



Quaderno della I Edizione Forum Pazienti

**“La prospettiva del paziente nel sistema
regolatorio e di accesso”**

Milano, 5 e 6 giugno 2025

Sommario

Premessa	3
GdL1: PRO(M) - Ruolo nella valutazione comparativa di efficacia e rischio (QoL collegati allo stato di salute)	5
Premessa ed obiettivi	5
Risultati	6
GdL2: PRE(M) - Ruolo nella valutazione del valore	9
Premessa ed obiettivi	9
Risultati	10
GdL 3: Ruolo dei PRO(M) e PRE(M) nel processo regolatorio e di accesso... ..	13
Premessa ed obiettivi	13
Risultati	13
Conclusioni.....	17
Acronimi	19
Allegato 1: Organi del Forum Pazienti e Gruppi di Lavoro	21
Allegato 2: Programma del Seminario	24

Premessa

Il 5 e 6 giugno 2025 si è svolta la **prima edizione del Workshop Forum Pazienti** dal titolo “La prospettiva del paziente nel sistema regolatorio e di accesso”, organizzato da Dephaforum con il coordinamento scientifico di Giuliano Buzzetti (Dephaforum) e Claudio Jommi (Università del Piemonte Orientale).

L’idea di realizzare un Workshop su questo tema nasce dalla diffusa percezione che vi sia una crescente attenzione alla prospettiva del paziente a livello europeo sia nei soggetti che approvano il farmaco sulla base del profilo rischio-beneficio assoluto (sistema regolatorio) (EMA – European Medicines Agency), sia in termini prospettici, nelle valutazioni comparative legate all’applicazione del Regolamento (UE) 2021/2282 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie. Nel contempo però, sarebbe necessario un maggiore sforzo nel riconoscimento di tale prospettiva in Italia (sistema di accesso), con riferimento, nello specifico, a rimborsabilità, determinazione dei prezzi in relazione al valore, scelte regionali su centri prescrittori, rete di offerta, percorso del paziente, modelli distributivi ed indirizzi al comportamento prescrittivo tra alternative terapeutiche o formulazioni alternative per lo stesso farmaco.

La prospettiva del paziente viene associata ad evidenze sugli effetti del farmaco che vanno oltre ed integrano la valutazione clinica. La definizione più comune di Patient Reported (Measure) (PR(M)) è quella della Food and Drug Administration (FDA), ovvero “qualsiasi dato sullo stato di salute del paziente che proviene direttamente dal paziente stesso, senza l’interpretazione del clinico o di altre figure”. Anche l’EMA definisce un PR(M) come “qualsiasi risultato valutato direttamente dal paziente stesso e basato sulla percezione da parte del paziente di una malattia e del suo trattamento”.

Nello specifico:

- i *Patient Reported Outcome* (PRO) e gli indicatori di misurazione degli stessi (*Patient Reported Outcome Measure* **PROM**), sono una delle componenti fondamentali dell’effetto terapeutico di un farmaco e del suo profilo di rischio, con riferimento in particolare alla Qualità di Vita (QoL) correlata allo stato di salute (Health-Related QoL - HR-QoL);
- i *Patient Reported Experience* (PRE) e gli indicatori di misurazione degli stessi (*Patient Reported Experience Measure* **PREM**), hanno un ampio ambito di applicazione. Sono nati inizialmente per la valutazione dell’esperienza dei pazienti sui servizi sanitari e più in generale sul percorso di cura (facilità di accesso ai servizi, tempestività delle prestazioni, chiarezza nella comunicazione con i professionisti sanitari, rispetto della dignità del paziente, coerenza tra le aspettative e i servizi ricevuti). In una fase successiva la valutazione dell’esperienze si è estesa a beni e tecnologie sanitarie e, in particolare, alle terapie farmacologiche. Nel presente Workshop l’esperienza è stata identificata nello specifico:
 - come ulteriore componente del valore della terapia (ad esempio, modalità di somministrazione) che possono migliorare la QoL del paziente non correlata allo stato di salute o possono incidere su aspetti (ad esempio aderenza) potenzialmente collegati all’effetto terapeutico;
 - come esperienza espressa in termini di preferenze dei pazienti, ovvero di valore relativo attribuito dai pazienti ai singoli domini nella scelta di una terapia.

La valutazione dell'esperienza e, eventualmente, degli esiti include sia quella direttamente espressa dal paziente sia quella dei caregiver.

La prospettiva del paziente dovrebbe in sostanza essere sempre considerata e valorizzata in relazione alle scelte che devono essere fatte, considerando che:

- l'impatto sulla HR-QoL dovrebbe essere parte integrante del valore terapeutico di un farmaco, colto dai PRO;
- le altre dimensioni della QoL (ad esempio, più facile somministrazione), colte dai PRE, rappresentano comunque parte del valore, che si traducono in effetto terapeutico se producono una maggiore aderenza / persistenza al trattamento e, quindi, una maggior efficacia.

Tutti questi temi, la cui scelta è stata validata dagli esperti del Comitato Promotore del Workshop (Allegato 1), sono stati affrontati in **tre Gruppi di Lavoro (GdL)**, con approccio multidisciplinari e *multi-stakeholder* (Allegato 1), allo scopo sia di fare il punto su quanto l'assetto attuale regolatorio e di accesso consideri le valutazioni nella prospettiva del paziente e sulle principali problematiche di natura metodologica sia di formulare proposte concrete ed innovative per un miglioramento di tale assetto.

Nello specifico i tre GdL hanno affrontato e **discusso i seguenti temi**:

- ruolo dei PRO(M) nella valutazione comparativa di efficacia e rischio (HR-QoL);
- ruolo dei PRE(M) nella valutazione del valore;
- ruolo dei PRO(M) e PRE(M) nel processo regolatorio e di accesso (essenzialmente nazionale, ma anche con spunti a livello regionale).

La discussione dei tre GdL ha avuto natura tecnica e, tendenzialmente, non ha affrontato direttamente tematiche di processo valutativo e negoziale (ad esempio, come gestire al meglio l'interazione tra soggetti rappresentanti dei pazienti e soggetti istituzionali) e le condizioni di policy più generali affinché sia facilitato il riconoscimento del valore nella prospettiva del paziente, ovvero sia creato un ambiente che «accolga» tale prospettiva. Se tale ambiente non è modificabile nel breve periodo, si è condivisa la rilevanza che gli elementi critici siano considerati per un loro superamento. Tra questi risultano **cruciali**:

- il sistema di gestione delle risorse a silo, che non consente di valorizzare gli effetti di un farmaco su altre parti del sistema sanitario e sulla società nel suo complesso;
- la necessità di prevedere interazioni con i pazienti, almeno nella fase di *assessment*, ovvero di valutazione tecnica.

