

Il ruolo degli stakeholder nel processo di HTA

A. Cicchetti,¹ V. Iacopino,² A. Carletto,² M. Marchetti³ e F.S. Mennini³

1 Coordinatore Health Policy Forum Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA)

2 Segreteria Organizzativa Health Policy Forum SIHTA

3 Segretariato Scientifico Health Policy Forum SIHTA

The role of stakeholders in HTA

Abstract

The aim of this paper is to identify the stakeholders involved in the Health Technology Assessment (HTA) process with particular attention to their role and potential contribution from patients and citizens. Moreover, a focus on elements to be shared among stakeholders will be provided. These topics were discussed at the Health Policy Forum, an initiative promoted by the Italian Society of Health Technology Assessment (SIHTA) in partnership with other scientific societies. Manufacturers, regulators, institutions and citizens could talk freely under the “Chatham House Rules” in plenary sessions and subgroups, suggesting proposals on the issues addressed.

Healthcare managers, policy makers, health providers, researchers, manufacturers, patients and the public were identified as main stakeholders. The contribution they provide to HTA process is closely related to their position within the “pertinence-relevance-weight matrix”. All participants focused on the need of rigorous methods and measures of assessment. Finally, the potential contributions of citizens and patients are related to the time of involvement and their level of information.

In conclusion, there is a growing awareness of the need of greater stakeholders’ involvement in defining methods, responsibilities, quality and timing of interactions in order to improve the impact of HTA in healthcare decision-making.

Introduzione

L’innovazione tecnologica fornisce ai sistemi sanitari soluzioni sempre diverse per affrontare i processi di prevenzione, cura e riabilitazione delle malattie a vantaggio della popolazione. In questo senso l’avanzamento tecnologico in medicina rappresenta una condizione imprescindibile per l’evoluzione dei sistemi sanitari. Tale percorso è fortemente caratterizzato dall’interazione tra mondo della ricerca, istituzioni e industria, e questa reciproca influenza è decisiva per il raggiungimento degli obiettivi di progresso e di salute. Essa, raffigurata dal cosiddetto modello della “Tripla Elica”,^[1] consente alle conoscenze di tradursi in innovazione tempestiva e funzionale ai bisogni emergenti.^[2] Tuttavia, su questo contesto grava la complessità di un processo innovativo che deve integrarsi con le peculiarità dei processi di valutazione e, infine, di regolazione.

L’*Health Technology Assessment* (HTA), inteso come quell’approccio alla valutazione in grado di integrare l’uso della razionalità scientifica con le prospettive e le preferenze espresse

dai diversi portatori di interesse a supporto di una decisione politica, può certamente contribuire a migliorare quel processo che porta a rendere disponibile in maniera tempestiva l’innovazione tecnologica, in relazione ai bisogni espressi dalla popolazione e alle capacità di assorbimento dei sistemi sanitari. Malgrado ciò lo strumento dell’HTA appare ancora troppo debolmente collegato alle scelte di “decision making” dei singoli Paesi e a esso viene assegnato un ruolo a volte ancora marginale nella routine decisionale.^[3] Una migliore comprensione, utilizzazione e sistematizzazione degli strumenti dell’HTA permetterebbe all’industria, ai ricercatori, ai manager, ai professionisti sanitari, ai politici e agli stessi cittadini di condividere le rispettive prospettive, consentendo di meglio definire il gap tecnologico esistente tra bisogni sanitari e innovazioni tecnologiche. Ciò permetterebbe di chiarire le priorità per la ricerca scientifica, favorendo un uso più consapevole degli investimenti pubblici e privati in tale area. In quest’ottica, l’HTA, più che essere intesa come il “quarto” ostacolo per l’accesso al mercato di una innovazione,^[3] viene a ricoprire il

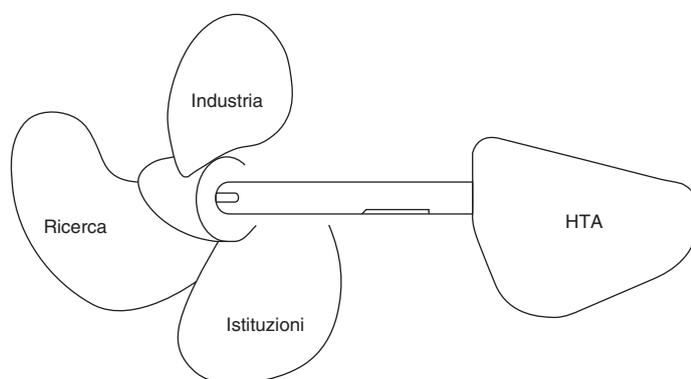


Fig. 1. Il ruolo dell'HTA come guida della collaborazione tra ricerca, industria e istituzioni nell'innovazione tecnologica. **Fonte:** Cicchetti e Marchetti, 2010.^[2]

ruolo di “timone” in grado di indirizzare il processo di innovazione (figura 1).^[2]

La definizione che la Carta di Trento ha dato alla valutazione delle tecnologie sanitarie è chiarificatrice rispetto agli obiettivi che questa si pone (tabella I).^[2]

L'HTA si caratterizza per uno spiccato orientamento ai sistemi decisionali, producendo informazioni utili ed efficaci per il “policy making”. Assume, inoltre, un taglio fortemente multidimensionale e multiprofessionale, tanto nei contenuti quanto nel processo e, per mezzo di un metodo rigorosamente definito e condiviso, rappresenta uno sforzo di comunicazione esterna e informazione. Per questo motivo appare evocativa l'immagine del ponte con la quale la si rappresenta e che ricongiunge il mondo tecnico-scientifico con quello dei decisori.^[4]

Negli ultimi trenta anni abbiamo assistito alla diffusione di metodi sempre più raffinati per la produzione di evidenze utili a supportare le decisioni politiche nei sistemi sanitari. Tali approcci hanno via via combinato le tecniche di valutazione economica dei programmi sanitari con le metodologie più avanzate per la valutazione dell'efficacia derivante dall'utilizzo delle tecnologie sanitarie. Tale processo ha portato oggi a integrare nell'approccio dell'HTA la valutazione di tutte le possibili conseguenze cliniche, economiche, organizzative, sociali ed etiche dell'introduzione di una nuova tecnologia sanitaria, laddove per tecnologia si intenda il farmaco, una procedura chirurgica, un'attrezzatura o un programma di prevenzione.

