



**“NIENTE SU DI NOI, SENZA DI NOI.”**

**La partecipazione dei pazienti  
alle decisioni terapeutiche in Europa e in Italia**





Editore **Rarelab Srl**  
Progetto **grafico Pavlo Romanyuk**  
Testi e coordinamento editoriale **Roberta Venturi, Stefania Collet**

Il presente documento, finito di elaborare nel mese di Dicembre 2024, ha scopo informativo e non promozionale. I contenuti sono di proprietà di Rarelab, e non possono essere riprodotti in alcun modo se non previa autorizzazione scritta di Rarelab e citazione della fonte.

©Rarelab Srl

# INDICE

---

<b>1. IL CONTESTO</b>	p. 04
<b>2. LE INTERVISTE DI INPAGS</b>	p. 06
<b>3. NOTHING ABOUT US, WITHOUT US</b>	p. 09
<b>4. IL CONTESTO ITALIANO</b>	p. 12
<b>5. IL COINVOLGIMENTO DEI PAZIENTI NELLE PROCEDURE HTA, PRICING &amp; REIMBURSEMENT</b>	p. 14
<b>6. SINTESI DEL CONVEGNO "IL REGOLAMENTO CSE E LA PARTECIPAZIONE DEI PAZIENTI ALLE DECISIONI TERAPEUTICHE: IL PROGETTO INPAGS PER UN DIALOGO COSTANTE TRA STAKEHOLDER DEL SISTEMA SALUTE"</b>	p. 24
<b>7. IL PROGETTO INPAGS</b>	p. 27

# 1. IL CONTESTO

---

Sempre più, negli ultimi anni, le Associazioni di Pazienti stanno ricoprendo un ruolo centrale presso gli enti regolatori, a partire dall'Agenzia Europea per i medicinali (EMA), la quale si impegna a garantire che la voce del paziente venga inclusa nelle diverse attività di regolamentazione del ciclo di vita di un farmaco, con l'obiettivo di migliorare la qualità delle decisioni normative e generare maggiore fiducia nei nuovi medicinali immessi sul mercato dell'UE. In particolare, la partecipazione dei pazienti, in EMA, è prevista e garantita nel Consiglio di amministrazione, nel Comitato per i medicinali orfani (COMP), nel Comitato pediatrico (PDCO), nel Comitato per le Terapie Avanzate (CAT) e nel Comitato per la Farmacovigilanza e la Valutazione dei Rischi (PRAC). Inoltre, l'Agenzia ha messo in atto delle procedure per raccogliere i contributi dei pazienti attraverso lo strumento della consultazione diretta.

Oltre che da EMA, la partecipazione dei pazienti è stata prevista anche dalle Agenzie regolatorie di alcuni Paesi europei, tra i quali spiccano Francia, Germania e Regno Unito, i quali propongono forme di partecipazione più o meno diffuse che fanno del *patient involvement* una bandiera, non solo di progresso etico-sociale, quanto anche di efficienza e armonizzazione del sistema salute.

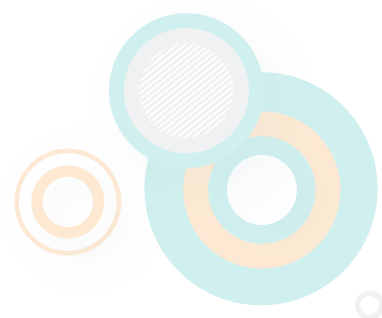
In Italia, un processo di riconoscimento e partecipazione delle singole Associazioni di pazienti era stato avviato dal Ministero della Salute con atto di indirizzo del 10 ottobre 2022, con cui si stabilivano le regole generali per il loro coinvolgimento nei processi decisionali del Dicastero. Successivamente, nel 2024, con l'approvazione del nuovo Regolamento sul funzionamento della Commissione scientifico economica, anche l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha mostrato una convinta apertura all'interlocuzione con le Associazioni di pazienti.

Rarelab, società focalizzata sulle malattie genetiche, rare e croniche invalidanti, in considerazione della propria mission orientata a realizzare progettualità che nascono dai bisogni dei pazienti e dalle loro richieste, si è fatta promotrice della costituzione di un gruppo, l'**InPagsNetwork**, al quale hanno aderito 52 Associazioni di pazienti e 2 Organizzazioni, provenienti dal mondo raro, cronico e oncologico - adulto e pediatrico -, con l'obiettivo di favorire e coordinare un dialogo tra associazioni di pazienti e AIFA.

L'InPagsNetwork è stato il principale motore del progetto "InPags" volto appunto a favorire la concreta e soddisfacente applicazione del principio di partecipazione dei pazienti alle decisioni che ricadono sulla loro salute e sulla loro vita. Il Network si è riunito in diversi momenti (26 ottobre 2023, 8 maggio 2024, 19 settembre 2024, 22 ottobre 2024), per discutere in maniera più ampia del tema della partecipazione e di eventuali e possibili punti da sottoporre ad AIFA, che, a seguito della determinazione del principio individuerà modalità e criteri di accreditamento per strutturare le audizioni delle associazioni di pazienti.

I punti emersi dal lavoro dell'InPagsNetwork sono stati rappresentati successivamente all'Agenzia nel corso di un incontro, durante il quale le istanze sono state sintetizzate in cinque macro-temi:

- **definizione di "Associazioni di Pazienti e di Cittadini"**, intesa come esplicitazione chiara di chi sono i soggetti da interpellare a fini regolatori;
- **rappresentanza**, la cui definizione, se considerata in termini di numero di iscritti, potrebbe penalizzare le associazioni di pazienti con malattie ultra-rare;
- **competenza**, intesa come esperienza specifica e capacità di contribuire su questioni dettagliate sulla specifica patologia e la conoscenza del vissuto dei pazienti;
- **capacità delle associazioni di interrogare i propri membri su questioni specifiche;**
- **gestione del conflitto di interessi**, intesa come la necessità di trasparenza sui finanziamenti esterni ricevuti, attraverso una dichiarazione qualificata di interessi aggiornata annualmente.



## 2. LE INTERVISTE DI INPAGS

---

**On. Ilenia Malavasi**, Componente della Commissione XII Affari Sociali

“La partecipazione delle associazioni dei pazienti nel processo legislativo e nell’interlocuzione costante con i rappresentanti istituzionali è importantissima: così riusciremo insieme a calibrare bene le nostre proposte e renderle efficienti ed efficaci. Le associazioni dei pazienti hanno svolto in questi anni un lavoro prezioso, non solo per il supporto che hanno fornito ai pazienti, ma anche per l’opera di informazione e sensibilizzazione sul ruolo che esse svolgono rispetto alle istituzioni: una consapevolezza che oggi è cresciuta ed è condivisa all’interno del Parlamento. Oggi parliamo delle associazioni come voci di rappresentanti esperti, che possono contribuire a pieno titolo al processo legislativo. La nostra proposta di legge prevede la presenza delle associazioni dei pazienti in tutti gli incontri, i tavoli di lavoro e le cabine di regia, per garantire la loro partecipazione in tutti i processi decisionali, compresi quelli dell’Agenzia del Farmaco (AIFA). Ovviamente è solo l’inizio di un percorso di discussione e di confronto, ma la cosa più importante è che è stata firmata da tutti i gruppi rappresentati in Parlamento, ed è stato depositato lo stesso testo sia alla Camera che al Senato, proprio per sollecitare in modo trasversale un suo incardinamento. Devo dire che l’Italia in questo è abbastanza arretrata rispetto ad altri Paesi europei, ma crediamo che oggi ci sia la maturità necessaria a dare piena dignità e piena rilevanza alle associazioni dei pazienti in qualsiasi luogo e processo decisionale”.

**Pierluigi Russo**, Direttore tecnico-scientifico dell’Agenzia Italiana del Farmaco

“Una questione un po’ più specifica è quella della partecipazione delle Associazioni dei pazienti ai processi decisionali dell’Agenzia dove il loro coinvolgimento è in relazione ad interessi specifici su dettati dall’impiego di quello specifico medicinale in quella specifica malattia. E’ chiaro che nell’ambito del regolamento della Commissione scientifica economica è necessario mettere a punto una serie di criteri di accreditamento che in qualche modo consentano di comprendere e mettere la commissione anche nella condizione di comprendere in realtà il contributo che viene fornito. L’auspicio è che ci sia una discussione e un confronto ampio da parte delle associazioni dei pazienti utile a comprendere la portata della definizione del soggetto che ovviamente è titolato da accreditarsi. Bisogna tenere presente che ovviamente nell’ambito delle malattie rare il criterio potrebbe essere molto più debole perché ci sono per fortuna pochi pazienti rispetto alle grandi patologie croniche ma è un aspetto di grande rilievo la pertinenza della partecipazione”.