Il presente documento sintetizza gli esiti dei GdL e, nelle conclusioni, sintetizza le raccomandazioni comuni ai tre GdL e suggerimenti sui possibili approfondimenti futuri emersi nella discussione finale. Il report è stato redatto da Claudio Jommi a partire da tre documenti redatti dai referenti di Dephaforum per gruppo revisionate dai Coordinatori dei GdL.

GdL1: PRO(M) - Ruolo nella valutazione comparativa di efficacia e rischio (QoL collegati allo stato di salute)

Premessa ed obiettivi

I **PRO(M)** sono gli strumenti utilizzati per misurare in maniera standardizzata gli esiti riportati dai pazienti ed hanno l'obiettivo di valutare **l'impatto terapeutico di un trattamento**. Rilevano la qualità della vita in relazione allo stato di salute del paziente, e dunque hanno l'obiettivo di indagare, in modo standardizzato, le dimensioni che riguardano il suo **benessere fisico e mentale**, la sua capacità di **svolgere attività quotidiane** e di condurre la propria vita durante un trattamento.

I **PROM** si presentano come domande singole, questionari, scale o punteggi completati dai pazienti, che, combinati con i dati clinici, forniscono un quadro più completo dello stato di salute del paziente. La raccolta di questi dati consente di ottenere la prospettiva della persona che vive la malattia riguardo a un determinato trattamento, andando al di là del dato clinico di sicurezza ed efficacia tradizionalmente misurato dagli sperimentatori, e raccogliendo quindi le istanze riferite agli aspetti intangibili del benessere della persona: funzionamento fisico e cognitivo, *burden* sociale e benessere psichico ed emotivo.

I PRO(M) si suddividono in

- **specifici** che
 - sono sviluppati per misurare specificatamente gli esiti di salute che sono rilevanti per individui con una particolare condizione medica,
 - si focalizzano su sintomi specifici e sul loro impatto sulla funzionalità e la vita quotidiana del paziente,
 - hanno validità, affidabilità e responsività superiori rispetto ai generici, e, per questo motivo sono tendenzialmente preferiti dai clinici;
 - si possono ulteriormente suddividere in strumenti specifici per area terapeutica (es. EORTC - *European Organisation For Research And Treatment Of Cancer* - C30 in ambito oncologico) e strumenti specifici per patologia (es. EORTC LC – *Lung Cancer* - per il tumore al polmone).
- **generici** (es. SF-36, EQ-5D) che
 - sono sviluppati per essere utilizzati in qualsiasi tipologia di paziente (inclusi gli individui sani);
 - si soffermano su aspetti generali della salute (es. funzioni fisiche / mentali, dolore, fatica, ansia...);
 - hanno validità, affidabilità e responsività inferiori rispetto ai PRO(M) specifici, e, per questo motivo sono, in generale, meno rilevanti per i clinici e vengono usati in sinergia con questionari specifici per patologia;
 - utili nel contesto delle valutazioni economiche in quanto, a differenza della gran parte dei PRO(M) specifici, possono essere convertiti in un peso, normalmente compreso tra 0 ed 1 (anche se possono esserci scale con valori negativi quando lo stato di salute è considerato peggiore della morte) che consente di ponderare gli anni di vita rispetto alla qualità connessa allo stato di salute e misurare i cosiddetti QALY (*Quality Adjusted Life Years*).

L'obiettivo che si è posto il GdL 1 è quello di inquadrare vantaggi, potenzialità d'uso, criticità, adeguatezza e robustezza metodologica dei PRO(M), in quanto tali e rispetto al loro utilizzo nel

contesto regolatorio, e fornire raccomandazioni finalizzate a potenziare il loro valore informativo ed il loro uso in tale contesto.

Data la complessità del tema, **il GdL ha ritenuto opportuno concentrarsi sull'uso dei PRO(M) nello sviluppo clinico di un farmaco e nell'uso delle relative evidenze a fini regolativi.**

Risultati

Il GdL ha in primo luogo condiviso due assunti di base, ovvero che:

- i PRO(M) sono rilevanti ed il loro utilizzo è importante nella definizione del valore di un trattamento;
- per implementare il loro utilizzo occorre, tra gli altri aspetti, un cambiamento culturale che porti ad una conoscenza diffusa e ad un riconoscimento condiviso della loro importanza.

Il GdL ha poi sintetizzato i **principali vantaggi dei PRO(M)**, ovvero il fatto che:

- catturano dimensioni che vanno ad integrare le evidenze cliniche (di efficacia e sicurezza);
- soddisfano un bisogno informativo, quantificando la valutazione effettuata dal paziente, senza il filtro degli operatori;
- consentono di individuare indicatori/informazioni non altrimenti documentati/e (sintomi soggettivi, valutazione di impatto sulla sfera emotiva);
- possono supportare il processo regolatorio e di accesso.

Per quanto il GdL abbia discusso il tema dei PRO(M) essenzialmente nel contesto sperimentale, è stato **evidenziato come**:

- il valore informativo dei PRO(M) va oltre lo sviluppo sperimentale, essendo potenzialmente molto utili anche negli studi *real-world*. Ad oggi la grande maggioranza degli studi *real-world*, essendo retrospettivi, non hanno valorizzato l'impiego dei PRO(M). Una buona ricerca *real-world* con disegno prospettico, potrebbe favorirne l'utilizzo e la considerazione;
- i PRO(M) possono offrire informazioni di supporto al clinico sia nel rapporto / comunicazione con / ai pazienti, sia nella scelta e gestione della terapia;
- la rilevazione dei PRO(M) può essere utile anche per una valutazione più completa di impatto sulle aziende sanitarie, e, quindi, per il management sanitario.

Sono state però rilevate alcune criticità dei PRO(M) sia di natura tecnica sia rispetto al loro utilizzo a fini regolatori.

