

4 Il processo decisionale negli Istituti di Health Technology Assessment

di Claudio Jommi e Marianna Cavazza¹

4.1 Introduzione

Il governo dell'innovazione tecnologica nei sistemi sanitari è oggetto di profondo dibattito tecnico e politico. Da una parte si ritiene fondamentale garantire un equo accesso alle tecnologie sanitarie; dall'altra, poiché le risorse disponibili sono limitate, è importante governare l'ingresso e la diffusione di tali tecnologie, affinché siano garantite le condizioni di allocazione efficiente delle risorse. Per indirizzare il sistema sanitario verso tale obiettivo, è importante disporre di evidenze sull'efficacia, rischi e costi dei nuovi prodotti prossimi ad essere lanciati sul mercato.

L'obiettivo della valutazione delle tecnologie (HTA – Health Technology Assessment) è proprio quello di sistematizzare le evidenze già prodotte o di produrre nuove evidenze circa l'impatto clinico, economico, organizzativo, sociale ed etico di una nuova tecnologia. Si tratta quindi, in primo luogo, di un'attività di ri-

¹ Questo lavoro è stato possibile grazie ad un *grant* incondizionato concesso da Assobiomedica (Associazione rappresentativa delle imprese operanti nel settore delle tecnologie e delle apparecchiature biomediche, della diagnostica in vitro e della telemedicina) e con la collaborazione di tutti i referenti degli Istituti HTA che si sono resi disponibili ad essere intervistati: J. M. Amate Blanco di AETS, T. Cerdà Mota di Avalia-T, O. Solà-Morales di CAHTA, I. Gutiérrez Ibarluzea di Osteba, J. A. Blasco di UETS, A.F. Fay di CEDIT, S. Garner di NICE, C. Packer di NHSC, M. Westmore e P. Davidson dell'HTA Programme – NIHR, H. Dahlgren di SBU, C. Bergh di HTA Centrum, M. Perleth di G-BA, H.P. Dauben di DAHTA-DIMDI. È stato, inoltre, manifestato interesse verso la ricerca da F. Meyer di HAS e da IQWiG, benché non si sia stato poi possibile realizzare l'intervista completa. La disponibilità di materiale e di informazioni provenienti da altre fonti (comprese le altre interviste effettuate nello stesso Paese) hanno comunque consentito agli autori di ricostruire il profilo di HAS e IQWiG. Quanto viene qui riportato è comunque interamente frutto della rielaborazione del materiale documentale da parte degli autori, che se ne assumono la piena responsabilità.

Sebbene il capitolo sia frutto di un comune lavoro di ricerca, i § 1.1, 1.2 e 1.3 sono da attribuirsi a Marianna Cavazza, i § 1.4 e 1.5 a Claudio Jommi.

cerca che usa un metodo e strumenti scientifici, con un esplicito riferimento ai principi della *Evidence Based Medicine* (EBM).

L'HTA non è però solo un esercizio teorico. È anche un lavoro di ricerca orientato all'azione: è, infatti, il problema decisionale a dettare generalmente gli obiettivi, i tempi e i metodi adottati, in quanto l'HTA deve mirare a fornire conoscenze capaci di generare decisioni, prese a livello di soggetti regolatori (e terzi pagatori), aziende erogatrici di servizi sanitari, professionisti clinici (Fattore *et al.*, 2008).

Il termine «tecnologia», secondo la definizione data dall'Office of Technology Assessment nel 1978 (OTA, 1978, p. xii), include tutti gli strumenti, le attrezzature, i farmaci e le procedure utilizzati nell'erogazione dei servizi sanitari. L'oggetto della valutazione è quindi potenzialmente assai ampio.

La valutazione delle tecnologie è poi un processo complesso, che può essere scomposto nelle seguenti fasi. Il primo passo è l'*Horizon Scanning* (HS), attività mirata a intercettare, in una fase precedente al lancio sul mercato, le nuove tecnologie emergenti, destinate successivamente ad essere valutate. A questo, segue la raccolta e la selezione dei temi da considerare (*priority-setting*), per definire con precisione l'oggetto della valutazione. Si arriva, quindi, alla valutazione, includendo sia la valutazione tecnica (*assessment*), sia la stesura di eventuali raccomandazioni da diffondere nel sistema (*appraisal*). È infine prevista un'azione di diffusione (*dissemination*) dei risultati delle valutazioni e delle eventuali raccomandazioni, cui dovrebbe peraltro essere agganciato un processo sistematico di *follow-up*, ovvero di verifica di (i) aderenza alle raccomandazioni e (ii) di efficacia reale (*effectiveness*) delle tecnologie.

L'attenzione alla valutazione delle tecnologie sanitarie ed al governo dell'ingresso e della diffusione delle stesse ha portato, negli ultimi venti anni, alla creazione di numerosi soggetti preposti a svolgere attività di HTA (d'ora in poi IHTA, Istituto di HTA), con diverse finalità: dalla semplice messa a disposizione di informazioni a supporto del processo decisionale, all'uso delle valutazioni per l'aggiornamento delle liste di prestazioni garantite dai sistemi assicurativi pubblici, alla regolazione dei prezzi delle tecnologie.

L'obiettivo di questo lavoro è di analizzare in cinque Paesi UE (Francia, Germania, Inghilterra e Galles, Spagna e Svezia) il processo decisionale degli IHTA, con una particolare attenzione alle relazioni con i portatori di interesse (*stakeholder*), intesi come soggetti direttamente ed indirettamente coinvolti nel processo di valutazione e nel suo impatto. Si tratta, nello specifico, dei soggetti politici / regolatori (centrali ed eventualmente regionali), dei terzi paganti (se non coincidenti con i soggetti politici), dei clinici e di altri professionisti operanti nelle aziende sanitarie e socio-sanitarie e loro associazioni professionali / società scientifiche, delle aziende sanitarie, degli istituti di ricerca, delle imprese (essenzialmente di produzione di tecnologie) e le loro associazioni, dei pazienti e le loro associazioni e della comunità in senso lato.

Il contributo è diviso in quattro parti: nella prima viene presentata la metodologia utilizzata; la seconda descrive in sintesi i sistemi HTA nei cinque Paesi UE considerati; la terza è dedicata ad un'analisi comparata degli aspetti più rilevanti del processo decisionale; nell'ultima vengono proposte alcune riflessioni conclusive, con alcuni spunti per il contesto italiano.

4.2 Materiali e metodi

L'analisi del processo decisionale degli IHTA è partita da una revisione della letteratura. Tale letteratura si è focalizzata (i) sulla struttura organizzativa e le procedure adottate negli IHTA e (ii) sulla metodologia applicata dagli stessi per realizzare la valutazione.

Sul primo aspetto è stata pubblicata nel 2000 ed aggiornata nel 2004, sul *Journal of Technology Assessment in Health Care*, una serie di contributi sul sistema di HTA presente in diversi Paesi. Queste analisi sono poi state riviste, integrate e interpretate in un importante contributo di Sorenson *et al.* (2008). In un secondo articolo di Velasco Garrido *et al.* (2008) l'analisi del sistema di valutazione delle tecnologie è stata affiancata da una disamina delle procedure adottate nei diversi IHTA.

Sul secondo aspetto, ovvero come gli IHTA hanno affrontato i problemi di natura metodologica (che tipo di analisi effettuare, quale punto di vista adottare, quale dato di efficacia considerare ecc.), la letteratura è ancora più vasta. Una sintesi di tali approcci metodologici, pur specificamente dedicata ai farmaci, è presente in Zentner *et al.* (2005). Numerosi contributi di natura metodologica hanno poi accompagnato l'evoluzione del NICE (National Institute for Health and Clinical Excellence).

Minore in letteratura è l'analisi (i) dei processi decisionali reali (e non delle semplici procedure formali), e, nell'ambito di tale processi, (ii) delle relazioni tra i diversi IHTA e tra questi e gli *stakeholder*. Il presente contributo intende coprire tali lacune informative.

L'analisi dei processi decisionali e delle relazioni con gli *stakeholder* è stata effettuata sulla base di un questionario semistrutturato, somministrato a *key informant* delle IHTA nei Paesi oggetto di analisi (cfr. Nota 1). Prima della somministrazione del questionario è stata raccolta ed esaminata, oltre alla letteratura scientifica, la letteratura «grigia», ovvero la documentazione non pubblicata su riviste scientifiche e disponibile sui siti degli IHTA. La somministrazione del questionario è avvenuta con intervista registrata (con il consenso dei rispondenti). La trascrizione delle interviste registrate è stata, quindi, controllata dagli intervistati e le eventuali modifiche e osservazioni sono state inserite nel testo dell'intervista.

Si osserva, infine, che la selezione dei Paesi oggetto di indagine si è basata essen-

Riquadro 4.1 Sintesi del questionario

-
- 1. L'oggetto dell'attività di valutazione**
 - 2. Il ruolo dell'IHTA**
 - 2.1 La presenza di un ruolo/missione dell'IHTA determinato dalla normativa
 - 2.2 La presenza di rapporti formali tra l'IHTA e autorità pubbliche o regolatorie
 - 2.3 L'impatto (vincolante o meno) delle valutazioni dell'IHTA per i destinatari istituzionali
 - 3. La struttura organizzativa dell'IHTA**
 - 3.1 La dimensione dell'IHTA
 - 3.2 La struttura di governance
 - 3.3 La presenza di commissioni tecniche
 - 3.4 La definizione di un piano strategico
 - 3.5 Il budget e le fonti di finanziamento
 - 3.6 La partecipazione dell'IHTA a network internazionali
 - 3.7 Modelli centralizzati vs modelli decentrati
 - 3.8 L'IHTA e gli *stakeholder*
 - 4. Il processo di prioritizzazione**
 - 4.1 La gestione del processo di prioritizzazione
 - 4.2 Le fonti di informazione per il processo di prioritizzazione
 - 4.3 Le iniziative di *Horizon Scanning*
 - 4.4 Il coinvolgimento degli *stakeholder* nella prioritizzazione
 - 5. Il processo di valutazione tecnica (*assessment*) e di stesura delle raccomandazioni (*appraisal*)**
 - 5.1 Il disegno del progetto di valutazione
 - 5.2 Le fonti di informazione
 - 5.3 L'output del processo di valutazione
 - 5.4 Le procedure di appello contro le raccomandazioni
 - 5.5 I criteri e le procedure di esternalizzazione della valutazione
 - 5.6 Il coinvolgimento degli *stakeholder*
 - 6. L'impatto, la disseminazione e la rivalutazione dei risultati dell'IHTA**
 - 6.1 L'impatto dell'IHTA sulla regolamentazione e sul *policy-making*
 - 6.2 Il processo di disseminazione
 - 6.3 Il coinvolgimento degli *stakeholder*
 - 6.4 Il processo di rivalutazione dei risultati della HTA
-

zialmente sui seguenti criteri: dimensione del mercato (Francia, Inghilterra e Galles – ambito territoriale su cui ha competenza il NICE – Germania, Spagna), cui è stata aggiunta la Svezia, essendo un Paese caratterizzato da un certo decentramento istituzionale (e, quindi, di interesse comparativo con l'Italia). La scelta degli IHTA nell'ambito dei sistemi-Paese si è basata sulla produzione interna oppure sulla committenza all'esterno di Report HTA, sul coinvolgimento formalmente dichiarato di *stakeholder* nella valutazione delle tecnologie, sul ruolo istituzionale attribuito all'IHTA (ad esempio, ruolo nelle decisioni di prezzo e rimborso). La Tabella 4.1 riporta la lista delle agenzie coinvolte nello studio. I referenti intervistati sono citati in Nota 1.

