

# HTA

Health  
Technology  
Assessment



con il contributo incondizionato di

 **Chiesi**  
People and ideas for innovation in healthcare

**uniamo**  
**GOLDIN**  
impresa sociale

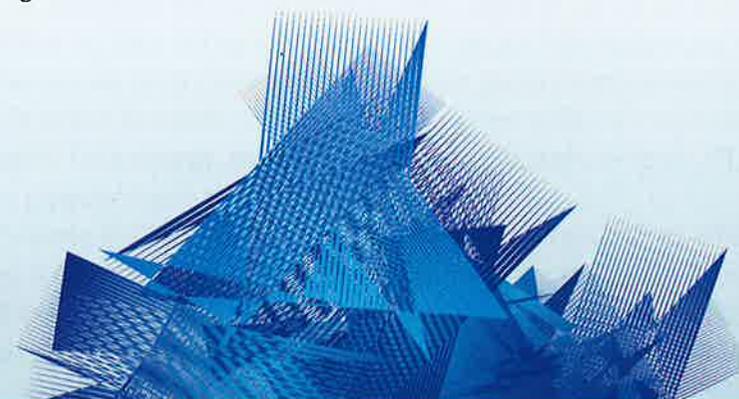
Fondata nel novembre 2009, l'Impresa Sociale **UNIAMO Goldin** ha come "mission" l'inserimento nel tessuto sociale e lo sviluppo individuale delle persone con disabilità o svantaggiate attraverso la promozione di servizi sociali e socio-sanitari; la realizzazione di strumenti operativi; iniziative informative e formative ad ampia trasferibilità di utilità sociale.

L'ambito nel quale l'impresa sociale UNIAMO Goldin ha mosso i suoi primi passi è stato quello del turismo sociale collegato all'inclusione e formazione lavorativa, anche in ragione della naturale e speciale vocazione turistica della città di Venezia, dove l'impresa sociale ha sede.

Nasce così il progetto **Fantàsia** che si basa sul concetto di "rete".

Una rete RARA data da un associazionismo che opera "in rete" sia con i Centri di Competenza sia con il Territorio, e che si occupa di persone affette da Malattie Rare, per dare loro un vero riconoscimento delle abilità anche quando queste sono da sviluppare.

- appartamento "fantàsia", quale turismo sociale per le persone socie di UNIAMO GOLDIN Impresa Sociale e/o collegate ad un'associazione federata alla Federazione UNIAMO F.I.M.R. onlus e/o operanti nel settore delle malattie rare e/o coloro che sposano la missione dell'impresa stessa;
- ristoro "fantàsia", quale punto di orientamento e formazione lavorativa per persone svantaggiate e/o persone con malattia rara o ancora da diagnosticare.



## **UNIAMO GOLDIN**

### **Impresa sociale**

San Marco 1737 Venezia

Tel. +39 041 2410886

[www.uniamogoldin.it](http://www.uniamogoldin.it)

finito di stampare Novembre 2016

## **Premessa**

Le **Malattie Rare** sono una priorità di sanità pubblica. Sono una materia concorrente ad alta complessità assistenziale e, sebbene il D.M. 279/2001, abbia tracciato le linee di una rete assistenziale, molto è stato fatto, ma molto c'è ancora da fare. È un work in progress.

Ad oggi si è realizzato un percorso che va dall'organizzazione di "raccolta dei dati utili" per una migliore programmazione gestionale assistenziale, ad una sempre più "appropriata cura" grazie allo sviluppo della ricerca e delle biotecnologie e da sistemi informativi. Ha dato un contributo considerevole anche l'impegno istituzionale in termini di riconoscimenti dei diritti esigibili dei pazienti.

Purtroppo non basta, c'è ancora molto da fare: per esempio il tempo di attesa per ottenere una diagnosi è ancora troppo lungo, l'azione di "presa in carico" è ancor oggi sporadica, l'interpretazione della "terminologia" tra sanità e paziente è troppo distante, e mancano ancora le azioni di sistema" capaci di rispondere ai bisogni assistenziali complessi.

