

## Relazioni tra Associazioni Pazienti e Istituzioni responsabili della valutazione e rimborso delle Tecnologie Sanitarie nel Servizio Sanitario Nazionale

### Premessa

Il presente documento intende fornire alcune raccomandazioni sul coinvolgimento delle Associazioni Pazienti (AP) nella valutazione tecnica (Health Technology Assessment - HTA) e nelle decisioni di accesso di farmaci e, più in generale, delle Tecnologie Sanitarie (TS), nonché nella definizione e implementazione di Percorsi Diagnostico Terapeutici Assistenziali (PDTA) nel Servizio Sanitario Nazionale (SSN).

Tali raccomandazioni nascono da una collaborazione fra il Gruppo Persone non solo Pazienti (PNSP) e il Cergas SDA, Università Bocconi.

Nel corso del 2017, Cergas SDA, Università Bocconi, in collaborazione con il Gruppo PNSP, ha condotto una ricerca finalizzata ad indagare come le Istituzioni preposte alla valutazione dei farmaci (AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco e Regioni), o più in generale alla valutazione delle TS (ISS - Istituto Superiore di Sanità e Regioni) si siano relazionate con le AP, percepiscano il ruolo ed il contributo atteso delle AP, ed intravedano lo sviluppo futuro di tali relazioni.

I risultati della ricerca sono stati pubblicati sulla rivista Global and Regional Health Technology Assessment.

Il bisogno di rendere partecipi i pazienti nell'HTA e nel disegno ed implementazione dei PDTA, e quindi la ricerca stessa, ha come razionale 3 elementi:

1. la necessità di incrementare trasparenza, legittimità ed equità dei processi decisionali correlati all'introduzione di TS;
2. il ruolo dei pazienti come principali destinatari dei benefici e dei rischi delle TS e, quindi, alla loro evidente natura di portatori di interesse;
3. la constatazione che i pazienti siano considerati tra i principali conoscitori della patologia di cui sono affetti, in termini sia di effetti sulla salute, con riferimento in particolare alla qualità della vita, sia di percorso realmente vissuto.

Esistono poi differenze importanti tra i diversi Paesi nelle modalità ed intensità di coinvolgimento delle AP. In generale, però, si assiste ad una tendenza comune di attribuire un peso crescente ai pazienti nei processi di valutazione di farmaci e TS.

A livello internazionale, la partecipazione delle AP è stata:

- proattivamente ricercata e supportata. Ad esempio, all'interno del National Institute for Health and Care Excellence (NICE) esiste un gruppo (Public Involvement Programme) che supporta i pazienti e le AP nella partecipazione ai diversi programmi, identifica le AP più rilevanti a livello nazionale, e gestisce la relazione con le AP, che è più intensa nella fase di valutazione tecnica rispetto a quella decisionale;
- strutturata mediante sistemi di accreditamento istituzionale, anche se meno proattivamente stimolata. Ad esempio, in Germania il coinvolgimento nell'HTA (in capo a G-BA Gemeinsamer Bundesausschuss – con il supporto di diversi soggetti, tra cui l'Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen – IQWiG) avviene solo per le quattro AP più rilevanti a livello nazionale, individuate dal Ministro della Salute sulla base di criteri di accreditamento riportati nel Patient Involvement Act;
- meno strutturata in Francia e, soprattutto, in Spagna, dove il coinvolgimento delle AP non è ancora sistematico, anche se sono state implementate alcune iniziative per formalizzarne la partecipazione.

Il documento contiene **cinque raccomandazioni** a partire dalle valutazioni espresse nella ricerca dai rappresentanti dei soggetti istituzionali coinvolti, sulle seguenti tematiche:

1. **la frequenza dell'interazione;**
2. **l'oggetto dell'interazione;**
3. **la promozione delle competenze;**
4. **gli ostacoli all'interazione;**
5. **la relazione con altri portatori di interesse ed il conflitto di interessi.**

## 1. La frequenza delle interazioni

Un primo aspetto che emerge dall'analisi è la diversa intensità di relazione con le AP; anche laddove la relazione viene qualificata come sistematica, la "sistematicità" della relazione a volte è stata ricondotta alla presenza di AP nelle commissioni di riferimento (es. commissioni terapeutiche regionali o gruppi di lavoro), a volte all'attivazione di relazioni ogni qual volta si pongono problematiche importanti da risolvere, che necessitano di un'interazione con le AP.

La percezione è comunque che il ruolo delle AP sia destinato ad aumentare in futuro.

***La prima raccomandazione è che via sia una più omogenea e strutturata relazione con le AP. In genere, dovrebbe essere sempre preso in considerazione il possibile contributo delle AP nelle valutazioni e decisioni e l'interazione dovrebbe esser ancor più qualificata quando ci sono problemi specifici di valutazione e/o di accesso dei pazienti ai farmaci ed alle tecnologie sanitarie.***

## 2. L'oggetto dell'interazione

Le AP possono fornire un contributo:

- nell'approfondimento di alcuni aspetti relativi alla valutazione delle singole TS: ad esempio, valutazione della qualità della vita, accettabilità della TS, impatto della patologia e delle conseguenti necessità diagnostiche, terapeutiche e di follow-up sul lavoro e le relazioni sociali;
- nella definizione di percorsi terapeutici e PDTA, anche evidenziando gli snodi critici del processo assistenziale;
- nella valutazione delle problematiche che possano emergere nella fase applicativa del PDTA (utilizzando persone realmente coinvolte nelle singole realtà);

- nella segnalazione di problematiche di accesso alle TS;
- nell'attività di informazione ai propri associati sulle decisioni prese a tutti i livelli sulle condizioni di accesso ai farmaci, tra cui l'inserimento nei prontuari terapeutici regionali e di aziende sanitarie, l'esistenza di centri di riferimento per la diagnosi e la prescrizione e la possibilità di un'eventuale esenzione dalla compartecipazione alla spesa;
- nelle diverse attività finalizzate a promuovere una maggiore aderenza alle terapie.

