

## **L'Health technology assessment a Roma: terza conferenza internazionale di EUnetHTA**

Luciana Ballini

*Agenzia Sanitaria e Sociale Regionale, Regione Emilia-Romagna e Chair della Plenary Assembly, EUnetHTA*

**Riassunto.** Una sintesi dei temi trattati in occasione della terza conferenza internazionale dell'European network for Health technology assessment (EUnetHTA), svoltasi a Roma alla fine di ottobre 2014, è quanto proposto in questo contributo, con un approfondimento sul documento strategico approvato il 29 ottobre, nel quale si ribadisce esplicitamente che lo scopo dell'Hta Network è quello di rafforzare la cooperazione tra le istituzioni dedicate all'Hta negli Stati membri e non quello di armonizzare le decisioni e le normative che regolano l'organizzazione dell'assistenza sanitaria all'interno dei singoli Stati.

Dai temi discussi nella conferenza è emerso come l'Hta in Europa sia giunto a un punto di svolta: molto è stato fatto – e speso – per la costruzione di una cooperazione europea e la messa a punto degli strumenti necessari al suo funzionamento. Con il quadro normativo internazionale di riferimento, che invita gli Stati membri a dotarsi di programmi di Hta a cui ancorare i propri processi decisionali, la rete europea potrà consolidare il suo tradizionale ruolo di valutazione critica e indipendente dei risultati della ricerca e perseguire lo sviluppo di relazioni innovative con i rappresentanti degli *stakeholder*, contribuendo a mantenere una sana tensione tra i diversi interessi.

**Parole chiave.** EUnetHTA, Health technology assessment, Hta Network.

**Abstract.** A summary of the topics dealt during the third international European network for Health technology assessment (EUnetHTA) conference held in Rome at the end of October 2014 is proposed in this paper that further analyses the strategic document approved on 29<sup>th</sup> October stressing again that the aim of Hta Network is to strengthen the collaboration between the institutions working with Hta in the UE countries and not to co-ordinate the decisions and the laws governing the organization of the health care service within each single country.

From the topics discussed during the conference, it emerged that Hta in Europe is at a turning point: much has been done – and much money has been spent – to create a European collaboration and to define the tools so that it worked. Considering the reference international normative framework that proposes to EU countries to use Hta programs in order to base their decisional processes on them, the European network could strengthen its traditional role aimed at critically and autonomously assessing the research results, and it could keep developing innovative relationships with the stakeholders' representatives by keeping a good tension among the different interests.

**Key words.** EUnetHTA, Health technology assessment, Hta Network.

Il 30 e 31 ottobre scorso si è svolta a Roma la terza conferenza internazionale dell'European network for Health technology assessment (EUnetHTA), la rete europea di Hta finanziata con i fondi della Commissione europea. EUnetHTA è una rete collaborativa a cui attualmente appartengono 69 agenzie nazionali e regionali di Health technology assessment provenienti da 35 nazioni, che lavorano congiuntamente per lo sviluppo di informazioni affidabili, trasparenti, tempestive e trasferibili nelle attività di Hta. Lo scopo principale è quello di sostenere e promuovere la collaborazione tra le agenzie di Hta al fine di fornire un valore aggiunto alle attività nazionali e regionali attraverso l'utilizzo efficiente delle risorse disponibili, la creazione di un

sistema sostenibile di condivisione della conoscenza e la promozione delle buone pratiche nei metodi e processi dell'Hta.

Il primo progetto di ricerca sull'Hta finanziato con fondi europei risale al 1994 (Eur-Assess 1994-1997). Da allora questo filone di attività è stato sostenuto con quasi 30 milioni di euro e in maniera continuativa coerentemente con la decisione della Commissione europea e del Consiglio dei ministri nel 2004 di definire l'Hta una priorità politica e di stabilire la necessità di una rete europea di Hta, dando così inizio alla collaborazione EUnetHTA. Con il primo Progetto EUnetHTA (2006-2008) è stata istituita la rete e definiti i principi e gli strumenti per le attività collaborative; durante la prima Joint Action

(2010-2012) sono state sperimentate le forme e modalità collaborative per la produzione congiunta delle informazioni scientifiche, mentre la seconda Joint Action (2012-2015) è impegnata nella messa a regime delle attività e nel consolidamento delle relazioni cross-frontaliere della collaborazione.