Si è di fronte ad nuova consapevolezza: riconoscere che la complessità va' affrontata disciplinarmente e che il paziente raro è colui che fa la differenza, data dall'espressione del suo bisogno interdisciplinare, multidimensionale dove l'assistenza si interseca con la ricerca scientifica.

L'obiettivo di questo opuscolo è quello di semplificare il concetto di "**Health Technology Assessment**", detto più comunemente **HTA**, e il suo rapporto con il malato raro.

Essendo l'HTA un'analisi multi-disciplinare che esamina gli effetti a lungo termine di eventuali terapie basate su tecnologie sanitarie nuove o già esistenti, è fondamentale il coinvolgimento del paziente e/o la persona con lui e per lui coinvolta, come supporto alle decisioni in materia di assistenza sanitaria e di sostegno alla politica, attraverso informazioni oggettive.

*Michele Del Zotti*  
Presidente  
UNIAMO GOLDIN

## Storia di Austin Leclaire

**Austin e Max Leclaire** sono fratelli. Austin è il fratello più grande. Come la maggior parte i fratelli, hanno molte cose in comune e altrettante che li distinguono. Per ora, però, il loro legame più forte è per qualcosa che hanno in comune - la distrofia muscolare di Duchenne (DMD), una **malattia genetica rara** mortale. Segno distintivo della malattia di Duchenne è l'aumento della debolezza muscolare, che nel tempo rende difficile respirare e confina i bambini alla sedia a rotelle.

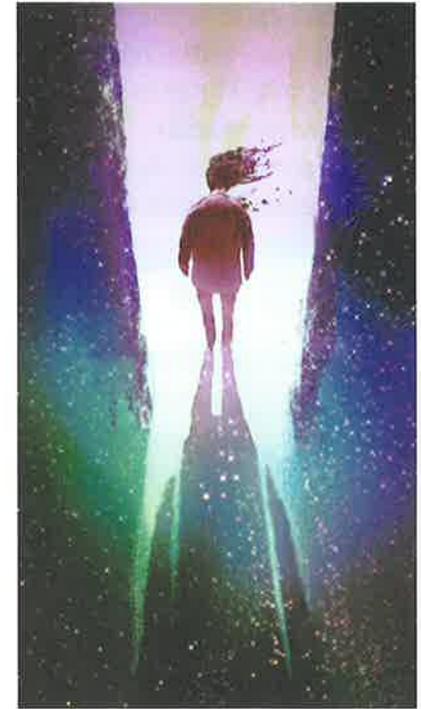
Austin ha 14 anni e ha perso la capacità di camminare già da quattro, mentre Max ne ha 11 ed è ancora in grado di mettere un piede davanti all'altro. Nell'estate del 2011, Max rientrava nei requisiti per essere inserito in un trial clinico per nuovo farmaco, progettato per i bambini, come i fratelli Leclaire, che hanno difficoltà a produrre una proteina chiamata "distrofina". Questa proteina è responsabile di rafforzare e potenziare le fibre muscolari e di preservarle contro l'usura, ma senza di essa, non si ha la normale funzionalità muscolare e nel tempo compromette anche la funzionalità del cuore e dei polmoni, portando a morte. Il farmaco sembra rallentare, addirittura fermare, la progressione della malattia. Questo è importante perché la maggior parte dei bambini con DMD, non arrivano a compiere il loro 25° compleanno.

Austin aveva solo 3 anni, quando la sua mamma ha cominciato un corso accelerato per diventare un'esperta della patologia. Austin e Max sono solo due dei 4 figli che ha la Sig.ra Jenn McNary, di soli 32 anni. Si sa, è un luogo comune, che una madre farebbe qualsiasi cosa per il suo bambino, ma Jenn ha voluto essere **"attrice protagonista"** per la vita dei suoi figli e dalla sua casa a Saxtons River, in un pittoresco villaggio

che si estende per mezzo miglio quadrato, si è confrontata con Agenzia "Food and Drug Administration" (FDA), creando una petizione per attivare la legge di "approvazione accelerata", che renderebbe disponibile questo tipo di farmaci in breve tempo. Spesso la procedura di approvazione ci mette anni, al contrario se il farmaco procedesse per questa metodica, Austin potrebbe assumere il farmaco da subito.

