

Contributo della ██████████ Criteri di Valutazione per l'Attribuzione dell'Innovatività Terapeutica.

Abstract

██████████ sostiene i criteri di valutazione per l'innovatività terapeutica, chiedendo maggiore attenzione alle malattie rare, al miglioramento della qualità della vita e al coinvolgimento strutturato dei pazienti. Sollecita trasparenza, accesso tempestivo ai farmaci e flessibilità nella durata del monitoraggio, specialmente per terapie rare. Propone revisioni periodiche dei dati e gestione flessibile degli agenti antinfettivi per infezioni resistenti. L'obiettivo è garantire equità e qualità delle cure, ponendo al centro le esigenze dei pazienti.

Contributo

██████████ accoglie con interesse il documento relativo ai "Criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti", redatto in conformità all'articolo 1, comma 285, della Legge 30 dicembre 2024, n. 207. Riteniamo che tale iniziativa rappresenti un passo importante verso un accesso più equo e tempestivo a terapie innovative, in particolare per i pazienti affetti da patologie gravi e rare, che spesso si trovano in situazioni di urgente bisogno terapeutico.

Tuttavia, desideriamo sottolineare alcuni aspetti che riteniamo cruciali per garantire che i criteri di valutazione dell'innovatività terapeutica rispondano effettivamente alle esigenze dei pazienti:

1. Focalizzazione sulle malattie rare e ultra-rare: Apprezziamo l'attenzione dedicata alle malattie rare e ultra-rare, che spesso non dispongono di opzioni terapeutiche adeguate. Tuttavia, chiediamo che venga ulteriormente rafforzata la considerazione del miglioramento della qualità della vita come criterio fondamentale per l'attribuzione dell'innovatività, soprattutto in contesti in cui la guarigione non è sempre possibile. La riduzione del dolore, il miglioramento della capacità di svolgere attività quotidiane e il rallentamento della progressione della malattia sono aspetti che devono essere valutati con particolare attenzione.
2. Coinvolgimento dei pazienti nel processo decisionale: Pur essendo prevista la consultazione delle associazioni di pazienti e cittadini, riteniamo che il loro ruolo debba essere ulteriormente strutturato e formalizzato, garantendo una partecipazione attiva e continuativa nel processo di valutazione dell'innovatività terapeutica. I pazienti e le loro famiglie portano una prospettiva unica e indispensabile per comprendere l'impatto reale delle terapie sulla vita quotidiana.
3. Accessibilità e trasparenza: Chiediamo che i criteri di valutazione siano applicati in modo trasparente e che i risultati delle valutazioni della Commissione Scientifica ed Economica (CSE) siano resi pubblici in modo

chiaro e accessibile. Inoltre, è fondamentale che i pazienti abbiano accesso tempestivo ai farmaci innovativi, senza ritardi burocratici che possano compromettere l'efficacia delle terapie.

4. Durata temporale del monitoraggio: Riguardo alla durata del monitoraggio dei farmaci innovativi, fissata in 36 mesi, riteniamo che tale periodo possa essere adeguato per alcune terapie, ma potrebbe non esserlo per altre, in particolare per quelle destinate a malattie rare o ultra-rare, dove i dati clinici possono richiedere tempi più lunghi per essere consolidati. Sugeriamo pertanto di prevedere una flessibilità nella durata del monitoraggio, con la possibilità di estendere il periodo di osservazione qualora emergessero nuove evidenze cliniche o necessità di ulteriori valutazioni. Inoltre, sarebbe opportuno prevedere un meccanismo di revisione periodica dei dati raccolti durante il monitoraggio, per garantire che l'innovatività del farmaco sia mantenuta nel tempo e che i pazienti continuino a beneficiare delle terapie più efficaci.

5. Gestione degli agenti antinfettivi per germi multiresistenti: Riconosciamo l'importanza di garantire un accesso controllato a questi farmaci, ma chiediamo che venga prestata particolare attenzione ai pazienti affetti da infezioni resistenti, che spesso si trovano in situazioni di emergenza. È essenziale che i criteri di inclusione nell'elenco dei farmaci rimborsabili siano applicati con flessibilità, tenendo conto delle specifiche esigenze cliniche.

In conclusione, l'Associazione Pazienti sostiene l'iniziativa di definire criteri chiari per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica, ma auspica che il processo sia sempre guidato dalle reali necessità dei pazienti, con un approccio che ponga al centro la qualità della vita e l'accesso equo alle terapie innovative. La flessibilità nella durata del monitoraggio e la possibilità di revisione periodica dei dati sono aspetti che riteniamo fondamentali per garantire che i pazienti continuino a beneficiare delle migliori opzioni terapeutiche disponibili.