**Ilaria Galetti**, Vicepresidente FESCA, Vicepresidente GILS - Gruppo Italiano per la Lotta alla Sclerodermia

“È vero che il coinvolgimento dei pazienti nelle procedure regolatorie relative ai farmaci sta aumentando, ma vi è ancora una distribuzione difforme a livello europeo. Molti Paesi ancora oggi non hanno istituito alcuna forma di partecipazione o, in molti casi, si sono limitati a fornire la possibilità di svolgere delle consultazioni oppure di trasmettere pareri scritti riguardo a bozze di documenti specificatamente pubblicate a quello scopo. Si contrappongono a questa maggioranza alcuni Paesi, tra i quali Francia, Germania e Regno Unito, che propongono forme di partecipazione più o meno ‘pervasive’ e fanno del patient involvement una bandiera non solo di progresso etico-sociale, quanto di efficienza e armonizzazione del sistema salute. Sono certa, tuttavia, che con l’entrata in vigore del nuovo Regolamento europeo sull’HTA, ci sarà un sempre maggior coinvolgimento dei pazienti anche nelle procedure riguardanti la rimborsabilità e una sempre maggior armonizzazione a livello europeo”.

**Silvia Tonolo**, Presidente ANMAR - Associazione Nazionale Malati Reumatici ODV

“I pazienti e le Associazioni, in ragione anche dell’esperienza diretta sulla patologia, devono essere considerati tra gli stakeholders di riferimento. Possediamo una conoscenza diretta e approfondita dell’impatto delle specifiche malattie sulla qualità di vita e, attraverso la nostra rappresentanza, siamo in grado di trasferire in maniera chiara e con forza insostituibile l’impatto nella real life di determinate scelte terapeutiche. Una partecipazione organica delle associazioni alle decisioni terapeutiche comporta vantaggi per tutto il sistema, perché maggiormente condivise e comprese dalla comunità dei pazienti”.

**Nicoletta De Rossi**, Presidente ConSLAncio Onlus

“Il Progetto InPags rappresenta un’opportunità unica per entrare in un sistema da cui le associazioni, ma soprattutto i bisogni dei malati, erano finora esclusi. Noi siamo sempre stati la parte passiva di questo sistema dove in realtà siamo i protagonisti perché i fruitori finali delle decisioni che dovrebbe prendere l’ente. I pazienti ci chiedono in continuazione di poter dire la loro sulle terapie, sulle sperimentazioni e soprattutto sull’approvazione di farmaci; siamo veramente speranzosi che questo dialogo possa protrarsi nel tempo e che possa dare i frutti sperati”.

**Angelo Lupi**, Presidente AMARE Onlus - Associazione Abruzzese Malattie Rare Emorragiche

“È importante che le associazioni dei pazienti partecipino alle decisioni che riguardano i farmaci, perché hanno una capacità ben specifica, ovvero quella di sapere ciò che è utile per migliorare la qualità di vita dei malati. Le associazioni forniscono supporto ai pazienti, sanno cosa necessitano e cosa no, quindi devono essere presenti nei tavoli di lavoro dove si discutono decisioni importanti, e devono potersi esprimere con un parere favorevole o contrario, a seconda di quella che è la tipologia del trattamento. Oggi le associazioni hanno al loro interno del personale molto esperto e preparato e hanno la necessità di instaurare un rapporto con le istituzioni, per non sprecare denari pubblici. Questo significa tutelare sia il cittadino che il malato: se una terapia non viene utilizzata perché ha troppi effetti collaterali, oppure perché è troppo costosa e non è sostenibile per il Servizio sanitario regionale, questo va a discapito di tutti e mette a rischio la sopravvivenza della Regione stessa. Nei tavoli decisionali si discute anche sulla qualità di vita delle persone con una patologia rara: è lì che bisogna far capire alle istituzioni i problemi veri, reali, di quei pazienti, ed è lì che le istituzioni possono venirci incontro. Le associazioni, quindi, devono essere presenti ai tavoli di lavoro, perché il nostro contributo può fare la differenza”.

**Tiziana Nicoletti**, Responsabile CnAMC di Cittadinanzattiva

“Indubbiamente questa apertura da parte dell’Aifa attraverso l’inserimento dell’articolo 11 che prevede la facoltà di Aifa di poter audire associazioni di pazienti e società scientifiche è un passo in avanti. Dal nostro punto di vista, come Cittadinanzattiva, auspichiamo che diventi un modus operandi quello di audire le associazioni dei pazienti. Inoltre, sempre nello stesso articolo, si dice che la commissione ha la facoltà di audire Associazioni o Società Scientifiche; mi permetto di dire che le associazioni non sono alternative alle Società Scientifiche quindi la Commissione può convocare le associazioni dei pazienti e le società scientifiche in base ai temi. Altra questione rilevante è quella dell’identificazione di associazioni maggiormente rappresentative che non devono essere considerate tali in base al numero degli iscritti bensì in base all’interesse giuridico. Questo permetterebbe a tutte le organizzazioni di essere comunque rappresentate in maniera positiva”.

**Valentina Morra**, Responsabile Scientifico Debra Italia ETS e Fondazione REB ETS

“Per noi è importante che le associazioni dei pazienti partecipino ai processi valutativi mirati all’approvazione di un farmaco: queste organizzazioni hanno un ruolo fondamentale, in quanto rappresentano quello che si può considerare un ponte fra i pazienti, il sistema salute e l’industria. Sicuramente, con il nuovo regolamento della Commissione Scientifica ed Economica (CSE), AIFA ha dato segni di apertura in tal senso: credo che per poter riprogrammare le strategie sanitarie affinché possano essere non solo vincenti ma anche efficaci, sia fondamentale un reclutamento di tutti gli stakeholder coinvolti nel sistema salute, e soprattutto delle associazioni. Questo, chiaramente, deve avvenire in un’ottica che sia centrata sulle esigenze del paziente. Bisogna considerare che le associazioni rappresentano una risorsa indispensabile per le istituzioni, perché possono dare il loro contributo in maniera valida, competente e rilevante, in particolare per quanto riguarda l’approvazione di farmaci. I pazienti, infatti, possono condividere sia la loro esperienza diretta di soggetti coinvolti in prima persona nella malattia, sia quella di primi fruitori delle terapie e dei trattamenti forniti dal sistema sanitario”.



### 3. NOTHING ABOUT US, WITHOUT US

---

**Ilaria Galetti**, Vicepresidente FESCA, Vicepresidente GILS - Gruppo Italiano per la Lotta alla Sclerodermia

“Niente su di noi senza di noi” è uno slogan usato per comunicare l’idea che nessuna politica dovrebbe essere decisa da qualsiasi rappresentante senza la piena e diretta partecipazione dei membri del gruppo o dei gruppi interessati da quella politica. Nella sua forma moderna, questo coinvolge spesso gruppi nazionali, etnici, basati sulla disabilità o altri gruppi che sono spesso emarginati dalle opportunità politiche, sociali ed economiche.

Da ormai parecchi anni, in Europa le organizzazioni di pazienti sono partner preziosi nella creazione di sistemi sanitari equi, incentrati sulla persona, accessibili e sostenibili, basati sulle competenze uniche dei pazienti. Lo scopo dei rappresentanti di pazienti europei è anche promuovere gli interessi dei pazienti stessi e delle loro comunità, rafforzandone il loro impatto attraverso un’efficace azione di advocacy, educazione, empowerment e partnership.

La cooperazione tra le diverse associazioni, soprattutto di malattie rare, è volta a migliorare e rendere più equa e armonizzata la sanità e i servizi sanitari europei.

Un coinvolgimento significativo dei pazienti e una maggiore comprensione delle esperienze, degli obiettivi e dei bisogni dei pazienti attraverso la collaborazione nel processo di ricerca porta a una ricerca più pertinente ed efficace. Inoltre, una miglior integrazione delle prospettive dei pazienti attraverso collaborazioni precoci (come l’identificazione degli unmet needs, quindi in una fase precocissima e pre-clinica) e continue ha il potenziale per aumentare l’impatto della ricerca.

I pazienti sono sempre più coinvolti nella progettazione delle politiche sanitarie e nella ricerca, attraverso campagne, attività di advocacy, educazione, ricerca e progetti. Co-progettazione, co-creazione, e preferenze dei pazienti sono diventati ormai un *leitmotivo* per (quasi) tutti gli stakeholder, sia quando si parla di salute tradizionale, sia quando si lavora a soluzioni di salute digitale, compreso l’accesso, la proprietà e il controllo dei dati da parte dei pazienti, l’uso e la condivisione sicura ed etica dei dati sanitari e l’esplorazione del potenziale dei RWD per migliorare l’assistenza sanitaria. Ma accade davvero oppure si tratta di un obbligo per soddisfare sempre più le raccomandazioni? L’obiettivo del coinvolgimento dovrebbe essere una partnership in cui ai contributi dei pazienti viene dato lo stesso peso di quelli degli altri collaboratori.





## EMA

All'interno dell'EMA, i pazienti sono ben rappresentati e considerati equal *stakeholder*. Non solo esiste la PCWP, ma anche nelle altre commissioni i rappresentanti di pazienti possono, come tutti gli altri membri, essere chiamati a fungere da *rapporteur* e, quindi, sono considerati allo stesso livello. Mi è capitato di partecipare a un SAG meeting e, prima dell'inizio, il presidente dell'incontro mi ha detto di non esitare a intervenire e portare il punto di vista della comunità che stavo rappresentando.