«Hey, questi sono i ragazzi di cui sto chiedendo di accelerare l'approvazione del farmaco», dice McNary. «Qui c'è il ragazzo che è in trattamento con il farmaco nuovo e sta bene. Ecco questo è l'altro mio figlio che non sta bene! Ecco cosa vi sto chiedendo: Vi prego di rendere questo farmaco disponibile attraverso la procedura di "approvazione accelerata"».

«Max, ha riacquisito alcune funzioni motorie in autonomia. Dall'anno scorso, fa parte di una squadra di calcio, sale e scende le scale da solo, tanto che, nel mese di dicembre è stato in grado di salire sul bus scolastico e di partecipare a una gita della sua classe in una fattoria vicina». È straziante per una mamma guardare il divario che si è creato nello stato di salute dei due fratelli. «Nel mese di ottobre, Max ha marciato in una parata di Halloween, vestito da scheletro» dice Jenn «Mentre Austin era sulla sua sedia a rotelle, impersonando un carrello di hot dog» Continua... «Max sta crescendo in autonomia, in grado di ruotare i co-



perchi e di aprire i contenitori, di portare lo zaino pieno di libri a scuola. Nel frattempo, Austin riesce a malapena a prendere un bicchiere d'acqua, si sforza di mettersi a sedere, non è più in grado di mettersi la giacca senza un aiuto».

Il 25 aprile 2016, Austin Leclaire di soli 17 anni, guidando la sua carrozzella elettrica, nella sala conferenze dove la Food and drug administration (FDA) teneva le audizioni degli esperti incaricati di valutare l'efficacia e la tollerabilità di un composto sperimentale per il trattamento della sua malattia, prese il microfono e davanti alla commissione di esperti e consulenti dichiarò:

**«(questo farmaco) mi ha permesso di mangiare da solo, mi ha dato una possibilità. È tempo di ascoltare i veri esperti».**

Purtroppo ad oggi Austin è ancora in attesa della valutazione finale della FDA.

Negli ultimi anni, in molti processi di HTA, sono stati coinvolti i "pazienti" nel processo decisionale di cura e trattamento per garantire un elevato livello della sanità. La letteratura indica che tale coinvolgimento è una priorità crescente sia in campo delle politiche sanitarie che nella ricerca.

In un periodo di crisi economica e di riduzione degli investimenti il tema della sostenibilità richiede il coinvolgimento responsabile di tutti i valutatori (stakeholder), e quindi anche dei cittadini/pazienti, nei processi sia di decisione, sia di divulgazione.

L'esperienza dei pazienti permette di vedere ciò che clinici e tecnici non vedono, a maggior ragione se si parla di "malattie rare" dove il coinvolgimento sicuramente apporta una maggiore raccolta d'informazioni sia sulla patologia, sia sull'efficacia, sicurezza e qualità della vita consentendo una più corretta valutazione dell'impatto economico reale delle decisioni.

## Cos'è una "malattia rara"?

Prima di addentrarci nell'HTA, occorre definire che cos'è una "malattia rara o orfana". Sono malattie che colpiscono una piccola percentuale della popolazione, di solito di origine genetica, e che coinvolgono meno di 1 su 2.000 cittadini. Il numero delle persone in Europa che soffrono di una malattia rara è stimato intorno a 30 milioni, quindi rappresentano il 6-8% della totale popolazione europea.



Queste patologie sono caratterizzate da una ampia diversità sia di disordini che di sintomi, che variano non solo da malattia a malattia, ma anche da paziente a paziente affetto dalla stessa condizione. Per questa ragione, ancora oggi, i pazienti rari e i loro familiari si devono scontrare sempre con le stesse difficoltà:

- difficoltà nel giungere ad una diagnosi corretta e precoce
- carenza di informazione
- carenza di conoscenze scientifiche
- conseguenze sociali
- carenza di cure e di accessibilità delle stesse
- carenza di risorse

Nonostante le tante difficoltà, ad oggi si può usufruire di: schemi di rieducazione e riabilitazione, di farmaci orfani recentemente proposti ed autorizzati, di terapie avanzate e apparecchiature altamente tecnologiche e infine di progressi conoscitivi in diversi campi come: nella fisioterapia, nella nutrizione/dietetica, nella gestione del dolore, in psicologia e nelle procedure di scambio di informazioni.