Tabella 4.1 **Paesi e IHTA considerati nello studio**

Paese	IHTA
Francia	Haute Autorité de Santé – HAS Comité d'évaluation et de diffusion des innovations technologiques – CEDIT presso l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris – AP-HP
Germania	Deutsche Agentur für Health Technology Assessment – DAHTA presso Deutschen Institut für Medizinische Dokumentation und Information – DIMDI Gemeinsamen Bundesausschuss/Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen – IQWiG Gemeinsame Bundesausschuss – G-BA
Inghilterra e Galles	National Institute for Health and Clinical Excellence – NICE National Horizon Scanning Centre – NHSC HTA – Programme presso il National Institute for Health Research- NIHR
Spagna	Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias presso l'Istituto de Sanidad Pública Carlos III – AETS (agenzia centrale) Agència d'Avaluació de Tecnologia i Recerca Mèdiques de Catalunya – AATRM – CAHTA (agenzia della Comunità autonoma catalana) Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Galicia – Avalia-T (agenzia della Comunità autonoma galiziana) Unidad de Evaluación de Tecnologías Sanitarias – UETS (agenzia della comunità autonoma di Madrid) Servicio de Evaluación de Tecnologías Sanitarias – Osteba (agenzia della Comunità autonoma dei Paesi Baschi)
Svezia	Statens beredning för medicinsk utvärdering – SBU HTA – Centrum presso la rete di ospedali della Regione Västra Götaland

4.3 I sistemi HTA nei Paesi considerati

4.3.1 Il caso francese

Il sistema sanitario francese è basato sul modello assicurativo sociale. Tuttavia, a differenza di quello tedesco dove, anche nella regolazione, un ruolo fondamentale è giocato dalle assicurazioni sociali (cfr. *infra*), nel sistema francese il Ministero della Salute ha un ruolo strategico di governo della spesa sanitaria: di fatto, stipula gli accordi tra le assicurazioni sociali ed i sindacati rappresentanti dei diversi professionisti, nonché regola il prezzo dei farmaci e delle tecnologie sanitarie.

A tale scopo, il Ministero è supportato in primo luogo dalla Commissione interministeriale economica dei prodotti sanitari (*Commission Économique des Produits de Santé* – CEPS), che determina il prezzo dei farmaci e dei dispositivi medici e svolge una funzione di controllo sull'andamento della spesa sanitaria.

Un secondo soggetto, la Haute Autorité de Santé (HAS), ha assunto rilievo negli ultimi anni. Creata nel 2004, ha ereditato molteplici funzioni da diverse agenzie. Tra tali funzioni, vi è quella di fornire indicazioni, basate su una valutazione di valore aggiunto, sulla rimborsabilità di farmaci (*Commission de Tran-*

sparence – CT), delle procedure² (*Commission Évaluation des Acts Professionels – CEAP*) e delle tecnologie sanitarie (*Commission d'Évaluation des Produits et des Prestations – CEPP*) (Sorenson *et al.*, 2008; Fleurette – Banta, 2000). La HAS di fatto elabora valutazioni e raccomandazioni per la CEPS e, attraverso le tre commissioni sopra citate, per l'Unione delle assicurazioni sociali ai fini dell'aggiornamento della lista dei prodotti e delle prestazioni rimborsabili. L'attività di valutazione è svolta su richiesta del Ministero della Salute, dell'unione delle assicurazioni sociali, dell'industria, delle società scientifiche e professionali e delle associazioni di pazienti.

Nel 2008 è stata poi costituita, in seno alla HAS, una nuova commissione, la *Commission de Évaluation Économique et de Santé Publique – CEESP*, con un duplice compito: realizzare valutazioni economiche principalmente su richiesta del Ministero della Salute e dell'unione delle assicurazioni sociali relative ad aspetti di governo del sistema sanitario; collaborare con la CEAP e la CEPP nella stesura delle raccomandazioni a supporto dell'aggiornamento della lista di prestazioni e prodotti coperti dal sistema assicurativo sociale. L'obiettivo della CEESP è, quindi, di rafforzare il ruolo di HAS nella produzione di valutazioni complete (ovvero comprensive della dimensione economica) delle nuove tecnologie.

In realtà, per quanto la HAS abbia assunto un ruolo centrale nella valutazione di farmaci e tecnologie ai fini regolatori, l'HTA in Francia è nata molto prima (1982), su spinta della rete ospedaliera parigina (*Assistance Publique-Hôpitaux de Paris – AP-HP*), rete che ha istituito un programma strutturato di HTA per tramite del *Comité d'évaluation et de diffusion des innovations technologiques – CEDIT*. Le valutazioni di CEDIT supportano le scelte di programmazione e di acquisto delle tecnologie e le azioni di governo clinico nelle aziende ospedaliere della rete di Parigi.

CEDIT, grazie alla rilevanza (almeno in termini di Report HTA prodotti) ed alla continuità nella propria attività, ha assunto, in Francia, un ruolo di riferimento nel campo della valutazione delle tecnologie sanitarie. Tuttavia dall'intervista al referente di CEDIT emerge che vi è un'ampia riflessione sul ruolo prospettico di tale IHTA da parte della rete degli ospedali che lo hanno di fatto sostenuto. A fronte di una riduzione del budget allocato alla AP-HP, si sta considerando la possibilità di ridimensionare l'attività di CEDIT, riducendo o eliminando la produzione di veri e propri rapporti di HTA e indirizzando piuttosto tale IHTA verso l'elaborazione di rapide risposte alle necessità del management ospedaliero e dei clinici.

I ruoli e le funzioni attribuite alla HAS sono molteplici: dall'accreditamento e l'attività di *audit*, alla promozione dell'appropriatezza tra i professionisti sanitari,

² Per procedura, qui si intendono tutte le azioni richieste ai professionisti sanitari per utilizzare un prodotto tecnologico nell'ambito del processo di cura.

al monitoraggio dell'informazione sanitaria. Tra tutte queste attività, fino ad ora, la valutazione delle tecnologie, da parte di HAS, si è tradotta principalmente nell'aggiornamento della lista positiva del sistema assicurativo obbligatorio. Sembra, tuttavia, emergere la volontà di ampliare e rafforzare queste competenze nel campo della valutazione delle tecnologie. Questo processo può anche essere letto alla luce di una concomitante riduzione del ruolo svolto da CEDIT nella produzione di veri e propri rapporti di HTA che, sebbene mirati alle necessità della AP-HP, hanno rappresentato in Francia per molti anni il principale punto di riferimento in questo ambito.

4.3.2 Il caso tedesco

Le tre principali caratteristiche del sistema sanitario tedesco sono il decentramento istituzionale, un modello di finanziamento basato sul sistema assicurativo sociale e una partecipazione attiva alle decisioni pubbliche da parte degli organi professionali (modello corporativo).

A differenza del sistema sanitario spagnolo (cfr. *infra*), al decentramento istituzionale non corrisponde l'attribuzione ai Länder tedeschi di competenze sul tema dell'HTA. Alcune politiche strategiche per il sistema sanitario sono elaborate di fatto a livello centrale: tra queste, si hanno la definizione del pacchetto base delle prestazioni comuni oggetto di copertura da parte dei fondi assicurativi sociali³, la regolazione dell'assistenza farmaceutica ed i sistemi di accreditamento delle professioni sanitarie. Inoltre, il principale organo di governo del sistema assicurativo sociale, la Commissione Federale Congiunta (*Gemeinsame Bundesausschuss*, G-Ba), opera a livello centrale e non ha rappresentanti provenienti dai Länder. I Länder non possono svolgere attività di valutazione delle tecnologie, benché siano poi presenti in diversi Länder unità operative impegnate a contestualizzare al proprio territorio le valutazioni effettuate a livello centrale (Sorenson *et al.*, 2008; intervista con referente DAHTA).

Con riferimento all'impatto del modello assicurativo sociale sui sistemi di valutazione delle tecnologie, la Germania presenta caratteristiche profondamente diverse dalla Francia, generate dalla contemporanea presenza di un modello corporativo. Mentre in Francia è di fatto il soggetto pubblico (HAS) ad avere competenza in materia di valutazioni, in Germania tale competenza è in capo all'associazione delle assicurazioni sociali, insieme a quella dei medici (e dentisti) e delle aziende sanitarie che erogano prestazioni nell'ambito della G-Ba (Busse e Riesberg, 2004).

³ Il sistema delle assicurazioni sociali (Krankenkassen), organizzato su base regionale prevede che sia definito un pacchetto base di prestazioni coperte su tutto il territorio, e la possibilità in alcuni ambiti (ad esempio, prestazioni di riabilitazione e di assistenza domiciliare) di differenziare il livello di copertura delle prestazioni (Busse *et al.*, 2005).

La G-Ba, oltre alla valutazione delle tecnologie, ha diverse altre competenze, quali la definizione del pacchetto di prestazioni garantito dai fondi assicurativi e le modalità di rimborso delle prestazioni sanitarie in senso lato.

Rispetto alla valutazione, G-Ba ha l'obbligo di fare riferimento all'evidenza scientifica. A tale scopo dal 2005 è previsto che la produzione o la raccolta di evidenze a supporto delle decisioni della G-Ba sia in capo ad un soggetto costituito in quell'anno: l'Istituto per la Qualità e l'Efficienza (Gemeinsamen Bundesausschuss/Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen – IQWiG).

Il sistema della valutazione delle tecnologie è reso peraltro più complesso dal fatto che la committenza di valutazione verso IQWiG non sia obbligatoria, nel senso che G-Ba può svolgere le valutazioni utilizzando il proprio staff e dei gruppi di lavoro interni o richiederle ad altri soggetti tra cui *in primis* c'è IQWiG. Tra questi ha poi assunto particolare rilievo l'Agenzia per la valutazione delle tecnologie (Deutsche Agentur für Health Technology Assessment – DAHTA) presso l'Istituto Tedesco per la Documentazione e l'Informazione sui Farmaci (*Deutschen Institut für Medizinische Dokumentation und Information – DIMDI*), costituita nel 2001. Prima della riforma del sistema sanitario nel 2000, in Germania l'HTA era poco sviluppato, salvo alcune iniziative sperimentali finanziate dal governo federale (Perleth e Busse, 2000). La costituzione di DAHTA ha rappresentato un primo tentativo di avviare un sistema strutturato di valutazione delle tecnologie. A DAHTA è seguita la costituzione nel 2004 della G-Ba e nel 2005 di IQWiG, che completano l'attuale sistema di HTA in Germania.