## CON PHARMA

Questo è uno dei livelli forse più complessi. Spesso le associazioni di pazienti, specialmente quelle di malattie rare, vengono coinvolte in Fase III, perché l'industria ha bisogno di avere più partecipanti ai trial clinici, proprio per la bassa prevalenza della malattia. Tuttavia, si sta facendo sempre più strada l'idea di coinvolgerli prima, anche per la definizione degli endpoint e del design del trial stesso o per la creazione del consenso informato. Diciamo tutta la verità: gli ultimi tre topic sono quelli su cui noi rappresentanti di pazienti insistiamo loro, mostrando i possibili grandi vantaggi per tutti gli attori in gioco. Naturalmente, perché questo accada, bisogna essere disposti a un confronto costruttivo, mantenere sempre la propria indipendenza e non dimenticare che si sta rappresentando una intera comunità e non se stessi.

## ERNs, the European Reference Networks for rare and Complex diseases

Nel 2017 ben 24 ERNs hanno visto la luce, dopo una gestazione molto lunga, che affondava le proprie radici nella Dir. Europea 2011/24 riguardante l'assistenza sanitaria transfrontaliera. Dopo un periodo di studio reciproco, i 24 coordinatori degli ERN hanno capito l'importanza del ruolo dei pazienti, coinvolgendoli all'interno della governance e di commissioni strategiche. Nel mio ERN (ReCONNET) ad esempio, i pazienti sono co-chair di tutti i working group e di tutti i disease group. La conversazione avviene tra pari, e i pazienti sono anche leader di progetti. Se devo essere sincera, quel marzo del lontano 2017, a Vilnius durante il kick-off degli ERN, mai avrei pensato a una collaborazione così alta. Inoltre, i pazienti sono coinvolti nella stesura delle linee guida, ma sin dall'identificazione delle PICO questions, le domande fondamentali che guidano la ricerca. Inutile dirsi che vengono riconosciuti come co-autori in tutte le pubblicazioni in cui hanno collaborato.

## HTA

E qui arriviamo al tasto dolente.

Nel 2021, l'Unione europea (UE) ha adottato il regolamento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTAr), con l'obiettivo di armonizzare, migliorare e promuovere la cooperazione nei processi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) in tutta l'UE e tra i vari organismi HTA degli Stati Membri (MS).

Il regolamento introduce un quadro permanente per il lavoro congiunto sull'HTA in tutta l'UE e tra le autorità HTA MS, applicabile a partire dal 2025 (12 gennaio per le malattie oncologiche). L'obiettivo è contribuire a migliorare la disponibilità per i pazienti dell'UE di tecnologie innovative nel campo della salute, come i farmaci e alcuni dispositivi medici, garantire un uso efficiente delle risorse e rafforzare la qualità dell'HTA in tutta l'Unione.





Rimane di competenza degli organismi di HTA dei singoli MS la valutazione di ambiti quali quello economico e sociale e la formulazione di raccomandazioni e/o decisioni sul rimborso delle tecnologie sanitarie a livello nazionale. Si crede che, visto il nuovo regolamento pensato per accelerare le tempistiche e renderle più snelle e armonizzate, le tecnologie sanitarie entreranno sul mercato in modi più celeri.

Sono 2 le principali novità del nuovo HTAr: la Joint Scientific Consultation (JSC) e il Joint Clinical Assessment (JCA).

**JSC:** il concetto alla base di un JSC è che gli sviluppatori di tecnologie (HTD) allineino la ricerca e lo sviluppo rispetto all'HTA. Ciò avverrà prima di raccogliere costosi dati clinici che, magari, non raggiungeranno mai il mercato. Secondo l'HTAR, gli HTD possono partecipare ai JSC con un sottogruppo designato dal gruppo di coordinamento. L'obiettivo del JSC è che l'HTD ottenga una guida per configurare lo sviluppo clinico in modo da generare evidenze per una futura valutazione.

Il punto di vista dei pazienti sarà incorporato durante la preparazione del documento finale del JSC. Sarà responsabilità del sottogruppo designato per il JSC garantire che i pazienti abbiano l'opportunità di contribuire durante la preparazione della bozza del documento e di partecipare a un incontro in presenza o virtuale con l'HTD. In questo incontro i pazienti possono scambiare opinioni con l'HTD, con gli esperti clinici e con altri esperti del settore.

Da notare, però, che i pazienti non sono parte del coordinamento o del sottogruppo in modo organico, ma vengono invitati a partecipare.

**JSA:** è la stesura scientifica e la descrizione di un'analisi comparativa delle evidenze cliniche disponibili su una tecnologia sanitaria rispetto a una o più altre tecnologie sanitarie o procedure esistenti, ossia quanto è già alla base dei processi di HTA. L'obiettivo di una JSA è quello di fornire un rapporto di valutazione e una relazione di sintesi basate entrambe sulle competenze raccolte da esperti scientifici, da clinici, da pazienti, dall'industria e dagli organismi HTA dell'UE.

I rappresentanti di un sottogruppo designato sono responsabili delle attività della JCA, delle tempistiche e della raccolta dei contributi da parte delle agenzie regolatorie, cosa fondamentale per la piena realizzazione dello spirito del regolamento.

Anche in questo gruppo, i pazienti sono *solo* invitati.

La parte più delicata, però, si presenta quando, dall'ambito europeo ci si cala in quello nazionale. I prezzi e i rimborsi previsti dall'HTAr non saranno decisi a livello europeo. Queste decisioni vengono prese dai rispettivi MS applicando il loro processo decisionale e di HTA nazionale, che dovranno tenere in debita considerazione i risultati del rapporto del JCA (se disponibile o previsto al momento dell'HTA nazionale). I MS possono anche decidere il valore aggiunto di una tecnologia sanitaria nel contesto del loro specifico sistema sanitario ma devono considerare le parti dei rapporti JCA disponibili e rilevanti in tale contesto.

A livello nazionale ci sono delle ottime pratiche di coinvolgimento di pazienti, che dovrebbero essere replicate, anche se questo non accade frequentemente. Certamente, il tema è complesso e non di facile comprensione, ma non si capisce perché ciò può (e deve) avvenire a livello europeo e non a livello nazionale. Sicuramente questo garantirebbe una maggior trasparenza sulle motivazioni delle decisioni prese, senza parlare del fatto che i pazienti potrebbero esprimere il vero impatto della tecnologia sanitaria in discussione, dandone il giusto valore (non prezzo, valore, chè sono due cose ben distinte!)

## 4. IL CONTESTO ITALIANO

---

**Roberta Venturi**, Head of Legal & Public Affairs Rarelab

Negli ultimi anni il tema della partecipazione dei pazienti ai processi decisionali è stato in più di qualche occasione discusso in ambito Istituzionale.

Già nel 2022, in attuazione della **scheda 14 del Patto per la salute 2019-2021** il Ministero della Salute ha emanato il primo atto di indirizzo sulle modalità di partecipazione ai processi decisionali da parte dell'associazionismo organizzato a tutela della salute dei cittadini e dei pazienti, con l'obiettivo di incrementare, strutturare e valorizzare la partecipazione civica nell'ambito delle attività di competenza dell'Amministrazione; l'atto prevedeva alcune regole generali per la partecipazione di Enti, inseriti in apposito elenco ministeriale e previamente iscritti al Registro Unico Nazionale del Terzo Settore, ai processi decisionali del Ministero.

In particolare, l'atto di indirizzo in questione introduceva e definiva sette modalità tipiche di partecipazione. In primo luogo, prevedeva la possibilità per gli Enti di essere coinvolti nella fase istruttoria affinché l'Amministrazione acquisisca la posizione degli stessi sui provvedimenti (partecipazione nella consultazione). È stata poi delineata la possibilità di avanzare istanze volte a definire l'agenda di lavoro del Ministero (partecipazione nella definizione dell'agenda). Accanto a queste, era prevista la possibilità di collaborazione nella definizione dei programmi di intervento aventi impatto diretto o indiretto su cittadini e pazienti (partecipazione nella co-progettazione dell'intervento). Inoltre, è stata introdotta la possibilità degli Enti di partecipare all'attuazione dei provvedimenti già adottati tramite gruppi di lavoro, protocolli d'intesa e altre forme di coinvolgimento sussidiario (partecipazione come supporto all'implementazione dei programmi di politica sanitaria). Ulteriormente, l'atto prevedeva la possibilità di presentare evidenze, testimonianze ed esperienze che l'Amministrazione poteva considerare nel processo decisionale (partecipazione nella generazione delle evidenze). Da ultimo, l'Amministrazione era chiamata a instaurare forme di valutazione e monitoraggio partecipati fornendo risultati dell'attuazione delle politiche pubbliche e trasparenti (partecipazione come valutazione e monitoraggio) e a prevedere la possibilità per gli Enti di avanzare istanze di modifica di un provvedimento (partecipazione come possibilità di riesame)<sup>1</sup>.

Infine, l'atto rinviava alla emanazione di un ulteriore e separato provvedimento ministeriale ai fini della definizione dei tempi massimi di risposta dell'Amministrazione e dei percorsi di partecipazione civica che le strutture ministeriali saranno chiamate ad attuare.

---

<sup>1</sup> ATTO DI INDIRIZZO RIGUARDANTE LE MODALITA' DI PARTECIPAZIONE AI PROCESSI DECISIONALI DEL MINISTERO DELLA SALUTE DA PARTE DELLE ASSOCIAZIONI O ORGANIZZAZIONI DEI CITTADINI E DEI PAZIENTI IMPEGNATE SU TEMATICHE SANITARIE, Segretariato generale, Ministero della salute.

