

HEALTH POLICY FORUM 2020

HTA E NUOVA PROGRAMMAZIONE SANITARIA

Americo Cicchetti, Marco Marchetti, Alessandra Fiore,
Filippo Rumi, Simone Gazzillo, Francesco Saverio Mennini



SOCIETÀ ITALIANA DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

Autori

Americo Cicchetti *Past-President Sihta - Direttore dell'Alta Scuola di Economia e Management delle Aziende Sanitarie - ALTEMS*

Marco Marchetti *Coordinatore Comitato Tecnico Scientifico Sihta
Direttore Centro Nazionale per l'Health Technology Assessment,
Istituto Superiore di Sanità, Roma*

Alessandra Fiore *Ricercatore ALTEMS*

Filippo Rumi *Ricercatore ALTEMS*

Simone Gazzillo *Economic Evaluation and HTA (EEHTA)
CEIS, Facoltà di Economia, Università degli studi di Roma Tor Vergata*

Francesco Saverio Mennini *Presidente Sihta, Research Director EEHTA
del CEIS, Facoltà di Economia, Università degli Studi di Roma
"Tor Vergata" - Institute for Leadership and Management in Health,
Kingston University, London, UK*

KOS | EDITRICE

© 2021, KOS Comunicazione e servizi srl Roma
segreteria@koscomunicazione.it www.koscomunicazione.it

Edizione maggio 2021

Allegato a Panorama della Sanità • N. 6 GIU 2021

HEALTH POLICY FORUM

L'Health Policy Forum è un'iniziativa della Sihta, Società Italiana di Health Technology Assessment, e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università.

L'obiettivo è di contribuire al dibattito di natura tecnica e scientifica sui metodi dell'Hta e di sviluppare conoscenze nell'ambito della valutazione delle tecnologie sanitarie.

È stata condivisa l'importanza di istituire una Agenzia Italiana di Hta quale strumento per realizzare un vero e proprio sistema nazionale di valutazione delle tecnologie sanitarie in grado di governare il processo di innovazione e disinvestimento a livello nazionale, regionale e aziendale;

L' Agenzia Italiana di Hta (AiHta) deve coordinare le attività di Hta per tutte le tecnologie sanitarie a tutti i livelli decisionali, garantire il coordinamento con gli altri enti dell'Ssn che svolgono attività di Hta e promuovere il coinvolgimento di tutti gli stakeholder. È pensata quale tecnostruttura che ha come obiettivo quello di formare il personale, standardizzare i processi e uniformare gli output nell'ambito delle attività di Hta. Può essere un'Agenzia o un'Autorità purché indipendente dalla politica e dai payers, con un unico Committente che definisca in modo univoco il mandato. Il finanziamento dovrebbe avvenire tramite un fondo definito ad hoc.

Sono state definite le attività che l'AiHta deve svolgere:

- definire e condividere i criteri di prioritizzazione specifici per tecnologia, gli aspetti metodologici e i format di valutazione dei report di Hta costruendo, sul lavoro già effettuato nell'ambito del Programma Nazionale di Hta dei Dispositivi Medici, e adottando le metodologie di valutazione condivise nell'ambito delle principali iniziative di armonizzazione a livello europeo ed internazionale (vedi EUnetHta);*
- verificare la qualità dei report che ha commissionato ai CC, NrHta e alle UoHta;*
- definire regole trasparenti di ingaggio dei CC al fine di definire un modello a rete stabile, competente e permanente;*
- proporre schemi di appraisal non vincolanti per le Regioni.*

INTRODUZIONE

L'Health Policy Forum 2020¹, nell'analizzare l'Health Technology Assessment (Hta) nella sua prospettiva nazionale, ha dedicato attenzione al contributo che i principi e i metodi dell'Hta possono dare allo sviluppo di approcci innovativi per la programmazione sanitaria.

È ampiamente accettato dalla comunità scientifica, che l'Hta sia uno strumento atto a valutare gli effetti reali e/o potenziali della tecnologia, sia a priori che durante l'intero ciclo di vita, in modo da prevedere le conseguenze che l'introduzione o l'esclusione di un intervento possa avere per il sistema sanitario, l'economia e la società. Di conseguenza, l'Hta rappresenta lo strumento più adatto per migliorare i processi decisionali, migliorare qualità e sostenibilità delle cure e garantire l'universalismo del Ssn poiché (I) supporta la definizione dei livelli essenziali di assistenza (Lea); (II) permette di gestire in modo ottimale le risorse economiche che costituiscono il Fondo Sanitario Nazionale in uno scenario generale di crisi economica; e infine (III) contribuisce a sviluppare e diffondere nella pratica clinica tecnologie efficaci e costo-efficaci. Ad oggi, molte sono ancora le problematiche che bisogna affrontare e risolvere. Tra queste si ricordano la frammentazione delle competenze, la mancanza di coordinamento delle attività valutative, l'esiguità delle valutazioni prodotte, l'assenza di coinvolgimento di alcuni stakeholder.

Negli ultimi anni molteplici sono state le azioni di indirizzo e di programmazione che il legislatore ha messo in atto per formalizzare l'utilizzo dell'Hta come strumento di governance del Sistema Sanitario Nazionale (Ssn). Con il nuovo Patto per la Salute 2019-2021, è previsto il riordino di Aifa, Iss e Agenas per superare la frammentazione e duplicazione di competenze. L'obiettivo è di rivedere la

¹ L'Hpf, giunto alla sua XI edizione, è un'iniziativa della Sihta e rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto tra professionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria, Società Scientifiche e Università.

governance e i meccanismi operativi di funzionamento. In questo ambito verranno accorpate le funzioni frammentate in materia di Hta in un unico soggetto, a garanzia dell'autorevolezza e dell'indipendenza del processo di valutazione. I membri dell'Hpf sono stati ingaggiati in una riflessione multidisciplinare e multistakeholder per delineare, nell'ambito della programmazione sanitaria a livello centrale, la struttura organizzativa, la governance e la metodologia di lavoro di un organo centrale dedicato a svolgere attività di Hta.

