

Tema in primo piano : Politiche sanitarie europee per le associazioni di pazienti



webinar

PATIENTS

Valutazione delle Tecnologie Sanitarie (HTA)

Anna Ponzianelli, PhD

Director of Public Affairs, Cencora Italy
Vice President SIARV

05 May 2026



FITHAD



ebn
ERN | EuroBloodNet



Dichiarazione di conflitto di interessi

Nessun conflitto di interesse.

HTA: la nascita

«L'HTA è un processo multidisciplinare che utilizza metodi espliciti per determinare il valore di una tecnologia sanitaria in diversi punti del suo ciclo di vita. Lo scopo è quello di informare il processo decisionale per promuovere un sistema sanitario equo, efficiente e di alta qualità»*

L'HTA valuta tecnologie e interventi sanitari per ottimizzare l'uso delle risorse, supportando decisioni basate su evidenze.

«La valutazione delle tecnologie sanitarie è un ponte tra Scienza e Decisioni»



R.N. Battista 2005



HTA: gli obiettivi

L'obiettivo principale dell'HTA è fornire una base di evidenze scientifiche per informare le decisioni in ambito sanitario, favorendo un uso più efficiente delle risorse disponibili. In particolare, l'HTA mira a*:

Valutare l'efficacia clinica relativa

Stimare il rapporto costo-efficacia

Supportare la sostenibilità del SSN

Analizzare la sicurezza

Valutare l'impatto etico e sociale

Favorire l'innovazione responsabile

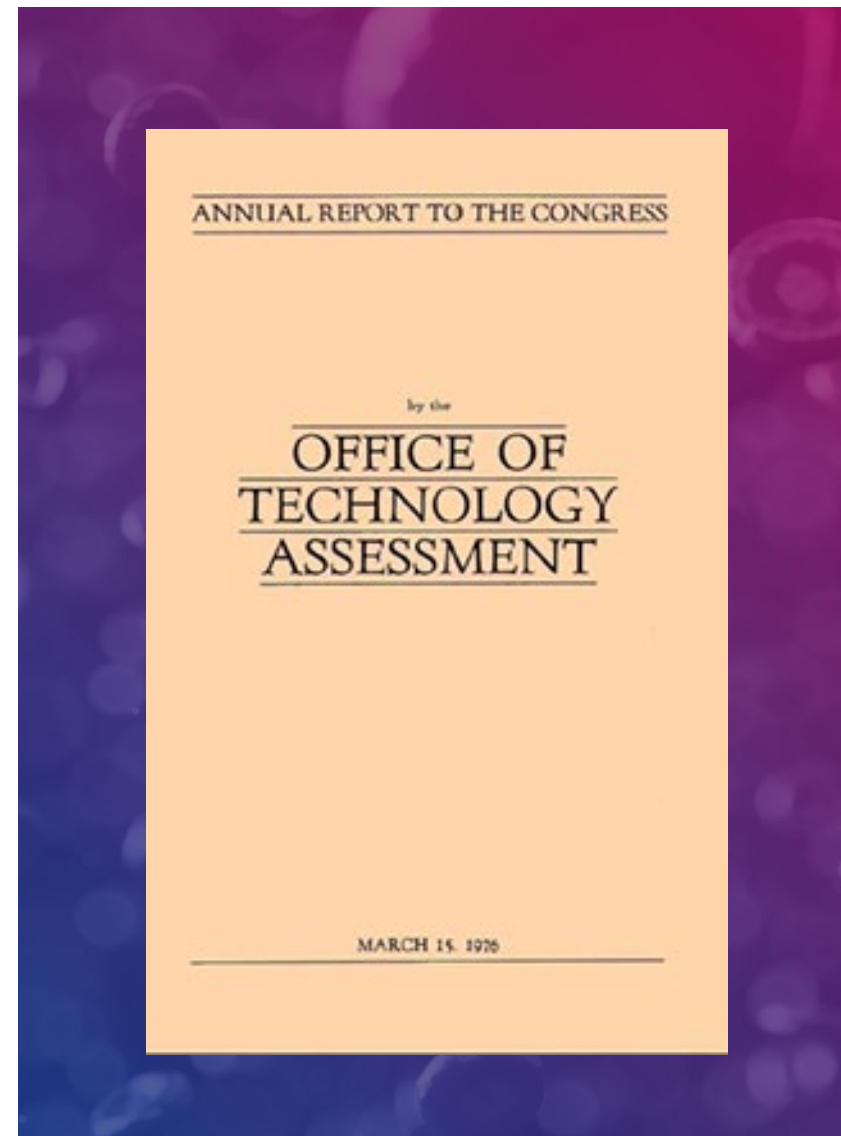


HTA = strumento del processo decisionale sanitario

*Tantivess, S., Velasco Garrido, M., & Borrazzo, E. (2020). The Role of HTA in Evidence-Informed Policy Making for Health Systems Strengthening: A Global Perspective. *Health Research Policy and Systems*, 18(1), 1-12.

HTA: la nascita

L'HTA nasce nel 1976, quando l'Office of Technology Assessment (OTA) del Congresso USA pubblicò il Rapporto sull'HTA, come risposta alla necessità di valutare l'efficacia, la sicurezza e l'impatto economico delle tecnologie*.



HTA: e poi?

L'**INAHTA** (International Network of Agencies for HTA) è un'organizzazione fondata nel **1993** con l'obiettivo di creare una rete internazionale tra le agenzie di HTA.

Oggi INAHTA comprende **53 agenzie in 33 Paesi** supportando le decisioni sanitarie per 1 Mld di persone.