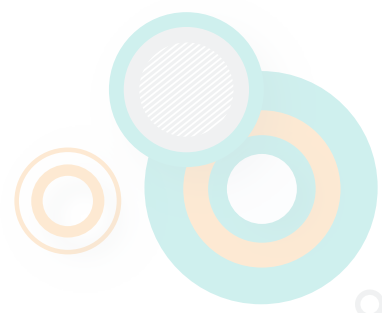
Successivamente, il tema della partecipazione è stato oggetto anche in Parlamento, attraverso la presentazione del disegno di legge **A.S. n. 853 "Disposizioni per la partecipazione di associazioni di malati e organizzazioni di cittadini ai tavoli decisionali in materia di tutela della salute"**, presentato il 10 agosto 2023, a prima firma della Sen. Murelli e di della proposta di legge **A.C. n. 1326, "Disciplina della partecipazione delle associazioni di pazienti e delle organizzazioni di cittadini ai processi decisionali pubblici in materia di salute"**, presentato il 24 luglio 2023, a prima firma dell'On. Cattoi.

Queste proposte mirano a prevedere un percorso di partecipazione delle associazioni dei pazienti e delle organizzazioni di cittadini attive nell'ambito della tutela della salute all'interno dei principali processi decisionali riguardanti la salute pubblica, con l'obiettivo di adottare delle politiche in grado di rispondere all'interesse primario dei pazienti, attraverso il loro pieno, consapevole e ordinato coinvolgimento, valorizzandone l'esperienza e le competenze.

All'interno delle proposte di legge sono previsti anche i criteri per la partecipazione delle associazioni di pazienti, dei gruppi di associazioni di pazienti e delle loro federazioni nonché delle organizzazioni di cittadini, costituite da almeno dieci anni, impegnate su temi sanitari per la promozione della salute, di seguito denominate «associazioni», ai principali processi decisionali, individuati dal Ministero della salute, e alle fasi di consultazione della Commissione scientifica ed economica dell'Agenzia italiana del farmaco.

Un ulteriore passo in avanti, in tema di partecipazione dei pazienti alle scelte politiche, è stato effettuato dall'Agenzia Italiana del Farmaco - AIFA, attraverso il nuovo **Regolamento che disciplina l'organizzazione ed il funzionamento della Commissione Scientifico-Economica (CSE)**, adottato ad aprile 2024. A seguito del processo di modifica dell'attuale organizzazione dell'AIFA (Decreto-legge 8 novembre 2022, n. 169), che ha determinato un radicale riassetto gestionale e amministrativo della stessa, è stato introdotto, all'interno del Regolamento recante norme sull'organizzazione e il funzionamento della Commissione Scientifico-Economica del Farmaco dell'Agenzia Italiana del Farmaco un articolo che apre la strada all'interlocuzione tra le Associazioni di pazienti e la Commissione stessa.

A questo proposito, l'**articolo 11** stabilisce che, al fine di ampliare il quadro conoscitivo nell'ambito dei processi decisionali, la Commissione ha la facoltà di convocare in audizione associazioni o Società scientifiche maggiormente rappresentative in relazione alle tematiche in discussione.



## 5. IL COINVOLGIMENTO DEI PAZIENTI NELLE PROCEDURE HTA, PRICING & REIMBURSEMENT<sup>2</sup>

---

**Roberta Venturi**, Head of Legal & Public Affairs Rarelab (con la collaborazione di Michele Ferrone)

Il **coinvolgimento dei pazienti** (chiamato in inglese *public/patients involvement/engagement*) nelle procedure regolatorie relative ai farmaci presenta ancora una distribuzione difforme a livello europeo.

Molti Paesi ancora oggi non hanno istituito alcuna forma di coinvolgimento, o in molti casi si sono limitati a fornire la possibilità di svolgere delle consultazioni oppure di trasmettere pareri scritti riguardo bozze di documenti specificatamente pubblicati a quello scopo.

Si contrappongono a questa maggioranza alcuni Paesi europei, tra i quali spiccano **Francia, Germania e Regno Unito**. Questi Paesi propongono forme di partecipazione più o meno "pervasive", ma fanno del *patient involvement* una bandiera, non solo di progresso etico-sociale, quanto anche di efficienza e armonizzazione del sistema salute.

### EMA - AGENZIA EUROPEA DEL FARMACO

L'EMA ovviamente non è un'agenzia regolatoria a carattere nazionale e dunque non si occupa di questioni di pricing e rimborso. Nonostante ciò, sembra utile osservare come l'Agenzia Europea del Farmaco abbia implementato la tematica a livello di valutazione tecnico-scientifica, essendo anche di ispirazione per le direttive nazionali degli Stati membri.

**Il regolamento (CE) n. 726/2004 attribuisce all'EMA**, al suo Consiglio di amministrazione e ai vari comitati scientifici la responsabilità di sviluppare contatti con pazienti e consumatori. L'EMA assolve a questa responsabilità coinvolgendo i pazienti in molte attività dell'agenzia. A seconda delle attività varia, però, il tipo di partecipazione. I pazienti, infatti, **a seconda della natura dell'attività**, sono coinvolti come rappresentanti dei pazienti europei, della propria organizzazione o come individui esperti.

- **I pazienti in quanto rappresentanti della loro comunità:** vengono coinvolti nel ruolo di membri di alcuni dei comitati scientifici (COMP, PDCO, CAT e PRAC) e del Management Board dell'Agenzia. Questi membri vengono nominati dalla Commissione Europea.
- **I pazienti in quanto rappresentanti delle loro associazioni:** vengono consultati e partecipano alle discussioni dell'Agenzia al fine di portare il punto di vista della loro associazione su questioni di ordine generale. Quando le organizzazioni partecipano alle attività dell'EMA, devono soddisfare i criteri di ammissibilità che includono il requisito di trasparenza sulla provenienza delle fonti di finanziamento.
- **I pazienti in quanto individui esperti:** in questo caso la partecipazione avviene nell'ambito delle attività di valutazione dei medicinali.

---

<sup>2</sup> Il presente documento rappresenta uno strumento di lavoro in evoluzione, quanto in esso contenuto sarà progressivamente aggiornato sulla base delle informazioni che emergeranno da studi ed approfondimenti ulteriori.



### **THE PATIENTS' AND CONSUMERS' WORKING PARTY (PCWP)**

Il PCWP fornisce una piattaforma per lo scambio di informazioni e la discussione di questioni di interesse comune tra EMA, pazienti e consumatori. Il PCWP, istituito nel 2006, fornisce raccomandazioni all'EMA e ai suoi comitati scientifici su tutte le questioni di interesse relative ai prodotti medicinali.

### **COMPOSIZIONE**

- Il gruppo principale è composto da rappresentanti iscritti ad associazioni di pazienti e consumatori tra quelle eleggibili;
- Rappresentanti dei comitati scientifici EMA;
- Osservatori da:
  - Management Board dell'EMA;
  - Commissione Europea;
  - Healthcare Professionals Working Party (HPWP);
  - Coordination Group for Mutual Recognition and Decentralised Procedures - Human.

### **SCIENTIFIC ADVISORY GROUPS**

I SAGs sono gruppi di esperti che si incontrano quando è in corso la valutazione di un medicinale e sorgono domande che richiedono ulteriori informazioni. I SAGs sono, infatti, solitamente richiesti dal comitato di valutazione (CHMP), quello di sicurezza (PRAC), o quello delle terapie avanzate (CAT).

L'obiettivo delle riunioni dei SAGs è rispondere a specifiche domande poste dal comitato di riferimento prima di arrivare a prendere una decisione sulla sicurezza ed efficacia del medicinale. Attualmente ci sono 5 SAGs principali che coprono le aree cardiovascolare, malattie infettive, neurologia, oncologia e vaccini. Laddove sorgesse una richiesta per un medicinale per cui non esiste un SAG di riferimento, viene organizzato un "*gruppo di esperti ad hoc*", il quale avrà lo stesso compito di un SAG.

### **Chi viene coinvolto nelle riunioni dei SAGs?**

Una riunione del SAG è composta dai membri principali del gruppo, da ulteriori esperti invitati, inclusi pazienti, personale dell'EMA e, per una parte della riunione, da rappresentanti dell'azienda che ha sviluppato il medicinale. I pazienti sono invitati a condividere il loro vissuto e la loro esperienza in relazione a un particolare medicinale nella loro area di malattia. Ciò può aiutare i comitati a comprendere meglio ciò che i pazienti considerano importante e il profilo di sicurezza che è accettabile per loro.





## FRANCIA

**In Francia i pazienti e le associazioni di pazienti possono partecipare o contribuire alle valutazioni tecnico-scientifiche ed economiche in moltissime modalità diverse.**

Secondo quanto riportato da un documento dell'HAS sull'engagement degli "utenti", i tipi di *involvement* sono in generale quattro, e i soggetti che vengono individuati principalmente due.

I tipi di partecipazione sono:

- Collaborazione;
- Consultazione;
- Partenariato;
- Richieste all'HAS;

I soggetti:

- "*Expert*", ovvero pazienti esperti
- "*Parties prenante*", ovvero letteralmente "gruppi interessati", cioè stakeholders.