Il percorso ha previsto un'analisi dello stato dell'arte delle attività svolte dalle Agenzie Nazionali di Hta a livello europeo, approfondendo quindi la strategia da mettere in campo per definire le attività che deve svolgere un organismo nazionale di Hta e il suo ruolo di coordinamento tra i vari livelli decisionali al fine di supportare le decisioni di politica sanitaria sugli interventi sanitari.

La riflessione si è articolata analizzando separatamente tre diversi ambiti, ovvero quello (a) delle attività dell'Agenzia Nazionale di Hta; (b) della governance e la metodologia di lavoro; e infine (c) quello di *evidence generation* a supporto delle valutazioni di Hta.

BACKGROUND

Una strategia nazionale di Hta intende supportare le decisioni di politica sanitaria sugli interventi sanitari grazie alla produzione di report basati sull'evidenza, con l'obiettivo di un uso più razionale delle risorse. Un sistema Hta efficiente fornirà supporto decisionale durante l'intero ciclo di vita delle tecnologie al fine di facilitare l'accesso dei pazienti a tecnologie sanitarie efficaci e che migliorino gli outcome clinici. Tali decisioni dovrebbero allo stesso tempo permettere di ridurre al minimo l'uso di tecnologie inefficaci o dannose e di contribuire a investimenti efficienti ed efficaci in un contesto di risorse sanitarie limitate. Una strategia nazionale di Hta persegue quindi due obiettivi generali: (I) definire un processo decisionale di adozione delle tecnologie sanitarie a tutti i livelli che sia solido e trasparente e basato sull'Evidence Based Medicine; (II) garantire che la metodologia Hta diventi parte integrante del processo decisionale di pianificazione e programmazione delle attività del sistema sanitario. Nella Tabella 1 si riportano le attività che dovrebbe includere un approccio metodologico per lo sviluppo di una strategia nazionale di Hta (Wild, 2017).

L'output di tale attività è un modello istituzionale nazionale di Hta che prevede la descrizione del processo decisionale all'interno del Sistema Sanitario e che unitamente descriva il flusso di informazioni relative alle responsabilità delle

Tabella 1 Le attività di un approccio metodologico per lo sviluppo di una strategia nazionale di Hta. (Nostra elaborazione da Wild, 2017)

Attività dell'approccio metodologico	Sotto-attività
Analisi delle Caratteristiche del sistema sanitario	<ul style="list-style-type: none"> • Descrizione dettagliata del sistema sanitario e dei processi decisionali (formali e informali), • Suddivisione delle responsabilità decisionali specifiche (investimento, rimborso, disinvestimento) • Descrizione della legislazione e regolamentazione dell'assistenza sanitaria, • Descrizione delle responsabilità e dei processi decisionali sugli interventi di sanità pubblica, Servizio ospedaliero
Analisi delle esperienze internazionali	<ul style="list-style-type: none"> • Individuazione del quadro legale e normativo tra politica sanitaria e Hta • Utilizzo e applicazioni dell'Hta in sistemi sanitari comparabili • Processi e prodotti Hta • Barriere all'uso di Hta e potenzialità per superarle • Integrazione istituzionale delle attività di Hta • Finanziamento delle attività di Hta
Analisi delle percezioni degli stakeholder	<ul style="list-style-type: none"> • Interviste strutturate a tutti gli stakeholder al fine di individuare le principali caratteristiche e problematiche percepiti sui processi formali e informali nel processo decisionale, sulle barriere percepite nell'utilizzo dell'Hta, sulle competenze esistenti e le capacità necessarie, nonché sulle priorità di valutazione

istituzioni a tutti i livelli decisionali e definisca gli strumenti normativi da mettere in atto per attuare tali decisioni.

Un aspetto da considerare riguarda la definizione del fabbisogno di personale e le competenze delle risorse umane che sono coinvolte nel processo. Tale aspetto si deve basare sul concetto di Capacity Building e quindi vi è la necessità di programmare la formazione del personale sui concetti e le metodologie Hta, di prevedere il coinvolgimento delle capacità esistenti (rilevanti) presenti nelle istituzioni coinvolte nel processo decisionale e di sensibilizzare alle metodiche Hta tutti gli stakeholder (Wild, 2017).

LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL'AGENZIA NAZIONALE HTA

La valutazione delle tecnologie ed i processi di Hta sono strumenti nelle mani dei governi centrali e regionali nonché del management aziendale. La letteratura evidenzia come le modalità di funzionamento, gli scopi e le metodologie che sottendono l'Hta sono stati influenzati dalle caratteristiche intrinseche dei sistemi sanitari (sistema di governance e finanziamento), dai valori che vengono promossi (in termini di equità, efficienza e efficacia) e dalle esigenze e dai modelli di leadership dei decisori politici (Ferrè, 2017). Questo comporta una pluralità di istituzioni di Hta attive a vari livelli organizzativi che hanno sviluppato diversi approcci all'Hta con conseguente eterogeneità nell'architettura organizzativa e dei processi e nel coinvolgimento degli stakeholder. Nella Tabella 2 si riporta l'organizzazione e la governance delle Agenzie di Hta nei 5 Paesi europei.

L'Agenzia Nazionale di Hta dovrebbe promuovere l'utilizzo a tutti i livelli, di metodi già consolidati nell'ambito della valutazione delle nuove tecnologie, al fine di rendere le valutazioni più uniformi possibile tra di loro in modo da promuovere l'utilizzo dell'Hta come strumento di supporto e di raccordo tra mondo tecnico-scientifico e decisori. In quest'ottica, l'Agenzia Nazionale di Hta, rientra nel progetto di creazione di un ecosistema di Hta, il quale permetterebbe di utilizzare criteri più robusti e trasparenti per l'allocazione delle risorse e l'ottimizzazione degli investimenti.

