

Collana CERGAS

Centro di Ricerche sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale dell'Università Bocconi

Rapporto OASI 2016

Osservatorio sulle Aziende e sul Sistema sanitario Italiano

Il rinnovamento dei sistemi sanitari è da tempo al centro del dibattito politico e scientifico nazionale e internazionale. Con l'istituzione di OASI (Osservatorio sulle Aziende e il Sistema sanitario Italiano), il CERGAS ha voluto confermarsi quale punto di riferimento per l'analisi dei cambiamenti in corso nel sistema sanitario italiano, adottando un approccio economico-aziendale. Ha inoltre creato un tavolo al quale mondo accademico e operatori del SSN possono interagire ed essere nel contempo promotori e fruitori di nuova conoscenza.

A partire dal 2000, l'attività di ricerca di OASI è stata sistematicamente raccolta in una serie di Rapporti Annuali. Il Rapporto 2016:

- presenta l'assetto complessivo del SSN (profili istituzionali, struttura, attività e spesa) e del settore sanitario italiano, inquadrandolo anche in ottica comparativa internazionale. Sono inclusi approfondimenti sui consumi privati di salute, sugli erogatori privati accreditati e sul sistema sociosanitario e sociale;
- approfondisce questioni di *policy* rilevanti per il sistema sanitario e le sue aziende, quali i recenti riordini di molti SSR, la mappatura della rete ospedaliera alla luce dei nuovi standard, il governo dell'assistenza farmaceutica, l'implementazione del programma nazionale HTA per dispositivi medici;
- a livello aziendale, discute la trasformazione delle unità operative, confrontando le esperienze dei team multidisciplinari e delle équipes itineranti; si focalizza su percorsi di selezione del *top management* e sviluppo imprenditoriale nella sanità pubblica; descrive i differenti approcci alle cure intermedie a livello internazionale e nazionale e ne analizza i modelli organizzativi, i target di utenti e le formule di servizio; analizza i risultati preliminari della sperimentazione dei CReG; approfondisce le sfide della gestione centralizzata degli acquisti e l'impatto della crisi della finanza pubblica sui sistemi di programmazione e controllo nelle aziende del SSN.

Il CERGAS (Centro di Ricerche sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale) dell'Università Bocconi è stato istituito nel 1978 con lo scopo di sviluppare studi e ricerche sul sistema sanitario. Le principali aree di ricerca sono: confronto tra sistemi sanitari e di Welfare e analisi delle politiche pubbliche in tali ambiti; valutazioni economiche in sanità; logiche manageriali nelle organizzazioni sanitarie; modelli organizzativi e sistemi gestionali per aziende sanitarie pubbliche e private; impatto sui settori industriali e di servizi collegati (farmaceutico e tecnologie biomediche) e sul settore socio-assistenziale.

Questo volume è stato realizzato grazie al contributo incondizionato di



Science For A Better Life

ISBN 978-88-238-5142-9



9 788823 851429

€ 65,00

www.egeaonline.it

Rapporto OASI 2016

CERGAS - Bocconi



a cura di
CERGAS - Bocconi

Rapporto OASI 2016

Osservatorio sulle Aziende e sul Sistema sanitario Italiano



Università Commerciale
Luigi Bocconi

Centro di ricerche sulla
Gestione dell'Assistenza
Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi
School of Management





Collana CERGAS

Centro di Ricerche sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale dell'Università Bocconi





a cura di
CERGAS - Bocconi

Rapporto OASI 2016

Osservatorio sulle Aziende e sul Sistema sanitario Italiano



Università Commerciale
Luigi Bocconi

Centro di ricerche sulla
Gestione dell'Assistenza
Sanitaria e Sociale

SDA Bocconi
School of Management

 Egea



Tutti i contributi del Rapporto OASI sono stati sottoposti al processo di doppio referaggio prima della pubblicazione.

Impaginazione: Compos 90, Milano

Copyright © 2016 EGEE S.p.A.
Via Salasco, 5 – 20136 Milano
Tel. 02/5836.5751 – Fax 02/5836.5753
egea.edizioni@unibocconi.it – www.egeaeditore.it

Tutti i diritti sono riservati, compresi la traduzione, l'adattamento totale o parziale, la riproduzione, la comunicazione al pubblico e la messa a disposizione con qualsiasi mezzo e/o su qualunque supporto (ivi compresi i microfilm, i film, le fotocopie, i supporti elettronici o digitali), nonché la memorizzazione elettronica e qualsiasi sistema di immagazzinamento e recupero di informazioni.

Date le caratteristiche di Internet, l'Editore non è responsabile per eventuali variazioni di indirizzi e contenuti dei siti Internet menzionati.

Prima edizione: novembre 2016

ISBN 978-88-238-5142-9

Stampa: Geca Industrie Grafiche, San Giuliano Milanese (Mi)



Questo volume è stampato su carta FSC® proveniente da foreste gestite in maniera responsabile secondo rigorosi standard ambientali, economici e sociali definiti dal Forest Stewardship Council®

18 Programma nazionale HTA per dispositivi medici: quali sfide per l'implementazione?

di Oriana Ciani, Rosanna Tarricone, Aleksandra Torbica¹

18.1 Introduzione

La necessità di garantire sostenibilità ai Sistemi Sanitari pressati da bisogni sempre crescenti, negli ultimi anni e in un numero sempre maggiore di Paesi, ha richiamato l'attenzione sull'importanza del rapporto tra costi e benefici attesi e sull'approccio razionale all'allocazione delle risorse scarse in sanità. Infatti, l'uso dell'*Health Technology Assessment* (HTA) si va diffondendo come pratica comune a sostegno dei decisori in molti Paesi industrializzati o in via di sviluppo (Sorenson et al. 2008, Oortwijn et al. 2010, Franken et al. 2012, Banta and Oortwijn 2000, Oortwijn et al. 2013).

Dove l'HTA è implementato in maniera istituzionalizzata di solito un'agenzia o un'organizzazione applicano i principi dell'*evidence based medicine*, della valutazione di efficacia comparativa o costo-efficacia per stabilire la copertura/rimborsabilità o il prezzo di tecnologie sanitarie, prevalentemente farmaci e dispositivi medici, o per formulare linee guida sull'uso appropriato delle tecnologie nel sistema.

A seconda del contesto e del mandato, l'organizzazione può agire a livello nazionale/centrale o regionale/provinciale. Per esempio, fino a pochi anni fa la realtà italiana si sarebbe potuta definire eterogenea e frammentata, con un processo di valutazione delle tecnologie sanitarie, in particolare dispositivi medici, multilivello (Ciani et al. 2012). In breve, l'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (AGENAS) era investita della funzione di produrre report di HTA per le regioni e le aziende sanitarie e coordinare i vari organi regionali. Contemporaneamente, le Regioni articolavano in ordine sparso le proprie modalità e attività di gestione dell'innovazione tecnologica. Unità, gruppi di lavoro, commissioni a li-

¹ Sebbene il capitolo sia frutto del lavoro comune delle autrici, Oriana Ciani ha principalmente curato la stesura dei paragrafi 18.1, 18.2, 18.3.1, 18.4; Rosanna Tarricone dei paragrafi 18.3.2, 18.4; Aleksandra Torbica dei paragrafi 18.3.1, 18.4. I risultati presentati sono parte di un progetto finanziato dalla Direzione Generale Farmaci e Dispositivi Medici presso il Ministero della Salute.

vello aziendale, sovra aziendale, regionale e interregionale si sono moltiplicate senza una chiara percezione del ruolo di ognuno di questi attori e delle possibili sinergie da sviluppare tra i diversi livelli istituzionali coinvolti.