IQWiG e DAHTA costituiscono il principale punto di riferimento per la valutazione delle tecnologie: da una parte IQWiG è strettamente legato all'attività di G-Ba e del Ministero della Salute, suoi unici possibili committenti; dall'altra, DAHTA consente a tutti i soggetti interessati di richiedere una valutazione delle tecnologie.

4.3.3 Il caso inglese

Il *National Health Service* inglese è stato il primo sistema a servizio sanitario nazionale creato in Europa. Il modello, nel solco di un sistema universalistico e finanziato per tramite del prelievo fiscale, ha subito profonde modifiche nella sua lunga storia, analizzate sia dalla letteratura scientifica, ricca di valutazioni di impatto delle riforme sanitarie effettuate, che dalla documentazione istituzionale.

Il sistema sanitario britannico di fatto è composto da tre sotto-sistemi sanitari nazionali: Inghilterra e Galles, Scozia e Nord Irlanda. Per quanto esistano sistemi strutturati di valutazione delle tecnologie anche in Scozia (*Scottish Medicine Consortium*), l'analisi riguarderà essenzialmente il sistema HTA inglese e gallese, per la rilevanza del relativo mercato e per la centralità di uno dei più importanti IHTA in Europa: il NICE.

Le prime iniziative di valutazione delle tecnologie e di scansione anticipata nacquero attorno alla metà degli anni '90, ma è con il primo *White Paper* dell'amministrazione Blair (1997) e con l'istituzione del NICE (1999), che il sistema di governo integrato delle tecnologie (dall'individuazione delle tecnologie emergenti ai programmi di disseminazione attiva dei risultati delle valutazioni, ovvero delle raccomandazioni) è entrato a regime.

Un primo aspetto caratterizzante il sistema di valutazione delle tecnologie è la forte integrazione tra i diversi processi:

- ▶ dalle iniziative di HS, che hanno nel National Horizon Scanning Centre – NHSC (peraltro centro propulsore e coordinatore del Network Euroscan) l'attore protagonista;
- ▶ al processo di prioritizzazione, con un ruolo fondamentale svolto dai due principali IHTA (NICE e HTA *Programme* del *National Institute for Health Research* – NIHR⁴), insieme al Ministero della Salute;
- ▶ alla valutazione, che il NIHR (in toto) e il NICE (in parte) esternalizzano, pur essendo di loro competenza la definizione degli ambiti di valutazione e/o ricerca e di verifica dell'output;
- ▶ alla traduzione delle valutazioni in *appraisal*, ovvero in raccomandazioni, limitatamente alle attività del NICE. Tali raccomandazioni assumono carattere vincolante nel senso che impegnano le aziende sanitarie pubbliche (essenzialmente *Primary Care* e *Hospital Trusts*) a prevedere l'uso delle tecnologie raccomandate entro tre mesi e a trovare fondi *ad hoc* per la copertura finanziaria della eventuale domanda locale;
- ▶ ad un impegno sistematico nella disseminazione delle raccomandazioni.

Un secondo elemento è l'elevata proceduralizzazione del processo decisionale. La definizione dettagliata delle procedure, da una parte ha reso il processo decisionale trasparente, dall'altra ha determinato tempi decisionali molto lunghi (v. *sotto*). La trasparenza si coglie anche dal fatto che l'agenda, l'ordine del giorno ed il contenuto delle riunioni del NICE (e delle rispettive commissioni tecniche) sono pubblicate sul relativo sito, e che, in genere, le stesure preliminari e finali dei rapporti di valutazione sono sottoposte a consultazione pubblica, per eventuali correttivi. La consultazione pubblica è, peraltro, prevista non solo per i processi di riorganizzazione dell'attività del NICE, ma soprattutto, per quelli di definizione delle priorità, valutazione e raccomandazione.

Il NICE poi pone una forte attenzione al tema del coinvolgimento degli *stake-*

⁴ L'obiettivo del NIHR è sostenere la ricerca sulla salute. In concreto, le aree coperte sono: sperimentazioni cliniche e studi osservazionali, HTA e indagini sui servizi sanitari. Il NICE fornisce linee guida in materia di salute pubblica e di appropriatezza clinica e valutazioni sulle nuove tecnologie sanitarie.

holder. I portatori di interesse vengono esplicitamente riconosciuti (e dettagliati) per ogni fase del processo decisionale, ne vengono identificati i criteri e i processi di reclutamento (precludendo, ad esempio, alle imprese la possibilità di nominare i *clinical experts*, componenti della commissione di valutazione delle tecnologie, possibilità accordata ad altri clinici, associazioni di categoria, società scientifiche ed associazioni di pazienti). Inoltre, viene specificato il ruolo atteso dei diversi portatori di interesse: agli utilizzatori (aziende sanitarie) può essere chiesto un contributo sulla valutazione di impatto organizzativo, sulla pratica clinica in essere e su eventuali studi quasi-sperimentali in corso; i clinici sono fortemente coinvolti in tutto il processo come membri delle commissioni tecniche e parte attiva nella raccolta di informazioni; alle associazioni dei pazienti, nei confronti delle quali viene esercitata un'azione sistematica tesa ad aumentarne il grado di partecipazione al processo decisionale, si richiedono valutazioni di natura esperienziale sui prodotti comparatori; infine, l'industria è considerata fonte privilegiata per le informazioni sui farmaci nell'ambito dell'iniziativa di HS e per gli studi di valutazione economica.

Il coinvolgimento degli *stakeholder* avviene attraverso:

- ▶ la partecipazione ad organi consultivi finalizzati ad orientare il NICE nei valori etici o di utilità sociale da adottare negli *appraisal* e/o a valutare *ex post* l'attività del NICE;
- ▶ la partecipazione diretta a commissioni tecniche di supporto alle valutazioni (in tutte le fasi, ma più accentuata per quella di *appraisal*);
- ▶ la possibilità di essere sistematicamente consultati sugli esiti del processo decisionale.

La consultazione pubblica e la proceduralizzazione hanno creato alcune criticità, soprattutto in termini di tempistica del processo. Questo ha prodotto, in anni recenti, l'adozione di iniziative finalizzate ad accelerare i processi decisionali, non ultima la revisione del processo di prioritizzazione, in corso di approvazione, revisione che però potrebbe portare ad una riduzione del peso degli *stakeholder*: le decisioni sullo *scoring* delle tecnologie emergenti (ovvero sull'attribuzione di un peso alle variabili determinanti il grado di priorità attribuita ad una nuova tecnologia) dovrebbero essere affidate ad una commissione con rappresentanti del Ministero della Salute e del NICE; questa fase era, infatti, prima in capo a Panel strutturati, in cui i portatori di interesse avevano voce in capitolo.

La proceduralizzazione ha poi portato ad una netta separazione tra i diversi momenti del governo delle tecnologie (pur in una logica di integrazione, come sopra evidenziato). A titolo esemplificativo, basta citare il fatto che i *clinical experts* coinvolti nel *priority setting* non possono sedere, se non come uditori informati, nelle commissioni di *appraisal*.

Infine, è importante osservare che molte decisioni del NICE (soprattutto in fa-

se di definizione delle priorità e di prima valutazione) devono essere o comunque di fatto sono avallate dal Ministero. Il Ministero della Salute, peraltro, definisce (ed il Parlamento approva) gli ambiti di competenza del NICE stesso.

4.3.4 Il caso spagnolo

Il sistema sanitario spagnolo, ispirato dal 1984 ad una logica di Servizio Sanitario Nazionale, è caratterizzato da un elevato decentramento istituzionale.

Nel corso degli anni Ottanta e Novanta, è stata decentrata la competenza della gestione del servizio sanitario regionale alle Comunità Autonome (CA) della Catalogna (1981), Andalusia (1984), Paesi Baschi e Valencia (1988), Galizia e Navarra (1991) e Isole Canarie (1994); a questo gruppo di Comunità, si è aggiunta nel 2001 quella di Madrid. Infine, nel 2002, le restanti dieci CA, ancora caratterizzate da un sistema centralizzato, hanno assunto la competenza in materia di sanità pubblica, con funzione d'implementazione delle politiche definite a livello nazionale, di programmazione sanitaria e di gestione dei servizi sanitari (Lopez-Casasnovas *et al.*, 2005).

Il sistema spagnolo di valutazione delle tecnologie sanitarie ha sostanzialmente seguito l'evoluzione istituzionale del sistema sanitario. Nel corso degli anni Novanta, infatti, le CA della Catalogna, Paesi Baschi, Galizia e Andalusia, avendo già acquisito e consolidato la responsabilità nella gestione del proprio servizio sanitario, hanno istituito dei soggetti, di diversa natura, preposti a svolgere attività di HTA. Nel 2001 la CA di Madrid ha costituito la propria unità di *Technology Assessment*.

La presenza di diverse iniziative regionali ha prodotto in un primo momento la creazione di reti informali tra IHTA. Tali reti informali si sono poi tradotte nel 2003 in rete formale (AUNETS, *Agencias y Unidades de Evaluación de Tecnologías Sanitarias*), il cui compito principale è stata la creazione e, poi, la gestione di una piattaforma alimentata da Rapporti HTA, Linee-guida ed altra documentazione prodotta dai singoli IHTA di ciascuna CA.

Il governo centrale ha dapprima valutato la possibilità di centralizzare l'attività di valutazione delle tecnologie. In seguito, a fronte del numero crescente di soggetti regionali incaricati di svolgere HTA, ha istituito nel 1996 una propria *Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias* (AETS) presso l'Istituto di Salute pubblica Carlos III. A tale istituto è stato attribuito non solo il compito di supportare il Ministero della Salute, ma anche di favorire il coordinamento dell'attività di HTA tra il livello centrale e le CA e tra le stesse CA. L'obiettivo è di consolidare forme di coordinamento informale già ben consolidate tra le agenzie delle CA. In particolare, tale strategia ha usato sostanzialmente due strumenti.

Il primo, già attivato, è il *Plan de Calidad para el Sistema Nacional de Salud*, che ha previsto un finanziamento consistente di progetti di ricerca congiunti tra IHTA regionali, progetti aventi per oggetto i temi della metodologia della valutazione e disseminazione dei risultati, nonché la traduzione di valutazioni in rac-

comandazioni e linee-guida. Dalla intervista con AETS, è però emerso che questa iniziativa si chiuderà nel 2010 e difficilmente verrà rinnovata.

