

L'evoluzione del dialogo e dei rapporti tra AIFA, clinici, Società scientifiche e associazioni dei pazienti/organizzazioni di attivismo civico

Alessandra Bianchi¹, Federica Piccolo¹, Elisabetta Iannelli², Maria Cristina Carena³, Giuliano Buzzetti³, Giovanna Scroccaro⁴, Carmine Pinto⁵

¹GlaxoSmithKline, Verona - Italy

²F.A.V.O., Roma - Italy

³Dephaforum S.r.l., Milano - Italy

⁴Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi Medici, Area Sanità e Sociale, Regione del Veneto, Venezia - Italy

⁵U.O. Oncologia Medica Comprehensive Cancer Centre, AUSL-IRCCS Reggio Emilia - Italy

The evolution of dialogue and relations between AIFA, clinicians, scientific societies, patient associations, and civic activism organizations

Introduction: This document aims to provide an overview of the interactions between the Italian Medicines Agency (AIFA) and various stakeholders, placing them in the context of the European and national regulatory framework, with particular reference to Regulation 536/2014 and HTA Regulation 2021/2282.

Methods: Through the efforts of a multidisciplinary working group, areas for action and improvement, operational criteria, and tools aimed at optimizing the decision-making process, ensuring greater transparency, and promoting more effective collaboration between the parties involved, have been identified.

Results: The recommendations included in the document comprise the adoption of thematic round tables and digital platforms for dialogue, the appropriate management of conflicts of interest, and the need for continuous monitoring of interactions. Furthermore, the document emphasizes the importance of a systemic approach that considers the needs of all stakeholders involved, while promoting the centrality of the patient as the main beneficiary of healthcare policies. The concrete application of these measures represents a fundamental step towards a more equitable, transparent, and sustainable healthcare system in the long term. Finally, the paper highlights the opportunity to promote constructive and ongoing dialogue between institutions and stakeholders through innovative technological tools and inclusive participatory processes, in order to consolidate a high-level healthcare governance model.

Keywords: AIFA, Health governance, Health policies, Stakeholders

Introduzione: il quadro di riferimento

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è l'ente regolatore nazionale per i medicinali e interagisce con una vasta rete di *stakeholder*, tra cui Aziende farmaceutiche, enti di ricerca, associazioni di pazienti e Istituzioni europee. Le interazioni tra AIFA e i diversi *stakeholder* sono disciplinate da un insieme di norme eterogenee; tra queste, il Regolamento (UE) 536/2014 sulle sperimentazioni cliniche costituisce un punto di riferimento fondamentale, in quanto definisce criteri

di partecipazione, requisiti di qualità e modalità di coinvolgimento di esperti e pazienti. A completare questo quadro, il Regolamento (UE) 2021/2282 sull'*Health Technology Assessment* (HTA) introduce principi metodologici condivisi e strumenti di consultazione strutturata degli *stakeholder*, rafforzando ulteriormente la trasparenza e la coerenza dei processi valutativi a livello nazionale ed europeo (1,2).

AIFA, insieme ad AGENAS, rappresenta l'Italia nel Gruppo di Coordinamento degli Stati Membri per l'HTA, contribuendo alla definizione di metodologie comuni e partecipando attivamente alle valutazioni congiunte.

Il Regolamento non sostituisce le valutazioni nazionali, ma le integra: le valutazioni cliniche saranno condotte a livello UE, mentre gli aspetti economici, etici e sociali resteranno di competenza nazionale. AIFA utilizzerà i risultati delle *Joint Clinical Assessment* (JCA) per supportare le decisioni su prezzo e rimborsabilità, mantenendo il dialogo con *stakeholder* nazionali e internazionali.

Received: September 8, 2025

Accepted: December 17, 2025

Published online: February 10, 2026

Indirizzo per la corrispondenza:

Alessandra Bianchi

email: alessandra.x.bianchi@gsk.com



Questo nuovo assetto rafforza il ruolo di AIFA come ente regolatore e facilitatore del dialogo tra Istituzioni, Industria e cittadini, promuovendo un Sistema Sanitario più equo e basato sull'evidenza.