In questa prospettiva, il *Technology Assessment* diventa un approccio di “governo” volto a legare le decisioni alle evidenze scientifiche disponibili e all'interno del quale tutti gli stakeholder possono partecipare fornendo la propria prospettiva.

Non sempre, tuttavia, le evidenze disponibili riescono a fornire delle risposte utili alle questioni sollevate dai “decision makers”. Una delle ragioni principali che generano il “gap” tra le evidenze scientifiche disponibili e quelle che sarebbero ne-

cessarie ai decisori, è legata al diverso significato che viene dato al concetto di informazione da parte dei decisori e dei ricercatori. Lomas nel 1997^[5] ha identificato alcuni fattori principali in grado di spiegare tale fenomeno. I ricercatori, in primo luogo, tendono spesso a considerare la ricerca slegata dalle variabili di contesto e finalizzata a focalizzare un quesito ben definito, per ottenere una risposta chiara e nitida; al contrario, le decisioni sono spesso guidate in maniera importante anche da variabili quali ideologie, valori o opinioni, che rendono più complesso e meno chiaro e nitido il momento decisionale.

Per esempio, tutta la metodologia della ricerca clinica ha appunto l'obiettivo di isolare i quesiti di ricerca rispetto alle variabili di contesto (vedi il processo di selezione dei casi e di randomizzazione ecc.), cosa che rende spesso inapplicabili, del tutto o parzialmente, i risultati delle sperimentazioni cliniche alle situazioni reali.

In secondo luogo, ad aumentare le differenze tra decisori e ricercatori, vi sono anche gli incentivi che guidano queste due figure: i ricercatori infatti vedono derivare i loro compensi e gli sviluppi di carriera accademica prevalentemente dalla loro capacità di attrarre fondi mediante la pubblicazione in *peer-reviewed journals* e non da questioni inerenti la politica sanitaria, come invece succede per i decisori. Ciò porta il ricercatore, paradossalmente, a produrre ricerche che non necessariamente sono legate al valore aggiunto che queste apportano ai processi decisionali.

Conseguenze di queste diversità sono che i ricercatori sono portati a disegnare progetti che difficilmente tengono in

Tabella I. I principi dell'HTA nella Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie. **Fonte:** Cicchetti e Marchetti, 2010^[2]

La valutazione delle tecnologie sanitarie deve coinvolgere tutte le parti interessate all'assistenza sanitaria	CHI?
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve riguardare tutti gli elementi che concorrono all'assistenza sanitaria	COSA?
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve riguardare tutti i livelli gestionali dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	DOVE?
La valutazione delle tecnologie sanitarie deve essere un'attività continua che deve essere condotta prima della loro introduzione e durante l'intero ciclo di vita	QUANDO?
La valutazione delle tecnologie sanitarie è un processo multidisciplinare che deve svolgersi in modo coerente con gli altri processi assistenziali e tecnico-amministrativi dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	COME?
La valutazione delle tecnologie sanitarie è una necessità e un'opportunità per la “governance” integrata dei sistemi sanitari e delle strutture che ne fanno parte	PERCHÉ?

considerazione i valori degli stakeholder e dei differenti tipi di pubblico a cui è rivolta la ricerca, provocando spesso, anche se involontariamente, l'impossibilità di utilizzare i risultati delle ricerche scientifiche nei processi decisionali.

Alla luce di queste considerazioni, è solo attraverso una maggiore sensibilizzazione sia dell'industria, che finanzia gli studi, sia delle istituzioni, che investono le proprie risorse nella ricerca, che potrebbe essere possibile superare tali fraintendimenti e ridurre il gap delle evidenze. In tale contesto l'HTA, che è per sua stessa natura in grado di cogliere le istanze dei decisori e quindi identificare dove è maggiore il gap delle evidenze, può rappresentare uno strumento per la prioritizzazione degli investimenti pubblici e privati nella ricerca.

Come si collocano i potenziali utilizzi dell'HTA in un contesto nazionale che si trova ancora nella fase di maturazione e istituzionalizzazione delle attività di valutazione delle tecnologie? Di grande attualità sono le discussioni intorno ai processi decisionali che si snodano all'interno di un sistema caratterizzato da forti autonomie regionali da un lato, e responsabilità di coordinamento e monitoraggio a livello nazionale dall'altro. Il dibattito più recente su questo tema ha mostrato un'omogeneità di vedute intorno alla necessità di armonizzare le pratiche di HTA e di giungere a regole sempre più condivise e trasparenti per il governo dell'innovazione tecnologica nel Sistema Sanitario Nazionale (SSN).

Possono, infatti, delinearsi quattro differenti possibili scenari di "governance": (i) un sistema fuori controllo, in cui gli stakeholder influenzano direttamente l'introduzione di una tecnologia e in cui non viene presa alcuna decisione; (ii) un sistema clientelare, in cui i decisori scelgono sulla base delle spinte di alcune delle parti interessate, rispondendo solo a queste e in cui la decisione è autoreferenziale; (iii) un sistema governato, in cui la decisione responsabile scaturisce da un dialogo franco e leale con tutte le parti interessate; (iv) un sistema consapevole, in cui essa si determina solo dopo la verifica dell'impatto provocato dalla tecnologia in questione.

