

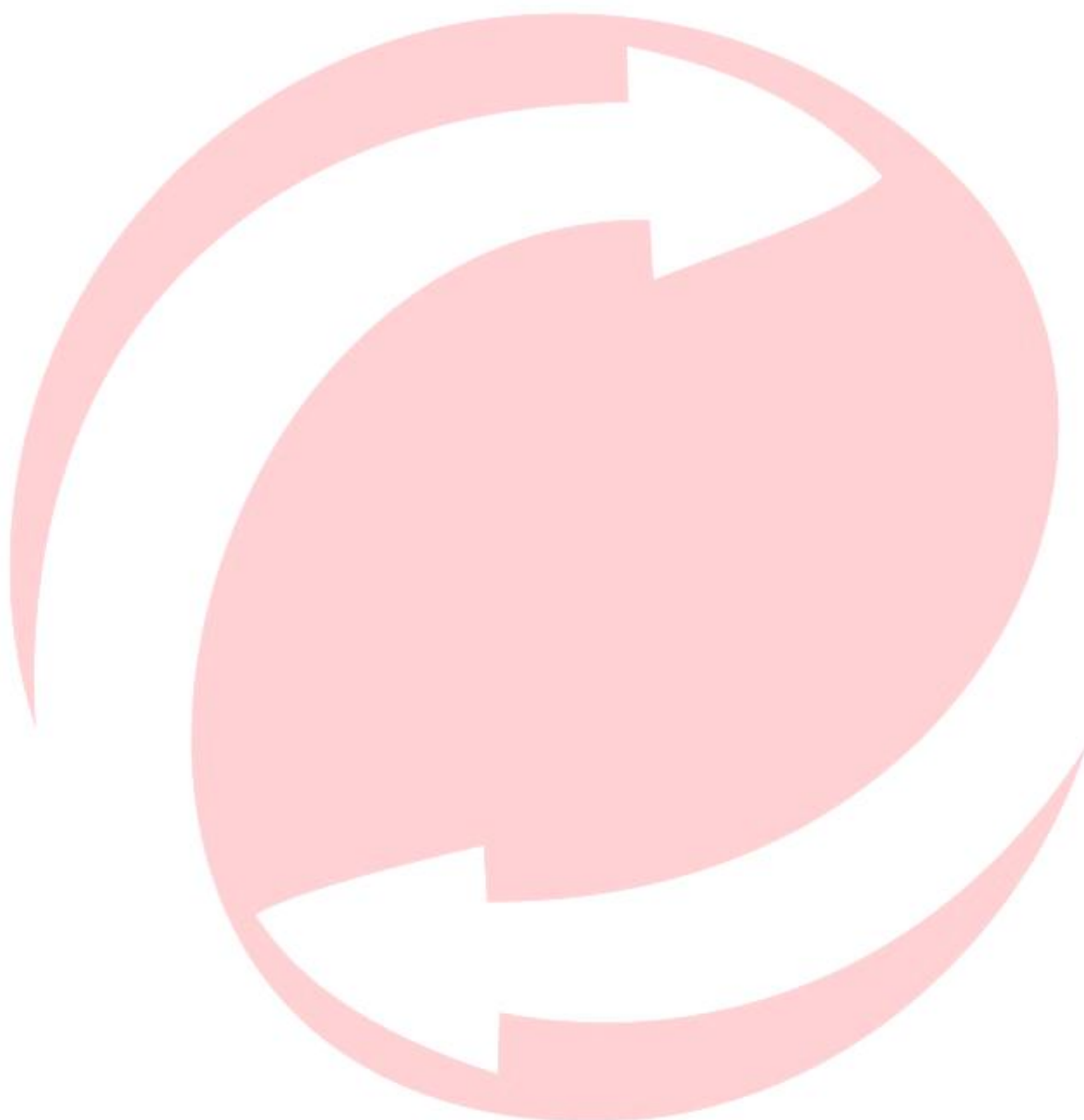
**QUADERNO DELLA QUARTA EDIZIONE DEL:
“FORUM POLITICHE FARMACEUTICHE REGIONALI”
ROMA, 25 - 26 MARZO 2026**

Quarto Quaderno del Forum Politiche Farmaceutiche Regionali – Edizione 2026

Sommario

Premessa	4
Introduzione	5
Gruppo di Lavoro 1. Il governo del comportamento prescrittivo sui farmaci rimborsati: autonomia regionale o “palla al centro”?	8
Introduzione	8
I risultati della survey	9
Temi selezionati	10
HTA, <i>place in therapy</i> e BIA	10
Elaborazione indirizzi prescrittivi e strumenti operativi.....	11
Misure di contenimento spesa: da straordinarie a ordinarie.....	11
Conclusioni e proposte operative.....	12
Gruppo di Lavoro 2. Mobilità interregionale dei pazienti e programmazione sanitaria: impatto economico, anticipazione della spesa e governance dei flussi farmaceutici	14
Introduzione	14
Criticità emerse durante la discussione.....	15
Proposte operative	16
Conclusioni	17
Gruppo di Lavoro 3. Servizi Farmaceutici Regionali e Aziende Farmaceutiche: bisogni ed obiettivi a confronto per realizzare un rapporto di collaborazione trasparente ed efficace	18
Introduzione	18
Accesso ordinario	19
Accesso precoce	20
Sperimentazioni Cliniche	21
Gruppo di Lavoro 4. Identificazione di nuovi KPI per monitorare l’utilizzo dei medicinali e misurare le «performance regionali»	24
Introduzione	24
L’individuazione e strutturazione dei KPI	25
Gli indicatori individuati	26
Conclusioni: quali possibili prossimi step	28
Conclusioni	29
Acronimi.....	31
Allegato 1: Governance di Progetto e Partecipanti ai Gruppi di Lavoro.....	32
Allegato 2: Pubblicazioni derivanti dalle edizioni del Forum Politiche Farmaceutiche Regionali	37
III Edizione - 2025	37

II Edizione - 2024	37
I Edizione - 2023	37
Allegato 3: Programma del Forum	39
Allegato 4: Aziende Sponsor	43



Premessa

Il presente documento illustra in sintesi i risultati della Quarta Edizione del Forum sulle Politiche Farmaceutiche Regionali, organizzato a Roma il 25 e 26 marzo 2026.

Il Forum rappresenta un appuntamento annuale per condividere opportunità e criticità delle politiche farmaceutiche regionali e analizzare in termini prospettici il rapporto tra Stato, Regioni, Aziende Sanitarie nel governo complessivo dell'assistenza farmaceutica.

Hanno partecipato al Forum soggetti istituzionali (AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco, e referenti dei SFR – Servizi Farmaceutici Regionali), farmacisti ospedalieri e dei servizi farmaceutici territoriali, clinici, referenti di imprese farmaceutiche, rappresentanti di associazioni di pazienti e di tutela dei diritti dei cittadini, esperti nel campo dell'economia, politica e legislazione sanitaria. Il Forum è stato organizzato da Dephaforum e coordinato da Massimo Medaglia (Dephaforum) e Giovanna Scroccaro (Regione Veneto e Commissione Scientifica ed Economica del farmaco – CSE, AIFA).

Il presente documento include un'introduzione, in cui vengono illustrati il rationale del Forum, la modalità con cui è stato organizzato ed i temi discussi, quattro sezioni dedicate agli esiti della discussione dei Gruppi di Lavoro (GdL) ed alcune riflessioni conclusive. L'Allegato 1 illustra la composizione dei GdL, l'Allegato 2 l'elenco delle pubblicazioni generate da questa iniziativa organizzata in modalità Workshop, l'Allegato 3 il programma del Forum.

Il presente rapporto è stato redatto da Claudio Jommi, a partire da un draft prodotto dai referenti/facilitatori di Dephaforum indicati per i singoli GdL, sulla base delle relazioni introduttive in plenaria, della presentazione dei risultati dei *Rapporteur* e dalla discussione in plenaria successiva alla presentazione.

Introduzione

Nel Servizio Sanitario Nazionale (SSN) le Regioni non solo hanno un ruolo centrale nella programmazione e governo dell'assistenza sanitaria, ma sono responsabili:

- della gestione della spesa;
- di coprire eventuali disavanzi (con entrate tributarie, compartecipazioni dell'assistito, azioni di contenimento della spesa, inclusi interventi sui meccanismi distributivi dei farmaci), a meno di Regioni soggette a piano di rientro per le quali, a fronte della parziale copertura dei disavanzi da parte del Governo Centrale, vengono previsti impegni specifici di rientro dal disavanzo sanitario;
- della copertura del 50% dello sfondamento del tetto sui farmaci acquistati da Aziende Sanitarie (acquisti diretti), copertura che di fatto si sostanzia (essendo soldi già spesi dalle Regioni) in una riallocazione di risorse da altri livelli e sotto-livello assistenziali alla farmaceutica rispetto ai tetti programmati;
- di gestire i programmi di accesso precoce e tutte le condizioni di accesso effettivo dei farmaci, quali l'individuazione dei centri prescrittori e della rete di gestione del percorso del paziente, gli acquisti e tutte le altre azioni necessarie per l'accesso del paziente al farmaco.

L'assistenza farmaceutica prevede però un presidio importante a livello centrale delle condizioni di accesso del farmaco: attivazione dei programmi di accesso precoce, classificazione dei farmaci ai fini della fornitura e della rimborsabilità, negoziazione dei prezzi e di altre componenti del contratto tra imprese ed AIFA, come registri, note, piani terapeutici, identificazione dei farmaci per i quali la prescrizione è riservata a specifici specialisti e/o nell'ambito di centri individuati dalle Regioni, eventuali sconti e *Managed Entry Agreement* (MEA).

Peraltro, dal 2025 la valutazione comparativa di tipo clinico, a supporto delle condizioni di accesso a livello nazionale, viene effettuata nell'ambito del *Joint Clinical Assessment* europeo. Il percorso prevede una prima applicazione per farmaci oncologici e terapie avanzate, una estensione ai farmaci orfani nel 2028 ed un'applicazione a tutti i farmaci a registrazione centralizzata nel 2030.

Uno dei temi più complessi è come conciliare le legittime iniziative delle Regioni nel governo dell'assistenza farmaceutica, come parte dell'assistenza sanitaria erogata dal SSN, con l'esigenza di mantenere un accesso equo alle prestazioni farmaceutiche. Le differenze nelle politiche regionali su prontuari, scelta dei centri prescrittori, acquisti, meccanismi distributivi, e governo del comportamento prescrittivo, sono tra le possibili cause del differente accesso dei pazienti ai farmaci sul territorio. Il rischio di un esercizio troppo discrezionale dell'autonomia regionale ha portato nel tempo ad iniziative di indirizzo nazionale sulle azioni delle Regioni come le limitazioni all'uso dell'equivalenza terapeutica in gara (subordinato al giudizio di equivalenza da parte di AIFA), agli indirizzi sui meccanismi di acquisto dei farmaci biologici, ai più recenti interventi sulle modalità distributive dei farmaci.

