

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT

Di cosa stiamo parlando?

Nuove soluzioni terapeutiche e tecnologie innovative nella diagnosi o nella chirurgia, dispositivi medici in evoluzione e protocolli di prevenzione aggiornati nel campo sanitario richiedono una comprensione approfondita del loro ingresso in sanità. Questa valutazione sistematica è affidata all'health technology assessment (hta), un processo gestito dai sistemi sanitari nazionali attraverso programmi dedicati e una governance che rispetta le direttive comunitarie, come nel caso italiano. Prima di esplorare il complesso iter applicativo, definire l'hta è il necessario punto di partenza.

Secondo l'Organizzazione mondiale della sanità (Oms), l'hta è una "una valutazione sistematica e multidisciplinare delle tecnologie e degli interventi sanitari che copre sia le loro conseguenze dirette che indirette. Si tratta di un processo multidisciplinare che mira a determinare il valore di una tecnologia sanitaria e a fornire indicazioni su come queste tecnologie possano essere utilizzate nei sistemi sanitari di tutto il mondo"¹. Questo processo – prosegue l'Oms – è caratterizzato dai principi di trasparenza e responsabilità, in mano ai decisori e portatori di interessi che sostengono le decisioni di politica sanitaria fornendo prove scientifiche. Ed è, anche, un ponte tra mondo della ricerca e del policy making.

In sintesi, l'hta è un percorso che consente l'analisi multidimensionale delle diverse implicazioni di una tecnologia in ambito sanitario, coprendo aspetti medico-clinici, sociali, organizzativi, economici, etici e legali. Attraverso la valutazione di efficacia, sicurezza, costi e impatto sociale-organizzativo, l'obiettivo è realizzare una sanità più sicura, efficiente e orientata al paziente.

Evoluzione e definizione della materia

Oggi a fronte dei crescenti bisogni di una popolazione che invecchia e i limiti sempre più stringenti dei budget pubblici per la salute, l'industria continua a offrire una vasta gamma di tecnologie e interventi. Diventa pertanto cruciale stabilire metodi ottimali per selezionare, stabilire i prezzi e analizzare gli effetti concreti in ambito sanitario, economico, sociale nel ciclo di vita completo dell'innovazione adottata, considerando anche gli effetti potenziali, cioè cosa accadrebbe escludendo una determinata tecnologia.

Anche se affronta una vasta gamma di questioni, l'hta è nato per essere sistematico. Citato per la prima volta dall'Oms oltre trent'anni fa, è evoluto da un strumento basato sulle evidenze scientifiche e orientato alla copertura sanitaria internazionale a un concetto più ampio fino a considerare l'assistenza centrata sulla persona, la qualità dei servizi offerti e la convenienza delle risorse investite².

Dai primi anni Novanta in poi, la ricezione globale delle direttive Oms è stata frammentaria e, soprattutto, su base volontaria. In Europa si basava su reti spontanee nate in seno alle autorità nazionali (gli hta network, noti nell'Unione europea (Ue) come EUnetHta) e su reti che si sostenevano su progetti sporadici. Per superare questo sistema disarticolato è nato un dibattito che ha portato alla definizione del regolamento Ue 2021/2282³, noto come l'Htar, unico per ogni membro dell'Ue che mira a rafforzare la qualità delle valutazioni delle tecnologie sanitarie. Prima di esso era in vigore la direttiva 2011/24/Ue, volta a garantire la concorrenza leale degli operatori sanitari operanti nell'Ue. Il suo merito è stato introdurre la necessità di una valutazione centralizzata e trasparente. Tuttavia, secondo gli addetti ai lavori, il compito di armonizzare le procedure non è andato buon fine.

Le domande chiave

Un nuovo medicinale è più efficace nel trattamento di una determinata malattia?

I costi e i benefici attesi presentano un sufficiente rapporto qualità-prezzo rispetto agli interventi sanitari alternativi?

Come confrontare un nuovo medicinale con uno esistente considerando i pazienti, la malattia e l'esito per i pazienti stessi?

L'uso di un nuovo dispositivo medico porterà a diagnosi o trattamenti migliori?