Alla luce delle regolamentazioni passate e delle prospettive future, si è ritenuto quindi necessario creare un momento di discussione per approfondire le modalità e il ruolo del dialogo tra l'AIFA e i diversi *stakeholder*. Le raccomandazioni elaborate dal Gruppo di Lavoro (GdL) si concentrano su ambiti specifici, come la valutazione dei singoli farmaci e dei loro percorsi di accesso (inclusi gli aspetti metodologici e organizzativi), e su aree trasversali volte a promuovere una maggiore trasparenza dei processi decisionali. L'articolo presenta inoltre proposte concrete sugli strumenti e sulle tempistiche di interazione, tra cui l'uso dei Tavoli Tematici e di Piattaforme Digitali dedicate, nonché criteri rigorosi per garantire un coinvolgimento rappresentativo e qualificato degli *stakeholder*.

Attraverso queste indicazioni, il GdL traccia un percorso in cui la pluralità delle competenze e delle esperienze contribuisce a decisioni condivise, a beneficio della qualità della valutazione.

Metodologia

Il seguente documento presenta i risultati della libera discussione di un panel di esperti multidisciplinare. Il confronto è avvenuto nell'ambito della Settima Edizione dei Seminari di Mogliano Veneto "Idee e proposte di Mogliano 7 nel nuovo panorama regolatorio", che ha avuto luogo il 26 e il 27 settembre 2024. Il GdL ha visto la partecipazione, come nelle precedenti edizioni dei Seminari di Mogliano, di figure con diverse professionalità e competenze, soggetti istituzionali (Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA, e Regioni) e *stakeholder* (clinici, referenti per i pazienti e le Imprese). Nello specifico, il GdL è partito da una riflessione complessiva sul valore di tali interazioni, rappresentato dalla condivisione di un patrimonio di competenze, conoscenze e valori che possono influenzare in trasparenza le decisioni di AIFA, decisioni che impattano sugli *stakeholder* stessi.

La discussione sul tema delle interazioni tra AIFA e i principali *stakeholder* è stata preceduta da una relazione tenuta da un coordinatore del GdL, prima dello svolgimento dello stesso, che ha previsto l'illustrazione del quadro di riferimento e la proposizione di alcune criticità, come principali spunti di confronto. Il GdL ha operato con la logica del *focus group*, dove i partecipanti hanno interagito nell'ambito di una discussione strutturata, guidata dai due coordinatori, confrontando le proprie valutazioni alla luce delle differenti esperienze professionali del settore, al fine di giungere a proposte condivise dalla maggioranza. In primo luogo, il GdL ha analizzato lo scenario attuale andando a esplorarne le potenziali aree di miglioramento sottolineando come sia opportuno ampliare lo specchio delle possibili interazioni tra i diversi *stakeholder* e l'Agenzia nella sua interezza, non limitandosi a quanto già previsto nei confronti della CSE. Il GdL ha quindi fornito diverse raccomandazioni, individuate con un consenso elevato, anche se non sempre unanime, su criteri e metodologia di selezione degli *stakeholder*, sugli ambiti prioritari di interazione, sugli strumenti operativi, sulla tempistica

e sulla modalità di informazione/trasmissione degli esiti dell'interazione e sugli strumenti di monitoraggio.

Risultati

Le proposte del Gruppo di Lavoro

Il GdL ha elaborato una serie di proposte di interazione, descritte nel presente articolo, tra i vari *stakeholder* e AIFA, focalizzando l'attenzione:

- sugli ambiti e sulle tematiche di interazione;
- sugli strumenti operativi e sulle modalità di informazione/trasmissione degli esiti dell'interazione, sia in generale che con particolare riferimento al processo di definizione delle condizioni di accesso (P&R);
- sui criteri e sulla metodologia di selezione dei clinici, delle Società scientifiche, delle associazioni di pazienti e delle organizzazioni di attivismo civico;
- sugli strumenti di monitoraggio che considerino i risultati di tali interazioni e il relativo impatto sul processo di valutazione e sulle decisioni sull'accesso;
- sul tema dei conflitti di interesse (*Conflict of Interest*, Col) e della semplificazione delle procedure.