La variabilità interregionale e la necessità di rinsaldare un sistema di collaborazione tra i diversi livelli territoriali ha portato AIFA, nella propria riorganizzazione, a prevedere la ricostituzione di un Tavolo AIFA-Regioni. Al momento della redazione del presente documento non è chiaro quanto effettivamente tale Tavolo riuscirà a rinsaldare i rapporti tra AIFA e Regioni o quanto invece rappresenterà un luogo in cui si scaricano le tensioni sulla responsabilità della crescita della spesa farmaceutica e lo sfondamento del tetto sugli acquisti, che peraltro è, almeno in parte, generato da una sua sottostima iniziale.

Le occasioni di confronto pubblico sulle politiche regionali, sulle relazioni tra Regioni ed AIFA e tra Regioni e *stakeholder* di riferimento sono piuttosto rare e questo presumibilmente contribuisce ad

alimentare la variabilità stessa delle politiche regionali e un dibattito più focalizzato sugli elementi di conflitto. Dovrebbe rappresentare invece una priorità del SSN l'analisi del ruolo attuale e prospettico delle Regioni nel governo dell'assistenza farmaceutica, quanto l'interazione tra Regioni ed AIFA possa contribuire a ridurre le differenze di accesso dei pazienti ai trattamenti per i quali si è decisa la rimborsabilità, come ottimizzare il contributo di tutti i portatori di interesse agli obiettivi del SSN, che possono essere riconducibili alla massimizzazione della salute dei propri cittadini per date risorse esistenti, discutere le esperienze su cui le Regioni possono confrontarsi per trovare spazi di collaborazione ed iniziative condivise.

Il Forum Politiche Farmaceutiche Regionali rappresenta proprio questo: un luogo aperto di confronto su tali tematiche. Analogamente alle precedenti edizioni, i temi scelti per la Quarta Edizione del Forum sono il frutto di un processo di selezione, a partire da un set di argomenti ritenuti prioritari dal Comitato Promotore (cfr. Allegato 1), processo che ha visto coinvolti tutti i rappresentanti dei soggetti che partecipano a tali iniziative.

I temi scelti sono:

- Il governo del comportamento prescrittivo sui farmaci rimborsati: autonomia regionale o “palla al centro”?
- Mobilità interregionale dei pazienti e programmazione sanitaria: impatto economico, anticipazione della spesa e governance dei flussi farmaceutici;
- Servizi farmaceutici regionali e aziende farmaceutiche: bisogni ed obiettivi a confronto per realizzare un rapporto di collaborazione trasparente ed efficace;
- Identificazione di nuovi KPI (*Key Performance Indicator*) per monitorare l'utilizzo dei medicinali e misurare le *performance* regionali.

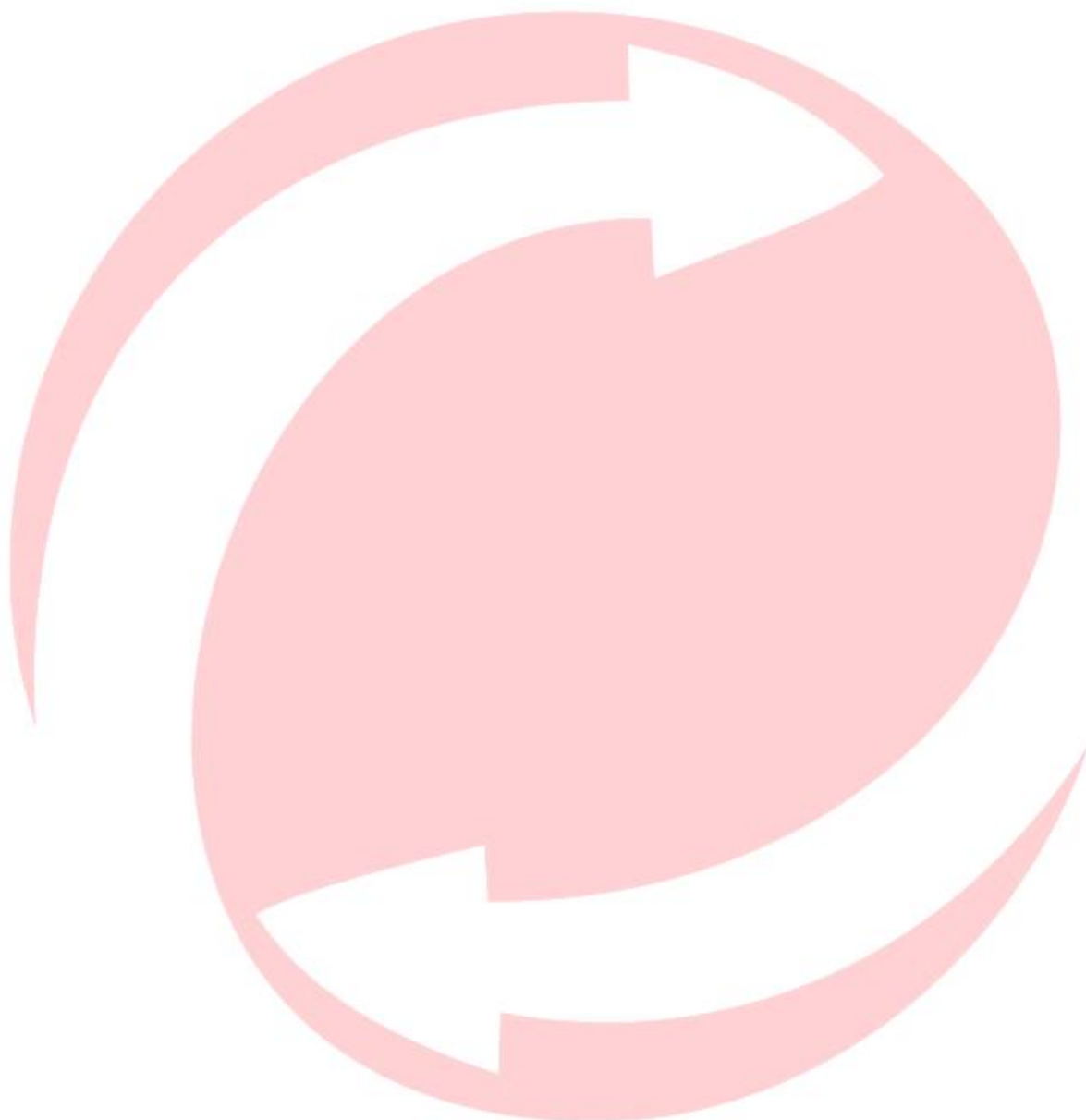
Analogamente alle precedenti edizioni, l'obiettivo del Forum non è solo quello di rappresentare ed analizzare le differenze interregionali, ma anche di:

- farne conoscere criticità e opportunità;
- discutere le politiche in un'ottica multidisciplinare con il coinvolgimento dei soggetti istituzionali, i portatori di interesse e la ricerca;
- produrre idee innovative/raccomandazioni che possano rendere più omogeneo l'accesso dei pazienti al farmaco, pur mantenendo l'autonomia delle Regioni nella modalità di organizzazione e gestione dei servizi;
- promuovere l'utilizzo dei dati ai fini di un confronto basato su informazioni e di valutazione di impatto delle politiche regionali.

Nello specifico, la discussione e la produzione di raccomandazioni/idee innovative è avvenuta, nell'ambito di quattro GdL, formati da istituzioni, ricercatori, imprese e referenti di pazienti, a partire da relazioni introduttive (“Relatore”), con un coordinamento misto (referenti istituzionali / di imprese / della ricerca), ed il supporto di componenti del Team di Dephaforum (“Facilitatore”). I GdL hanno poi presentato e discusso in plenaria i risultati delle proprie riflessioni, attraverso un “Rapporteur”.

L'iniziativa, come già specificato, è stata promossa da Dephaforum che da anni, attraverso i Seminari di Mogliano, il Forum delle Politiche Farmaceutiche Regionali, il Forum Pazienti ed altre iniziative, ha sostenuto incontri di discussione aperta su tematiche di politica del farmaco, finalizzati ad un confronto costruttivo ed alla convergenza verso raccomandazioni condivise. Tali riflessioni e raccomandazioni si sono poi tradotte in pubblicazioni su riviste *peer-reviewed* (Allegato 2).

Il presente documento rappresenta il quarto “Quaderno del Forum delle Politiche Farmaceutiche Regionali” ed ha l’obiettivo di descrivere in sintesi le presentazioni iniziali e di informare sugli elementi chiave della discussione nei GdL e nella sessione plenaria successiva in cui si sono stati raccolti rilievi critici e suggerimenti da parte di tutti i partecipanti al Forum. Il Quaderno verrà convertito in pubblicazioni scientifiche con un maggiore dettaglio sulla discussione ed un suo inquadramento rispetto alle evidenze scientifiche esistenti, che non vengono riportate nel presente documento.



Gruppo di Lavoro 1. Il governo del comportamento prescrittivo sui farmaci rimborsati: autonomia regionale o “palla al centro”?

Relatore

Giovanna Scroccaro Regione Veneto e Commissione Scientifica ed Economica (CSE), AIFA

Coordinatori

Giovanna Scroccaro Regione Veneto e CSE, AIFA
Antonio La Greca Ufficio Prezzi & Rimborso, AIFA
Marco Pulicati Astellas

Facilitatore

Massimo Medaglia Dephaforum

Rapporteur

Annalisa Scopinaro Presidente UNIAMO

Introduzione

Il GdL1 ha affrontato il tema del governo del comportamento prescrittivo dei farmaci rimborsati dal SSN, con l'obiettivo di comprendere come distribuire in modo efficace competenze e responsabilità tra livello centrale (AIFA) e livello regionale.

L'attività di indirizzo riguarda l'appropriato utilizzo rispetto all'indicazione rimborsata, ovvero l'identificazione corretta del paziente eleggibile al trattamento, la scelta tra alternative aventi la stessa indicazione terapeutica e la scelta tra diverse possibili sequenze terapeutiche. Il primo ambito è tendenzialmente definito a livello centrale (Note AIFA, Piani Terapeutici, Registri farmaci), ma applicato poi operativamente a livello regionale, mentre gli altri due ambiti sono tendenzialmente definiti a livello regionale. Solo in alcuni limitati casi gli indirizzi prescrittivi AIFA esplicitano la sovrapponibilità terapeutica tra alternative e suggeriscono la scelta economicamente più vantaggiosa (*cfr.* Note AIFA 97, 98 e 99). Le esperienze di indirizzo regionale su alternative terapeutiche e sequenze di terapie citate a titolo esemplificativo sono quella del Gruppo di valutazione precoce dei farmaci oncologici in Veneto e del Gruppo Regionale Farmaci Oncologici (GReFO) in Emilia-Romagna.

