

OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

PATIENT DRIVEN FUTURE

**IL RUOLO DELLE ASSOCIAZIONI PAZIENTI NEL NUOVO SCENARIO
EUROPEO DI HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT**

A cura di: **STEFANO DEL MISSIER** *Direttore responsabile Italian Health Policy Brief*

INTRODUZIONE

Il dibattito sul futuro dell'Health Technology Assessment (HTA) in Europa e in Italia sta attraversando una fase di profonda trasformazione. L'entrata in vigore del Regolamento UE 2021/2282 ha modificato in modo strutturale le modalità attraverso cui i Paesi membri valutano l'innovazione sanitaria, ponendo l'accento su processi più armonizzati, trasparenti e orientati alla qualità delle decisioni pubbliche. In questo contesto, la partecipazione dei pazienti non rappresenta un elemento accessorio, né un gesto di cortesia istituzionale: diventa un fattore strutturale della produzione di evidenze e un criterio di legittimità delle decisioni.

Il progetto Patient Driven Future si colloca esattamente in questo snodo evolutivo, ponendo al centro la domanda essenziale: come può l'Italia passare da una logica episodica di coinvolgimento ad un modello stabile, sistemico e metodologicamente fondato di partecipazione dei pazienti? Le associazioni che hanno partecipato al percorso – attive in dermatologia, reumatologia e oncologia – rappresentano tre ambiti clinici caratterizzati da un impatto sociale elevato, una forte evoluzione terapeutica e una crescente complessità decisionale.

La loro esperienza diretta, le loro difficoltà e il loro potenziale sono diventati quindi la base per riflettere su un nuovo paradigma di valutazione: un paradigma in cui l'esperienza vissuta dai pazienti non serve a "colorare" i dossier tecnici, ma contribuisce a definire ciò che davvero ha valore nei percorsi di cura. L'Italia si trova oggi davanti a un'opportunità cruciale: da un lato, esistono segnali di apertura; la rete HTA coordinata da Agenas, l'attenzione crescente al ruolo dei cittadini, alcune esperienze regionali e il riconoscimento formale delle associazioni nei processi consultivi; dall'altro permangono limiti evidenti, dalla mancanza di standard condivisi, alla frammentazione delle iniziative, difficoltà di accesso ai dati, scarse risorse per la raccolta di evidenze esperienziali e assenza di una rappresentanza stabile e formata nei panel di valutazione. Non vogliamo quindi limitarci a presentare un percorso analitico, ma affermare una posizione politica e culturale: l'HTA del futuro non può esistere senza i pazienti.

Il valore delle tecnologie sanitarie deve essere misurato non solo in termini di efficacia clinica o costo-efficacia, ma anche considerando gli effetti sulla qualità della vita, sulla partecipazione sociale, sulla dignità delle persone e sulla sostenibilità psicologica ed economica dei percorsi di cura. Costruire un modello partecipativo realmente funzionante significa ripensare l'intero modo in cui l'Italia produce, organizza e utilizza le evidenze. Significa dotarsi di metodi comuni, creare infrastrutture digitali, formare rappresentanti qualificati e assicurare continuità e trasparenza. Il Patient Driven Future propone queste basi e invita istituzioni, associazioni e professionisti a un cambio di passo: non più un HTA "per" i pazienti, ma un HTA "con" i pazienti, capace di coniugare rigore scientifico e valore umano.

**IL PATIENT DRIVEN
FUTURE**

Partiamo dalla premessa fondamentale che l'HTA non può essere adeguato ai bisogni reali della popolazione se

non include, in modo metodologicamente solido, la prospettiva dei pazienti. Questa consapevolezza deriva dall'evoluzione stessa dell'HTA, oggi inteso non più soltanto come valutazione tecnica delle evidenze cliniche, ma come processo multidimensionale che consideri aspetti organizzativi,

sociali, etici e di qualità della vita. Il documento ripercorre innanzitutto il cambiamento imposto dal regolamento europeo, che introduce un sistema di valutazioni cliniche congiunte (Joint Clinical Assessments) e prevede formalmente il coinvolgimento degli *stakeholder*, tra cui i

pazienti, fin dalle fasi di valutazione preliminare e del dialogo precoce. L'Italia ha iniziato a recepire questi principi attraverso l'azione di Agenas e di alcune realtà regionali, ma il coinvolgimento resta disomogeneo e spesso non sistemico. Le associazioni si trovano così a svolgere un ruolo potenziale, ma non sempre riconosciuto formalmente, all'interno dei processi decisionali e regolatori. La metodologia del progetto combina una survey quantitativa e interviste qualitative.