Il secondo strumento di coordinamento, formalmente previsto, ma non ancora attuato, è la possibilità per AETS di coinvolgere gli IHTA regionali nel processo di valutazione di nuove tecnologie, nell'ambito dell'aggiornamento della *Cartera de servicios*, ovvero della lista delle prestazioni coperte dal servizio sanitario spagnolo, che devono essere garantite da tutte le CA. Più specificamente, la Commissione delle Prestazioni, organo tecnico del Comitato Inter-territoriale, istituita nel 2008 e composta dai rappresentanti delle CA, delle assicurazioni sociali tuttora esistenti in Spagna (ad esempio, per i funzionari pubblici) e di AETS, oltre ad elaborare proprie proposte, è incaricata di accogliere le domande di aggiornamento della *Cartera de servicios* presentate dal Ministero su richiesta di qualsiasi soggetto (governo nazionale, CA, assicurazioni sociali, aziende ospedaliere, clinici, imprese e associazioni di pazienti). La Commissione delle Prestazioni può chiedere alla Direzione Generale del Ministero della Salute per la coesione di commissionare una valutazione all'AETS. Quest'ultima può stabilire la necessità di essere supportata da uno degli IHTA locali: tale eventualità, tuttavia, non si è fino ad ora verificata.

Oltre al tema del coordinamento tra IHTA centrali e regionali, il sistema HTA spagnolo si caratterizza per tre ulteriori aspetti.

Il primo è il forte legame tra IHTA e Ministero della Salute di riferimento (centrale e regionale), legame che condiziona pesantemente il processo di prioritizzazione, i tempi di realizzazione (spesso compressi per ottenere valutazioni rapide) e, di conseguenza, anche la metodologia adottata.

Il secondo è una forte interrelazione (tendenzialmente informale) con i clinici, nell'ambito di iniziative che vanno da programmi consolidati di HS, attraverso appunto reti di clinici (strategia adottata dall'agenzia galiziana Avalia-T e da quella basca Osteba), alla costituzione di gruppi di valutazione, costituiti da professionisti e coordinati dal personale degli IHTA.

L'ultimo è l'attivazione da parte di due IHTA di CA (Avalia-T e Osteba) di programmi dedicati alla valutazione delle tecnologie mature, implicitamente finalizzati a garantire, nel momento in cui nuove tecnologie, valutate favorevolmente, entrano sul mercato, la loro sostenibilità economico-finanziaria anche attraverso una razionalizzazione nell'uso delle tecnologie più vecchie.

4.3.5 Il caso svedese

La Svezia ha un sistema sanitario universale principalmente finanziato attraverso la fiscalità generale e decentrato a livello di contee (diciotto) e di due regioni⁵.

⁵ Alcune contee, qualche anno fa, hanno deciso di unirsi e adottare quale livello di riferimento amministrativo la regione. È il caso, ad esempio, della Regione Västra Göteborg.

Il decentramento istituzionale, tuttavia, non sembra avere un impatto rilevante sulle caratteristiche del sistema di HTA.

Nel campo della HTA, la Svezia rappresenta con la sua Agenzia per la Valutazione delle Tecnologie (Statens beredning för medicinsk utvärdering – SBU) uno dei precursori in Europa: già nei primi anni Settanta, il Consiglio Nazionale per la Salute e il Benessere, un organo consultivo del Ministero della Salute, chiedeva a medici di fama di fornire una valutazione clinica di alcune tecnologie.

A questa attività fece seguito, nel 1982, un primo tentativo, fallito, di costituire un centro nazionale di HTA sul modello dell'*Office of Technology Assessment* (OTA) americano. Cinque anni dopo, nel 1987, venne invece fondato lo SBU con la missione, affidata dal Governo centrale, di fornire informazioni sul valore delle tecnologie a contee / regioni ed aziende sanitarie (Carlsson, 2004).

Nonostante il processo di decentramento sia iniziato fin dagli anni Settanta, l'attività di HTA è rimasta prevalentemente in capo a SBU. La normativa svedese non prevede, infatti, che le contee debbano dotarsi di un istituto che svolga attività di HTA, ma suggerisce la presenza di Unità HTA nelle strutture ospedaliere: in altri termini, prevede l'attivazione, nell'ambito delle reti ospedaliere locali, di iniziative di HTA «Hospital based». Sono comunque poche le contee che si sono dotate di una vera e propria struttura di valutazione delle tecnologie, facendo spesso riferimento all'università e alle strutture ospedaliere locali, dando maggior peso, di volta in volta, ad una componente o all'altra. Tra queste si ricordano:

- ▶ il *Center for Medical Technology Assessment* (CMT) a Linköping, costituito nel 1984 nella contea di Östergötland grazie ad un accordo tra l'università e il governo locale. In passato, il CMT ha collaborato con SBU su progetti di valutazione economica, ma questa collaborazione è di fatto cessata;
- ▶ il *Centre for Assessment of Medical Technology* (CAMTO), fondato nel 1999, nella Contea di Örebro, centro poco strutturato e molto legato all'attività del governo locale;
- ▶ l'*HTA Centrum* della Regione di Västra Göteborg, nato nel 2007 da una collaborazione tra governo regionale, università locale e rete di ospedali regionali, con lo scopo di produrre valutazioni non solo per il governo locale, ma anche per il management degli ospedali e i clinici.

È stata, infine, costituita una rete tra gli istituti impegnati nell'HTA, rete che si riunisce periodicamente presso lo SBU, con la funzione più di evitare possibili sovrapposizioni tra le attività degli IHTA a livello regionale e di contea (e tra questi e SBU), che di favorire la collaborazione tra i diversi IHTA.

Un ultimo elemento che caratterizza l'attività di HTA in Svezia è la modalità di coinvolgimento dei clinici nel processo di valutazione. In gran parte degli altri Paesi, i clinici sono costantemente chiamati a fornire informazioni, pareri o ad assumere direttamente l'incarico di svolgere parti della valutazione. La Svezia, in-

sieme ad alcune CA spagnole, è l'unico tra i Paesi studiati dove vengono tradizionalmente costituiti dei gruppi di lavoro formati da *clinical experts* e membri dell'IHTA, che svolgono attività di formazione, coordinamento e supporto all'attività dei clinici. L'obiettivo finale è di diffondere la cultura della HTA e di avere dei disseminatori dei rapporti di valutazione autorevoli agli occhi dei colleghi ai quali le raccomandazioni sono indirizzate.

4.4 Analisi comparata del processo decisionale negli Istituti di HTA

La lettura comparata del processo decisionale negli IHTA si è basata sui seguenti aspetti: il ruolo degli IHTA e l'oggetto e l'esito delle valutazioni; il rapporto tra IHTA presenti in uno stesso Paese; le relazioni con i portatori di interesse; il livello di trasparenza del processo decisionale; le fonti informative e i criteri per la prioritizzazione delle valutazioni da svolgere; le modalità di gestione dell'*assessment* e le relative fonti informative.

4.4.1 Ruolo degli Istituti di HTA, oggetto ed esito delle valutazioni

Gli IHTA, in generale, coprono tutte le fasi del processo di TA (Tabella 4.2). Può tuttavia accadere che sia conveniente una maggiore specializzazione su singole fasi del processo (ad esempio, NHSC che svolge attività di HS per tutto il Regno Unito), o sia necessario evitare duplicazioni di attività: in Spagna, ad esempio, AETS, attraverso un Progetto denominato *SiNTESE*, ha non solo attivato una rete di clinici per la segnalazione anticipata delle tecnologie emergenti, ma ha messo a sistema iniziative di HS già avviate da diverse CA spagnole, creando una piattaforma *ad hoc*.

La HAS (Francia) ha attivato nel 2007 uno «Sportello unico per imprese e ricercatori» utilizzato per la segnalazione di tecnologie da parte di imprese e del mondo della ricerca coinvolto nello sviluppo clinico delle stesse: si tratta, quindi, di una forma embrionale (non strutturata) di HS.

DIMDI, ente di diritto pubblico, di cui DAHTA è organo tecnico, svolge attività di HS, che non viene quindi specificamente associata a DAHTA.

L'oggetto della valutazione è rappresentato trasversalmente da farmaci e tecnologie sanitarie (incluse, in queste ultime, le grandi tecnologie). In alcuni casi, come CEDIT, l'attenzione è esclusivamente sulle tecnologie sanitarie; in altri IHTA (soprattutto quelli più strutturati sotto il profilo organizzativo) la valutazione ha per oggetto anche le procedure chirurgiche e mediche e, ancor più in generale, i processi assistenziali.

L'impatto delle valutazioni cambia notevolmente in funzione del ruolo attribuito agli IHTA e alle caratteristiche del sistema sanitario. Con l'eccezione di centri esclusivamente dedicati alla ricerca diretta o alla committenza di attività di

Tabella 4.2 Ruolo degli IHITA, oggetto ed esito delle valutazioni

IHITA	Processo				Natura TA				Oggetto TA			
	Horizon Scanning	Priority Setting	Assessment	Appraisal	Dissemination	Farmaci	Tecnologie sanitarie	Procedure	Processi	Altro		
Francia												
HAS							Vincolante in alcuni casi	X	X	X	X	X
CEDIT							Non vincolante		X			
Germania												
G-BA							Vincolante	X	X	X	X	
IQWiG							Non vincolante	X	X	X	X	
DAHTA							Non vincolante	X	X	X	X	
Inghilterra / Galles												
NICE							Vincolante	X	X	X	X	Programmi prevenzione
HTA NIHR							Non vincolante	X	X	X		
NHSC							-	X	X	X		
Spagna												
AETS							Non vincolante	X	X	X		
AVALIA-T							Non vincolante		X	X		
CAHTA							Non vincolante	X	X	X	X	
OSTEBA							Non vincolante	X	X	X		
UETS							Non vincolante	X	X	X		
Svezia												
SBU							Non vincolante	X	X	X	X	Qualunque intervento sanitario
HTA-Centrum							Non vincolante		X		X	

Note

Per «Dissemination» si intende in questo caso «Disseminazione attiva, ovvero invio della documentazione a soggetti privilegiati e non semplice pubblicazione sul sito degli eventuali Rapporti di HTA e Raccomandazioni espresse a partire dalle valutazioni».

ricerca (es. HTA *Programme* del NIHR), la valutazione non si ferma al semplice *assessment*, ma si traduce in raccomandazioni (*appraisal*). Spesso tali raccomandazioni non hanno natura vincolante e possono essere utilizzate per le decisioni di *policy* dai soggetti politici, dalle autorità regolatorie e/o dai terzi paganti. È a discrezione di questi attori decidere se fare o meno riferimento alle raccomandazioni fornite. In altri casi, sussiste invece l'obbligo di utilizzare le raccomandazioni per le decisioni di rimborso (inserimento nelle liste delle prestazioni coperte dal sistema pubblico), la regolazione dei prezzi e le azioni di indirizzo al comportamento prescrittivo.