Tuttavia, la situazione italiana ha subito una drastica riconfigurazione secondo le disposizioni contenute in alcuni importanti riferimenti normativi pubblicati negli ultimi mesi. Proprio per questo motivo, nelle sezioni successive illustriamo, rispettivamente, il contesto europeo di riferimento in cui il Programma Nazionale di HTA è chiamato a operare e descriviamo alcuni sistemi nazionali di HTA per trarne, a seguito di un'analisi comparativa, indicazioni importanti sullo sviluppo del processo di valutazione per dispositivi medici nel nostro Paese. Un altro punto di attenzione riguarda la scelta di quale collegamento debba esistere tra valutazione e decisioni. Nel complesso, l'obiettivo del presente capitolo è quello di contribuire al dibattito nella comunità scientifica, professionale e istituzionale di riferimento, sulla implementazione e miglior strutturazione del processo di HTA per dispositivi medici italiano, col fine ultimo di assicurare un impatto a livello decisionale in termini di efficienza e sostenibilità del sistema.

18.2 Il contesto internazionale di riferimento

Per comprendere il cambiamento in atto nel nostro Paese, in questa sezione del capitolo, vogliamo focalizzare l'attenzione sulle dinamiche in corso a livello Europeo, un contesto dal quale l'Italia non può di certo isolarsi. L'Unione Europea (UE) ha giocato un ruolo fondamentale negli scorsi anni per promuovere lo sviluppo nei 28 Stati Membri di processi di HTA per informare decisioni in merito all'adozione, diffusione o dismissione delle tecnologie e favorire la cooperazione, facilitare lo scambio di iniziative ed esperienze e sostenere una progressiva armonizzazione delle attività sul territorio comunitario.

18.2.1 Sviluppi nella collaborazione europea su HTA: da EUnetHTA all'HTA Network

A partire dal 2005, sulla base delle diverse *call* europee su proposte e *joint action*, la rete Europea delle Agenzie di HTA (EUnetHTA) è nata e si è affermata come il luogo di promozione, interazione e scambio per l'HTA a livello Europeo. La prima fase della collaborazione (JA1), relativa al periodo 2010-2012, ha avuto gli obiettivi di sviluppare e poi testare e implementare principi, linee guida metodologiche e *tools*, incluso un nuovo *HTA Core Model*[®]. Nell'edizione successiva (JA2), dal 2013 al 2015, a livello operativo si sono consolidati i risultati precedenti ma allo stesso tempo si è evidenziata la necessità di stabilire una collaborazione sostenibile e quindi definire strategie e proposte per una rete europea di HTA di lungo termine.

A livello legislativo, questa visione risponde ai contenuti della Direttiva 2011/24/EU del 9 Marzo 2011 sull'applicazione dei diritti dei pazienti relativi all'assistenza sanitaria transfrontaliera. Questa norma richiama, all'articolo 15, la necessità della cooperazione in materia di HTA e delinea esplicitamente i passi necessari alla sua implementazione. Gli Stati Membri sono stati chiamati a comunicare alla Commissione Europea nomi e contatti degli enti o autorità nazionali coinvolte. Per l'Italia, il Ministero della Salute, per tramite della Direzione Generale Farmaci e Dispositivi Medici, è stato coinvolto in questa nuova iniziativa. Appare dunque evidente come ogni cambiamento pianificato o in atto nel sistema di HTA nel nostro Paese vada discusso alla luce del contesto europeo.

L'HTA Network è nato quindi come rete spontanea di organizzazioni HTA di nazioni appartenenti all'UE, incluse Norvegia e Islanda, al fine di i) supportare la cooperazione tra organizzazioni di HTA nazionali nella produzione di informazioni oggettive, affidabili, tempestive, comparabili e trasferibili di efficacia teorica e pratica a breve e lungo termine; ii) favorire lo scambio di queste informazioni; iii) evitare le duplicazioni di risultati. Mentre il Network mantiene il ruolo strategico di coordinamento e pianificazione, attraverso la JA3, EUnetHTA diventerà il braccio di supporto tecnico e scientifico. Questa nuova fase, a differenza delle precedenti, è coordinata dall'Istituto Nazionale di Sanità olandese (*Zorginstituut Nederland*) e proprio nel giugno 2016 avvierà i lavori con l'obiettivo di aumentare l'adozione, la qualità e l'efficienza delle attività di HTA condiviso tra le agenzie europee.

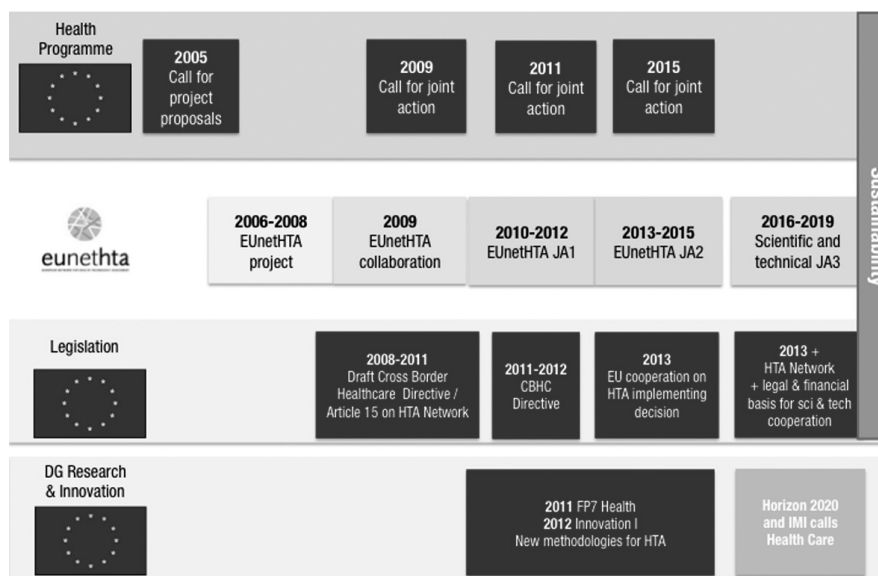
Dal punto di vista dello sviluppo di metodologie, EUnetHTA ha fatto da sempre leva sui risultati della ricerca condotta in ambito accademico e finanziata da organismi europei, come nel caso dei quattro progetti finanziati nell'ambito del Settimo Programma Quadro dalla Direzione Generale Ricerca e Innovazione dal 2013 al 2015 interamente in materia di HTA. Questi progetti hanno contribuito a raffinare l'armamentario per i tecnici e gli analisti di HTA, in particolare il CeRGAS ha coordinato il progetto MedTechHTA², che ha avuto l'obiettivo di migliorare il *framework* metodologico di valutazione dei dispositivi medici e che ha contribuito alla stesura delle linee guida sui *devices* terapeutici pubblicata nel 2015 all'interno della EUnetHTA JA2³.

Il grafico in Figura 18.1 riassume sinteticamente le tappe che hanno portato, negli ultimi 10 anni, allo scenario attuale in Europa e alla necessità di stabilizzare la collaborazione attraverso l'HTA Network, unitamente agli sviluppi legislativi e alla ricerca svolta in parallelo per supportare l'innovazione metodologica e l'avanzamento sui contenuti tecnici.

² www.medtechta.eu

³ EUnetHTA. 2015. Guidelines Therapeutic Medical Devices. https://eunethta.fedimbo.belgium.be/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Therapeutic%20medical%20devices_Guideline_Final%20Nov%202015.pdf

Figura 18.1 Oltre dieci anni di collaborazione HTA in Europa



Adattato da: Finn Børlum Kristensen, Development of European HTA: from Vision to EUnetHTA, Michael 2012;9: 147-156

CBHC = Cross border healthcare

Nel piano di programmazione 2014-2015, approvato dal network nella sua prima seduta⁴, la visione di lungo termine per garantire la cooperazione su HTA in Europa si è articolata in tre azioni pratiche:

- i. adozione di uno *strategy paper* in cui definire e concordare direzioni strategiche, scopi e ambizioni di una collaborazione sostenibile nel lungo periodo, incluse le aree di priorità da affrontare entro i meccanismi di collaborazione sul fronte tecnico e scientifico;
- ii. adozione di un *reflection paper* sulle condizioni per facilitare lo scambio e il riuso di materiale e informazioni a livello nazionale e promuovere il lavoro condiviso (*joint work*), incluse valutazioni condotte parallelamente e in maniera coordinate tra più Stati Membri;
- iii. adozione di un *reflection paper* sulla interazione e coordinamento tra enti regolatori e HTA per velocizzare i tempi di accesso al mercato per tecnologie potenzialmente innovative ma anche aumentare la prevedibilità degli esiti e ridurre gli ostacoli amministrativi, a vantaggio non solo del produttore ma anche dei funzionari pubblici.