Dalla survey emerge un quadro di associazioni già esposte a esperienze di partecipazione, ma con un coinvolgimento prevalentemente consultivo e raramente integrato nelle fasi di decisione o monitoraggio post-implementazione. La capacità di raccogliere evidenze esperienziali è in crescita, ma ancora condizionata da carenze di risorse e accesso ai dati. Le competenze metodologiche sono eterogenee: alcune associazioni dispongono di gruppi di lavoro strutturati, altre si affidano a iniziative episodiche o a collaborazioni esterne. Le interviste aggiungono una prospettiva più profonda: le associazioni percepiscono l'HTA come strumento cruciale per garantire equità e qualità nei percorsi sanitari, ma denunciano la mancanza di un ruolo stabile. Chiedono formazione continua, la creazione di figure rappresentative formate e riconosciute e la possibilità di partecipare in modo anticipato alle valutazioni e non solo in fase finale. Viene considerato inoltre centrale il tema della raccolta dati: PROM, PREM e PROs rappresentano strumenti essenziali,

La capacità di raccogliere **evidenze esperienziali** è in crescita, ma ancora condizionata da carenze di risorse e accesso ai dati.

ma necessitano di standard condivisi per essere integrati nei report HTA. Una sezione importante del documento è dedicata ai tre focus clinici: dermatologia, reumatologia e oncologia. In dermatologia, le tecnologie vengono valutate non solo per efficacia e sicurezza, ma anche per l'impatto sul benessere psicologico, sulla gestione dello stigma e sulla qualità della vita. Le associazioni evidenziano come molte tecnologie diagnostiche e terapeutiche siano ancora difficili da utilizzare o da ottenere sul territorio. In reumatologia, il valore delle innovazioni dipende fortemente dalla capacità di mantenere funzionalità, autonomia e produttività. Le tecnologie digitali di telemonitoraggio possono migliorare la continuità assistenziale, ma devono essere valutate anche per l'usabilità e l'equità di accesso.

In oncologia, l'HTA si confronta con tecnologie altamente innovative (per esempio immunoterapie, test genetici e terapie cellulari) che implicano non solo valutazioni cliniche, ma anche riflessioni etiche, psicologiche e sociali. Le associazioni richiamano temi come la tossicità finanziaria, la complessità dei percorsi diagnostici e l'equità di accesso.

Un capitolo centrale è dedicato al rapporto tra HTA e digitalizzazione. Le tecnologie digitali non sono solo oggetto di valutazione, ma strumenti che possono rivoluzionare la raccolta di evidenze. Strumenti come ePROs, registri digitali e piattaforme di remote *symptom reporting* consentono di integrare dati *real-world* nella valutazione e di rendere la partecipazione dei pazienti continua e misurabile. Allo stesso tempo, la digitalizzazione aumenta la necessità di standard, protocolli di sicurezza e interoperabilità. La parte propositiva del documento introduce un modello partecipativo articolato in cinque fasi: pianificazione, raccolta dati esperienziali, valutazione integrata, decisione trasparente e monitoraggio post-implementazione. Ogni fase include strumenti operativi e criteri di qualità per garantire che la partecipazione sia significativa, tracciabile e utile ai fini della decisione.

Infine, possiamo delineare un quadro di policy che riconosce la necessità di standardizzazione metodologica,

In oncologia, l'**HTA** si confronta con tecnologie altamente innovative (per esempio immunoterapie, test genetici e terapie cellulari) che implicano non solo **valutazioni cliniche**, ma anche riflessioni etiche, psicologiche e sociali.

rappresentanza stabile dei pazienti nei panel HTA e sostegno alla *capacity building*. L'obiettivo è costruire un modello dinamico, basato su competenze condivise, in grado di evolvere e adattarsi alle nuove sfide dell'innovazione sanitaria.

LINEE DI POLICY

Le implicazioni di *policy* che emergono delineano alcune traiettorie strategiche per costruire un vero modello italiano di *patient involvement* nell'HTA. Sono linee d'intervento che non si limitano a migliorare la

L'obiettivo è costruire un **modello dinamico**, basato su competenze condivise, in grado di evolvere e adattarsi alle nuove sfide dell'**innovazione sanitaria**.

qualità dei processi, ma mirano a ripensare l'intero equilibrio tra evidenze scientifiche, valore esperienziale e trasparenza istituzionale.

1. Standardizzazione metodologica e interoperabilità dei dati:

La prima necessità riguarda la creazione di linee guida nazionali per la raccolta e l'integrazione delle evidenze dei pazienti. PROM, PREM e PROs devono essere raccolti con strumenti validati, interoperabili e comparabili a livello regionale e nazionale. È fondamentale istituire un archivio unico o una piattaforma nazionale che raccolga evidenze esperienziali accessibili ai valutatori aggiornate nel tempo. Questo garantirebbe qualità, continuità e trasparenza, superando l'attuale frammentazione.

2. Riconoscimento istituzionale del ruolo delle associazioni nei pannelli HTA:

Le associazioni devono essere inserite stabilmente nei panel HTA, non come figure accessorie, ma come componenti dal ruolo definito. Ciò implica criteri di selezione chiari, rotazione tra rappresentanti, percorsi formativi certificati e partecipazione fin dalle fasi di valutazione preliminare. Il coinvolgimento dei pazienti deve essere obbligatorio nelle fasi previste dal processo, con spazi specifici dedicati alla presentazione delle evidenze esperienziali.

