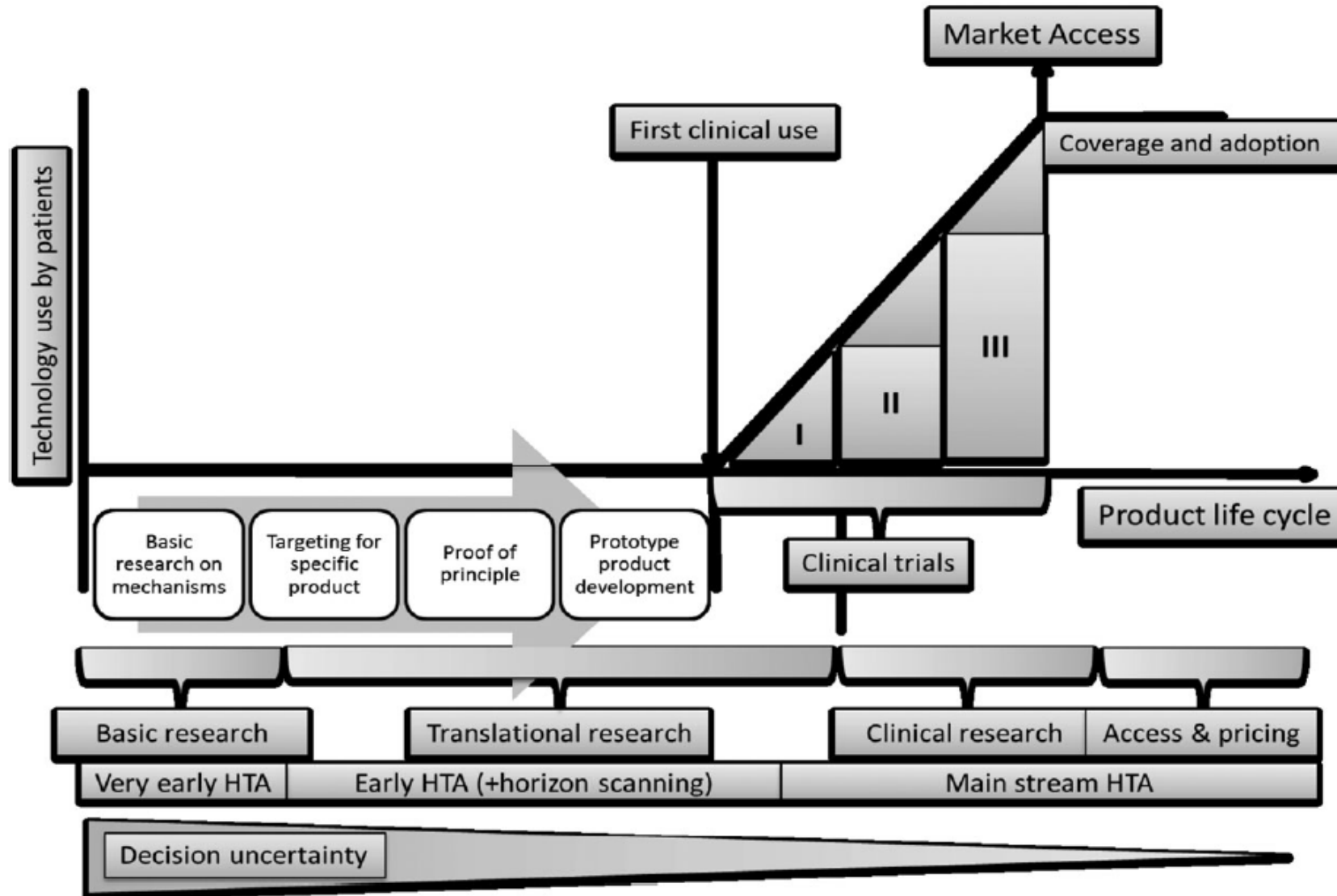
Early HTA

- ✓ Prime fasi di sperimentazione → possibilità di identificare ostacoli e facilitatori per l'implementazione della tecnologia

