



Introduzione al Programma nazionale Health Technology Assessment (PNHTA 2023-2025)

A seguito dell'Intesa Stato-Regioni del 10 maggio 2023 - Rep. n. 101/CSR, il 5 settembre 2023 è stato pubblicato in Gazzetta Ufficiale il Decreto del Ministro della Salute che adotta il nuovo Programma Nazionale di Health Technology Assessment 2023-2025 (PNHTA).

Il PNHTA disegna un nuovo modello di governance dei dispositivi medici prevedendo la creazione di un ecosistema integrato di HTA a tutti i livelli decisionali del SSN, nazionale, regionale e aziendale per garantire che le risorse sanitarie siano allocate in modo efficace ed efficiente, promuovendo al contempo un accesso equo alle tecnologie sanitarie e un miglioramento nella qualità delle cure fornite ai pazienti.

Il processo di valutazione all'interno del PNHTA segue una sequenza di diverse fasi operative, dall'identificazione delle nuove tecnologie sanitarie prioritarie, alla valutazione e all'implementazione degli esiti HTA che assicurano un'analisi sistematica e completa.

Ad oggi, non è chiaro se l'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (AGENAS) abbia prodotto alcun report HTA nell'ambito delle attività previste dal PNHTA dispositivi medici 2023-2025 oppure se il recente report di HTA dedicato ai sistemi di chirurgia robotica applicati alla chirurgia generale, ginecologica e urologica sia riconducibile a diversi ambiti di collaborazione tra AGENAS e il Ministero della Salute.

Rete degli Stakeholder

In linea con il nuovo Regolamento HTA (UE) 2021/2282 che ha previsto la creazione di uno Stakeholder Network a livello europeo, AGENAS, sulla base di quanto previsto dal PNHTA dispositivi medici 2023-2025, ha istituito la Rete degli Stakeholder.

La rete ha la finalità di facilitare il dialogo con le diverse categorie di portatori di interesse e supportare, su richiesta, le attività del PNHTA. Le organizzazioni che fanno parte del network sono 44, rappresentative di varie categorie: società scientifiche e professionali, associazioni pazienti, cittadini e consumatori e altre organizzazioni e federazioni attive in campo sanitario.

Fondo per il governo dei dispositivi medici

Le aziende produttrici di dispositivi medici sono state chiamate a contribuire in maniera significativa all'implementazione del Piano Nazionale di HTA attraverso il versamento dello 0,75% del proprio fatturato in un fondo dedicato alla governance dei dispositivi medici.

Le aziende stanno facendo la loro parte, sostenendo costi per supportare la creazione di un ecosistema di valutazione delle tecnologie virtuoso ed efficiente, è indispensabile quindi certezza e trasparenza dei processi, perché solo così sarà possibile giustificare l'investimento e generare ricadute positive in termini di sostenibilità del sistema e di accesso dei pazienti all'innovazione

A fronte di questo impegno, riteniamo essenziale che:

- le risorse raccolte vengano allocate in modo efficiente e trasparente;
- siano garantite tempistiche certe e prevedibili nelle valutazioni HTA;
- gli esiti positivi delle valutazioni abbiano un effetto chiaro e diretto sui meccanismi di inserimento nei LEA e sulle tariffe di rimborso.

Proposte del comparto

1) Sviluppo di un framework di valutazione adeguato alle caratteristiche delle tecnologie diagnostiche

L'HTA mira a fornire trasparenza, coerenza, metodologie chiare e requisiti di evidenze a beneficio di tutti gli stakeholder: decisori, produttori, pazienti e caregiver. **Per i decisori sanitari**, l'HTA permette decisioni informate per garantire ai pazienti un accesso ampio, rapido e sostenibile alle innovazioni. **Per i produttori**, l'HTA stabilisce degli standard, incentivando investimenti strategici in evidenze di alta qualità. **Per i pazienti**, l'HTA incorpora fattori non clinici e promuove interventi precoci, come la prevenzione, la diagnosi precoce o la prognosi, che offrono notevoli benefici a lungo termine.