⁴ European Commission. 2013. Multiannual Work Programme 2014-2015 http://ec.europa.eu/health/technology_assessment/docs/hta_network_wp2014_15_en.pdf

Dei tre *tasks* proposti e concordati in quella seduta, i primi due sono ad oggi pubblicamente disponibili^{5,6} mentre l'ultimo è in fase di consultazione e sarà verosimilmente pubblicato entro la fine del 2016. I due documenti ad oggi disponibili sono brevemente presentati di seguito, insieme al programma di lavoro multi annuale 2016-2020 adottato a valle del sesto meeting dell'HTA Network tenutosi il 20 maggio 2016.

18.2.2 HTA Network: documento strategico

Nel documento strategico⁵ in cui si delineano le direttrici di evoluzione della cooperazione HTA a livello Europeo, l'intento è quello di usare evidenze e applicare metodologie che sono generalmente accettate e relativamente semplici da condividere, lasciando tuttavia la decisione circa ciò che ne scaturisce a livello locale alla discrezione delle autorità regionali o nazionali. Citando un precedente lavoro di Eisenberg (Eisenberg 2002), l'invito è quello di «*globalize the evidence, localize the decision*» (rendere le evidenze globali e le decisioni locali).

La sfida di costruire una rete di condivisione reale che risponda alle esigenze di diversi interlocutori (i.e. pazienti, clinici, produttori, regolatori, legislatori, terzi-pagatori) richiede innanzitutto la crescita di relazioni di reciproca fiducia all'interno del network e una governance basata su oggettività, trasparenza, autonomia, appropriatezza nelle procedure e nel coinvolgimento dei vari *stakeholders*. Gli ambiti in cui la cooperazione si propone di intervenire sono i) le varie fasi di sviluppo delle tecnologie, da quelle iniziali (es. *scientific advice, early dialogue*), fino ai *full assessment* o *rapid reviews* e alle decisioni di disinvestimento; ii) valutazione di tecnologie diverse, al di là di farmaci e dispositivi, come procedure chirurgiche, combinazioni diagnostico-terapeutiche, programmi di sanità pubblica, e-health e interventi complessi; iii) inclusione di tutti i domini di valutazione (es. etici, legali, sociali), non solo quelli clinici ed economici; iv) supporto a una varietà di decisori o interlocutori su piani diversi; v) definizione di meccanismi di prioritizzazione (es. impatto economico ed epidemiologico, severità).

Le indicazioni espresse nel documento hanno particolare rilevanza ai fini della definizione del piano di HTA Italiano dal momento che le autorità nazionali competenti sono chiamate a rispecchiare il più possibile nelle strategie regionali e nazionali la visione espressa nello *strategy paper*, come riassunto nel Box 18.1.

⁵ EU HTA Network Strategy for EU cooperation on Health Technology Assessment (HTA). 2014. http://ec.europa.eu/health/technology_assessment/docs/2014_strategy_eucooperation_hta_en.pdf

⁶ European Commission. HTA Network Reflection Paper On «Reuse Of Joint Work in National HTA Activities». 2015. http://ec.europa.eu/health/technology_assessment/docs/reuse_jointwork_national_hta_activities_en.pdf

Box 18.1 Indicazioni dell'HTA Network agli Stati Membri

- Promuovere e consentire l'accesso ai lavori di HTA condivisi tra gli enti nazionali e altre organizzazioni rilevanti
- Promuovere l'uso di strumenti e metodologie riconosciute, particolarmente quelle sviluppate nell'ambito della cooperazione europea
- Aumentare la qualità e consistenza dell'HTA prodotto ad ogni livello attraverso l'allineamento dei metodi che facilita il riuso dei materiali (es. revisioni e sintesi delle evidenze, report prodotti, griglie di valutazione)
- Evitare duplicazioni attraverso un intenso scambio d'informazioni e riutilizzo di evidenza disponibile, salvo le circostanze in cui si intende colmare dei vuoti di conoscenza specifici o rispondere a esigenze peculiari del contesto nazionale
- Rimuovere ostacoli strutturali, amministrativi o legali che impediscono la cooperazione o partecipazione al *joint work*
- Promuovere il coinvolgimento degli *stakeholders* nel processo di HTA secondo le migliori pratiche (es. coinvolgimento di associazioni di cittadini e pazienti, di imprese e società scientifiche)
- Rendere i report accessibili online, con almeno un sommario in inglese e uno scritto per il pubblico di non esperti e per gli *stakeholders*

In termini finanziari, è in via di definizione un contributo da parte della Commissione Europea nell'ambito dell'*Health Programme* 2014-2020 tramite coinvolgimento degli Stati Membri. Tuttavia il supporto dell'EU avrà senso se in questi anni si riuscirà a delineare un modello sostenibile da implementare dopo il 2020, visto che non si possono coprire con questa modalità attività ricorrenti. Altri fondi potrebbero provenire dal programma Horizon 2020 a copertura di iniziative di cooperazione tecnico-scientifica su aree di ricerca rilevanti. Tuttavia, il modo migliore per rendere la cooperazione stabile e sostenibile, anche finanziariamente, è fare in modo che sia utile per gli Stati Membri al punto da convincerli a pianificare e investire risorse per la cooperazione in ambito HTA. La valutazione dei progressi compiuti nell'implementazione del documento strategico da parte del Network avverrà nel 2017. Entro tre anni dall'adozione dello *strategy paper*, quindi, ci si aspettano considerevoli passi avanti nella strutturazione della rete europea di cooperazione su HTA.

18.2.3 HTA Network e joint work

Il documento strategico dell'HTA Network tratta estesamente il tema del *joint work*, ovvero l'insieme di attività in cui Paesi e organizzazioni HTA lavorano per preparare output condivisi che vanno da revisioni sistematiche e report di HTA, a materiale educativo, *early dialogues* multi-paese tra produttori e agenzie fino al disegno di studi. In generale, il Network raccomanda di dedicare sufficienti risorse per trasferire e utilizzare il *joint work* a livello locale, incluso un eventuale lavoro di adattamento, e creare un sistema professionale di *project management* per gestire i processi di collaborazione entro standard qualitativi

elevati, o *Standard Operating Procedures*. L'obiettivo è fare in modo che le priorità rispecchino sia la strategia concordata a livello di HTA Network sia le esigenze regionali/nazionali. Nel documento si auspica inoltre la definizione di un adeguato processo di valutazione del *joint work*, che consideri dimensioni quali efficienza, tempi, risorse e competenze.

A livello più specifico e rispetto al «come» avviare il processo di lavoro condiviso, il Network individua alcune azioni generali da implementare, quali miglioramento della trasparenza dei processi HTA a livello di Stati Membri, utilizzo sempre più ampio dell'inglese nei report di HTA, uso di database e *tool* internazionali (es. POP/Evident databases, *HTA Core Model® framework*). Tali indicazioni generali sono poi declinate a secondo delle tipologie di *joint work* identificate.