Gli ambiti e le tematiche di interazione

Con riferimento agli ambiti di interazione vengono distinti aspetti collegati a processi di valutazione sui singoli farmaci e aspetti più di carattere generale.

Per quanto riguarda i primi, si auspica un dialogo *multi-stakeholder* per individuare sia aspetti relativi alla patologia *target*, quali la dimensione della popolazione, le caratteristiche dei sottogruppi di pazienti, la valutazione dell'*unmet need*, la valutazione della gravità della malattia (prognosi e, soprattutto, qualità di vita del paziente), le terapie attualmente disponibili (alternative terapeutiche), i costi di patologia (e, in particolare, i cosiddetti costi indiretti) e le prospettive future attraverso una lettura specifica delle *pipeline*, che gli elementi specifici di valutazione comparativa del singolo farmaco, con una particolare attenzione ai farmaci caratterizzati da un nuovo meccanismo d'azione e, in particolare, ai farmaci innovativi e a quelli a designazione orfana. Inoltre, un ulteriore ambito di interazione emerso riguarda la valutazione dell'impatto organizzativo e delle problematiche di gestione dei percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali. Altri aspetti di dialogo collegati ai singoli farmaci sono stati individuati nell'analisi delle strategie e delle sequenze terapeutiche, a partire dal *place in therapy* previsto per il nuovo farmaco/nuova indicazione di cui vengono richiesti la rimborsabilità e il prezzo, e nella rivalutazione sulle classi di farmaci, in presenza di numerose alternative terapeutiche.

Per quanto riguarda invece gli ambiti potenziali di interesse trasversale, con riferimento soprattutto ad aspetti metodologici, quali PICO, confronti indiretti, analisi dell'impatto del farmaco anche sulla qualità di vita mediante impiego delle *Patient Reported Experiences* (PREMs) e dei *Patient Reported Outcomes* (PROMs) e, in generale, tutti gli aspetti che riguardano il processo di valutazione del farmaco, che potrebbe avvantaggiarsi di un dialogo multidisciplinare

dei diversi soggetti coinvolti, il GdL ha ritenuto fondamentale non solo la necessità di un confronto ma anche la trasparenza da parte dell'Agenzia sugli esiti del confronto stesso.

L'auspicio è che non si renda pubblica solo l'agenda della Commissione Scientifica ed Economica del farmaco (CSE), ma che vengano condivisi anche gli orientamenti su tematiche generali, per favorire interazioni e proposte. Tra le aree di interesse figurano le Linee Guida per la ricerca clinica e i bandi di ricerca no profit, con un invito pubblico per suggerire aree di studio sui medicinali, le Note AIFA e i Piani terapeutici, la regolamentazione delle diverse forme di *early access* e la gestione dei Conflitti di Interesse.

Questi elementi e approcci evidenziano il tentativo di rendere la collaborazione tra AIFA e i suoi interlocutori più trasparente, mirata e produttiva, per garantire un Sistema Sanitario sempre più efficace e orientato alle esigenze dei pazienti.

Gli strumenti operativi delle interazioni

Partendo dai principi introdotti dal Regolamento 536/2014, quali la semplificazione amministrativa, la certezza dei tempi di valutazione e di approvazione e la necessità di un coinvolgimento informato di pazienti e associazioni, il GdL ha discusso in merito a una serie di strumenti operativi volti a rendere l'interazione tra AIFA e gli *stakeholder* un processo trasparente, strutturato e collaborativo.