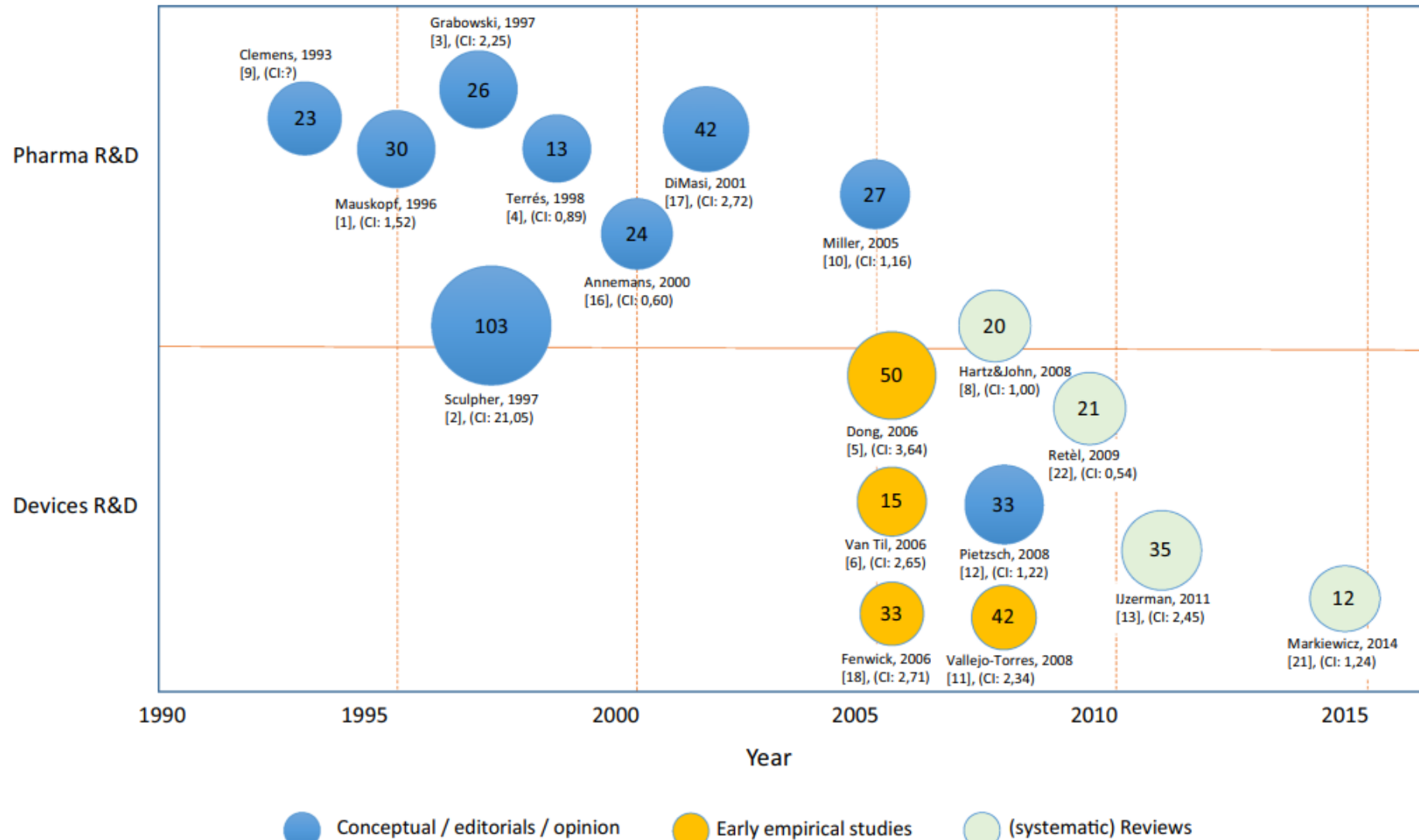


- ✓ eseguire gli adattamenti necessari prima che vengano effettuati importanti investimenti
- ✓ L'early HTA è fondamentale per i finanziatori di progetti traslazionali → un aspetto chiave da considerare nella scelta dei progetti da finanziare è la possibilità della tecnologia di raggiungere il paziente

Early HTA



Early HTA



Ijzerman 2017 - “highly cited conceptual, empirical, and review papers presenting iterative economic evaluation in drug and medical device development”

Early HTA: un'esperienza concreta

- ✓ Conduzione di attività di Early HTA a supporto del processo di selezione e indirizzo di progetti di ricerca per la Netherlands Organization for Health Research and Development
- ✓ Attori:
 - ✓ European infrastructure for translational medicine, European Research Infrastructure Consortium (EATRIS ERIC)
 - ✓ IRCCS Ospedale San Raffaele
 - ✓ IRCCS Istituto Ortopedico Galeazzi
 - ✓ Netherlands Organization for Health Research and Development (ZonMw)