METODI DI VALUTAZIONE: FONTI DATI E EVIDENCE GENERATION

Negli ultimi anni l'Hta ha acquisito progressivamente il ruolo di strumento a supporto delle scelte per l'introduzione di tecnologie sanitarie costo-efficaci e appropriate. Di conseguenza, nell'ambito della definizione dei metodi a supporto delle attività dell'Agenzia Nazionale di Hta, una sfida riguarda la definizione delle tipologie di evidenze necessarie alla valutazione delle tecnologie sanitarie stesse.

I trial clinici randomizzati (Rct) sono convenzionalmente considerati il metodo più affidabile per stimare l'efficacia comparativa delle tecnologie sanitarie, ma possono presentare limitazioni importanti, quali tempi lunghi, impossibilità di randomizzazione in cieco e problematiche di natura etica. Inoltre, anche in caso di disponibilità di evidenza sperimentale, essa può risultare profondamente dissimile da quella osservata nella reale pratica clinica. In particolare, la complessità dei regimi terapeutici, l'eterogeneità demografica e clinica dei pazienti in

Tabella 2 L'organizzazione e la governance delle Agenzie di Hta nei 5 Paesi europei.

Paese	Governance	Finanziamento	Coinvolgimento degli Stakeholder
FRANCIA (HAS)	Indipendente dal governo centrale, dal Ministero della Sanità e dai fondi di assicurazione. Risponde al parlamento francese.	Fonti diverse (e.g. le tasse sulle spese di pubblicità delle aziende farmaceutiche, i contributi per l'accreditamento degli ospedali, tasse sui produttori, l'assicurazione nazionale (NHI), il governo, i redditi da investimento).	Sì, in parte formalizzati
GERMANIA (IQWiG)	Fondato dal Comitato misto federale (G - GA), indipendente dal governo, riceve commissioni da G-BA e dal Ministero della Sanità e rilascia pareri al FJC che emette le raccomandazioni ai fondi di assicurazione sanitaria.	Fonti diverse (attività ospedaliere out of pocket, l'incremento del tasso di rimborso per i servizi ambulatoriali e odontoiatrici pagati dai fondi di assicurazione).	Sì, in parte formalizzati
Italia Aifa (farmaci); MdS/Agenas (dispositivi medici)	Indipendente dal governo centrale e dal Ministero della salute fornisce linee dal governo guida per il Ssn e per altri stakeholders (e.g. autorità regionali e locali).	Aifa finanziato dalle tasse sulle spese di pubblicità delle aziende farmaceutiche. Agenas finanziato dal Ministero della Salute	Sì, processo molto formalizzato e completo, nel quale risultano formalmente coinvolti i principali soggetti interessati (cioè Agenas), ma in realtà gli altri stakeholder risultano poco coinvolti.
Spagna (AETS (livello nazionale))	Fondato dall'Istituto di Salud Carlos III, indipendente dal governo centrale, emette raccomandazioni al ISCIII che, a sua volta, dà indicazioni al ministero della Salute.	Finanziato principalmente dal Dipartimento della salute (Department of Health).	Sì, ma non formalizzato.
Inghilterra (NICE)	Indipendente dal governo centrale, fornisce indicazioni direttamente al servizio sanitario e ad altri stakeholders. Risponde al parlamento inglese.	Finanziato principalmente dal Dipartimento della salute (Department of Health).	Sì, processo molto formalizzato e completo, coinvolti i principali stakeholder (ad esempio industria, pazienti, fornitori)

Fonte: Nostra elaborazione da Ferrè 2017

trattamento, il protrarsi nel tempo di molte terapie, e la spesso discutibile aderenza dei prescrittori alle linee guida basate sulle evidenze, oltre che dei pazienti alle raccomandazioni dei medici, spiegano la distanza tra le evidenze generate nell'ambiente controllato, mafittizio, tipico degli Rct, e il loro effettivo impatto nel cosiddetto mondo reale (Corrao, 2017).

In questo contesto, i Real World Data (Rwd) possono rappresentare una fonte informativa fondamentale per supportare i decisori pubblici nelle loro scelte, a complemento dei dati sperimentali, ove disponibili, o in loro sostituzione quando assenti. Le definizioni di Rwd sono molteplici e non sempre consistenti. Il Policy Forum dell'Hta definisce i Rwd come *“dati amministrativi e osservazionali che forniscono informazioni sui servizi erogati e sullo stato di salute della popolazione”*. L'International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (Ispor), definisce i Rwd come caratterizzati dal fatto *“che vengono raccolti fuori dagli studi clinici controllati interventistici tradizionali nelle circostanze di vita reale”*.

In generale, i Rwd consentono di misurare l'efficacia ed i costi delle nuove tecnologie come riscontrati nella pratica sanitaria reale, con popolazioni (e non campioni selezionati) di pazienti reali e negli ospedali reali, ovvero nei contesti assistenziali quotidiani, tipicamente non in grado di discriminare se gli effetti misurati conseguono alla tecnologia, alle modalità del suo uso, alle condizioni organizzative, o a specifiche caratteristiche dei pazienti trattati. Le evidenze sperimentali (Rct) e quelle osservazionali (Rwd) rappresentano fonti informative complementari. Mentre gli Rct consentono di raccogliere informazioni di buona validità su campioni di pazienti *“ottimizzati”* per la ricerca ma assai difficilmente generalizzabili alla popolazione di pazienti *“qualsiasi”* assistiti nella pratica, i Rwd consentono di registrare informazioni potenzialmente applicabili a larga parte della popolazione ma assai difficilmente attribuibili con certezza a qualche specifico fattore (Cabina di Regia, SG5, 2018).

In accordo con quanto definito dall'Ispor, mentre i dati (Rwd) sono semplici materie prime da sole non informative, l'evidenza (Rwe) presuppone l'organizzazione dei dati stessi e il loro trattamento secondo un piano di ricerca predefinito (protocollo) e la conseguente presentazione e interpretazione dei metodi e dei risultati in un documento (report).

L'utilizzo delle Rwe rappresenta un imprescindibile supporto alle valutazioni Hta e alle decisioni di adozione delle tecnologie sanitarie innovative nell'intero ciclo di vita, anche se in letteratura non c'è un chiaro consenso sul valore aggiunto di Rwe nel contesto dell'Hta (Oortwijn, 2019).