### **L'Art. 15 della Direttiva europea transfrontaliera e la creazione dell'Hta Network**

L'aver definito l'Hta una *policy priority* trova conferma nell'istituzione di un Hta Network – sancita dall'art. 15 della Direttiva europea transfrontaliera (Eu Dir 2011/24) – i cui membri si sono riuniti sempre a Roma il giorno precedente alla Conferenza. La direttiva ha l'obiettivo di istituire uno scenario giuridico chiaro per i diritti dei pazienti, riguardanti la libera scelta del luogo di cura e l'accesso e rimborso di prestazioni sanitarie ottenute in un paese dell'Unione europea (Ue) diverso dal proprio. Il contenuto della direttiva è principalmente finalizzato alla messa in atto di questi diritti, attraverso criteri per la definizione delle prestazioni che richiedono autorizzazione preventiva, criteri per il rimborso, necessari accordi di confine, modalità per riconoscere la validità delle prescrizioni mediche rilasciate in altri Stati membri, sistemi di garanzia della sicurezza e della qualità delle cure. La direttiva chiarisce, inoltre, che attraverso la libera circolazione dei pazienti non si intende promuovere ingenti spostamenti transfrontalieri, che metterebbero a repentaglio la programmazione delle attività sanitarie di paesi e strutture.

L'art. 15 della direttiva, pertanto, ribadendo che non viene messa in discussione la completa autonomia dei singoli Stati membri nel decidere sulla rimborsabilità ed erogabilità delle prestazioni sanitarie, finalizza la costituzione dell'Hta Network all'armonizzazione delle informazioni tecniche scientifiche che informano queste decisioni. Più i metodi di raccolta e valutazione delle informazioni scientifiche sono armonizzati tra gli Stati membri e più queste informazioni vengono scambiate, condivise o addirittura prodotte in forma collaborativa, maggiore è la probabilità che eventuali divergenze nelle scelte assistenziali tra i diversi paesi siano riconducibili ad elementi di contesto piuttosto che a discrepanze nei giudizi di merito.

La partecipazione degli Stati membri all'Hta Network è volontaria e finalizzata alla cooperazione nella produzione, scambio e utilizzo di informazione scientifica tra le agenzie nazionali e regionali responsabili per l'Hta. I principi che governano il network sono il buon governo basato sulla trasparenza, oggettività, indipendenza di competenze, onestà

nelle procedure e appropriata consultazione degli *stakeholder*.

### **Il documento strategico dell'Hta Network**

Nella riunione del 29 ottobre l'Hta Network ha approvato il proprio documento strategico, nel quale si ribadisce esplicitamente che il suo scopo è quello di rafforzare la cooperazione tra le istituzioni dedicate all'Hta negli Stati membri e non quello di armonizzare le decisioni e le normative, che regolano l'organizzazione dell'assistenza sanitaria e l'erogazione dei servizi e prestazioni nei singoli Stati.

Dichiarando, in premessa, che l'Hta è strumentale alla promozione delle innovazioni che migliorano la salute e il benessere dei cittadini e della società, in quanto fornisce informazioni e analisi basate su evidenze scientifiche utili alle decisioni sull'allocazione delle risorse, il Network si impegna a:

- promuovere approcci coerenti nei confronti dell'Hta, come strumento di politica sanitaria per supportare scelte sostenibili, eque e basate sulle evidenze;
- sviluppare capacità e know-how nel campo dell'Hta affinché vengano utilizzate metodologie condivise;
- facilitare attività collaborative e potenziare lo scambio di buone pratiche;
- incrementare l'efficienza produttiva, ottimizzare l'utilizzo delle risorse e evitare inutili duplicazioni.

Il fatto che *le evidenze scientifiche siano globali, mentre le decisioni sono locali*, sostiene il progetto di sviluppo di metodologie comuni e di informazioni condivisibili finalizzato a facilitare l'accesso sicuro, sostenibile e tempestivo alle innovazioni sanitarie efficaci. Dall'attività collaborativa ci si aspetta di sviluppare e mantenere un focus su tutte le tipologie di tecnologie sanitarie, in qualsiasi stadio di sviluppo e per tutti gli elementi necessari alla valutazione (inclusi quelli etici, sociali, organizzativi); di prestare attenzione alle diverse tipologie di decisori e di legare i programmi ad un trasparente processo di prioritizzazione. Infine, è auspicata la ricerca di efficaci relazioni tra produttori, enti regolatori, agenzie di Hta e decisori; è richiamata la necessità di una maggiore cooperazione europea nel campo della ricerca clinica.