Tra gli IHTA considerati, sono tre i casi più significativi di raccomandazioni vincolanti. Il primo è il NICE dove dal 2002, nell'ipotesi di valutazione positiva, le aziende sanitarie sono obbligate a rendere disponibili le tecnologie, prevedendo nel proprio budget risorse necessarie per il loro finanziamento. La situazione della HAS francese è differente: le assicurazioni sociali sono obbligate ad applicare le raccomandazioni di esclusione / inclusione nel repertorio nazionale unico dei dispositivi medici, nel caso in cui il nuovo dispositivo non rappresenti una semplice modifica di dispositivo già inserito e classificato nel repertorio, ma sia piuttosto un nuovo prodotto non riconducibile a nulla di già esistente; inoltre, la commissione incaricata di fissare i prezzi dei farmaci e dei dispositivi medici (CEPS) deve fare riferimento alle raccomandazioni di HAS nello svolgimento della sua funzione. Infine, la G-Ba, preposta a decidere rimborsabilità e a fissare prezzi di farmaci (prezzo di riferimento) e di altre tecnologie sanitarie, ha l'obbligo di considerare le raccomandazioni desunte dagli *assessment* di IQWiG o di altri soggetti deputati, quali DAHTA o la G-Ba stessa (*assessment* non commissionati).

4.4.2 Rapporti tra Istituti di HTA

Nell'analisi delle relazioni tra IHTA, vanno distinte quelle tra differenti IHTA, attivi a livello nazionale, e quelle tra IHTA nazionale/i e regionali (qualora esistenti).

Sul primo aspetto, di particolare interesse sono il caso inglese, tedesco e francese.

In Inghilterra e Galles, esiste una separazione completa tra le attività di TA non finalizzate a raccomandazioni (la cui committenza viene gestita integralmente dal HTA *Programme* del NIHR) e le TA mirate ad esprimere raccomandazioni vincolanti (NICE). Per evitare duplicazioni e favorire l'integrazione tra le diverse iniziative (cui si aggiunge quella di HS), il processo decisionale è fortemente proceduralizzato. Tale modello, da una parte ha generato maggiore trasparenza, dall'altra, data la sua formalizzazione, ha prodotto ritardi nel processo decisionale, ritardi che hanno generato una sistematica e continua revisione delle procedure stesse.

Il tema dei tempi decisionali è molto sentito anche in Germania. Di fatto il modello prevede che la decisione ultima sull'affidamento all'esterno del HTA (e a quale organizzazione) sia dell'autorità regolatoria (G-Ba). Qualora i tempi del-

le valutazioni esterne (in particolare di IQWiG) siano molto lunghi, la G-Ba preferisce effettuare valutazioni internamente. D'altra parte, nelle fasi di stallo del processo decisionale della G-BA, per mancanza di accordo tra i vari *stakeholder* rappresentati (assicurazioni sociali da una parte – più restie a rendere rimborsabile una nuova tecnologia, clinici e ospedali dall'altra), gli stessi *stakeholder*, presenti nel *Board of Trustees* di DAHTA, richiedono a quest'ultima agenzia una valutazione mirata ad accelerare il processo di *appraisal*, che potrebbe spingere le diverse componenti in contrasto nella G-Ba a prendere una decisione.

In Francia, infine, in un contesto di accentramento e consolidamento delle funzioni di valutazione presso l'HAS e di vincoli di bilancio più stringenti, il ruolo avuto finora da CEDIT potrebbe essere ridimensionato.

Di grande interesse è poi la gestione dell'HTA in contesti di decentramento istituzionale quali Germania, Spagna e Svezia. Le scelte dei tre Paesi sono state radicalmente diverse.

Come si è precedentemente menzionato, i governi dei Länder tedeschi non possono svolgere HTA e non sono rappresentati negli IHTA centrali. I Länder svolgono, invece, funzioni di implementazione e gestione delle politiche attivate a livello centrale e, quindi di contestualizzazione dei TA a livello locale.

L'evoluzione delle relazioni tra livello centrale e CA in Spagna è già stato descritto. Qui si vuole menzionare non solo il costante sforzo istituzionale, a livello centrale, teso a favorire il coordinamento tra gli IHTA regionali, ma anche la presenza di una solida rete informale, terreno certamente fertile per le iniziative del governo nazionale. L'obiettivo finale di tutti gli attori coinvolti resta un'effettiva cooperazione basata sia sullo scambio di informazioni utili, sia su una collaborazione fattuale per l'elaborazione di valutazioni.

L'esistenza di una rete informale, inevitabilmente presente in un Paese con una popolazione non numerosa come la Svezia, non è invece una condizione sufficiente per creare una rete finalizzata ad una reale collaborazione, simile a quella spagnola. Dalle interviste, emerge che il coordinamento strutturato tra SBU e gli IHTA delle singole contee / regioni non è finalizzato ad integrare le valutazioni, ma a tracciare le relative competenze e, soprattutto, ad evitare duplicazioni.

4.4.3 Il coinvolgimento degli stakeholder

Il livello e le modalità di coinvolgimento dei portatori di interesse variano sensibilmente tra i diversi Paesi e gli IHTA considerati. La Tabella 4.3 fornisce un quadro sintetico dei diversi contributi degli *stakeholder* attraverso le varie fasi del processo di valutazione.

Il livello di partecipazione degli *stakeholder* può tradursi nella presenza di loro rappresentanti negli organi di *governance* degli IHTA e nelle Commissioni tecniche, nonché in un sistematico supporto al processo decisionale, in quanto chiamati a fornire informazioni / consulenza.

174 L'aziendalizzazione della sanità in Italia. Rapporto OASI 2009

Tabella 4.3 **Il coinvolgimento dei portatori di interesse nelle diverse fasi del processo di valutazione**

IHTA		Sogg pol naz	Sogg pol loc	Terzi paganti	Clinici	Osp	Ricerca	Industria	Pazienti
Francia									
HAS	HS						R	R	
	PS	R		R	R	R		R	R
	AA	C		C	C		V	I, C	C
	DI	D		D	D	D		D	D
CEDIT	HS				D				
	PS				R, I	R, I		I	
	AA				C	C		I	C
	DI				D	D			
Germania									
G-BA	HS								
	PS	R		R	R	R			R
	AA			I, C*	I, C*	I, C*	I, C*, V	C	I, C*
	DI	D		D	D	D			D
IQWIG	HS								
	PS	R							
	AA			I, C	I, C	I, C	I, C, V	C	I, C
	DI	D							D
DAHTA	HS								
	PS	R		R, C*	R, C*	R, C*		R	R, C*
	AA						V		
	DI	D		D	D	D			D
Inghilterra e Galles									
NICE	HS								
	PS	C, I, R			C, I, R	C, I, R	C, I, R	C, I, R	C, I, R
	AA	C, I			C, I	C	V	C, I, R	C, I
	DI				D	D			D
HTA NIHR	HS								
	PS	R, I			R, I	R, I	R, I	R	R, I
	AA						V		
	DI	D			D	D			

Tabella 4.3 (segue)

IHTA		Sogg pol naz	Sogg pol loc	Terzi paganti	Clinici	Osp	Ricerca	Industria	Pazienti
NHSC	HS	R			R, I	R	R	R, I	R
	PS								
	AA								
	DI	D (NICE)							
Svezia									
SBU	HS								
	PS	R	C		C	C	C		C
	AA				V, C			C	
	DI	D	D		D				D
Centrum HTA	HS								
	PS				R	R	R		
	AA				V, C	V			
	DI		D		D	D	D		D
Spagna									
AETS	HS								
	PS	R, I	R, I		I		I	R	R
	AA		R		C, I, V		I, V	I	
	DI	D	D		D				
CAHTA	HS								
	PS	R	R		I		I	R	R
	AA		I		C		C	I, C	C
	DI		D		D				
OSTEBA	HS		D		I, C, D			I	
	PS	R	R, I		R				R
	AA		I		V, C		I, V	I	
	DI	D	D		D				
AVALIA-T	HS		D		I			I	
	PS	R	R		R, C				C
	AA		I		C, V				C
	DI	D	D		D				D

Tabella 4.3 (segue)

IHTA		Sogg pol naz	Sogg pol loc	Terzi paganti	Clinici	Osp	Ricerca	Industria	Pazienti
UETS	HS								
	PS	R	R						
	AA		I		C			I	
	DI	D	D						

Nota

*In questi casi, gli stakeholder sono attori del processo di prioritizzazione o di valutazione, benché supportati tecnicamente dallo staff degli IHTA.

Legenda

HS: Horizon Scanning

PS: Priority Setting

AA: Assessment / Appraisal

DI: Dissemination

C (soggetti Consultati): soggetti che sono consultati per fornire spiegazioni su temi specifici e per fornire una revisione esterna dei documenti a garanzia della qualità scientifica del lavoro.

D (soggetti Destinatari): destinatari istituzionali o attesi dei documenti di valutazione.

I (soggetti Informatori): soggetti che forniscono informazioni per il processo di prioritizzazione o per l'elaborazione della valutazione.

R (soggetti Richiedenti): soggetti che direttamente o indirettamente fanno richiesta di valutazione in modo istituzionale (ad esempio, associazione di categoria o società scientifica) o privato.

V (soggetti Valutatori): soggetti a cui è commissionata l'elaborazione parziale o totale della valutazione.

Il NICE e gli IHTA tedeschi rappresentano gli unici casi in cui gli *stakeholder* sono rappresentati nei rispettivi organi di *governance*. Nel caso del NICE tale partecipazione si concretizza, per tutti i portatori di interesse, in due *Council – Citizen's Council e Partner's Council* – il primo contribuisce alla definizione dei valori di utilità sociale da adottare nei processi di valutazione e all'analisi dei risultati della valutazione, mentre il secondo definisce le priorità strategiche del NICE stesso. In Germania, la rappresentanza nei *Board of Trustees* degli IHTA riguarda solo gli *stakeholder* «interni al sistema», ovvero le assicurazioni sociali, i clinici e le aziende sanitarie. È esclusa l'industria, mentre sono ammesse, senza diritto di voto, le associazioni di pazienti accreditate dal Ministero della Salute. Tale scelta è dettata dal modello di riferimento del sistema sanitario tedesco, ispirato ai principi corporativi che prevedono una partecipazione formale degli organi rappresentativi delle «professioni» alle politiche pubbliche.

Rispetto, invece, alla partecipazione dei portatori di interesse al processo decisionale possono essere individuati alcuni trend generali ed alcuni elementi che caratterizzano le singole categorie di *stakeholder*.

La partecipazione dei portatori di interesse riguarda sostanzialmente tutte le

fasi, ma è più rilevante in quella di *assessment*. I portatori di interesse possono effettuare richieste al fine di prioritizzare la valutazione di determinate tecnologie, ma la gestione del processo nonché la decisione finale (ovvero, quali tecnologie valutare) spettano agli IHTA ed al soggetto politico di riferimento.