Il terzo dei temi d'interesse proposti dall'HTA Network riguarda l'interazione tra agenzie HTA e regolatorie, quindi tra le decisioni di accesso al mercato europeo e rimborso, sul quale comunque alcune esperienze si sono accumulate negli ultimi anni soprattutto rispetto ai farmaci (Ciani e Jommi, 2014) e riferimenti marcati esistono già nei primi due documenti prodotti. Il Network ha deciso di focalizzarsi sui farmaci in prima istanza, e identificare attività di cooperazione tra enti regolatori e HTA lungo tutto il ciclo di vita delle tecnologie, tali da facilitare l'accesso a tecnologie sicure ed efficaci nel rispetto del vincolo di sostenibilità del sistema. Tali attività riguardano iniziative di *early dialogue* o *scientific advice*, *horizon scanning*, linee guida specifiche per malattia, coordinamento sugli investimenti in ricerca nella fase precedente all'accesso al mercato. Si rende necessaria, inoltre, la condivisione e maggiore trasparenza sulle informazioni per la determinazione delle popolazioni eleggibili in fase di accesso al mercato e soprattutto collaborazione nella generazione e autorizzazione di studi *real world* nella fase post-marketing.

Rispetto all'interazione tra agenzie regolatorie e HTA, va fatto un distinguo per quanto ri riguarda i dispositivi medici. In questa fase di revisione della legislazione comunitaria in materia (Tarricone et al. 2014), non è immediato stabilire dei meccanismi di interazione e dialogo con gli enti regolatori competenti e probabilmente il tema andrà affrontato una volta che la nuova normativa sarà approvata. Tuttavia, è in fase di avviamento la sperimentazione di *Excite International*, un'iniziativa che intende estendere su larga scala il progetto *Excite*, avviato in Canada, nel quale per la prima volta accademici e clinici (*Council of Academic Hospitals of Ontario*), ente regolatorio (*Health Canada*), agenzia HTA (*Ontario Health Technology Advisory Committee*) e industria, con la facilitazione di un gruppo di coordinamento, hanno potuto condividere e concordare, sin dalle fasi iniziali, il piano di generazione di evidenze per nuovi dispositivi, al fine di informare allo stesso tempo le decisioni di *licensing* e di rimborso (Ciani et al. 2015). La fase pilota di *Excite International* coinvolgerà in prima battuta Canada, Stati Uniti e, per l'Europa, il Regno Unito.

18.2.4 Prospettive per il 2016-2020

Nel documento strategico adottato lo scorso 20 maggio dall'HTA Network, oltre a ribadire gli obiettivi generici presentati nello *strategy paper* 2014-2015, sono elencate alcune attività specifiche che, secondo questo organismo, andranno a facilitare la cooperazione UE in materia di HTA nel periodo 2016-2020. Tutte le misure incluse nel piano di lavoro multi-annuale non intendono interferire con l'autonomia dei singoli Stati Membri di organizzare i propri servizi sanitari, di implementare le conclusioni di una valutazione né armonizzare regolamenti a livello nazionale. Tra queste misure rientrano quelle volte a garantire sostenibilità, anche finanziaria, alla cooperazione e un appropriato coinvolgimento di tutti i portatori d'interesse, pazienti, industria, clinici e pagatori. Rispetto al ruolo degli *stakeholders*, un'altra attività programmata è quella di migliorare le tecniche di comunicazione e disseminazione dei risultati della cooperazione in modo da raggiungere un'audience più vasta e attivare le necessarie sinergie per un coinvolgimento efficace dei vari attori. Ampio spazio sarà lasciato ancora allo sviluppo del *joint work*, a prosecuzione del lavoro avviato nel *reflection paper* discusso in precedenza. In particolare, per il prossimo anno il Network si focalizzerà sul lavoro comune e riutilizzo di valutazioni di dispositivi medici (inclusi terapeutici, diagnostici, apparecchiature di *imaging* e ICT), alla luce delle note criticità associate alle valutazioni di queste tecnologie, della rilevanza delle informazioni specifiche di contesto e del ruolo importante delle procedure di approvvigionamento. Infine, come da mandato, il Network dovrà continuare a fungere da piattaforma di scambio di esperienze e opinioni su temi di comune interesse, come supporto agli utilizzatori dei report (enti erogatori, aziende sanitarie) attraverso azioni formative, sviluppo di valutazioni economiche altamente trasferibili tra gli Stati Membri, introduzione di aspetti etici e ruolo e impatto dell'HTA nei processi decisionali. Proprio rispetto a questo ultimo punto, nei paragrafi seguenti discutiamo quali sarebbero le alternative possibili, alla luce di esperienze in atto in altri Paesi, e quale ruolo esse avrebbero all'interno del Piano Nazionale HTA per dispositivi medici.

18.3 Il Piano Nazionale HTA

Dopo una panoramica sul contesto internazionale e sulle indicazioni strategiche che dall'Europa ci giungono in materia di HTA, ci focalizziamo ora sul livello nazionale per discutere come tali direttive trovino attuazione nel nostro Paese.

18.3.1 Programma Nazionale di HTA: riferimenti normativi

Il lancio del progetto italiano di un nuovo HTA si può far risalire alla firma del Patto per la Salute 2014-2016 (artt. 26 e 27) nel luglio 2014 e, successivamente,

della legge di stabilità 2015 (Legge n. 190, 23 dicembre 2014) la quale prevede al comma 587 dell'art.1, l'uso razionale dei dispositivi medici sulla base del principio di costo-efficacia affidando a Ministero della Salute, AGENAS e Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ruolo direttivo e di coordinamento dei livelli nazionale, regionale e aziendale a salvaguardia della unitarietà del sistema. È questa legge a istituire i) la Cabina di Regia, diretta dal Ministero della Salute e composta da regioni, AGENAS e AIFA, per la definizione delle priorità ai fini assistenziali, e ii) il Programma Nazionale di HTA dei dispositivi medici, basato su una rete nazionale coordinata dall'AGENAS di collaborazione tra le regioni per la definizione e per l'utilizzo di strumenti di HTA per il governo dei dispositivi medici. Secondo la stessa norma, il principio di efficacia comparativa e costo-efficacia dovrà supportare l'individuazione di requisiti indispensabili nella predisposizione dei capitolati di gara per l'acquisizione dei dispositivi medici a tutti i livelli, la classificazione dei dispositivi medici in categorie omogenee garantendo più tipologie adattabili ai diversi tipi di pazienti nonché l'individuazione dei prezzi di riferimento.

A seguito di questo primo importante traguardo normativo, la legge di stabilità 2016 (Legge n. 208, 28 dicembre 2015) ha chiarito i ruoli della Cabina di Regia, ovvero:

- i. identificazione dei criteri alla base delle priorità di valutazione (rilevanza, sicurezza, efficacia, impatto economico ed impatto organizzativo dei dispositivi medici);
- ii. promozione delle attività di valutazione multidimensionale realizzate da AGENAS o altri soggetti pubblici e privati di comprovata esperienza di HTA operanti nel Programma Nazionale di HTA dei dispositivi medici;
- iii. approvazione degli indirizzi metodologici da applicare per la produzione dei rapporti di HTA;
- iv. pubblicazione, diffusione e monitoraggio degli esiti e degli impatti delle valutazioni, in particolare rispetto all'adozione, introduzione e disinvestimento di dispositivi medici.

L'evoluzione dell'HTA in Italia è imprescindibilmente legata agli sviluppi europei discussi in precedenza, come ribadito nella legge n.190 che dà attuazione alle disposizioni contenute nella direttiva 2011/24/UE del Parlamento europeo e del Consiglio del 9 marzo 2011. Nel prossimo paragrafo si illustrano le sfide principali che attendono l'implementazione del nuovo piano HTA e si discutono alcune possibili soluzioni.

18.3.2 Quali sfide per l'implementazione del Programma Nazionale HTA

Il Piano Nazionale per l'HTA dei dispositivi medici dovrà occuparsi di diversi aspetti prima di implementare a regime il programma (Tarricone R, 2015). In

primo luogo, rispetto all'architettura del sistema, sembra ormai certo che in Italia la Cabina di Regia del Ministero dovrebbe rappresentare l'attore principale dell'intero processo di HTA con l'obiettivo di mettere a sistema le competenze maturate negli anni passati dalle regioni, aziende ospedaliere, Agenas e centri di ricerca, seguendo un modello centralizzato. Quale sarà esattamente la *governance* e quali le relazioni tra questi soggetti è un aspetto cruciale che inciderà in maniera determinante sui processi, procedure e soprattutto sull'efficacia dello stesso Piano.