“Quindi a maggior ragione i malati rari diventano un patrimonio prezioso e indispensabile per un percorso di valutazione sanitario, perché portano con sé la loro esperienza di malattia e di vita, che può essere di grande aiuto nel processo decisionale.”

## Cos'è Health Technology Assessment (HTA)?

La traduzione in italiano di HTA è “**valutazione della tecnologia sanitaria**”, una complessiva e sistematica valutazione multidisciplinare delle conseguenze assistenziali, economiche, sociali ed etiche provocate in modo diretto ed indiretto, nel breve e nel lungo periodo, dalle tecnologie sanitarie esistenti e da quelle di nuova introduzione.

A molti poi sfugge la multidisciplinarietà e la multidimensionalità della valutazione e considerano HTA come delle valutazioni settoriali isolate e non integrate (solo epidemiologiche ed economiche).

Per “**tecnologia sanitaria**” s'intende, in generale, tutto ciò che può essere applicato alla soluzione di problemi pratici, all'ottimizzazione delle procedure, alla presa di decisioni, alla scelta di strategie finalizzate a determinati obiettivi. Secondo una definizione ormai piuttosto condivisa, la tecnologia sanitaria comprende le attrezzature sanitarie, i dispositivi medici, i farmaci, i sistemi diagnostici, le procedure mediche e chirurgiche,



i percorsi assistenziali e gli assetti strutturali e organizzativi nei quali viene erogata l'assistenza sanitaria.

**L'obiettivo dell'HTA** è quello di fornire informazioni sullo sviluppo di politiche sanitarie sicure, efficaci, focalizzate sul paziente e cercare di dare un valore aggiunto, come definito dai responsabili delle decisioni (decision makers).

L'HTA sottende decisioni, come:

- Un determinato trattamento/tecnica dovrebbe essere rimborsato in un sistema sanitario nazionale?
- Per quali pazienti dovrebbe essere erogato?
- Per quanto tempo i pazienti dovrebbero essere sottoposti al trattamento/tecnica?

L'HTA è un concetto ampio: per esempio, esso può comprendere l'efficacia (come accade una sperimentazione clinica), la sicurezza, la reale efficacia a livello globale e il probabile impatto sociale, giuridico, etico e politico dell'utilizzo di un farmaco.

I progressi della medicina e della tecnologia, la diffusione di sistemi organizzativi complessi e la contrazione delle risorse finanziarie disponibili per la sanità, hanno reso ovunque necessario lo sviluppo di approcci e metodologie per la valutazione degli interventi sanitari di promozione, prevenzione, diagnosi, terapia e riabilitazione.

