

La cooperazione tra gli *stakeholder* per la sostenibilità del nuovo paradigma farmaceutico in Italia

Valentina Drago¹, Eugenio Di Brino², Roberta Laurita³, Filippo Rumi², Michele Basile², Andrea Pierini⁴, Anna Ponzianelli⁵, Francesca Patarnello⁶, Paola Ianna⁷, Filippo Drago^{8,9,10}

¹Managing Director, S.C.F. Studio di Consulenza Farmacologica, Catania - Italy

²Altems Advisory, spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma - Italy

³Department of Economics and Business Management, Università Cattolica del Sacro Cuore, Milano - Italy

⁴Access Partnership Lead Integrated Access Management, Roche, Monza - Italy

⁵Director of Market Access & Public Affairs, Moderna, Roma - Italy

⁶Vice-President Market Access & Government Affairs, AstraZeneca Italia, Milano - Italy

⁷Head of Value Access Oncology, Daiichi Sankyo Italia S.p.A., Milano - Italy

⁸Clinical Pharmacology Unit-Regional Pharmacovigilance Centre, University Hospital of Catania, Catania - Italy

⁹Department of Biomedical and Biotechnological Sciences, University of Catania, Catania - Italy

¹⁰Centre for Research and Consultancy in HTA and Drug Regulatory Affairs (CERD), University of Catania, Catania - Italy

Cooperation among stakeholders for the sustainability of the new pharmaceutical paradigm in Italy

The XXIII National Conference on Pharmaceuticals, held in Catania on February 27-28, 2025, represented a key event for multidisciplinary and cross-sectoral dialogue on the pharmaceutical governance in Italy, with a particular focus on stakeholders' cooperation.

Structured around a plenary session and four thematic focus groups, the event aimed to critically and proactively analyse the main challenges related to the assessment and access processes in Italy. The focus groups discussions addressed four priority areas: equitable and timely access to medicines; transparency and collaborative governance; assessment of drug value; the implementation of the European Health Technology Assessment (HTA) Regulation.

Each focus group followed a structured methodology based on the analysis of the current landscape, identification of systemic gaps, and formulation of concrete, actionable proposals. The Conference gathered over 70 experts from 30 pharmaceutical companies along with academic institutions, highlighting the growing commitment to redefining pharmaceutical policy in a more participatory, integrated, and sustainable way.

The outcomes revealed a strong thematic and methodological convergence across the groups, emphasizing the need to overcome fragmented and sectoral approaches aimed to a cohesive, transparent and equitable governance model. The proposals that emerged outline a strategic roadmap for modernizing the Italian regulatory system, by promoting faster and fairer access to medicines, strengthening transparency and stakeholder engagement, updating value assessment frameworks, and effectively integrating the new European HTA Regulation.

Keywords: Health Technology Assessment, access, HTA regulation, transparency, innovativeness, cooperation

Introduzione

La XXIII Conferenza Nazionale sulla Farmaceutica, tenuta a Catania il 27 e il 28 febbraio 2025, ha rappresentato un appuntamento per il confronto multidisciplinare e intersetoriale sul futuro della *governance* farmaceutica in Italia. In un contesto normativo, tecnologico ed epidemiologico in rapida

trasformazione (1), la Conferenza ha rappresentato uno spazio di riflessione condivisa e di costruzione di visioni prospettive, coinvolgendo tutti i principali *stakeholder* del sistema salute: autorità regolatorie, mondo accademico, Industria, società scientifiche, professionisti sanitari e rappresentanze del paziente. L'evento, realizzato in una sessione plenaria e in quattro *focus group* tematici, ha avuto come obiettivo quello di analizzare criticamente e proattivamente le principali sfide connesse alla valutazione e alla valorizzazione dell'innovazione terapeutica. La sessione plenaria ha visto la partecipazione di esponenti provenienti dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), dal mondo accademico, dalle società scientifiche e dalle imprese farmaceutiche, generando un dibattito articolato sui principali nodi del sistema regolatorio. Elemento centrale della Conferenza sono stati i *focus group*,

Received: October 30, 2025

Accepted: December 15, 2025

Published online: February 9, 2026

Indirizzo per la corrispondenza:

Valentina Drago

email: valentinadrago@essecieffe.it



che hanno offerto un'occasione di confronto operativo su quattro macro-temi di cruciale rilevanza per il sistema Paese:

- accesso ai farmaci: equità, rapidità e superamento delle disomogeneità territoriali;
- trasparenza e condivisione: ridefinizione dei processi decisionali in un'ottica di *accountability* e di *governance* collaborativa;
- *assessment* del valore del farmaco: aggiornamento dei criteri valutativi e riconoscimento della complessità multidimensionale dell'innovazione;
- recepimento del Regolamento europeo sull'*Health Technology Assessment* (HTA): implicazioni metodologiche, organizzative e strategiche per il contesto italiano.

Ogni gruppo di lavoro ha seguito una metodologia fondata sull'analisi dello stato dell'arte, sull'identificazione delle criticità sistemiche e sulla proposta di soluzioni concrete e implementabili. I gruppi sono stati animati da un coordinatore designato tra i rappresentanti aziendali, affiancato da un facilitatore di *Altems Advisory* con il compito di guidare il confronto, di raccogliere le evidenze emerse e di assicurare la coerenza metodologica del lavoro. La redazione dei materiali di sintesi e delle presentazioni plenarie è stata supportata da un *medical writer*, al fine di garantire una puntuale rappresentazione delle riflessioni prodotte. Alla Conferenza hanno preso parte oltre 70 esperti provenienti da 30 Aziende farmaceutiche e da numerose Istituzioni accademiche, a testimonianza del crescente interesse e dell'urgente necessità di ridefinire le politiche del farmaco in chiave più partecipata, integrata e sostenibile (2). Ogni partecipante ha potuto contribuire attivamente alle discussioni, scegliendo il *focus group* più affine al proprio ambito di competenza e interesse. Dall'interazione tra i diversi gruppi di lavoro è emersa una chiara convergenza tematica e metodologica: anche se affrontate da angolazioni differenti, le quattro aree di approfondimento sono risultate profondamente interconnesse e parte di un unico disegno strategico. Un *"fil rouge"* ha attraversato le discussioni: la necessità di superare logiche frammentate e settoriali per abbracciare un modello di *governance* farmaceutica più coeso, trasparente, equo e orientato all'impatto. Il presente documento si propone di restituire, in maniera rigorosa e sistematica, le evidenze emerse dai gruppi di lavoro, con l'obiettivo di offrire un contributo concreto al dibattito pubblico e istituzionale sulla regolamentazione del farmaco. Le proposte qui raccolte costituiscono una base di riflessione strategica, ma anche un punto di partenza operativo per l'evoluzione del sistema regolatorio nazionale alla luce delle sfide future, dell'armonizzazione europea e della centralità crescente del valore terapeutico, economico e sociale delle tecnologie sanitarie.