Dato il ruolo essenziale della diagnostica nel processo decisionale clinico e di sanità pubblica, c'è un crescente interesse nel perfezionare i metodi per quantificare il valore che essa offre ai pazienti e ai sistemi sanitari, rappresentando una potente leva per migliorare sia l'assistenza sanitaria che l'efficienza. **L'applicazione delle metodologie HTA alla diagnostica non può adottare un approccio "unico"**. Ciò è dovuto principalmente a diverse caratteristiche uniche che differenziano la diagnostica da altre tecnologie sanitarie:

1. Eterogeneità della diagnostica: la presenza di molteplici tecnologie sanitarie innovative all'anno presenta complesse sfide di valutazione

2. Cicli di innovazione più brevi, in particolare per i dispositivi medici digitali: la protezione della proprietà intellettuale relativamente breve limitano l'applicazione pratica di requisiti HTA rigidi, simili a quelli del settore farmaceutico
3. Ricavi e margini di profitto inferiori della diagnostica rispetto ai prodotti farmaceutici: ciò si traduce in minori risorse finanziarie per lo sviluppo di evidenze
4. Influenza indiretta sui risultati per il paziente: il fatto di informare le decisioni terapeutiche richiede un ambito di valutazione che vada oltre la diagnostica stessa

Di conseguenza, l'HTA per la diagnostica deve promuovere un ambiente che incentivi un'innovazione diagnostica sostenibile, rifletta le dinamiche del mercato e garantisca un accesso tempestivo dei pazienti a nuovi strumenti diagnostici. Dovrebbe quindi essere "adeguata allo scopo" e pragmatica.

Le metodologie HTA e i requisiti di evidenze dovrebbero essere adattati allo specifico strumento diagnostico e al suo uso previsto (ad es. valutazione del rischio, screening, diagnosi, selezione del trattamento, monitoraggio). Ciò garantisce che gli **investimenti delle agenzie HTA e dei produttori in valutazioni e generazione di evidenze siano proporzionati al valore aggiunto dell'HTA nel processo decisionale.**

2) Maggiore trasparenza su capacità valutativa annuale, tempistiche, criteri di prioritizzazione, processo e conseguenze delle valutazioni

L'HTA richiede un importante impiego di risorse sia per i valutatori che per i produttori. Ogni anno emerge un numero significativo di nuove tecnologie sanitarie, inclusi i diagnostici, ma la capacità di valutazione rimane limitata. Di conseguenza, l'allocazione efficiente delle risorse per condurre un HTA è di primaria importanza.

È auspicabile che **Agenas definisca in modo trasparente la sua capacità valutativa annuale**, stabilendo un numero minimo e realistico di tecnologie sanitarie che verranno sottoposte a valutazione HTA, permettendo così una migliore pianificazione per tutti gli stakeholder, dall'industria ai centri di ricerca, fino alle istituzioni sanitarie.

È altresì fondamentale che il **processo di valutazione sia vincolato a tempistiche ben definite** con un cronoprogramma pubblicamente disponibile per ciascuna valutazione. Rendere i **processi di valutazione visibili** è una garanzia di trasparenza e per ogni tecnologia in fase di valutazione dovrebbe essere possibile monitorare:

1. La data di avvio del processo di valutazione
2. L'ente o il Centro Collaborativo a cui è stata affidata la valutazione
3. Lo stato di avanzamento attuale della valutazione
4. La data prevista per la conclusione

Le tecnologie sanitarie che più probabilmente beneficeranno dell'HTA sono quelle che rispondono a bisogni significativi insoddisfatti, dimostrano un potenziale trasformativo e promettono un impatto positivo importante sui pazienti, sulla sanità pubblica e sul sistema sanitario.