Scenari che non si escludono a vicenda e che giustificano, in un contesto complesso come quello attuale, un aggiornamento della metafora del ponte che tenga conto di come la relazione tra mondo scientifico e dimensione decisionale non sia più lineare, ma piuttosto integrata in una rete complessa di interazioni, all'interno della quale intervengono in maniera importante i diversi stakeholder, che sono detentori di obiettivi e interessi differenziati.^[6]

Il termine "stakeholder" si presta a svariate interpretazioni, così come molteplici sono le opinioni circa le modalità di coinvolgimento degli stessi nel processo di HTA. Appare quindi necessario definire in maniera univoca il significato, il ruolo e le

modalità di coinvolgimento dei diversi stakeholder nel processo di HTA.

Obiettivo di questo lavoro è quello di fornire un contributo all'identificazione degli stakeholder da accreditare e al loro ruolo in un processo di HTA che risulti coerente con le migliori pratiche a livello internazionale e con le caratteristiche del SSN.

Attraverso l'analisi delle diverse prospettive in cui si è scelto di articolare tale tematica, tanto vasta quanto complessa, si intende fornire gli elementi fondamentali di riflessione per rispondere a tre principali quesiti:

- Quali sono gli stakeholder e qual è il loro ruolo nel processo di HTA?
- Quali sono gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere nel processo di HTA?
- Quale contributo dovrebbero fornire i pazienti e i cittadini nel governo dell'innovazione e quando?

Il panorama internazionale attuale offre soluzioni, in termini di partecipazione delle parti interessate, caratterizzate da alta variabilità. Sono difatti previsti modalità e tempi diversi a seconda delle esigenze specifiche e dell'importanza attribuita alla prospettiva di ciascuno dei soggetti tipicamente coinvolti. Per esempio, la partecipazione a livello di "governance" di organi delle autorità regolatorie si configura tipicamente come una soluzione piuttosto rara. Più frequentemente le parti interessate esprimono il loro punto di vista durante il processo decisionale vero e proprio in cui gli stakeholder sono consultati, ponendosi come fonti informative di relativa importanza. In alcune esperienze internazionali, come per esempio quella del Regno Unito, sono stati progettati e realizzati programmi "ad hoc" per coinvolgere in modo sistematico le parti interessate in tutte le fasi di *Technology Appraisal*.^[2]

Un secondo aspetto riguarda gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere, dalla fase di prioritizzazione fino a quella di valutazione finale nel processo di HTA. Oggi, per esempio, si osserva un tentativo di uniformare a livello internazionale le dimensioni da valutare (ne è un esempio la predisposizione del Core Model EUnEHTA). Tuttavia, pur constatando una generale omogeneità metodologica, permane una certa variabilità legata a fattori di contesto, quali per esempio la misurazione del beneficio in termini di salute e la scelta del comparatore rispetto alla tecnologia sotto osservazione. Inoltre, anche quando la valutazione è commissionata dalle autorità nazionali, l'evidenza non sembra poter essere l'aspetto determinante di ogni scelta. E anche laddove essa si renda disponibile, non è chiaro quali criteri di valutazione siano effettivamente applicati. Il processo, di conseguenza, non risulta sempre completamente trasparente. Probabilmente, una maggiore partecipazione, specialmente delle organizzazioni dei

pazienti e delle industrie produttrici, garantirebbe la comunanza di intenti e la focalizzazione sulle fasi e gli esiti del processo valutativo.^[7]

Infine, i pazienti/cittadini sempre più frequentemente cominciano a proporsi e a essere chiamati a prendere parte attiva alle decisioni che li riguardano nell'ambito del sistema sanitario. Tuttavia, a oggi, è ancora incerto il ruolo che essi possano assumere nel processo di HTA e le modalità con cui i loro bisogni e le loro preferenze possano essere incorporati nelle valutazioni delle tecnologie sanitarie.

È con l'obiettivo di fare chiarezza su questi punti, sciogliendo gli eventuali dubbi interpretativi e condividendo gli aspetti di principio e di metodo sul tema generale, che la Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA) ha intrapreso un percorso di approfondimento all'interno dell'*Health Policy Forum* (HPF)

Materiali e metodi

L'HPF è un'iniziativa promossa e organizzata dalla SIHTA in collaborazione con l'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (AIES), l'Associazione Italiana degli Ingegneri Clinici (AIIC) e la Società Italiana di Igiene, Medicina Preventiva e Sanità Pubblica (SITI). Fin dalla prima edizione la Società Italiana dei Farmacisti Ospedalieri (SIFO) ha assicurato un importante contributo al dibattito. In qualità di Società Scientifica, e grazie al supporto delle competenze del Comitato Direttivo e del Comitato Scientifico, la SIHTA intende creare le condizioni affinché industria, regolatori e utenti finali delle innovazioni tecnologiche in campo sanitario possano discutere in modo sistematico e strutturato gli aspetti metodologici del processo dell'HTA.

L'iniziativa si ispira negli intenti, nei principi e nei metodi a quella analoga avviata nel 2004 a livello internazionale dall'*Health Technology Assessment International*, a cui essa risulta collegata con accordi formali di collaborazione (www.htai.org).

Quello dell'HPF è un format innovativo che crea le condizioni affinché tutti gli stakeholder possano discutere in modo sistematico, aperto e strutturato degli aspetti metodologici del processo dell'HTA.

