

## Consultazione pubblica AIFA sui “Criteri di valutazione per l’attribuzione dell’innovatività terapeutica”

### Abstract

Il contributo [redacted] alla consultazione pubblica AIFA, sui criteri di valutazione per l’innovatività terapeutica, sottolinea la necessità di considerare l’impatto complessivo delle terapie sulla qualità di vita delle [redacted]

[redacted] in Italia, con costi sociali e sanitari elevati. Sebbene non esistano cure risolutive, i farmaci attualmente disponibili hanno migliorato significativamente il decorso clinico della malattia, specialmente se utilizzati precocemente.

[redacted] in questo documento, evidenzia l’importanza di integrare i Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) e i Patient-Reported Experience Measures (PREMs) nei criteri di valutazione dell’innovatività terapeutica, per meglio rappresentare il valore aggiunto delle terapie rispetto ai sintomi “invisibili” [redacted] e agli impatti sociali ed economici della malattia. L’iniziativa globale PROMS - in cui [redacted]

[redacted] promuove l’uso di questi strumenti per migliorare la personalizzazione delle cure e l’efficacia del monitoraggio clinico.

Con tale contributo [redacted] propone che l’innovatività venga valutata non solo in base ai parametri clinici tradizionali, ma anche rispetto alla capacità dei farmaci di preservare autonomia, funzionamento e qualità della vita, riducendo il peso assistenziale ed economico a lungo termine. Coerentemente con questo approccio, la valorizzazione dei PROMs e PREMs permetterebbe di rafforzare un approccio bio-psico-sociale alla gestione [redacted] favorendo un sistema sanitario più equo e centrato sulle esigenze dei pazienti.

[REDACTED]

[REDACTED] è una malattia autoimmune [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] elemento, combinato con la diagnosi giovanile

[REDACTED]

Il concetto di disabilità non deve però essere circoscritto alla limitazione del movimento [REDACTED]

[REDACTED]

Le evidenze mostrano come sintomi [REDACTED]  
(definiti spesso “sintomi invisibili”) [REDACTED]

[REDACTED] compromettano gravemente l’interazione tra le persone [REDACTED]  
e l’ambiente in cui vivono, limitando la loro capacità di partecipazione sociale e configurando ciò che la Convenzione ONU sui diritti delle persone con disabilità del 2006, recepita dall’Italia Legge del 3 marzo 2019, n.18. definisce come condizione di disabilità.

### **I costi sociali e l’impatto delle terapie**

I costi sociali della [REDACTED] Italia sono stimati in circa [REDACTED] medi annui per paziente, pari a circa [REDACTED] di euro complessivi nel 2024, che aumentano molto con la progressione della malattia passando dai [REDACTED] medi di chi ha disabilità lieve ai [REDACTED] di chi ha disabilità grave. È rilevante osservare che l’aumento dei costi legato alla progressione non riguarda quelli sanitari diretti a carico del SSN, che rimangono costanti nelle varie fasi e pari a poco più di 20.000€, e investe invece sia quelli indiretti a carico della collettività e legati alla perdita di produttività di pazienti e caregiver che quelli non sanitari diretti, sostenuti quasi esclusivamente dalle famiglie per l’assistenza a pagamento.

Non esistono ancora cure risolutive [redacted] ma l'assistenza farmaceutica ricopre oggi un ruolo fondamentale nella terapia [redacted] perché a partire dagli anni '90 sono stati introdotti farmaci efficaci nel modificare il decorso della patologia [redacted]. Grazie alla ricerca e all'innovazione i farmaci disponibili sono aumentati in questi 30 anni e la letteratura mostra che grazie all'arsenale terapeutico oggi disponibile l'epidemiologia [redacted] è sostanzialmente cambiata dove l'accesso a queste terapie è assicurato: il tempo medio tra la diagnosi e la condizione di duratura compromissione moderata e grave è aumentato, e quindi la quota di casi prevalenti con forme gravi di malattia si è notevolmente ridotta.

