

SALUTE | 8 Maggio 2019

## Farmaci orfani, OSSFOR: «Servono tavoli tecnici istituzionali su HTA dei piccoli numeri»

Spandonaro (Tor Vergata): «Cresce il consenso verso un maggiore utilizzo dell'Health Technology Assessment nel campo dei farmaci orfani e, in generale, delle tecnologie per le malattie rare, ma è indispensabile istituire tavoli tecnici e una task force che delinei i criteri di impiego»

di Lucia Oggianu

La **governance delle malattie rare** non può prescindere da un utilizzo diffuso delle valutazioni di Health Technology Assessment. È quanto emerso dalla conferenza stampa su farmaci orfani e malattie rare che si è recentemente svolta a Palazzo Madama. Per arrivare ad un equilibrio tra innovazione del mercato, reali bisogni di salute dei malati rari e portafoglio del Servizio Sanitario Nazionale, la metodologia HTA, utilizzata per valutare le prestazioni sanitarie sulla base di indicatori statistici, può essere infatti di fondamentale sostegno e forse la chiave di volta per una equa e giusta gestione delle risorse ed etica della decisione.

«La vera sfida – ha dichiarato la senatrice **Paola Binetti** nel corso dell'incontro – sta nel costruire protocolli di ricerca che rispondano a canoni paragonabili a quelli cui rispondono i farmaci in generale. È per questo che l'HTA deve ricevere un'attenzione particolare da parte dei decisori anche quando si tratta di numeri piccolissimi, con lo scopo di attivare modelli innovativi di ricerca che valorizzino il principio etico che non lascia solo nessun malato, ribadendo con forza il diritto alla salute per tutti».

Ma come conciliare l'HTA alle esigenze dei 'piccoli numeri'? Ne abbiamo parlato con **Federico Spandonaro**, professore all'Università di Tor Vergata e presidente del consorzio per la ricerca economica in sanità, sulla base del secondo position paper dell'**Osservatorio Farmaci Orfani** (Ossfor), che riassume le analisi e le proposte per la ricerca delle modalità più adatte per applicare l'HTA ai 'piccoli numeri'.

**LEGGI ANCHE: "L'HTA PER LA SALUTE", L'XI CONGRESSO SITHA. IL PRESIDENTE DERRICO: «ITALIA RIFERIMENTO IN EUROPA: RETE DI VALUTAZIONE DEL MINISTERO SALUTE È ECCELLENTE»**

GLI ARTICOLI PIU' LETTI

RUBRICHE

[Apri il link](#)

## FARMACI ORFANI: «SERVONO TAVOLI TECNICI SU HTA DEI PICCOLI NUMERI»



«Nei tavoli tecnici realizzati da Ossfor con panel di esperti – ha sottolineato il professor Spandonaro – è risultato evidente che non si possa prescindere dall'utilizzo dell'HTA anche nell'ambito delle malattie rare e in situazioni caratterizzate da **'piccoli numeri'**. Oggi è quanto mai necessario organizzare una task force che ne delinei i criteri di impiego».

Fondamentale dunque il confronto continuativo tra tutti gli stakeholder e la consapevolezza che la ricerca di evidenze in medicina, nata per aiutare i decisori pubblici nelle scelte di politica sanitaria e costruita su metodi statistici, non può essere applicata per le patologie che colpiscono pochi pazienti.

**LE PROPOSTE DI OSSFOR**

In primo luogo, Ossfor ritiene sia opportuna la **costituzione di un tavolo istituzionale e multi-professionale** dedicato alle tematiche legate all'utilizzo dell'HTA e alla governance dell'accesso al mercato e al rimborso delle tecnologie.

Propone poi la raccolta di **maggiori evidenze sulle preferenze sociali** in tema di equa allocazione delle risorse pubbliche e, mediante un processo di consenso fra gli stakeholder del sistema per arrivare a produrre una raccomandazione sul tema consentendo di valutare tramite l'HTA l'impatto di farmaci e di tecnologie per il paziente raro in rapporto all'accessibilità alle cure.

**LEGGI ANCHE: FARMACI ORFANI, 2° RAPPORTO OSSFOR FOTOGRAFA SETTORE IN SALUTE. IL COORDINATORE MACCHIA: «ORA POLITICA GARANTISCA STABILITA' E NON TOLGA INCENTIVI»**

[OSSFOR cure malattie rare farmaci orfani pazienti](#)