L'HPF è un incontro a "porte chiuse" i cui partecipanti sono stati invitati dalla SIHTA in relazione alla loro esperienza nel campo dell'HTA, indipendentemente dalla posizione ricoperta nelle istituzioni del SSN, nell'industria e tra le organizzazioni rappresentative di pazienti e cittadini. Per la prima edizione 65 professionisti, provenienti da Società Scientifiche, Istituzioni, Regioni, Industria, Associazioni di categoria e Università

hanno animato un giorno e mezzo di dibattito sul "Ruolo degli stakeholder nel processo di HTA" nel contesto del SSN.

Il tema oggetto dell'incontro è stato scelto dagli stessi membri del Forum tra sette diverse tematiche proposte dal Comitato Scientifico della SIHTA, mediante una consultazione on-line che ha permesso di valutare l'interesse dei membri *in pectore* per le diverse tematiche. Attraverso discussioni avvenute sia in sessione plenaria che in sottogruppi, il dibattito ha permesso di fornire le prime risposte alle tre domande considerate.

Il Forum si è svolto secondo la *Chatham House Rule* (<http://www.chathamhouse.org.uk>). Questa "regola", come principio che governa la confidenzialità della fonte dell'informazione durante un meeting, è stata originata dal *Royal Institute of International Affairs* di Londra nel 1927 e oggi è utilizzata da molti organismi internazionali.

La scelta di esplicitare e condividere "regole di ingaggio" ben precise è stata finalizzata ad animare una discussione fattiva e "aperta". Per effetto dell'applicazione di tale regola, ogni membro del Forum esprime opinioni che hanno carattere personale pur derivando dalla propria esperienza e prospettiva e che non possono essere considerate come posizioni ufficiali dell'istituzione cui il singolo appartiene. Tutte le informazioni "catturate" durante le discussioni assembleari o dei sottogruppi possono essere liberamente utilizzate dagli altri membri, purché non sia rivelata l'identità di chi le ha espresse. Inoltre, le informazioni possono essere rese pubbliche solo in presenza di un accordo unanime tra i partecipanti e secondo le forme concordate (articolo scientifico, *position paper*, linee guida ecc.).

Le riflessioni espresse in questo documento emergono dalle discussioni articolate nelle quattro sessioni plenarie e nei tre gruppi di lavoro attivati nell'ambito del Forum stesso.

Il presente lavoro, prima della sua pubblicazione, è stato sottoposto alla validazione da parte dello stesso gruppo di lavoro durante il secondo meeting HPF tenutosi a Torino il 18 novembre 2010, in occasione del III Congresso Nazionale della SIHTA.

Risultati

Quali sono gli stakeholder e qual è il loro ruolo nel processo di HTA?

L'identificazione degli stakeholder che legittimamente possono contribuire al processo di HTA è certamente legata all'articolata concezione di "valore" assegnabile alle tecnologie sanitarie. Tale valore, in altre parole, si determina in virtù degli attributi che ogni parte interessata assegna alla tecnologia stessa.^[8] Gli attributi e le implicazioni dell'uso di una tecnologia

possono essere innumerevoli. Il lavoro svolto nell'ambito del *Policy Forum dell'Health Technology Assessment International* nell'edizione 2007 ha permesso di "isolare" alcuni degli attributi della tecnologia che possono essere considerati rilevanti ai fini della generazione del valore ricadente dall'uso della tecnologia stessa:

- l'efficacia tecnica, sperimentata sul campo;
- la sicurezza della tecnologia;
- la certezza del beneficio indotto dall'uso della tecnologia;
- la mancanza di alternative alla tecnologia sotto osservazione;
- la capacità della tecnologia di permettere un pronto ritorno delle persone alle attività quotidiane;
- la gravità della patologia per la quale la tecnologia viene usata;
- l'impatto che questa genera sul budget del sistema sanitario;
- la sua facilità di applicazione e utilizzo;
- la convenienza rispetto alle alternative;
- il suo costo in termini assoluti;
- il suo prezzo;
- la sua capacità di dare un beneficio "percepito" dai pazienti;
- l'immediatezza della sua azione;
- la "novità" rispetto alle tecnologie esistenti.

Un altro attributo, non meno rilevante, è costituito dalla quantità e dalla qualità delle evidenze scientifiche disponibili in letteratura a supporto della tecnologia stessa, senza le quali nessuna dichiarazione di efficacia o sicurezza sarebbe realmente affidabile.

Tutte le parti in grado di identificare un "valore" nell'uso di una tecnologia sanitaria possono legittimamente essere prese in considerazione in un processo di valutazione. La valutazione conferita da ciascuna delle parti a una nuova tecnologia può sensibilmente variare, poiché diversa è la percezione che gli stakeholder coinvolti nel sistema hanno di tali aspetti. A partire da queste considerazioni si sono identificate le differenti categorie che intervengono con prospettive e valori diversi nell'attività di valutazione (tabella II).

Pur nella consapevolezza che livelli istituzionali di valutazione differenti danno origine a stakeholder diversi o diversamente rilevanti, permane l'esigenza di affermare un unico modo di intendere l'HTA, al di là degli specifici livelli decisionali. Nel processo di identificazione degli stakeholder, le prospettive che si possono avere sono quelle:

1. del SSN (anche se il SSN raramente è chiamato in causa per decidere le scelte di ricerca e investimento);
2. delle Regioni;
3. dell'industria (anche se meno frequentemente);
4. del cittadino.