L'attività di indirizzo prescrittivo si inquadra nel più ampio contesto delle valutazioni comparative (HTA – Health Technology Assessment), delle azioni di monitoraggio della prescrizione e di programmazione e controllo della spesa.

Sul versante HTA, sono stati evidenziati potenziali sovrapposizioni tra AIFA e rivalutazioni a livello regionale su casistica attesa, identificazione delle alternative terapeutiche, costi comparativi rispetto alle alternative e impatto sulla spesa. Tali sovrapposizioni diventano critiche quando le rivalutazioni replicano analisi già disponibili senza produrre un valore aggiunto, e quando generano esiti discordanti.

Sul monitoraggio della prescrizione, oltre ai flussi e registri nazionali, alcune Regioni hanno adottato registri regionali (ad esempio, registri sui farmaci biologici in aree reumatologica, gastroenterologica e dermatologica in Regione Veneto; registro farmaci oncologici in Regione Emilia-Romagna) con compilazione obbligatoria, digitalizzazione delle schede e cruscotti di controllo. Questo approccio rafforza l'appropriatezza prescrittiva e consente di aumentare la disponibilità di dati di governo

regionale, ma aumenta il carico di lavoro dei professionisti a livello locale, il fabbisogno di interoperabilità, di *standard* comuni e richiede una chiara *governance* dei dati.

La programmazione e controllo della spesa comportano la definizione di tetti / limiti di costo, l'individuazione di fattori di risparmio, lo sviluppo di indicatori di monitoraggio e di azioni correttive. A titolo di esempio, vengono riportati gli indicatori di Regione Veneto che premiano l'utilizzo della formulazione a minor costo per specifiche molecole, nonché una rendicontazione di risparmi stimati e ottenuti associata a un set di indicatori e a obiettivi economici complessivi.

La discussione del GdL1:

- si è inserita in un percorso avviato nelle precedenti edizioni del Forum, in cui non si era raggiunto un consenso pieno sulla produzione di raccomandazioni regionali, ma si era comunque auspicato
 - un maggior intervento di AIFA,
 - il coinvolgimento di clinici di riferimento e imprese farmaceutiche interessate,
 - una coerenza tra valutazioni regionali e nazionali, senza duplicazioni,
 - l'integrazione di elementi clinici ed economici,
 - la messa a disposizione di AIFA delle raccomandazioni regionali ai fini di possibili ricontrattazioni;
- è partita dalla constatazione che in altri paesi vi sia un approccio più attivo a livello centrale. Ad esempio:
 - il NICE (*National Institute for health and Care Excellence* inglese), oltre alle valutazioni delle singole tecnologie fornisce indirizzi per area terapeutica, algoritmi *step-wise* e, ove clinicamente appropriato, indicazioni di preferenza per l'opzione meno costosa;
 - nei Paesi Bassi, il Zorginstituut Nederland identifica *cluster* di farmaci terapeuticamente intercambiabili e collega il rimborso a un prezzo massimo di riferimento;
 - in Spagna, pur in un contesto maggiormente decentrato, la AEMPS (*Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios*) fornisce, nell'ambito dei Rapporti di Posizionamento Terapeutico – IPT (*Informes de posicionamiento terapéutico*), informazioni sul *place in therapy*, sulla efficacia e sicurezza comparativa, con sperimentazioni più recenti volte a includere elementi di costo-efficacia e *budget impact*;
- si è avvalsa di una *survey* condotta nel mese precedente il Forum e che ha avuto come *target* le Regioni, le aziende sanitarie e le imprese.

I risultati della *survey*

La *survey*, sviluppata dal GdL1, ha investigato come l'HTA, gli indirizzi prescrittivi, le iniziative straordinarie di contenimento della spesa ed il monitoraggio della prescrizione siano attualmente allocate tra livello centrale e regionale e come dovrebbero esserle in futuro.

Hanno risposto 16 referenti (Servizi Farmaceutici) di Regioni/Province Autonome, 8 referenti (farmacisti ospedalieri) di Aziende Sanitarie e 39 referenti (market access) di imprese farmaceutiche. I *responder* istituzionali hanno evidenziato che le attività sono più spesso a carico delle Regioni, mentre per il futuro si è auspicato una maggiore centralizzazione. La richiesta di maggiore centralizzazione riguarda gli indirizzi prescrittivi, le misure straordinarie di contenimento della spesa e in misura minore il monitoraggio della prescrizione.

I referenti delle aziende farmaceutiche hanno espresso risultati complessivamente coerenti con la direzione indicata dai rappresentanti istituzionali. I *responder* di impresa hanno anche segnalato alcune attività non sufficientemente presidiate: la gestione dei dati provenienti da Piani Terapeutici e Registri; la manutenzione e aggiornamento della loro digitalizzazione; lo sviluppo e il monitoraggio di indicatori basati su flussi amministrativi e su obiettivi quantitativi di aderenza a vincoli prescrittivi o economici.

Nel complesso, i risultati della *survey* indicano un bisogno di maggiore omogeneità nazionale. La centralizzazione, tuttavia, non dovrebbe tradursi in una riduzione della autonomia regionale nell'implementazione, ma in una migliore divisione del lavoro: *standard* e contenuti comuni al centro, adattamento organizzativo e verifica dell'appropriatezza sul territorio.

L'indagine fotografa un sistema che ha costruito nel tempo un forte presidio regionale sulla prescrizione, ma che oggi avverte il costo della frammentazione: analisi replicate, strumenti eterogenei, *standard* non uniformi e, in alcuni casi, attività non presidiate. La direzione emersa dalla *survey* è chiara: rafforzare il livello nazionale dove serve omogeneità e riduzione delle disuguaglianze, lasciando alle Regioni la responsabilità di trasformare gli indirizzi in pratica clinica e organizzazione efficace.

Temi selezionati

Partendo dai contenuti della relazione introduttiva e dai risultati della *survey*, il GdL1 si è concentrato sul tema del governo del comportamento prescrittivo dei farmaci rimborsati, esplorando il bilanciamento tra autonomia regionale e un possibile rafforzamento del livello centrale ("palla al centro").

La scelta dei temi specifici è stata condivisa dai partecipanti, convergendo su tre aree considerate prioritarie per impatto su appropriatezza, sostenibilità e uniformità di accesso:

- HTA, con riferimento definizione del *place in therapy*, analisi dei costi comparativi e analisi di impatto sul budget (BIA - *Budget Impact Analysis*);
- elaborazione di indirizzi prescrittivi e strumenti di regolamentazione della prescrizione;
- misure straordinarie di contenimento della spesa.

HTA, *place in therapy* e BIA

Sul dominio HTA e *place in therapy*, si è raggiunto un consenso tra tutti i partecipanti:

- la definizione del posizionamento in terapia dovrebbe essere centralizzata;
- le Regioni dovrebbero integrare tale attività curando la declinazione degli aspetti organizzativi (implementazione al contesto locale);
- le azioni di AIFA e delle Regioni non dovrebbero essere sequenziali ma, ove possibile, svilupparsi in contemporanea.

Questa posizione cerca di sintetizzare due esigenze: da un lato, uniformare i criteri di collocazione terapeutica e ridurre la frammentazione; dall'altro, preservare la capacità regionale di tradurre le decisioni in percorsi assistenziali coerenti con centri, reti, canali distributivi e *governance* locale.

Tra i suggerimenti operativi, emerge la richiesta di una condivisione anticipata di alcune informazioni da parte di AIFA verso le Regioni, in particolare i dati estratti dal *dossier* aziendale, validati da AIFA di natura epidemiologica (es. popolazione disaggregata a livello regionale) e clinica. Questa attività viene indicata come "in fase di sviluppo" dagli esponenti di AIFA ed è stato suggerito di utilizzare un

format di scheda (veicolato da AIFA alle Regioni) analogo per struttura e contenuti a quello già disponibile per i farmaci innovativi.

In parallelo, a valle di una discussione articolata, si è concordato che il trasferimento delle informazioni su prezzi e impatti di spesa debba avvenire a fine negoziazione.

Questo diverso profilo temporale della messa a disposizione dei dati è stato motivato dalla necessità di sostenere un coinvolgimento informato delle Regioni senza interferire con la fase negoziale o introdurre elementi di complessità che possano rallentare i processi.

Il GdL1 ha poi approfondito il tema delle BIA, con l'obiettivo di aumentare la partecipazione delle Regioni al processo decisionale. Per rendere la BIA realmente utilizzabile nel dialogo tra livelli, sono state indicate due possibili strade:

- coinvolgere le Regioni nella valutazione della BIA durante la contrattazione, attraverso BIA proposti dal livello centrale ma rielaborati a livello regionale, con la criticità potenziale di allungare le tempistiche negoziali;
- non coinvolgere le Regioni nella valutazione della BIA durante la prima contrattazione, ma richiedere loro una rielaborazione successiva, anche sulla base di dati Real-World (RWD), per produrre elementi utili nelle fasi negoziali successive, ovvero nei processi di ricontrattazione. In questo ambito le Regioni potrebbero dedicarsi a recuperare anche informazioni su aspetti non clinici, per supportare una valutazione multidimensionale.

Il GdL1 ha inoltre sottolineato la difficoltà di valorizzare i modelli economici, soprattutto nei casi in cui i risultati sono focalizzati (quindi limitati) sui *silos* dei farmaci e presentano vantaggi per il SSN nel medio-lungo termine, considerando inoltre che i costi/terapia vengono influenzati anche dal modello organizzativo adottato, che può cambiare tra Regioni.

Elaborazione indirizzi prescrittivi e strumenti operativi

Sul tema del governo dell'appropriatezza prescrittiva e relativi indirizzi il GdL1, prendendo atto che numerose indicazioni erano già emerse nel GdL della precedente edizione del Forum (cfr. *supra*), si è focalizzato sugli strumenti operativi per il monitoraggio della prescrizione, raccomandando un percorso che preveda:

- l'utilizzo del Sistema Tessera Sanitaria, su database popolati dalle Regioni;
- lo sviluppo di KPI, inclusi indicatori di utilizzo appropriato del farmaco, in una logica di interazione tra livello regionale e livello centrale;
- un'azione di monitoraggio e coordinamento del flusso.

Viene anche citata l'opportunità di un confronto internazionale dei consumi, tenendo conto delle differenze nei criteri di rimborsabilità e nei *setting* assistenziali, come strumento per interpretare i dati e contestualizzare *performance* e scostamenti.

Misure di contenimento spesa: da straordinarie a ordinarie

Le misure straordinarie (attivate in presenza di pressioni sul contenimento della spesa), in parte declinate in specifiche previsioni normative (ad esempio, Legge di Bilancio 2026), in parte informalmente citate da dirigenti AIFA, si sviluppano attraverso tre direttrici:

- clausola di salvaguardia: riduzione automatica del prezzo nelle more o in sostituzione della rinegoziazione;
- valorizzazione delle rinegoziazioni come leva sistemica di contenimento della spesa;

- revisione del prontuario terapeutico, con possibile *delisting* per classi terapeutiche (da valutare “quali e come”, anche coinvolgendo gli *stakeholder*).