Un primo strumento identificato dal GdL è quello dei Tavoli Tematici, concepiti come organi consultivi che AIFA può convocare quando necessario per raccogliere pareri su specifici argomenti. Questi Tavoli, già previsti da regolamento, non avrebbero una composizione fissa, ma sarebbero formati da esperti scelti in base al tema trattato, garantendo così flessibilità e competenza maggiori. Per favorire la trasparenza, i pareri espressi verrebbero resi pubblici, pur mantenendo anonima l'identità degli esperti coinvolti.

Un altro strumento proposto è una Piattaforma *Online* dedicata agli *stakeholder* accreditati, che permetta di dialogare su temi legati al processo regolatorio e all'accesso ai farmaci a livello nazionale e regionale. Questo spazio virtuale favorirebbe un confronto diretto sulle criticità e sulle opportunità riscontrate.

Il GdL ha inoltre approfondito le modalità di interazione nella negoziazione del Prezzo e Rimborso (P&R), considerando aspetti come la rilevanza della patologia, le alternative terapeutiche disponibili, il bisogno ancora non soddisfatto, il valore comparativo del farmaco, l'impatto organizzativo e le prospettive a lungo termine. A questo riguardo, è stato suggerito che:

- la CSE possa avvalersi dei pareri raccolti dai Tavoli Tematici e, quando necessario, organizzare audizioni mirate per ulteriori approfondimenti;
- l'interazione tra il Settore HTA e i Tavoli Consultivi venga facilitata, per permettere agli uffici di risolvere dubbi e ottenere chiarimenti;
- la CSE prenda in considerazione le istanze sollevate attraverso la Piattaforma *Online*, con l'obiettivo di integrare competenze, conoscenze e visioni diverse, favorendo una valutazione più accurata del valore comparativo dei farmaci.

In questo modo, AIFA potrebbe rafforzare un processo decisionale collaborativo e orientato alle esigenze dei pazienti e del Sistema Sanitario.

L'identificazione degli stakeholder: criteri e metodologie di selezione

Parlando dei criteri per identificare gli *stakeholder*, il GdL si è ispirato al Regolamento Europeo 536/2014. Questo Regolamento stabilisce che gli Stati Membri debbano garantire sempre il coinvolgimento delle competenze necessarie, includendo anche persone non esperte, come i pazienti o le associazioni che li rappresentano. Infatti, sottolinea che l'organismo indipendente incaricato di fornire pareri, in questo caso AIFA, deve prendere in considerazione anche il punto di vista dei non addetti ai lavori, con particolare attenzione ai pazienti. Un altro aspetto interessante riguarda il coinvolgimento dei pazienti già nella fase di progettazione della sperimentazione, con l'obbligo di descrivere nel protocollo come tale partecipazione sia avvenuta.

Seguendo questi principi, il GdL ha discusso a lungo per trovare strategie di selezione mirate a individuare professionisti e rappresentanti dei pazienti o delle organizzazioni civiche, in modo da promuovere un dialogo costruttivo basato su competenze solide e specifiche. Tra le proposte emerse, si suggerisce che:

- le Società scientifiche siano selezionate a partire dall'Albo delle Società scientifiche del Ministero della Salute e dal Sistema Nazionale Linee Guida dell'Istituto Superiore di Sanità;
- i professionisti, esperti nei rispettivi settori, possano essere proposti sia dalle stesse Società scientifiche che da AIFA, basandosi su una carriera riconosciuta a livello nazionale e internazionale;
- per quanto riguarda le associazioni di pazienti e le organizzazioni civiche, siano seguiti i criteri di accreditamento previsti dall'Atto di indirizzo del Ministero della Salute del 2022 (3), integrati dalle nuove disposizioni della legge di bilancio, che richiedono, per esempio, l'iscrizione al Registro unico delle associazioni della salute (RUAS) (4) e un'attività consolidata da almeno 10 anni;
- i rappresentanti siano scelti dalle rispettive associazioni e i loro nominativi siano resi pubblici per garantire la massima trasparenza.

In questo modo, il GdL punta a creare un sistema inclusivo e ben strutturato, dove ogni voce possa essere ascoltata, contribuendo a decisioni condivise e ben ponderate.