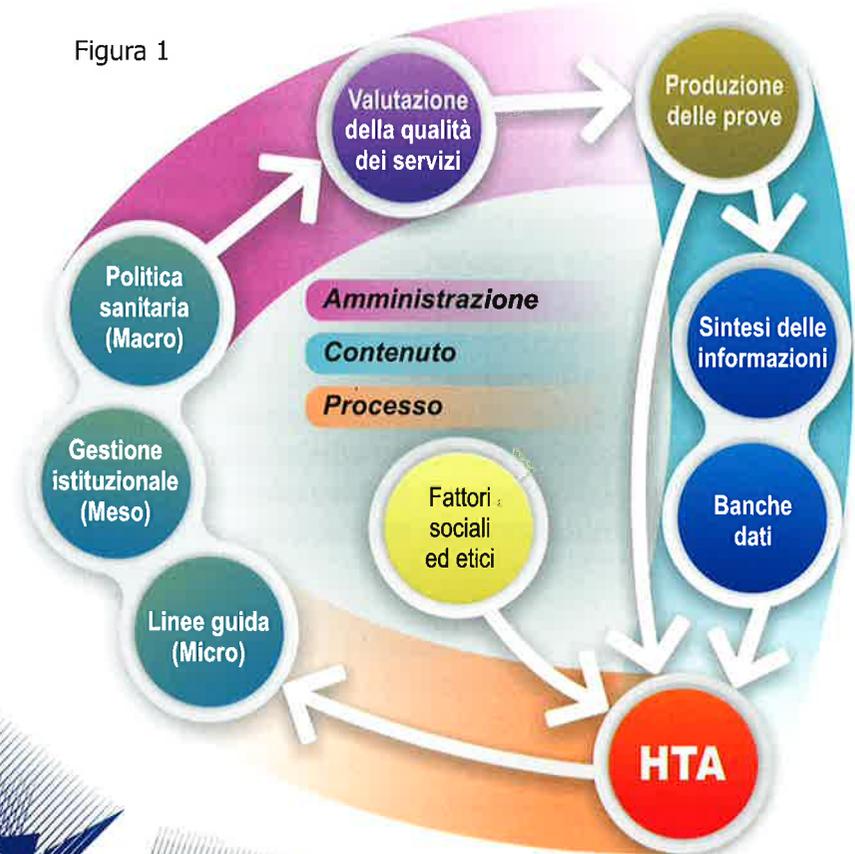
Per questo negli ultimi decenni si è assistito, in particolare, a un crescente interesse per la valutazione della tecnologia sanitaria.

## Elementi caratterizzanti l'HTA

Elementi che caratterizzano l'HTA sono:

- i contenuti della valutazione,
- i livelli ai quali i processi decisionali avvengono,
- l'amministrazione delle decisioni prese (figura 1).

Figura 1



I contenuti rappresentano il cuore della valutazione poiché danno la misura degli effetti dell'applicazione della tecnologia sulla salute (valutazione di efficacia), dei costi rispetto ai risultati (valutazione economica), di accettabilità rispetto alla cultura della popolazione (valutazione sociale) e di equità e giustizia (valutazione etica). Si deve ricordare che l'HTA è un approccio multidisciplinare e multidimensionale nel quale tutte le valutazioni di cui sopra sono fra loro integrate.

Normalmente, la priorità, che viene data per la scelta delle tecnologie da valutare e per le decisioni conseguenti, è fortemente influenzata dal seguente modello:

1. carico di malattia per la popolazione di riferimento (misure epidemiologiche di mortalità, incidenza e prevalenza);
2. efficacia della tecnologia sanitaria;
3. efficienza e impatto sulla popolazione della tecnologia;
4. sintesi multidisciplinare e multidimensionale e introduzione o applicazione della tecnologia;
5. monitoraggio;
6. rivalutazione.

Negli ultimi anni, i processi di health technology assessment si sono concentrati non solo sulle tecnologie innovative in vista della loro diffusione, ma anche su quelle obsolete o di scarso valore per la salute, dal cui disinvestimento potrebbero essere ricavate risorse per l'innovazione.

## Il processo dell'HTA

La realizzazione di prodotti HTA si caratterizza non solo per i contenuti della valutazione, ma anche per la natura e la struttura del processo attraverso il quale si arriva poi a definire il "prodotto".

Esiste un consenso sulla identificazione dei passi fondamentali nella realizzazione di un "Report" di HTA.

Le fasi sono le seguenti:

- "richiesta di un bisogno" di valutazione
- *prioritarizzazione*
- commissione del report
- elaborazione della *policy question*
- elaborazione del protocollo HTA
- raccolta di informazioni di background
- definizione della domanda di ricerca e raccolta delle evidenze
- elaborazione di una bozza e successiva condivisione e discussione dei risultati con gli stakeholder
- pubblicazione del report finale
- divulgazione e comunicazione
- utilizzo del report da parte dei decisori
- aggiornamento