Per quanto riguarda l'uso di Rwe da parte degli organismi Hta, uno studio

condotto da Murphy et al nel 2018 ha concluso che, come per le Agenzie di Regolamentazione, gli organismi di Hta utilizzano le Rwe per confermare o integrare i risultati degli Rct sugli effetti del trattamento dei farmaci. Tuttavia, gli organismi di Hta preferiscono i dati Rct e nel caso di utilizzo della Rwd richiedono una giustificazione esplicita del loro utilizzo, nonché una discussione sui potenziali bias e sulle conseguenze delle stime applicate agli outcome del trattamento (Oortwijn, 2019).

L'utilizzo dei Rwd da parte di un'Agenzia Nazionale di Hta richiede una collaborazione efficace tra tutti gli stakeholder del sistema al fine di guidare lo sviluppo e l'uso ottimali delle Rwe a supporto del decision making, unitamente all'applicazione di alcune strategie che permettano il superamento di alcune problematiche come la qualità dei dati, la loro accessibilità e infine la loro trasferibilità.

OBIETTIVI

Obiettivo del presente lavoro è quello di definire (I) le attività, (II) la governance e la metodologia di lavoro e (III) le modalità di utilizzo dei dati di un'Agenzia Nazionale di Hta. In particolare, tale obiettivo, declinatosi nell'ambito dei lavori di gruppo dell'Edizione 2020 dell'Health Policy Forum della Sihta, si propone di chiarire il ruolo che potrà essere ricoperto da un'Agenzia Nazionale di Hta nella produzione delle valutazioni a supporto delle decisioni sanitarie a tutti i livelli decisionali.

METODOLOGIA DI LAVORO DELL'HPF 2020

L'Hpf, giunto alla sua undicesima edizione, è un'iniziativa della Sihta svolta in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (Aies), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (Aiic), la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (Sitl), la Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie (Sifo) e l'Associazione Italiana di Epidemiologia (Aie). Il Forum rappresenta un'occasione continuativa e strutturata di confronto traprofessionisti operanti nell'ambito dell'Hta, appartenenti a Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni dicategoria, Società Scientifiche e Università e caratterizzati da prospettive diverse e diverse specificità.

L'Hpf si ispira al Policy Forum dell'Health Technology Assessment International (Htai) (www.htai.org). I lavori del Forum si ispirano alle regole della Chatham House Rule (www.chathamhouse.org.uk), una serie di principi atti a mantenere la confidenzialità delle informazioni e dei contributi resi durante la discussione. In base

a tali principi, ciascuno esprime opinioni di natura strettamente personale, non necessariamente rappresentative della posizione dell'organizzazione di appartenenza. La tematica guida del 2020 è stata scelta mediante una consultazione on line, per mezzo della quale i partecipanti al Forum hanno espresso la propria preferenza in merito alle proposte avanzate dal Segretariato Scientifico. Il programma di questa edizione dell'Hpf è stato articolato, come di consueto, in tematiche specifiche volte ad alimentare lo scambio di opinioni. Il Segretariato Scientifico ha guidato la discussione che ha avuto luogo sia in sessioni plenarie che in tre gruppi di lavoro.

RISULTATI

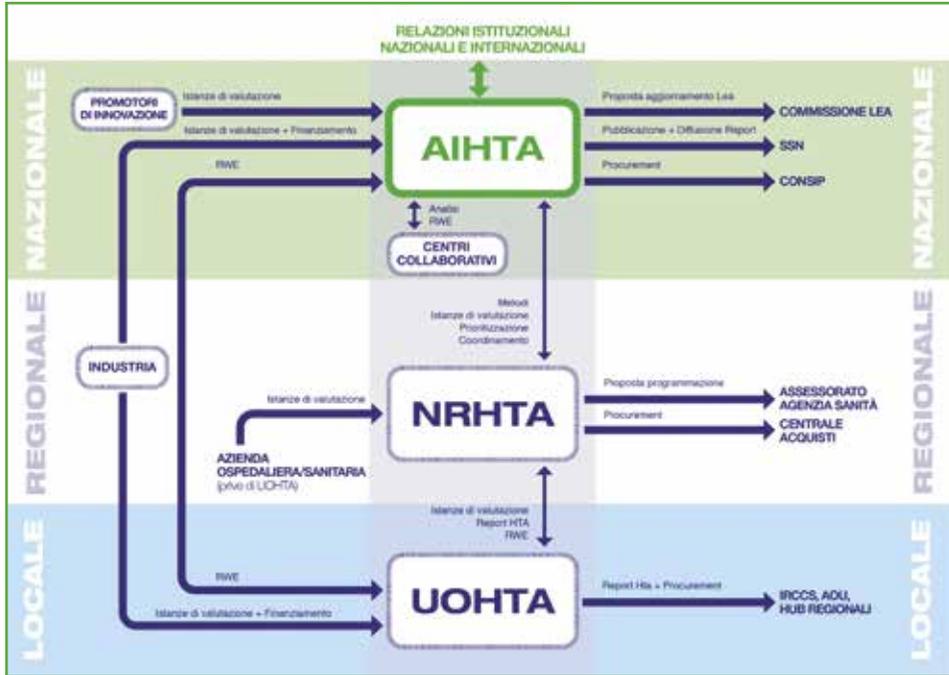
I gruppi di lavoro sono stati impegnati a definire (1) le attività che l'Agenzia deve compiere approfondendo le modalità di integrazione di tali attività con quelle gli altri enti dell'Ssn dedite alla produzione di report di Hta; (2) il modello di governance ottimale dell'Agenzia approfondendo le modalità di coinvolgimento degli stakeholder e le possibili modalità di finanziamento; (3) il ruolo dell'Evidence generation a supporto delle valutazioni di Hta prodotte dall'Agenzia, con particolare riferimento all'utilizzo dei real world data e delle real world evidence. Ciascun gruppo ha lavorato sulla base delle linee di indirizzo approvate dal Direttivo Sihta. I tre gruppi, dunque, si sono cimentati nell'analisi e nella validazione/ implementazione della struttura data al documento Sihta.