Le **criticità tecniche riguardano**:

- la possibile discrepanza tra valutazione clinica e PRO(M) e la conseguente difficoltà di effettuare una valutazione complessiva di esito;
- la selezione dello strumento, in relazione
 - alla sua disponibilità, molto variabile nelle aree terapeutiche,
 - alla validazione psicometrica e linguistica (affidabilità, validità, sensibilità, traduzione),
 - alla rilevanza per pazienti, clinici, regolatore, pagatori, ovvero al suo effettivo inserimento in un "*core outcome set*" di patologia;
- le barriere alla compilazione, rappresentate

- dalla modalità di compilazione e dalla necessità di un *design* adeguato dello strumento,
- dal *burden* della compilazione (numerosità e modalità di somministrazione);
- l'analisi statistica, la cui robustezza / complessità può essere inficiata o resa più complessa da dati mancanti, dalla natura longitudinale delle rilevazioni, dal *timing* delle misurazioni, dagli *scoring*, ecc. Ulteriori difficoltà emergono poi in caso di studi a braccio singolo (rispetto a quelli con braccio di controllo) e in aperto (rispetto a studi in cieco), pur non essendoci totale concordanza sulla sostanziale differenza tra studi in aperto ed in cieco rispetto alla affidabilità dei dati raccolti;
- l'interpretazione del dato, che richiederebbe
 - la disponibilità di soglie / valori di differenza minima importante (*Minimal Important Difference* - MID), articolate per patologia, anche se la letteratura non è totalmente concorde sulla affidabilità di soglie MID;
 - sistemi di reporting tempestivo e completo,
- una visualizzazione dei risultati pensata per fruitori diversi (grafici, dashboard).

Alle criticità tecniche si aggiungono **elementi di contesto che rendono complessa l'adozione di questo strumento**. Tra queste sono state segnalate dal GdL come più rilevanti:

- una consapevolezza e conoscenza sul tema ancora limitate, nell'intera sfera di gestione della sanità;
- il fatto che le Linee Guida prodotte dal Gruppo di Coordinamento del Regolamento (UE) 2021/2282 relative al *Joint Clinical Assessment (JCA)* includono indicazioni sui PRO(M) ma non vi sono raccomandazione su quali utilizzare;
- la QoL (misurata tramite i PRO) a livello regolatorio è stata comunque finora complementare ed ha assunto un peso residuale rispetto alle valutazioni di efficacia e sicurezza;
- l'approccio conservativo del regolatorio ha spinto le imprese farmaceutiche ad interrogarsi sull'opportunità di attivarsi maggiormente nell'inserimento dei PRO(M) nei protocolli di ricerca a causa della incertezza di una loro effettiva considerazione da parte dell'ente regolatorio, sulla base di criteri condivisi e metodologie rigorose.

Dall'analisi di vantaggi e criticità dell'uso dei PRO a livello regolatorio sono derivate alcune raccomandazioni da parte del GdL. **Nello specifico il GdL ha suggerito di:**

- rafforzare programmi di informazione e formazione sul tema, in *primis* a livello di professionisti sanitari, pazienti e loro associazioni di riferimento e *caregiver*;
- elevare la considerazione/il peso dei PRO a livello regolatorio;
- definire una metodologia validata specifica per area di patologia (cosa raccogliere, come raccogliere, quando e chi), riconoscendo la differenza tra categorie di pazienti (ad esempio, per età e sesso);
- implementare un database di PRO(M) validati (sull'esempio del progetto PRO4ALL per l'area oncologica) che costituisca una base di discussione per individuare i PRO(M) specifici per singolo studio clinico, discussione che deve coinvolgere i diversi *stakeholder* (società scientifiche, soggetti regolatori, associazioni pazienti, ecc.);
- inserire «di norma» i PRO(M) nei protocolli di ricerca e valutare la possibilità di includerli tra gli endpoint primari
 - in caso non ci siano altre alternative;

- combinandoli con *endpoint* clinici, anche per aumentare la probabilità di avere significatività (cfr. infra).
- pubblicare tempestivamente i risultati dei PRO(M) raccolti negli studi sperimentali;
- prevedere la valutazione dei PRO anche in studi osservazionali prospettici in un *setting* post registrativo, se ben disegnati;
- investire su algoritmi per la derivazione dei valori delle utilità, ovvero di pesi che riflettano la QoL, eventualmente declinati a livello nazionale, a partire da questionari specifici per patologia (e non solo come avviene attualmente per quelli generici), particolarmente rilevanti per gli studi di valutazione economica;
- individuare e coinvolgere nel percorso di rilevazione dei PRO(M) tutti gli interlocutori/attori necessari (ad esempio, tutte le figure coinvolte negli studi clinici ed il *caregiver* oltre al paziente);
- stabilire e condividere una MID, possibilmente validata in letteratura, per interpretare la rilevanza delle differenze nella prospettiva del paziente oltre la significatività statistica dei risultati, nonostante i dubbi già specificati di una parte della letteratura sui MID.

GdL2: PRE(M) - Ruolo nella valutazione del valore

Premessa ed obiettivi

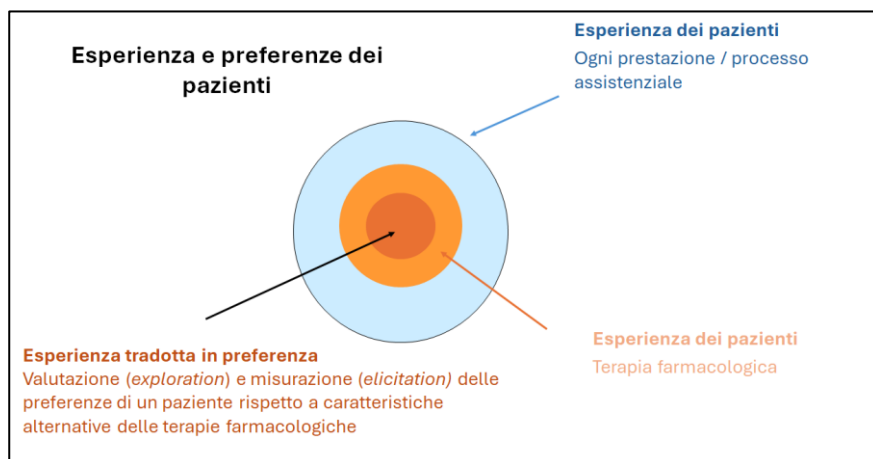
Come già specificato i PRE(M), ovvero la misurazione della esperienza del paziente, hanno un ampio ambito di applicazione e sono nati inizialmente per la valutazione dell'esperienza dei pazienti rispetto all'erogazione dei servizi sanitari e più in generale al percorso di cura. Questo tipo di informazioni consente di valutare la qualità percepita nei diversi territori, identificare eventuali criticità nei percorsi regionali (es. disparità territoriali nell'accesso) e orientare strategie di miglioramento continuo con un approccio realmente centrato sul paziente.

Solo in una fase successiva la valutazione delle esperienze si è estesa a beni e tecnologie sanitarie e, in particolare, alle terapie farmacologiche, con un *focus* su domini che riflettono le componenti che rendono più o meno accettabile una terapia.