Focus group: accesso ai farmaci

Un accesso ai farmaci equo e tempestivo è un tema centrale nel settore della salute pubblica, in particolare all'interno di un Sistema Sanitario Nazionale (SSN) universalistico come quello italiano.

Secondo il più recente report EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2024 Survey (pubblicato a maggio 2025), l'Italia si posiziona al secondo posto tra i Paesi europei per percentuale

di farmaci rimborsati sul totale dei farmaci approvati dall'EMA (83% vs 46% media EU; periodo 2020-2023), mentre si posiziona al settimo posto per tempistica tra la data di approvazione EMA e il rimborso (media Italia 439 giorni vs media EU 578 giorni; periodo 2020-2023).

La discussione all'interno del gruppo di lavoro si è pertanto attivata partendo dal riconoscere che l'Italia ha già oggi un sistema di accesso ai farmaci tra i migliori a livello europeo e si è quindi focalizzata sull'identificazione di ulteriori ambiti di miglioramento nel processo di rimborsabilità, anche incorporando la dimensione regionale dove si possono generare disomogeneità nei diversi territori. Alla luce dei dati EFPIA citati sopra, il focus prevalente del gruppo di lavoro è stato quello di capire come poter velocizzare ulteriormente l'accesso lavorando sugli aspetti di tipo procedurale piuttosto che su quelli legati alla valutazione tecnico-scientifica o economica (oggetto di un altro *focus group*). Le principali tematiche identificate sono state: i) come poter migliorare la prioritizzazione delle procedure di valutazione AIFA, considerando non solo il criterio temporale ma anche aspetti clinici e/o economici; ii) come poter ulteriormente identificare ambiti di semplificazione procedurale; iii) come poter ridurre le duplicazioni delle attività a livello regionale; iv) come poter rendere più omogeneo l'accesso nelle varie Regioni (3).

Per affrontare questi temi, il gruppo di lavoro ha proposto un approccio a livello nazionale e regionale (4) partendo da un'analisi di contesto da cui è emerso come diverse prassi siano già state implementate nel recente passato; a livello centrale, tra gli esempi citati, AIFA ha introdotto alcune tipologie di procedure semplificate, l'automatizzazione dei processi di negoziazione per i farmaci generici e biosimilari, nonché l'implementazione di *"Trovanorme"*, un motore di ricerca normativo messo a disposizione da AIFA sul proprio sito istituzionale, per anticipare la disponibilità delle determinate, prima della loro pubblicazione in Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana (GURI). Dal punto di vista della prioritizzazione, esiste lo strumento dei *"100 giorni"* (5), che indirizza verso una presa in carico anticipata per farmaci ospedalieri, orfani o di eccezionale rilevanza terapeutica, ed è stato istituito un sistema di *Horizon Scanning* (6) interno all'Agenzia che consente di anticipare le esigenze terapeutiche future e di pianificare l'arrivo di nuove tecnologie impattanti, così come l'impiego degli *scoping meeting* che è stato talvolta previsto su alcuni ambiti di particolare complessità valutativa (7). Altre iniziative, come quelle di digitalizzazione e di standardizzazione del *dossier* (8) o l'istituzione della Commissione unica, la Commissione Scientifica ed Economica del farmaco (CSE) incaricata di unificare le valutazioni cliniche ed economiche, sono nate con l'obiettivo di migliorare i processi valutativi. A livello regionale ha invece sollevato grande interesse la recente introduzione del Tavolo Tecnico AIFA-Regioni che potrebbe rappresentare un ottimo strumento a garanzia di minori duplicazioni e di una maggiore omogeneità.

Da un confronto estremamente costruttivo e multidisciplinare sono emerse alcune proposte che si potrebbero ben integrare all'interno dell'evoluzione del sistema di accesso ai farmaci del contesto italiano. Nello specifico, rispetto ai 4 filoni tematici citati sopra, si riportano di seguito le proposte identificate.



1) Maggiore prioritizzazione delle procedure AIFA:

si è pensato allo sviluppo di un algoritmo che assegna priorità differenziate (*priority setting*) (9) alle diverse tipologie di valutazione da parte della CSE sulla base di criteri quali il livello di *unmet need*, l'impatto clinico atteso e l'impatto economico/organizzativo atteso. Questo porterebbe a identificare le procedure prioritarie su cui focalizzare un dialogo preliminare tra AIFA e Azienda farmaceutica, il coinvolgimento di esperti esterni e la costituzione di *task force* con membri AIFA/CSE che affrontino in maniera dedicata quel tipo di procedura. Tali procedure dovrebbero essere quelle a maggiore impatto per il SSN e i pazienti e/o a maggiore complessità valutativa.

La presenza di questa graduatoria di priorità permetterebbe anche di identificare quelle procedure a bassa complessità per cui il passaggio obbligato in CSE potrebbe non servire o essere gestito in maniera molto rapida.

La formalizzazione e la comunicazione esterna di questi criteri sarebbe utile al settore industriale per una migliore programmazione delle proprie attività.

2) Maggiore semplificazione procedure AIFA:

In collegamento con il punto sopra, si è pensato alla possibilità di incrementare le tipologie di procedure semplificate, rispetto a quelle attuali, che non passino dalla CSE ma che vengano direttamente gestite dagli uffici AIFA, come, per esempio, in caso di nuove formulazioni a *parity price* di un medicinale con stesse indicazioni terapeutiche ed estensioni di indicazione senza impatto sul *budget* incrementale. Anche nel caso di rinegoziazioni, quando vengano definiti *ex ante* dalle CSE delle regole/criteri di riferimento per la gestione di questa tipologia di pratiche, il passaggio alla CSE potrebbe essere evitato.

3) Riduzione delle duplicazioni di valutazione a livello regionale:

Alla luce della creazione del Tavolo Tecnico AIFA-Regioni (10) è stato proposto lo sviluppo di un *repository* interno AIFA-Regioni con cui poter anticipare alle Regioni alcune informazioni utili sulle varie procedure quali:

- pre Consiglio di Amministrazione (CdA) AIFA: epidemiologia con dettaglio regionale, stima potenziale dei pazienti trattabili con dettaglio regionale, altre informazioni di tipo regolatorio presenti nel *dossier* nazionale;
- post CdA AIFA: scheda riassuntiva esito CdA, condizioni negoziali, mini *report* dell'*assessment* condotto da AIFA (già oggi viene predisposto internamente, pertanto non dovrebbe generare lavoro aggiuntivo per AIFA).