Ad oggi AIFA non dispone di strumenti di contenimento della spesa, con l’eccezione delle rinegoziazioni, che però avvengono in tempi successivi agli sforamenti dei tetti di spesa: ne consegue che le Regioni intervengono con soluzioni tampone (ad esempio, obiettivi ai prescrittori, riduzioni dei limiti/tetti di spesa, ecc.) che accentuano la disomogeneità territoriale.

Il GdL1 propone di fare evolvere tali direttrici in strumenti ordinari e strutturali, previa opportuna condivisione delle parti in causa e considerando che:

- da una parte tali strumenti consentono di contenere l’incremento di spesa e ridurre il sistematico sforamento dei tetti, contribuiscono agli equilibri di bilancio regionali e permettono di liberare risorse da utilizzi inappropriati;
- dall’altra il tetto sugli acquisti di farmaci da parte delle aziende sanitarie è comunque insufficiente e andrebbe aumentato; le risorse liberate dalle azioni di contenimento potrebbero non essere sufficienti rispetto alla crescita legata a nuovi farmaci, invecchiamento e impatto della cronicità; le differenze di prezzo possono riflettere profili differenti di efficacia e sicurezza; non verrebbero valorizzate le differenze regionali in termini di capacità di controllo del *trend* di spesa nelle varie aree terapeutiche;
- in ogni caso alcune di queste misure (in particolare *delisting* e/o revisione del prontuario), richiedono criteri trasparenti (possibilmente condivisi), una forte base tecnico-scientifica e un governo centrale capace di mitigare effetti indesiderati su appropriatezza e accesso.

Conclusioni e proposte operative

Dall’insieme degli output del GdL1 si evincono alcuni principi guida:

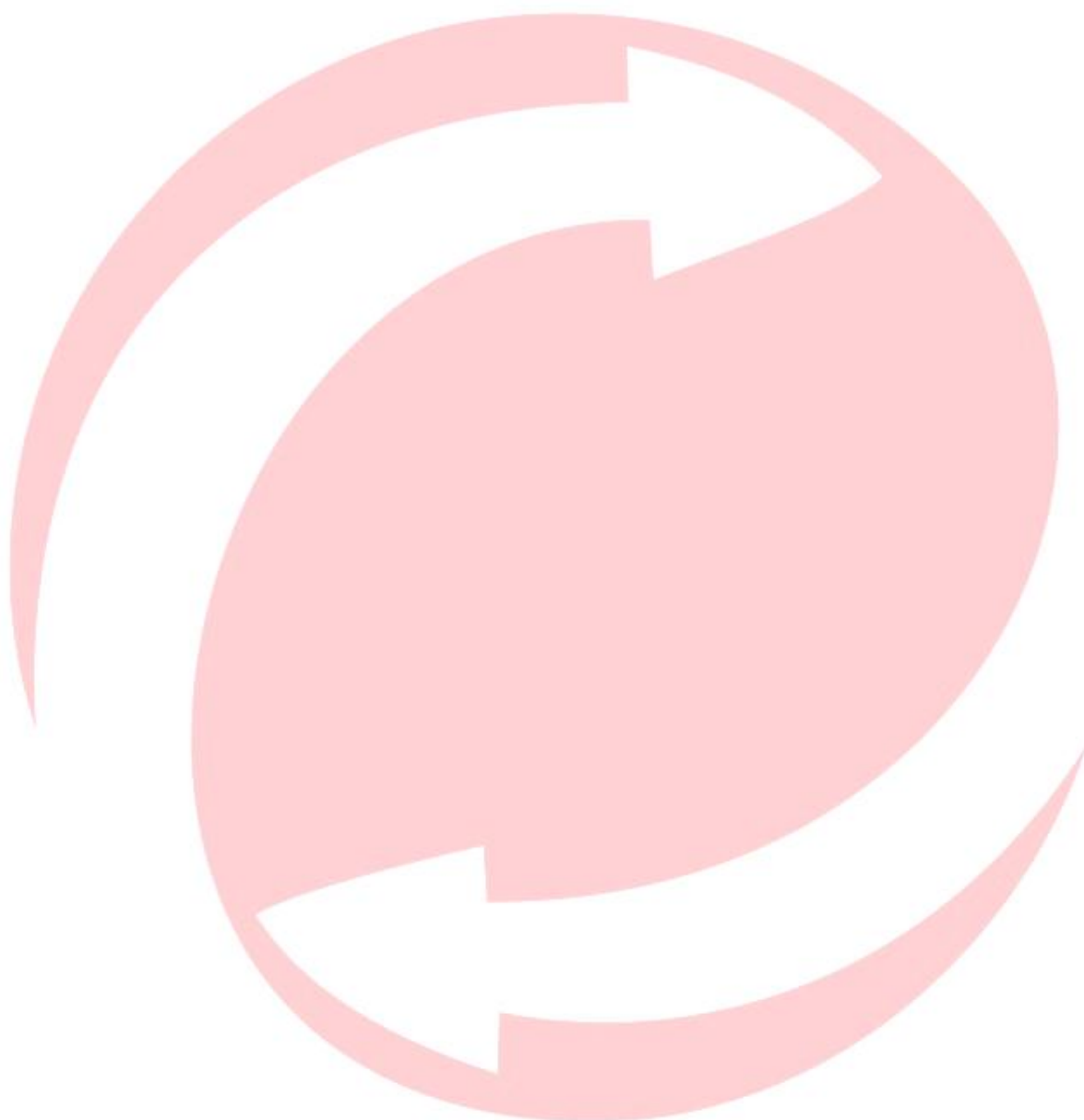
- centralizzare dove serve uniformità (*place in therapy*) e dove il rischio di frammentazione ha impatti diretti su accesso e sostenibilità;
- mantenere in capo alle Regioni la leva implementativa sugli aspetti organizzativi (centri, reti, percorsi e *governance* locale), evitando però ridondanze e ritardi;
- governare tempi e flussi informativi: in contrattazione, condividere prima tra AIFA e Regioni ciò che abilita programmazione e *readiness* regionale (dati clinici e stima della popolazione target) e dopo ciò che è legato alla negoziazione (prezzi e valutazione di impatto);
- rendere strutturali strumenti oggi “straordinari” di contenimento della spesa, riconoscendo al contempo i vincoli macroeconomici (risorse per il SSN e coperture) che richiedono interventi oltre il perimetro tecnico;
- misurare l’appropriatezza con KPI robusti, sfruttando basi dati disponibili e presidiando il ciclo di monitoraggio e *feedback*.

L’*output* del GdL1 converge su un impianto in cui il livello centrale diventa riferimento per il posizionamento terapeutico e per alcune leve strutturali di contenimento, mentre le Regioni mantengono un ruolo essenziale nell’implementazione, governo dei flussi e monitoraggio dell’appropriatezza.

La proposta di rafforzare la condivisione anticipata di informazioni cliniche e dati di popolazione, posticipando la condivisione di prezzo e impatti a fine negoziazione suggerisce un modello pragmatico, orientato a coinvolgere le Regioni senza rallentare i processi decisionali.

Infine, la discussione sulle misure di contenimento segnala che la *governance* può (e deve) migliorare, ma non può sostituire il tema strutturale della capienza dei tetti: un’eventuale

stabilizzazione delle misure richiede coerenza con i meccanismi di finanziamento e con le dinamiche di innovazione e cronicità, nella visione in cui il farmaco ed i suoi costi diretti costituiscono solo una parte dei costi di gestione di una patologia.



Gruppo di Lavoro 2. Mobilità interregionale dei pazienti e programmazione sanitaria: impatto economico, anticipazione della spesa e governance dei flussi farmaceutici

Relatore

Andrea Marcellusi Università degli Studi Milano e Presidente ISPOR Italy Rome Chapter

Coordinatori

Alberto Bortolami Regione Emilia-Romagna

Andrea Marcellusi Università degli Studi Milano e Presidente ISPOR Italy Rome Chapter

Massimiliano Palermo Galderma

Facilitatori

Rosy Amodeo Dephaforum

Giorgia Fedele Dephaforum

Rapporteur

Lorella Lombardozzi AO San Camillo Forlanini, Roma

Introduzione

Il GdL2 ha affrontato il tema della mobilità sanitaria con un focus specifico sulla assistenza farmaceutica, al fine di:

- esaminare i principali *driver* della mobilità legati all'accesso ai farmaci;
- individuare le principali criticità legate alla gestione della mobilità;
- definire proposte operative per il miglioramento dell'efficienza complessiva del sistema.

Nella relazione introduttiva sono stati evidenziati alcuni dati ed elementi di riflessione per la discussione del GdL. Fonti:

- <https://www.statoregioni.it/it/conferenza-unificata/sedute-2025/seduta-del-29-dicembre-2025/atti-del-29-dicembre-2025/>
- https://www.agenas.gov.it/images/agenas/monitor/quaderno/mobilita_sanitaria-2024/AGENAS_Mobilit%C3%A0_Sanitaria.pdf
- Report Osservatorio GIMBE n. 2/2025. La spesa sanitaria privata in Italia nel 2023. Fondazione GIMBE: Bologna, 18 febbraio 2025. Disponibile a: www.gimbe.org/spesa-sanitaria-privata-2023.

La mobilità interregionale dei pazienti rappresenta un fenomeno strutturale del SSN con un valore economico per il 2023 superiore ai 5 miliardi di euro (3,9% della spesa SSN). Il 70% della spesa associata a mobilità interregionale è per prestazioni di ricovero ed il 15% per prestazioni ambulatoriali. Il 68% dei ricoveri in mobilità avviene in strutture private accreditate ed il 73% origina da pazienti in mobilità dalle Regioni del Sud.

La mobilità farmaceutica non collegata ad episodi di ricovero viene compensata dal Flusso D per la convenzionata e dal Flusso F per la somministrazione diretta dei farmaci (medicinali consegnati alla dimissione, farmaci destinati a pazienti cronici o in assistenza domiciliare, farmaci erogati negli istituti penitenziari e distribuzione per conto tramite le farmacie convenzionate). Attraverso il Flusso F sono compensati anche i farmaci ad alto costo (oncologici e infusionali) e i trattamenti salvavita, pur utilizzati nell'ambito delle prestazioni tariffate (abbattute al 10% nel caso di rendicontazione separata in File F del farmaco) e definiti in modo specifico negli accordi per la compensazione della mobilità interregionale. Il Flusso F rappresenta il 10% del valore economico della mobilità.