Gli strumenti di monitoraggio

Il GdL ha sottolineato l'importanza di sviluppare un sistema di monitoraggio efficace per garantire un'interazione trasparente tra AIFA e gli *stakeholder*. A tale scopo, sono stati proposti alcuni strumenti che potrebbero rivelarsi utili. Per esempio, si è parlato della necessità di pubblicare i verbali dei Tavoli, così da rendere chiari e accessibili i processi decisionali.

Un altro aspetto considerato è stato quello di monitorare il numero di convocazioni dei Tavoli durante l'anno,

suddividendole per le diverse aree di patologia, in modo da avere una visione d'insieme più dettagliata. È stato anche suggerito di tenere traccia della partecipazione dei membri nominati, evidenziando quante volte ciascuno ha preso parte alle riunioni, così da incentivare un maggior senso di responsabilità.

I conflitti di interesse e la semplificazione delle procedure

Un altro punto affrontato dal GdL è stato quello dei conflitti di interesse per i partecipanti ai Tavoli, un tema complesso che richiede un'analisi approfondita. Durante le discussioni è stata messa in evidenza l'importanza di stabilire Linee Guida operative per affrontare queste situazioni. Tra le proposte avanzate, si include la necessità di definire e condividere in maniera trasparente i criteri per valutare i conflitti di interesse, semplificando al contempo la dichiarazione e l'acquisizione delle informazioni relative. Inoltre, è stato suggerito di rendere pubblici i verbali che riguardano tali questioni, come previsto dalla normativa, anche se su questo aspetto le opinioni all'interno del GdL sono risultate divergenti. Per mitigare i rischi legati ai conflitti di interesse, si è anche pensato di ricorrere a pareri multipli, una soluzione particolarmente utile nei Tavoli, come quelli dedicati alle malattie rare, dove il numero di esperti è limitato.

Conclusioni

Dal confronto in sede di GdL emerge che la relazione tra AIFA e clinici/Società scientifiche, associazioni di pazienti/soggetti di rappresentanza civica possa migliorare sensibilmente, dato che al momento il tema è "normato" in modo specifico solo rispetto al rapporto con la CSE nell'ambito del relativo Regolamento. Il GdL ha quindi fornito diverse raccomandazioni, individuate con un consenso elevato, anche se non sempre unanime, su criteri e metodologia di selezione degli *stakeholder*, sugli ambiti prioritari di interazione, sugli strumenti operativi e sulle modalità di informazione/trasmissione degli esiti dell'interazione e sugli strumenti di monitoraggio.

Sono stati inoltre identificati elementi trasversali agli altri GdL del seminario, in particolare, oltre all'approccio operativo nell'identificazione di possibili soluzioni a problematiche esistenti e alla volontà di affrontare tematiche complesse: i) un'attenzione per le implicazioni normative, organizzative e operative, attraverso, per esempio, la valorizzazione delle iniziative esistenti e l'attenzione all'effetto di ogni cambiamento sulle risorse; ii) l'importanza della trasparenza sia nei processi valutativi che negli effetti che essi producono, con una particolare attenzione a canali e contenuto della comunicazione. La trasparenza non può essere ovviamente assoluta, considerando la natura confidenziale di alcune informazioni e il carico amministrativo che la trasparenza comporta. Tuttavia, un aumento della trasparenza non può che giovare al sistema nel suo complesso e ai diversi *stakeholder*, riducendo comportamenti discrezionali finalizzati a ottenere il massimo vantaggio da una gestione più opaca del processo valutativo e negoziale; iii) la necessità che i processi siano riproducibili, per aumentare l'equità e "settare" le aspettative dei diversi portatori di interesse;

iv) l'importanza di una maggiore programmazione/preparazione anticipata del processo valutativo e negoziale; infine v) la necessità di una maggiore e più strutturata interazione tra i diversi soggetti, soprattutto nella fase di valutazione, che per definizione dovrebbe essere multidisciplinare e *multi-stakeholder*.