4) Maggiore omogeneità di accesso regionale:

A livello regionale, sono state proposte diverse iniziative per migliorare l'equità e la rapidità di accesso ai farmaci. Tra le proposte emergono le procedure negoziate per farmaci esclusivi, con stime fornite dalle Aziende, per colmare il *gap* temporale tra la GURI e l'aggiudicazione della gara, l'accesso automatico ai farmaci A-PHT inserendoli direttamente nei prontuari e nei meccanismi di gara e la creazione di un portale unico regionale (potenzialmente lo stesso per tutte le Regioni) centralizzato in cui comunicare l'attivazione dei Centri Prescrittori e standardizzare tutte le procedure

amministrative associate. Le soluzioni proposte mirano a migliorare l'attuale situazione attraverso prioritizzazione, semplificazione, digitalizzazione e una migliore comunicazione tra le Istituzioni coinvolte. L'approccio nazionale e regionale integrato potrebbe portare a un'equità e a una rapidità maggiori nell'accesso ai trattamenti, garantendo un beneficio concreto per i pazienti e per l'intero sistema sanitario.

Focus group: trasparenza e condivisione

Nel corso della Conferenza si è affrontato il tema della trasparenza e della condivisione all'interno del processo regolatorio, con particolare attenzione al ruolo dell'AIFA nei processi valutativi e negoziali e al rapporto tra Istituzioni pubbliche e Aziende farmaceutiche (11). Il dibattito ha messo in luce sia criticità sistemiche che opportunità evolutive, facendo emergere una visione condivisa circa la necessità di ridefinire il concetto stesso di trasparenza: da semplice accesso all'informazione a strumento abilitante per una *governance* più partecipata, responsabile e orientata all'innovazione. Uno dei temi centrali del confronto ha riguardato la trasparenza (12) nei processi valutativi dell'AIFA, in particolare nelle procedure di valutazione dell'innovatività, di negoziazione dei prezzi e di rimborsabilità dei farmaci. È emersa una diffusa percezione di opacità, legata non tanto all'assenza di documenti o informazioni formali, quanto alla mancanza di una reale intelligibilità dei percorsi decisionali e dei razionali sottesi alle scelte regolatorie. I partecipanti hanno sottolineato come la trasparenza debba evolvere verso una dimensione "funzionale", capace di rendere comprensibili, e quindi prevedibili, le dinamiche valutative, attraverso una maggiore strutturazione dei *feedback*, la condivisione tempestiva dei criteri di valutazione e la pubblicazione di sintesi ragionate dei pareri tecnici (13). Questo tipo di trasparenza non è fine a se stesso, ma si configura come leva per accrescere la qualità del dialogo tra Aziende e Istituzioni, ridurre le asimmetrie informative e favorire decisioni più coerenti e condivise. Accanto alla trasparenza, è emersa con forza la necessità di rafforzare la condivisione tra AIFA e Aziende durante l'intero *iter* regolatorio. Alcuni partecipanti hanno auspicato una formalizzazione dei momenti di confronto strutturato, per esempio attraverso *scientific advice* o incontri intermedi (14), che consentano di chiarire i criteri attesi, condividere evidenze cliniche (15) ed economiche e discutere criticità metodologiche prima delle fasi decisive del processo valutativo. Questa impostazione dialogica permetterebbe di anticipare eventuali ostacoli, di ridurre il rischio di rigetti o di richieste integrative tardive e, in ultima analisi, di velocizzare l'accesso dei pazienti alle terapie. La condivisione assume dunque anche una valenza etica, in quanto condizione per rendere più equo ed efficiente il sistema di regolazione e di accesso all'innovazione terapeutica. Un altro punto qualificante del confronto ha riguardato il coinvolgimento strutturato di esperti esterni e di rappresentanti delle associazioni di pazienti nei processi di valutazione e di decisione (16). Tale apertura è stata vista come un'opportunità per arricchire le valutazioni di AIFA con competenze specifiche (p. es., cliniche, metodologiche, etiche) e per introdurre in modo più sistematico la prospettiva del valore percepito dai pazienti e dalle comunità (17). Tuttavia, è stato ribadito che

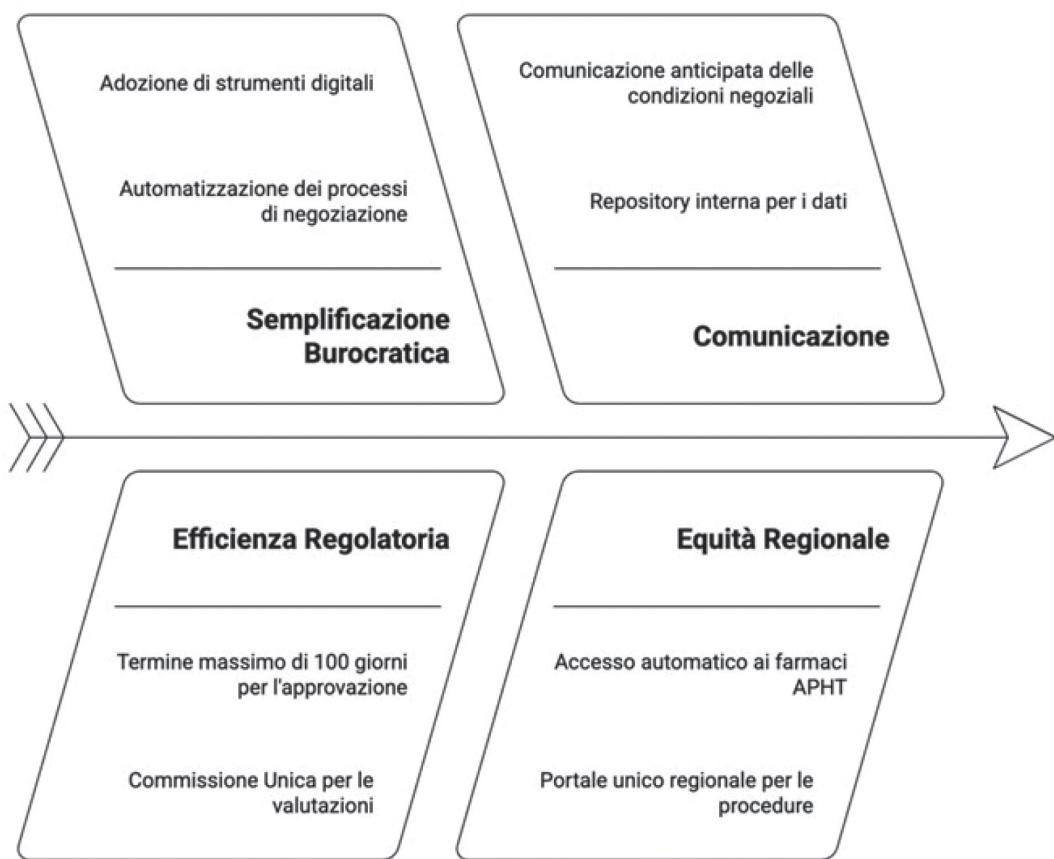


FIGURA 1 - Migliorare l'accesso ai farmaci in Italia.