Un altro aspetto importante riguarda il finanziamento del Piano Nazionale per l'HTA. Diverse esperienze di altri Paesi suggeriscono che la modalità migliore per garantire da un lato l'indipendenza e dall'altro le risorse necessarie per finanziare studi di HTA metodologicamente robusti è quella di un mix di finanziamenti provenienti da diverse fonti (es. governo, industria). È noto che i finanziamenti pubblici per la ricerca in Italia non sono particolarmente generosi e hanno visto un decremento negli ultimi anni (Mannocci et al., 2009). Il budget per questo tipo di ricerca poi è sicuramente meno consistente di quello disponibile in altri Paesi, come ad esempio il Regno Unito, dove il budget del programma HTA è cresciuto da £8 milioni nel 2003-4 fino a £60 milioni nel 2012-13. Dopo aver corretto per l'inflazione, questa crescita corrisponde a oltre il 400% di incremento sugli ultimi dieci anni (Guthrie et al., 2015), anche se bisogna considerare che all'interno del programma HTA UK inserisce anche ricerca su dati primari (es. *clinical trials*). È quindi fondamentale che la Cabina di Regia e il Ministero *in primis* definiscano un piano di investimenti *ad hoc*, commensurato allo sforzo che si stabilisce di fare sia in una fase iniziale sia a regime, e ne identifichi le fonti.

Un altro aspetto importante è la definizione dei criteri per la determinazione delle priorità. È impossibile poter valutare tutte le innovazioni tecnologiche. In tutti i paesi esiste un processo di *priority setting*. Anche in Italia un processo di *priority setting* è stato suggerito da AGENAS e potrebbe essere oggetto di ulteriore riflessione alla luce delle diverse prospettive degli *stakeholders* coinvolti. Inoltre, chi fa l'*assessment*? La valutazione delle tecnologie si compone di una parte tecnica (*assessment*) e di una parte politica (*appraisal*). L'*assessment* deve necessariamente essere fatta da esperti di HTA meglio se messi in rete. L'*appraisal* è la fase di valutazione politica dell'innovazione tecnologica che si basa sia sull'*assessment* sia sulla consultazione degli *stakeholders*. È necessario rendere trasparenti e condividere i criteri guida con gli *stakeholders* più importanti. Infine, come si implementano le raccomandazioni finali? Solo in alcuni Paesi le raccomandazioni dell'agenzia di HTA sono obbligatorie. Questo ha il grande vantaggio di rendere l'accesso all'innovazione tecnologica uguale in tutto il paese ma lo svantaggio di insistere su budget le cui responsabilità sono a livello regionale. Il vero *trade off* è quindi tra ridurre le disuguaglianze nell'accesso alle cure da parte dei cittadini da un lato e aumentare la rigidità dell'allocazione della

spesa sanitaria a livello regionale. Modalità intermedie considerano analisi di impatto sul budget a livello regionale per misurare l'effetto dell'introduzione della tecnologia in base al fabbisogno della Regione e allo stesso tempo proporre modalità di diffusione «controllata» in base alle caratteristiche dell'offerta proprie di ciascuna Regione. Quale collegamento desideriamo tra l'HTA e altre politiche sanitarie quali *coverage*, *procurement* e rimborsabilità? L'HTA rimarrebbe del tutto inefficace se non fosse legata a queste politiche sanitarie. Che senso avrebbe valutare un'innovazione tecnologica se poi non usassimo l'esito della valutazione per decidere dell'inclusione o meno della tecnologia nei servizi sanitari garantiti ai cittadini? Lo stesso dicasi per le procedure di acquisto. L'evidenza insegna che l'efficacia e l'efficienza del processo di acquisto dei dispositivi medici non dipende dal livello di centralizzazione delle procedure bensì dalla qualità con cui tali procedure vengono espletate. Se l'obiettivo del SSN è quello di «qualificare» la spesa pubblica sanitaria – cioè acquistare e combinare fattori produttivi che massimizzino la produzione di salute al costo più basso – allora è sui criteri di scelta di acquisto che dovremmo volgere la nostra attenzione. Nel caso specifico dei dispositivi medici, essi devono essere scelti in base al rapporto costo-efficacia, in base, cioè, alla capacità di migliorare la salute dei pazienti dato il vincolo di budget. Questo aspetto si coniuga con quello più ampio dell'appropriatezza dei consumi e della spesa per dispositivi medici. Tuttavia se vogliamo che le tecnologie vengano utilizzate in modo appropriato dobbiamo anche assicurarci che gli erogatori abbiano gli strumenti giusti per farlo. È necessario avere un sistema di rimborsabilità che possa – appunto – premiare l'appropriatezza. E infine, chi si occupa del monitoraggio delle raccomandazioni di HTA? Chi raccoglie i feedback per eventualmente procedere a una rivalutazione della tecnologia? Queste fasi sono cruciali soprattutto per tecnologie come i dispositivi medici. L'utilizzo nel tempo dei dispositivi medici fa crescere l'esperienza da parte degli utilizzatori che – a sua volta – spesso produce i seguenti effetti: a) migliora la performance delle procedure e quindi anche l'efficacia sulla salute del paziente; b) riduce i costi di produzione perché l'esperienza rende il processo più efficiente; c) suggerisce miglioramenti del prodotto al produttore (innovazione incrementale). Raccogliere dati *real-world* è quindi fondamentale perché il rapporto costo-efficacia del dispositivo medico potrebbe cambiare nel tempo e suggerire nuove raccomandazioni.

Di tutti questi aspetti che abbiamo sollevato in quanto sfide che si pongono in questa fase all'attenzione della Cabina di Regia e degli altri attori nel Piano Nazionale HTA per dispositivi medici, nella parte restante del capitolo abbiamo deciso di focalizzarci sui seguenti che consideriamo critici per la validità del sistema di HTA: i) quali metodi di valutazione economica dovrebbero costituire la base di un rapporto di HTA dei dispositivi medici; ii) quale dovrebbe essere il criterio guida per aiutare il decisore a produrre raccomandazioni circa la copertura e la rimborsabilità dei dispositivi medici e iii) quale dovrebbe essere il livel-

lo di coerenza della raccomandazione rispetto all'introduzione e all'uso dei dispositivi medici, in un Paese ad alto livello di decentramento come l'Italia. Nel prossimo paragrafo mettiamo a confronto le esperienze di alcuni Paesi europei su questi tre aspetti.

18.3.3 Principi di valutazione economica e impatto sulle decisioni: esperienze a confronto

Un'analisi delle esperienze internazionali mostra chiaramente differenze significative nella scelta del metodo di valutazione economica che sta alla base dell'HTA. L'unico Paese che ha esplicitamente dichiarato la preferenza per un metodo preciso è il Regno Unito, dove l'agenzia nazionale NICE (*National Institute of Health and Care Excellence*) aggiorna regolarmente le linee guida per la conduzione di studi di *technology appraisal* sottolineando la scelta per l'analisi costo utilità (ACU) e *quality adjusted life year* (QALY) come principale misura di *outcome* di salute (NICE, 2014). In alcuni casi particolari si potrebbe usare l'analisi costo benefici (ACB), ma in pratica tale tecnica è molto poco utilizzata. Il vantaggio principale dei QALYs è che questa misura permetta il confronto diretto tra le diverse aree cliniche e pertanto dà la possibilità ai decisori di fare delle scelte in linea con il principio di efficienza del settore sanitario nel suo complesso avendo a disposizione un budget prestabilito (*hard budget constraint*). Infine, per rispettare l'altro principio guida del sistema britannico, l'equità, il QALY viene considerato nello stesso modo e con lo stesso peso a prescindere dalla malattia e dal gruppo dei pazienti. L'utilizzo delle valutazioni economiche è formalmente incluso nei processi decisionali per il rimborso delle tecnologie sanitarie. Evidenze empiriche dimostrano un alto livello di coerenza di queste analisi rispetto all'introduzione di alcune tecnologie sanitarie. Per esempio, un recente studio ha dimostrato che il motivo principale delle decisioni che limitano l'accesso ai farmaci innovativi oncologici in UK è stato quello di un rapporto incrementale costo utilità molto alto (Mason et al., 2010).