Il Network prevede un livello strategico, a cui partecipano rappresentanti dei Ministeri della salute degli Stati membri, e un livello tecnico-scientifico (attualmente rappresentato da EUnetHTA), a cui partecipano le agenzie nazionali e regionali di Hta designate dagli Stati membri.

## La partecipazione alle attività della rete EUnetHTA

Non sorprende quindi che questa terza conferenza internazionale di EUnetHTA, che ricopre un ruolo così importante in questo disegno, abbia attirato l'interesse e la partecipazione non solo dei professionisti dell'Hta, ma anche dei rappresentanti degli enti e delle organizzazioni chiamate a contribuire alla strategia nel suo insieme. Dei quasi 500 partecipanti, il 29% rappresentava il settore privato, il 15% gli enti governativi, il 14% gli enti assistenziali, e – purtroppo – solo il 5% i pazienti.

Alla conferenza, la rete EUnetHTA ha illustrato il proprio inventario di attività e strumenti, concepiti per la crescita e piena attuazione della collaborazione europea in tema di Hta, affidandoli poi alla discussione e alle critiche dei diversi fruitori: agenzie nazionali e regionali di Hta, industria, decisori, enti regolatori e pazienti.

La scelta delle attività prioritarie sviluppate dalla collaborazione è stata influenzata dalla natura/tipologia dei principali fattori che ostacolano la realizzazione di un sistema o programma locale di Hta efficiente ed efficace: la disponibilità di risorse appropriate; la coordinazione nella tempistica dell'Hta e delle decisioni; la capacità di rispondere a tutte le richieste di valutazione; la qualità scientifica dei prodotti; la disponibilità dei dati scientifici. La notevole discrepanza in disponibilità di risorse dei diversi partner di EUnetHTA è documentata dalla variabilità nella capacità di produzione di rapporti di Hta, che va dalle poche unità alle diverse centinaia. Ciò non sorprende se si tiene conto del fatto che solo negli ultimi anni il numero di agenzie Hta nazionali e regionali è fortemente cresciuto in Europa. EUnetHTA propone la partecipazione alle attività collaborative con modalità che rispettano e favoriscono lo sviluppo graduale, ma nettamente incrementale. Un primo livello permette la condivisione e scambio di prodotti e strumenti pronti per l'uso. Attraverso la rete è possibile conoscere i programmi di lavoro delle altre agenzie, partecipare ai processi di prioritizzazione degli argomenti e usufruire di prodotti finiti, migliorando così la propria tempestività nell'individuare tecnologie innovative meritevoli di attenzione. Il secondo livello prevede il contributo allo sviluppo di strumenti metodologici comuni per un approccio metodologico coerente, consentendo la crescita della propria *expertise* metodologica e professionale. Il terzo livello prevede la partecipazione attiva alla produzione congiunta di informazioni scientifiche da riutilizzare e trasferire nei rapporti di Hta nazionali e regionali.

L'attività di EUnetHTA tuttavia non è limitata alla maggiore efficienza di produzione e alla armoniz-