l'allargamento della base partecipativa non può prescindere da un solido impianto di *governance* del conflitto di interessi. Serve definire criteri stringenti di selezione e accreditamento degli esperti, garantire indipendenza nelle valutazioni e assicurare tracciabilità delle relazioni tra *stakeholder*, al fine di tutelare la credibilità dell'intero processo regolatorio. Infine, la digitalizzazione è stata identificata come leva abilitante per promuovere una trasparenza effettiva e scalabile. I partecipanti hanno sottolineato la necessità di implementare piattaforme digitali che permettano di tracciare in tempo reale lo stato dei procedimenti regolatori, di consultare documenti e pareri in formato accessibile e di aggregare dati per favorire analisi trasversali e *benchmark*. Ma la tecnologia, da sola, non basta. È necessario che la digitalizzazione si accompagni a un'evoluzione culturale e organizzativa, che riconosca il valore strategico dei dati e della comunicazione istituzionale come parte integrante del mandato regolatorio (15). Solo in questo modo sarà possibile abilitare una vera cultura della trasparenza, intesa come responsabilità condivisa e come condizione essenziale per l'efficacia dell'intervento pubblico. Il *focus group* ha rappresentato un momento di ascolto e confronto profondo tra attori chiave del sistema salute (18), evidenziando una crescente maturità del dialogo tra Istituzioni e Industria. Trasparenza e condivisione sono emerse non come parole d'ordine astratte, ma come direttive concrete su cui costruire una *governance* regolatoria più aperta, collaborativa e orientata ai bisogni dei pazienti.

Tra le raccomandazioni operative discusse:

- rafforzare le modalità di interlocuzione attraverso *scientific advice* tra AIFA e Aziende;
- rendere pubblici, in forma sintetica e accessibile, i razionali delle decisioni regolatorie;
- formalizzare il coinvolgimento di esperti esterni e rappresentanti dei pazienti, garantendo trasparenza e indipendenza;
- investire nella digitalizzazione dei processi regolatori e nella cultura della *data governance*.

Tali azioni potrebbero contribuire in modo sostanziale a ricostruire un clima di fiducia tra le parti, ad accelerare l'accesso all'innovazione terapeutica e a migliorare la sostenibilità complessiva del sistema.

Focus group: l'assessment del valore del farmaco

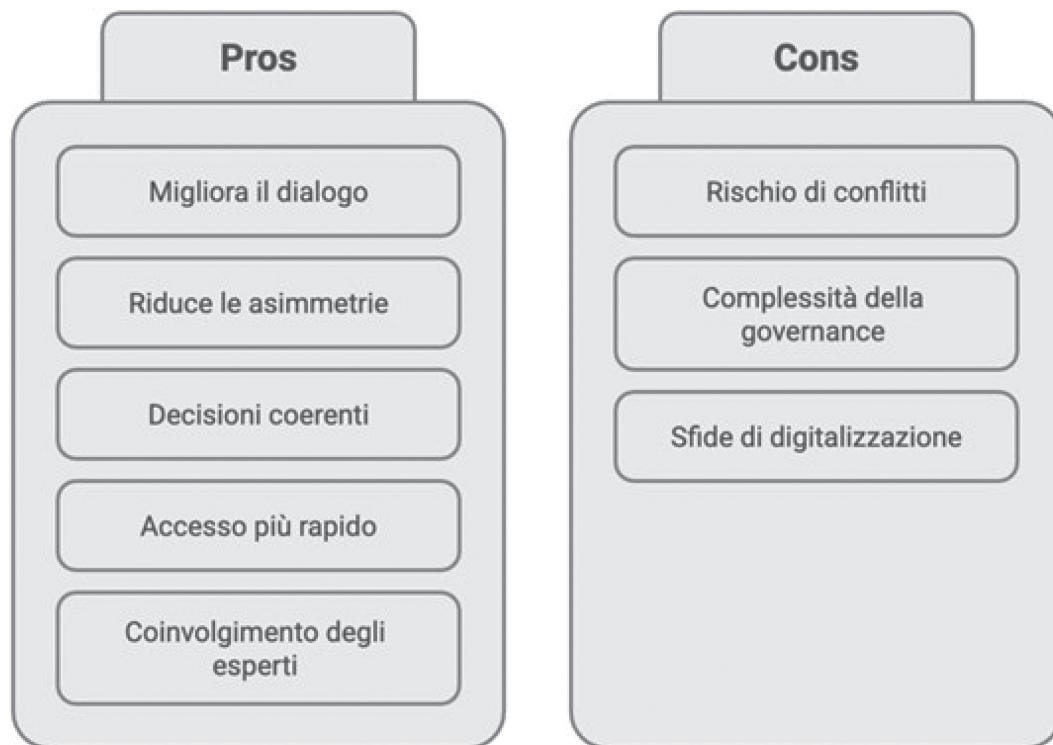
L'evoluzione del quadro normativo sull'innovatività farmaceutica ha visto una progressiva strutturazione a partire dalla Legge di Bilancio 2017 (L. 232/2016), che ha istituito fondi dedicati per i farmaci innovativi e che ha posto le basi per la definizione di criteri formali di valutazione. Tali criteri sono stati successivamente declinati dalla Determina AIFA n. 1535/2017 (Allegato 1), che ha individuato tre dimensioni chiave: valore terapeutico aggiunto, qualità delle prove disponibili e livello di bisogno terapeutico insoddisfatto (*unmet need*) (19). Il decreto Prezzi e Rimborso del 2019 ha poi consolidato il perimetro regolatorio, integrando questi criteri nei processi negoziali. La Legge di Bilancio 2025

