

**Nota di Cittadinanzattiva sui criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti**

**Roma, 21 marzo 2025**

apprezza

la disponibilità di AIFA nell'aprire alla consultazione pubblica 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.

Certi che il risultato di tale lavoro, porterà dei risultati positivi in termini di esiti di salute per i cittadini, desideriamo comunque sottolineare alcuni aspetti che riteniamo rilevanti per garantire che i criteri di valutazione dell'innovatività terapeutica, rispondano effettivamente alle esigenze dei pazienti:

**Osservazioni:**

1. **Precisazione su accoglimento indicazioni e/o commenti:** L'Amministrazione informa che "eventuali osservazioni, indicazioni e/o commenti ricevuti, pur rimanendo oggetto di valutazione da parte dell'Agenzia, non saranno necessariamente accolti nel documento definitivo".

La Consultazione rappresenta uno strumento di partecipazione che consente alle amministrazioni di raccogliere il punto di vista di tutti i soggetti interessati – cittadini, imprese e loro organizzazioni – nell'elaborazione di politiche pubbliche. **Su questo punto riteniamo fondamentale** che l'Agenzia, a chiusura delle valutazioni dei contributi pervenuti, **renda conto delle motivazioni del mancato accoglimento** delle osservazioni e istanze ricevute. Inoltre, 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.**

2. Sul punto: Innovatività terapeutica applicata **"limitatamente a quelle specifiche indicazioni relative a malattie o condizioni patologiche gravi a medio-basso impatto epidemiologico"**.

**Riteniamo** che sia necessario un maggiore riconoscimento del bisogno medico insoddisfatto, **indipendentemente dalla prevalenza della patologia.** Questo permetterebbe di affrontare in modo più efficace le esigenze dei pazienti in ambiti dove c'è ancora un forte unmet medical need. **Chiediamo** che sia **rivisto il requisito dell'innovatività terapeutica** che, sin dalla premessa, **esclude il riconoscimento di innovatività a specialità medicinali utilizzate per il trattamento di malattie con un'elevata prevalenza.**

3. Sul punto: Valutazione dell'innovatività del farmaco sulla base **“dei suoi effetti sulla qualità della vita nonché delle sue implicazioni sull'organizzazione dell'assistenza sanitaria”**.

Su questo punto **chiediamo** che venga ulteriormente rafforzata la considerazione del miglioramento della qualità della vita, come criterio fondamentale nella valutazione di innovatività. La riduzione del dolore, il miglioramento della capacità di svolgere attività quotidiane o lavorative e il rallentamento della progressione della malattia, sono aspetti **essenziali nella vita di ogni paziente, e non solo dei pazienti affetti da malattia rara o ultra-rara**, così come la semplificazione dei percorsi di accesso al farmaco e la previsione di vie di somministrazione più gestibili per il paziente e più sostenibili per l'organizzazione dell'assistenza sanitaria nei vari setting assistenziali.

4. **Scarsa rilevanza ai dati provenienti dai Patient-Reported Outcome Measures (PROMS) e dal Real-World**. Questi dati sono fondamentali per avere una comprensione globale dell'efficacia e dell'impatto delle terapie nella pratica clinica quotidiana.

L'integrazione dei PROMS nei processi clinici e decisionali, rappresenta un passo importante verso un'assistenza sanitaria di qualità e più centrata sul paziente. **Proponiamo l'ideazione di un framework che faciliti l'impiego dei dati dal Real - World e dai PROMS**. Questo approccio permetterebbe di valorizzare l'esperienza dei pazienti e di ottimizzare la qualità delle decisioni terapeutiche.

5. Sul punto **“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 spesso richiedono tempi più lunghi per essere consolidati.

