



Farmaci e Regolamento Europeo Hta

Il nuovo Regolamento riconosce l'esistenza di numerose criticità legate alle modalità di produzione e utilizzo delle valutazioni congiunte. **Il ruolo degli Sviluppatori nel panorama Istituzionale Nazionale e Comunitario**

di ANNA PONZIANELLI, NICOLÒ BENDINELLI

Nel corso di questi ultimi mesi, la discussione inerente l'implementazione del Regolamento (Ue) 2021/2282 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie sta acquisendo centralità nelle discussioni sui numerosi tavoli tecnici ed istituzionali del settore

farmaceutico e biomedicale. Gli stakeholder di tutta la filiera, le aziende farmaceutiche, a seguito del regolamento definite oggi, anche in maniera più compiuta, sviluppatori di tecnologie, insieme al mondo dell'accademia, società scientifiche, associazioni pazienti ed enti valutatori, sono impegnati

in un confronto aperto che mira a promuovere in primis un linguaggio comune e a predisporre processi aggiornati capaci di garantire l'introduzione e utilizzo adeguato delle tecnologie sanitarie derivanti dai processi di ricerca e sviluppo. **Sebbene le attività di Horizon Scanning Joint Scien-**

tific Consultation e Joint Clinical Assessment, siano state abbondantemente descritte ed esplicitate all'interno di linee guida metodologiche confezionate ad hoc, molte sono le aree grigie che dovranno essere indirizzate prima del 2025: momento in cui tutto prenderà corpo. L'i-

dea di partire da Terapie Avanzate e farmaci oncologici risponde sia ad una logica di urgenza ma anche alla possibilità di valutare prioritariamente tecnologie già oggetto di iniziative quali il programma Prime e procedure dedicate a garantire un supporto alla generazione di evidenze in risposta a importanti bisogni di salute. In un orizzonte temporale che si estende al 2030, questo metodo di lavoro e valutazione congiunta riguarderà tutte le specialità medicinali, partendo dai farmaci orfani fino a comprendere ambiti più ampi tra cui acuzie e cronicità.

Il comparto industriale quale bacino di sviluppatori oltre ad aver partecipato alla fase di consultazione pubblica coordinata da EUnetHTA, ha tempestivamente avviato riflessioni strategiche funzionali a creare una previsione degli impatti del Regolamento sui piani di sviluppo in essere. Contestualmente, con l'obiettivo di indirizzare iniziative e sensibilità di questa fase di transizione 2023-2025, i cosiddetti developer, sono impegnati in un confronto trasversale non ancora strutturato con le Istituzioni Aifa, Agenas,

Ministero della Salute e non solo, anche con Accademia e rappresentanti dei pazienti, riguardo gli aspetti che maggiormente possono minare la bontà di un processo valutativo destinato ad evolvere in maniera significativa. **A distanza di oltre un anno dal dicembre 2021, data di adozione del Regolamento, molto è stato detto riguardo l'inefficienza del precedente modello di cooperazione fra gli Stati Membri in tema di valutazioni congiunte.** In tal senso è opportuno ricordare come negli ultimi 5 anni EUnetHTA ha prodotto e disseminato numerosi report di Relative Effectiveness Assessment, complementari alla valutazione assoluta condotta dall'Agenzia Europea dei Medicinali Ema, non sempre puntuali in termini di tempistiche e rigore metodologico. Tale modello collaborativo, sviluppatosi

sulla base della Direttiva Ue 2011/2024 e su documenti di indirizzo in continua evoluzione elaborati dalla stessa EUnetHTA, è risultato più volte incapace di impedire il proliferare di duplicazioni, ritardi e distorsioni nelle valutazioni. Il testo del nuovo Regolamento riconosce l'esistenza di numerose criticità legate alle modalità di produzione e utilizzo delle valutazioni congiunte sia dal punto di vista metodologico che prettamente operativo e procedurale.

La richiesta più ricorrente è quella di una maggiore certezza rispetto alle tempistiche di rilascio dei report delle valutazioni e, ancora prima, rispetto alle tempistiche con cui lo sviluppatore viene ad essere informato rispetto al perimetro della stessa. La discussione in proposito, oltre ad aver toccato il tema della scelta degli endpoint

più adeguati, dei comparatori e delle evidenze dal punto di vista qualitativo ha fatto emergere come non tutte le aziende potrebbero risultare pronte a muoversi senza difficoltà in questo scenario; specialmente nei casi in cui vengano ad essere richieste analisi capillari su scenari di posizionamento in terapia molteplici.

La richiesta avanzata con maggiore enfasi dalle aziende farmaceutiche riguarda le tempistiche necessarie per confezionare un dossier specifico in risposta al posizionamento in terapia votato dagli Stati Membri. Il livello di dettaglio ad oggi preventivato, insieme ai soli 45 giorni disponibili, potrebbero non risultare compatibili con la possibilità oggettiva di fornire evidenze ulteriori rispetto a quelle raccolte negli studi registrativi. **L'augurio per i prossimi due anni è senza dubbio quello di ridurre il numero di aree grigie tracciate all'interno dello stesso regolamento, legate alle modalità di produzione e utilizzo delle valutazioni congiunte sia dal punto di vista metodologico sia relativamente agli utilizzi delle stesse all'interno dei processi di Appraisal Nazionale e Regionale.**



“RIDURRE IL NUMERO DI AREE GRIGIE TRACCIAE DAL REGOLAMENTO, LEGATE ALLE MODALITÀ DI PRODUZIONE E UTILIZZO DELLE VALUTAZIONI CONGIUNTE”