## COLLABORAZIONE

Con collaborazione l'HAS intende riferirsi alla **completa partecipazione alle attività di routine dell'HAS** stessa. In altre parole, i pazienti esperti possono candidarsi a far parte delle commissioni, dei gruppi di lavoro e delle giurie.

Per candidarsi bisogna rispondere ad un bando che viene pubblicato dall'HAS e per alcune delle commissioni è espressamente previsto che gli utenti siano membri di associazioni riconosciute ai sensi dell'articolo L. 1114.1 del Codice di Sanità Pubblica.

**Un'associazione ha la possibilità di sollecitare uno dei suoi membri a candidarsi** ad una commissione, tuttavia, la sua partecipazione alle attività della commissione sarà in qualità di persona individuale e non in qualità di rappresentante dell'associazione che gli ha suggerito di presentare la candidatura.







## CONSULTAZIONE

Esistono differenti modalità di consultazione.

- **Le audizioni.** Una qualunque commissione o gruppo di lavoro dell'HAS può aprire dei cicli di audizioni; la partecipazione è aperta ad associazioni di pazienti, pazienti esperti e professionisti sanitari e in alcuni casi possono essere auditi anche collettivi non costituiti in associazione.
- **Comitati permanenti.** L'HAS ha istituito dei comitati permanenti per il dialogo con gli stakeholders. Lo scopo di questi comitati è *"gettare le basi delle relazioni, discutere le procedure di valutazione e i loro sviluppi, per fare luce sulle modalità di scambio tra gli stakeholder e l'istituzione e garantire il seguito degli orientamenti comuni o per analizzare retrospettivamente i progressi dei lavori."*  
I **"comitati di interfaccia"** sono composti da rappresentanti di HAS e una tipologia di stakeholders (ad es. aziende farmaceutiche).  
I **comitati consultivi** sono costituiti da rappresentanti di HAS e una varietà di stakeholders (federazioni di servizi o istituti sanitari o sociali e medico-sociali di stato pubblico o privato, organizzazioni multiprofessionali, società scientifiche, associazioni o collettivi di stk, ecc.). Questi comitati possono prevedere la partecipazione di **associazioni di utenti** esclusivamente come stakeholder. All'interno di un comitato di stakeholder, **associazioni e gruppi di utenti**, esprimono il loro interesse collettivo e sono rappresentati dai loro presidenti o da qualsiasi persona delegata allo scopo di rappresentarli.
- **Contributi scritti.** Un'associazione può **contribuire alla valutazione di un medicinale** o di un dispositivo medico **al fine del suo rimborso**. Ha facoltà di trasmettere le informazioni che ritenga utili ai comitati di valutazione HAS (comitato per la trasparenza, comitato nazionale per la valutazione dei dispositivi medici e comitato di valutazione economica e di sanità pubblica). Qualsiasi associazione di pazienti o utenti, approvata o meno, può inviare un contributo utilizzando il questionario dedicato. È accettato un solo contributo per associazione. Non sono accettati contributi da parte di singoli pazienti o caregiver. Persone che desiderano comunicare informazioni per una data valutazione sono invitati a contattare o interagire con le associazioni dei pazienti e degli utenti. Ovvero se un singolo individuo vuole fornire delle informazioni o pareri deve farlo attraverso un'associazione. I contributi si riferiscono a farmaci e dispositivi medici per i quali è prevista una valutazione in vista dell'inserimento nell'elenco dei farmaci rimborsati o in accesso precoce.





- **Colloqui di gruppo.** Definiti all'interno del documento dell'HAS "*focus group*" sono una "tecnica qualitativa di intervista di gruppo semi-strutturata finalizzata alla raccolta di informazioni approfondite in breve tempo." Questi non sono intesi a conciliare le divergenze di opinione o raggiungere un qualche tipo di consenso, ma solo a raccogliere informazioni e prospettive. Il gruppo formato deve essere omogeneo. I partecipanti (tra i 6 e i 12) vengono selezionati tramite chiamata su base volontaria sul sito HAS o tramite un fornitore di servizi esterno. In quest'ultimo caso, i nomi dei membri del gruppo non possono essere portati a conoscenza di HAS. Questi incontri possono avvenire anche con gruppi composti da pazienti o persone accompagnate, soprattutto quando si tratta di entrare in contatto con gruppi di persone in situazioni di fragilità, al fine di meglio conoscere le loro aspettative.
- **Gruppi di lettura.** HAS sollecita regolarmente revisori, utenti e professionisti o parti interessate ad esprimere un parere sulla versione intermedia di un documento, in particolare per valutarne la chiarezza e l'accettabilità (raccomandazioni, guide, questionari, ecc.). I gruppi di lettura sono composti da persone che agiscono individualmente finalizzati alla revisione dei documenti prima della loro convalida finale da parte di HAS. I revisori sono invitati a presentare domanda tramite l'HAS o tramite le loro associazioni.
- Il gruppo di lettura esprime un parere formale sul contenuto e sulla forma della prima versione dei documenti. I membri esprimono parere consultivo, a titolo individuale. I commenti del gruppo di lettura e le loro possibili valutazioni vengono quindi analizzati e discussi dal gruppo di lavoro o dal gruppo di progetto (*equipe de project*) HAS, che redige la versione finale delle raccomandazioni, prima della presentazione agli organismi di convalida HAS.
- **Consultazioni pubbliche.** La consultazione pubblica è un processo durante il quale, sulla base di una bozza di documento di lavoro (o della notifica di valutazione di una tecnologia), HAS sollecita, raccoglie e analizza le opinioni e i commenti di un pubblico di cui non seleziona i partecipanti. L'obiettivo è raccogliere opinioni e commenti che consentono:
  - individuare nuovi elementi di cui tenere conto, in particolare dati sulle pratiche o esperienza, ulteriori aree di valutazione; misurare la leggibilità, l'accettabilità del testo;
  - individuare le leve per l'attuazione delle pratiche;
  - analizzare e adeguare, se necessario, il testo sottoposto a consultazione o la decisione.HAS definisce a priori il pubblico di cui desidera raccogliere l'opinione (individuo o istituzione/organizzazione interessati o preoccupati dall'argomento). Quando il numero di risposte è più elevato del numero atteso, il pubblico cui si rivolge la consultazione pubblica può essere limitato alle sole organizzazioni (associazioni di pazienti o di utenti, istituti sanitari o medico-sociali, ecc.). Il principio della consultazione pubblica è che chiunque, o un'organizzazione che soddisfa i criteri definiti durante la fase di scoping del progetto, può partecipare. In pratica, la bozza di una raccomandazione o di una valutazione viene messa online per 6-8 settimane sul sito web HAS durante la fase di lettura esterna. Questa versione è corredata da un modulo elettronico attraverso il quale chiunque intenda partecipare alla consultazione pubblica trasmette i propri pareri o commenti. Questo modulo, adattato caso per caso, a seconda del progetto, include spazi di commento libero e può includere domande aperte e/o chiuse.





## **Richieste relative ai programmi di lavoro**

Ogni anno l'HAS determina il proprio programma di lavoro in base alle priorità di sanità pubblica. A tal fine mantiene un dialogo con il Ministero della Salute, assicurazioni sanitarie, operatori sanitari e associazioni di pazienti e utenti del sistema sanitario (aree sanitarie, sociali e medico-sociali). Associazioni che rappresentano gli utenti del sistema sanitario o dei servizi e delle strutture sociali e medico-sociali così come società scientifiche che li compongono possono proporre argomenti di lavoro ad HAS nei campi in cui si trovano coinvolti, come previsto dal regolamento interno dell'HAS Board.

## **Partenariato**

Essere un partner istituzionale comporta la firma di un accordo tra HAS e un'altra entità giuridica. Esistono accordi di cooperazione tra HAS e alcune istituzioni al fine di promuovere lo sviluppo di scambi sui metodi, la condivisione di esperienze e la produzione congiunta di alcuni lavori. Le missioni di ciascuna delle parti sono quindi fissate prima della firma degli accordi o convenzioni. HAS può anche firmare accordi di partenariato con alcune organizzazioni non commerciali (società accademiche, associazioni di utenti) per realizzare un progetto congiunto.

**NOTA:** L'unica fase del processo regolatorio non discussa fin qui riguarda il CEPS. Il CEPS si occupa del pricing e non fa parte dell'HAS, che però ha l'ultima parola sul rimborso. A tal proposito l'articolo L.162-17-4-2 precisa che *"il Comitato economico per i prodotti sanitari (CEPS) può concludere un accordo quadro, per un periodo massimo di tre anni rinnovabile, con una o più associazioni che rappresentano i pazienti e gli utenti del sistema sanitario riconosciuti a livello nazionale ai sensi dell'articolo L. 1114-1 del Codice di Sanità Pubblica e una o più associazioni che lottano contro le disuguaglianze sanitarie.*

*Lo scopo di tale accordo è in particolare quello di promuovere la consultazione e lo scambio di informazioni in merito alla fissazione, nell'ambito di competenza del comitato, dei prezzi e delle tariffe dei prodotti sanitari rimborsabili."*





## GERMANIA

In Germania le norme relative alla determinazione del prezzo e del rimborso sono basate sui seguenti principi: i farmaci con obbligo di prescrizione vengono rimborsati dall'assicurazione sanitaria a meno che il medicinale non venga inserito in una lista "di esclusione" gestita dalla G-BA; i produttori sono liberi di determinare un prezzo a loro discrezione; i farmaci possono essere raggruppati in categorie di prodotti considerati terapeuticamente equivalenti e soggetti ad un tetto massimo di rimborso.