La mobilità può avere natura:

- casuale, quando il paziente è fuori regione di residenza e la prestazione deve essere erogata con urgenza;
- apparente, se è dovuta a studenti o lavoratori fuori sede, che non abbiano modificato la scelta del MMG (Medico di Medicina Generale) di riferimento;
- effettiva, ovvero dettata da una scelta volontaria (del paziente). Quest'ultima, rappresenta l'80,4% di tutta la mobilità ed è l'ambito su cui il GdL2 si è focalizzato.

Nell'ambito della mobilità effettiva, si è poi distinto tra mobilità appropriata e inappropriata. La mobilità appropriata (fisiologica) è legata alla ricerca di centri ad alta specializzazione e cure (spesso, ma non solo, per le malattie rare) e riguarda in generale prestazioni ad alta complessità clinica e tecnologica, per le quali lo spostamento del paziente è necessario. La modalità inappropriata (evitabile), sulla quale è necessario intervenire per ridimensionare il fenomeno, è causata da ritardi burocratici e disomogeneità organizzative locali, riguarda prestazioni a media/bassa complessità per le quali lo spostamento è indotto da inefficienze del sistema sanitario nella regione di residenza del paziente.

La mobilità, oltre ad essere in parte inappropriata, pone due problemi di ordine finanziario.

Da una parte, la regione ospitante ha tempi di compensazione molto lunghi, pari a circa 24-36 mesi. In alcuni casi le Regioni con mobilità attiva hanno richiesto alle aziende sanitarie di residenza del paziente l'autorizzazione a procedere ed un'anticipazione finanziaria per la gestione della mobilità stessa, richiesta legittima, dati i tempi lunghi di compensazione, ma che crea ulteriori tensioni finanziarie. Dall'altra, la regione in cui il paziente è residente subisce un'uscita monetaria che dovrebbe coprire sia i costi fissi sia i costi variabili della prestazione, quando già sostiene i costi per i fattori produttivi fissi a livello regionale.

Criticità emerse durante la discussione

Il GdL2 ha in primo luogo identificato in modo più specifico i *driver* della mobilità per l'erogazione dell'assistenza farmaceutica, rispetto a quelli più generali sopra descritti per le prestazioni sanitarie. Nello specifico, i fattori individuati che influenzano la mobilità interregionale per farmaci sono:

- tempi di accesso ai farmaci differenti tra le Regioni, generati dalla effettiva disponibilità (inclusione nei prontuari se previsti), procedure di approvvigionamento, tempi di erogazione e rimborso;
- assenza o carenza di centri di riferimento nella regione di residenza, necessari per la gestione dell'intero percorso del paziente (ad esempio, centri diagnostica molecolare, necessaria per la individuazione dei pazienti eleggibili ad una terapia *target*);

- differenze tra Regioni rispetto a tempi di identificazione e numerosità dei centri e specialisti autorizzati alla prescrizione;
- inefficienze organizzative, come liste d'attesa elevate per le prestazioni collegate alla prescrizione di farmaci specialistici.

Sono state quindi identificate le principali criticità legate alla mobilità per assistenza farmaceutica. Sotto il profilo dei flussi informativi, il GdL2 ha evidenziato:

- l'assenza di dati granulari nazionali sulla mobilità e, quindi, di una loro condivisione / analisi sistematica. I dati relativi alla mobilità interregionale per il File F sono prodotti dalle aziende sanitarie, raccolti e gestiti a livello regionale e, successivamente, condivisi a livello interregionale e nazionale solo nell'ambito dei flussi informativi previsti dagli accordi interregionali per la compensazione della mobilità sanitaria (dati aggregati);
- la mancanza di interoperabilità dei dati tra i registri AIFA e i flussi informativi regionali;
- la carenza di indicatori di processo del percorso, utili alla programmazione del fabbisogno. Senza indicatori di processo affidabili, le Regioni non possono stimare correttamente il fabbisogno di risorse per la gestione della mobilità interregionale.

La presenza di una elevata mobilità in ingresso genera poi una difficoltà nella programmazione regionale in termini organizzativi, economici e nella gestione dei processi di acquisto, nonché nella stima della popolazione target, necessaria per la valutazione di impatto sul budget a livello regionale.

Un ulteriore aspetto critico è rappresentato dai costi a carico dei pazienti e degli eventuali *care-giver*, per effetto della mobilità. La mancata considerazione di questi costi porta a sottostimare il reale impatto economico della mobilità farmaceutica e richiederebbe l'intervento finanziario di altri ambiti delle spese per il Welfare (fondi per assistenza).

Proposte operative

A partire dai *driver* della mobilità per farmaci e dai fattori critici sopra evidenziati, il GdL2 ha suggerito due proposte operative per gestire al meglio la mobilità.

La prima proposta è di prevedere che la mobilità e la relativa compensazione vengano gestite direttamente tra ASL di residenza del paziente ed ente erogatore della prestazione, previa autorizzazione, attraverso due modalità:

- fatturazione diretta, per la quale vi sono esperienze pregresse riguardanti, ad esempio, i test prognostici per tumore alla mammella (DM 18 maggio 2021, pubblicato in GU - Gazzetta Ufficiale il 7 luglio 2021);
- accordi che prevedano l'acquisto del farmaco da parte della ASL di residenza ed il suo invio al centro extra-regione per la somministrazione del farmaco.

Tale proposta:

- avrebbe come *target* farmaci, innovativi e non innovativi, caratterizzati da
 - costo elevato (> 100.000 euro annuo per paziente),
 - necessità di elevato *expertise* nella gestione della somministrazione ed impatto organizzativo elevato;
- necessità di definire *ex ante* alcune condizioni fondamentali di implementazione, ovvero
 - coerenza con i Livelli Essenziali di Assistenza (LEA),
 - definizione di tempi ragionevoli;
 - individuazione di referenti regionali che possano gestire il processo.

Ad integrazione o in alternativa alla gestione diretta tra ASL acquirente e soggetto erogatore sono stati proposti alcuni interventi strutturali:

- l'istituzione di un fondo unico nazionale per la gestione dei farmaci ad altissimo costo;
- l'introduzione di meccanismi di condivisione del Codice Identificativo Gara (CIG).

La seconda proposta è prevedere percorsi dedicati di accesso al farmaco sviluppando reti interregionali che favoriscano la prossimità assistenziale, per patologie selezionate e nei casi in cui *test* molecolari ed esami diagnostici avanzati non siano disponibili nella regione di residenza. Nello specifico, la diagnosi e la definizione del piano terapeutico avverrebbero nell'*Hub* diagnostico situato al di fuori della regione in cui il paziente è residente; la somministrazione del farmaco ed i successivi follow up avverrebbero nella regione di residenza. Questo consentirebbe di ridurre le necessità di compensare la mobilità al solo *test* diagnostico ed i costi a carico del paziente e dei *care-giver* e di ottenere maggiore aderenza del paziente al Piano terapeutico.

Conclusioni

La mobilità interregionale dei pazienti rappresenta un fenomeno strutturale del SSN, fortemente influenzato da differenze organizzative, tempi di accesso ai farmaci, disponibilità di centri specialistici e modelli di *governance* regionali.

La mobilità evidenzia criticità significative sotto il profilo organizzativo, gestionale e di compensazione finanziaria, oltre a determinare un costo sommerso per pazienti e *care-giver*.

Il GdL2 ha raccomandato di ridurre la mobilità inappropriata e formulato delle proposte operative per la gestione della mobilità in ambito farmaceutico, in generale e, auspicabilmente nel futuro, per la sola mobilità appropriata. Tali proposte operative sono finalizzate a ridurre le problematiche organizzative, finanziarie e gestionali della mobilità, rendendo più agevole l'attività di programmazione regionale.

Gruppo di Lavoro 3. Servizi Farmaceutici Regionali e Aziende Farmaceutiche: bisogni ed obiettivi a confronto per realizzare un rapporto di collaborazione trasparente ed efficace

Relatori

Paola Rossi	Regione Friuli-Venezia Giulia
Silvia Marangoni	Almirall

Coordinatori

Paola Rossi	Regione Friuli-Venezia Giulia
Silvia Marangoni	Almirall

Facilitatore

Cosetta Bianchi	Dephaforum
-----------------	------------

Rapporteur

Alessia Pisterna	AOU Maggiore della Carità, Novara
Alessandro Policreti	Novartis

Introduzione

Nel contesto attuale, il governo dell'assistenza farmaceutica è chiamato a gestire una crescente pressione derivante, da un lato, dall'evoluzione dei bisogni epidemiologici e, dall'altro, dal rapido progresso dell'innovazione terapeutica. Ciò richiede capacità sempre più evolute di programmazione, valutazione e gestione dell'accesso ai farmaci a livello nazionale e regionale, dove le decisioni assunte a livello nazionale si traducono operativamente in disponibilità effettiva delle terapie per i pazienti.

Le evidenze derivanti dalle attività di *Horizon Scanning* di AIFA delineano un flusso consistente di innovazioni destinate a entrare nei percorsi di accesso regionale negli anni successivi. In particolare, nel 2025 era prevista la valutazione di 112 nuovi medicinali, di cui circa la metà costituita da molecole, nell'area terapeutica oncologica/oncoematologica e 9 rappresentate da terapie avanzate. Nel suo complesso, il sistema nazionale ha finora garantito livelli elevati di accesso, intesi come farmaci a procedura centralizzata europea ed inseriti nel Prontuario Terapeutico Nazionale (PTN). Tuttavia, persistono significative disomogeneità a livello regionale, in particolare nelle tempistiche dei percorsi, con conseguenti disuguaglianze nell'accesso alle terapie tra i pazienti.

In questo quadro, il rafforzamento della collaborazione tra gli *stakeholder* rappresenta un elemento chiave per garantire nuove opportunità terapeutiche nel rispetto della sostenibilità del sistema. Nello specifico una maggiore collaborazione tra aziende farmaceutiche e Regioni rappresenta un'opportunità concreta di efficientamento del sistema, con potenziali benefici per tutti gli attori coinvolti e, in particolare, per i pazienti, destinatari finali dell'azione del SSN.

Il GdL3 nasce con l'obiettivo di mettere a confronto bisogni e priorità di soggetti istituzionali, imprese ed altri *stakeholder*, al fine di individuare soluzioni condivise per rendere il rapporto tra servizi farmaceutici regionali e aziende farmaceutiche più trasparente, strutturato ed efficace. Il GdL3 ha

condiviso la necessità di declinare il tema della collaborazione tra aziende farmaceutiche e Regioni su tre aspetti:

- accesso ordinario ai farmaci;
- accesso precoce ai farmaci;
- sperimentazione clinica.

Per ogni aspetto, il GdL3 ha esaminato le principali criticità, identificato le priorità di intervento e formulato proposte condivise, orientate a migliorare l'efficacia, l'efficienza e l'uniformità dei processi.