Contrariamente all'approccio del Regno Unito, la Germania esplicitamente rifiuta l'utilizzo dei QALYs per misurare gli *outcome* di salute e si astiene dai confronti diretti tra le diverse aree cliniche. L'agenzia nazionale IQWiG (*Institute for Quality and Efficiency in Health Care*) motiva questa scelta dando più importanza al principio di equità verticale secondo il quale i soggetti con diverse malattie devono essere trattati in modo diverso (diversamente dal principio di equità orizzontale – intrinseco ai QALYs – che prevede un uguale trattamento in presenza di un uguale bisogno). All'interno di ogni area clinica è privilegiata la tecnica di analisi costo efficacia (ACE) che mette in relazione i costi e benefici incrementali associati ad una terapia (es. costo per evento di ictus evitato, costo per percentuale di riduzione di glicemia) e rappresenta la base per la costruzione della frontiera di efficienza (*efficiency frontier*) (Caro et al., 2010). Questo

strumento prevede di identificare le opzioni terapeutiche che portano maggiore valore per ogni livello di investimento. Il budget non è fisso e l'utilizzo delle valutazioni economiche non è obbligatorio, il criterio principale sui cui si basano le decisioni è legato al valore aggiunto nella dimensione clinica, non economica.

Un contesto simile troviamo anche in Francia, dove non esiste una preferenza esplicita per il tipo di valutazione economica alla base dei rapporti di HTA (Drummond et al., 2014). Inoltre, al momento, l'agenzia nazionale *Haute Autorité de Santé* (HAS) considera le valutazioni economiche non obbligatorie ai fini decisionali; al contrario, il valore prodotto da una scelta terapeutica è determinato dalla sua efficacia clinica misurata su una scala di 5 categorie. In base all'*Amélioration du service médical rendu* (AMSR) che si basa sul risultato della valutazione comparativa del nuovo prodotto con prodotti o terapie esistenti, queste riflettono innovazioni maggiori, miglioramenti importanti, miglioramenti significativi, miglioramenti minori oppure nessun miglioramento. La classificazione all'interno delle categoria AMSR determina il livello di prezzo che la terapia può ottenere nel processo di negoziazione.

In Spagna, non esiste una preferenza esplicita per nessuna delle tecniche di valutazioni economiche, pertanto tutte e quattro (analisi di minimizzazione dei costi – AMC, analisi costo-efficacia – ACE, analisi costo-utilità – ACU e analisi costo-beneficio – ACB) possono essere usate per misurare l'impatto economico di una scelta terapeutica (Lozano-Blazquez et al., 2015). Tuttavia, l'utilizzo delle valutazioni economiche non è ancora inserito in modo formale nei processi decisionali e non ci sono evidenze su quanto peso abbiano nella determinazione delle politiche per il rimborso delle tecnologie sanitarie.

Da questa breve analisi delle esperienze nel contesto Europeo, è evidente una grande variabilità rispetto alle tre dimensioni indagate. Non c'è una convergenza sui metodi di valutazioni economica prevalenti e, di conseguenza, sui criteri guida per le raccomandazioni circa la copertura delle tecnologie sanitarie. Differenze ancora più profonde si riscontrano sul terzo aspetto, sul livello di coerenza delle raccomandazioni, anche se è importante sottolineare che in tutti i Paesi analizzati si riscontra una progressiva apertura verso le tecniche di valutazioni economiche come base delle decisioni per l'introduzione e l'uso di tecnologie sanitarie nei contesti nazionali, in linea con gli sviluppi al livello internazionale descritti sopra.

18.3.4 I criteri decisionali: opportunità e svantaggi dei diversi approcci e raccomandazioni per il contesto italiano

Dall'analisi dei contesti internazionali e alla luce delle recenti esperienze nel nostro Paese, abbiamo identificato tre possibili approcci che potrebbero guidare l'orientamento che la Cabina di Regia adotterà per prendere le decisioni. Nei paragrafi successivi ne discutiamo le opportunità e i possibili svantaggi.

a) *Analisi costo-efficacia/costo utilità*

L'analisi costo-efficacia (ACE) è sicuramente la tecnica economica più diffusa mentre meno convergenza vi è su quale dovrebbe essere l'unità di misura da adottare per l'*outcome* sanitario. Il QALY è spesso la più citata ma probabilmente la meno utilizzata in pratica dai decisori per dare raccomandazioni. I motivi sono diversi. Il QALY misura la quantità di vita in perfetta salute prodotta dai servizi sanitari ma non si cura della distribuzione della stessa nella popolazione sollevando così problemi di equità distributiva. Inoltre alcuni studi hanno evidenziato come il paradigma concettuale alla base dei QALYs non sia corretto (Brouwer et al., 2008; Beresniak et al., 2014).

L'HTA che utilizza l'ACE o l'ACU come approccio dominante normalmente produce raccomandazioni positive, negative o intermedie (in attesa cioè di divenire definitive man mano che venga sviluppata nuova evidenza come ad esempio nel caso di decisioni *Only-In-Research* o *Approval Within Research*) perché confronta il rapporto incrementale costo-efficacia con un valore soglia (in UK questo è rappresentato dal *range* di 20,000-30,000 £/QALY). In assenza di un valore soglia diventa impossibile decidere se la tecnologia è costo-efficace in quanto il concetto di costo-efficacia non ha valore per sé ma solo in relazione a un *benchmark*. Il valore soglia rappresenta la disponibilità a pagare della società per ottenere una unità incrementale di *outcome* sanitario (es. QALY). La disponibilità a pagare della società per unità incrementale di efficacia può essere stimata in vari modi (es. decisioni passate), ancorché nessuno di essi sia perfetto e presenti limiti. Il vero punto, tuttavia, qui non è come stimare il valore soglia ma se la Cabina di Regia intenderà adottare questo approccio ben sapendo che, una volta stabilito il valore (puntuale o intervallo che sia), a vantaggio della trasparenza e della certezza, dovrà controbilanciare un certo grado di rigidità, pochi spazi di manovra e sicuramente un certo livello di malcontento da parte di quelle parti sociali che inevitabilmente si sentiranno penalizzate dall'applicazione del valore soglia.

b) *Analisi costo benefici*

Un altro approccio è quello dell'analisi costo-beneficio (ACB) che misura in termini monetari sia gli *outcome* di salute sia i costi. Decidere diventa più semplice in questo caso perché saranno privilegiate le tecnologie sanitarie i cui benefici sono maggiori dei costi. Non c'è quindi bisogno di un valore soglia. I benefici vengono misurati in base alla disponibilità a pagare dei consumatori sul presupposto che quello che conta sono le preferenze espresse dai consumatori e quanto essi siano disposti a pagare per ottenere i benefici del bene o servizio. La massima somma di denaro che il consumatore è disposto a pagare rivela quindi il valore monetario dell'utilità, ovvero dei benefici ottenuti dal consumo di un certo bene o servizio. In questo modo si è certi di tenere conto delle preferenze dei consumatori/pazienti la cui voce è spesso assente nell'ACE o ACU.