(L. 207/2024), pur confermando alcuni indirizzi già tracciati, ha reso ancora più evidente la necessità di un aggiornamento metodologico, soprattutto alla luce del contesto europeo in evoluzione e dell'esperienza maturata negli ultimi anni. Nel corso del *focus group* è emersa con forza la volontà di superare un sistema valutativo ancora segnato da incertezze interpretative, eccessiva rigidità e scarsa trasparenza, soprattutto per quanto riguarda i farmaci non riconosciuti come innovativi. I partecipanti hanno evidenziato che l'attuale impostazione binaria (innovativo/non innovativo) non riflette adeguatamente la complessità del valore terapeutico e rischia di tradursi in un accesso disomogeneo sul territorio. La difficoltà nel bilanciare i pesi dei criteri valutativi, la scarsa esplicitazione dei razionali decisionali e la mancanza di un collegamento strutturato tra esito dell'*assessment* e benefici regolatori ed economici concreti rappresentano nodi centrali da sciogliere. Le proposte emerse puntano a una revisione profonda del processo valutativo. In primo luogo, è stata sottolineata l'importanza di adottare un approccio uniforme per tutti i nuovi farmaci e indicazioni, applicando criteri di innovatività in maniera sistematica e coerente. In quest'ottica, risulta strategico introdurre procedure formali di *fast-track* e *hearing pre-submission*, così da consentire un confronto precoce e costruttivo tra Aziende, esperti e Istituzioni, aumentando la prevedibilità e riducendo i tempi decisionali. Parallelamente, si propone la standardizzazione degli esiti, accompagnata da una maggiore granularità nella sintesi del valore e delle prove, così da superare le attuali logiche dicotomiche e favorire una valutazione più sfumata e orientata all'impatto reale. Un altro aspetto fondamentale

riguarda l'aggiornamento dei criteri di valore. È stata proposta l'inclusione di nuove dimensioni del valore terapeutico, ispirate al *framework* dell'*integrated life-cycle drug benefit*, che consenta di attribuire pesi differenziati alle varie componenti cliniche, organizzative e sociali (20). In tema di qualità delle prove, è emersa la necessità di giungere a *consensus* metodologici condivisi su aspetti critici, come l'utilizzo di *endpoint* surrogati, mediante la pubblicazione di Linee Guida aggiornate. Quanto all'*unmet need*, si è suggerito di spostare la valutazione a monte, nell'ambito di percorsi strutturati di *Horizon Scanning*, coinvolgendo esperti, pazienti e portatori di interesse. Inoltre, si propone di rafforzare il collegamento tra gli esiti dell'*assessment* e i benefici regolatori ed economici, rendendo esplicativi i meccanismi di accesso preferenziale, inclusione nei fondi, esclusione da scontistiche obbligatorie ed eventuali percorsi di *early access*. Infine, per affrontare le persistenti disparità regionali nei tempi di accesso ai farmaci innovativi, è stato auspicato all'interno del tavolo permanente Alfa-Regioni il compito di monitorare in modo sistematico e trasparente l'accesso reale ai trattamenti sul territorio nazionale. In sintesi, il *focus group* ha tracciato una *roadmap* concreta e condivisa per un *assessment* del valore più trasparente, dinamico e orientato al paziente, capace di rispondere alle esigenze di equità, sostenibilità e innovazione che il contesto attuale richiede.

Focus group: il Regolamento HTA europeo

Il 12 gennaio 2025 ha visto l'applicazione del Regolamento europeo sull'*Health Technology Assessment* (HTAR), segnando



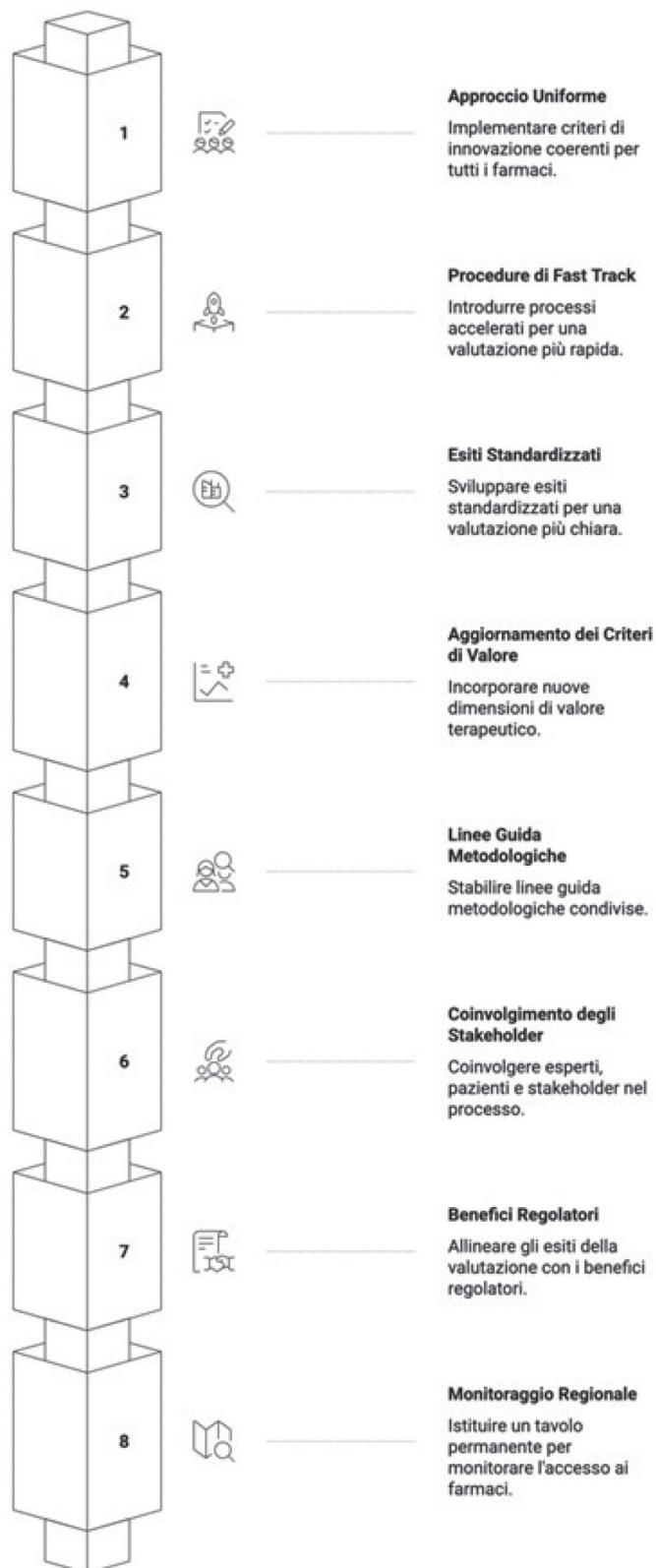


FIGURA 3 - Migliorare il processo di valutazione dei farmaci.