Accesso ordinario

L'analisi dell'accesso ordinario ha evidenziato una marcata eterogeneità nei percorsi regionali, in termini sia di tempistiche sia di modalità operative. Questa eterogeneità si può tradurre in iniquità di accesso alle terapie sul territorio nazionale, nonché in incertezza sui tempi di disponibilità per i pazienti, che, in assenza di limiti temporali definiti dalla normativa, possono in alcuni casi risultare particolarmente prolungati. Tali elementi sono stati identificati come criticità prioritarie, rispetto alle quali appare necessario sviluppare proposte di intervento mirate.

Come premessa alla discussione, il GdL3 ha evidenziato come le modalità di collaborazione tra Regioni e aziende farmaceutiche siano influenzate dal quadro di coordinamento tra AIFA e le Regioni. Nelle more di eventuali evoluzioni di tale assetto, il gruppo ha ritenuto comunque opportuno formulare proposte volte a migliorare le interazioni tra Regioni e aziende farmaceutiche.

Alla luce di tali premesse, il GdL 3 ha condiviso la necessità di distinguere l'analisi in base alla tipologia di farmaci: farmaci *"first-in-class"* e farmaci *"follower"* o *"me-too"*.

Per i farmaci *first-in-class*, l'attenzione si è focalizzata sulla necessità di rafforzare i meccanismi di accompagnamento e collaborazione tra *stakeholder* e le proposte sono state articolate distinguendo tra la fase precedente e quella successiva all'accesso a livello nazionale.

Nella fase antecedente l'accesso nazionale, gli esperti hanno evidenziato la necessità di rafforzare i meccanismi di preparazione e coordinamento tra *stakeholder*, al fine di favorire una più efficace programmazione regionale, aspetti richiamati anche dal GdL1. In particolare, è stato proposto di:

- prevedere la condivisione di dati epidemiologici da parte delle imprese con le Regioni e le Aziende sanitarie successivamente alla decisione della CSE, al fine di supportare la stima dei fabbisogni a livello regionale, nelle more delle decisioni di AIFA;
- promuovere momenti di confronto strutturato con i clinici, finalizzati alla valutazione congiunta dei dati epidemiologici e degli aspetti organizzativi dell'accesso, in particolare nei casi caratterizzati da impatto rilevante sul sistema (in termini di sostenibilità economica e *outcome* clinici), elevata incertezza (ad esempio nelle malattie rare) o presenza di barriere significative all'accesso (quali, ad esempio, la necessità di *companion diagnostic*);
- attivare progetti facilitatori o abilitanti di interesse comune tra gli *stakeholder*, finalizzati a preparare e ottimizzare i percorsi di presa in carico e cura, anche in termini di integrazione tra *setting* assistenziali. Per la fase post-accesso il GdL3 ha proposto l'introduzione di una rivalutazione del numero di pazienti eleggibili a distanza di un anno dall'introduzione della terapia, al fine di consentire alle Regioni e alle Aziende sanitarie un miglioramento della programmazione (fabbisogni e costi correlati) così come la condivisione di nuove evidenze con particolare riferimento agli esiti di trattamento.

Per i farmaci “*follower*” o “*me-too*”, il GdL3 ha evidenziato l’opportunità di intervenire prioritariamente sull’efficientamento dei percorsi di accesso, riducendo duplicazioni e passaggi non necessari.

In particolare, è stata sottolineata la necessità:

- di evitare la ripetizione del processo di individuazione dei centri prescrittori, laddove già definito per farmaci appartenenti alla medesima classe terapeutica o comunque con profilo paragonabile;
- di superare, ove ancora presenti, i meccanismi di richiesta alla Regione, da parte dei clinici, per l’adozione delle terapie.

Parallelamente, è stata proposta l’attivazione di modalità più strutturate e tempestive di comunicazione dell’avvenuta pubblicazione in GU della Determina AIFA di Prezzo e Rimborso da parte delle imprese farmaceutiche non solo alle Regioni ma anche alle Aziende sanitarie, al fine di favorire un più rapido avvio dei percorsi di accesso a livello regionale e locale.

Un ambito trasversale ritenuto centrale ai fini dell’accesso ordinario riguarda il processo di definizione e gestione delle procedure di *procurement*. In tale contesto, il GdL3 ha evidenziato la necessità di individuare possibili margini di efficientamento e di valorizzazione di approcci più innovativi nell’ambito delle procedure di gara.

Tra le principali leve di intervento, è stato proposto di:

- sfruttare appieno gli strumenti già disponibili nell’ordinamento, promuovendo un maggiore ricorso alle procedure negoziate, anche alla luce delle previsioni introdotte dall’Art. 15 del D.L. 19/2026 (PNRR – Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza), nonché di incrementare l’utilizzo degli affidamenti diretti, nei limiti e secondo le modalità previste dall’Art. 50 del D.Lgs. 36/2023;
- adottare soluzioni di *procurement* più innovative e flessibili, quali, ad esempio, l’impiego di accordi quadro mono-fornitore per farmaci in esclusiva o l’accentramento a livello nazionale delle procedure di gara per farmaci destinati a malattie ultra-rare;
- integrare le tempistiche del *procurement* all’interno degli atti di programmazione regionale, al fine di contribuire ad una maggiore attenzione ai tempi di accesso effettivi alle terapie e quindi ad una maggiore prevedibilità e uniformità dei processi.

Accesso precoce

Il GdL3 ha in primo luogo richiamato la possibilità, con riferimento a terapie caratterizzate da un impatto clinico rilevante e dalla indifferibilità dell’accesso e nel rispetto di criteri di selezione stringenti, di introdurre un modello nazionale di accesso precoce ispirato ad esperienze internazionali quale quella offerta dal modello francese, applicabile nella fase *pre* e *post* autorizzazione a livello europeo.

Tra gli strumenti di accesso precoce alle terapie, il GdL3 si è focalizzato sulla classe C(nn) e l’uso compassionevole come ambiti di intervento per i quali esistono margini di ottimizzazione e di maggiore uniformità applicativa a livello regionale.

Le criticità emerse, complementari rispetto a quelle già affrontate da un precedente GdL (GdL2 nell’ambito del Forum 2024), sono state:

- la significativa variabilità interregionale nelle modalità di utilizzo degli strumenti di accesso precoce;

- la gestione contabile dei farmaci in classe C(nn);
- la necessità, segnalata da Regioni ad Aziende sanitarie, di avere una garanzia della continuità della fornitura del farmaco fino alla sua disponibilità a carico del SSN o, in caso di mancata rimborsabilità, la definizione di modalità chiare di finanziamento delle terapie in corso.

Le proposte emerse dal gruppo di lavoro si sono focalizzate sul miglioramento della collaborazione tra *stakeholder* così come sull'efficienza e armonizzazione dei percorsi regionali.

In particolare, è stata suggerita una maggiore collaborazione tra imprese farmaceutiche, Regioni e Aziende sanitarie nell'assicurare il monitoraggio dei pazienti trattati in classe C(nn) e in uso compassionevole, in termini sia di numerosità sia di esiti, includendo anche eventuali aggiornamenti dei dati epidemiologici nella fase successiva alla rimborsabilità.

È stato inoltre proposto di semplificare i percorsi locali di valutazione, una volta intervenuta la pubblicazione in GU dell'ammissione alla rimborsabilità, nei casi in cui il farmaco sia già stato oggetto di utilizzo tramite classe C(nn), per evitare duplicazioni di attività e ritardi non giustificati nel completamento del percorso.

Infine, è stata evidenziata l'opportunità di promuovere una maggiore armonizzazione delle modalità regionali di regolamentazione dell'uso *off-label*, in particolare per quelle casistiche che esulano da quelle già disciplinate a livello nazionale (ad esempio in ambito oncologico pediatrico), attraverso la definizione di requisiti minimi uniformi per la valutazione clinica ed economica delle richieste.

Sperimentazioni Cliniche

Per quanto concerne la sperimentazione clinica il GdL3 ha condiviso la necessità di rafforzare l'attrattività dell'Italia nel contesto europeo, anche alla luce del Regolamento (UE) n. 536/2014. In una realtà in cui la ricerca clinica è sempre più caratterizzata da dinamiche competitive a livello internazionale, è stato evidenziato come l'Italia esprima attualmente un valore aggiunto lordo derivante dalle sperimentazioni cliniche inferiore rispetto ad altri Paesi europei. Tutto ciò avviene nonostante la presenza sul territorio nazionale di centri di eccellenza che potrebbero svolgere un ruolo di coordinamento e traino per lo sviluppo della ricerca clinica, contribuendo al contempo alla sostenibilità complessiva del sistema grazie all'attrazione di investimenti verso il nostro Paese.

Nonostante tali potenzialità, permangono diverse criticità:

- insufficiente riconoscimento del valore strategico della ricerca clinica per il Sistema Paese;
- problemi di natura applicativa e procedurale quali i ritardi nell'attivazione dei centri di ricerca (in particolar modo unità di arruolamento pazienti) a seguito dell'approvazione da parte dei Comitati Etici Territoriali (CET), principalmente dovuti alla lentezza nella stipula delle convenzioni. Tali attività sono caratterizzate da una marcata disomogeneità a livello regionale per quanto riguarda, in particolare, le procedure e gli schemi contrattuali adottati, nonché la gestione della complessità legata agli aspetti di *data protection*;
- limitata disponibilità di risorse dedicate lungo l'intero *iter* di valutazione e conduzione delle sperimentazioni cliniche, nonché le elevate tempistiche e, in alcuni casi, l'insufficiente capacità di arruolamento dei pazienti;
- l'assenza di reti nazionali strutturate e di *network* di confronto tra professionisti e centri, elemento che limita la capacità del sistema di operare in modo coordinato e competitivo sfruttando sinergie e condivisione di strumenti e soluzioni.

Alla luce del quadro emerso dalla fase di analisi, il GdL3 ha individuato un insieme articolato di proposte finalizzate a rafforzare la capacità di gestione dell'attività sperimentale e la conseguente attrattività del Sistema-Paese nel suo complesso.

In primo luogo, è stata evidenziata la necessità di promuovere lo sviluppo di una cultura della ricerca e sperimentazione e il riconoscimento del suo valore strategico a livello apicale, attraverso iniziative di formazione rivolte alle direzioni delle aziende sanitarie. In tale prospettiva, è stato proposto anche l'impiego di indicatori di *performance*, quali, ad esempio, il numero di studi clinici attivati e le tempistiche di stipula dei contratti, che orientino i processi decisionali delle direzioni generali delle aziende sanitarie.

È stata inoltre proposta la creazione di Reti Cliniche di Ricerca (RCR), basate su modelli *Hub-and-Spoke*, con l'obiettivo di favorire il coordinamento tra centri, la qualificazione delle strutture e degli strumenti e l'adozione di *standard* di qualità condivisi.