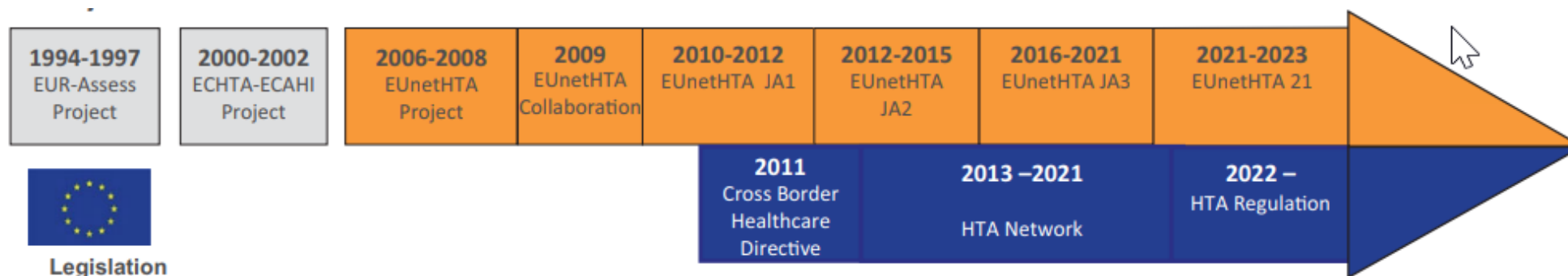
L'European network for Health Technology Assessment (**EUnetHTA**) nasce nel **2005** come rete di organizzazioni con lo scopo di produrre contributi per lo sviluppo dell' HTA in EU



HTA Regulation: un percorso lungo 30 anni

L' European Network for Health Technology Assessment e gli obiettivi:

- ❑ Istituire un meccanismo di rete permanente di valutazione delle tecnologie sanitarie in EU
- ❑ Armonizzazione dei metodi e condivisione dei risultati
- ❑ Collaborazione continua a livello europeo



Fonte: Ruether A Imaz-Iglesia I, Bélorgey C, **Lo Scalzo A**, Garrett Z, Guardian M.(2022). European collaboration on health technology assessment: looking backward and forward. International Journal of Technology Assessment in Health Care, 38(1), e34, 1-4



EUnetHTA – Mission & Values

Vision:

EUnetHTA è il facilitatore della collaborazione Europea ai fini dell'HTA

Mission:

EUnetHTA supporta la collaborazione fra le organizzazioni di HTA EU deputate a portare valore aggiunto ai sistemi sanitari a livello Europeo, Nazionale e Locale

Values:

- ✓ Universalità, Equità, Solidarietà ed Efficienza della produzione di HTA
- ✓ Sostenibilità dei sistemi assistenziali
- ✓ Utilizzo delle migliori evidenze, standard metodologici, fiducia e trasparenza

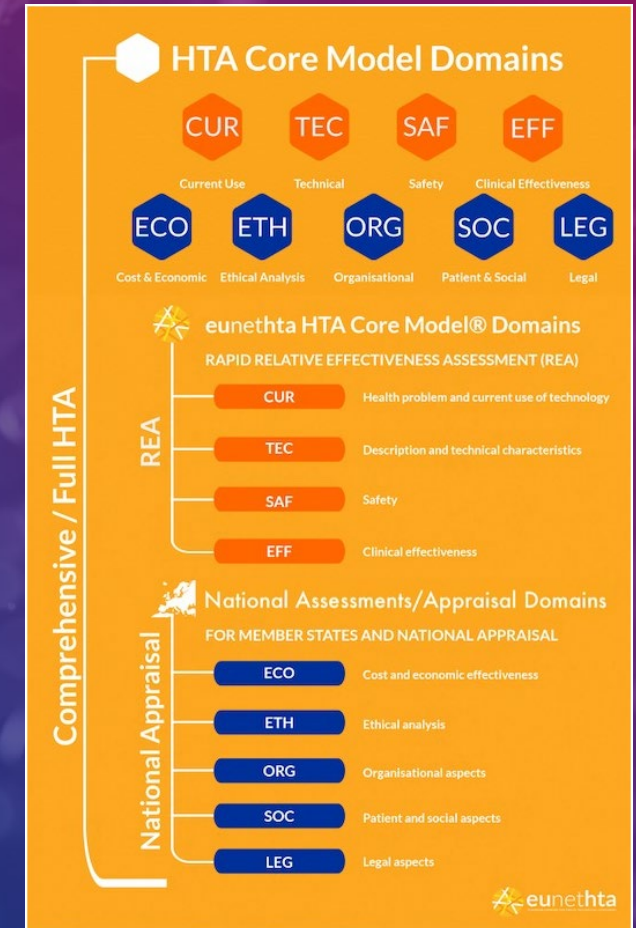


EUnetHTA – HTA Core Model

EUnetHTA ha sviluppato applicazioni del HTA Core Model mirate a restituire un assessment rapido delle tecnologie sanitarie in specifiche aree terapeutiche.

Table 1. Domains of HTA

1. Health problem and current use of technology (CUR)
2. Description and technical characteristics of technology (TEC)
3. Safety (SAF)
4. Clinical effectiveness (EFF)
5. Costs and economic evaluation (ECO)
6. Ethical analysis (ETH)
7. Organisational aspects (ORG)
8. Patients and Social aspects (SOC)
9. Legal aspects (LEG)



EUnetHTA network for Health Technology Assessment JA3 2016-2020



HTA Regulation:

il percorso a partire da EUnetHTA 21

Il 31 gennaio 2018 la Commissione europea ha adottato una proposta di regolamento HTA incentrata sul lavoro congiunto tra gli Stati Membri rispetto a:

1. Valutazioni cliniche delle tecnologie innovative a maggior impatto
2. Consultazione nei confronti delle Aziende produttrici
3. Identificazione delle tecnologie emergenti

- 22 giugno 2021: Consiglio e Parlamento EU raggiungono accordo sulla proposta legislativa
- 13 dicembre 2021: Adozione Regolamento EU 2282/2021
- 11 Gennaio 2022: Entrata in Vigore EU 2282/2021
- 12 Gennaio 2025: Applicazione per ATMP esd Oncologici

Il **Regolamento HTA** stabilisce un quadro di valutazione collaborativo che regoli l'Accesso all'innovazione delle Tecnologie Sanitarie:

Farmaci, D.M. Classe IIB/III e D.M. Diagnostici in Vitro



Osservatori EEA:
Norvegia, Liechtenstein, Islanda

HTA Regulation: da EMA al Coordination Group HTA

EMA garantisce l'AIC, Notified Body garantiscono marchio CE → valutazioni rischio/beneficio 'assolute', nel rispetto del principio di universalità dell'accesso alle cure e senza considerare need e/o disponibilità a pagare dei singoli Stati Membri

Il HTACG coordina e adotta il lavoro svolto attraverso procedure atte ad assicurare la cooperazione degli SM coinvolgendo lo SH Network → Garanzia di una Valutazione Clinica Congiunta