un momento di svolta per la valutazione delle tecnologie sanitarie nei Paesi dell'Unione Europea (21). Promosso con l'obiettivo di armonizzare i processi valutativi tra Stati Membri, il Regolamento mira a ridurre la duplicazione delle attività, promuovendo efficienza, trasparenza e coerenza nelle decisioni relative all'introduzione e all'utilizzo delle nuove tecnologie sanitarie. L'elemento centrale del nuovo Regolamento è il *Joint Clinical Assessment* (JCA), vale a dire una valutazione clinica congiunta delle tecnologie sanitarie ad alto impatto, inizialmente farmaci oncologici e terapie avanzate, svolta a livello europeo. Lo scopo del JCA è di fornire un'unica valutazione della comparabilità dei benefici clinici, sulla quale gli Stati Membri potranno costruire i propri processi decisionali nazionali di rimborsabilità e *pricing*. Nonostante le finalità condivisibili, l'attuazione del JCA apre numerosi interrogativi circa la sua integrazione nei sistemi regolatori nazionali (22). In Italia, si registra una forte incertezza su come il *report* europeo influenzerà la successiva valutazione dell'innovatività, i tempi di accesso e i processi relativi alla determinazione del Prezzo e del Rimborsso (23). Una delle criticità più rilevanti riguarda la comunicazione tra AIFA e gli sviluppatori di tecnologie sanitarie. Ad oggi, non è ancora stato definito un processo strutturato di dialogo volto a integrare le esigenze degli sviluppatori con quelle del sistema regolatorio italiano, alla luce delle novità introdotte dal JCA. L'assenza di un canale di confronto trasparente e continuo rischia di compromettere la preparazione dei *dossier* e la comprensione degli standard richiesti. Il nuovo paradigma imposto dal HTAR richiede un profondo cambiamento culturale e prospettico da parte di tutti gli attori del sistema salute: autorità regolatorie, accademici, clinici, Industria e rappresentanze dei pazienti. La strutturazione dei *dossier* secondo il modello PICO e l'integrazione dei cosiddetti domini non clinici (p. es., impatto etico, sociale, organizzativo) impongono nuove competenze che non possono essere date per scontate. È necessario promuovere percorsi formativi specifici per aggiornare il *know-how* tecnico e strategico del personale coinvolto. Dal punto di vista metodologico, vi è una mancanza evidente di Linee Guida nazionali sull'utilizzo dei *Real World Data* (RWD) (24), che rappresentano una fonte sempre più cruciale di evidenza a supporto delle valutazioni post-autorizzative. Inoltre, permangono dubbi sull'effettivo valore della comparazione indiretta in assenza di studi *head-to-head*, nonché sulla compatibilità tra dati generati in contesti globali e le esigenze specifiche degli HTA nazionali. La metodologia, quindi, deve evolversi per tenere conto sia delle esigenze scientifiche che di quelle contestuali. Un altro punto critico riguarda la mancanza di chiarezza sulle modalità di integrazione del JCA nei processi di rimborsamento a livello nazionale. In particolare, non è ancora definito in che modo verrà utilizzato il *report* europeo nella valutazione dell'innovatività dei farmaci e non si sa ancora quali saranno i tempi di adeguamento dei *dossier* di Prezzo e Rimborsso. Questa incertezza rischia di rallentare i tempi di accesso dei pazienti alle nuove tecnologie, vanificando parte dei benefici attesi. Per superare la criticità comunicativa, si propone la creazione di *pipeline meeting* tra AIFA e gli sviluppatori, vale a dire incontri periodici e strutturati in cui le Aziende possano presentare anticipatamente le tecnologie in

fase di sviluppo, in una logica di *Horizon Scanning* condiviso. Questi incontri permetterebbero di identificare in anticipo i bisogni informativi, promuovendo un approccio collaborativo e trasparente. Allo stesso tempo, si suggerisce di istituire un processo tecnico propedeutico alla PICO survey, con il coinvolgimento diretto degli *stakeholder* e degli esperti locali. Questo passaggio garantirebbe una maggiore aderenza tra i quesiti valutativi europei e le specificità del contesto italiano. L'implementazione di percorsi di formazione avanzati, rivolti sia al personale interno delle Istituzioni che agli *stakeholder* esterni, è un prerequisito per l'efficace adozione del Regolamento. La formazione dovrebbe essere orientata alla comprensione delle dinamiche europee, all'uso dei RWD, alla valutazione dei domini non clinici e alla modellizzazione economica avanzata. Sul piano metodologico, si propone la definizione da parte di AIFA di Linee Guida nazionali sui RWD, basate su un approccio integrato *bottom-up* (con contributo da parte degli operatori) e *top-down* (definizione degli standard centrali). Inoltre, l'applicazione rigorosa degli standard metodologici nei confronti indiretti, quando gli studi comparativi diretti non sono disponibili, può garantire la robustezza delle valutazioni. Allo stesso tempo, l'utilizzo di dati reali a livello di paziente, per esempio quelli contenuti nelle cartelle cliniche elettroniche, può rappresentare un'arma strategica per rafforzare la qualità dei *dossier* JCA e dei successivi *dossier* di Prezzo e Rimborso. In parallelo, lo sviluppo di strumenti per la valutazione strutturata dei domini non clinici (p. es., impatto organizzativo, equità, accettabilità sociale) può contribuire ad arricchire la base valutativa e a favorire un processo decisionale più completo. L'HTA rappresenta una grande opportunità per rafforzare l'integrazione europea nel settore sanitario e per migliorare l'efficienza delle valutazioni, riducendo duplicazioni e incoerenze. Tuttavia, la sua applicazione richiede una transizione impegnativa, che non

può essere affrontata con strumenti e mentalità del passato. È necessario investire in capitale umano, *governance* e strumenti informativi e metodologici. Il coinvolgimento di tutti gli attori, Istituzioni, Industria, accademia, clinici, pazienti, è fondamentale per co-creare un ecosistema HTA resiliente, flessibile e in grado di garantire l'accesso tempestivo a tecnologie efficaci e sicure. L'Italia ha l'opportunità e la responsabilità di adattarsi con intelligenza e visione strategica, sfruttando i margini di manovra offerti dal Regolamento per valorizzare le specificità del proprio sistema e migliorare la capacità di risposta ai bisogni di salute della popolazione.