In questo contesto, assume particolare rilevanza anche il rafforzamento delle competenze del personale coinvolto nell'attivazione e conduzione delle sperimentazioni cliniche, anche su temi molto pratici quali la compilazione della documentazione richiesta dalla normativa, attraverso programmi di formazione dedicati, promossi sia dalle RCR sia dalle imprese, attraverso Farindustria. Parallelamente, è stata sottolineata l'importanza di promuovere iniziative di formazione indipendente rivolte alle associazioni dei pazienti e al volontariato, al fine di favorire una maggiore partecipazione e una maggiore consapevolezza.

Sul piano operativo, il gruppo di lavoro ha individuato ulteriori interventi finalizzati a semplificare e rendere più efficiente l'avvio delle sperimentazioni cliniche. In particolare, è stato proposto:

- lo sviluppo e l'implementazione di strumenti a supporto della fase di valutazione di fattibilità, quali cruscotti informativi in grado di valutare il potenziale di arruolamento dei pazienti sulla base di dati oggettivi dei singoli centri;
- la standardizzazione documentale, in linea con le indicazioni nazionali (ad esempio del Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati Etici), nonché l'armonizzazione dei processi, anche con riferimento agli aspetti contrattuali;
- la digitalizzazione e la dematerializzazione della documentazione che, in parallelo alle altre proposte, sono state identificate come leve fondamentali per l'efficientamento dei processi e per il rafforzamento della competitività dei centri di ricerca.

Ulteriori proposte riguardano lo sviluppo di strumenti di comunicazione delle attività di sperimentazione clinica, anche rivolti alla popolazione generale, mutuati dai Comitati Etici nonché l'armonizzazione dell'approccio dei *Data Protection Officer* (DPO), al fine di ridurre le disomogeneità interpretative esistenti.

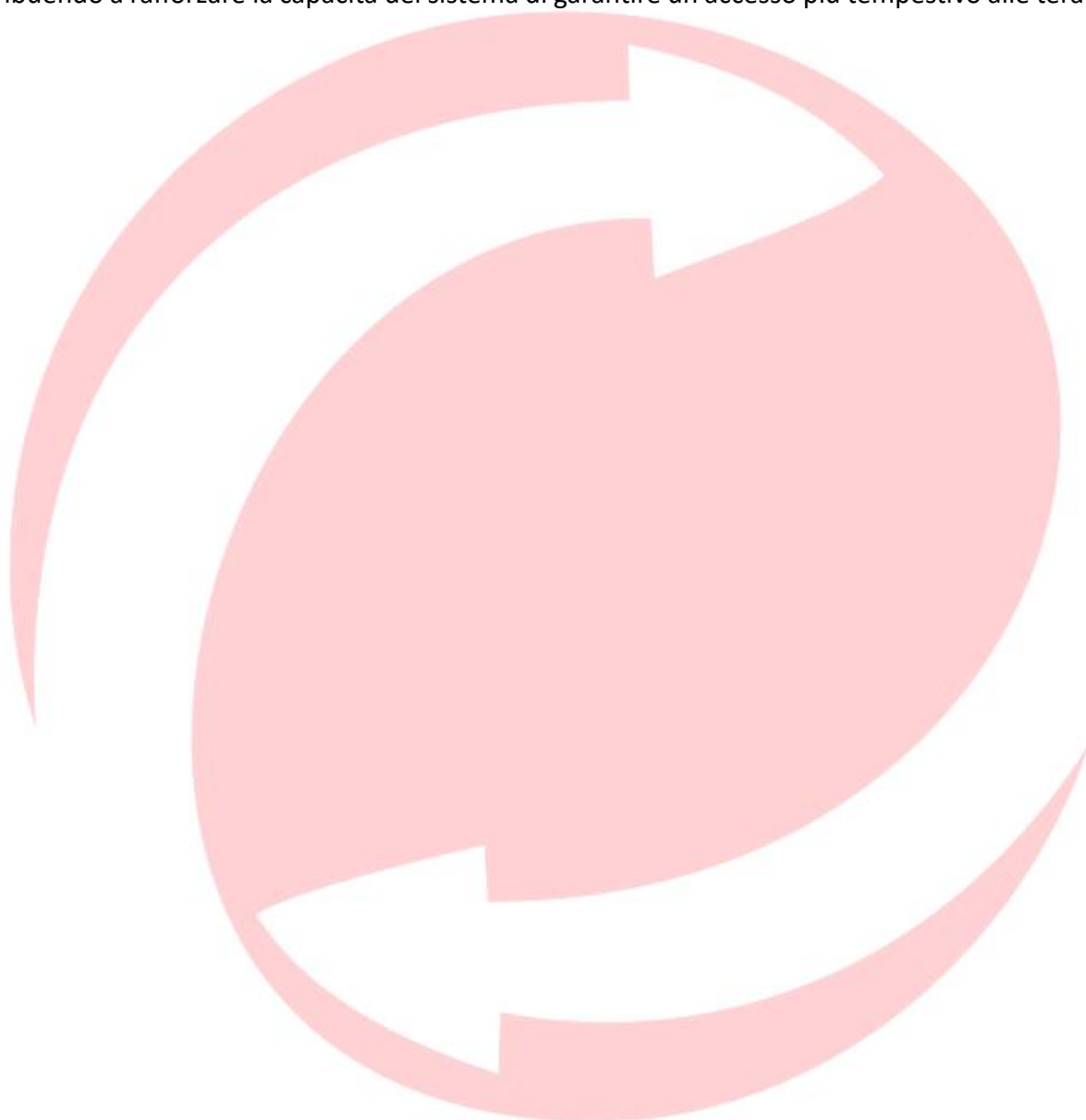
Infine, il GdL3 ha discusso la possibilità di introdurre meccanismi negoziali premianti volti a incentivare lo sviluppo delle sperimentazioni cliniche in Italia, in analogia con quanto previsto per i farmaci innovativi, ad esempio in funzione del numero di studi clinici attivati sul territorio nazionale.

Conclusioni

Alla luce degli elementi emersi, il GdL3 ha sottolineato la necessità di perseguire una maggiore uniformità ed efficienza dei percorsi di accesso alle terapie, nel rispetto delle autonomie regionali, facendo anche leva su modelli di collaborazione più strutturati tra i diversi *stakeholder*.

Un elemento trasversale emerso lungo tutte le aree analizzate è rappresentato dal ruolo strategico delle reti, intese come leve abilitanti per il coordinamento e la condivisione tra *stakeholder*. In particolare, lo sviluppo e il consolidamento delle RCR, la gestione condivisa dei modelli di accesso precoce e il rafforzamento della collaborazione tra tutti gli attori coinvolti nei processi di accesso ordinario rappresentano direttrici fondamentali di intervento.

In questo contesto, la valorizzazione delle sperimentazioni cliniche assume un ruolo, non solo in termini di avanzamento delle conoscenze e di opportunità per i pazienti, ma anche come elemento generatore di un circolo virtuoso che consente di coniugare innovazione, sostenibilità e accesso, contribuendo a rafforzare la capacità del sistema di garantire un accesso più tempestivo alle terapie.



Gruppo di Lavoro 4. Identificazione di nuovi KPI per monitorare l'utilizzo dei medicinali e misurare le «performance regionali»

Relatore

Claudio Jommi Università degli Studi del Piemonte Orientale

Coordinatori

Claudio Jommi Università degli Studi del Piemonte Orientale
Roberto Da Cas Istituto Superiore di Sanità (ISS)
Francesco Perrone Alexion

Facilitatore

Maria Cristina Carena Dephaforum

Rapporteur

Paolo Sciattella Università degli Studi di Roma Tor Vergata

Introduzione

Il GdL4 ha avuto l'obiettivo di definire un set di indicatori utili a leggere, interpretare e confrontare le dinamiche regionali di consumo e spesa farmaceutica rispetto ai bisogni di salute, a supporto delle politiche delle singole regioni.

La variabilità regionale costituisce il punto di partenza per comprendere le differenze nei livelli di consumo dei medicinali e nella spesa farmaceutica, mettendo in evidenza la necessità di analizzare, interpretare e utilizzare tali differenze come leva per orientare e rafforzare le politiche regionali.

In questa prospettiva, il farmaco è considerato parte integrante del processo assistenziale e i *Key Performance Indicator* (KPI) assumono un ruolo centrale come strumenti per misurare e governare tale processo, garantendo una lettura più omogenea, comparabile e funzionale ai bisogni di programmazione.

Il GdL4 ha definito come ambiti di interesse della costruzione di KPI:

- la tempistica del processo decisionale a livello regionale;
- l'appropriatezza prescrittiva in regime SSN, intesa come coerenza dell'utilizzo dei farmaci rispetto ai bisogni di salute prioritari in un contesto di risorse limitate. L'appropriatezza viene letta sia in termini di aderenza alle indicazioni autorizzate e alle raccomandazioni cliniche, sia in relazione alla capacità di indirizzare le risorse verso i pazienti che ne traggono il massimo beneficio;
- l'equità di accesso, intesa come equità orizzontale (pari accesso per pari bisogno). L'attenzione è stata rivolta alla riduzione delle differenze territoriali nell'erogazione dei trattamenti, alla disponibilità uniforme delle opzioni terapeutiche e alla garanzia che i criteri di eleggibilità siano applicati in modo omogeneo;
- aderenza e persistenza terapeutica, considerate condizioni essenziali per l'efficacia reale dei trattamenti e per l'uso efficiente delle risorse;
- l'efficienza allocativa "statica", ovvero la scelta dei farmaci a minor costo per pari efficacia e profilo di sicurezza;

- l'impatto sul percorso del paziente, con riferimento in particolare agli effetti complessivi sui costi.

L'individuazione e strutturazione dei KPI

La scelta dei KPI si è ispirata ad alcuni principi di fondo:

- rilevanza clinica e di sanità pubblica, ovvero capacità dell'indicatore di rappresentare fenomeni rilevanti per la salute della popolazione (in un contesto di risorse scarse);
- utilità per i decisori, ovvero capacità dell'indicatore di supportare i processi di programmazione e *governance* del farmaco;
- comparabilità territoriale, ovvero possibilità di utilizzare l'indicatore per confronti tra regioni;
- interpretabilità, intesa come facilità di lettura e comprensione dei risultati;
- disponibilità e qualità dei dati, con riferimento alla possibilità di calcolare l'indicatore utilizzando flussi informativi consolidati.

Rispetto alle diverse potenziali aree di interesse, il GdL4 ha scelto di approfondire i KPI in due ambiti specifici:

- l'area della cronicità per la quale di fatto rientrano quasi tutti gli obiettivi (equità, appropriatezza, efficienza allocativa e impatto sul percorso del paziente);
- l'area dei farmaci destinati alle malattie orfane di trattamento, per i quali i tempi di accesso regionale ed equità rappresentano gli elementi prioritari.