Con la sola eccezione dell'industria, che ha un ruolo rilevante nell'erogazione di informazioni – soprattutto di natura economica – sul prodotto gran parte degli *stakeholder*, più che trasmettere in modo strutturato informazioni / dati, sono chiamati a fornire (i) *expertise*, in un'ottica di consulenza (a volte occasionale, a volte sistematica), con riferimento sia alla letteratura scientifica, sia all'esperienza quotidiana (pratica clinica ed esperienza dei pazienti) e (ii) una valutazione della documentazione raccolta (consultazione) e di quella elaborata (revisione) dagli IHTA.

NICE e IQWiG mostrano un coinvolgimento sistematico degli *stakeholder* nelle diverse fasi del processo valutativo. NICE, infatti, per ogni fase, attiva una consultazione pubblica, finalizzata a ricevere commenti da parte di tutti gli *stakeholder*; questi sono poi parte attiva delle commissioni consultive attraverso la partecipazione ai *Consideration Panels* nella fase di prioritizzazione ed al *Technology Appraisal Committee* nella fase, appunto, di *appraisal*. IQWiG prevede di sottoporre ai commenti dei rappresentanti di qualsiasi gruppo di *stakeholder*, comprese l'industria e le associazioni di pazienti, sia il protocollo del progetto di valutazione, sia la versione preliminare del rapporto di HTA.

Entrando nel merito dei singoli portatori di interesse, si osserva come l'industria sia generalmente considerata fonte informativa, in alcuni casi paritetica ad altre, in altri unica o preferenziale (si pensi alla messa a disposizione di modelli di valutazione economica), in altri ancora (è il caso in genere degli IHTA spagnoli) come fonte di *second best*, qualora altre fonti (essenzialmente la rassegna della letteratura) non siano state di aiuto. È molto differenziato, invece, il ruolo dell'industria nella fase di richiesta di valutazioni. Tale possibilità è strutturalmente riconosciuta in Inghilterra e in Francia, presso la HAS; in Spagna, le imprese non possono in genere effettuare richiesta di prioritizzazione, e quando ciò è possibile (AETS e CAHTA), sono tenute a pagare una tariffa per il servizio reso; con l'eccezione di DAHTA, in Germania e Svezia le imprese non possono richiedere *assessment*. In alcuni casi molto limitati, a parte l'Inghilterra, le imprese possono partecipare alle commissioni tecniche di supporto al processo valutativo o, addirittura, alle commissioni che elaborano le raccomandazioni. In Francia, ad esempio, un rappresentante dell'Associazione delle imprese produttrici di dispositivi medici può partecipare, ma senza diritto di voto, alla commissione che definisce il repertorio dei dispositivi stessi, ossia la CEPP. Per quanto le imprese in alcuni Paesi siano riconosciute come soggetti abilitati a richiedere una valutazione, le interviste hanno evidenziato una certa reticenza a farlo (soprattutto da parte delle imprese produttrici di dispositivi). Il timore delle imprese è, infatti, quello di ottenere un RICE (Rapporto Incrementale di Costo-Efficacia) sfavorevole, con conseguenti difficoltà o impossibilità di accesso al mercato.

Il livello formale e sostanziale di partecipazione dei pazienti è molto diverso da

Paese a Paese. Il tema presenta due criticità: una prima di ordine tecnico, ossia in quali termini i pazienti possono contribuire sotto il profilo tecnico-informativo; una seconda di tipo più relazionale, rappresentata dalla necessità di garantire l'indipendenza di giudizio delle associazioni dall'influenza delle imprese. A tale proposito si possono individuare due modelli estremi. Il primo è rappresentato dalla Spagna, dove non è prevista alcuna partecipazione formale da parte dei pazienti e dove le eventuali richieste di prioritizzazione da parte degli stessi devono comunque passare attraverso le strutture ospedaliere. Il secondo modello è quello inglese, dove non solo i pazienti e le relative associazioni sono presenti in diversi momenti del processo decisionale come *patient expert*⁶, oltre ad essere inclusi nella lista dei *consultees* e *commentators*⁷, ma sono state anche attivate diverse iniziative tese a stimolare le associazioni dei pazienti a farsi parte attiva del processo decisionale, nonché eventi formativi su aspetti più tecnici della valutazione. La sensibilità nei confronti dei pazienti è motivata dall'esigenza non solo di completare le valutazioni, utilizzando il relativo punto di vista, ma anche di ridurre al minimo le frizioni con pazienti (e clinici) in caso di esito negativo della valutazione. Il tema della relazione pazienti – imprese (e clinici-imprese) è stato affrontato vietando alle imprese di segnalare associazioni di pazienti e clinici da inserire nelle commissioni consultive, oltre a prevedere, come in gran parte delle realtà, una gestione strutturata del conflitto di interessi. In una situazione intermedia si trovano Germania e Francia. In Germania, la partecipazione delle associazioni di pazienti è importante, ma tali associazioni devono ottenere un accreditamento da parte del Ministero della Salute, accreditamento che comporta una verifica, tra gli altri aspetti, delle relazioni esistenti tra queste e il mondo delle imprese. Anche in Francia è previsto un accreditamento istituzionale sulla base dell'evidenza che le associazioni svolgano un'effettiva attività di difesa dei diritti dei malati, di diffusione delle informazioni, gestiscano in modo trasparente le proprie attività, siano rappresentative della popolazione affetta dalla patologia e siano indipendenti. Le imprese devono, a tale scopo, pubblicare la lista delle associazioni finanziate.

Uno dei temi più critici è poi il coinvolgimento dei clinici nel processo di valutazione. A questo proposito non sono presenti, in termini generali, sistemi molto formalizzati di reclutamento, anche se il livello di trasparenza e di gestione integrata dell'intero processo posiziona in modo diverso i Paesi considerati. Ancora una volta, Spagna e Inghilterra si trovano agli antipodi. In Spagna, prevale il principio della

⁶ Pazienti sensibili alle tematiche scientifiche e che hanno sperimentato tecnologie *comparator*.

⁷ I *consultees* sono i soggetti invitati a inviare commenti sull'oggetto (*scope*) dell'*appraisal*, ad inviare evidenze alla Technology Appraisal Committee, tra cui modelli di valutazione delle tecnologie, a raccomandare ulteriori *consultees*, a nominare *clinical specialist* (ad eccezione delle imprese), ad effettuare commenti su tutta la documentazione prodotta e ad adire a procedure di appello nei confronti della valutazione effettuata. I *commentators* sono i soggetti che partecipano alle consultazioni pubbliche, ma non hanno facoltà di appellarsi contro le decisioni prese.

chiamata diretta da parte degli IHTA sulla base della fama e del prestigio o di una semplice segnalazione da parte delle aziende sanitarie o anche di associazioni professionali e società scientifiche. Tale processo informale non ha peraltro creato, a giudizio di chi è stato intervistato, contestazioni rilevanti. In Inghilterra, la partecipazione dei clinici avviene attraverso *call* pubbliche (definite *advertisement*). La selezione finale è effettuata dagli IHTA, ma tutti i *consultees* (associazioni professionali, società scientifiche, aziende sanitarie, associazioni di pazienti, ecc.), escluse le imprese, possono suggerire un *clinical expert* da inserire nella commissione di riferimento.

In tutti Paesi esistono procedure di gestione del conflitto di interessi. Su questo aspetto le procedure inglesi sono relativamente meno complesse: viene definito un codice di condotta che vale per tutti coloro che partecipano al processo decisionale (inclusi i funzionari degli IHTA); in caso di dichiarazione di conflitto di interessi, l'esperto è invitato a non partecipare alla riunione. In Germania e Francia, le dichiarazioni vengono rese pubbliche, mentre in Inghilterra, essendo i verbali delle riunioni pubblicati sul sito, non si sente il bisogno della pubblicazione dell'elenco dei conflitti di interesse dichiarati.

Un ulteriore aspetto interessante è il ruolo del soggetto politico di riferimento (tipicamente Ministero della Salute). In linea di massima il Ministero, con l'eccezione della Svezia, viene sistematicamente coinvolto nel processo decisionale, in particolare nella fase di prioritizzazione. In alcuni casi, le decisioni finali (es. valutazione finale sulla prioritizzazione del NICE) richiedono un avallo formale a livello politico, prima che una tecnologia venga concretamente valutata. L'effettiva formalità dell'approvazione è stata confermata dalle interviste: sembra, infatti, che i Sottosegretari alla Salute inglesi (*Ministers*) non abbiano mai rifiutato la decisione di valutare una tecnologia, già considerata prioritaria dalle commissioni tecniche di riferimento. In altri Paesi (ad esempio, Francia), le valutazioni delle due principali commissioni tecniche della HAS (CEPP e CEAP) supportano le decisioni di prezzo della commissione interministeriale (CEPS): pertanto, non è richiesto un successivo avallo formale da parte dei soggetti politici.

4.4.4 La trasparenza nel processo decisionale

Il tema della trasparenza è generalmente considerato di grande rilevanza nei processi decisionali pubblici. Tale tema riveste ancora più importanza nel campo della valutazione delle tecnologie, se si tiene conto che:

- ▶ l'esito del TA può essere una raccomandazione d'uso o di rimborso di una tecnologia a tutela della salute del paziente;
- ▶ il TA, per sua definizione, è multi dimensionale e, quindi, multi professionale: la trasparenza del processo (oltre che il coinvolgimento degli *stakeholder*, anche a titolo puramente consultivo) può generare un'affluenza rilevante di dati / valutazioni / esperienze provenienti da diversi soggetti.

Un primo aspetto riguarda la condivisione fra gli *stakeholder* delle procedure utilizzate. Ancora una volta il NICE rappresenta un *benchmark*: gran parte delle ridefinizioni delle procedure di valutazione sono soggette a consultazione pubblica, finalizzata ad ottenere dai portatori di interesse valutazioni sulle modifiche organizzative da attuare. I documenti oggetto di consultazione peraltro dettagliano i cambiamenti, rendendo la valutazione degli *stakeholder* più agevole.

Tuttavia, un indicatore ancor più importante del livello di trasparenza delle decisioni è rappresentato dalla pubblicazione non solo degli esiti del TA, ma anche del processo decisionale, ovvero di calendario, agenda e verbali delle riunioni dei gruppi di lavoro, delle commissioni tecniche, dei gruppi di consulenza (*advisory panel*) ecc. Gli IHTA inglesi e IQWiG presentano livelli di trasparenza maggiori rispetto agli altri IHTA. Come indicatore di basso livello di trasparenza, esiste poi l'abitudine, tipicamente degli IHTA spagnoli (ma anche di DAHTA), di prevedere la pubblicazione di report più strutturati di TA, report più sintetici e realizzati in tempi brevi su committenza del soggetto pubblico (Assessorato alla sanità per le CA spagnole; G-Ba per DAHTA); l'assenza di condivisione è motivata essenzialmente dall'urgenza di prendere una decisione rapida su una nuova tecnologia.