Conclusioni

La XXIII Conferenza Nazionale sulla Farmaceutica ha rappresentato un momento di riflessione collettiva su temi centrali per il futuro del sistema regolatorio e dell'accesso all'innovazione terapeutica in Italia. I quattro *focus group*, Accesso ai farmaci, Trasparenza e condivisione, Assessment del valore del farmaco e Nuovo Regolamento HTA, hanno evidenziato una convergenza di istanze e criticità che, pur partendo da ambiti differenti, delineano una traiettoria comune: la necessità di costruire un sistema più integrato, trasparente, *equo* ed efficiente. Uno dei temi ricorrenti emersi in tutti i tavoli di lavoro è la frammentazione attuale del sistema con la conseguente eterogeneità nei tempi e nei criteri di accesso alle terapie. La proposta di rafforzare un approccio coordinato tra livello nazionale e regionale si pone come leva per superare disparità territoriali e garantire ai pazienti pari opportunità di trattamento. In questo contesto, si inserisce l'esigenza di semplificare e automatizzare i processi, attraverso strumenti digitali, come *e-dossier*, portali unificati e *repository*, e tempistiche definite, per esempio con la fissazione di un termine massimo per la valutazione dei *dossier*. La trasparenza è stata declinata in modo maturo, andando oltre la semplice

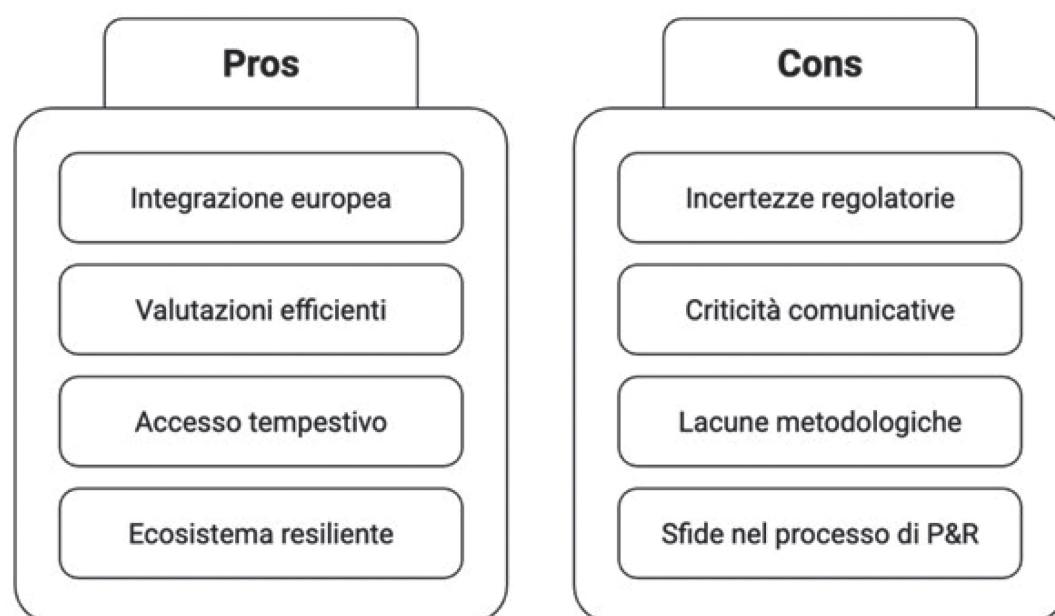


FIGURA 4 - Implementazione del Regolamento europeo HTA e il valore del JCA.

pubblicazione di dati per abbracciare un concetto più evoluto di “trasparenza funzionale”, basata su intelligibilità, condivisione strutturata delle informazioni e previsione di momenti formali di confronto tra Istituzioni e Industria. Questo approccio è stato visto come un mezzo per rafforzare la qualità del dialogo, ridurre le asimmetrie informative e migliorare l’efficacia dei processi decisionali. Fondamentale, in tale direzione, è anche il coinvolgimento strutturato di esperti esterni e di rappresentanti dei pazienti, nel rispetto di criteri rigorosi di *governance* del conflitto di interessi. Sul fronte dell’*assessment* del valore, è emersa una chiara richiesta di superamento del modello attuale, basato su una classificazione binaria (innovativo/non innovativo), che non coglie la complessità e la multidimensionalità del valore terapeutico. La proposta di adottare un *framework* valutativo più articolato, ispirato a modelli tipo “*integrated life-cycle*”, consentirebbe di attribuire un significato più realistico e dinamico all’innovazione. È stata sottolineata l’importanza di stabilire collegamenti esplicativi tra l’esito dell’*assessment* e benefici regolatori concreti (p. es., accesso preferenziale, inclusione nei fondi, esclusione da scontistiche obbligatorie), così da valorizzare il merito scientifico e terapeutico delle tecnologie valutate. Infine, il HTAR europeo rappresenta una sfida e al contempo un’occasione unica per il sistema italiano. La sua attuazione richiederà un profondo adattamento dal punto di vista sia organizzativo che culturale. È fondamentale che l’Italia non subisca passivamente il cambiamento, ma che lo anticipi, dotandosi di competenze adeguate, percorsi formativi, strumenti metodologici (p. es., Linee Guida sui RWD e confronti indiretti) e momenti di dialogo strutturato tra AIFA e Aziende. L’adozione del JCA impone infatti un cambiamento di paradigma, che potrà portare benefici solo se accompagnato da un’evoluzione del sistema nazionale capace di integrarne pienamente gli esiti. In conclusione, la Conferenza ha restituito un quadro ricco e articolato, nel quale si sono manifestate una forte consapevolezza delle criticità attuali, ma anche una visione condivisa per il futuro. Le proposte avanzate delineano una vera e propria *roadmap* verso un sistema regolatorio più moderno, basato su principi di equità, trasparenza, valorizzazione dell’innovazione e centralità del paziente. Perché questa trasformazione si realizzi, sarà necessario un impegno congiunto di tutti gli attori coinvolti: Istituzioni, Industria, mondo accademico, professionisti sanitari e pazienti/cittadini. Solo attraverso un’azione sinergica e strutturata sarà possibile costruire un ecosistema regolatorio resiliente, capace di garantire accesso tempestivo a terapie efficaci, sostenibilità del sistema e valorizzazione del progresso scientifico in chiave sociale.

Acknowledgements

Special thanks go to the coordinators and to the *Altems Advisory Group* for their valuable input during the Conference and their assistance in drafting the manuscript.

We wish to thank all the participants who took part in the focus groups and contributed to the discussions and proposals outlined in this work:

Giovanni Alquati, Federica Basso, Filippo Bresciani, Chiara Cernetti, Thomas Civiero, Francesco Crescente, Lorenzo

Cultrona, Andrea Giuseppe Curia, Matteo Ferrario, Fausto Galanti, Antonio La Greca, Monica Mangone, Corrado Minelli, Roberto Pala, Federica Parretta, Giovanna Scroccaro, Giovanna Suppa, Thomas Topini, Elena Visentin, Giovanni Alaimo, Sonia Amore, Pasquale Cananzi, Rosario Chimirri, Danilo De Spirito, Simona Del Gaudio, Gianluca Di Salvo, Valentina Gallo, Martina Isernia, Stefania Mazzocchi, Maria Assunta Pennacchia, Marica Pino, Lara Pippo, Emanuele Pria, Paolo Randazzo, Viviana Ruggieri, Valentina Straziota, Silvia Beghin, Marco Belfiore, Pietro Brambilla, Elisabetta Brioschi, Lorenza Candian, Francesca Caprari, Miryana Dobreva, Vincenzo Drago, Antonio Foresta, Giampiero Geusa, Yosra Kamel, Dario Lidonnici, Sara Manurita, Walter Marrocco, Luigi Orlando, Luca Pernarella, Riccardo Samele, Elisa Sangiorgi, Giulia Tambos, Michele Vannucci, Serena Zucchetta, Roberta Lo Muto, Francesca Romana Ferri, Francesco Catavitello, Luigi Zarrelli, Marina Marginean, Matthew Joseph Diliberto, Carmen Mazzola, Nicola Panzeri, Rosalba Gregorini, Sara Villa, Stefano Cavallo, Pia Rivetti di Val Cervo, Carlotta Galeone, Entela Xoxi, Paolo Sciatella, Giandomenico Nollo.