L'elaborazione di un report di HTA è difficile fin dalle prime fasi: il "bisogno" di una valutazione potrebbe arrivare o dal pagante (settore politico) o da parte di una industria (privata/pubblica). La continua evoluzione tecnologica ha portato ad un sovraffollamento di richieste agli enti





di valutazione, i quali a causa delle limitate risorse si ingolfano e ritardano le valutazioni. Nella fase di *prioritarizzazione*, la politica gioca un ruolo rilevante, ma oggi sta diventando sempre più importante l'opinione degli stakeholder, come gli industriali e i rappresentanti dei pazienti. La *policy question* è l'obiettivo decisionale a cui l'evidenza deve rispondere. Riguarda di solito la raccomandazione del rimborso di una tecnologia da parte dell'ente politico di riferimento (sistema sanitario). A questo punto i valutatori raccolgono tutte le evidenze, rilevazioni e i pareri degli esperti. Finita questa fase si può creare una prima bozza che verrà sottoposta alle revisioni esterne. Solo dopo queste, il report potrà essere pubblicato e diffuso nel sistema sanitario ai diversi livelli decisionali.

L'ultima fase del processo è l'*aggiornamento*. Come sappiamo le tecnologie evolvono continuamente e quindi necessitano di revisioni continue, per questo l'HTA è soggetto a revisioni la cui frequenza dipende dalle caratteristiche della tecnologia.

## Coinvolgimento dei pazienti/cittadini nel processo di HTA

### Storia

Nel 2004, una Survey ufficializzò che molte Agenzie di HTA coinvolgevano direttamente il paziente o indirettamente, attraverso le associazioni pazienti, nei processi di decisione.

Le Agenzie Australiane e Israeliane hanno inserito i rappresentanti dei pazienti nelle varie fasi dell'HTA. Infatti il paziente era inserito o in un gruppo di revisione, oppure veniva coinvolto come rappresentante dei pazienti nella fase di decisione e infine anche nella fase di divulgazione e comunicazione.



Molto interessante è l'esperienza dell'Agenzia NICE Inglese che ha istituzionalizzato un programma di coinvolgimento dei pazienti denominato PPIP (Patient and Public Involvement Programme). Questo programma coinvolge non solo i pazienti, ma anche chi li assiste i "caregivers" e anche

le infrastrutture. Insieme generano linee-guida cliniche e raccomandazioni per l'utilizzo della tecnologia, ma anche la promozione e la divulgazione della stessa.

Le persone affette da una malattia rara e chi se ne prende cura (caregivers) comprendono meglio la necessità di un nuovo e/o più efficace trattamento. Il loro punto di vista dovrebbe contribuire alle decisioni su ciò che l'assistenza sanitaria dovrebbe fornire.

Indubbiamente l'apporto dell'esperienza dei pazienti garantisce 2 vantaggi:

1. i pazienti sono l'unica fonte dell'impatto della malattia e degli effetti che porta la nuova tecnologia
2. sono un patrimonio di informazioni sia sulle carenze sanitarie che sulle possibili soluzioni.

Per queste ragioni il paziente malato raro deve essere messo al centro del sistema, deve far conoscere la sua storia e costruire i suoi bisogni, solo così non si sentirà più un costo, ma sarà un investimento per un risparmio futuro.

Infatti le "evidenze" che forniscono i pazienti e chi se ne prende cura sono calate nella realtà, ma sono evidenze "empiriche" (fondate sull'esperienza). Nessuno sa meglio di loro su cosa significhi vivere con una malattia rara giorno per giorno. È per questa profonda conoscenza del problema che i pazienti e i gruppi di pazienti possono contribuire utilmente ad un processo di HTA.

I pazienti e i loro caregivers capiscono e possono

descrivere i veri benefici di un trattamento e la reale portata degli effetti indesiderati.

Ad esempio:

- informare sugli effetti di miglioramento dopo il trattamento (salire scale da soli, fare i conti...) e/o collaterali (impedimento ad andare al lavoro/scuola, problemi gastroenterici, cefalea)
- spiegare perché una pillola è più accettabile di un trattamento endovenoso (la noia di essere collegati ad una flebo, spostamenti all'ospedale/day hospital)
- eventuali impedimenti, come la stanchezza e la conseguente difficoltà a potersi occupare dei propri bambini.
- il tempo trascorso negli ambulatori o in regime di ricovero nell'attesa di ricevere trattamenti.