La disponibilità a pagare può essere misurata osservando il comportamento reale dei consumatori (metodo delle preferenze espresse), oppure stimando quello che sarebbe stato il comportamento dei consumatori in un ipotetico mercato (metodo della valutazione contingente). Il metodo delle preferenze espresse misura la disponibilità a pagare degli individui osservando le decisioni realmente prese dai consumatori. Questo approccio è stato utilizzato in economia ambientale e in economia dei trasporti. Nel mercato del lavoro, ad esempio, sono stati condotti studi in cui l'obiettivo era quello di misurare la relazione esistente tra i rischi sanitari associati ad un lavoro particolarmente dannoso per la salute (si pensi all'esposizione verso agenti inquinanti) e il livello di salario che gli individui richiedevano come forma di compensazione del rischio sanitario a cui sarebbero stati esposti se avessero accettato il lavoro. Il vantaggio principale di questo approccio è che si basa su scelte concrete e non ipotetiche. Tuttavia diversi sono i problemi. In primo luogo, il valore attribuito al rischio sanitario e, conseguentemente, alla vita umana, varia enormemente da lavoro a lavoro. In secondo luogo, non è detto che gli individui percepiscano esattamente il rischio sanitario di un determinato lavoro. Il mercato del lavoro non è perfettamente concorrenziale e molte imperfezioni possono quindi distorcere il comportamento degli individui. Non è detto cioè che il livello di salario accettato dall'individuo sia esattamente equivalente al valore attribuito dallo stesso individuo al rischio sanitario associato al lavoro svolto. Ancora, risulta difficile applicare l'approccio delle preferenze espresse ai programmi sanitari poiché la salute e le prestazioni sanitarie non vengono solitamente acquistate nel mercato. Infine, è opinione diffusa che – quando possibile – il rischio di salute non si paga ma si elimina. Si tende cioè ad evitare e a prevenire i rischi sul lavoro piuttosto che a compensarli.

Per questi motivi si preferisce utilizzare il metodo della valutazione contingente per la misurazione dei benefici. L'approccio della valutazione contingente consiste nel chiedere direttamente agli individui la massima disponibilità a pagare per ottenere i benefici di uno specifico programma sanitario che viene descritto in termini di ipotetico scenario. La peculiarità di questa metodologia rispetto alle preferenze espresse è che le preferenze dei consumatori si basano su scenari ipotetici – da qui valutazione contingente – e non reali. Come per i QALYs, anche in questo caso siamo di fronte al problema dell'equità distributiva in quanto l'introduzione di una innovazione tecnologica può favorire alcuni ma sfavorire altri (coloro a cui sarà negata un servizio in quanto le risorse sono state allocate diversamente). L'importante è che la somma dei guadagni (di salute) e delle perdite (di salute) sia maggiore di zero, non è importante chi perde e che guadagna. L'ACB è una tecnica complessa ma non più complessa dell'ACE o dell'ACU, tuttavia non ha trovato grande riscontro in sanità sia per motivi tecnici sia per una ridotta accettazione da parte dei decisori che si trovano a disagio a «trattare» la produzione di salute in unità monetaria e non fisica. Ovviamente questo è un falso problema perché l'ACE o l'ACU si comportano allo

stesso modo, definiscono cioè qual è il valore monetario che si è disposti a pagare per ottenere un'unità incrementale di efficacia, con la differenza che a determinare questo valore non è il consumatore/paziente ma il decisore pubblico con modalità non sempre chiare e oggettive.

c) *Multiple Criteria Decision Analysis*

Un altro approccio che sta riscuotendo un certo grado di interesse in sanità è quello del *Multiple Criteria Decision Analysis* (MCDA). Il MCDA nasce come un'estensione della teoria delle decisioni per occuparsi di qualsiasi decisione che abbia più di un obiettivo (Keeney e Raiffa, 1976). In sanità accade molto spesso che gli *outcome* di una tecnologia o procedura siano più di uno e, soprattutto, abbiano ricadute su soggetti diversi (es. pazienti, clinici, ospedali, ecc.). Così, piuttosto che convertirli in unità monetaria o in misura di utilità, il MCDA determina l'opzione migliore sulla base dell'analisi di come i decisori (o più in generale gli *stakeholders*) siano disposti a scambiare/ordinare gli *outcome*.

Il MCDA consiste in una pluralità di metodi e approcci. Tutti hanno tuttavia alcuni aspetti in comune e cioè la separazione del problema decisionale in diversi criteri mutualmente indipendenti, la quantificazione di questi criteri e, infine, l'aggregazione degli stessi per arrivare a un valore finale (Wahlster et al., 2015). Il MCDA si sta diffondendo velocemente in sanità e sono diverse le decisioni per cui è stato utilizzato (Thokala et al., 2016). Per quanto riguarda più specificamente l'utilizzo del MCDA in HTA, l'agenzia tedesca (G-BA) ha usato il MCDA con l'obiettivo di incorporare le preferenze dei pazienti nel processo decisionali. In Thailandia, ad esempio, l'istituto che si occupa di determinare quali servizi debbano essere coperti universalmente (*National Health Security Office*) ha utilizzato il MCDA per supportare il processo decisionale circa l'inclusione o meno di alcuni servizi e prestazioni sanitarie tra quelle garantite a tutta la popolazione (Youngkong et al., 2012). La valutazione MCDA ha seguito in quel caso quattro fasi: innanzi tutto selezione degli interventi da valutare; selezione ulteriore degli interventi da sottoporre ad analisi quantitativa sulla base di severità, prevalenza, efficacia, variazione della pratica clinica, impatto economico sulle famiglie ed equità; conduzione di ACE e analisi di impatto sul budget per gli interventi identificati; valutazione e consenso qualitativo raggiunto tra i decisori su quali procedure includere tra le prestazioni garantite. In generale, quest'approccio ha permesso di stabilire priorità e allocare risorse secondo una modalità percepita come razionale, trasparente ed equa. In Lombardia, la Regione ha sviluppato un programma di valutazione delle tecnologie sanitarie (VTS) che si basa sull'*HTA Core Model*[®] di EUnetHTA e sul framework EVIDEM (*Evidence and Value: Impact on Decision Making*). Il VTS consiste in tre fasi: 1) prioritizzazione delle richieste; 2) valutazione completa delle tecnologie selezionate in base al *HTA Core Model*[®] di EUnetHTA; 3) raccomandazione sulle tecnologie valutate sulla base del framework EVIDEM.

L'utilizzo del MCDA da parte della Regione Lombardia per produrre raccomandazioni può sicuramente essere un incentivo per la Cabina di Regia a considerare questo approccio e ad estenderlo a livello nazionale. Tuttavia, la diffusione del metodo in HTA è stata molto veloce e recente e le evidenze raccolte oggi ne mettono in luce diversi aspetti critici, quale ad esempio la scelta degli *stakeholders*, la (troppa) varietà dei metodi, la cui scelta influisce sul risultato rendendolo quindi poco stabile, la difficile replicabilità degli studi, etc. La tecnica merita sicuramente attenzione e approfondimento. A questo scopo l'ISPOR (*International Society for Pharmacoeconomics and Outcome Research*) ha creato una Task Force (Thokala et al., 2016; Marsh et al. 2016) con l'obiettivo di analizzare in dettaglio i metodi utilizzati, gli scopi perseguiti, gli effetti raggiunti per poter offrire una guida a coloro che vogliono avvicinarsi al MCDA. Gli esiti della Task Force non sono ancora conclusivi e ulteriore ricerca sarà necessaria per stabilire il grado di efficacia di questo metodo per l'HTA.

18.4 Conclusioni

In questo capitolo abbiamo illustrato gli importanti sviluppi per l'HTA nel contesto internazionale negli ultimi anni, dalla istituzione dell'HTA Network al ruolo strategico del *joint work*. Lo scenario delineato a livello europeo richiama conseguentemente delle risposte a livello di Stati Membri e suggerisce indicazioni per l'articolazione dei vari sistemi HTA nazionali. Nella seconda parte del capitolo, abbiamo pertanto identificato le principali sfide per l'implementazione del Programma Nazionale HTA 2016-2018, ovvero: 1) *governance* del programma; 2) finanziamento; 3) *priority setting*; 4) metodi di *assessment*; 5) *appraisal*.