Con riferimento alla valutazione del peso dei domini che compongono il valore del farmaco (efficacia, sicurezza, modalità e frequenza di somministrazione, luogo di somministrazione, ecc.) e delle altre tecnologie sanitarie, la valutazione dell'esperienza (vissuta in termini retrospettivi o ipotizzata in termini prospettici) si è consolidata e finalizzata a dedurre le preferenze dei pazienti, ovvero il valore relativo attribuito dai pazienti ai singoli domini nella scelta.

Il GdL si è focalizzato su questo ultimo tema, ovvero sulle **preferenze, valutate e misurate, dei pazienti rispetto ai domini / attributi che caratterizzano una terapia e che vanno oltre il suo profilo di efficacia e rischio** (Figura 1).

Figura 1: Focus del GdL - le preferenze dei pazienti nell'ambito dei PRE



Per quanto esistano diversi elementi critici, le metodologie sulla descrizione e, soprattutto, la misurazione, delle preferenze sono relativamente consolidate (da metodi basati su *ranking* e *rating* a studi basati su espressione di indifferenza tra scenari alternativi a metodi basati su scelte discrete) e si è ritenuto opportuno non affrontarle in questa sede.

Il GdL si è **invece concentrato su questi elementi**:

- per quale obiettivo dovrebbero essere utilizzati gli studi di preferenza del paziente?

- quale è il loro utilizzo attuale e come dovrebbero posizionarsi in futuro tale utilizzo?
- come devono essere realizzati gli studi di preferenza dei pazienti per aumentarne l'utilizzo?
- chi dovrebbe promuoverli e realizzarli?
- quali sono le condizioni abilitanti del loro effettivo utilizzo?

Risultati

In generale, l'obiettivo di queste analisi è valutare le preferenze / il peso attribuito alle dimensioni di alternative terapeutiche, ovvero:

- **efficacia e sicurezza** attraverso parametri clinici ed **effetto sulla QoL**;
- **dimensioni «non terapeutiche» o con effetti terapeutici indiretti** (mediati da aderenza)
 - diversa modalità di somministrazione (endovena, sottocute, orale),
 - setting di somministrazione,
 - frequenza di somministrazione ed intervalli liberi da trattamento (quando complesso),
 - presenza di dispositivo a supporto delle somministrazioni,
 - programmi più ampi di Patient Support Program (PSP),
 - impatto sulla gestione assistenziale e sul caregiver.

Gli studi sulle preferenze dei pazienti sono attualmente utilizzati in prevalenza dalle imprese nelle fasi di:

- **ricerca e sviluppo**
 - per prioritizzare e lo sviluppo clinico verso aree ad elevato *unmet need* in senso ampio (non solo terapeutico),
 - valutare *ex ante* le prospettive di accettabilità della terapia, quando somministrata con metodiche complesse o con profilo di rischio atteso rilevante,
 - valutare la rilevanza degli endpoint per i pazienti nel disegno dello studio clinico;
- **approvazione dei farmaci**, per comprendere il valore globale del farmaco nella prospettiva dei pazienti: ad esempio, per valutare il *trade-off* rischio-beneficio o il peso attribuibile agli endpoint secondari riportati dai pazienti, quando l'endpoint primario di tipo clinico non ha raggiunto la significatività statistica;
- **analisi di marketing** per comprendere
 - l'impatto delle preferenze dei pazienti sui comportamenti prescrittivi, in presenza di un profilo rischio-beneficio sostanzialmente comparabile, e indirizzare la comunicazione / informazione sui fattori che influenzano maggiormente la scelta terapeutica,
 - l'impatto di programmi di supporto al paziente finalizzati ad aumentare l'uso appropriato / aderenza al trattamento.

Le analisi di preferenza dei pazienti non vengono invece utilizzate:

- nella definizione del valore del farmaco per la negoziazione di Prezzo e Rimborso (P&R)
 - in quanto il premio di prezzo non è influenzato da domini non terapeutici e non esiste conseguentemente una sezione dedicata alle PRE,

- per quanto potrebbero essere utilizzate per la valutazione differenziale utile per evitare sconti eccessive rispetto ai concorrenti,
- in generale dai valutatori / pagatori pubblici, quando queste potrebbero essere utili
 - per sostenere iniziative di indirizzo alla scelta prescrittiva e/o per valutare la fattibilità di tali indirizzi prescrittivi, considerando l'esperienza dei pazienti, laddove questa scelta è fortemente condizionata dalle preferenze dei pazienti: ad esempio, preferenza per l'uso di farmaci coperti da brevetto con modalità di somministrazione più accettabile rispetto a farmaci a brevetto scaduto ma più complessi da gestire,
 - per valutare l'effetto delle preferenze dei pazienti sulle scelte regionali in materia di governo dell'assistenza farmaceutica: ad esempio, diverse modalità di scelta dei centri prescrittori e di distribuzione dei farmaci.

Il GdL ha poi discusso quali siano le condizioni per un maggiore utilizzo di studi di rilevazione delle preferenze dei pazienti ed ha fornito le **seguenti raccomandazioni**:

- definire un metodo dell'analisi coerente con la domanda di ricerca;
- tenere conto della rilevanza del contesto: gli studi dovrebbero essere realizzati in Italia o dovrebbero essere trasferibili al contesto italiano;
- condurre studi rigorosi, in termini di disegno dello studio e sua implementazione, con una numerosità e rappresentatività del target adatti all'obiettivo (ad esempio, per una malattia con un decorso clinico eterogeneo come la sclerosi multipla è importante individuare pazienti rappresentativi di diverse fasce). **Su questo elemento il GdL ha osservato che:**
 - potrebbe essere utile un indirizzo a livello AIFA sul rigore minimo richiesto per tali studi,
 - la numerosità campionaria, analogamente agli studi sperimentali, dovrebbe essere adattata a specifiche situazioni: ad esempio per le malattie rare è molto complesso raggiungere dimensioni importanti. Si è sottolineato, attraverso la discussione di casi specifici, come sia fondamentale su questo tema la capacità di reclutamento dei pazienti da parte delle associazioni di riferimento ed il coinvolgimento di tutti gli *stakeholder*, inclusi i Medici di Medicina Generale (MMG) e farmacisti (ospedalieri e di farmacia di comunità);
- rendere noto il disegno dello studio, la modalità di gestione, i soggetti coinvolti (incluso il promotore), la proprietà dei dati, le pubblicazioni e i rapporti tra portatori di interesse.