Gli assunti del nuovo regolamento Htar sono chiari: le tecnologie sanitarie (medicinali, dispositivi medici e medico-diagnostici in vitro, procedure mediche, misure per la prevenzione, la diagnosi e la cura delle malattie) costituiscono un settore economico importante che, globalmente, rappresenta il 10 per cento del pil dell'Unione europea. Per determinarne l'efficacia sono necessari processi di valutazione evidence-based e incentrati sul valore aggiunto delle innovazioni rispetto all'esistente. Considerato, dunque, l'hta come criterio centrale ed efficace, il regolamento ha lo scopo di rafforzarne la qualità per poi orientare le decisioni degli Stati membri all'assegnazione di risorse in sistemi

sanitari sostenibili e a promuovere l'innovazione a beneficio dei pazienti⁴.

L'Htar affronta domande chiave⁵ riguardo all'efficacia dei nuovi medicinali, ai costi e benefici rispetto alle alternative, e alla comparazione tra nuovi e vecchi farmaci. Ne valuta sia aspetti clinici che non clinici, compresi gli elementi economici, etici, organizzativi, sociali e giuridici. L'oggetto del regolamento è, dunque, molto ampio, per un campo di applicazione altrettanto esteso.

Htar non interferisce sulla competenza degli Stati, ma fornisce un framework, un quadro di cooperazione, "trasparente e inclusivo". E indica come necessaria soprattutto la formazione di un Gruppo di coordinamento Hta nazionale per

regolare la cooperazione fra i soggetti coinvolti (clinici, esperti, pazienti) rispetto alle azioni indispensabili per la valutazione.

Istituito da marzo 2022, questo Gruppo gioca un ruolo chiave nella governance di questa legislazione: è responsabile delle valutazioni cliniche congiunte (Joint clinical assessment) e delle consultazioni scientifiche (Joint scientific consultations); si occupa dell'identificazione delle tecnologie sanitarie emergenti (horizon scanning) e dell'armonizzazione delle procedure e metodologie in tutta l'Unione europea. Inoltre ha il compito di coinvolgere e consultare le parti interessate, tra cui organizzazioni di pazienti e di consumatori, associazioni di operatori tecnologici, organizzazioni sanitarie non governative. →

GOVERNANCE STRUCTURE

GRUPPO DI COORDINAMENTO HTA DEGLI STATI MEMBRI

SOTTOGRUPPI

Valutazioni cliniche congiunte (JCA)

JCA reports

MP MD

Consultazioni scientifiche congiunte (JSC)

JSC reports

MP MD

Individuazione di tecnologie sanitarie emergenti

Input for annual work programme

MP MD

Metodologia

Guidance documents

MP MD

MP = Medicinal Products | MD = Medical Devices

NETWORK STAKEHOLDER HTA

Rete di organizzazioni di portatori di interessi: associazioni di pazienti, organizzazioni dei consumatori, organizzazioni non governative nel settore sanitario, sviluppatori di tecnologie sanitarie e operatori sanitari.

- Facilita il dialogo tra le organizzazioni di stakeholder e il gruppo di coordinamento.

- I membri sono organizzazioni ombrello con copertura geografica di diversi Stati membri.

COMMISSIONE CON FUNZIONE DI SEGRETARIATO

Supporto amministrativo

Supporto tecnico

Supporto IT

PIATTAFORMA INFORMATICA

Pagina web accessibile al pubblico

Intranet per il gruppo di coordinamento e i suoi sottogruppi

Intranet per i membri della rete di portatori di interessi



→ Programmi per il futuro

Il regolamento UE 2021/2282 è in vigore da gennaio 2022 ma sarà effettivo solo da gennaio 2025³. Saranno poi necessari altri tre anni per la piena applicazione, un periodo lungo ma necessario per assimilare la trasformazione. Un piano progressivo di attuazione (rolling plan) dettaglia le attività chiave predisposte dalla Commissione europea in un dettagliato cronoprogramma. Le candidature dei portatori di interessi si sono chiuse oltre un anno fa, il 17 febbraio 2023⁶. E oggi sono disponibili in un elenco le 45 organizzazioni della rete di stakeholder e una coppia di organizzazioni con status e funzioni di osservatori⁷.

