



I Servizi Sanitari Regionali ed Enti del Terzo Settore: Co-programmazione e Co-progettazione per garantire accessibilità e vicinanza alle cure

Giorgio Lorenzo Colombo

Università degli Studi di Pavia, Dip.to Scienze del Farmaco

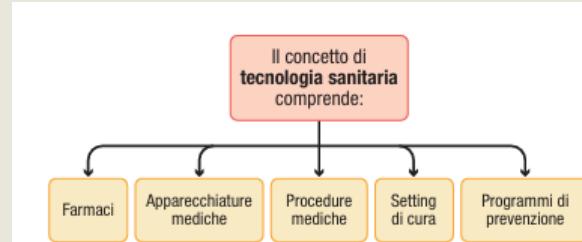


Argomenti in discussione

- Ruolo e funzione dell'HTA
 - Le diverse fasi del processo di HTA
- I pazienti nel processo di HTA:
 - quale ruolo?
 - importanza del coinvolgimento
- Analisi comparativa e quantitativa della partecipazione dei pazienti nei sistemi di HTA a livello mondiale
- Come emerge il ruolo dell'Italia?
 - Perché l'Italia ottiene punteggi così bassi?
 - Raccomandazioni per migliorare
- Discussione e conclusioni

Ruolo e funzione dell'HTA

- L'Health Technology Assessment (HTA) è una **valutazione multidisciplinare** delle conseguenze dirette e indirette, a breve e a lungo termine delle **tecnologie sanitarie** con lo scopo di migliorarne la qualità, i benefici clinici e organizzativi

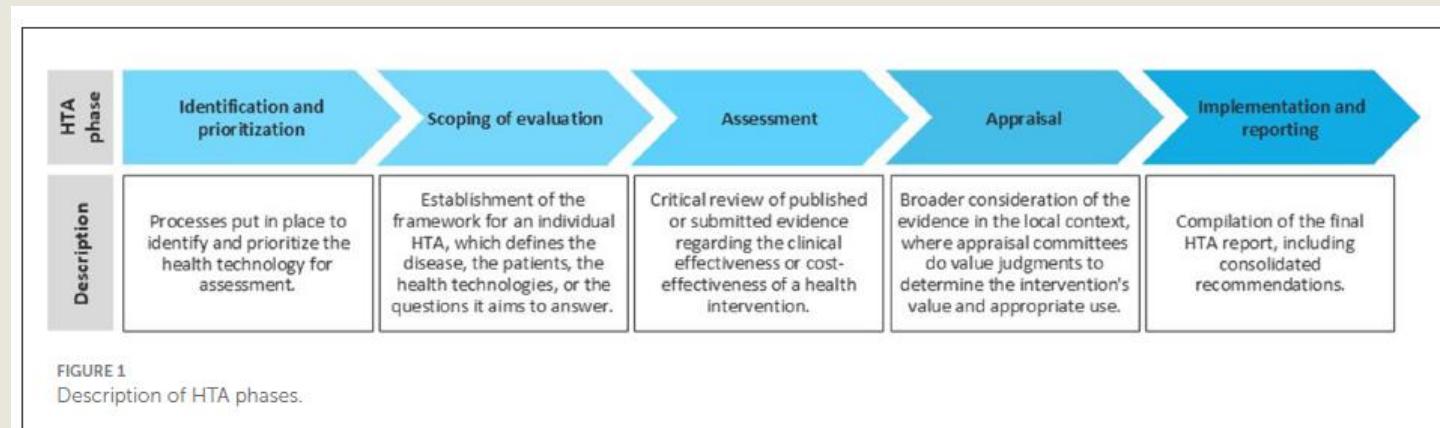


- L'HTA supporta decisioni *evidence-based*, prevenendo l'erogazione di prestazioni inefficaci o superflue
- Consente di contenere la spesa sanitaria pubblica
- Fornisce ai *decision makers* informazioni su impatti e conseguenze dell'introduzione o modifica di una tecnologia sanitaria
- Promuove un processo **decisionale, sistematico e trasparente**, basato su evidenze oggettive