È importante poi qualificare ulteriormente il contributo atteso delle AP. In linea di massima il coinvolgimento sarebbe utile in tutte le fasi dell'HTA, ma con un ruolo più rilevante di supporto alla valutazione tecnica (assessment) e di condivisione delle scelte (appraisal). Tale contributo dovrebbe essere poi coerente con il ruolo assunto dai diversi livelli territoriali, ovvero considerando che a livello centrale il focus è su rimborsabilità e condizioni di accesso ed a livello regionale il focus è su effettivo accesso, percorsi terapeutici e PDTA.

***La seconda raccomandazione è quella (i) di considerare sempre l'opportunità fornita dall'interazione con le AP nei limiti delle competenze delle Istituzioni con cui le Associazioni si interfacciano e tenendo comunque conto del valore reciproco dell'ascolto; (ii) di favorire in particolare tale interazione laddove possa rappresentare un valore aggiunto rispetto a quella più consolidata con gli operatori del SSN; (iii) di identificare le fasi dell'HTA in cui il contributo delle AP è più importante e i domini su cui tale contributo può essere più fattivo (ad esempio, valutazione del bisogno insoddisfatto, misurazione della qualità della vita, valutazione dell'accettabilità delle terapie / preferenze dei pazienti, stima dei costi evitabili / evitati non a carico del SSN); (iv) di prevedere, sugli aspetti più critici, dei momenti di condivisione con le AP delle modalità di informazione ai propri associati.***

### 3. Le competenze delle AP

L'indagine ha fornito un'indicazione sulla percezione da parte delle Istituzioni delle conoscenze delle AP. Le AP sono mediamente:

- più competenti sul funzionamento generale del SSN, del processo con cui il paziente accede al farmaco e dei PDTA;
- meno competenti su (i) struttura organizzativa, processi decisionali e gestione delle risorse negli istituti pubblici di interesse (ad esempio, Regioni) e, soprattutto, nelle aziende sanitarie e (ii) sulle dimensioni dell'HTA più "patient-driven" ma anche sulla valutazione critica delle evidenze di tipo clinico ed economico.

***La terza raccomandazione è che vengano promosse iniziative di formazione mirate delle AP sulle tematiche per le quali si è riscontrata una minore competenza delle stesse (funzionamento di istituti pubblici ed aziende sanitarie; domini "patient-driven" dell'HTA). (i) Una maggiore conoscenza delle modalità di funzionamento di istituti pubblici ed aziende sanitarie può favorire un'interazione più informata e consapevole delle problematiche decisionali in tali soggetti; (ii) una maggiore competenza sui domini "patient-driven" dell'HTA può generare una maggiore attenzione anche da parte delle Istituzioni su tali domini; (iii) l'acquisizione di competenze sulla valutazione della qualità delle prove e sul critical appraisal è importante per una visione coerente ed un linguaggio comune tra i diversi soggetti interessati.***

### 4. Gli ostacoli all'interazione

Uno degli aspetti segnalati dalle Istituzioni è la numerosità delle AP e la difficoltà di individuare referenti all'interno delle AP stesse.

Per superare questo ostacolo, le Istituzioni possono optare per un approccio selettivo (basato su un processo di accreditamento) o riconoscere 'il ruolo' che le AP hanno (ovvero specificare l'oggetto dell'interazione) e chiamare quindi, di volta in volta, l'AP interessata dall'argomento.

***La quarta raccomandazione è che (i) in generale si preveda una maggiore regolamentazione dell'interazione tra AP e Istituzioni che presidiano l'HTA; (ii) le Istituzioni si rendano proattive nel coinvolgimento dell'AP interessata al problema specifico da affrontare, (iii) laddove si trattino temi di interesse generale venga semplificato il quadro delle AP, favorendo/promuovendo forme di networking di AP e di persone coinvolte nelle AP; (iv) vengano individuate iniziative di supporto alla partecipazione di rappresentanti delle AP, considerando le ricadute di tale partecipazione sul lavoro, soprattutto se le attività sono cadenzate.***

## **5. Le relazioni tra AP ed altri portatori di interesse**

Alcune Istituzioni hanno posto come elemento di riflessione le relazioni tra AP ed altri portatori di interesse e, in particolare, l'industria farmaceutica.

Il tema del potenziale conflitto di interessi può essere affrontato con un approccio: (i) pragmatico (tipico dei Paesi anglosassoni), che preveda che gli esperti possano partecipare alla valutazione di TS solo se non hanno supportato le imprese sulle stesse tecnologie, ma che non vi sia l'esclusione a priori di esperti (e relative Associazioni pazienti/Società scientifiche) che abbiano sistematici rapporti con altri portatori di interesse; (ii) formale, considerando a priori solo le AP che abbiano una relazione limitata con altri portatori di interesse.

***La quinta raccomandazione è che il tema del conflitto di interessi venga affrontato in modo strutturato, prima che diventi una barriera all'interazione tra AP e Istituzioni, ed implementato adeguandolo alle policy locali. L'approccio di tipo anglosassone di esclusione degli esperti con conflitto di interessi specifico ha il vantaggio di rendere più ampia la partecipazione potenziale, ma può essere più complesso da gestire. Qualora sia previsto un accreditamento sulla base anche del potenziale conflitto di interesse è necessario che il processo sia gestito in modo trasparente.***