**Suggeriamo 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.

In conclusione, ci preme ribadire a codesta Agenzia, la necessità che i pazienti **abbiano accesso tempestivo ai farmaci in modo uniforme su tutto il territorio**, senza ritardi burocratici che possano compromettere l'efficacia delle terapie. **Riteniamo** importante garantire l'inserimento tempestivo di ogni farmaco, già inserito nel Prontuario Farmaceutico Nazionale, nei prontuari terapeutici regionali (PTOR). **Oggetto: Osservazioni sui criteri di attribuzione dell'innovatività terapeutica**

percorsi di cura e favorendo il riconoscimento di tali patologie all'interno delle policy sanitarie, comprese quelle relative alle malattie croniche. La missione dell'Associazione consiste nel fornire attività di tutela, sensibilizzazione, informazione, formazione e servizi di supporto ai pazienti e ai loro caregiver.



[REDACTED]

Con la presente, [REDACTED] intende esprimere perplessità e preoccupazione in merito ai criteri recentemente delineati da AIFA per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica. Riteniamo che tali criteri possano determinare un accesso diseguale ai farmaci innovativi, penalizzando intere categorie di pazienti e limitando il diritto a cure tempestive e appropriate.

In primo luogo, pur riconoscendo il valore della recente Legge di Bilancio 2025 nel rafforzare il ruolo delle associazioni di pazienti nei processi decisionali del Ministero della Salute e dell'AIFA, evidenziamo come la consultazione pubblica sul documento in oggetto, avviata in data 12 marzo 2025 e con termine il 22 marzo 2025, abbia previsto un arco temporale di soli dieci giorni. Tale tempistica appare del tutto inadeguata a garantire un confronto effettivo e costruttivo tra gli attori coinvolti.

Inoltre, rileviamo con preoccupazione l'assenza di un obbligo per AIFA di motivare l'eventuale rigetto delle osservazioni pervenute, con il rischio di rendere la consultazione pubblica una mera formalità, priva di un reale impatto nel processo decisionale.

Ulteriore elemento di criticità è rappresentato dalla scelta di limitare il riconoscimento dell'innovatività terapeutica alle sole patologie gravi a basso-medio impatto epidemiologico. Tale criterio introduce una discriminazione ai danni dei pazienti affetti da malattie ad alta prevalenza, quali quelle di cui [REDACTED] si occupa.

Riteniamo che questa impostazione non abbia basi scientifiche solide, poiché la diffusione di una patologia non costituisce, di per sé, un criterio sufficiente per giustificare o negare l'accesso ai farmaci innovativi.


A nostro avviso, il Fondo per i farmaci innovativi dovrebbe garantire equità nell'accesso alle terapie, evitando criteri selettivi che penalizzino i pazienti affetti da patologie croniche ad alta prevalenza. L'innovatività terapeutica non dovrebbe essere subordinata a logiche restrittive che rischiano di compromettere il principio di equità nella cura.

Riteniamo altresì ingiusto che le associazioni di pazienti siano escluse dal processo di valutazione dell'innovatività terapeutica.

Chi vive quotidianamente le difficoltà derivanti da una patologia dovrebbe poter contribuire attivamente alle decisioni che ne influenzano l'accesso alle terapie, in un'ottica di reale partecipazione e trasparenza.

L'innovazione terapeutica non può essere relegata a un concetto meramente burocratico, ma deve tradursi in benefici concreti per tutti i pazienti, indipendentemente dalla prevalenza della patologia. A nostro avviso, il criterio di innovatività dovrebbe essere fondato esclusivamente su parametri oggettivi, quali il valore terapeutico del farmaco, separando questa valutazione da eventuali considerazioni di sostenibilità economica, le quali dovrebbero essere affrontate in una fase successiva del processo di autorizzazione all'uso terapeutico.

[REDACTED]



Alla luce di quanto sopra esposto, chiediamo ad AIFA di riconsiderare i criteri attualmente in vigore, al fine di garantire un accesso equo ai farmaci innovativi per tutti i pazienti e di promuovere un'effettiva inclusione delle associazioni di pazienti nei processi decisionali