Le diverse fasi del processo di HTA

Le **fasi del processo HTA** secondo la classificazione di Goodman et al 2004, per mappare la partecipazione dei pazienti in modo strutturato e comparabile. Le fasi sono cinque:

- **Identificazione e prioritizzazione delle tecnologie**
- **Scoping dell'assessment** (definizione del perimetro valutativo)
- **Assessment** (valutazione clinica, economica e organizzativa)
- **Appraisal** (deliberazione e giudizio di valore)
- **Implementation & reporting** (decisione finale, comunicazione, monitoraggio)



Source: Puebla et al, A Public Health, Volume 13 - 2025

La fase dell'Assessment in HTA: valutazione clinica, economica e organizzativa

Il processo di HTA consiste nella valutazione delle tecnologie mediche, incluso procedure, attrezzature e medicinali.

Tale valutazione richiede analisi approfondite relative alla **sicurezza, all'efficacia, ai costi, ai benefici, all'efficacia** comprendendo in questa anche gli effetti sulla **qualità della vita del paziente**.

L'HTA considera **l'efficacia, l'appropriatezza, il costo** delle tecnologie rispondendo a 4 domande:

1. La tecnologia funziona?
2. Per chi funziona?
3. A quale costo?
4. Come si relaziona con le altre alternative?

È un'analisi strutturata delle tecnologie sanitarie, svolta allo scopo di fornire input per ciò che riguarda la decisioni sulle linee di condotta da seguire.



Pazienti nel processo di HTA: quale ruolo

- I pazienti coinvolti nei progetti di Health Technology Assessment (HTA) svolgono un ruolo fondamentale nel processo decisionale, contribuendo con le loro esperienze e prospettive uniche. Ecco alcuni aspetti chiave del loro coinvolgimento
- Ruolo dei Pazienti in HTA:
 - **Contributo Unico:**
 - I pazienti forniscono informazioni essenziali sull'impatto delle malattie e dei trattamenti sulla loro vita quotidiana, che non sono disponibili altrove. Questo aiuta a superare supposizioni sui desideri relativi alla salute e a informare i processi di HTA sui potenziali effetti positivi o negativi delle tecnologie sanitarie
 - **Governance e Partecipazione:**
 - Oltre al processo di singola HTA, i pazienti hanno ruoli importanti nella governance degli organismi di HTA. Possono presentare esperienze e storie che influenzano l'analisi dei dati
 - **Valutazioni Cliniche Congiunte:**
 - Con il nuovo Regolamento HTA, i pazienti sono parte attiva delle valutazioni cliniche congiunte a livello europeo, fornendo informazioni preziose sull'impatto delle malattie e sulle aspettative per nuove tecnologie

Pazienti nel processo di HTA: importanza del coinvolgimento

- **Equità e Imparzialità:**
 - Il coinvolgimento dei pazienti contribuisce all'equità, cercando di comprendere i diversi bisogni dei pazienti e garantendo che abbiano gli stessi diritti nel processo decisionale
- **Formazione e Supporto:**
 - È necessario fornire formazione e supporto ai pazienti affinché possano contribuire efficacemente all'HTA.
 - I processi di coinvolgimento devono essere regolarmente valutati e migliorati
- **Sfide e Opportunità**
 - **Asimmetria Informativa:**
 - I pazienti spesso si sentono in una posizione subordinata rispetto agli esperti sanitari, il che richiede un aumento della fiducia e della sicurezza nel loro ruolo
 - **Nuove Opportunità:**
 - Il nuovo Regolamento HTA offre ai pazienti l'opportunità di essere coinvolti formalmente e di sentirsi protagonisti nel processo decisionale.