LE ATTIVITÀ DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA

Riguardo le attività di un'Agenzia Nazionale di Hta e di come tali attività debbano integrarsi ai vari livelli decisionali, si è analizzata la proposta avallata dalla Sihta che suggerisce di implementare un ecosistema di Hta che, sulla scorta di quanto avviene in altri contesti internazionali, vede innanzitutto un processo di produzione dei report di valutazione trasparente e condivisa, fondata sul livello nazionale e che poi si ramifica con responsabilità e attività diverse ma chiaramente definite, fino a quello locale/ospedaliero. Nella figura sottostante di riporta la struttura e le relazioni tra i vari organi del sistema.

L'Agenzia Italiana di Hta (AiHta) è definita come organo che supporta e coordina tutte le attività di Hta sviluppate a livello regionale e locale. L'AiHta deve essere una tecnostruttura che ha come obiettivo quello di formare il personale, standardizzare i processi e uniformare gli output nell'ambito delle attività di Hta svolte a tutti i livelli decisionali. Per definire le specifiche attività che l'AiHta deve svolgere, c'è bisogno di individuare il Committente dell'Agenzia e di chiarire in

Figura 1 L'ecosistema Hta nazionale proposto dalla Sihta: Struttura e relazioni



modo univoco il mandato che questo ultimo le affida. In particolare, il Commit-
tente deve definire in modo trasparente quale sia (I) il bisogno di valutazione e
le modalità di prioritizzazione di tali bisogni; (II) la gerarchia dei report prodotti
ai vari livelli decisionali; e (III) la natura delle conclusioni delle valutazioni di Hta
prodotte, esplicitando se queste siano vincolanti per i decisori politici oppure se
siano solo delle semplici raccomandazioni.

Alla luce di quanto già definito nel position paper della Sihta, le attività da asse-
gnare all'AiHta già emergono in modo chiaro dai lavori della Cabina di Regia del
Programma Nazionale di Hta, il cui scopo era quello di definire un nuovo modello
istituzionale di cooperazione tra livello centrale e livello regionale per la ricerca di
comportamenti atti a conseguire obiettivi di efficacia clinica, efficienza gestionale
e sostenibilità dell'innovazione.

Tra le attività definite nel Position Paper della Sihta, è esplicitata l'identificazione
e la condivisione degli aspetti metodologici e dei format di valutazione dei report

di Hta specifici per tipologia di tecnologia sanitaria. Tale impostazione risulta confermata da parte degli stakeholder presenti nel Policy Forum Sihta e si evidenzia come tra i compiti dell'Agenzia ci sia anche quello di definire le priorità di valutazione, di individuare il percorso di definizione delle raccomandazioni e di specificare le modalità di comunicazione di tali raccomandazioni ai diversi stakeholder. Al fine di definire come tali attività debbano essere realizzate, i membri del gruppo di lavoro suggeriscono di considerare i documenti metodologici definiti nell'ambito della Cabina di Regia e le metodologie di lavoro determinate nell'ambito di progetti di ricerca EUnetHta e AdhopHta.

Secondo quanto descritto nel position paper della Sihta, l'attività che deve svolgere l'AiHta in merito all'accreditamento delle Unità Ospedaliere di Hta (UoHta) e dei Centri Collaborativi (CC), ha lo scopo di definire un network collaborativo e formale che realizza e sviluppa iniziative, progetti e interventi volti a ottimizzare le valutazioni sistematiche di Hta. Al fine di definire al meglio la metodologia di accreditamento è necessario considerare sia l'esperienza condivisa nell'ambito dei lavori della Cabina di Regia che quella maturata dall'Agenas nel coordinamento della Rete Italiana di Hta (RiHta). Inoltre, al fine di massimizzare il contributo tecnico scientifico che i CC devono offrire alle attività di valutazione condotte dall'AiHta e dai NrHta, si auspica la definizione di regole trasparenti di ingaggio e l'individuazione degli ambiti valutativi più idonei per un loro coinvolgimento. Il modello auspicato è un modello a rete, stabile, competente e permanente, dove i vari CC collaborano nella produzione di valutazioni di tecnologie e interventi sanitari rilevanti, basandosi sulle capacità e le competenze disponibili al loro interno.

Un ulteriore compito dell'AiHta è definire il fabbisogno di competenze e suggerire un percorso formativo nell'ambito dell'Hta, in tale contesto si evidenzia la necessità che vengano individuati i requisiti professionali di chi si occupa delle attività di Hta sia come personale dell'Agenzia che per quei professionisti che lavorano per conto dell'AiHta.

La prioritizzazione delle richieste di valutazione a livello centrale deve essere realizzata tramite la definizione di criteri di prioritizzazione specifici per tipologia di tecnologia sanitaria, già definiti nell'ambito dei lavori della Cabina di Regia. Per quanto riguarda le valutazioni di tecnologie sanitarie particolarmente innovative, l'AiHta può avvalersi delle competenze dei CC, tenendo conto che tali tecnologie non debbano necessariamente essere valutate a livello centrale, ma che possano essere valutate anche a livello regionale nel caso in cui sorgessero delle particolari necessità di contesto.

16 In accordo con il position paper della Sihta, si evidenzia che un'attività core

dell’AiHta deve essere quella di garantire il coordinamento delle attività di valutazione svolte sull’intero territorio nazionale, al fine di evitare la duplicazione dei report su medesime tecnologie. Il coordinamento deve essere verticale ovvero l’Agenzia Nazionale coordina il lavoro delle Regioni che al loro volta coordinano le attività di Hta svolte a livello ospedaliero. Lo scopo di questo coordinamento è di (I) evitare duplicazioni delle valutazioni; (II) incentivare la collaborazione tra le Regioni; (III) garantire che i tempi di valutazione siano rispettati; e infine (IV) monitorare l’attuazione delle raccomandazioni da parte dell’organo centrale. Al fine di ottimizzare il lavoro svolto e evitare la duplicazione delle valutazioni, si rende necessario utilizzare il modello del Pop Database, definito nell’ambito del progetto EUnetHta, che rappresenta uno strumento destinato a raccogliere informazioni sulle tecnologie che i differenti organi di Hta hanno in corso di valutazione o hanno in programma di valutare.