Efficacia e Sicurezza

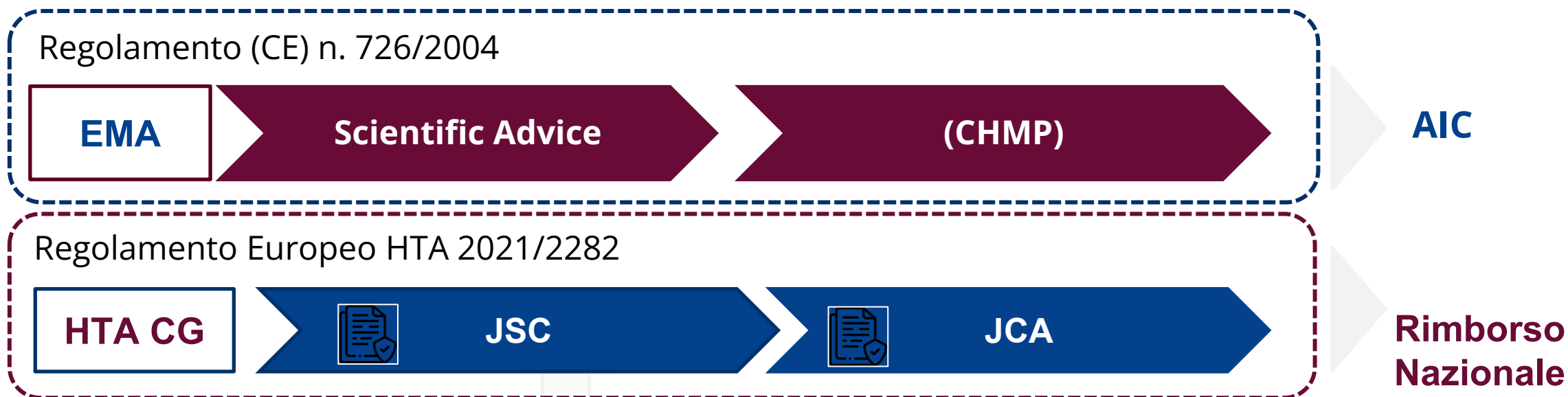


Efficacia Relativa



HTA Regulation

Parallelamente ad EMA, HTA CG coordina il Joint Clinical Assessment con l'obiettivo di fornire una valutazione comparativa di specialità sulla base di input degli SM



OBIETTIVI del JSC

Scambiare informazioni sulla progettazione degli studi comparatori, interventi, esiti di salute e le popolazioni di pazienti (**PICO**)

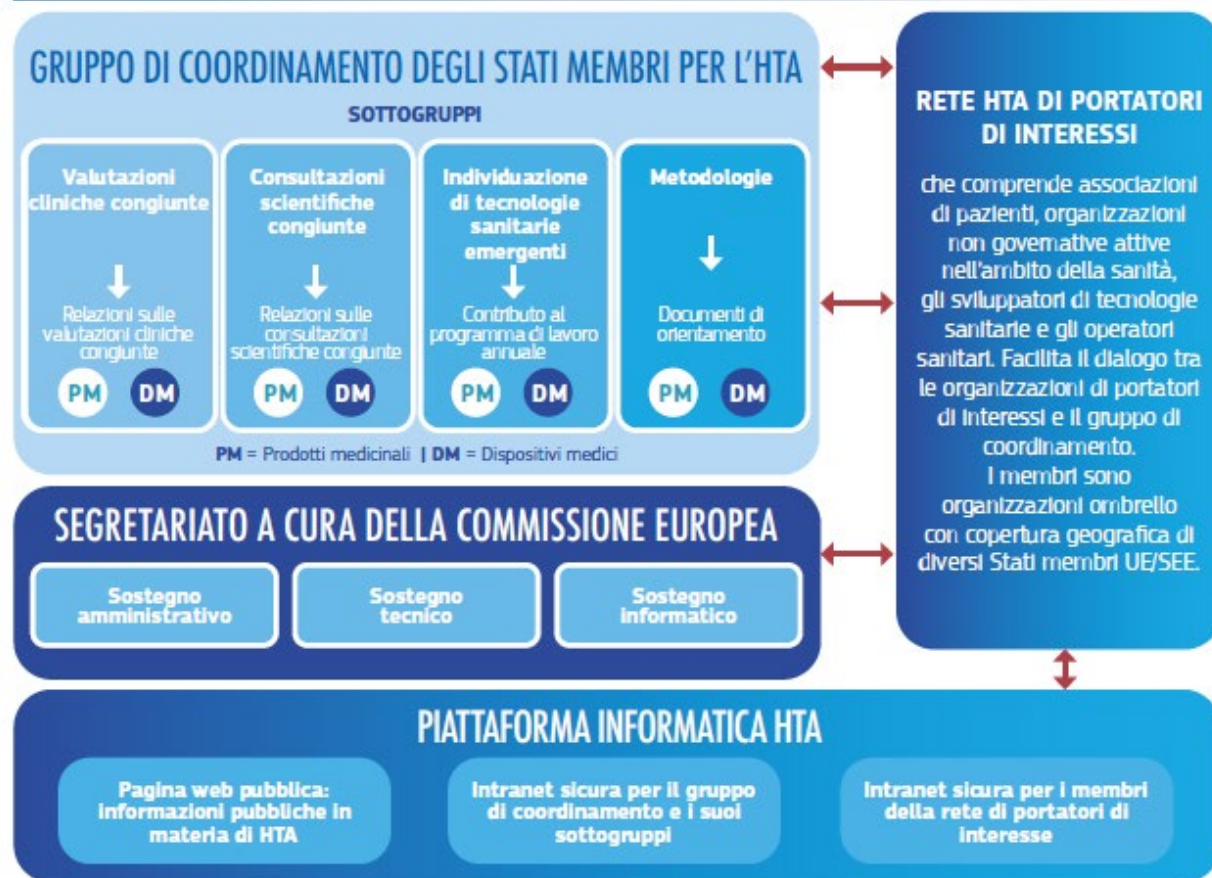
OBIETTIVI del JCA

Fornire una valutazione comparativa europea per orientare le fasi di valutazione nazionale



HTA Regulation

STRUTTURA DELLA GOVERNANCE



Gli Stati Membri designano i propri membri del **Gruppo di Coordinamento (CG)**:

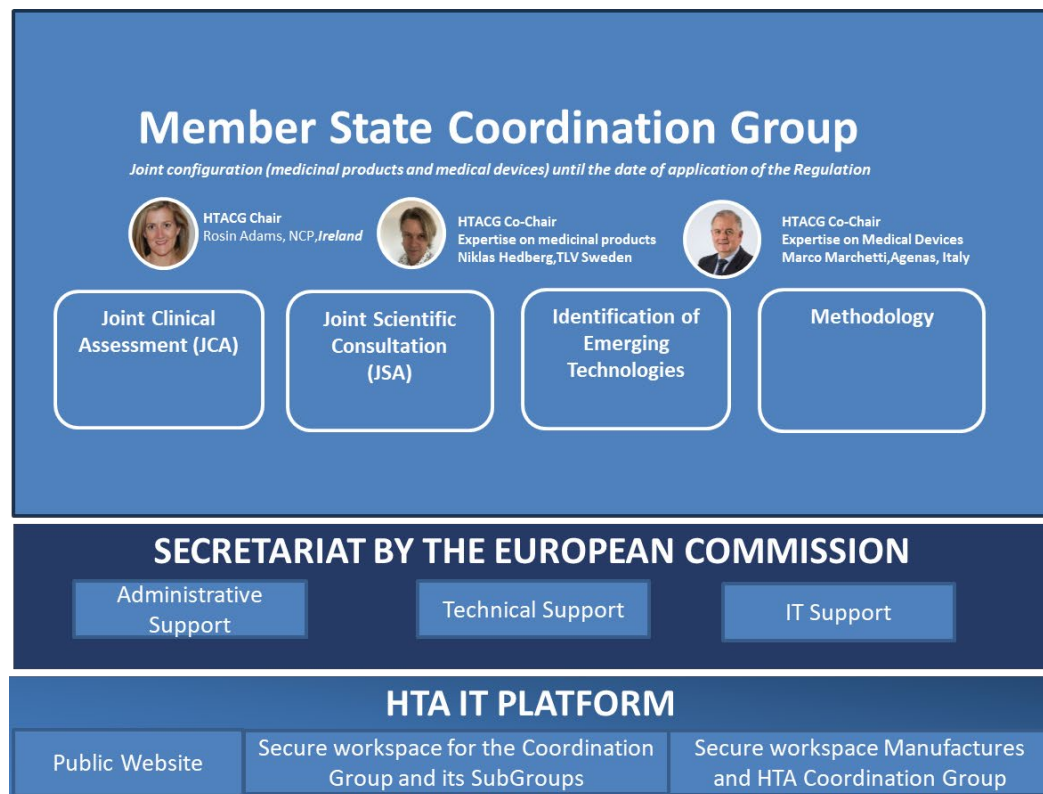
I membri del CG nominano i propri rappresentanti e designano i rispettivi organismi e autorità nazionali o regionali quali membri dei **4 Sottogruppi (CG Sub-groups)**:

- ☐ **Valutazione Clinica Congiunta (JCA)**
- ☐ **Consultazioni Scientifiche Congiunte (JSC)**
- ☐ **Individuazione delle tecnologie Emergenti**
- ☐ **Metodologie**

La **Commissione Europea (CE)** svolge funzioni di **Segretariato del CG**

Importante funzione è rappresentata dalla Rete dei Portatori di Interesse: **SHs Network**

HTA Regulation





HTA Regulation: The Stakeholder Network

Ha lo scopo di facilitare un dialogo regolare tra le organizzazioni stakeholder europee “ombrello” e il Gruppo di Coordinamento (CG).

Il Regolamento HTA (HTAR) impone l’istituzione di una stakeholder network per garantire inclusività e trasparenza di qualsiasi attività di HTA congiunta svolta a livello europeo.

La Stakeholder Network è una componente essenziale del Regolamento, poiché assicura che vengano considerate le prospettive e gli interessi dei diversi stakeholder.

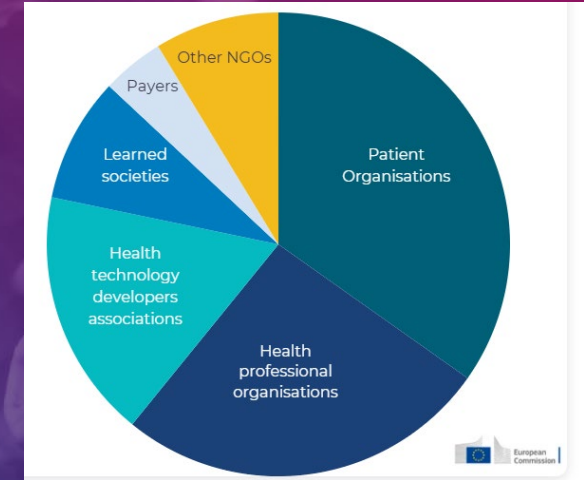


HTA Regulation: The Stakeholder Network

Lo *SH Network* comprende diverse organizzazioni di portatori di interesse. Ai sensi dell'articolo 29(2) del Regolamento HTA (HTAR)

I criteri di ammissibilità per l'adesione delle organizzazioni alla rete includono:

- Prova di un coinvolgimento o nello sviluppo dell'HTA
- Competenza pertinente alla SHs Network
- Copertura geografica di più Stati membri e capacità di comunicazione e disseminazione



[hta_20230918_co01_en.pdf](#)

Organizzazioni di pazienti e consumatori
Organizzazioni non governative operanti nell'ambito della salute
Associazioni di sviluppatori di tecnologie
Organizzazioni di professionisti sanitarie

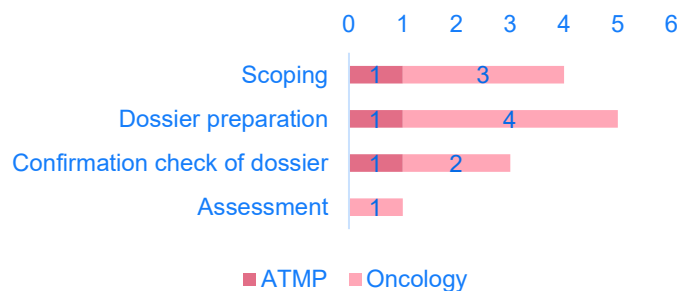


HTA Regulation: Stato dell'Arte

N° di riunioni per JSC e JCA



N° casi JCA in ogni fase 2025



#	Indication - Summary	Substance type (classification)	Orphan product
1	Treatment of melanoma	ATMP	-
2	Treatment of paediatric low-grade glioma	Chemicals	X
3	Treatment of bladder cancer	Biologicals	-
4	Treatment of 5q SMA	ATMP	X
5	Maintenance treatment of adult patients with extensive-stage SCLC	Chemicals	X
6	Treatment of adults with locally advanced or metastatic BC	Chemicals	-
7	Treatment of extensive-stage SCLC	Biologicals	X
8	Tr of synovial sarcoma or leiomyosarcoma	Chemicals	X
9	Maintenance treatment of advanced epithelial high-grade ovarian, fallopian tube or primary perit. cancer	Chemicals	-