3. Capacity building e sostegno alle organizzazioni di pazienti:

La partecipazione qualificata ha però un costo. È quindi essenziale prevedere fondi e programmi dedicati alla formazione avanzata, alla strutturazione di gruppi di lavoro interni e allo sviluppo di piattaforme digitali per la raccolta dei dati. Questo investimento ha un valore strategico migliorando le competenze metodologiche, aumentando la qualità delle evidenze raccolte e assicurando continuità ai processi di partecipazione.

4. Governance multilivello e integrazione tra istituzioni:

L'Italia soffre di una forte frammentazione tra Agenas, AIFA,

ISS e Regioni. Bisogna favorire un coordinamento stabile, con tavoli permanenti che coinvolgano pazienti e rappresentanti istituzionali. La partecipazione dei pazienti dovrebbe essere parte integrante della governance, contribuendo alla definizione delle priorità di valutazione e ai programmi di revisione post-implementazione.

5. Incorporazione della digitalizzazione nei processi valutativi:

La tecnologia deve essere considerata sia come oggetto di HTA sia come strumento metodologico. I sistemi ePRO, le piattaforme di telemonitoraggio e i registri digitali possono trasformare l'esperienza del paziente in un'evidenza strutturata e continua. Perché ciò sia possibile, occorrono standard nazionali di interoperabilità, protocolli etici e strumenti che riducano il digital divide.

Queste linee di policy non sono proposte astratte, ma rispondono direttamente alle evidenze raccolte dal progetto. Lo scopo è fornire un quadro operativo per accompagnare l'Italia verso un modello di HTA capace di integrare pienamente la voce dei pazienti, garantendo decisioni più eque, trasparenti e sostenibili.

CONCLUSIONI

Il progetto *Patient Driven Future* mette in luce una verità semplice ma decisiva: la valutazione delle tecnologie sanitarie non può più prescindere dalla voce dei pazienti. Le evidenze esperienziali non sono un complemento alle evidenze cliniche, ma una componente fondamentale del valore delle tecnologie.

Esse permettono di comprendere la reale utilità dei trattamenti, di identificare le barriere di accesso, di valutare l'impatto sociale e psicologico della malattia e di rendere più intelligenti le politiche sanitarie. In Italia, il percorso verso un HTA partecipativo è avviato, ma incompleto. Le associazioni hanno mostrato competenze crescenti, capacità di raccogliere dati e volontà di contribuire in modo strutturale alle valuta-

Lo scopo delle linee di policy è fornire un quadro operativo per accompagnare l'Italia verso un modello di HTA capace di integrare pienamente la voce dei pazienti, garantendo decisioni più eque, trasparenti e sostenibili.

zioni. Tuttavia, l'assenza di standard, la carenza di risorse, la frammentazione istituzionale e la mancanza di un riconoscimento formale impediscono a questo potenziale di tradursi in un impatto sistemico. La strada da seguire prevede di costruire un modello dinamico, interoperabile, inclusivo e fondato sulla formazione continua. Ciò richiede una governance capace di valorizzare la pluralità delle esperienze, una digitalizzazione che trasformi la partecipazione in un flusso continuo di dati, e politiche di sostegno che riconoscano la partecipazione come una competenza professionale e non come volontariato occasionale. Un HTA realmente "patient driven" contribuisce non solo a migliorare la qualità delle decisioni, ma anche a rafforzare il rapporto tra cittadini e istituzioni, rendendo la sanità più trasparente, equa e orientata al valore. Viene qui proposta una visione ambiziosa, ma necessaria: un sistema sanitario che misuri ciò che conta per i pazienti, che ascolti prima di decidere e che consideri la partecipazione non un obbligo, ma una risorsa strategica. In un'epoca d'innovazione rapida e complessa, questa è la condizione per garantire non solo sostenibilità economica, ma una vera sostenibilità umana.



Italian Health Policy Brief

ANNO DI PUBBLICAZIONE

Anno XVI - SPECIALE 2026

DIRETTORE RESPONSABILE

Stefano Del Missier

DIRETTORE PROGETTI ISTITUZIONALI

Marcello Portesi



Editore

Altis Omnia Pharma Service S.r.l.

SEGRETERIA DI REDAZIONE

Ivana Marcon

CONTATTI

+39 02 49538300

info@altis-ops.it

www.altis-ops.it

Contributo non condizionate di:



**FRESENIUS
KABI**

Tutti i diritti sono riservati, compresi quelli di traduzione in altre lingue. Nota dell'Editore: nonostante l'impegno messo nel compilare e controllare il contenuto di questa pubblicazione, l'Editore non sarà ritenuto responsabile di ogni eventuale utilizzo di questa pubblicazione nonché di eventuali errori, omissioni o inesattezze nella stessa. Ogni prodotto citato deve essere utilizzato in accordo con il Riassunto delle Caratteristiche di Prodotto (RPC) fornito dalle Case produttrici. L'eventuale uso dei nomi commerciali ha solamente l'obiettivo di identificare i prodotti e non implica suggerimento all'utilizzo.