Inoltre, i farmaci sono notoriamente tanto più efficaci quanto più precocemente è instaurata la terapia, e la letteratura più recente mostra inequivocabilmente come l'uso precoce dei farmaci ad elevata efficacia, considerati a lungo "seconda linea" da utilizzare solo in caso di fallimento terapeutico degli altri, migliori sensibilmente il decorso.

#### **Incorporare la prospettiva dei pazienti nella valutazione di innovatività: PROMs e PREMs**

La valutazione dell'innovatività dei farmaci [redacted] non può prescindere dalla considerazione dell'impatto che essi hanno sull'aggravamento futuro dei sintomi, ma anche sul loro controllo nell'immediato, specie su quelli "invisibili" ma fortemente invalidanti anche nelle fasi iniziali della patologia. In altre parole, è fondamentale che la valorizzazione dei farmaci non si fermi all'impatto sui costi sanitari immediati, ma incorpori anzitutto l'impatto su quelli futuri e dunque incentivando il ricorso a quelli più efficaci nel rallentare la progressione. Inoltre, è essenziale una corretta valorizzazione dell'impatto dei farmaci sui costi indiretti, a partire da quelli legati a qualità della vita e capacità lavorativa, spessissimo compromesse dai sintomi "invisibili" anche nelle fasi iniziali, nonché quelli futuri, legati all'assistenza nonché, più in generale, l'impatto delle provvidenze economiche derivanti dalla perdita dell'autosufficienza e autonomia, sia in ambito assistenziale che previdenziale. [redacted]

È indispensabile che insieme agli outcome clinici tipicamente utilizzati per misurare l'efficacia delle terapie [redacted]

[redacted] la valorizzazione includa anche gli impatti sociali, inclusi quelli economici per il sistema dell'assistenza a lungo termine. Soprattutto è cruciale che l'impatto dei sintomi sulla vita quotidiana dei pazienti, e dunque il loro miglioramento in

funzione del trattamento farmacologico, sia valutato e adeguatamente considerato nel contesto di vita e della presa in carico della persona attraverso strumenti e modalità di misurazione capaci di intercettare la prospettiva.

Le misure che permettono di raccogliere la prospettiva della persona e che sono utilizzate oggi includono i PROMs (Patient-Reported Outcome Measures), che raccolgono l'esperienza di vita con la patologia; i PREMs (Patient-Reported Experience Measures), che misurano l'esperienza della persona delle cure che riceve; e i PPIs (Patient Preference Information), che raccolgono le preferenze su trattamenti innovativi come gli strumenti digitali.

Misurare l'esperienza dei pazienti consente effettivamente di intercettare il costrutto del funzionamento come inteso nella International Classification of Functioning sviluppata dall'OMS, poiché consentono di approfondire l'interazione di funzioni e strutture corporee con le dimensioni dell'attività e partecipazione e dei fattori personali e ambientali. In questa prospettiva i PROMs sostanziano un approccio basato sul modello bio-psico-sociale

#### **Funzionamento e importanza dell'iniziativa globale PROMS**

**Relazione ai criteri AIFA per l'innovatività terapeutica**

L'iniziativa globale

L'iniziativa è strutturata attraverso un sistema di governance aperto e partecipativo, che coinvolge 60 esperti internazionali provenienti da categorie diverse di stakeholder, inclusi pazienti, associazioni pazienti, industria, ricercatori, clinici, organizzazioni sanitarie ed economisti sanitari attraverso quattro gruppi di lavoro specifici:

**Ricerca, Validazione e Sviluppo**): identifica e analizza i sintomi (domini funzionali) prioritari per le persone promuovendo indagini globali disegnate dai pazienti stessi, per garantire che i PROMS riflettano realmente le esigenze e le esperienze dei pazienti. In questo contesto è stato sviluppato un questionario globale che ha raggiunto più di 5000 persone nel mondo, e circa un migliaio in Italia, con l'obiettivo di identificare quali siano i domini funzionali più rilevanti seguendo la prospettiva delle persone con malattia