10	Treatment of adult patients with platinum-resistant epithelial ovarian, fallopian tube, or primary peritoneal cancer	Chemicals	X
11	The treatment of adult patients with anaplastic lymphoma kinase (ALK)-positive	Chemicals	-
12	Treatment of respiratory papillomatosis in adults	ATMP	X
13	Treatment of non-squamous non-small cell lung cancer	Biologicals	-
14	Treatment of adult patients with relapsed or refractory MCL)	Chemicals	-

HTA Regulation: Questione di Interconnessione

EMA

- Sistema di AIC unificato
- Legislazione EU Farmaceutica
- Criteri di valutazione ben definiti e condivisi



Regolamento HTA

- Quadro congiunto per la valutazione clinica
- Metodologia comune per le valutazioni cliniche e le consultazioni scientifiche

AIFA e Age.na.s.

Joint Clinical Assessment (JCA) nelle decisioni nazionali, valutazioni non cliniche e decisioni su prezzo e rimborso in Italia.

Medicinrådet

Infarmed
Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P.

age.na.s. AGENZIA NAZIONALE PER I SERVIZI SANITARI REGIONALI

AIFA
AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

NNGYK
NATIONAL CENTER FOR PUBLIC HEALTH AND PHARMACY

agencia española de medicamentos y productos sanitarios



Gemeinsamer Bundesausschuss

SÚKL

HA
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

NIH
National Institute for Value and Technologies in Health Care

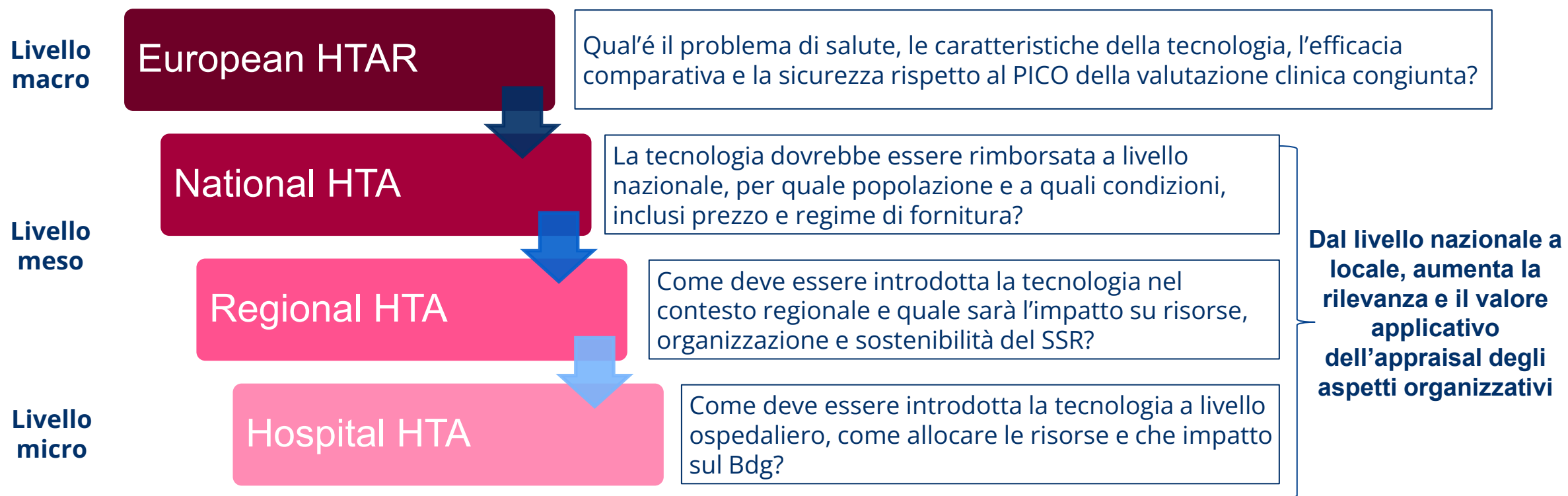


TLV
fimea

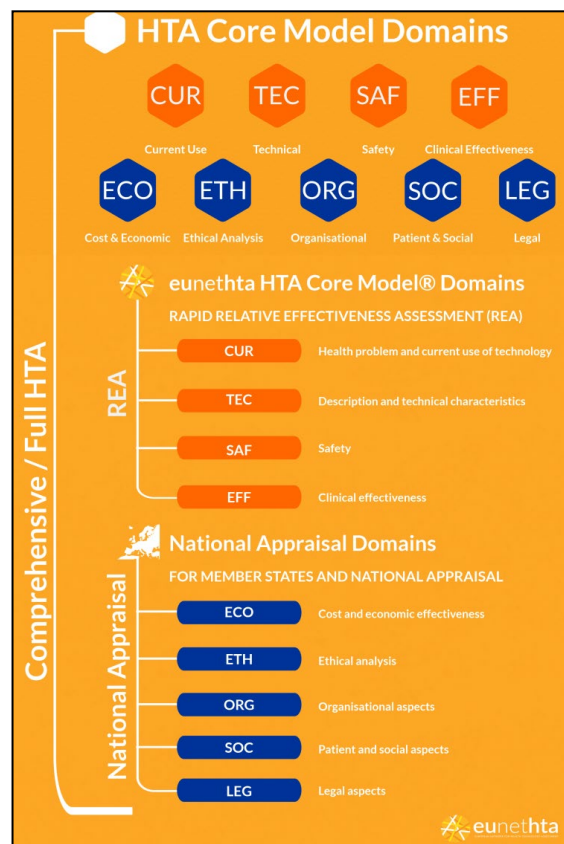
LÆGEMIDDELSTY
DANISH MEDICINE AGENCY

HALMED

HTA Regulation: Questione di Interconnessione



| I'HTA Core model ed il JCA..... Il Dossier P&R



JCA

HTA locale

P	I	C	O
Patient, Population or Problem	Intervention or exposure	Comparison	Outcome
What are the characteristics of the patient?	What do you want to do with this patient?	other intervention or treatment, no treatment, etc.	What are you trying to accomplish, measure, improve or affect?