La legge che riforma il mercato farmaceutico (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz - AMNOG), entrata in vigore nel gennaio 2011, ha mantenuto il principio della libera determinazione dei prezzi al momento del lancio, ma impone una valutazione sistematica e formale del "valore terapeutico aggiunto" dei nuovi medicinali al fine di negoziare il prezzo, entro dodici mesi dal lancio sul mercato, in base al valore terapeutico del farmaco. Se un nuovo farmaco ha un qualche beneficio terapeutico aggiunto rispetto agli standard di cura esistenti, viene negoziato un prezzo di rimborso basato sui prezzi dei comparatori appropriati (ovvero lo standard di cura attuale) tra l'associazione nazionale dei fondi assicurativi di assistenza sanitaria obbligatoria (Spitzenverband Bund der Krankenkassen - GKV-SV) e l'azienda farmaceutica. Se non viene riscontrato alcun valore terapeutico aggiunto, il nuovo farmaco viene incluso in un "gruppo di prezzo di riferimento" (Festbetrag) laddove sia possibile. In caso contrario, viene negoziato un prezzo che, di norma, non deve risultare superiore al prezzo del comparatore appropriato.

Il G-BA è un collegio di rappresentanti delle associazioni di categoria di medici, dentisti, ospedali e fondi assicurativi sanitari. L'assemblea plenaria del G-BA, l'organo decisionale, è composta da un presidente e altri due membri imparziali, due rappresentanti degli ospedali, due rappresentanti dei medici, un rappresentante dei dentisti e cinque rappresentanti dei fondi di malattia. Tutti questi membri hanno diritto di voto. **I rappresentanti dei pazienti partecipano alle riunioni e vengono consultati dal Comitato.**

Nel contesto della procedura AMNOG, **i risultati delle valutazioni sono aperti ai commenti degli stakeholder esterni.** Ciò può includere medici, associazioni di medici e **associazioni che si occupano di advocacy**, accademici o associazioni di produttori farmaceutici che possono presentare commenti scritti relativi alla pubblicazione iniziale di una certa valutazione (appraisal), la quale verrà poi seguita da un'audizione pubblica.

Il secondo organismo coinvolto nella valutazione dei nuovi medicinali è l'Istituto per la Qualità e l'Efficacia nella Cura della Salute (IQWiG). L'IQWiG è un organo indipendente responsabile di valutare la qualità e l'efficienza dei servizi sanitari e dei prodotti sanitari. È stato creato nel 2004 e le sue funzioni erano inizialmente limitate alla valutazione dell'efficacia clinica. Queste funzioni sono state estese alla valutazione costo-beneficio nel 2007. L'IQWiG generalmente svolge valutazioni su richiesta del G-BA, sebbene anche il Ministero della Salute, **i rappresentanti dei pazienti nel G-BA** o il "Commissario del Governo federale per le questioni dei pazienti" possano richiedere valutazioni all'IQWiG. L'Istituto non produce linee guida o prende decisioni di rimborso, ma fornisce valutazioni evidence-based unicamente al fine di informare i decisori.





Se un nuovo medicinale presenta un valore terapeutico aggiunto, **l'associazione nazionale dei fondi di assicurazione sanitaria obbligatoria (GKV-SV) e l'azienda farmaceutica devono negoziare un prezzo di rimborso**. Le trattative non sono aperte al pubblico e tutte le informazioni scambiate durante la negoziazione sono riservate. Le trattative devono concludersi entro 6 mesi dalla pubblicazione della risoluzione del G-BA.

Per i farmaci senza beneficio terapeutico aggiunto che non possono essere inseriti in "gruppi di prezzi di riferimento", il prezzo viene negoziato con l'obiettivo che il costo annuo della terapia non sia superiore al costo annuo della terapia svolta con il comparatore.

Se le parti in trattativa non raggiungono un accordo entro sei mesi dalla pubblicazione della risoluzione del G-BA, inizia un processo di arbitrato. La commissione di arbitrato è composta da un presidente e altri due membri imparziali, oltre a due membri nominati da entrambe le parti in trattativa (il GKV-SV e l'azienda farmaceutica). I membri vengono nominati per quattro anni. **Le organizzazioni dei pazienti possono partecipare alle riunioni della commissione di arbitrato**. La commissione è tenuta a prendere decisioni entro tre mesi ai sensi del paragrafo 4 del codice di sicurezza sociale (SGB V). Le parti in trattativa possono fare appello contro una decisione presa dalla commissione di arbitrato dinanzi al tribunale competente, ma gli appelli non hanno effetto sospensivo.

Dopo l'arbitrato, **qualsiasi parte del G-BA** può richiedere una valutazione costo-beneficio da parte dell'IQWiG. Questa valutazione non ha effetto sospensivo, ma **il prezzo di rimborso concordato può essere rinegoziato in seguito alla valutazione**.

Un breve approfondimento sui due *player* principali caratterizzati da un'attiva partecipazione di rappresentanti di pazienti:

- **G-BA** (Gemeinsamer Bundesausschuss; Federal Joint Committee)
- **IQWiG** (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen)

### **G-BA**

- Prende decisioni e pubblica regolamenti vincolanti (o direttive) su cosa viene coperto dai fondi di assicurazione sanitaria obbligatoria. In questo modo, il G-BA specifica quali servizi sanitari vengono rimborsati.
- Valuta i nuovi farmaci, ossia effettua valutazioni sulla tecnologia sanitaria (HTA) secondo le disposizioni stabilite dalla legge AMNOG.
- Indaga su nuovi metodi di esame e nuove tecnologie mediche.
- Definisce gli standard di qualità per gli ospedali.
- Progetta programmi di disease management per le patologie croniche.
- Determina i gruppi di prezzo di riferimento.

### **IQWiG**

- Esamina i benefici e i rischi delle procedure mediche.
- Fornisce informazioni riguardo i vantaggi e gli svantaggi dei metodi diagnostici e terapeutici.
- Produce autonomamente evidence-based report, conducendo ricerche sistematiche nella letteratura scientifica internazionale.



## Regno Unito

Il Regno Unito pone **un forte accento sul coinvolgimento dei pazienti nel processo decisionale in ambito sanitario**. Le associazioni dei pazienti partecipano attivamente all'operatività del National Institute for Health and Care Excellence (NICE) e del suo Patient and Public Involvement Program (PPIP). Possono presentare evidenze, contribuire allo sviluppo di linee guida e partecipare a consultazioni pubbliche, assicurandosi che le prospettive dei pazienti siano prese in considerazione.

Il rimborso dei medicinali nel Regno Unito è stabilito dal National Institute for Health and Care Excellence. Il NICE conduce valutazioni HTA al fine di valutare l'efficacia clinica e quella economica dei medicinali.

Il pricing, invece, viene regolato dal Department of Health and Social Care (DHSC) che negozia il prezzo con le compagnie farmaceutiche.

Nella determinazione del prezzo non c'è alcun coinvolgimento dei pazienti o delle organizzazioni di pazienti. Il NICE, al contrario, guarda al coinvolgimento dei pazienti come ad una delle pietre angolari della propria operatività.

*"Il NICE si impegna a:*

- **garantire che tutti i comitati consultivi e i gruppi di lavoro del NICE abbiano almeno due 'lay members', lett. "membri profani", (pazienti, utenti del servizio, assistenti o membri del pubblico)**
- **fornire opportunità per i pazienti, gli utenti del servizio, gli assistenti e il pubblico di fornire prove e testimonianze che possano arricchire lo sviluppo delle nostre guide (direttive o linee guida) e dei nostri standard di qualità.**
- **coinvolgere lay members nelle scelte aziendali.**
- *offrire strumenti di supporto e formazione ai lay members che contribuiscono al lavoro del NICE.*
- **offrire un compenso ai lay members dei comitati consultivi e dei gruppi di lavoro del NICE in riconoscimento del loro contributo.**
- **rendere disponibile le proprie direttive o linee guida in linguaggi e formati adatti ai pazienti, agli utenti dei servizi, agli assistenti e al pubblico.**
- *lavorare con i pazienti, gli utenti dei servizi, i caregivers, le comunità, le organizzazioni di volontariato e di beneficenza per promuovere le linee guida e aiutare le persone ad accedere ai servizi, alle cure e ai trattamenti raccomandati dal NICE.*
- **impegnarsi con i gruppi protetti dalla legislazione sull'equità per garantire che le loro opinioni siano ascoltate e che le questioni di equità siano prese in considerazione nello sviluppo delle direttive o linee guida.**
- *revisionare i processi e i metodi utilizzati per coinvolgere i lay nel lavoro del NICE".*

In sostanza i pazienti esperti sono presenti in ogni singolo aspetto dell'operatività del NICE, anche al di fuori delle valutazioni HTA e delle valutazioni costo-efficienza in vista della determina del rimborso.