L'essere coinvolti in un HTA offre l'opportunità di aumentare la comprensione degli operatori sanitari e dei responsabili politici delle esigenze e delle preferenze dei pazienti rappresentati come individuo o organizzazione.

È inutile sottolineare che il coinvolgimento non può essere preso in considerazione solo nelle fasi finali del processo di HTA, in quanto si può creare delusione e sfiducia sulla trasparenza del processo stesso.

L'esperienza e il supporto dei pazienti con malattia rara si inserisce molto bene nelle varie fasi del processo valutativo del HTA:

- *nel momento di identificazione di una tecnologia:* ascoltando le problematiche e le prospettive del paziente nella fase iniziale si può implementare e correggere i meccanismi per avere un ottimo prodotto finale.
- *nel momento della valutazione:* il paziente affiancando medici e azienda può fornire dati, evidenze e peculiarità che possono aiutare nella decisione finale
- *nel momento della decisione:* il paziente coinvolto fin dall'inizio può, attraverso forme partecipative di valutazione, dare il suo contributo per arrivare prima alla decisione finale.
- *nel momento della comunicazione:* fase dove il paziente è indispensabile nella divulgazione sia dell'utilizzo che delle raccomandazioni del processo.

La partecipazione dove si prevede un coinvolgimento di pazienti/cittadini è un vero percorso a ostacoli, pieno di "barriere" da superare. Per esempio: occorre tradurre nel linguaggio scientifico, ossia in "evidenze", le informazioni che nascono dall'esperienza dei pazienti. È riconosciuta anche in letteratura l'utilità di queste informazioni per mettere i decisori nelle condizioni di fare scelte più eque e più sostenibili per la collettività, ma tra la teoria e la realtà dei fatti c'è un distacco enorme da superare.

Il malato raro che vuole far sentire la propria voce come "attore protagonista" a questi tavoli di discussione e di decisione su queste tecnologie, deve essere credibile e quindi competente e preparato.

Spesso non ha un'adeguata formazione e questo gli impedisce di ritenersi idoneo a partecipare ad un processo decisionale sulla propria salute e su quella degli altri cittadini che rappresenta.

Occorre quindi avere una preparazione sia :

- sul linguaggio e metodologia dei processi
- sulla "Evidence based medicine"
- sulle varie fasi del processo dell'HTA
- sui costi/efficacia
- costi risorse
- decision making
- essere aggiornati sulle tecnologie (attraverso pubbliche relazioni con aziende/ strutture)
- arrivare preparati ai forum con suggerimenti e facilitare i processi
- dimostrare indipendenza e trasparenza nei bilanci e nelle modalità di rapporto con aziende e strutture.

### **Quale contributo di "evidence" può dare il paziente malato Raro?**

L'evidenza dei malati rari e dei loro caregivers, si basa sulla descrizione qualitativa di pareri e opinioni, sulla fornitura di dati e per questo motivo possono essere invitati a partecipare alla ricerca attraverso focus group o interviste. Questo è un modo efficace di contribuire all'HTA!

L'esperienza del paziente include non solo la sua profonda conoscenza della malattia, ma anche tutte le limitazioni che comporta, e l'impatto sul benessere mentale/sociale di una persona.

L'evidenza del paziente non deve mai perdere di vista la tecnologia che si sta valutando, e la storia di un paziente è rilevante per spiegare l'esperienza della malattia.



### Passaggio dal disease all'illness.

L'accento andrebbe posto sulle informazioni di cui dispongono solo pazienti e caregivers. L'esperienza del paziente può spiegare l'impatto di una tecnologia in relazione alla gestione sia della malattia sia sulla qualità della vita, ambito in cui i gruppi di pazienti sono in grado di contribuire maggiormente ai processi di HTA.

Le valutazioni della qualità della vita possono aiutare la commissione di HTA a comprendere l'impatto delle tecnologie in fase di studio sulla vita quotidiana.

I pazienti e i loro caregivers sanno esattamente qual è l'impatto di una malattia sulla vita quotidiana e come i trattamenti specifici o le strategie di gestione possono influenzarne e cambiare la loro qualità di vita!