In altre sedi abbiamo avanzato proposte dettagliate su una *governance* che tenga in considerazione i vari attori e ruoli all'interno dell'architettura del Piano Nazionale HTA (Boscolo et al., 2015). Dopo aver brevemente trattato del finanziamento e dei criteri di priorità, in questo lavoro abbiamo focalizzato la riflessione soprattutto sulle fasi di *assessment* (metodi per la valutazione economica) e sulla fase di *appraisal* (collegamento tra valutazione e decisione), come elemento di maggiore criticità e, probabilmente, fattore chiave per il successo del Piano Nazionale HTA. Stabilire per quali decisioni e in quale maniera utilizzare l'HTA (es. rimborso, prezzo secondo il principio del *value based pricing*) e quale livello di cogenza attribuire per i diversi livelli decisionali sarà decisivo per confermare la bontà dell'intero programma. Dei criteri decisionali illustrati, l'uso del valore soglia da applicare ai risultati di analisi costo-utilità ci avvicinerebbe al modello inglese, a cui siamo legati come impostazione del servizio sanitario nazionale (NHS e SSN). Tuttavia, il nostro SSN è, almeno finora, più ispirato dal principio di equità e molto meno da quello di efficienza, che invece sta alla base dell'approccio inglese. Allo stesso modo l'analisi costi-benefici non sembra in

linea con la cultura, la storia e il contesto valoriale e istituzionale del SSN Italiano. L'approccio che ad oggi potrebbe rappresentare un'alternativa ragionevole è il MCDA, sebbene alcuni aspetti della sua implementazione, se non minuziosamente curati, potrebbero limitarne la validità ed efficacia. Ancora impegno e apertura ai contributi dei vari portatori di interesse ed esperti a vari livelli saranno necessari nei prossimi mesi per portare a compimento il Piano Nazionale HTA lanciato lo scorso anno e garantirgli piena ed efficace attuazione.

Bibliografia

- Banta D. e Oortwijn W. (2000), «Health technology assessment and health care in the European Union», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16, pp. 626-35.
- Beresniak A., Medina-Lara A., Auray J.P., de Wever A., Praet J.C., Tarricone R., Dupont D., Lamure M., Durue G. (2015), «Validation of the underlying assumptions of the quality-adjusted life-years outcome: results from the ECHOUTCOME European Project», *Pharmacoeconomics* 2015,33(1), pp. 61-9.
- Boscolo P.R., Ciani O., Tarricone R., Torbica A. (2015), «La funzione di HTA nelle aziende sanitarie italiane: un potenziale ancora inutilizzato?», in Longo F. (a cura di), *Rapporto OASI 2015*, Milano, Egea, pp. 581-603.
- Brouwer W., van Exel J., Baker R., Donaldson C. (2008), «The new myth», *Pharmacoeconomics*, 26(1), pp. 1-4.
- Caro J.J., Nord E., Siebert U., McGuire A., McGregor M., Henry D., de Pouvourville G., Atella V., Kolominsky-Rabas P. (2010), «The efficiency frontier approach to economic evaluation of health-care interventions», *Health Economics*; 19(10), pp. 1117-27.
- Ciani O., Torbica A., Tarricone R. (2012), «Diffusion and use of health technology assessment in policy making: what lessons for decentralised healthcare systems?», *Health Policy*, 108(2-3), pp. 194-202.
- Ciani O. e Jommi C. (2014), «The role of health technology assessment bodies in shaping drug development», *Drug Design, Development and Therapy*, 10(8), pp. 2273-81.
- Ciani O., Wilcher B., Blankart C.R., Hatz M., Rupel V.P., Erker R.S., Varabyova Y., Taylor R.S. (2015), «Health Technology Assessment of Medical Devices: A Survey of Non-European Union Agencies», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 31(3), pp. 154-65.
- Drummond M., de Pouvourville G., Jones E., Haig J., Saba G., Cawston H. (2014), «A comparative analysis of two contrasting European approaches for rewarding the value added by drugs for cancer: England versus France», *Pharmacoeconomics*. 32(5), pp. 509-520.

- Eisenberg J.M. (2002), «Globalize The Evidence, Localize The Decision: Evidence-Based Medicine And International Diversity», *Health Affairs*, 21(3), pp. 166-168.
- Franken M., le Polain M., Cleemput I., Koopmanschap M. (2012), «Similarities and differences between five European drug reimbursement systems», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 28, pp. 349-57.
- Guthrie S., Bienkowska-Gibbs T., Manville C., Pollitt A., Kirtley A., Wooding S. (2015), «The impact of the National Institute for Health Research Health Technology Assessment programme, 2003-13: a multimethod evaluation», *Health Technology Assessment*; 19(67).
- Keeney R.L., Raiffa H. (1976), «Decisions with multiple objectives: preferences and value trade-offs», New York, John Wiley.
- Lozano-Blazquez A., Dickson R., Fraga-Fuentes M.D., Martinez-Martinez F., Calleja-Hernandez M.A. (2015) «Differences in cancer drug assessment between Spain and the United Kingdom», *European Journal of Cancer*, 51(13), pp. 1843-1852.
- Mannocci A., Ricciardi W., La Torre G. (2009), «Public-health research: are there differences between northern, southern and eastern european countries? A perspective from national public health associations», *Italian Journal of Public Health*, 6 (1), pp. 88-92.
- Marsh K., Ijzerman M., Thokala P., Baltussen R., Boysen M., Kalo Z., Lonngren T., Mussen F., Peacock S., Watkins J., Devlin N. (2016), «Multiple Criteria Decision Analysis for health care decision making. An introduction: report 2 of the ISPOR MCDA emerging good practices task force», *Value in Health*, 19, pp. 125-137.
- Mason A., Drummond M., Ramsey S., Campbell J., Raisch D. (2010), «Comparison of Anticancer Drug Coverage Decisions in the United States and United Kingdom: Does the Evidence Support the Rhetoric?» *Journal of Clinical Oncology*, 28, pp. 3234-3238.
- National Institute of Health and Care Excellence, (2014) *Guide to the processes of technology appraisal*. London: NICE.
- Oortwijn W., Mathijssen J., Banta D. (2010), «The role of health technology assessment on pharmaceutical reimbursement in selected middle-income countries», *Health policy*, 95, pp. 174-84.
- Oortwijn W., Broos P., Vondeling H., Banta D., Todorova L. (2013), «Mapping of health technology assessment in selected countries», *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 29, pp. 424-34.
- Sorenson C., Drummond M., Kanavos P. (2008), *Ensuring value for money in health care*. The European Observatory on Health Systems and Policies. Observatory Studies Series No.11.
- Tarricone R., Torbica A., Ferré F., Drummond M. (2014), «Generating appropriate clinical data for value assessment of medical devices: what role does

regulation play?», *Expert Reviews of Pharmacoeconomics and Outcomes Research*, 14(5), pp. 707-18.

Tarricone R. (2015), «L'HTA in Italia. Una nuova era», *Quotidiano Sanità*, <http://www.quotidianosanita.it/allegati/allegato4590749.pdf>

Thokala P., Devlin N., Marsh K., Baltussen R., Boysen M., Kalo Z., Langrenn T., Mussen F., Peacock S., Watkins J., Ijzerman M. (2016), «Multiple Criteria Decision Analysis for health care decision making. An introduction: report 1 of the ISPOR MCDA emerging good practices task force», *Value in Health*, 19, pp. 1-13.

Wahlster P., Goetghebeur M., Kriza C., Niederlander C., Kolominsky-Rabas P., (2015), «Balancing costs and benefits at different stages of medical innovation: a systematic review of multi-criteria decision analysis (MCDA)», *BMC Health Services Research*, 15(262), pp.1-12.

Youngkong S., Baltussen R., Tantivess S., Mohara A., Teerawattananon Y. (2012), «Multicriteria Decision Analysis for Including Health Interventions in the Universal Health Coverage Benefit Package in Thailand», *Value in Health*, 15, pp.961-970.