4.4.5 Le fonti informative e i criteri del processo di prioritizzazione

La prioritizzazione è un momento importante nel processo di TA, in quanto produce una selezione delle tecnologie per cui è considerata essenziale la valutazione. La scelta di prioritizzare una tecnologia può poi impattare sul livello e sui tempi di accesso alle tecnologie stesse: la mancata prioritizzazione può in alcuni casi garantire un accesso più rapido; d'altra parte, il fatto che una tecnologia non venga valutata può produrre un atteggiamento più conservativo e sospettoso degli operatori e dei terzi paganti.

In generale, ai fini della prioritizzazione vengono usate tutte le fonti informative: dalla revisione della letteratura, con o senza consultazione sistematica degli *stakeholder*, alle richieste di valutazione direttamente da parte dei portatori di interesse. In particolare, le iniziative di HS, la rassegna della letteratura con consultazione degli *stakeholder* e le segnalazioni di clinici e delle loro società scientifiche ed associazioni professionali rappresentano la fonte preferenziale di informazioni per la prioritizzazione.

Il ruolo delle imprese è invece molto più eterogeneo. In alcuni casi, le aziende vengono considerate fonte prioritaria di informazioni: questo avviene per le iniziative di HS in Inghilterra, iniziative essenzialmente focalizzate sui farmaci. Data, invece, la già menzionata reticenza delle imprese produttrici di tecnologie a richiedere la considerazione dei propri prodotti, le segnalazioni per i dispositivi medici vengono più dal sistema sanitario e dalla stampa commerciale che dalle imprese stesse. In altre situazioni (ad esempio, HTA *Programme* del NIHR e G-Ba), le aziende

Tabella 4.4 Le fonti informative ed i criteri per il processo di prioritizzazione

IHTA	Fonti informative				Criteri espliciti prioritizzazione	
	Interne agli IHTA		Esterne agli IHTA			
	Review letteratura consultazione esterna	HS	Soggetti politici / Terzi pagatori	Sistema sanitario		Altri stakeholder
HAS		x*	x	x	Associazioni professionali, società scientifiche, imprese, associazioni di pazienti	x
CEDIT			x	x	Associazioni dei pazienti	
G-BA					Associazioni professionali, società scientifiche, clinici ospedali, assicurazioni sociali e pazienti	x
IQWiG						
DAHTA	x	x (Dimdi)	x	x	Tutti gli stakeholder, genericamente richiamati	x
NICE						
HTA NIHR		x x (NHSC)	x	x	Tutti gli stakeholder, di cui specifica il ruolo rispetto al processo	x
NHSC			x	x	Tutti gli stakeholder, esclusa l'industria	x
AETS					Tutti gli stakeholder, soprattutto l'industria	x
AVALLIA-T						
CAHTA						
OSTEBA						
UETS						
SBU						
HTA-Centrum						

* Sportello per imprese e ricercatori.

sono formalmente escluse dalla possibilità di richiedere una valutazione. Questo è dovuto, per l'HTA *Programme*, all'obiettivo di finanziare progetti di ricerca che le imprese non hanno volontà o convenienza a realizzare, e per G-Ba al fatto di avere un ruolo rilevante sotto il profilo regolatorio. Peraltro le imprese possono, attraverso DAHTA, fare richieste di valutazione, benché ciò accada raramente.

Interessanti sono anche le modalità di segnalazione ed i processi decisionali.

Con riferimento al primo aspetto, la tendenza degli IHTA è di diffondere sistemi di segnalazione via web, benché non sempre tale procedura risulti efficace. Nel caso di DAHTA, ad esempio, per quanto la procedura sia aperta a tutti i portatori di interesse, le segnalazioni vengono soprattutto dal Ministero della Salute e dalle assicurazioni sociali. Una situazione analoga si ha in Inghilterra e nei Paesi Baschi: NHSC e Osteba hanno attivato per l'HS sistemi di segnalazione via web aperti a tutti i portatori di interesse, ma di fatto gran parte delle segnalazioni arriva da interlocutori istituzionali. In alcune realtà (es. CEDIT, HTA *Centrum* ed alcuni altri IHTA) i portatori di interesse possono segnalare nuove tecnologie da valutare, ma solo in modo indiretto. Ad esempio, la richiesta di valutazione da parte dei clinici deve passare attraverso l'approvazione delle direzioni generali degli ospedali o dei ministeri della salute e i pazienti possono effettuare richieste di prioritizzazione solo attraverso le strutture di cura.

Le decisioni sulla prioritizzazione, oltre ad affidarsi a criteri tendenzialmente espliciti, vengono prese (o suggerite al soggetto politico, che spesso è deputato a formalizzarle) ricercando un consenso unanime nelle commissioni tecniche competenti. A questo scopo gioca un ruolo fondamentale il Presidente della commissione tecnica, che ha l'arduo compito di ricercare il consenso unanime. Data la delicatezza del tema, esistono forme più strutturate di processo decisionale: ad esempio, le richieste presentate in forma anonima al *Board of Trustees* di DAHTA vengono valutate da questo attraverso il metodo Delfi, dando così la possibilità ai partecipanti di consultarsi con colleghi.

4.4.6 Criteri di committenza e fonti informative dell'assessment

L'*assessment* è il momento più tecnico del processo di TA ed è per questo motivo che in tale fase gli IHTA coinvolgono spesso soggetti esterni o si affidano completamente a questi ultimi.

NICE, con riferimento alle *Multiple Technologies Appraisal* – MTA⁸, e DAHTA affidano integralmente la valutazione a centri di ricerca esterni, salvo poi, ov-

⁸ La MTA è una procedura di valutazione su diverse tecnologie per la stessa indicazione terapeutica ed ha una durata di 24 mesi. La Single Technology Appraisal (STA) è una procedura accelerata su una singola tecnologia e indicazione terapeutica.

viamente, verificare i risultati ottenuti e la coerenza degli stessi con la domanda di ricerca.

Nello specifico, in Inghilterra e Galles si identifica una lista di centri di riferimento, mediante bando pubblico quinquennale. La scelta del centro a cui affidare il progetto è effettuata sulla base delle competenze / livello di specializzazione sul tema, del tempo disponibile e della presenza di un eventuale conflitto di interessi.

La committenza da parte di DAHTA avviene in modo molto simile. L'elenco dei centri di ricerca deputati al TA viene stilato attraverso bandi triennali. Tale elenco è compilato sulla base della capacità di coprire diversi ambiti clinici, oltre che sulla presenza di competenze multi-professionali (in campo epidemiologico, economico e di biostatistica). I centri selezionati stipulano, quindi, un contratto in cui si impegnano a produrre un certo numero di rapporti all'anno a fronte di un finanziamento annuale fisso. Qualora i centri non raggiungano gli obiettivi concordati, sono tenuti a rimborsare una parte del finanziamento a DAHTA. L'assegnazione dei progetti avviene, se possibile, sulla base delle preferenze espresse dai centri di ricerca e non secondo logica top-down (ovvero di competenza presunta).

La situazione è più composita negli altri Paesi. In Francia, a fronte di una tradizionale gestione interna, la CEEPS della HAS ha la facoltà di affidare la relativa valutazione ad esterni. In questo caso l'HAS svolge un ruolo di verifica della metodologia adottata.

Gli IHTA spagnoli si rivolgono a soggetti esterni (o gruppi di lavoro) nel caso di studi complessi, mentre svolgono internamente le valutazioni commissionate dal soggetto politico, valutazioni basate essenzialmente su una rassegna della letteratura; questi ultimi studi spesso non vengono pubblicati sul sito. Nello specifico, i gruppi di lavoro, formati essenzialmente da clinici, sono particolarmente utilizzati da Osteba e dalle due agenzie svedesi SBU e HTA Centrum. L'uso di gruppi di lavoro, pur reso complesso dalla limitata capacità produttiva di clinici disposti a parteciparvi, è finalizzato non solo ad acquisire informazioni (in questo senso sarebbe sufficiente disporre di *clinical experts* invitati nei *panel*), ma anche a diffondere tra i clinici stessi la cultura della valutazione delle tecnologie.

Quanto alle modalità di svolgimento delle TA, ovvero alle tipologie di studi attivati, si segnala come l'approccio prevalente sia quello della revisione sistematica della letteratura, con l'eventuale raccolta di dati a livello locale, a volte sulla base di studi quasi-sperimentali. Gli unici IHTA a commissionare ed implementare Trial clinici sono l'HTA *Programme* del NIHR e CEDIT.

Anche l'uso di modelli economici non è particolarmente diffuso. A questo proposito si segnala come NICE accetti la messa a disposizione di modelli (e risultati di modelli) da parte delle imprese, purché i dati vengano presentati secondo la metodologia ed il format previsti. DAHTA, dal canto suo, detta delle condizioni per l'uso di modelli economici provenienti dalle imprese: è, infatti, prevista la necessità che questi abbiano un fondamento scientifico solido e siano coerenti con (ovvero alimentati da) i dati epidemiologici tedeschi.

4.5 Conclusioni

Anche in Italia la valutazione delle tecnologie sta assumendo sempre più rilevanza. Il Piano Sanitario Nazionale (PSN) 2006-08 ha sottolineato l'importanza dell'uso di sistemi di valutazione per le alte tecnologie, dati gli elevati costi e la complessa gestione delle stesse. Lo stesso PSN ha previsto la creazione di una Rete HTA nazionale articolata a livello regionale ed aziendale e azioni finanziate con i fondi di ricerca finalizzata ex art. 12*bis* del D.lgs. 229/99. A tale indicazione è seguita la creazione del Network Italiano di Health Technology Assessment (NIHTA), con l'obiettivo della diffusione dei principi e delle metodologie dell'HTA nelle aziende sanitarie, e la nascita della Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA) nel gennaio del 2007.

Il sistema di HTA a livello centrale non sembra presentare attualmente una struttura ben definita. In sede AIFA, pur essendovi diverse attività che, integrate, rappresentano i presupposti per una valutazione dei farmaci, secondo i principi dell'HTA, non è stato attivato alcun progetto specifico di HTA applicato all'assistenza farmaceutica. Più evidente è il ruolo dell'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali (Agenas): la Conferenza Unificata Stato-Regioni ha attribuito a tale agenzia i compiti di promozione e supporto alle Regioni sull'attività HTA (Deliberazione 73/CU del 20 settembre 2007). L'Agenas ha quindi attivato una propria «Area Tematica» dedicata (ISS – Innovazione, sperimentazione e sviluppo – HTA). Tale area ha, tra i propri obiettivi, quello di svolgere valutazioni di tecnologie biomediche, attività avviata nel corso del 2007 sulla base di un accordo di collaborazione con la Direzione Generale Farmaci e Dispositivi Medici del Settore Salute del Ministero del Welfare. Nell'ambito più generale dei sistemi di monitoraggio delle tecnologie, si pone anche l'iniziativa COTE (Centro di Osservazione delle Tecnologie biomediche Emergenti), progetto di ricerca corrente, presentato dall'Agenas nel Settembre 2008, con la funzione di individuare le tecnologie emergenti a supporto della successiva gestione delle stesse da parte di regioni ed aziende sanitarie (in altri termini, si tratta di un'iniziativa di HS). Il Libro Verde sul futuro del modello sociale «La vita buona nella società attiva» del Ministero del Welfare cita esplicitamente (pag. 20) l'HTA come processo che consente «di programmare la distribuzione delle apparecchiature con razionalità ed economicità, secondo bacini di utenza appropriati, evitando sprechi di uomini e mezzi e di indurre nuova domanda». Per quanto la visione di HTA sottesa a tale documento sia limitata implicitamente alle grandi apparecchiature e a decisioni sulla loro allocazione razionale (come peraltro avveniva nel PSN), si tratta di un punto importante che potrebbe dare un ulteriore impulso istituzionale ai processi di HTA.