In base a questa premessa, possono identificarsi quali stakeholder (tabella III): i) le direzioni aziendali; ii) i decisori politici (assessori, ministri e tutti coloro che prendono le decisioni nell'ambito di Agenzie e Regioni); iii) i professionisti e tutti i fornitori di assistenza; iv) i ricercatori e le società scientifiche; v) l'industria; vi) i pazienti e i caregiver; vii) la comunità in generale e i portatori di conoscenza (media e società).

Tabella II. Valorizzazione degli attributi delle nuove tecnologie secondo la prospettiva degli stakeholder^[B]

Attributo tecnologico	Rango per ogni attributo secondo la prospettiva dello stakeholder						Significatività statistica
	Manager sanitari	Decisori sanitari	Fornitori di assistenza	Produttori	Pazienti	Pubblico	
Efficacia	9	1	12	6	11	6	0,08
Sicurezza	10	8	3	5	5	11	0,39
Certezza del beneficio	11	2	6	13	9	8	0,25
Assenza di alternative	13	11	1	4	3	12	0,02*
Ritorno rapido alle attività quotidiane	8	14	14	1	1	5	0,01*
Serietà	12	5	2	11	2	13	0,04*
Budget impact	1	7	7	9	14	7	0,02*
Fattibilità	4	3	8	10	10	10	0,17
Convenienza	2	10	4	7	6	14	0,13
Costo	5	6	8	14	13	9	0,04*
Prezzo	6	4	5	12	12	4	0,37
Fattore "sensazione di benessere"	14	12	11	3	4	1	0,15
Immediatezza	3	13	10	8	7	2	0,09
Novità	7	9	13	2	7	2	0,59

* Indica un valore di p statisticamente significativo.

Tabella III. Gli stakeholder e il loro ruolo nel processo di HTA. **Fonte:** Nostro adattamento da Health Policy Forum SIHTA, I ed., 5-6 luglio 2010, Roma (dati non pubblicati)

Manager sanitari	Direzione aziendale
Decisori sanitari	Politici, Assessori, Ministri, Agenzie, Regioni
Fornitori di assistenza	Professionisti e altri prestatori di servizi
Ricercatori	Ricercatori e Società Scientifiche
Produttori	Industria
Pazienti	Pazienti e caregiver
Pubblico	Società e media

Non è parso opportuno, in sede di classificazione, inserire in un'unica categoria, da denominarsi "società", i politici e i cittadini, in quanto gli uni "rappresentativi" degli altri. In un'ottica di analisi delle rispettive dinamiche, infatti, tale scelta avrebbe ridotto il grado di dettaglio dell'esplorazione, rendendo omogenee queste due classi di stakeholder.

Il contributo che i singoli stakeholder forniscono alle diverse fasi del processo di HTA si differenzia e si articola in ragione degli elementi che qualificano lo stakeholder stesso nella singola fase del processo. È possibile identificare tre fattori qualificanti:

- la "pertinenza" dello stakeholder è strettamente legata alle caratteristiche del processo istituzionale che assegna ai diversi portatori di interesse ruoli e responsabilità specifiche a seconda delle fasi in cui intervengono;
- la "rilevanza", che esprime il contributo relativo che ogni stakeholder può fornire rispetto al momento del processo di HTA nel quale ci troviamo. È evidente che nel momento della creazione delle evidenze tecniche i professionisti, i ricercatori, ma anche l'industria assumono ruoli particolarmente rilevanti;
- i diversi stakeholder possono avere diverso "peso" nel contribuire a una determinata fase del processo pur essendo ugualmente coinvolti in essa: nell'elaborazione delle "priorità" del sistema sanitario, il "peso" da assegnare alle considerazioni dei cittadini e dei pazienti è diverso dal "peso" delle figure manageriali impegnate nel governo del servizio sanitario.

Rilevanza, pertinenza e peso che i singoli stakeholder assumono nel processo di HTA sono strettamente dipendenti, a loro volta, dall'obiettivo (produzione di una raccomandazione più o meno vincolante ai fini decisionali), dal livello decisionale (micro, meso e macro) e dalla natura della tecnologia (farmaco, dispositivo, procedura, programma di sanità pubblica ecc.).

Il passo da compiere al fine di identificare in modo esaustivo gli attori e i relativi ruoli è quello di dare forma agli aspetti metodologici e al quadro di riferimento sopra citati. In altre

parole, al fine di catturare esaurientemente il senso della matrice Pertinenza-Rilevanza-Peso e coglierne le relative opportunità, sarebbe necessario chiarirne i contenuti.

Consapevoli che tale compito appartiene alle Istituzioni, in questa sede ci limiteremo a fornire delle proposte chiarificatrici. Il coinvolgimento dei pazienti nella valutazione di una nuova tecnologia, per esempio, potrebbe essere maggiormente pertinente nella fase di valutazione piuttosto che in quella di prioritizzazione, e particolarmente rilevante se i pazienti coinvolti sono anche pazienti informati. Lo stesso può dirsi, infine, in relazione al peso di questa categoria di stakeholder nei processi di valutazione dell'impatto di una tecnologia sulla qualità della vita. Il complesso lavoro da svolgere implica quindi a carico delle istituzioni la necessità di discutere il peso, la rilevanza e la pertinenza di ciascuno degli stakeholder con l'obiettivo di completare la "griglia" esemplificata nella tabella IV.

Per individuare il ruolo degli stakeholder è stata inoltre esplorata la variabilità con cui essi intervengono nel processo di valutazione. A tale fine, sono stati considerati i diversi livelli istituzionali in cui ha luogo l'intervento (nazionale, regionale e locale/professionale), aspetto particolarmente rilevante in un sistema, come quello italiano, che è oggi "federale" da un punto di vista organizzativo e decisionale.