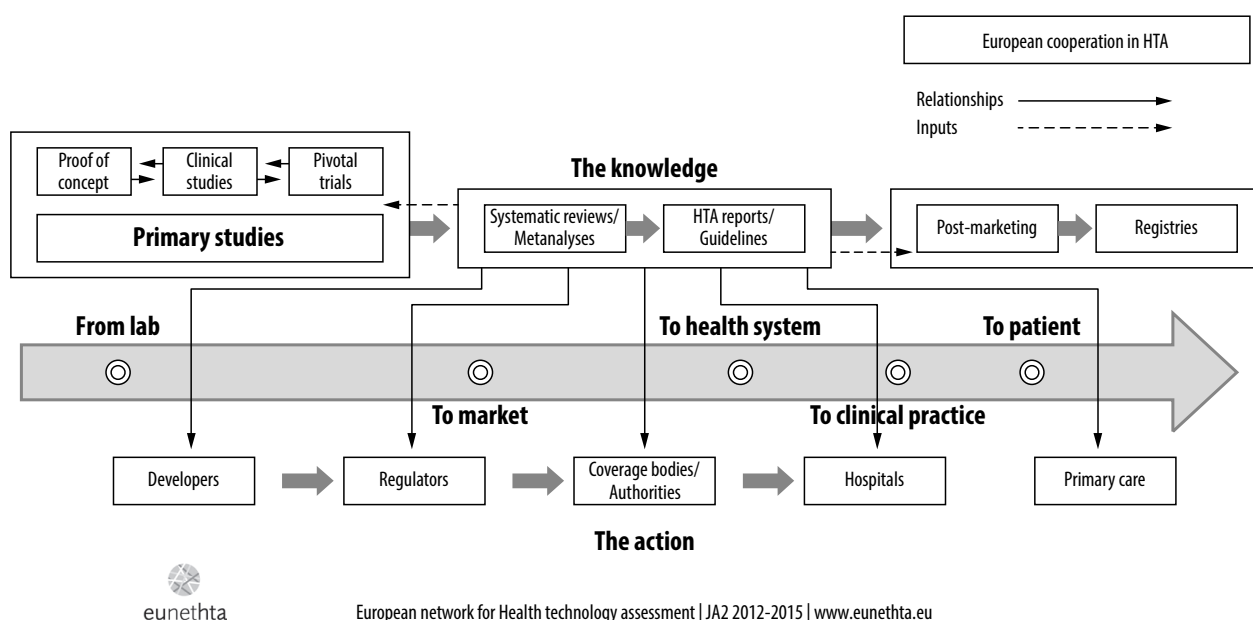
zazione delle metodologie per assicurare fiducia nei prodotti collaborativi e garantire il loro ri-utilizzo a livello locale. Negli ultimi due anni la rete, consapevole della frequenza con cui i dati clinici e le informazioni scientifiche vengono giudicati insufficienti o inadeguati, ha intrapreso attività volte a comunicare ai ricercatori e ai produttori sia le proprie esigenze conoscitive per una efficace valutazione, sia le eventuali lacune individuate al termine della valutazione.

Nell'insieme quindi il lavoro della rete si posiziona in maniera molto netta nel processo di costruzione della conoscenza (vedi figura a pag 219), ricoprendo anche un ruolo proattivo affinché la ricerca clinica fornisca in tempi più rapidi e con più efficienza i dati richiesti o attesi e affinché gli interventi innovativi che entrano nella pratica clinica siano ulteriormente valutati e monitorati. Questo nuovo e maggiore coinvolgimento da parte della comunità dell'Hta nella produzione di informazioni scientifiche è accompagnato, nel rispetto di quanto esplicitato nel documento strategico dell'Hta Network, dalla ricerca e sperimentazione di relazioni innovative tra l'Hta e i responsabili delle diverse decisioni che accompagnano il processo di sviluppo di una innovazione sanitaria.

## Gli argomenti discussi nell'ambito della conferenza

I principali argomenti di discussione tra gli invitati dei diversi panel e la platea hanno riguardato il contributo di EUnetHTA alle attività nazionali e regionali, il processo che accompagna le tecnologie dal laboratorio al paziente e le prospettive future rispetto alle relazioni tra Hta e decisori.

I rappresentanti delle agenzie regionali e nazionali presenti hanno confermato il valore aggiunto della cooperazione europea, che controbilancia la limitatezza delle risorse locali e incrementa la qualità e affidabilità della produzione scientifica. Le barriere alla piena realizzazione di una cooperazione europea sono invece state citate e commentate dalle istituzioni dei paesi che investono cospicue risorse nei propri programmi di Hta e con una consolidata tradizione di rapporto tra Hta e decisioni. Gli ostacoli alla cooperazione sono di carattere pratico (una programmazione vincolata dalle esigenze locali comporta differenze di priorità) e di tipo culturale (la consapevolezza di fare già un ottimo lavoro in autonomia attenua la disponibilità a collaborare). Tuttavia è stata dichiarata la volontà di superare ostacoli e diffidenze. Soprattutto è stato sottolineato, da parte delle grosse agenzie di Hta, che le decisioni hanno una molteplicità di determinanti e che alle informazioni scientifiche si aggiungono altrettanto influenti