Benefici del coinvolgimento dei Pazienti in HTA

- **Prospettiva del Paziente:**
 - I pazienti forniscono una prospettiva unica e personale sull'impatto delle tecnologie sanitarie sulla loro vita quotidiana, contribuendo a una valutazione più completa e rappresentativa delle loro esigenze
- **Informazioni sulla Qualità della Vita:**
 - Essendo esperti della qualità della vita, i pazienti possono valutare meglio l'impatto delle diverse tecnologie sulla loro esperienza di vita con la malattia
- **Miglioramento delle Decisioni:**
 - Il loro coinvolgimento aiuta a migliorare la qualità delle decisioni, assicurando che le tecnologie sanitarie siano adatte ai bisogni reali dei pazienti
- **Governance e Trasparenza:**
 - I pazienti contribuiscono alla governance degli organismi di HTA, promuovendo processi più trasparenti e responsabili
- **Ricerca Orientata al Paziente:**
 - Il coinvolgimento dei pazienti incoraggia una ricerca più orientata alle loro esigenze, arricchendo le valutazioni con evidenze basate sulle loro esperienze
- **Valutazioni Cliniche Congiunte:**
 - Nel nuovo Regolamento HTA, i pazienti sono coinvolti nelle valutazioni cliniche congiunte a livello europeo, fornendo informazioni cruciali sull'impatto delle malattie e sulle aspettative per nuove tecnologie
- **Equità e Rappresentanza:**
 - Il loro coinvolgimento garantisce che tutti i pazienti, compresi quelli con malattie rare, siano rappresentati adeguatamente nel processo decisionale

Come e quanto i pazienti vengono coinvolti nei sistemi di HTA nel mondo

Sono stati confrontati **56 sistemi HTA in 37 Paesi**, valutando **17 variabili** che misurano se, quanto e come i pazienti sono coinvolti lungo tutte le fasi del processo HTA (identificazione dei temi, scoping, assessment, appraisal, reporting).

- **Obiettivi**
 - Valutare in modo sistematico la partecipazione dei pazienti nei sistemi HTA.
 - Confrontare diversi Paesi e identificare leader e aree di miglioramento.
 - Offrire una base metodologica per il monitoraggio futuro.
- **Metodi**
 - Sviluppo di un framework di valutazione con punteggio 0–10.
 - Pesi diversi assegnati a ciascuna attività a seconda dell'importanza (es. più alto per diritto di voto nei comitati).
 - Raccolta dati solo da fonti pubbliche: siti delle agenzie, letteratura scientifica, grey literature.
 - Ranking finale in quattro “Categorie” (dal migliore al peggiore).

Source: Puebla et al, A comparative analysis of patient participation in HTA systems worldwide: trends and practices Frontiers in Public Health, Volume 13 - 2025

1 Le 17 variabili

Le variabili coprono tutte le fasi HTA:

Variabili trasversali (3)

- iniziative di capacity building
- iniziative di autovalutazione / miglioramento
- ambito geografico (nazionale vs regionale)

Variabili nelle fasi del processo (14)

Fase 1 – Identificazione e priorità

2 I pesi assegnati (Low – Very High relevance)

Ogni variabile riceve un peso in base a tre fattori

1. Profondità dell'engagement

- simbolico → peso basso
- consultivo
- con potere/ruolo strutturale → peso molto alto

2. Influenza sul risultato HTA

- es. diritto di voto = impatto molto alto
- open consultation = impatto medio

3. Trasparenza e istituzionalizzazione

Come funziona il punteggio utilizzato per valutare la partecipazione dei pazienti nei sistemi HTA?

Source: Puebla et al, *Frontiers in Public Health*, Volume 13 - 2025

★ Classificazione finale: punteggio 0–10 + Fasce di qualità

Fascia	Intervallo di punteggio	Livello di qualità	Descrizione
Fascia 1	7.5 – 10	🌟 Molto alta	Sistemi con partecipazione molto strutturata, presente in tutte le fasi, con strumenti avanzati (comitati, diritto di voto, trasparenza).
Fascia 2	5 – 7.49	👉 Buona	Sistemi con partecipazione solida, vari meccanismi attivi e processi chiari.
Fascia 3	2.5 – 4.99	🟡 Limitata	La partecipazione dei pazienti è presente ma non sistematica, con processi parziali o poco maturi.
Fascia 4	0 – 2.49	✗ Molto bassa / assente	Sistemi con partecipazione quasi inesistente, poca trasparenza e meccanismi non formalizzati.