PICO

Sezioni del Dossier

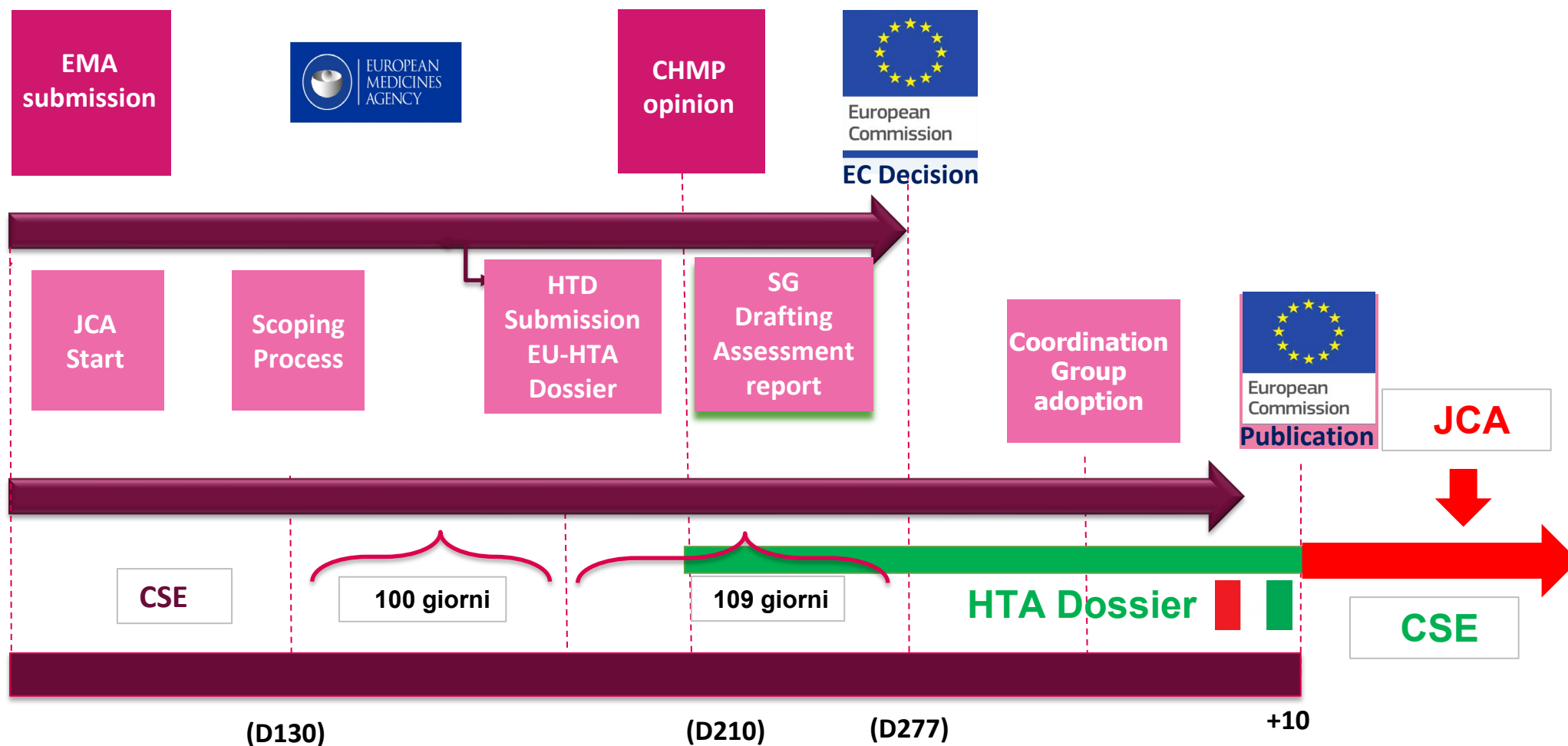
A. Identità del richiedente, caratteristiche del Prodotto e aspetti produttivi/organizzativi A.1. Informazioni relative al Richiedente A.2. Descrizione del Prodotto A.3. Status regolatorio del Prodotto A.4. Capacità produttiva, gestione di imprevisti produttivi e garanzia di adeguata fornitura al SSN A.5. Caratteristiche dell'uso del Prodotto A.6. Motivazione a supporto della domanda	D. Prezzi proposti e costi per il SSN D.0. Executive Summary D.1. Prezzo del Prodotto proposto al SSN D.2. Ulteriori proposte economiche ai fini della rimborsabilità (Schemi di rimborso condizionato, registro di monitoraggio, tetti di spesa, sconti, etc.) D.3. Prezzo dei Comparatori utilizzati nel contesto assistenziale italiano D.4. Prezzi del Prodotto praticati in altri Stati UE e UK D.5. Stime del fatturato nei primi tre anni di rimborsabilità del Prodotto D.6. Calcolo del costo-terapia del Prodotto e dei Comparatori utilizzati nel contesto assistenziale italiano D.7. Informazioni particolari per tipologie negoziali D.8. Previsione dei consumi derivanti da procedure speciali
B. Descrizione della condizione clinica del Prodotto B.0. Executive Summary B.1. Descrizione generale della condizione clinica B.2. Descrizione dei pazienti e previsione del loro numero in Italia B.3. Descrizione delle attuali modalità di gestione-diagnosi-cura della condizione clinica e posizionamento del Prodotto all'interno dello schema di trattamento B.4. Identificazione dei medicinali comparatori B.5. Bisogno terapeutico B.6. Descrizione dell'impatto del prodotto sulla patologia e valore terapeutico aggiunto B.7. Innovabilità	E. Valutazioni di impatto economico-finanziario E.0. Executive Summary E.1. Analisi di impatto sul budget E.2. Valutazioni farmaco-economiche
C. Studi clinici a supporto della rimborsabilità C.0. Executive Summary C.1. Sintesi del rationale del programma di sviluppo del Prodotto C.2. Descrizione dei principali aspetti di farmacologia clinica C.3. Descrizione delle prove di efficacia e sicurezza a supporto della domanda C.4. Sintesi degli studi clinici controllati C.5. Sintesi degli studi clinici non controllati C.6. Sintesi degli studi osservazionali C.7. Studi clinici in corso	F. Contributi e incentivi di natura pubblica allo sviluppo del Prodotto e status brevettuale F.1. Contributi e incentivi pubblici ottenuti per lo sviluppo del Prodotto F.2. Status brevettuale del Prodotto
	G. Bibliografia e abbreviazioni Abbreviazioni nel Dossier Elenco degli allegati al Dossier Bibliografia

P&R Dossier

analisi comparativa delle evidenze cliniche vs una o più tecnologie sanitarie o procedure esistenti [...]