Infine, sulla base della letteratura esistente considerata,^[9] sono state discusse le modalità di coinvolgimento, che dipendono evidentemente da innumerevoli fattori. I singoli stakeholder possono quindi, a seconda dei vari livelli:

1. non avere alcun coinvolgimento (opzione da considerare rara);
2. essere portatori di conoscenza, ovvero ricevere o fornire dati e informazioni strutturati;
3. essere meri portatori di dati;
4. commentare le decisioni;

Tabella IV. La matrice Pertinenza-Rilevanza-Peso. **Fonte:** Nostro adattamento da Health Policy Forum SIHTA, I edizione, 5-6 luglio 2010, Roma (dati non pubblicati)

Stakeholder	Macro fasi del processo di HTA		
	Prioritarizzazione	Valutazione	Stima
Manager sanitari			
Decisori sanitari			
Fornitori di assistenza			
Ricercatori			
Produttori			
Pazienti			
Pubblico			

Pertinenza, Rilevanza, Peso

5. appellarsi, richiedendo una scelta alternativa;
6. collaborare nell'analisi delle problematiche;
7. essere coinvolti nella valutazione (realizzando il vero e proprio "engaging");
8. esercitare un'attività di controllo all'interno del processo di valutazione.

Quali sono gli elementi che gli stakeholder dovrebbero condividere nel processo di HTA?

Se l'identificazione degli stakeholder è legata intimamente alla variabilità dello stesso concetto di valore che i diversi attori del sistema assegnano ai diversi impatti generati dall'uso della tecnologia nel sistema, la conseguenza è che i metodi da adottare nell'intero processo di valutazione devono inevitabilmente rispecchiare le modalità ritenute da tutti più opportune per rilevare oggettivamente i "valori" in gioco. Per questo appare indispensabile giungere alla condivisione delle diverse dimensioni presenti nel processo valutativo:

1. i principi fondanti l'approccio dell'HTA (*efficacy, effectiveness, sostenibilità, responsabilità, documentabilità ed equità di accesso*);
2. le linee guida dell'HTA, in termini di metodi di lavoro e modello decisionale;
3. i bisogni delle parti interessate;
4. la prioritizzazione sulla base dell'analisi di detti bisogni;
5. le metriche di valutazione, che considerino l'analisi del processo, piuttosto che l'analisi del prodotto, e i costi complessivi;
6. l'identificazione chiara e preliminare negli studi di *endpoint* e *outcome*;
7. la contestualizzazione dei parametri e del valore delle fonti;
8. la necessità di applicare le conclusioni della valutazione e le modalità per tale applicazione;
9. la previsione di momenti strutturati di condivisione;
10. le modalità e i canali attraverso i quali comunicare i risultati alle parti interessate prescelte.

Appare particolarmente critica la fase che attiene alla condivisione delle metodologie di valutazione strettamente intese e delle metriche per tale valutazione. Le informazioni prodotte dalle Agenzie di HTA dovrebbero rappresentare un supporto decisionale in materia di assistenza sanitaria al fine di migliorare la qualità dell'assistenza e la sostenibilità dei sistemi sanitari grazie a un uso sempre più costo-efficace delle tecnologie sanitarie; sono quindi destinate a tutti i livelli di *decision making*.

Il gruppo di lavoro ha concordato che i metodi per la valutazione economica rappresentano un momento particolarmente critico in tale condivisione. Infatti la valutazione economica che integra tecnicamente le valutazioni di *efficacy/*

effectiveness con valutazioni di costo, fornisce al decisore un "modello decisionale" che, in molti contesti, circoscrive la discrezionalità del decisore stesso rappresentando, quindi, un tassello fondamentale e, secondo molti, obbligato nel percorso di HTA. Le ragioni di tale criticità risiedono nella constatazione che il contesto della sanità, non solo nel nostro Paese, sia caratterizzato da risorse limitate e vincoli di bilancio sempre più stringenti che impongono un utilizzo delle risorse sempre più efficiente così da massimizzare le conseguenze in termini di salute. Negli ultimi anni la diffusione delle analisi costo-efficacia (ACE) sta influenzando in modo sempre più sistematico i processi di decisione nei principali Paesi dell'Unione Europea al riguardo della fissazione dei prezzi delle tecnologie (farmaci soprattutto) o del rimborso totale o parziale del costo della tecnologia.

Se, come detto, la valutazione è necessariamente multidisciplinare, la condivisione dei metodi presuppone anche una piena preparazione da parte di tutte le componenti nell'affrontare la questione delle metodiche di valutazione ai fini della loro condivisione. Questo presuppone clinici sempre più impegnati nello sviluppo di una formazione multidisciplinare e metodologica anche nel campo delle valutazioni economiche e nell'HTA e pone il problema della formazione di coloro che sono chiamati a rappresentare pazienti e cittadini e a condividere i processi e i metodi di valutazione con le altre "parti".

Quale contributo dovrebbero fornire i pazienti e i cittadini nel governo dell'innovazione e quando?

Le tematiche discusse nell'ambito del gruppo di lavoro dedicato a questo tema hanno portato a dettagliare non solo la tipologia dei contributi che i cittadini e i pazienti possono portare al processo di valutazione, ma anche a definire le caratteristiche che i cittadini e i pazienti coinvolti nei processi di valutazione dovrebbero possedere per essere in grado di apportare un contributo costruttivo.

Proprio dalla discussione di quest'ultimo aspetto è emersa la criticità del potenziale contributo dei cittadini e dei pazienti in relazione al loro livello di informazione rispetto ai processi di valutazione in cui si trovano a essere coinvolti.

Si evince difatti la necessità di avere cittadini e pazienti informati, che siano in grado di dare un contributo in processi che a volte sono estremamente tecnici. Non viene loro richiesta tanto una competenza tecnica specifica (epidemiologica, economica ecc), quanto piuttosto un livello di informazione tale che li renda pienamente consapevoli del processo in cui sono coinvolti e del loro potenziale utile contributo.