Acknowledgements

Il presente articolo nasce dai risultati del Gruppo di Lavoro - Organizzazione dei rapporti tra AIFA, Società scientifiche, professionisti sanitari e associazioni dei pazienti, nell'ambito della VII Edizione de "I Seminari di Mogliano Veneto", coordinato da Elisabetta Iannelli, F.A.V.O., Carmine Pinto, U.O. Oncologia Medica Comprehensive Cancer Centre, AUSL-IRCCS di Reggio Emilia, e Giovanna Scroccaro, Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi Medici, Area Sanità e Sociale, Regione del Veneto. Il Gruppo di Lavoro ha visto la partecipazione di Alessandra Bianchi, Glaxosmithkline (*Rapporteur*), Giuliano Buzzetti e Maria Cristina Carena, Dephaforum S.r.l. (Coordinamento organizzativo). Si ringraziano inoltre i partecipanti al Gruppo di Lavoro: Altini Mattia, Regione Emilia Romagna, Assistenza Ospedaliera; Antonelli Silvia, ELI LILLY; Arcangeli Emanuela, AMARIN; Avogaro Angelo, Università degli studi di Padova; Avoni Michele, MENARINI STEMLINE; Belviso Enrico, ASTELLAS; Brignoli Ovidio, Fondazione SIMG; Canonico Pier Luigi, Università degli Studi del Piemonte Orientale; Cavaliere Arturo, Asl Viterbo; Cerneti Chiara, BEIGENE; Capraro Massimo, AMGEN; D'Antonio Salvatore, Associazione pazienti BPCO e altre patologie respiratorie ONLUS; Dell'Aglio Lucia, IPSEN; Demarco Camilla, LUNDBECK; Di Brino Eugenio, ALTEMS, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma; Di Marco Fabiano, Scuola di Specialità in Malattie dell'Apparato Respiratorio dell'Università degli Studi Milano; Dondi Mirco, NOVO NORDISK; Galanti Fausto, BAYER; Giovanzana Alberto, TEVA; Lombardozi Lorella, Direttore Farmacia Ospedaliera Azienda Ospedaliera San Camillo Forlanini, Roma; Lo Muto Roberta, NEURAXPHARM; Manfellotto Dario, Dipartimento Emergenze e Medicina Interna, Ospedale Isola Tiberina, Gemelli Isola, Roma; Marangoni Silvia, ALMIRALL; Martone Nicoletta, SOBI; Mazzola Carmen, LUNDBECK; Napoli Mario, MENARINI; Nicoletti Tiziana, Cittadinanzattiva; Pampaloni Gianni, ELI LILLY; Panella Vincenzo, Healthcare Network; Patarnello Francesca, ASTRAZENECA; Perrone Filardi Pasquale, Università degli Studi di Napoli Federico II; Piccoli Luca, Regione Veneto; Pria Emanuele, GILEAD; Russo Caia Claudia, TAKEDA; Stefanoni Cristian, PFIZER; Stocco Lorella, DAIICHI SANKYO; Viale Pierluigi, Alma Mater Studiorum Università di Bologna; Zancocchia Bruna, NOVARTIS.

Disclosures

Conflict of interest: EI, MCC, GB, GS and CP declare no conflict of interest. AB and FP are employed at GSK.

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

Data availability: Data will be made available upon reasonable request.



Bibliografia

1. Gazzetta ufficiale dell'Unione Europea. Regolamento (UE) 536/2014 del Parlamento Europeo e del Consiglio del 16 aprile 2014 sulla sperimentazione clinica di medicinali per uso umano e che abroga la direttiva 2001/20/CE sulle sperimentazioni cliniche. 2014. [Online](#) (Accessed September 2025)
2. Gazzetta Ufficiale dell'Unione Europea. 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 September 2025)
3. Decreto Ministro della salute 77/2022. [Online](#) (Accessed September 2025)
4. Legge 30 dicembre 2024, n. 207. Art 1 comma 293 - 294. [Online](#) (Accessed September 2025)