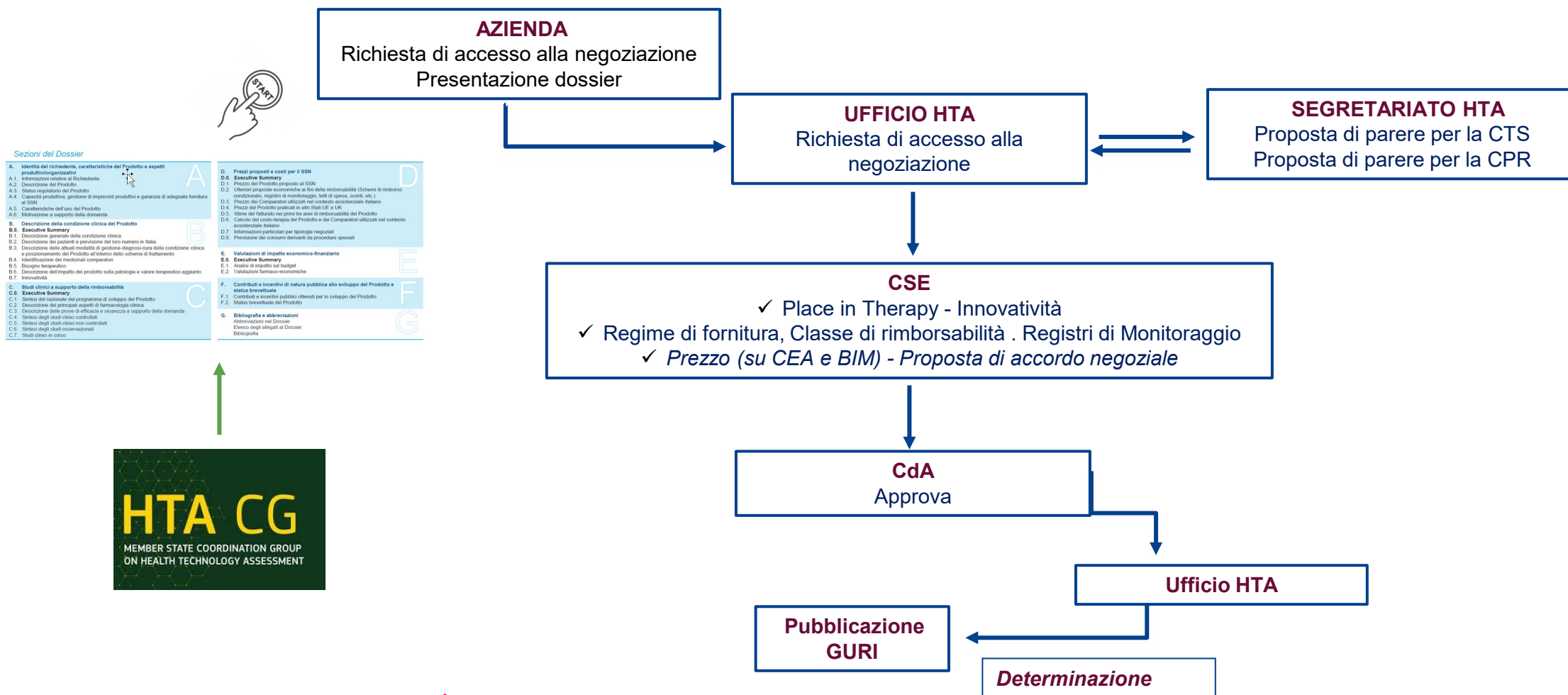


I'HTA Core model ed il JCA..... Il Dossier P&R





I'HTA: Il Procedimento P&R





AIFA il Dossier Prezzo e Rimborso: Struttura ed Evidenza

- ❑ L'indicazione generale è di graduare il Bisogno e il Vantaggio Terapeutico Aggiunto
- ❑ Chiara l'attenzione per la sostenibilità
- ❑ Gli elementi che possono supportare il valore del farmaco sono:
 - ❑ Il potenziale impatto positivo delle specialità sull'organizzazione dei servizi assistenziali
 - ❑ La possibilità di modificare, attraverso l'adozione della specialità, le modalità di gestione dei pazienti in termini di percorsi diagnostico assistenziali
 - ❑ Un allineamento maggiore con le preferenze dei pazienti e dei clinici utilizzatori
 - ❑ Evoluzione delle competenze degli operatori – integrazione con altre tecnologie
- ❑ Sostenibilità in termini di equilibrio economico (MEA ai fini ingresso innovazione)



Il Tavolo Tecnico AIFA – Regioni

L'obiettivo è **favorire un confronto continuo e strutturato sull'accesso ai farmaci e la loro rimborsabilità**. AIFA offre il suo al fine di implementare, sia **l'attività di controllo dell'appropriatezza prescrittiva**, che la **definizione di percorsi terapeutici** mirati a un **uso ottimale dei farmaci** e alla **governance della spesa**.

Il Tavolo si occupa in particolare di:

- gestione delle diverse informazioni e dei dati utili per le attività di governance;
- verifica e condivisione dei dati di monitoraggio della spesa farmaceutica
- condivisione anticipata, delle informazioni sui medicinali in autorizzazione da parte dell'Agenzia;
- condivisione su piattaforma dei Registri AIFA, per il monitoraggio di farmaci ad alto costo e/o innovativi;
- condivisione di analisi e/o di valutazioni tecniche sull'appropriatezza prescrittiva e sulla rimborsabilità di medicinali, sviluppate a livello nazionale e regionale e supporto di farmacovigilanza e/o della sperimentazione clinica.



l'iniziativa “**AIFA INCONTRA**”, istituita presso l'AIFA al fine di realizzare forme dirette di dialogo e ascolto con le società scientifiche, le aziende farmaceutiche, gli Istituti di ricerca pubblici e privati, le associazioni industriali e le associazioni dei consumatori, nonché ogni altro portatore di interessi, con finalità esclusivamente conoscitiva e non decisionale.