- **WG2 (Utilizzo PROMS nella pratica clinica):** nel WG vengono enfatizzati la rilevanza dei sintomi invisibili come [REDACTED]
- **WG3 (eHealth):** esplora l'uso e l'integrazione per raccogliere l'esperienza di malattia delle persone nel tempo reale attraverso strumenti digitali come smartphone e sensori indossabili, con l'obiettivo di monitorare in modo continuo e meno invasivo l'evoluzione dei sintomi nel tempo. Recentemente è stato lanciato un questionario globale sulle preferenze delle persone all'uso di questi strumenti digitali
- **WG4 (Sistemi Sanitari):** sviluppa raccomandazioni per l'integrazione politiche sanitarie, facilitando l'adozione di modelli basati sul valore e sulla qualità di vita percepita dal paziente. Questo gruppo mira anche ad adattare i PROMS come indicatori di impatto della presa in carico multidisciplinare [REDACTED] e per l'utilizzo regolatorio, lavorando in stretta collaborazione con enti regolatori e agenzie HTA [REDACTED]

L'obiettivo strategico dell'iniziativa è rappresentato dall'ottenere una visione unificata sui Patient-Reported Outcomes (PROs), coinvolgendo direttamente [REDACTED] ma potenzialmente anche con altre patologie come la [REDACTED] nella definizione degli strumenti stessi.

A livello nazionale [REDACTED] database di PROMs che colleziona dati con questionari validati con l'obiettivo di monitorare la progressione di malattia e rendere possibile lo studio della progressione e della previsione di progressione utilizzando dati autoriportati. L'iniziativa nazionale [REDACTED] i PROMS, se robusti e validati scientificamente, possano essere uno strumento utile a rispondere a requisiti come quelli evidenziati dai nuovi criteri AIFA sull'innovatività terapeutica [REDACTED]

[REDACTED] fra i sintomi più rilevanti e cosiddetti "invisibili", oltre alla dimensione generale sulla qualità di vita, [REDACTED]

In questo contesto, esistono dei PROMs robusti e validi in grado di rispondere ai requisiti del documento AIFA, legati al Vantaggio Terapeutico Aggiunto; Qualità delle Prove e Bisogno Terapeutico. La tabella seguente presenta una selezione dei principali strumenti attualmente utilizzati [REDACTED] allo stato attuale già validati:





## Conclusioni

Alla luce di quanto sopra rappresentato, si ritiene essenziale che nella valutazione di innovatività di un farmaco debbano quindi tenersi in considerazione:

- a) L'impatto del farmaco sui diversi domini di qualità di vita nelle diverse sfere esistenziali, secondo un approccio fondato sul funzionamento e la performance della persona in coerenza con ICF e il modello bio-psico-sociale, non limitando alle sole malattie rare domini attinenti il dolore, ma prevedendo l'insieme dei domini inclusi nei modelli di qualità di vita che trovano uniforme e diffusa applicazione nella valutazione [redacted] e della condizione di disabilità [redacted] linea con la Legge 227/2021 di riforma della disabilità ed il decreto 62/2024 (cfr. articoli 24 e 25 in tema di valutazione multidimensionale e profili di salute; e artt. 18 e 26 in tema di Progetto di Vita)
  - b) La valorizzazione dei PROMS e PREMS per determinare il vantaggio terapeutico aggiunto rispetto alla prospettiva del paziente;
  - c) La determinazione del valore terapeutico aggiunto del farmaco considerando anche il mantenimento di funzionamento, autonomie, capacità personali nella misura in cui non vadano determinare o incrementare provvidenze assistenziali o previdenziali (indennità di accompagnamento, pensione di inabilità lavorativa, etc.)
- 