Il GdL ha concordato che non c'è necessità di normare in modo specifico chi debbano essere i promotori degli studi sulle preferenze dei pazienti e le organizzazioni deputate a realizzarli. Il GdL ha semplicemente osservato l'importanza di disegnare i rapporti di collaborazione dei progetti in base alle competenze sul disegno dello studio, la *capacity* di reclutare i *responder* ed entrambi i fattori (competenze e *capacity*) rispetto all'analisi ed interpretazione dei risultati. Il GdL ha però sottolineato come:

- dovrebbero essere sempre coinvolte le Associazioni Pazienti, soprattutto nella fase iniziale di definizione degli attributi / domini da includere e di valutazione del grado di complessità del questionario, nonché nella fase di reclutamento dei pazienti;
- sia importante condividere il progetto con i soggetti istituzionali (regioni ed aziende sanitarie).

L'effettivo utilizzo degli studi di preferenza dei pazienti, secondo il *panel* di esperti, è facilitato se:

- il tema (delle preferenze) è rilevante, ovvero se le preferenze
 - sono potenzialmente un fattore di scelta,
 - hanno un presunto impatto sulla compliance al trattamento
 - si integrano con altri aspetti rilevanti per il sistema sanitario (es. impatto organizzativo);
- vengono definiti **criteri minimi di rigore nello studio**, da parte di chi dovrebbe usarli;
- si è **trasparenti su obiettivi ed utilizzo nel processo regolatorio e di accesso**.

Infine, il GdL si è posto il problema se sia necessaria una **classificazione degli studi di preferenze a livello regolatorio** e si è concordato che si tratta di una fonte di informazioni aggiuntive di cui l'ente dovrebbe tener conto ai fini della valutazione comparativa e che quindi (cfr. *supra* e GdL 3) dovrebbe almeno essere inclusa una sezione dedicata nel dossier di P&R di AIFA.

GdL 3: Ruolo dei PRO(M) e PRE(M) nel processo regolatorio e di accesso

Premessa ed obiettivi

Il GdL 3 è partito dagli **elementi in parte già specificati** in premessa, ovvero:

- dell'attuale scarsa considerazione degli esiti, esperienze e preferenze riportate dai pazienti nella gestione del ciclo di vita di un farmaco, soprattutto nel processo di accesso del farmaco a livello nazionale (e regionale, con riferimento nello specifico a esperienze / preferenze) e di rivalutazione successiva di tali condizioni di accesso;
- del ruolo limitato delle associazioni dei pazienti nella co-ideazione e scelta degli indicatori che misurano il valore sociale del farmaco ed il suo impatto sulla QoL, ma anche nella definizione del valore dei dati prodotti dai PRO(M) e PRE(M) ai fini della valorizzazione del farmaco, della valutazione di innovatività, della sua rimborsabilità e del prezzo e della loro rinegoziazione.

L'obiettivo del GdL è stato quindi di analizzare il possibile ruolo di PRO(M) e PRE(M) nella gestione dell'accesso nazionale (e regionale), con lo scopo di:

- creare un linguaggio condiviso e interoperabile tra istituzioni, industria, professionisti e cittadini
- strutturare e accreditare questi strumenti nel processo decisionale.

La discussione si è articolata nella consapevolezza che sia importante, in termini più generali, valorizzare la voce del paziente come elemento fondante di un sistema sanitario più equo, sostenibile e orientato al valore.

Risultati

Il GdL ha analizzato il potenziale ruolo di PRO(M) e PRE(M) nelle fasi successive alla (eventuale) valutazione a livello europeo (JCA - e Joint Scientific Consultation - JSC) (per la quale ha richiamato l'importanza del loro coinvolgimento in tutte le fasi, dalle diverse forme di consultazione, alla definizione dei PICO nella fase di *scoping*, alla garanzia di uso effettivo delle evidenze riportate dai pazienti nel dossier), ovvero (Figura 2)

- nella valutazione dell'innovatività in AIFA;
- nella negoiazione di P&R;
- a livello regionale, per il quale, pur non essendo il *focus* specifico del Workshop (cfr. GdL 2), possono assumere un importante valore informativo i PRE;
- nella rinegoziazione di prezzo (e rimborso) e, più in generale, nella valutazione di impatto in *real-life*.

In termini generali, anche il GdL 3 ha sottolineato **l'importanza della robustezza del dato**, ovvero che:

- i dati siano raccolti, analizzati e interpretati secondo criteri metodologici rigorosi e condivisi, che ne assicurino la validità scientifica, la riproducibilità e la chiarezza interpretativa;
- tali criteri metodologici siano resi espliciti (trasparenza dei criteri).

Figura 2: Ruolo di PROM e i PREM nel *lifecycle management* del farmaco



Con riferimento alla fase AIFA (valutazione dell’innovatività e negoziazione del P&R), viene suggerita (cfr. anche GdL 1 e 2) la creazione di un capitolo dedicato all’interno del Dossier di P&R, Sezioni B e C per facilitare la valutazione del valore riportato dal paziente. L’inserimento di un capitolo dedicato all’interno dei dossier AIFA consentirebbe di sistematizzare e mettere a fuoco le evidenze generate da PRO(M) e PRE(M), offrendo agli organismi di valutazione uno strumento in più per cogliere il valore percepito dai pazienti. Un tale approccio, se ben strutturato, potrebbe essere introdotto senza appesantire il processo regolatorio, anzi, contribuendo a renderlo più aderente ai bisogni reali della popolazione target.

Lo stesso capitolo dovrebbe prevedere una **distinzione tra dati raccolti in contesti sperimentali (PRO) e dati / evidenze *real-world*** che meglio riflettono l’eterogeneità dei pazienti, delle condizioni di trattamento e dei modelli organizzativi e che, come tali riguardano per definizione i PRE (a meno di trial pragmatici), ma possono riguardare anche i PRO. La raccolta di dati *real-world* è necessaria per valutare l’impatto di fattori come la modalità di somministrazione, l’organizzazione del percorso terapeutico e i canali distributivi, inclusi modelli come *home delivery* e la somministrazione domiciliare, che possono influenzare sia l’esperienza sia l’aderenza del paziente.