Negli ultimi anni si è poi assistito ad un aumento delle iniziative (formali e/o sostanziali) regionali genericamente riconducibili all'HTA, ma più strutturalmente legate allo sviluppo di un sistema integrato di gestione delle tecnologie,

dalla loro individuazione anticipata fino al *follow-up* di raccomandazioni più o meno vincolanti nei confronti delle aziende e degli operatori sanitari. Tali iniziative sono state avviate (in alcuni casi solo formalmente) in Piemonte, Lombardia, Veneto, Toscana, Lazio e Campania. L'Emilia Romagna, pur non avendo formalmente unità operative di HTA, ha da tempo promosso iniziative di governo dei processi di innovazione. Sono diverse le pubblicazioni divulgative che hanno riportato una descrizione di tali iniziative, quali la rivista *Il Sole 24 Ore Sanità* ed *AboutPharma Mese*⁹.

L'analisi comparata degli IHTA a livello europeo fornisce alcuni spunti di interesse per la situazione italiana.

Un primo aspetto riguarda le relazioni tra IHTA centrali e regionali. Emergono sostanzialmente due modelli (il terzo, quello tedesco, non è applicabile al caso italiano, perché le Regioni hanno, di fatto, già implementato iniziative di TA e difficilmente accetteranno di essere private di tale competenza): uno finalizzato a favorire la cooperazione tra i soggetti del sistema (Spagna) e un secondo mirato soprattutto ad evitare duplicazioni delle valutazioni a livello nazionale (Svezia). Le relazioni istituzionali pregresse e la dimensione del sistema-Paese sembrano avere un'influenza determinante sulla scelta. Nella situazione spagnola, la strategia nazionale, tesa a promuovere la cooperazione tra agenzie, si è innestata su un ambiente già favorevole, caratterizzato da una consolidata rete di rapporti informali. In quella svedese, al contrario, ad una consolidata esperienza centrale si sono giustapposte iniziative di singole contee / regioni, che sembrano evolvere verso profili di specializzazione, in termini sia di tecnologie oggetto di indagine che di metodo utilizzato per la valutazione: il caso di HTA Centrum, focalizzato sulla realizzazione di HTA *Hospital-Based*, avente per oggetto solo i dispositivi medici, è esemplificativo di quanto sopra evidenziato. Inutile sottolineare che il contesto italiano sia più simile a quello spagnolo e che, di conseguenza, il livello centrale possa avere un ruolo di coordinamento / propulsione di iniziative regionali, ma difficilmente assumerà nel tempo una gestione accentrata del processo di HTA.

Un altro elemento spesso assai controverso circa l'attività degli IHTA è la modalità di coinvolgimento dei portatori di interesse. Se le relazioni con i soggetti politici di riferimento (più o meno intenso) e con le aziende sanitarie sembrano essere più omogenee (al di là della natura vincolante delle raccomandazioni), maggiori criticità derivano dai rapporti con pazienti, clinici ed industria.

Il coinvolgimento dei pazienti può essere ricondotto a tre modelli: un processo di reclutamento informale, basato su contatti e conoscenze di altri soggetti o attori (Avalia-T e CAHTA in Spagna); l'uso dello strumento dell'accreditamento delle as-

⁹ *Il Sole 24 Ore Sanità* (Numero 27), «HTA e HS per la sostenibilità dell'innovazione in campo sanitario», Giugno 2009; *AboutPharma* (Numero 69), «Dossier Health Technology Assessment, Giugno 2009».

sociazioni al fine di garantire la loro rappresentatività e indipendenza da altri portatori di interesse (Francia e Germania); il coinvolgimento della cosiddetta figura del *patient expert*, capace di portare l'esperienza diretta sull'impatto delle tecnologie in termini di qualità della vita e sul livello di accesso all'innovazione tecnologica.

Indipendentemente dalla natura vincolante delle raccomandazioni, un ulteriore aspetto critico è l'impatto di tali raccomandazioni sul comportamento clinico. Una soluzione spesso adottata è coinvolgere in modo strutturato i clinici nel processo decisionale non solo per ottenere un supporto nella revisione sistematica della letteratura o nella raccolta di evidenze e informazioni, ma anche per facilitare la loro adesione alle raccomandazioni stesse. A questo scopo sono individuabili diversi approcci: alcuni IHTA (Osteba e i due IHTA svedesi indagati) prevedono che siano gli stessi clinici ad effettuare le valutazioni: lo strumento usato è il gruppo di lavoro composto da clinici e membri degli IHTA. Una seconda via è quella percorsa da NICE ed HAS che utilizzano, per il reclutamento ed il coinvolgimento dei clinici, società scientifiche e associazioni professionali. Altri IHTA spagnoli hanno coinvolto i clinici in modo del tutto informale, sulla base di segnalazioni effettuate dalle strutture ospedaliere locali.

L'industria, come sopra evidenziato, presenta un ruolo molto differenziato. Spesso viene riconosciuto alle imprese un ruolo informativo, prioritario o secondario. Invece, la possibilità che le imprese possano fare richiesta di prioritizzazione e valutazione e, soprattutto, partecipare al processo decisionale è prevista solo in alcuni casi. Laddove, come nel caso inglese, viene definito in modo formale il ruolo dei diversi *stakeholder* e vengono gestite secondo criteri di trasparenza le relazioni tra gli stessi (ad esempio, tra industria, clinici e pazienti), le imprese vengono rese partecipi, con propri rappresentanti, al processo decisionale, anche nella sua fase più delicata, ovvero nel momento di traduzione delle valutazioni in raccomandazioni.

Indipendentemente dalle scelte effettuate, il tema del coinvolgimento degli *stakeholder* è molto rilevante: gli IHTA non hanno tutte le informazioni per prendere decisioni complete e la partecipazione al processo decisionale rappresenta uno strumento per rendere comunque più accettabili le raccomandazioni, siano esse vincolanti o meno.

I due temi esaminati, ovvero il rapporto tra livello centrale e regionale e le relazioni con i portatori di interesse, potrebbero / dovrebbero rappresentare due punti essenziali da considerare nella costruzione di un sistema di HTA in Italia..

Bibliografia

- Busse R., Riesberg A. (2004), «Health care systems in transition: Germany», *WHO Regional Office for Europe on behalf of the European Observatory on Health Systems and Policies*, Copenhagen.
- Busse R., Stagardt T., Schreyögg J. (2005), «Determining the health benefit ba-

- sket of the Statutory Health Insurance Scheme in Germany: Methodologies and criteria», *European Journal of Health Economics*, 6:S30-S36.
- Carlsson P. (2004), «Health technology assessment and priority setting for health policy in Sweden», *International Journal of Assessment in Health Care*, 20(1):44-50.
- Fattore G., Cavallo M.C., Tarricone R. (2008), «Lo sviluppo dell'Health Technology Assessment in Italia: contenuti, approcci e riferimenti internazionali» in E. Anessi Pessina, E. Cantù (a cura di), *L'aziendalizzazione della sanità in Italia: Rapporto OASI 2008*, Milano, EGEA.
- Fleurette F., Banta D. (2000), «Health technology assessment in France», *International Journal of Assessment in Health Care*, 16(4):400-411.
- Lopez-Casasnovas G., Costa-Font J., Planas I. (2005), «Diversity and regional inequalities in the Spanish system of health care services», *Health Economics*, 14:S221-S235.
- Office of Technology Assessment (1978), *Assessing the Efficacy and Safety of Medical Technologies*, September 1978, Washington D.C.
- Ovrain J., Xerri B., Matillon Y. (2004), «Overview of Health Technology Assessment in France», *International Journal of Assessment in Health Care*, 20(1):25-34.
- Perleth M., Busse R. (2000), «Health technology assessment in Germany», *International Journal of Assessment in Health Care*, 16(4):412-428.
- Sorenson C., Drummond M., Kanavos P. (2008), «Ensuring Value for Money in Healthcare», WHO European Observatory on Healthcare Systems and Policies, *Observatory Studies Series N° 11*, 2008.
- Stevens A., Milne R. (2004), «Health technology assessment in England and Wales», *International Journal of Assessment in Health Care*, 20(1):11-24.
- Velasco Garrido M., Kristensen F., Nielsen C., Busse R. (2008), «Health Technology Assessment and Health Policy-Making in Europe», European Observatory on Healthcare Systems and Policies, *Observatory Studies N° 14*.
- Zentner A., Velasco-Garrido M., Busse R. (2005), «Methods for the comparative evaluation of pharmaceuticals», *GMS Health Technology Assessment*, 1:Doc09.

Abbreviazioni utilizzate

AGENAS	Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali
AP-HP	Assistance Publique-Hôpitaux de Paris
CA	Comunità Autonome
CEAP	Commission Évaluation des Acts Professionels
CEDIT	Comité d'Éval. et de Diffusion des Innovations Technologiques
CEESP	Commission de Évaluation Économique et de Santé Publique
CEPP	Commission de Évaluation des Produits et des Prestations
CEPS	Commission Économique des Produits de Santé

CAMTO	Centre for Assessment of Medical Technology
CMT	Center for Medical Technology Assessment
COTE	Centro di Osservazione delle Tecnologie biomediche Emergenti
CT	Commission de Transparence
DAHTA	Deutsche Agentur für Health Technology Assessment
DIMDI	Deut. Institut für Medizinische Dokumentation und Information
EBM	Evidence Based Medicine
G-BA	Gemeinsame Bundesausschuss,
HAS	Haute Autorité de Santé
HS	Horizon Scanning
HTA	Health Technology Assessment
IHTA	Istituti di Health Technology Assessment
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
MTA	Multiple Technology Appraisal
NHSC	National Horizon Scanning Centre
NIHR	National Institute for Health Research
NICE	National Institute for Health and Clinical Excellence
NIHTA	Network Italiano di Health Technology Assessment
OTA	Office of Technology Assessment
PSN	Piano Sanitario Nazionale
RICE	Rapporto Incrementale di Costo-Efficacia
SBU	Statens Beredning för medicinsk Utvärdering
SIHTA	Società Italiana di Health Technology Assessment
STA	Single Technology Appraisal
TA	Technology Assessment