Disclosures

Conflict of interest: The Authors have no conflict of interest to declare. AP is an employer of Roche S.p.A.; AP is an employer of Moderna; FP is an employer of AstraZeneca S.p.A.; PI is an employer of Daiichi Sankyo Italia S.p.A. The views expressed in this article are the Authors’ own views and do not necessarily reflect the Company’s view.

Financial support: This research received no specific grant from any funding agency in the public, commercial, or not-for-profit sectors.

Bibliografia

1. Drago V, Mele T, Patarnello F, Randon F, Teruzzi C, Drago F. Assessment and value of drugs: report of the focus groups from the XXII National Conference on Pharmaceuticals. *Glob Reg Health Technol Assess*. 2025;12(1):43-48. [CrossRef](#) [PubMed](#)
2. Cicchetti A, Iacopino V, Carletto A, Marchetti M, Mennini FS. Il ruolo degli stakeholder nel processo di HTA. *G. Ital. Health Technol. Assess.* 2011;4(2):69-77. [CrossRef](#)
3. Bortolami A, Jommi C, Bresciani F, Piccoli L, Sangiorgi E, Scroccaro G. Prontuari Terapeutici Regionali in Italia: stato dell’arte e prospettive future. *Glob Reg Health Technol Assess*. 2024;11:68-74. [CrossRef](#)
4. AIFA. Determina Dir. tec. sc. - 7-2025 – Istituzione del “Tavolo tecnico di coordinamento Aifa-Regioni”. 2025. [Online](#) (Accessed October 2025)
5. Normattiva. Decreto Legge 13 settembre 2012, n. 158, Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un più alto livello di tutela della salute. [Online](#) (Accessed October 2025)
6. Marangi M, Ivanovic J, Pistrutto G. The Horizon Scanning System at The Italian Medicines Agency. *Drug Discov Today*. 2019;24(6):1268-1280. [CrossRef](#) [PubMed](#)
7. Simpson S, Hiller J, Gutierrez-Ibarluzea I, et al. A toolkit for the identification and assessment of new and emerging health technologies. *EuroScan*; 2009.
8. AIFA. Determinazione DG/1372/2020 - Linee guida per la compilazione del dossier a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale. 2020. [Online](#) (Accessed October 2025)
9. Patarnello F, Villa F. Nuovi criteri di definizione del prezzo di un farmaco in Italia: riflessioni e proposte per supportare valore



- ed innovazione. *Glob Reg Health Technol Assess.* 2021;8:131-133. [CrossRef](#)
10. Scroccaro G, Caprari F, Spandonaro F. Condivisione dell'assessment da Aifa a Regioni: ricadute sui tempi di accesso. *Politiche sanitarie* 2024;25(2):29-35. [CrossRef](#)
 11. AIFA. 2019, AIFA su trasparenza e rilascio di informazioni su procedure in corso. [Online](#) (Accessed October 2025)
 12. Bujar M, Ferragu S, McAuslane N, Liberti L, Kühler TC. Transparency in European Medicines Agency and US Food and Drug Administration Decision Making: Is It Possible to Identify the Rationale for Divergences in Approved Indication From Public Assessment Reports? *Clin Ther.* 2021;43(5):888-905. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 13. Joosse IR, Tordrup D, Glanville J, Kotas E, Mantel-Teeuwisse AK, van den Ham HA. Evidence on the effectiveness of policies promoting price transparency - A systematic review. *Health Policy.* 2023;134:104681. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 14. Gravanis I, Berntgen M, Vamvakas S, Demolis P, Foggi P. Challenges and ongoing initiatives towards better integrated EU scientific advice. *Front Med (Lausanne).* 2025;12:1473346. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 15. Beierle J, Algorri M, Cortés M, et al. Structured content and data management-enhancing acceleration in drug development through efficiency in data exchange. *AAPS Open.* 2023;9(1):11. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 16. Campbell B, Sedrakyan A. Patient involvement in regulation: an unvalued imperative. *Lancet.* 2021;397(10290):2147-2148. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 17. Facey KM, Ploug Hansen H, Single ANV, eds. *Patient Involvement in Health Technology Assessment.* Springer; 2017. [CrossRef](#)
 18. Morandi F, Di Brino E, Petrangolini T, Delle Monache L, Pernice A, Cicchetti A. in "MECOSAN" 118/2021, pp. 55-70, "Il Ruolo delle competenze dei rappresentanti di cittadini: evidenze dalle associazioni italiane dedite all'advocacy". [CrossRef](#)
 19. Fortinguerra F, Perna S, Marini R, Dell'Utri A, Trapanese M, Trotta F; Scientific & Technical Committee (Commissione Tecnico-Scientifica, CTS) of Italian Medicines Agency-AIFA. The Assessment of the Innovativeness of a New Medicine in Italy. *Front Med (Lausanne).* 2021;8:793640. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 20. Ball G, Reblin T, Buchanan J, et al. A Framework for Safety Evaluation Throughout the Product Development Life-Cycle. *Ther Innov Regul Sci.* 2020;54(4):821-830. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 21. REGOLAMENTO (UE) 2021/2282 DEL PARLAMENTO EUROPEO E DEL CONSIGLIO del 15 dicembre 2021 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie e che modifica la direttiva 2011/24/UE. [Online](#) (Accessed October 2025)
 22. Nisticò R. Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA): Developments and Strategy in a Transitioning European HTA Landscape. *J Mark Access Health Policy.* 2025;13(1):5. [CrossRef](#) [PubMed](#)
 23. Sciatella P, Laurita R, Bini C, Di Brino E, Sacchini D, Nollo G. "Shaping the Future of HTA in Italy: Insights from the Italian Health Policy Forum" JMAHP – in press
 24. Murphy LA, Akehurst R, Cunningham D, de Pouvourville G, Solà-Morales O. Real-world evidence to support health technology assessment and payer decision making: is it now or never? *Int J Technol Assess Health Care.* 2025;41(1):e20. [CrossRef](#) [PubMed](#)