L'iniziativa ha l'obiettivo di sensibilizzare l'Agenzia su tematiche al fine di garantire l'accesso universalistico alle cure, la riduzione dei tempi che frenano l'impiego clinico precoce di terapie avanzate, il sostegno alla ricerca e innovazione.

AIFA incontra si svolgerà a cadenza quadrimestrale.

I partecipanti sono tenuti a dichiarare ogni interesse che possa considerarsi in conflitto

Nel giorno e nell'ora indicati nella convocazione, AIFA assicura la partecipazione agli incontri del Presidente e/o del dirigente dell'Ufficio di Presidenza.

Nel caso in cui la tematica oggetto dell'incontro richieda un approfondimento da parte della CSE, il Presidente fornisce idonea comunicazione al Presidente CSE.

La CSE, previa opportuna valutazione, si riserva la facoltà di trasmettere al Presidente dell'Agenzia Italiana del Farmaco eventuali richieste di audizione provenienti dai beneficiari, che risultino conformi alle finalità del presente Regolamento.

10 giorni prima dell'incontro, i beneficiari trasmettono la documentazione da trattare.

Il Registro di Trasparenza:

- a) il calendario delle date degli incontri di AIFA INCONTRA;
- b) l'indicazione del beneficiario e dei partecipanti;
- c) l'oggetto e la finalità dell'incontro;
- d) all'esito dell'incontro, la documentazione e il resoconto

All'esito della seduta, la documentazione è conservata presso La Presidenza AIFA.

AIFA Ascolta è un'iniziativa AIFA che mira a realizzare forme dirette di dialogo e ascolto con le Associazioni, i gruppi e/o le reti di Associazioni e le Federazioni dei pazienti, con finalità esclusivamente conoscitiva e non decisionale.

L'iniziativa ha l'obiettivo di sensibilizzare l'Agenzia su tematiche di particolare delicatezza e complessità, sulla risoluzione di problematiche, ivi inclusa la carenza di farmaci, nonché sulla condivisione di esperienze di accesso al farmaco e di tutela del diritto alla salute.

AIFA incontra si svolgerà a cadenza quadrimestrale.

I partecipanti sono tenuti a dichiarare ogni interesse che possa considerarsi in conflitto

Nel giorno e nell'ora indicati nella convocazione, AIFA assicura la partecipazione agli incontri del Presidente e/o del dirigente dell'Ufficio di Presidenza.

La richiesta di un beneficiario regionale deve pervenire per il rappresentante nazionale



Nel caso in cui la tematica oggetto dell'incontro richieda un approfondimento da parte della CSE, il Presidente fornisce idonea comunicazione al Presidente CSE.

La CSE, previa opportuna valutazione, si riserva la facoltà di trasmettere al Presidente dell'Agenzia Italiana del Farmaco eventuali richieste di audizione provenienti dai beneficiari, che risultino conformi alle finalità del presente Regolamento.

10 giorni prima dell'incontro, i beneficiari trasmettono la documentazione da trattare. Alle sessioni possono partecipare, in qualità di uditori, tutte le Associazioni o altri beneficiari che ne facciano richiesta almeno cinque giorni prima dell'incontro, presentando idonea documentazione, che attesti l'interesse diretto e concreto alla partecipazione

Sezione denominata “**ASSOCIAZIONI DEI PAZIENTI**”, è presente una pagina dedicata ad “**AIFA ASCOLTA**”, accessibile anche dalla sezione “Amministrazione trasparente”.



AIFA Ascolta

Moduli di Richiesta



Mod. A – Richiesta di partecipazione all'iniziativa "AIFA ASCOLTA"

Richiesta di partecipazione all'iniziativa "AIFA ASCOLTA"

Il/La sottoscritto/a

mail (PEC)

telefono

in qualità di

(in caso di beneficiario a livello regionale, la richiesta deve essere avanzata per il tramite del rispettivo rappresentante o coordinatore nazionale)

del beneficiario (nome dell'Associazione dei pazienti, del gruppo e/o Rete di Associazioni dei pazienti, della Federazione dei pazienti):

CHIEDE

di poter partecipare alla sessione di "AIFA ASCOLTA"



DICHIARA

a. Denominazione del beneficiario e dati attestanti l'iscrizione nel Registro Unico Nazionale del Terzo Settore:

b. Oggetto dell'incontro

c. Finalità e nominativi dei partecipanti

ALLEGA

1. Dichiarazione di interessi (Mod. B) ¹.
2. Presa visione dell'informativa per il trattamento dei dati personali e delle disposizioni del «Regolamento recante la disciplina dell'iniziativa "AIFA ASCOLTA"», pubblicato sul sito istituzionale dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), nella sezione "L'agenzia"/"Associazione dei pazienti"/"AIFA ASCOLTA", accessibile anche dalla sezione "Amministrazione trasparente"/"Altri Contenuti"/"Dati ulteriori" (Mod. C).
3. Documento di identità del richiedente e dei partecipanti.
4. Breve relazione avente ad oggetto la tematica dell'incontro ed eventuale documentazione correlata.

Il

Firma

¹ La dichiarazione deve essere compilata sia dal beneficiario sia dai partecipanti indicati nella domanda (Articolo 4 del «Regolamento recante la disciplina dell'iniziativa "AIFA ASCOLTA"»).





AIFA Ascolta

Calendario Incontri 2026



CALENDARIO DELLE DATE DEGLI INCONTRI

- 5 maggio 2026, ore 10.30;
- 16 settembre 2026, ore 10.30;
- 2 dicembre 10.30.



«In questa fase di profonda evoluzione il coinvolgimento delle associazioni pazienti è decisivo per trasformare l'innovazione in benefici reali per i cittadini. In un "momento particolarmente intenso" servono regole applicate con competenza, ma soprattutto un ascolto strutturato dei bisogni e degli outcome che contano per le persone (qualità di vita, impatto sul percorso di cura). Un HTA davvero solido si costruisce nel confronto tra tutti gli stakeholder – inclusi in modo pieno e continuativo i pazienti, insieme a sviluppatori, società scientifiche, istituzioni e AIFA. Solo così le decisioni diventano più eque, trasparenti e vicine alla vita quotidiana dei pazienti»

A.Ponzianelli, E.P. Bosone; Seminario SIARV Roma, 16 Aprile 2026



GRAZIE!

Domande?

anna.ponzianelli@cencora.com