Sulla scorta di tale evidenza è emerso anche il differente ruolo e il differente contributo che i cittadini, come membri

della società, possono apportare ai processi di valutazione rispetto ai pazienti che invece, nel caso specifico, rappresentano i diretti interessati agli interventi sanitari oggetto di valutazione.

Sulla base di tali premesse sono stati quindi identificati potenziali contributi diversi dei cittadini e/o pazienti in relazione al momento temporale di coinvolgimento rispetto al processo di valutazione: il coinvolgimento precoce e il coinvolgimento *ex post*.

Il coinvolgimento precoce ha luogo durante la valutazione e si può realizzare grazie al confronto tra un panel di esperti e gruppi di pazienti e/o cittadini relativamente ai benefici e ai rischi noti, nonché sul possibile impatto di questi esiti sulla qualità di vita del paziente, sul suo stato di salute e su tutto ciò a cui i pazienti assegnano un “valore”. In questa stessa sede può anche essere richiesto di intervenire in questioni relative alla prioritarizzazione.

Il coinvolgimento *ex post* si realizza, invece, quando i cittadini e i pazienti (i) fungono da terminali di segnalazione rispetto ai temi dell’equità e dell’accessibilità; (ii) osservano i processi organizzativi relativi all’inserimento di una nuova tecnologia; (iii) propongono interventi migliorativi.

È possibile, inoltre, analizzare la variabilità del coinvolgimento in base ai diversi tipi di patologie, a seconda delle quali il coinvolgimento assume una valenza assai diversa. Nel caso, per esempio, di patologie a elevato impatto sociale – ovvero patologie che interessano ampie fasce della popolazione e con ricadute di salute e di costo importanti sul paziente, i familiari e la società – il coinvolgimento dei cittadini/pazienti può dare un contributo potenzialmente elevato. Viceversa, tale coinvolgimento ha un effetto minore nel caso di patologie con basso impatto sociale. Incerto è invece il contributo fornito da questa categoria di stakeholder nel caso di patologie asintomatiche, in cui la malattia non si è ancora manifestata e vi è il problema di individuare i soggetti da coinvolgere e da informare. Lo stesso può dirsi con riferimento alle tecnologie e attività pertinenti alla prevenzione, per le quali è fondamentale individuare e favorire meccanismi di coinvolgimento sistematico dei pazienti e dei cittadini.

Discussione

Questo documento raccoglie gli esiti di un animato dibattito che ha avuto luogo all’interno della prima edizione dell’HPF della SIHTA. Tale occasione si ritiene possa rappresentare un primo contributo efficace e fattivo a una migliore collaborazione tra portatori di interessi nel delicato processo di HTA. L’HPF, in questo senso, risponde alle esigenze crescenti di un approccio multidisciplinare e multistakeholder per

l’HTA.^[10] La discussione ha fornito tentativi e proposte risolutive alle tematiche affrontate, con particolare riferimento ai quesiti discussi e alle loro implicazioni.

Sono state individuate le principali categorie di stakeholder da coinvolgere nel processo di valutazione di una tecnologia sanitaria. I criteri con cui sono state originate le categorie mirano a garantire che ciascuno possa difendere e farsi portatore dei propri interessi, indipendentemente dal livello istituzionale in cui ha luogo tale confronto.

In conclusione, risulta ampiamente condiviso l’auspicio che nel processo di HTA siano previste opportunità di coinvolgimento degli stakeholder nelle attività valutative, affinché il processo stesso sia ispirato a principi di trasparenza che garantiscano la condivisione delle scelte operate dal decisore. L’impatto stesso dell’HTA sarebbe più efficace se gli stakeholder fossero adeguatamente resi partecipi. Infatti, ciò potrebbe contribuire a migliorare il valore e l’applicabilità dell’HTA nel mondo reale, a condizione tuttavia che il processo sia gestito in modo che l’oggettività della valutazione non ne risulti compromessa.

È necessario quindi ridefinire modalità di coinvolgimento, rispettive responsabilità, qualità e tempistica di tali interazioni. In altre parole, se dal lato dell’industria è opportuno chiarire i criteri di allocazione delle risorse e adeguare le competenze interne, sul fronte della ricerca va attivato lo sforzo di orientamento alla “ricerca applicata” e al trasferimento tecnologico, nonché alla ricerca “valutativa”. Alle istituzioni, d’altro canto, deve essere affidato il compito di facilitare questa cooperazione tramite i network e la disseminazione di regole certe e trasparenti, al fine di garantire l’“*early engagement*” tra istituzioni, pazienti e industria.

Conclusioni

Nonostante il largo consenso manifestato intorno al concetto e al valore della tecnologia sanitaria quale strumento di supporto alle abilità cliniche del medico, non esiste ancora un accordo unanime su quali tecnologie debbano essere usate, in quale misura e con quali limiti. Diverse idee sono maturate con riferimento alla capacità delle tecnologie di produrre valore a fronte dell’investimento sostenuto.^[11] Tali premesse hanno generato ulteriori divergenze circa gli elementi da condividere nel processo di HTA, che sono stati elaborati e valorizzati dai membri dell’assemblea, in uno sforzo di ricomposizione che fosse quanto più possibile condiviso tra le parti.

È opportuno che gli stakeholder formalizzino metodi rigorosi e metriche di valutazione, privilegiando l’analisi dei bisogni di salute come criterio di prioritarizzazione. Va considerata inoltre la rilevanza del momento di identificazione degli *out-*

comes e degli endpoints, al fine di ottenere evidenze utili alla decisione e, allo stesso tempo, devono essere definite le modalità e i canali mediante i quali comunicare tali risultati.