Tra le attività che l’AiHta sarebbe chiamata a svolgere, vi è necessariamente la programmazione delle attività di Hta. Al fine di garantire una corretta programmazione, bisogna considerare sia le tempistiche che i contenuti della valutazione, individuando unitamente i diversi soggetti valutatori da coinvolgere.

La verifica della qualità dei Report Hta nazionali, regionali e/o ospedalieri, rappresenta un’attività cruciale dell’AiHta poiché garantisce la qualità delle raccomandazioni. A tal proposito, il compito dell’AiHta dovrebbe essere quello di realizzare una revisione burocratica di tutti i report di Hta prodotti, e che tale valutazione debba essere realizzata grazie all’adozione di griglie di valutazione definite nell’ambito del network di InaHta o del progetto Europeo AdhopHta. L’AiHta può entrare nel merito della valutazione, e quindi garantire la qualità della metodologia adottata nella produzione di report a livello regionale e ospedaliero, solo nel caso in cui le raccomandazioni di tali report fossero adottate a livello centrale.

LA GOVERNANCE E LA METODOLOGIA DI LAVORO DELL’AGENZIA NAZIONALE DI HTA

In questo paragrafo si affronta il tema della definizione di un Modello di Governance e della metodologia di lavoro che dovrebbe avere un’Agenzia Nazionale di Hta. In particolare, è complesso definire un’analisi/valutazione della tecnologia e di Governance di un ecosistema per l’Hta nel contesto nazionale se non è ben chiaro cosa vi sia intorno, quale è il contesto in cui si opera. Nel sistema costituzionale ed istituzionale italiano la governance a livello nazionale potrebbe prevedere sia la soluzione di un’Agenzia che di una Autorità. In ogni caso sareb-

be importante tutelare la “indipendenza tecnica” dell’istituzione e la sufficiente continuità della sua direzione.

Da qui l’importanza del concetto di ecosistema. Il termine ecosistema richiede l’esistenza di una pluralità di attori, di un certo livello di eterogeneità in termini di natura, ruoli e competenze degli attori stessi, e di un equilibrio tra le parti in tutte le fasi di assessment e appraisal. In questo senso, chi fa parte dell’ecosistema, deve agire nell’interesse dell’ecosistema stesso e dei suoi equilibri. L’ecosistema necessita di un coordinamento al fine di evitare duplicazioni e di indirizzare le azioni di tutti gli attori, combinando gli sforzi individuali e creando sinergie tra di essi così da raggiungere gli obiettivi prefissati nel modo più efficace possibile. Particolare attenzione va riservata allo stakeholder cittadino/paziente/caregiver, alle società scientifiche e all’industria. Il cittadino/paziente/caregiver riveste il ruolo plurimo e differenziato di portatore di interessi della comunità, contribuente, fruitore del servizio, portatore di patient evidence, valutatore di outcome. Le società scientifiche e associazioni/ordini professionali possono fornire le migliori ed aggiornate competenze in fase di valutazione e supportare la diffusione capillare e la comprensione corretta dei report prodotti. L’industria si propone come portatore di innovazione tecnologia e metodologie di supporto alla generazione e alla valutazione delle evidenze in ottica “Value Based”. Come largamente dibattuto, ci saranno 3 livelli principali (e quindi 3 livelli di strutture): quello centrale (Agenzia), quello regionale (unità regionali) e quello locale (unità ospedaliere). A queste si affiancheranno altre Istituzioni come Aifa, Iss ed Agenas a livello centrale, e gli uffici di Hta a livello sia regionale sia eventualmente delle singole strutture sanitarie. Dalla mappatura delle relazioni tra i suddetti soggetti, emergono criticità che portano alla seconda tematica e quindi alla definizione della metodologia di lavoro. Si rende necessario l’utilizzo di metodologie multidisciplinari e multidimensionali che devono essere chiare e condivise. I metodi da adottare dovrebbero essere quelli già consolidati anche a livello internazionale. Tuttavia, tali metodi spesso sono poco seguiti oppure interpretati con discrezionalità e adottati in forme poco omogenee tra loro. L’Agenzia indicherà, al proponente, il metodo valido per il raggiungimento dell’obiettivo (es. corretto tipo di analisi economica, corretta dimensione del dato epidemiologico, modalità patient reported outcome) con eventuale supporto dei centri collaborativi. La problematica dei metodi va di pari passo con dei dati disponibili che sono molto frammentati. Ci deve essere condivisione dei dati ed armonizzazione dei database (i database devono dialogare tra loro e i sistemi informativi ed informatici -amministrativi e clinici- devono essere interoperabili) in modo da superare la disponibilità frammentata sul territorio dei dati stessi (superare i silos organizzativi

e centrare sui cittadini/pazienti), l'utilizzo dei dati in modalità disomogenee, oltre ai problemi di natura giuridica ed organizzativa. L'Agenzia deve fare da collettore e coordinatore dei dati, senza trascurare l'interoperabilità dei sistemi informativi e informatici, sia amministrativi che clinici. A livello centrale occorre stabilire delle Linee Guida da condividere con l'intero Ecosistema, anche grazie alla costituzione di uffici per "regolare" specifici argomenti (ad es. divisione tra farmaci e dispositivi medici). Avere maggior condivisione in termini di metodologie e dati non vuol dire generare soltanto sforzi e report più omogenei tra loro, ma anche avere degli strumenti e un piano di azione ben definiti che consentono maggior tempestività di intervento. Nell'Ecosistema Hta, i Centri Collaborativi devono avere funzione di collegamento e di supporto a livello regionale e locale, ovvero dove c'è maggior disomogeneità nella raccolta dei dati e nella produzione dei report, anche a causa delle disuguaglianze. Tra i Centri Collaborativi ci sono prevalentemente centri universitari, centri di ricerca, associazioni di pazienti, che però abbiano un background verificabile di esperienza nel settore tramite curriculum e siano coordinati in termini di priorità. Una rete di Hta Doers diffusa per essere funzionale al sistema, è opportuno che condivida un processo di priority setting. Inoltre, la produzione di Hta a livello di centri collaborativi necessita di una condivisione dell'impostazione della valutazione con i decisori centrali, regionali e con gli utilizzatori dell'Hta, e dello scoping dei report con stakeholders e decisori.