Criteri di prioritizzazione chiari garantiscono che le tecnologie più promettenti e necessarie per il Servizio Sanitario Nazionale siano effettivamente valutate. Ciò consente ai produttori di pianificare in modo ottimale le proprie strategie di generazione di evidenze e alle agenzie HTA di beneficiare della disponibilità delle evidenze giuste nella fase di valutazione. **Questo allineamento tra generazione di evidenze ed esigenze di valutazione rende in definitiva le HTA più brevi ed efficienti.**

A conclusione delle valutazioni, **i report finali devono essere resi pubblici e le relative raccomandazioni, se favorevoli, devono essere direttamente collegate all'inserimento nei Livelli Essenziali di Assistenza e alle conseguenti decisioni di rimborso e acquisto da parte delle strutture sanitarie.** Rafforzare e rendere più chiaro questo legame è essenziale per ottimizzare l'allocazione delle risorse e facilitare un accesso tempestivo dei pazienti alle valide innovazioni diagnostiche, creando così un impatto tangibile all'interno del sistema sanitario.

3) Crescente applicazione dei principi HTA alle tecnologie diagnostiche

La diagnostica comprende una vasta gamma di tecnologie e può essere utilizzata in vitro o come dispositivi medici (incluso il Software as Medical Device - SaMD). Il loro utilizzo spazia dallo screening, al triage, alla diagnosi, alla selezione e previsione del trattamento, al monitoraggio e alla prognosi, con una vasta gamma di utilizzatori, come pazienti, medici, infermieri e tecnici.

I diagnostici in vitro influenzano fino al 70% delle decisioni cliniche, pur rappresentando solo il 3-5% della spesa sanitaria totale, sottolineando l'impatto sproporzionato che hanno sulla cura del paziente rispetto al loro costo. Grazie alle informazioni fornite dalla diagnostica, i pazienti acquisiscono maggiore certezza riguardo alla propria condizione e alle opzioni di trattamento, e i professionisti sanitari possono formulare raccomandazioni terapeutiche più precise, migliorando i risultati per il paziente, evitando interventi non necessari e facilitando un monitoraggio e una gestione continua della salute.

La complessità delle tecnologie diagnostiche e il loro ruolo cruciale evidenziano la necessità di una maggiore applicazione del HTA. Tale approccio supporta l'innovazione e accelera l'adozione estesa di quelle tecnologie con il maggiore potenziale clinico, garantendo che i pazienti possano beneficiare delle soluzioni più efficaci e sicure.

Il coinvolgimento attivo e la consultazione delle aziende produttrici durante tutto il processo decisionale dell'HTA sono cruciali per fornire approfondimenti essenziali sulle caratteristiche uniche della diagnostica, garantendo valutazioni accurate. Questa collaborazione offre un contesto critico sulla natura della tecnologia e sulle sue implicazioni per la generazione di evidenze, facilita un feedback dettagliato sui dati disponibili e sulle lacune identificate e chiarisce eventuali ambiguità nei dati. Questo quadro cooperativo garantisce che le decisioni HTA si basino su una comprensione approfondita e precisa della diagnostica e della sua proposta di valore.

Considerazioni ulteriori

- Rispetto agli scopi del documento, riteniamo (a fronte di un PNHTA Agenas 2023-2025 disatteso rispetto agli obiettivi auto-dichiarati):
 - Prioritario (de minimis) portare le istanze di una scheda di segnalazione più semplificata (per le tecnologie diagnostiche), così come una timeline dichiarata per il successivo HTA, nel caso in cui la tecnologia venga prioritizzata e quindi sottoposta a valutazione
 - Meno prioritario, ma in ogni caso rilevante, porre il tema di quale sarebbe l'effetto delle valutazioni una volta prodotte (impatto su adozione, eventuali automatismi su rimborsi LEA)
- Riteniamo necessario e doveroso un opportuno coinvolgimento delle aziende produttrici nel processo
- In un'Europa che ora sta virando, per il farmaco, sul Joint Clinical Assessment (incluso quindi HTA), occorre anche – per DM e tecnologie di diagnostica – essere consci di quali potrebbero essere l'effetto internazionale di valutazioni inizialmente non positive per nuove tecnologie in nuce che non hanno ancora evidenze pubblicate a sufficienza per ottenere un livello soddisfacente di HTA