Per approfondire, osservando le terminologie utilizzate sul sito ufficiale del NICE, è possibile riconoscere una distinzione principale nei riguardi dei pazienti: da un lato *"People who use services, carers or members of the public"* e dall'altro le organizzazioni del *"Voluntary and community sector"* (VCS).

I primi, a cui si riferisce l'elenco di cui sopra, **oltre ad essere presenti in ogni organo del NICE**, possono:

- **essere invitati** (con l'intermediazione di un'associazione di pazienti) o **proporsi volontariamente di portare la propria prospettiva** su una data questione, dallo sviluppo delle linee guida fino alla valutazione HTA.
- **rispondere o commentare online le consultazioni pubbliche** che vengono aperte per un certo periodo su tutte le documentazioni non definitive, anche in questo caso, dagli appraisal (valutazione HTA), fino alle linee guida su un prodotto.
- **partecipare come osservatore** ai meeting dei singoli committee.
- **usufruire di strumenti di supporto** al fine di formare "pazienti esperti".

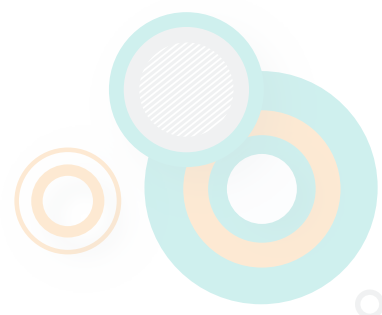
Per quanto riguarda le *"Voluntary and community sector organisations"* (VCS), ovvero associazioni non-profit, esse possono:

- **aiutare nello sviluppo di linee guida.** Questo tipo di collaborazione avviene in differenti maniere, dalla partecipazione ai workshop su un dato tema, alla stesura di documenti di commento che mirino a implementare o migliorare il lavoro prodotto dal NICE con un punto di vista maggiormente vicino all'utente.
- **partecipare ai meeting come osservatore.** Tutti i meeting dei comitati del NICE sono aperti a pubblico e stampa.
- **far parte del forum VCS.** Il forum VCS è un vero e proprio luogo virtuale di dibattito che si riunisce circa 4 volte all'anno, dando modo alle associazioni di condividere informazioni, punti di vista e proposte. Da non sottovalutare anche l'aspetto di networking esplicitamente sottolineato dal NICE stesso.

## SPAGNA

La Spagna, sulla base di ciò che si legge in letteratura, non sembrerebbe essere comunque di grande interesse rispetto ai Paesi precedentemente discussi, in quanto pare che all'interno delle procedure regolatorie si offra unicamente la possibilità di svolgere audizioni durante sia la fase di HTA che quelle di *pricing e reimbursement*, ma non si parla di ulteriori tipi di *involvement*.

Francia, UK e Germania sono, al contrario, ritenuti da gran parte degli esperti il modello a cui riferirsi per questo topic.



## 6. “IL REGOLAMENTO CSE E LA PARTECIPAZIONE DEI PAZIENTI ALLE DECISIONI TERAPEUTICHE: IL PROGETTO INPAGS PER UN DIALOGO COSTANTE TRA STAKEHOLDER DEL SISTEMA SALUTE”

---

Sintesi del convegno

Premessa

Ad inizio ottobre, con alcuni rappresentanti del network, è stato organizzato un incontro con l’Agenzia italiana del farmaco per capire quali potessero essere i primi pilastri e i primi punti su cui condividere delle regole di ingaggio ai fini della partecipazione delle associazioni, secondo quanto previsto dal Regolamento della CSE. Questi punti sono stati presentati all’Agenzia e il dialogo aperto si è dimostrato molto costruttivo e collaborativo. Si tratta di un discorso bidirezionale che ha permesso di immaginare questi pilastri come punti di partenza. Non devono essere considerati definitivi: possono essere discussi, rivisti o eventualmente declinati in strumenti specifici che ne consentano l’utilizzo.

I punti emersi dal lavoro dell’InPagsNetwork sono stati rappresentati successivamente all’Agenzia nel corso di un incontro, durante il quale le istanze sono state sintetizzate in cinque macro-temi:

- **definizione di “Associazioni di Pazienti e di Cittadini”**, intesa come esplicitazione chiara di chi sono i soggetti da interpellare a fini regolatori;
- **rappresentanza**, la cui definizione, se considerata in termini di numero di iscritti, potrebbe penalizzare le associazioni di pazienti con malattie ultra-rare;
- **competenza**, intesa come esperienza specifica e capacità di contribuire su questioni dettagliate sulla specifica patologia e la conoscenza del vissuto dei pazienti;
- **capacità delle associazioni di interrogare i propri membri su questioni specifiche**;
- **gestione del conflitto di interessi**, intesa come la necessità di trasparenza sui finanziamenti esterni ricevuti, attraverso una dichiarazione qualificata di interessi aggiornata annualmente.

Questi aspetti, soprattutto nell’ambito della partecipazione ai processi decisionali della Commissione Scientifica Economica, necessitano di una sensibilità e di una trattazione specifica, più misurata rispetto a una generica o ampia partecipazione che le associazioni possono esprimere nel contesto legislativo e a supporto delle proprie istanze.





Il coinvolgimento dei pazienti **non dovrebbe essere meramente formale o simbolico, ma attivo e significativo**. Per questa ragione, è importante coinvolgere i pazienti anche nelle prime fasi degli studi clinici, con incontri tra pazienti e coordinatori degli studi o biologi, per favorire uno scambio di domande e risposte, e dunque di informazioni tra le parti, con l'obiettivo di rendere il processo più efficace. Le associazioni, attraverso l'esperienza diretta, affrontano temi cruciali legati al diritto alla sicurezza delle cure, alla continuità terapeutica, all'equa accessibilità e alla partecipazione dei pazienti nei processi decisionali. **La partecipazione è essenziale perché permette di portare le esigenze reali dei pazienti, ancora troppo spesso ignorate.**

Le associazioni di pazienti dispongono di **un'infinità di dati non sempre considerati, ma fondamentali per comprendere l'impatto delle scelte terapeutiche non solo sulla malattia, ma anche sulla persona e sulla sua qualità di vita**. La partecipazione delle associazioni dovrebbe generare evidenze utili nell'ambito dei processi decisionali, poiché, solo i pazienti possono contribuire con esperienze dirette e dati tangibili. Un sistema strutturato di interlocuzione, con tavoli di lavoro e incontri periodici, sarebbe fondamentale per affrontare le tematiche in modo mirato. A questo proposito, infatti, è opportuno sottolineare che tutti gli attori del sistema dispongono di dati ed informazioni utili ai fini dei processi decisionali; **clinici e pazienti dispongono di dati ed informazioni diverse ma tra loro complementari**.

Ed è proprio in tema di dati, in grado di generare evidenze e supportare una valutazione che assume particolare rilievo la questione relativa alla capacità delle associazioni di interrogare i propri membri su questioni specifiche, raccogliendo informazioni utili per migliorare sia l'organizzazione sia la regolamentazione.

La regionalizzazione del sistema sanitario, sancita dal Titolo V della Costituzione, rappresenta una criticità significativa. Questa frammentazione rende instabile il sistema sanitario italiano, **creando disuguaglianze nell'accesso alle cure e nella qualità della vita dei pazienti**.

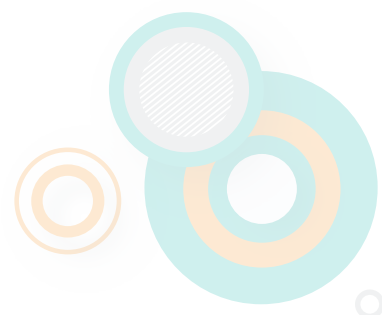
In riferimento all'articolo 11 del Regolamento CSE sono stati sollevati alcuni punti di criticità. In primo luogo, allo stato attuale, l'articolo riferisce in merito alla "facoltà" della Commissione di poter convocare in audizione le Associazioni di pazienti. L'auspicio per il futuro è che il coinvolgimento delle Associazioni diventi una prassi, al pari della convocazione delle società scientifiche. Ulteriore elemento di criticità potrebbe essere il diretto riferimento alle associazioni "maggiormente rappresentative"; un termine che potrebbe portare **a favorire le associazioni numericamente più grandi o strutturate, escludendo realtà più piccole ma rilevanti**. Per questa ragione, in sede di convegno è emersa la proposta di utilizzare il criterio di **"interesse rilevante" in relazione alle tematiche trattate, favorendo un approccio inclusivo**.

Ogni associazione, indipendentemente dalla sua dimensione, dovrebbe avere l'opportunità di contribuire, specialmente per rappresentare sottopopolazioni di pazienti, questo anche in funzione del fatto che le approvazioni di farmaci spesso riguardano target specifici all'interno di patologie più ampie.



Ulteriore tema evidenziato nel corso del convegno è stato **l'importanza della formazione per le associazioni**, affinché possano raccogliere e presentare evidenze generate dai pazienti in grado di fornire un contributo significativo per rendere più efficace il dialogo con le istituzioni. La formazione risulta essere fondamentale anche per fornire **risposte pertinenti e circoscritte al tema trattato e ai processi discussi dinanzi ad una specifica Istituzione**. Risposte non adeguate o dispersive potrebbero compromettere la credibilità delle associazioni e rallentare i processi decisionali. Non è sufficiente raccontare esperienze personali: **è necessario fornire numeri e dati in modo rappresentativo**. Per questo fine possono essere utilizzati anche strumenti semplici, come questionari distribuiti ai soci o a una platea più ampia.