Altro punto è il coinvolgimento dei rappresentanti delle regioni a livello centrale. Per l'operatività dell'Agenzia Nazionale è importante che i rappresentanti regionali abbiano una forte delega decisionale, per meglio trasferire a livello regionale e eventualmente locale le decisioni assunte.

Per quanto riguarda il finanziamento, la principale fonte dovrà sicuramente essere di tipo pubblico, quindi lo Stato dovrà mettere a disposizione le risorse per il progetto attraverso un finanziamento pubblico diretto (costituzione di un fondo ad hoc per finanziare l'Agenzia).

A questo si potranno affiancare forme di finanziamento privato, dichiarate e condivise, a fronte di risultati utili e tangibili e di un ritorno immediato. Una possibilità potrebbe essere, ad esempio, quella di correlare il processo di valutazione di una tecnologia sanitaria (che sia essa una terapia farmacologica o un dispositivo medico) ad un sistema prestabilito di tariffazione (va quindi considerata la possibilità di istituzione dello stesso), differenziato per livello di valutazione adottato e per tipo di tecnologia studiato. Ulteriori finanziamenti privati potranno arrivare da chiunque abbia interesse, come associazioni di pazienti e cittadini (non in forma di tassazione ma 5x1000).

EVIDENCE GENERATION A SUPPORTO DELLE VALUTAZIONI DI HTA DELL'AGENZIA NAZIONALE DI HTA

Nell'ambito della generazione di evidenze a supporto delle valutazioni Hta è necessario valutare le evidenze dal punto di vista del valore, della "robustezza" e del metodo con cui sono generate. Su questo punto vengono individuate due principali criticità. La prima riguardante la scarsità di evidenze multidimensionali. La seconda riguardante la difformità nei metodi di "evidence generation". Inoltre, come è ben noto, vi è un'intrinseca difformità in termini di "evidenze necessarie/ richieste" tra il mondo del farmaco e quello del dispositivo medico, senza considerare altri tipi di "tecnologie sanitarie" quali eHealth, Pdta, biotecnologie o quelle legate a politiche di sanità pubblica (prevenzione, screening, igiene ecc.) e questo si riflette anche sul tema dei Rwe. Un altro punto cruciale individuato riguarda i ruoli e le responsabilità delle organizzazioni sanitarie coinvolte nei processi decisionali. In tale contesto si verifica una situazione di centralizzazione vs decentramento delle decisioni, il che potrebbe portare al rischio di limitare l'innovazione o a far proliferare tecnologie sanitarie che non incontrano bisogni sanitari inespressi. Una possibile soluzione a questa situazione potrebbe essere rappresentata dal fatto di affidare l'adozione di nuove tecnologie sanitarie a centri selezionati. Un altro tema molto rilevante è rappresentato dalla disponibilità e l'accesso ai dati (dati ospedalieri, i dati inerenti al fascicolo sanitario elettronico, i dati amministrativi cross-silos - sanitari, sociali, territoriali, sociodemografici, assicurativi e ambientali). Sull'accesso a tali dati, è necessario però prendere in considerazione delle criticità quali il tema della privacy e la sicurezza. Relativamente alla validità dei dati Rwe è importante privilegiare gli studi prospettici; inoltre, si ritiene di fondamentale importanza specificare la policy question e gli outcome di interesse nella fase di disegno dello studio. È necessario altresì implementare un protocollo di norme di buona pratica della ricerca clinica e valutare un possibile co-design con i principali stakeholder (produttore, cittadino, pazienti, Sistema Sanitario, Società Scientifiche). Sarebbe inoltre auspicabile la creazione di una rete di servizi regionali che raccolgono i dati sotto coordinamento di centri collaborativi per la raccolta di dati clinici amministrativi e centri operativi a cui verrebbe assegnato il ruolo di "sperimentatore" per la raccolta in "corso d'uso". Alla base dell'utilizzo di Rwe ci dovrebbe essere per prima cosa un processo di prioritizzazione delle tecnologie da valutare (innovazione e disinvestimento) ed una valutazione multidimensionale, coerente con l'approccio Hta, che mira alla valutazione dell'impatto clinico, sociale, economico, organizzativo e di valutazione delle evidenze disponibili. In tale contesto, si dovrebbe dare

maggior peso ai dati inerenti al reale esito sul paziente (Prom), utilizzando metodi specifici per l'assessment di tali dati. Infine, una possibile soluzione per implementare un sistema per utilizzare i Rwe superando le problematiche intrinseche esistenti potrebbe essere rappresentato dal creare appositi tool per omogenizzare i dati e renderli fruibili; creare un framework per la valutazione del Valore del dato e trovare dei meccanismi volti ad incentivare la generazione di Rwe. In conclusione, si ipotizzano gli eventuali elementi caratterizzanti un'Agenzia che si occuperebbe di raccogliere e gestire questi dati.

Tra gli elementi dell'Agenzia ritroviamo:

- Capacità professionale;
- Interlocutore di raccordo tra Azienda Servizio Sanitario Cittadino, Comunità scientifica;
- Autorizzazione al Trattamento dei Dati;
- Fulcro di un Network di ricerca i cui elementi rispondono a criteri predefiniti;
- Inserita nei Network internazionali.

Tra le azioni che quest'Agenzia dovrebbe svolgere ritroviamo:

- Generazione di studi e rispondere alle richieste del Sistema;
- Prioritizzazione;
- Disegno degli Studi;
- Commissione di Studi a centro di riferimento;
- Definire i criteri di competenza per l'introduzione condizionata di innovazioni;
- Capacità di sintesi e armonizzazione delle valutazioni commissionate.