Per pianificare il futuro dell'Htar, è essenziale arginare alcune preoccupazioni. Il periodo preparatorio prevede la condivisione di informazioni e il coinvolgimento di autorità nazionali, sviluppatori di tecnologie sanitarie e parti interessate sulle fasi di applicazione delle nuove disposizioni.

Nel pieno vigore del nuovo regolamento, ci saranno valutazioni congiunte dell'Unione

europea con gli Stati membri sui nuovi medicinali, concentrando l'attenzione sia sull'ambito clinico, quindi il beneficio rispetto ai trattamenti esistenti, sia sul "non clinical assessment" che include cioè gli aspetti economici, sociali, etici. Per i dispositivi medici ad alto rischio con forte impatto sui pazienti, sulla salute pubblica e sui sistemi sanitari, gli Stati membri si occuperanno degli aspetti non clinici, mentre l'Ue affronterà quelli clinici. Alcune eccezioni riguardano i farmaci oncologici e le terapie avanzate, che saranno materia Ue a partire dal 12 gennaio 2025. Dal 13 gennaio 2028, invece, spetterà al lavoro congiunto la valutazione dei medicinali orfani, quelli cioè destinati alla diagnosi, alla prevenzione e al trattamento delle malattie rare. Solo dal 13 gennaio 2030 la valutazione di tutti i nuovi farmaci rientrerà nelle mani del Gruppo di Coordinamento.

La collaborazione tra gli Stati membri, il coinvolgimento delle parti interessate e l'armonizzazione delle procedure rimangono la parte essenziale della nuova Hta europea.

Maria Frega

1. Who Health technology assessment. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. https://www.who.int/health-topics/health-technology-assessment#tab=tab_1
2. Who. Health products policy and standards. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. <https://www.who.int/teams/health-product-policy-and-standards/assistive-and-medical-technology/medical-devices/assessment>
3. Salvatore V, Ragucci G. The EU HTA regulation: a new frontier for access to innovative technologies. European Pharmaceutical Review. Pubblicato il 25 agosto 2022. <https://www.europeanpharmaceuticalreview.com/article/173762/the-eu-hta-regulation-a-new-frontier-for-access-to-innovative-technologies/>
4. Regolamento (Ue) 2021/2282 del Parlamento europeo e del Consiglio. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32021R2282>
5. Nation centre for pharmacoeconomics, Ireland. European Union Hta regulation. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. <https://www.ncpe.ie/international-collaborations/european-union-hta-regulation/>
6. European commission - Public health. Implementation of the Regulation on health technology assessment. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/regulation-health-technology-assessment/implementation-regulation-health-technology-assessment_en
7. European commission. Health technology assessment stakeholder network. Ultimo accesso: 28 febbraio 2024. https://health.ec.europa.eu/document/download/ee3fea66-d97a-4949-9dd4-71e0cd40f00b_en?filename=hta_htar_list-org.pdf

Vedi anche

Cosa succede negli Stati Uniti?

Quando si tratta di (regolamentazione della) tecnologia, l'Europa mostra spesso più determinazione e unione rispetto agli Stati Uniti. Sarà così anche in campo sanitario? Sembra proprio di sì. I costi delle cure elevati e risultati sanitari insoddisfacenti stanno spingendo gli Stati Uniti verso la progettazione e implementazione di una procedura unificata di hta. Un gruppo di

ricercatori del Leonard D. Schaeffer Center for health policy & economics, istituto di ricerca indipendente presso la University of Southern California, ha sottolineato come l'assenza di un procedimento nazionale di hta porti a soluzioni orientate al mercato. In questo scenario compratore e venditore del settore sanitario scelgono in autonomia, e secondo le proprie convenienze, prezzi e servizi. Non

sono perciò prioritari i principi di trasparenza e condivisione. Tuttavia "il passaggio a un unico approccio nazionale all'hta sarebbe difficile negli Stati Uniti, date le differenze tra le popolazioni coperte dai contribuenti". •

Mulligan K, Lakdawalla D, Neumann P, et al. Health technology assessment for the US Healthcare System. USC Schaeffer. Pubblicato il 26 febbraio 2020.

Le tappe fondamentali dell'hta negli Stati Uniti