***Io credo che le nuove tecnologie offrano grandi opportunità,  
ma anche che nascondano grandi pericoli.***

***Il trucco sta nel cogliere le opportunità,  
evitare i pericoli e tornare a casa per l'ora di cena.***

*(Woody Allen)*

### Conclusioni



L'HTA sta avendo sempre più un'importante influenza nelle decisioni in materia di assistenza sanitaria, sia per lo screening delle malattie sia per le cure di malattie gravi. In Europa vi è già un considerevole dibattito riguardo a una maggiore collaborazione tra le agenzie di HTA. L'esperienza italiana è ancora in una fase iniziale di sviluppo, con diverse incertezze ancora nella architettura del sistema stesso. Nel nostro Paese, infatti, non esiste una specifica Agenzia nazionale di HTA. Esistono invece diverse esperienze in merito alla produzione di rapporti, sia su base nazionale che regionale.

Le più importanti sono state: l'elaborazione della Carta di Trento ([www.trentinosalute.net](http://www.trentinosalute.net)) e la nascita della Società Italiana di HTA (SIHTA) ([www.sihta.it](http://www.sihta.it)). Recen-

temente alcune Regioni si sono dotate di strumenti legislativi che hanno consentito di formalizzare e di avviare specifiche attività di valutazione di tecnologie biomediche, fra cui farmaci, dispositivi medici, apparecchiature diagnostiche, vaccini.

Sebbene partecipare a un HTA possa comportare un impegno in termini di tempo e costituire una sfida, è una reale opportunità di influenzare l'erogazione di assistenza sanitaria.

I contributi dei pazienti e dei cittadini possono aiutare a determinare se un nuovo trattamento sarà reso disponibile. Le competenze sono un requisito indiscutibile, sia sul piano della tutela dei diritti nelle politiche sanitarie sia sul piano più scientifico nella tutela della salute, come la partecipazione agli studi clinici.

Si deve riuscire a superare gli interessi particolari, da pazienti di una singola patologia, promuovendo un approccio più trasversale da "cittadini", così da essere interlocutori alla pari e consiglieri in tutte le aree che investono la salute, collaborando con i clinici, i ricercatori, le aziende farmaceutiche, la pubblica amministrazione e le agenzie regolatorie.

## Bibliografia

1. Cicchetti, Marchetti: *Manuale di Health Technology Assessment "Il pensiero scientifico Editore"*, Roma 2010
2. Favaretti, *Decidere con saggezza: Health Technology Assessment strumento per governare l'innovazione e il disinvestimento*, 2013
3. G. La Torre, A. Monteduro, F. Kheiraoui: *Comprendere l'Health Technology Assessment (HTA) Ed. Italiana Health Equality*, 2009
4. Teresa Petrangolini: *Il ruolo dei cittadini nei processi di HTA "Patient and citizen involvement"*, 2012
5. Claudio Jommi : *Market Access, HTA e valutazione economica dei farmaci: Economia e Regolazione del Farmaco*, 2010
6. Recchia, Barbon, Mazzariol, Taranto: *"Paziente esperto, da passeggero a copilota della ricerca terapeutica?" forward.recentiproggressi*, 2016

## Siti web

1. Time: <http://healthland.time.com/2013/02/07/both-my-sons-deserve-to-live-a-mothers-plea-for-quicker-action-from-the-fda/>
2. Agenzia Sanitaria per i servizi sanitari regionali (Age.Na.S.)
3. Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA)
4. Uniamo – FIMR onlus. Determinazione Rara.  
<http://www.uniamo.org/en/progetti/determinazione-rara>
5. Eupati – Accademia europea dei pazienti. <https://www.eupati.eu>
6. Le linee guida europee sulla validazione dell'apprendimento non formale e informale <http://www.orientamento.it>

**UNIAMO GOLDIN ringrazia Chiesi Farmaceutici SpA  
per aver finanziato questo opuscolo.**

Grazie anche alle tante persone che hanno fornito commenti e consigli  
durante lo sviluppo dell'opuscolo.