Con riferimento al **tema dell’innovatività**, il GdL ha concordato con gli altri due GdL sul fatto che il riconoscimento dell’innovatività di un trattamento si fonda su parametri ancora troppo legati a dimensioni cliniche tradizionali. In questo scenario, i **PRO(M)** rappresentano strumenti **validi** per cogliere aspetti essenziali dell’esito riferito dal paziente e possono essere strumenti supportivi nei processi di attribuzione dell’innovatività. Per questo viene suggerito:

- l’inserimento esplicito dei PRO(M) tra i criteri determinanti l’innovatività, al pari degli endpoint clinici tradizionali¹;

¹ Con la successiva Determina Pres-966-2025 del 9/7/2025 sui nuovi criteri di innovatività si specifica che la “Commissione terrà conto, quando disponibili e se validati, anche dei Patient-Reported Outcomes Measures (PROMs) e delle Patient-Reported Experiences Measures (PREMs) solo nei casi in cui questi siano in grado di dimostrare un significativo miglioramento della qualità di vita dei pazienti. L’inserimento esplicito dei PRO(M) nei criteri di valutazione dell’innovatività è quindi avvenuto. La Determina Pres-966-2025 include anche i PRE(M) per

- il superamento della loro marginalizzazione, riconoscendone la capacità di testimoniare benefici percepiti e rilevanti per i pazienti;
- di uniformare i criteri di valutazione della Commissione Scientifica ed Economica (CSE), rendendo evidente il tipo ed il peso assegnato ai dati derivanti dai PRO(M) sui criteri di valutazione della CSE.

Con riferimento alla **negoziazione del prezzo**, il GdL concorda con il principio per cui un premio di prezzo è concedibile solo in presenza di un valore terapeutico aggiunto, ma che i **PRE(M)** possano supportare la negoziazione dell'entità degli sconti che normalmente vengono richiesti in caso di assenza di valore terapeutico aggiunto e, nel caso una maggiore accettabilità della terapia possa far presumere un aumento della aderenza, possa essere ipotizzato un *parity price*.

Il GdL si è poi soffermato **sull'analisi dell'accesso regionale**, evidenziando in termini generali come l'ascolto sistematico dell'esperienza e degli esiti percepiti dai pazienti rappresenti un elemento chiave per garantire percorsi di cura centrati sulla persona. L'utilizzo congiunto di PRO(M) e PRE(M) consente di raccogliere informazioni sull'efficacia dei modelli organizzativi e distributivi, nonché sulla esperienza percepita dei servizi offerti. Più nello specifico i **PRE(M)** sono fondamentali per valutare accessibilità, equità, soddisfazione nei percorsi regionali, i **PRO(M)** possono essere utili per monitorare esiti *real-world* associati alla terapia in quanto tale ed ai modelli di erogazione (ad esempio, assistenza domiciliare).

Per rafforzare l'impatto di queste misure, il GdL ha suggerito di:

- strutturare la raccolta dei PRE(M) tramite piattaforme regionali interoperabili per garantire una rilevazione efficace e armonizzata dell'esperienza dei pazienti e integrate con i sistemi informativi sanitari esistenti. Questo approccio consente una raccolta sistematica, continua e comparabile dei dati, riducendo la frammentazione e migliorando la qualità dell'informazione disponibile;
- raccogliere *feedback* su centri prescrittori e modelli distributivi. La valutazione della qualità percepita non può prescindere dal confronto diretto con chi utilizza i servizi. Raccogliere *feedback* specifici su centri prescrittori e sui diversi modelli di distribuzione dei trattamenti (come la terapia domiciliare, la distribuzione diretta o per conto) permette di evidenziare punti di forza e criticità organizzative. Questi dati sono fondamentali per comprendere come l'erogazione delle cure impatti realmente sulla vita quotidiana dei pazienti, soprattutto in termini di accessibilità e aderenza alla terapia;
- adottare e adattare modelli europei/regionali di integrazione dell'esperienza del paziente. Diversi Paesi europei hanno implementato modelli virtuosi di coinvolgimento dei pazienti nei processi di programmazione, monitoraggio e valutazione dei servizi sanitari. Adottare e adattare *best practice* europee, favorendo la co-progettazione dei percorsi e l'adozione di indicatori *patient-reported* nei sistemi di *performance*, significa riconoscere il paziente come *partner* attivo.

Infine, il GdL ha **suggerito di rafforzare sensibilmente il ruolo di PRO(M) /PRE(M) raccolti in fase post-marketing** come strumento di valutazione del beneficio nella prospettiva del paziente. Nel contesto *post-marketing*, la raccolta dei PROM e PREM si configura come

i quali tutti i GdL hanno espresso l'opportunità di differenziarli dai PRO(M) non misurando il valore terapeutico che è parte fondante dell'innovatività.

un'opportunità preziosa per **valutare il beneficio terapeutico** non solo in termini clinici, ma anche nell'ottica dell'esperienza vissuta dal paziente nella pratica quotidiana. Questa attività consente di arricchire il quadro valutativo con informazioni sul benessere percepito, l'aderenza al trattamento, la qualità della vita e la soddisfazione rispetto ai servizi ricevuti. Tali dati possono integrare le evidenze tradizionali per contribuire a decisioni più informate su condizioni di impiego dei farmaci, accesso a livello nazionale, riconfigurazione dei modelli prescrittivi e distributivi.

Nello specifico il **GdL ha suggerito di**

- riconoscere formalmente (accreditamento) i dati PRO(M)/PRE(M) come elementi di valore nella fase *post-marketing*. Questo significa definire criteri metodologici condivisi per la loro validazione, garantire la qualità dei *dataset* raccolti e includerli nei processi di valutazione del beneficio terapeutico (e non) a lungo termine;
- prevedere raccomandazioni sul follow-up delle terapie, con anche dati di esperienza del paziente, per la revisione delle condizioni negoziali;
- garantire trasparenza nei criteri di utilizzo dei dati nel processo di rivalutazione dei farmaci.

Conclusioni

Il presente documento illustra i risultati della prima edizione del Workshop “Forum Pazienti” dal titolo “La prospettiva del paziente nel sistema regolatorio e di accesso”, svoltosi il 5 e 6 giugno e organizzato da Dephaforum e, nello specifico, da tre GdL dedicati alla discussione di PRO(M), PRE(M) e loro utilizzo nel processo decisionale.

La composizione e discussione dei GdL si sono ispirate ad una valorizzazione dell’approccio interdisciplinare ed inter-istituzionale e di apertura al confronto. Sono stati infatti coinvolti alcuni referenti istituzionali, imprese, clinici, associazioni di pazienti, farmacisti e ricercatori attivi nel campo delle evidenze riportate dai pazienti.

La discussione nei GdL e la ricchezza e rilevanza delle raccomandazioni emerse evidenziano non solo come i temi individuati siano rilevanti, ma anche come il coinvolgimento di diversi soggetti nella discussione abbia contribuito a rendere la stessa proficua ed equilibrata.