Al fine di rendere concreta la partecipazione delle Associazioni nei processi regolatori, sicuramente l'idea di elaborare un registro è estremamente rilevante. **Tale strumento potrebbe non solo agevolare la selezione delle associazioni da parte di AIFA, ma anche stimolare le associazioni stesse a migliorarsi per rientrare nei criteri richiesti**. Questo meccanismo potrebbe spingere le associazioni a compiere un percorso di crescita, identificando e colmando eventuali lacune.



## 7. Il Progetto InPags

Il progetto InPAGs rappresenta un'importante evoluzione in termini di partecipazione attiva dei pazienti ai percorsi terapeutici e regolatori. **L'obiettivo del progetto è di integrare il punto di vista dei pazienti nelle decisioni regolatorie**, lavorando insieme per trovare soluzioni condivise. Si parte dal presupposto che il **coinvolgimento dei pazienti aggiunge valore alle decisioni sanitarie, rendendole più ragionate e complete**.

In Italia, rispetto ad altri Paesi europei, il livello di partecipazione è ancora limitato. Il progetto InPAGs si propone di colmare questo divario, portando i pazienti ad avere un ruolo anche nel processo decisionale dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), focalizzandosi specificamente sul percorso regolatorio.

Un passo in avanti significativo è avvenuto il 17 aprile 2024, con l'approvazione del nuovo regolamento sul funzionamento della Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) di AIFA. L'articolo 11 di questo regolamento prevede la possibilità di convocare le associazioni di pazienti in audizione. Questa facoltà rappresenta un passo avanti, poiché prima non era prevista una modalità chiara di ascolto da parte della CTS, in particolare per quanto riguarda le associazioni. Tuttavia, rimane una facoltà, e non un obbligo, per cui servirà lavorare affinché questo diventi un meccanismo strutturale.

Il progetto InPAGs nasce proprio in parallelo con la nuova regolamentazione dell'agenzia, fissandosi due obiettivi principali. Il primo è rendere operativa l'attuazione dell'articolo 11 attraverso la definizione di regole di ingaggio chiare, che consentano una collaborazione efficace tra AIFA e le associazioni. Il secondo obiettivo, a medio termine, è strutturare e rendere obbligatoria la partecipazione dei pazienti ai processi regolatori. Per arrivarci, sarà essenziale sperimentare la collaborazione, dimostrare il valore aggiunto che le associazioni possono apportare e costruire un dialogo efficace con AIFA.

Questo percorso è stato portato avanti grazie al coordinamento dell'InPAGs Network, una rete che comprende 54 organizzazioni, di cui 52 associazioni e 2 enti di rappresentanza, coprendo un'ampia gamma di realtà nel mondo dei pazienti.

Nel corso del 2024 il Network si è riunito quattro volte per discutere i criteri di rappresentanza che dovrebbero avere le organizzazioni chiamate a rappresentare i pazienti.

Il principale risultato ottenuto attraverso il confronto è stato l'individuazione di cinque dei possibili punti da sviluppare per definire criteri e modalità attraverso i quali le Associazioni potranno portare il proprio contributo e punto di vista.

Questo confronto ha trovato la sintesi nell'evento "Il regolamento CSE e la partecipazione dei pazienti nelle decisioni terapeutiche. Il progetto InPags per un dialogo costante tra stakeholder del sistema salute" che si è svolto il 30 Ottobre 2024 alla presenza di tutti i soggetti coinvolti nei Tavoli tecnici di discussione e tutte le Associazioni aderenti all'InPagsNetwork con l'obiettivo di discutere dei tempi e delle modalità della partecipazione delle stesse ai processi decisionali riguardanti le scelte terapeutiche ad esse rivolte.

- A.I.A.F. ASSOCIAZIONE ITALIANA ANDERSON-FABRY APS
- A.I.L.U. - ASSOCIAZIONE ITALIANA LEUCODISTROFIE UNITE E MALATTIE RARE
- A.I.S.A. MARCHE ODV ASSOCIAZIONE ITALIANA SINDROMI ATASSICHE
- A.M.I.C.I. LAZIO
- A.M.A.R.E.
- AICCA ASSOCIAZIONE ITALIANA CARDIOPATICI CONGENITI BAMBINI E ADULTI
- AIG - ASSOCIAZIONE ITALIANA GLICOGENOSI
- AIL ASSOCIAZIONE ITALIANA CONTRO LE LEUCEMIE, I LINFOMI E IL MIELOMA
- AIM - ASSOCIAZIONE ITALIANA MIASTENIA E MALATTIE IMMUNODEGENERATIVE - AMICI DEL BESTA ODV
- AIPAMM ASSOCIAZIONE ITALIANA PAZIENTI CON MALATTIE MIELOPROLIFERATIVE CRONICHE
- AISMME ASS. ITALIANA SOSTEGNO MALATTIE METABOLICHE EREDITARIE
- ALAMA - ASSOCIAZIONE LIBERI DALL'ASMA, DALLE MALATTIE ALLERGICHE, ATOPICHE, RESPIRATORIE E RARE - APS
- AMIP ODV ASSOCIAZIONE MALATI DI IPERTENSIONE POLMONARE
- ANMAR ASS. NAZ. MALATI REUMATICI
- APAIM - ASSOCIAZIONE PAZIENTI ITALIA MELANOMA
- APIAFCO ASSOCIAZIONE PSORIASICI ITALIANI AMICI DELLA FONDAZIONE CORAZZA
- ASSOCIAZIONE ANGIOEDEMA EREDITARIO ED ALTRE FORME RARE - AAEE
- ASSOCIAZIONE CONSLANCIO
- ASSOCIAZIONE ITALIANA ANGIODISPLASIE ED EMANGIOMI INFANTILI
- ASSOCIAZIONE ITALIANA GAUCHER
- ASSOCIAZIONE ITALIANA MACRODATTILIA E PROS - AIMP APS
- ASSOCIAZIONE ITALIANA MUCOPOLISACCARIDOSI E MALATTIE AFFINI
- ASSOCIAZIONE MIASTENIA ODV
- ASSOCIAZIONE MIASTENIA GRAVIS ODV
- ASSOCIAZIONE NAZIONALE ALFA1-AT ODV
- ASSOCIAZIONE NAZIONALE DISPLASIA ECTODERMICA A.N.D.E.
- ASSOCIAZIONE NAZIONALE ITALIANA MALATI SINDROME DI SJÖGREN (A.N.I.MA.S.S.) ODV

- ASSOCIAZIONE NAZIONALE PERSONE CON MALATTIE REUMATOLOGICHE E RARE - APMARR APS ETS
- ASSOCIAZIONE NAZIONALE PORPORA TROMBOTICA TROMBOCITOPENICA
- ASSOCIAZIONE NESSUNO È ESCLUSO
- ASSOCIAZIONE PIERA CUTINO
- COMETA A.S.M.M.E. -ASSOCIAZIONE STUDIO MALATTIE METABOLICHE EREDITARIE
- CONACUORE ODV
- CONRETT ETS
- DEBRA ITALIA ETS
- FAMIGLIE SMA
- FEDERAZIONE ASSOCIAZIONI INCONTINENTI E STOMIZZATI - FAIS ODV
- FIMARP FEDERAZIONE ITALIANA MALATTIE POLMONARI
- FONDAZIONE HOPEN
- FONDAZIONE REB ETS
- GILS GRUPPO ITALIANO PER LA LOTTA ALLA SCLERODERMIA
- LA STELLA DI LORENZO APS
- LE ALI DI CAMILLA APS ETS
- LIFC - LEGA ITALIANA FIBROSI CISTICA
- LOLLO PER LA SINDROME DI BRUGADA ODV
- ORCHESTRA PER LA VITA APS
- RETINA ITALIA ODV
- SOS LINFEDEMA E.T.S
- UILDM GENOVA ODV
- UILDM MONTECATINI TERME "LA FORZA DI NEMO"
- UN RESPIRO DI SPERANZA
- UNIONE TRAPIANTATI DI PADOVA

## **Le Organizzazioni del Progetto InPags**

- ACCADEMIA DEI PAZIENTI EUPATI ITALIA
- CITTADINANZATTIVA

---

Il Progetto InPags è realizzato grazie al contributo non condizionante

abbvie



CSL Behring

CSL Vifor

Johnson&Johnson

KEDRION  
B I O P H A R M A

Kyowa KIRIN

NOVARTIS



Rarelab è la prima ed unica società di consulenza e servizi in Italia totalmente patient oriented. Muovendo le leve di formazione & informazione, patient access, advocacy & policy shaping, Rarelab aumenta il peso dei pazienti e delle loro associazioni nel ridisegnare un SSN pensato intorno alle loro esigenze. In questo modo Rarelab vuole contribuire a migliorare la vita delle persone che si trovano cronicamente o in una fase della propria vita ad essere affetti da una patologia. Attraverso la collaborazione con tutti gli altri attori di sistema (aziende, istituzioni, media e mondo scientifico), Rarelab intende a tale scopo essere il soggetto aggregatore di partner di eccellenza, qualificati a realizzare in modo efficiente progetti complessi e di valore