Il percorso svolto

Valutazione di 2 proposte traslazionali (ambito dermatologico e respiratorio) sottomesse a ZonMw → sulla base delle issues considerate nelle 9 dimensioni proposte dall'HTA Core Model® (Versione 3.0) sviluppato da EUNetHTA



Sulla base degli outcome, la metodologia è stata adattata prima di svolgere ulteriori valutazioni



Valutazione di 2 proposte traslazionali (ambito ortopedico e nefrologico) sottomesse a ZonMw



Definizione di un percorso di valutazione

La conduzione dell'analisi

- ✓ Risposta alle issue dell'HTA Core Model®:
 - ✓ informazioni disponibili nella descrizione del progetto
 - ✓ review della letteratura per le informazioni mancanti (i.e. dati epidemiologici, valori di utilità e qualità della vita associati alla patologia)
 - ✓ Siti web di organizzazioni internazionali (i.e. WHO)
- ✓ Output: report contenente aspetti metodologici, risultati dell'analisi svolta (riassunto per dimensione e allegato con risposta per singola issue), raccomandazioni

Le criticità riscontrate

- ✓ Mancata quantificazione della popolazione target
- ✓ Mancato riferimento al teorico percorso del paziente associato all'utilizzo della tecnologia e alle risorse correlate
- ✓ Mancata descrizione dei processi associati all'erogazione delle prestazioni che prevedono l'utilizzo della nuova tecnologia
- ✓ Mancato esplicito riferimento a valori di cut-off da considerare per la valutazione dell'efficacia

Le criticità riscontrate

- ✓ Mancata indicazione della necessità di dotazioni tecnologiche e ambientali per l'utilizzo della tecnologia
- ✓ Mancato esplicito riferimento alle qualifiche necessarie e accreditamento per l'utilizzo della tecnologia (i.e. raccolta midollo osseo, trapianto cellule staminali, terapie geniche, etc...)
- ✓ Mancato riferimento alla valutazione del profilo di sicurezza della tecnologia nei confronti degli operatori e dell'ambiente

Le criticità riscontrate

- ✓ Mancato riferimento alla possibile raccolta di dati relativi ai valori di utilità correlati alla patologia target e agli effetti della nuova tecnologia
- ✓ Mancato riferimento al livello di accettazione della tecnologia da parte del paziente e degli operatori
- ✓ Mancato esplicito riferimento a gruppi di pazienti potenzialmente esclusi dall'utilizzo della tecnologia o a fattori che possono precludere l'utilizzo della tecnologia

Le criticità riscontrate

- ✓ Punto di vista del paziente e/o di associazioni di pazienti non preso in considerazione in termini di valutazione delle aspettative degli stessi o criticità nell'accettazione della tecnologia
- ✓ Mancata considerazione del potenziale ruolo della tecnologia relativamente al burden per i caregiver

Il percorso proposto

Step	Descrizione
1	Sottomissione di una proposta da parte del principal investigator sulla base del template sviluppato → informazioni relative alla rilevanza della tecnologia per le patologie target all'interno del contesto di riferimento
2	Early HTA svolto all'inizio del progetto (se finanziato) per valutare le aspettative legate allo sviluppo della tecnologia dall'inizio del periodo di finanziamento → identificazione dei gap da colmare durante la durata del progetto (principal investigator supportato da esperti di HTA e di ricerca traslazionale) Analisi dei criteri che hanno un impatto sulla fattibilità traslazionale del progetto (i.e. classificazione regolatoria e relativo percorso, definizione del prodotto finale, possibili future “best in class therapies”, status di proprietà intellettuale) → identificazione di gap e bottleneck da segnalare al principal investigator
3	Raccolta di ulteriori informazioni durante lo svolgimento del progetto → EUNetHTA HTA Core Model®
4	Tra i deliverables del progetto: HTA report

Conclusioni

- ✓ Percorso ad oggi parzialmente adottato da ZonMw
- ✓ supporto per i policy maker e i finanziatori nella scelta dei progetti in cui allocare risorse → valutazione degli investimenti
- ✓ evitare spreco di risorse e tempo considerando non solo la valutazione della tecnologia (9 dimensioni HTA Core Model®), ma anche criteri per la valutazione della fattibilità traslazionale dei progetti
- ✓ supporto per il principal investigator nell'implementazione del progetto di sviluppo della tecnologia

Quale ruolo per l'early HTA?

- ✓ Pre o post finanziamento progetti?
- ✓ Valutazione o indirizzo?
- ✓ Importanza di affiancare elementi di valutazione della fattibilità traslazionale dei progetti