I principali elementi emersi dalla discussione, comuni ai GdL, possono essere così sintetizzati:

- gli esperti hanno confermato l’assunto da cui è partita la discussione ovvero che è importante **includere gli esiti e le esperienze riportate dai pazienti nella valutazione dei farmaci**,
- questo sta sempre più **avvenendo nel contesto EMA**, mentre è **più complesso da valorizzare a livello nazionale e regionale**;
- i partecipanti hanno condiviso il ruolo differente di PRO(M) e PRE(M) nei processi regolatori e di accesso:
 - i **PRO(M)** sono parte integrante della valutazione del valore terapeutico dei farmaci, condizione per ottenere approvazione, innovatività ed un premio di prezzo,
 - i **PRE(M)** integrano la valutazione del valore con dati ed evidenze sull’esperienza maturata dai pazienti (e dei caregiver) e sulle eventuali preferenze, sia sui domini specifici dei farmaci diversi da efficacia e sicurezza sia sui servizi / modelli organizzativi (ad esempio, diversa modalità di distribuzione), con impatto potenziale, soprattutto a livello regionale;
- **l’utilizzo effettivo** degli strumenti di misurazione dell’esito riportati dai pazienti **richiede** una maggiore **consapevolezza** non solo del loro ruolo potenziale nel processo regolatorio e di accesso, ma anche le **complessità degli strumenti stessi**, quali la loro selezione, le barriere alla compilazione, la robustezza nel disegno dello studio e l’interpretazione dei dati;
- la percezione degli esperti è che, in generale, **non vi sia una sufficiente conoscenza su PRO(M) e PRE(M)** sia sulle potenzialità d’uso nel contesto regolatorio e di accesso sia sulle criticità sotto il profilo metodologico. Per questo si è suggerito di promuovere iniziative di comunicazione e formazione, al fine di un reale cambiamento culturale sul tema;
- oltre ad un rafforzamento dei programmi di informazione e formazione, sono stati considerati molto **importanti**:
 - uno sforzo della comunità scientifica nella **creazione di database / repository** sui diversi strumenti di rilevazione che siano di utilità per il sistema nel suo complesso,

- il coinvolgimento di tutti gli *stakeholder* interessati nel disegno, implementazione e interpretazione dei risultati, inclusi i MMG ed i farmacisti (ospedalieri e di farmacia di comunità,
- lo sforzo di **considerare l'uso di tali strumenti sia in contesto sperimentale** (se possibile) **sia nel contesto reale**, a cui dovrebbe corrispondere un'attenzione regolatoria e, soprattutto, di accesso anche alle evidenze *real-world* (ad esempio, nella rinegoziazione di P&R),
- **l'inclusione formale delle evidenze nei documenti considerati dai soggetti istituzionali** (ad esempio, **nel Dossier di P&R**), con l'indicazione del loro ruolo ai fini del processo decisionale),
- la massima **trasparenza**
 - sugli studi, con riferimento al loro disegno / protocollo di ricerca ed ai risultati,
 - sui feedback da parte dei soggetti regolatorio e
 - sull'accesso delle evidenze fornite negli studi di PRO e PRE.

I risultati dei GdL sono stati discussi in una sessione plenaria finale, dalla quale sono emersi diversi **spunti su temi da discutere per un'eventuale seconda edizione del Forum per il 2026**.

I temi suggeriti possono essere classificati in quattro gruppi:

1) Un primo gruppo riguarda gli **aspetti metodologici e di supporto all'uso di PRO(M) e PRE(M)**. Nello specifico si è proposto di:

- approfondire il tema **della validazione degli strumenti di misurazione delle esperienze e delle preferenze dei pazienti, ai fini di una loro maggiore considerazione a livello regolatorio** (ad esempio, studi di preferenza per la scelta degli *endpoint* riportati dai pazienti) e di **accesso** (studi di esperienza / preferenza per supportare il valore non terapeutico e ridurre scontistiche richieste in sede negoziale di prezzo) e per valutazioni a livello regionale;
- discutere modalità per **censire**, in collaborazione con tutti gli attori-chiave (società scientifiche, associazioni di pazienti, associazioni di natura scientifica di professionisti sanitari (es. SIFO):
 - **i PROM** sulla scorta di quanto già effettuato in ambito oncologico (PRO4All), per valutare la qualità degli strumenti nei contesti clinici più rilevanti e proporre una selezione,
 - **gli studi ed i centri che fanno ricerca su tematiche PRO(M) e PRE(M)**;
 - le **modalità di utilizzo dei PRO(M) come *endpoint*** primari, secondari, o semplicemente esplorativi all'interno degli studi clinici randomizzati a fine registrativo.
- affrontare il tema di accesso ai dati degli studi;
- discutere il ruolo attuale e prospettico dell'intelligenza artificiale (AI) come facilitatore tecnologico nell'adozione, misurazione e valutazione di PRO(M)/PRE(M) date le criticità evidenziate nella compilazione e rilevazione da parte sia di pazienti sia di operatori sanitari.

2) Un secondo ambito è rappresentato da un **focus su ruolo di PRO(M) e PRE(M) nei processi regolatori e di accesso, con riferimento in particolare:**

- alla valutazione di tale ruolo nella **prospettiva di AIFA e delle Regioni**;
 - alla tematica della **trasparenza dei processi ed esiti delle valutazioni comparative che includono gli esiti riportati dai pazienti** e sulle contro-deduzioni da parte dei soggetti valutatori e decisori;
 - al **confronto tra esperienze internazionali sull'uso di PRO(M) e PRE(M)** nelle valutazioni ai fini dell'accesso (anche con riferimento al ruolo dei PRO(M) nel JCA), con il coinvolgimento anche di EMA;
 - al potenziale ruolo di PRO(M) e PRE(M) nella valutazione di impatto di farmaci innovativi e/o con elevato costo, con un attivo coinvolgimento delle regioni, a partire da quelle che siano già state coinvolte in studi PRO(M / PRE(M)).
- 3) Un terzo ambito** di approfondimento è quello della valorizzazione dell'utilizzo dei PRO(M) e PRE(M) per **soddisfare bisogni conoscitivi degli stakeholder**, non necessariamente a supporto di obiettivi regolatori e di accesso: ad esempio, **studi di esperienza / preferenza realizzate dalle associazioni di pazienti** per comprendere meglio l'opinione dei propri associati e dalle **società scientifiche** per ottimizzare la comunicazione tra medico e paziente. Tali studi possono essere comunque implementati in collaborazione con i professionisti sanitari.
- 4) Un quarto** e ultimo suggerimento è di analizzare il tema delle **potenzialità e criticità di impiego di PRO(M)** e, eventualmente, **anche di PRE(M)** sulla base della **discussione di casi specifici**:
- che sono stati **paradigmatici** rispetto alla complessità valutativa e/o nei quali gli esiti riportati dai pazienti sono stati determinanti nella valutazione comparativa e nella scelta;
 - riferiti ad alcuni **esempi di questionari** utilizzati in diversi ambiti, tra cui quello oncologico (es. FACT, EORTC, PRO-CTCAE, PROFFIT, ecc).