La partecipazione dei pazienti e dei cittadini al processo di valutazione si rivela oggi essere una risorsa focale che interviene nelle attività di HTA e come tale merita di essere valorizzata in modo da produrre il massimo beneficio per la collettività. Tuttavia, è opportuno considerare l'appropriatezza di tali interventi in relazione alle fasi del processo: se, difatti, in una fase di prioritizzazione è auspicabile il coinvolgimento dei cittadini, nella fase di valutazione vera e propria è più opportuno garantire la partecipazione diretta dei pazienti o dei loro caregiver, singoli o in associazioni; forme associative di pazienti possono svolgere funzioni importanti di rappresentanza a garanzia della diffusione delle informazioni.

Tutti i contributi forniti per dare risposta alle tematiche affrontate rappresentano proposte funzionali al raggiungimento di obiettivi non strettamente riconducibili alle problematiche dell'HTA, ma piuttosto alla qualità e all'accessibilità delle informazioni, alla gestione del conflitto tra le parti nella fase di definizione delle priorità, alla responsabilizzazione dei professionisti nei confronti dei bisogni di salute.

Ringraziamenti

Gli autori sono grati a Carlo Favaretti, Presidente SIHTA, a Laura Sampietro-Colom, Chris Henshall e Andrea Rappagliosi, ospiti del Policy Forum, e a tutti i membri per il loro fattivo coinvolgimento e per la genuinità e ricchezza del contributo che ciascuno ha voluto dare al perseguimento del comune obiettivo: Maurizio Agostini, Chiara Alberti, Giulia Attinà, Renaldo Battista, Guido Beccagutti, Alessandro Beux, Lorenzo Bisogno, Piero Borgia, Massimo Brunetti, Luigi Burgio, Moreno Busolin, Alessandro Capone, Francesca Caprari, Marina Cerbo, Irene Colangelo, Carla Collicelli, Ottavio Davini, Paolo De Pieri, Francesco de Seta, Franco De Vergori, Pietro Derrico, Guido Didoni, Francesco Di Pietra, Francesca di Stasi, Giovanni Fattore, Fulvia Filippini, Alessandra Fionda, Pietro Folino Gallo, Fabrizio Fontana, Amedeo Foschini, Sandro Franco, Paola Freda, Fernanda Gellona, Gianfranco Gensini, Giorgio Ghignoni, Alessandro Ghirardini, Eugenio Goisis, Roberto Grilli, Paolo Virgilio Grillo, Giovanni Guizzetti, Paolo Lago, Maria Grazia Leone, Alessandro

Liberati, Rosa Merola, Andrea Messori, Fulvio Moirano, Giampaolo Murri, Georges Paizis, Domenico Palomba, Onofrio Palombella, Francesca Patarnello, Davide Perego, Paolo Pozzolini, Andrea Rappagliosi, Guido Rasi, Marco Ratti, Stefano Reggio, Walter Ricciardi, Matteo Ruggeri, Giuseppe Ruocco, Giancarlo Ruscitti, Claudia Rutigliano, Giovanna Scroccaro, Nereo Segnan, Carlo Senore, Paolo Daniele Siviero, Marco Soro, Alessio Terzi, Michele Tringali, Domenico Valle, Concetto Vasta, Maria Velleca, Alessio Vitullo.

Bibliografia

1. Etzkowitz H, Leydesdorff L. The dynamics of innovation: from National systems and "Mode 2" to a Triple Helix of university-industry-government relations. *Research Policy* 2000; 29:109-23
2. Cicchetti A, Marchetti M (a cura di). *Manuale di Health Technology Assessment*. Roma: Il Pensiero Scientifico Editore, 2010
3. Hutton J, McGrath C, Frybourg JM, et al. Framework for describing and classifying decision-making systems using technology assessment to determine the reimbursement of health technologies (fourth hurdle systems). *Int J Technol Assess Health Care* 2006; 22:10-8
4. Battista RN. Scienze della salute, decisioni politiche e valutazione delle tecnologie: sta espandendosi il ruolo degli epidemiologi? *Epid Rev* 1994; 18: 15-21
5. Lomas J. Research and evidence based decision making. *Aust N Z J Public Health* 1997; 21: 439-41
6. Favaretti C, De Pieri P. La valutazione delle tecnologie sanitarie in Italia: seconda fase. *Clinical Governance: dalla gestione del rischio clinico al miglioramento continuo della qualità*. 2008; 1: 1-4
7. Sorenson C, Drummond M, Kristensen FB, et al. How can the impact of health technology assessments be enhanced? Copenhagen: WHO Regional Office for Europe, 2008
8. Menon D, Makela M, Kearney B, et al. The value of new technologies in health care: survey results. Alberta (Canada): School of Public Health, 2007
9. Gauvin F, Abelson J, Giacomini M, et al. "It all depends": Conceptualizing public involvement in the context of health technology assessment agencies. *Soc Sci Med* 2010; 70: 1518-26
10. Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie in Italia. 2006. http://www.apss.tn.it/Public/Allegati/File/Carta_di_trento_su_HTA_in_Italia.pdf (ultimo accesso dicembre 2010)
11. Eisenberg JM. Ten lessons for evidence based technology assessment (commentary). *JAMA* 1999; 282: 1865-9

Indirizzo per la corrispondenza: Prof. Americo Cicchetti, Università Cattolica del Sacro Cuore, Facoltà di Economia, sede di Roma, L.go Francesco Vito 1-00168 Roma.

E-mail: acicchetti@rm.unicatt.it