Dal laboratorio al paziente. Fonte: Ballini L, European cooperation on Hta. <http://www.eunetha.eu/outputs/hta-20-europe-teaming-value-conference-presentations>

fattori di contesto. Una cooperazione europea per l'armonizzazione delle informazioni scientifiche, ma non delle decisioni, consente di evidenziare le differenze di contesto sia in tema di allocazione di risorse che di scelte assistenziali. Questo è stato ritenuto un valore aggiunto in quanto – è stato detto – le decisioni differenti accompagnate da una base scientifica comune sono meno disorientanti o scomode delle decisioni differenti, scaturite da valutazioni scientifiche contrastanti.

Il tema della diversità delle decisioni tra i paesi europei è stato più volte sollevato anche dai rappresentanti dell'industria e degli enti regolatori. La crescente affermazione del processo autorizzatorio centralizzato, in particolare per i farmaci, non ha avuto come conseguenza l'armonizzazione delle decisioni sulla rimborsabilità e ciò viene giudicato in maniera negativa, perché fonte di incertezza per i produttori e di possibile disorientamento per i pazienti. Per quanto concerne i dispositivi medici, invece, vi è attesa per la imminente nuova regolamentazione europea, che dovrebbe prevedere un riordino e soprattutto un maggiore controllo delle istituzioni deputate al rilascio del marchio CE. I rappresentanti dell'industria del settore hanno ribadito la preoccupazione per un ulteriore allungamento dei tempi di accesso al mercato e alla pratica clinica, che recherebbe danni ad un settore caratterizzato dalla continua evoluzione

dei prodotti, che perdono competitività nell'arco di pochi anni.

Il tema della tempestività di accesso alle tecnologie innovative è stato più volte sollevato anche dai pazienti e la discussione sull'accelerazione del processo che porta le innovazioni dal laboratorio al paziente si è animata tra proposte per la semplificazione della ricerca clinica e quelle per l'unificazione dei processi decisionali. Non è mancata una certa confusione rispetto ai ruoli e una diversità di aspettative tra chi vuole tutelare l'autonomia decisionale degli Stati membri, chi sostiene che la frammentazione delle decisioni contrasta l'efficienza e chi propone di assegnare all'Hta la diretta responsabilità delle decisioni. Solo in chiusura si è avuto anche un breve richiamo alla riduzione degli sprechi e delle ridondanze nella ricerca clinica e al ruolo che gli enti governativi possono esercitare, per lo sviluppo di una ricerca indipendente che fornisca basi scientifiche robuste alle decisioni.

Durante la conferenza i portatori di diversi interessi si sono quindi confrontati nella ricerca di un obiettivo condivisibile: il trasferimento di nuove idee in interventi sanitari efficaci e sicuri, a cui i pazienti possano avere accesso tempestivo, in favore di un sistema sostenibile per la salvaguardia della salute, con conseguente sviluppo e competitività del settore produttivo. Le tensioni tra i diversi *stakeholder* sono

emerge chiaro: i cittadini vogliono accesso alle innovazioni in grado di sostenerli nelle difficoltà della malattia e dell'invecchiamento, ma non intendono essere strumenti inconsapevoli di profitti o tornaconti; i decisori desiderano investire in servizi e prestazioni con il miglior rapporto rischio-beneficio ed evitare tetti indifferenziati di spesa; i produttori desiderano poter agire all'interno di margini di prevedibilità noti, ma temono i rischi dell'onere della prova di efficacia a cui i loro prodotti sono sottoposti.

## Conclusioni

L'Health technology assessment in Europa è arrivato ad un punto di svolta: molto è stato fatto – e

speso – per la costruzione di una cooperazione europea e la messa a punto degli strumenti necessari al suo funzionamento. Con il quadro normativo internazionale di riferimento, che invita gli Stati membri a dotarsi di programmi di Hta a cui ancorare i propri processi decisionali, la rete europea potrà consolidare il suo tradizionale ruolo di valutazione critica e indipendente dei risultati della ricerca e perseguire lo sviluppo di relazioni innovative con i rappresentanti degli *stakeholder*, contribuendo a mantenere una sana tensione tra i diversi interessi.

## Bibliografia

HTA 2.0 Europe - Teaming Up for Value: <http://www.euneth-ta2014.it/>