Confronto globale su quanto i pazienti vengono coinvolti nei sistemi di HTA

- **Risultati principali**
 - Il 92,86% dei sistemi HTA prevede qualche forma di partecipazione, ma spesso superficiale.
 - Le fasi con maggiore coinvolgimento: **assessment e appraisal**.
 - Le fasi con minor coinvolgimento: **scoping e reporting/implementation**.
- **Attività più diffuse:**
 - coinvolgimento nell'identificazione/prioritizzazione dei temi (58,9%)
 - programmi di *capacity building* (57,1%)
 - (aiutare i pazienti a partecipare davvero, fornendo formazione, strumenti, supporto e procedure chiare)
 - partecipazione a comitati di appraisal (55,4%)
- **Le attività meno diffuse:**
 - spiegare come il contributo dei pazienti ha influenzato la decisione (7,1%)
 - riunioni di comitato aperte al pubblico (16,1%)
 - possibilità per i pazienti di presentare appelli (21,4%).

Analisi comparativa e quantitativa della partecipazione dei pazienti nei sistemi di HTA a livello mondiale (3)

- **Ranking globale**
 - **Fascia 1 (migliori):**
 - NICE (Regno Unito) – punteggio 9,20
 - CDA-AMC (Canada) – punteggio 8,08

Questi sistemi mostrano coinvolgimento esteso, strutturato e istituzionalizzato, inclusi diritti di voto e team dedicati alla partecipazione dei pazienti.
 - **Fascia 2:** 14 sistemi con buoni livelli (Australia, Scozia, Germania, Brasile, Danimarca...).
 - **Fascia 3:** sistemi con partecipazione presente ma limitata.
 - **Fascia 4:** 19 sistemi, tra cui **ITALIA** con partecipazione minima o assente (es. alcuni sistemi asiatici, America Latina, Europa dell'Est).
- **Differenze geografiche**
 - **Oceania** (Australia, Nuova Zelanda): punteggi più alti in media.
 - **Nord America e Europa:** presenza di sistemi avanzati ma anche forte eterogeneità.
 - **America Latina:** alcuni sistemi in miglioramento (es. CONITEC Brasile, CONETEC Argentina).
 - **Asia:** la maggior parte dei sistemi è recente e con partecipazione ancora limitata.
- **Conclusioni**
 - La partecipazione dei pazienti è ormai diffusa ma **spesso non profonda** né realmente influente.
 - Rimane molta variabilità e ampio spazio per migliorare soprattutto:
 - coinvolgimento precoce (scoping),
 - trasparenza su come i contributi vengono utilizzati,
 - accesso ai meccanismi di ricorso.
 - I sistemi migliori integrano la partecipazione in modo strutturale (membri e voti nei comitati), procedurale (submission deicate) e trasparente (report dettagliati).

Ranking	HTA system	Country	Score	Ranking	HTA system	Country	Score
1	NICE	United Kingdom	9.20	29	OHA-HERC	United States	3.46
2	CDA-AMC	Canada	8.08	30	HIRA	South Korea	3.26
3	MSAC	Australia	7.44	31	SÚKL	Czech Republic	3.12
4	SMC	United Kingdom	7.34	32	COSAUDE	Brazil	3.06
5	IQWIG-G-BA	Germany	7.12	33	TLV	Sweden	2.88
6	SHTG	United Kingdom	7.04	34	KCE-RIZIV/INAMI	Belgium	2.76
7	PBAC	Australia	6.88	35	WSHCA-HTCC	United States	2.74
8	ICER	United States	6.50	36	IETS	Colombia	2.64
9	DHTC	Denmark	6.34	37	DVSV	Austria	2.60
10	HAS	France	5.98	38	FIMEA	Finland	2.56
11	DMC	Denmark	5.84	39	ACE	Singapore	2.44
12	CATSALUT	Spain	5.50	40	HITAP	Thailand	2.40
13	CONITEC	Brazil	5.46	41	OHTAC	Canada	2.34
14	ZIN	Netherlands	5.32	42	MAHTAS	Malaysia	2.28
15	CONETEC	Argentina	5.24	43	ICTAHC	Israel	2.28
16	NCPE-HSE	Ireland	5.04	44	AGENAS	Italy	1.24
17	PHARMAC	New Zealand	4.94	45	REDETS	Spain	1.20
18	AHRQ	United States	4.76	46	AIFA	Italy	1.00
19	AOTMIT	Poland	4.60	47	RETEHTA	Italy	0.98
20	HTAC	Philippines	4.52	48	DHR-HTAIn	India	0.96
21	NIPHNO	Norway	4.48	49	CRUF	Italy	0.62
22	INESSS	Canada	4.18	50	AEMPS	Spain	0.60
23	NOMA	Norway	4.18	51	HSPI	Vietnam	0.40
24	INFARMED	Portugal	3.70	52	NAMMDR	Romania	0.30
25	NIHTA	Taiwan	3.68	53	CENETEC	Mexico	0.00
26	HIQA	Ireland	3.64	54	CNHDR	China	0.00
27	FOPH	Switzerland	3.56	55	C2H	Japan	0.00
28	NECA	South Korea	3.56	56	AIHTA	Austria	0.00
Legend	Tier 1	Tier 2	Tier 3	Tier 4			