È stato infine suggerito di tradurre eventuali ulteriori raccomandazioni in un **documento di consenso** sull'uso dei PRO/E che possa diventare un punto di riferimento per il reale e standardizzato utilizzo in ambito regolatorio e di accesso.

Acronimi

AIFA	Agenzia Italiana del Farmaco
BR	Breast
CSE	Commissione Scientifico-Economica
EMA	European Medicines Agency
EORTC	European Organisation for Research and Treatment of Cancer
GdL	Gruppo di Lavoro
HR-QoL	Health-Related QoL
JCA	Joint Clinical Assessment
JSC	Joint Scientific Consultation
LC	Lung Cancer
MEA	Managed Entry Agreement
MID	Minimal Important Difference
MMG	Medici di Medicina Generale

P&R	Prezzo e Rimborso
PICO	Population, Intervention, Comparison, Outcome
PR(M)	Patient Reported (Measure)
PRE(M)	Patient Reported Experience (Measure)
PRO(M)	Patient Reported Outcome (Measure)
PSP	Patient Support Program
QALY	Quality Adjusted Life Years
QoL	Quality of Life (Qualità di Vita)
RWD/E	Real World Data / Evidence

Allegato 1: Organi del Forum Pazienti e Gruppi di Lavoro²

Coordinatori Scientifici

Giuliano Buzzetti Dephaforum
Claudio Jommi Università degli Studi del Piemonte Orientale

Coordinamento del Comitato Promotore

Maria Cristina Carena Dephaforum

Facilitatori Dephaforum

Rosy Amodeo
Cosetta Bianchi
Maria Cristina Carena
Giorgia Fedele
Massimo Medaglia

Comitato Promotore

Ovidio Brignoli - Fondazione SIMG
Riccardo Candido - Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina, Trieste
Massimo Di Maio - Dipartimento di Oncologia, Università di Torino - AOU Città della Salute e della Scienza di Torino e AIOM
Elisabetta Iannelli – F.A.V.O.
Aldo Maggioni - Centro Studi ANMCO, Fondazione per il Tuo Cuore, Firenze
Anna Lisa Mandorino - Cittadinanzattiva
Walter Marrocco - F.I.M.M.G. Nazionale
Laura Reali - Associazione Culturale Pediatri e Confederazione Europea delle Cure Primarie Pediatriche
Viviana Ruggieri – Servier
Vincenzo Salvatore - Dipartimento di Economia - Università degli Studi dell'Insubria
Annalisa Scopinaro - UNIAMO
Carlo Selmi - Reumatologia e Immunologia Clinica, Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS) Ospedale di Ricerca Humanitas, Milano
Filippo Urso - SIFO
Pierluigi Viale - Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche - Alma Mater Studiorum, Università di Bologna

Gruppo di Lavoro 1

Coordinatori: Annalisa Scopinaro (*relatore*) - UNIAMO, Oriana Ciani – CERGAS, SDA Bocconi e Francesco Damele – Sanofi
Facilitatore: Massimo Medaglia – Dephaforum
Elisabetta Brioschi – Daiichi Sankyo
Celeste Cagnazzo – AOU Città della Salute di Torino - Ospedale Regina Margherita
Federica Di Maio – Gilead
Massimo Di Maio - Dipartimento di Oncologia, Università di Torino - AOU Città della Salute e della Scienza di Torino e AIOM

² Tutte le affiliazioni si riferiscono al momento della realizzazione del Seminario.

Lara Gitto - Commissione Scientifica ed Economica del Farmaco - AIFA
Eleonora Grippa – Servier
Aldo Maggioni - Centro Studi ANMCO, Fondazione per il Tuo Cuore, Firenze
Gianmarco Marrocco - F.I.M.M.G. Nazionale
Leonardo Radicchi - AOP Health
Teresa Rea - Consigliera Comitato Centrale FNOPI
Laura Reali - Associazione Culturale Pediatri e Confederazione Europea delle Cure Primarie Pediatriche
Alessandra Sinibaldi - Alfasigma
Federico Spandonaro - Università degli Studi di Roma “Tor Vergata”, C.R.E.A. Sanità

Gruppo di Lavoro 2

Coordinatori: Claudio Jommi (*relatore*) - Università degli Studi del Piemonte Orientale, Antonella Di Lorenzo – Astellas, Anna Lisa Mandorino – Cittadinanzattiva
Facilitatori: Rosy Amodeo e Giorgia Fedele – Dephaforum
Fabio Amanti - Parent Project
Mario Alberto Battaglia – AISM
Daniel Bonfanti - UNIAMO
Ovidio Brignoli – Fondazione SIMG
Agnese Cangini - Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma
Carmine Pinto - U.O. Oncologia Medica, Comprehensive Cancer Centre, AUSL - IRCCS di Reggio Emilia
Alessandra Romano - Boehringer Ingelheim
Diletta Valsecchi - Novartis
Pierluigi Viale - Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche - Alma Mater Studiorum, Università di Bologna

Gruppo di Lavoro 3

Coordinatori: Elisabetta Iannelli – F.A.V.O., Andrea Marcellusi - Università degli Studi di Milano, Viviana Ruggieri (*relatore*) – Servier
Facilitatore: Maria Cristina Carena – Dephaforum
Simona Barbaglia - Respiriamo Insieme
Greta Broccoli - Novartis
Riccardo Candido - Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina, Trieste
Maria Vittoria Colombo – Daiichi Sankyo
Mauro Di Gesù – Sanofi
Stefano Fagnani – Planning Congressi
Dario Manfellotto - Dipartimento Emergenza e Medicina Interna, Ospedale Isola Tiberina, Gemelli Isola, Roma
Walter Marrocco - F.I.M.M.G. Nazionale e CSE AIFA
Sara Mollea - Gilead
Angela Pasquariello – Farmacia Ospedaliera IRCCS Istituto Neurologico C. Besta, Milano
Andrea Scarlatti - AOP Health
Carlo Selmi - Reumatologia e Immunologia Clinica, Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS) Ospedale di Ricerca Humanitas, Milano
Silvia Tonolo - ANMAR
Filippo Urso - SIFO

Bruna Zancocchia - Novartis

Allegato 2: Programma del Seminario

Il programma completo del Seminario è consultabile al link: <https://www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2025/06/Forum-Pazienti-I-edizione-5-6-giugno-2025.pdf>