Infine, tra le criticità ritroviamo:

- Step di avvio dell'Agenzia;
- Sovrapposizione potenziale di ruoli;
- Corretto dimensionamento.

CONCLUSIONI

L'Hta rappresenta lo strumento più adatto a supporto del Ssn per migliorare l'erogazione delle cure, gestire in modo ottimale le risorse economiche e promuovere la diffusione nella pratica clinica di tecnologie efficaci.

Nonostante quanto auspicato nel Patto per la Salute, ad oggi l'architettura del sistema Hta in Italia mostra alcune criticità legate alla frammentazione delle re-

sponsabilità e delle competenze. Questo potrebbe comportare un'elevata disomogeneità nei report prodotti e una scarsa tempestività nella produzione delle valutazioni.

L'istituzione di un'Agenzia Nazionale di Hta potrebbe promuovere l'utilizzo di metodi di valutazione basati sulle logiche Hta, ampiamente condivisi nella comunità scientifica, in modo da garantire il governo dell'innovazione riducendo quindi le possibilità di accesso dei pazienti a prestazioni non efficaci.

In questa edizione dell'Health Policy Forum, i membri sono stati ingaggiati in una riflessione multidisciplinare e multistakeholder atta a definire la struttura organizzativa, la governance e la metodologia di lavoro di un organo centrale dedicato a svolgere attività di Hta.

Il primo gruppo di lavoro, nel delineare le attività che deve svolgere un'Agenzia Nazionale di Hta, ha evidenziato l'importanza di considerare il contributo fornito dalla Cabina di Regia nell'ambito del Piano Nazionale Hta. Secondo il Gruppo di lavoro l'Agenzia Nazionale di Hta ha funzione di coordinamento delle strutture regionali e ospedaliere che svolgono attività di Hta e che le attività che devono essere svolte a livello centrale riguardano la valutazione dei farmaci, dei dispositivi medici e delle procedure e spaziano dalla prioritizzazione delle richieste di valutazione, alla produzione di report di interesse nazionale, fino al monitoraggio dell'implementazione delle raccomandazioni.

Il secondo gruppo ha evidenziato che per definire un modello di governance è necessario realizzare un'analisi di contesto al fine fornire una visione integrata del contesto in cui l'Agenzia deve lavorare. Inoltre, un modello di governance, per garantire un governo efficace ed efficiente, deve prevedere delle attività di coordinamento e creare delle sinergie tra tutti gli attori in modo da raggiungere gli obiettivi prefissati. Secondo il gruppo di lavoro, particolare attenzione va riservata allo stakeholder cittadino/paziente/caregiver, alle società scientifiche e all'industria. Per quanto riguarda la metodologia di lavoro dell'Agenzia, il gruppo di lavoro auspica l'utilizzo di metodologie multidisciplinari e multidimensionali e che devono essere chiare e condivise. I metodi da adottare dovrebbero essere quelli consolidati anche a livello internazionale. Infine, nel definire le modalità di finanziamento, il gruppo di lavoro indica che la principale fonte dovrà sicuramente essere di tipo pubblico, a cui si potranno affiancare forme di finanziamento privato, dichiarate e condivise.

Infine, il terzo gruppo di lavoro nel definire come l'Evidence generation possa supportare le valutazioni di Hta prodotte dall'Agenzia Nazionale di Hta, ha indicato che è necessario valutare le evidenze dal punto di vista del valore, della "forza"

e del metodo con cui sono generate. Un altro tema molto discusso dal gruppo è rappresentato dalla disponibilità e dall'accesso ai dati e il ruolo dell'Agenzia potrebbe essere quello di fare da collettore e coordinatore dei dati, senza trascurare l'interoperabilità dei sistemi informativi e informatici, sia amministrativi che clinici. Sarebbe, inoltre, auspicabile la creazione di una rete di servizi regionali che raccolgono i dati per la raccolta di dati clinici amministrativi e centri operativi a cui verrebbe assegnato il ruolo di "sperimentatore" per la raccolta in "corso d'uso".

BIBLIOGRAFIA

- *Cabina di Regia/Tavolo Innovazione – Programma Nazionale di Hta Dispositivi Medici Gruppo di lavoro 2 Sotto Gruppo 1 (SG1) – GDL2 “Metodi, Formazione e Comunicazione”. Disponibile on line all'indirizzo http://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2855_ulterioriallegati_ulterioreallegato_0_alleg.pdf. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Cabina di Regia/Tavolo Innovazione – Programma Nazionale di Hta Dispositivi Medici Gruppo di lavoro 2 Sotto Gruppo 5 (SG5) – GDL2 “Metodi, Formazione e Comunicazione”. Disponibile on line all'indirizzo http://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2855_ulterioriallegati_ulterioreallegato_0_alleg.pdf. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Corrao G, Mugelli A, Rossi F, Lanati LP, Real World Data e Real World Evidence: Considerazioni e proposte da un network di società scientifiche. Disponibile on line all'indirizzo https://www.fadoi.org/sdm_downloads/real-world-data-real-world-evidence-considerazioni-proposte-un-network-societa-scientifiche/. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Ferrè F, Bettelli C, Torbica A, Breve rassegna dei modelli di governance e l'uso dell'Hta in Europa. 2017 Oortwijn W. Real-world evidence in the context of health technology assessment processes – from theory to action. 2019. Brochure informativa dell'HTAi Global Policy Forum*
- *Position Paper della Sihta. Per un sistema italiano di Health Technology Assessment (Hta) 2020. Disponibile on line all'indirizzo <https://www.sihta.it/web/position-paper-sihta/>. Ultimo accesso 02/09/2020*
- *Wild C, Stricka M, Patera N, Guidance for the development of a National Hta-strategy, Health Policy and Technology, Volume 6, Issue 3, 2017, ISSN 2211-8837, <https://doi.org/10.1016/j.hlpt.2017.06.006>*
- *Use of real-world evidence in single-drug assessments. Ottawa: CADTH; 2018 (Environmental scan; no. 74)*

HEALTH POLICY FORUM



www.sihta.it