Classifica dei sistemi di HTA e punteggio complessivo

Source: Puebla et al, A Public Health, Volume 13 - 2025

Perché l'Italia ottiene punteggi così bassi?

a) Mancanza di strutture formali

- Nessun team dedicato al patient engagement
- Nessuna procedura formalizzata
- Nessuna linea guida specifica

b) Coinvolgimento minimo nelle fasi chiave

- L'Italia **non** prevede:
 - partecipazione allo scoping,
 - presenza nei meeting tecnici,
 - rappresentanza dei pazienti nei comitati HTA,
 - diritto di voto,
 - possibilità di revisionare bozze dei report.

c) Trasparenza limitata

- Meeting non pubblici
- Nessuna spiegazione dell'uso dell'input dei pazienti
- Quasi nessun report "patient friendly"

d) Frammentazione del sistema HTA

- Dualismo AIFA–AGENAS
- Grande variabilità regionale
- Mancanza di armonizzazione nazionale

e) Assenza di capacity building

- Nessuna formazione dedicata
- Nessun supporto alle associazioni
- Assenza di template e strumenti operativi

in sintesi...

-  **L'Italia è fortemente indietro** sulla partecipazione dei pazienti nei processi HTA.
 -  La qualità è **bassa, non strutturata e non trasparente.**
 -  Nessuna agenzia italiana raggiunge livelli comparabili ai Paesi avanzati.
-  **Il sistema italiano appare fra i meno maturi d'Europa** e presenta ampi margini di miglioramento.

Raccomandazioni per migliorare (base sui sistemi Fascia 1-2)

A breve termine

- Linee guida nazionali di patient engagement.
- Template per submission dei pazienti.
- Consultazioni trasparenti e regolari.
- Report “patient-friendly”.

A medio termine

- Creazione di un **Patient Engagement Office** nazionale.
- Formazione dedicata (pazienti + valutatori).
- Presenza strutturata dei pazienti nei comitati.

A lungo termine

- Riforma dell'architettura HTA nazionale per ridurre la frammentazione.
- Obbligo di rendicontare come l'input dei pazienti influenza le decisioni.
- Allineamento agli standard di UK, Canada, Australia.

Conclusioni

Ritardo strutturale

- L'Italia presenta un livello di partecipazione dei pazienti nei processi di Health Technology Assessment significativamente inferiore rispetto agli standard internazionali, evidenziando un **ritardo sistemico e persistente**.

Qualità del coinvolgimento insufficiente

- La qualità delle pratiche partecipative risulta complessivamente bassa, caratterizzata da una **limitata istituzionalizzazione**, da una **forte eterogeneità** tra livelli di governo e da **deficit di trasparenza** nelle procedure.

Ampio potenziale di miglioramento

- Nonostante le criticità rilevate, esistono ampi margini di sviluppo, che potrebbero tradursi in benefici sostanziali in termini di equità nei processi decisionali, maggiore legittimazione delle valutazioni HTA e incremento della qualità complessiva delle decisioni di politica sanitaria.



*Center of Pharmaceuticals Economics
and Medical Technologies Evaluation*

www.cefat.unipv.it

«...Real Word Data to make health»