Ogni indicatore è stato descritto in relazione all'obiettivo che intende misurare, alle fonti informative e relative criticità e a ulteriori specifiche che ne qualificano ulteriormente il potenziale utilizzo.

Con riferimento in particolare alle fonti informative, sono state individuate:

- il Rapporto OsMed (Osservatorio sull'Impiego dei Medicinali), che fornisce dati aggregati (a livello regionale per prodotto) di consumo e spesa;
- i Registri farmaci, fondamentali per disporre di informazioni su pazienti trattati per indicazione, *follow up* e fine trattamento; rappresentano la fonte più completa relativa all'uso del farmaco per indicazione, ma non sono accessibili;
- i dati amministrativi, che consentono di analizzare consumo e spesa legati alle prestazioni erogate e tariffate / prezzate, ma che non sempre possono essere attribuite all'uso per indicazione (non essendo disponibile la diagnosi) e comunque presentano problemi di accessibilità;
- il Programma Nazionale Esiti (PNE) e il Nuovo Sistema di Garanzia (NSG), che includono alcuni dati di esito e qualità dell'assistenza;
- altre fonti informative regionali, ad esempio il Database Oncologico della Regione Emilia-Romagna, già richiamato dal GdL1, che permettono analisi più granulari su utilizzo dei farmaci ed esiti;
- flussi integrati non pubblicamente disponibili (ad esempio il LPD - *Longitudinal Patient Database* di IQVIA / Health Search) che consentono di avere una lettura integrata di variabili cliniche e di prestazioni erogate a carico del SSN;
- Registri di patologia, che presentano un'elevata variabilità in termini di patologie *target*, dati raccolti ed accessibilità.

Gli indicatori individuati

Per l'area della cronicità, l'attenzione è rivolta alla definizione di KPI che permettano di monitorare:

- l'equità nell'accesso: l'indicatore individuato (pazienti trattati / pazienti eleggibili), richiede l'individuazione dei pazienti trattati per indicazione (aspetto complesso, nel caso di farmaci multi-indicazione) e la stima della popolazione eleggibile al trattamento;
- l'appropriatezza clinica, rispetto alla quale sono state individuate esperienze regionali di interesse basate su dati amministrativi (es. incidenza pazienti in trattamento post infarto/ictus entro i primi 30 giorni);
- l'efficienza allocativa su mercato *off-patent* e risparmio (solo i biosimilari, in quanto per gli equivalenti il SSN paga il prezzo più basso indipendentemente dalla prescrizione), per i quali, a meno di farmaci pluri-indicazioni non tutte *off-patent*, sono sufficienti i dati di consumo / spesa aggregati;
- efficienza allocativa su *off-patent* e *in-patent*, che richiede una valutazione preliminare di valutazione di equi-valore tra farmaci;
- impatto dei trattamenti sul percorso del paziente: si tratta dell'ambito più critico, in quanto richiede non solo l'accesso ai dati amministrativi e l'identificazione dell'indicazione oggetto di analisi, ma il controllo dei fattori confondenti che possono impattare sul percorso del paziente.

Indicatori per l'area cronicità

Obiettivo	Indicatore	Ulteriori specifiche	Fonti informative / Criticità
Equità	Pazienti trattati / pazienti eleggibili a trattamento	Aree dove è possibile rintracciare popolazione eleggibile (cardiovascolare, metabolico, sclerosi multipla)	- Dati amministrativi (identificazione degli eleggibili non trattati con codice esenzione e prestazioni traccianti) - Database integrati clinico-amministrativi riferiti a medicina generale (es. LPD): dati campionari / non pubblici
Appropriatezza clinica	Indicatori specifici correlati ad aree già attenzionate da alcune regioni <i>Esempio: incidenza pazienti in trattamento post infarto/ictus entro i primi 30 giorni</i>	-	Dati amministrativi
Efficienza allocativa statica	Quota biosimilari su totale molecola su indicazioni <i>off patent</i>	Efficienza allocativi e risparmio SSN	- Dati OsMed (se non è necessario tracciare uso per indicazione)
	Quota equivalenti su totale molecola su indicazioni off patent	Solo efficienza allocativa (SSN paga comunque il prezzo di riferimento)	- Dati amministrativi (individuazione dell'uso per indicazione da codice esenzione e prestazioni traccianti)
Efficienza allocativa su <i>in</i>	Costo medio ponderato per paziente	Su farmaci equi-valore (IV Livello ATC?)	Dati amministrativi
	Costo medio ponderato per DDD		Dati OsMed
Effetto dell'uso del farmaco (mix di farmaci) su percorso del paziente	Indicatori più ampi	Focus su sotto-utilizzo rispetto a popolazione target (meno pazienti trattati rispetto a eleggibili / bassa aderenza di quelli trattati)	Dati amministrativi ma necessità di controllo fattori confondenti: studi ad hoc più che indicatori routinari
	Esempio: Ospedalizzazioni per complicanze Cardiovascolare, Diabete, BPCO		
	Indicatori più specifici Riospedalizzazione per infarto / ictus in 30 gg		

Per l'area dei farmaci per malattie orfane di trattamento, sono stati individuati come prioritari indicatori:

- di processo (tempistica di accesso): dopo un lungo dibattito sull'uso di indicatori complessivi sulla tempistica o specifici per singola fase (individuazione dei centri, inserimento in prontuario, gestione dell'acquisto), si è giunti all'accordo di misurare l'efficienza complessiva come tempo intercorrente tra la pubblicazione in GU della Determina di P&R e la data di aggiudicazione della fornitura;
- di equità: rapporto tra pazienti trattati e pazienti eleggibili al trattamento (analogamente ai farmaci per la cronicità ma con valutazione specifica per nuovo farmaco lanciato sul

mercato). Si è sottolineato come per i farmaci orfani di trattamento la stima della popolazione eleggibile al trattamento sia più complessa, in quanto non vi sono trattamenti alternativi già sul mercato.

Indicatori per l'area delle malattie orfane di trattamento

Obiettivo	Indicatore	Ulteriori specifiche	Fonti informative / Criticità
Processo di accesso post Determina P&R	Tempo da pubblicazione di GU della Determina di P&R a aggiudicazione fornitura	-	- Dati regionali (da organizzare in database)
Equità	Incidenza pazienti trattati su pazienti eleggibili a trattamento (nei primi X anni post Determina P&R)		- Dati amministrativi (identificazione degli eleggibili non trattati con codice esenzione e prestazioni traccianti / stime fornite in Dossier di P&R)

Le principali criticità emerse riguardano essenzialmente la disponibilità ed accesso dei dati:

- molti indicatori richiedono l'uso di dati amministrativi, che comportano vincoli legati alla tutela della *privacy* e alla disponibilità di risorse tecniche e professionali necessarie per la estrazione ed elaborazione dati, particolarmente complessa nella valutazione di impatto del farmaco sul percorso del paziente;
- alcuni indicatori necessitano di database integrati clinico-amministrativi, indispensabili per collegare informazioni su diagnosi, trattamento, percorsi assistenziali ed esiti, o algoritmi complessi di estrazione su database che non forniscono dati integrati;
- è necessaria una tracciatura dell'uso per indicazione, possibile solo attraverso strumenti specifici quali: i Registri farmaci, che consentono di associare il trattamento all'indicazione clinica; nell'ambito di dati amministrativi, codici di esenzione a compartecipazione alla spesa e, se esistenti, prestazioni traccianti;
- i dati amministrativi non catturano gli acquisti su ricetta bianca, limitando la capacità di stimare il consumo reale di alcuni farmaci, soprattutto in ambiti dove la prescrizione fuori SSN è frequente;
- gli attuali sistemi informativi rendono complessa la valutazione dei consumi generati dalla mobilità interregionale: in generale i consumi e la spesa si riferiscono ai soggetti erogatori e non alla regione di residenza del paziente;
- alcuni indicatori richiedono la stima della popolazione eleggibile al trattamento, un'operazione che può risultare complessa in assenza di dati epidemiologici aggiornati e di criteri di eleggibilità tracciabili;
- è comunque difficile associare l'uso del farmaco ed esito di salute, sia per la mancanza di dati clinici granulari sia per la presenza di variabili confondenti. Per questo:
 - si ricorre spesso a indicatori intermedi, come ospedalizzazioni o accessi ai servizi sanitari;
 - è necessario un controllo adeguato dei fattori confondenti, per evitare interpretazioni distorte dell'impatto dei trattamenti.

Conclusioni: quali possibili prossimi step

Il GdL4 ha infine discusso quali potrebbero essere gli *step* di implementazione di un sistema di KPI a supporto delle politiche regionali e del confronto tra regioni nell'ambito della cronicità e dei farmaci per patologie orfane di trattamento.

Il processo di implementazione potrebbe prevedere tre step:

- verifica delle regioni che già utilizzano KPI simili, con l'obiettivo di valorizzare esperienze esistenti, identificare buone pratiche e favorire un allineamento progressivo degli approcci valutativi;
- avvio di una fase pilota in alcune regioni, finalizzata a testare la fattibilità tecnica, la qualità dei dati e l'utilità operativa dei KPI proposti, prima di una loro eventuale estensione a livello nazionale;
- messa a sistema dei KPI, intesa come integrazione strutturata e stabile all'interno dei processi di monitoraggio e programmazione regionale, con l'obiettivo di rendere la misurazione delle *performance* un elemento ordinario e condiviso della politica del farmaco.

In parallelo il GdL 4 ha suggerito, come *proxy* per alcuni KPI, l'utilizzo di dati esistenti di consumo / spesa pro-capite, ponderati sulla base di variabili che esprimano il fabbisogno e che vadano oltre ad età e sesso (ad esempio, indicatori di deprivazione sociale, già recentemente utilizzati per il riparto di una quota minoritaria delle risorse SSN alle regioni).

Nel complesso, queste direttrici delineano un percorso orientato alla costruzione di un quadro valutativo più solido, capace di supportare decisioni informate, ridurre o comprendere le disomogeneità territoriali e migliorare l'efficienza e l'equità nell'accesso ai trattamenti.

Conclusioni

I quattro GdL dedicati al delicato equilibrio tra AIFA e Regioni nella gestione delle azioni di governo del comportamento prescrittivo, alla gestione della mobilità interregionale per l'assistenza farmaceutica, agli ambiti di collaborazione tra Regioni e imprese farmaceutiche ed alla identificazione di indicatori di *performance* a supporto dell'attività di programmazione e controllo regionale e del confronto tra Regioni, hanno non solo effettuato un'analisi critica della situazione attuale ma hanno prodotto raccomandazioni fattive ed implementabili:

- partendo da una visione collaborativa tra istituzioni e tra queste ed imprese, nell'ottica di un uso ottimale delle risorse disponibili;
- a supporto non solo delle azioni regionali di governo dell'assistenza farmaceutica, ma anche di un miglioramento del rapporto tra regioni;
- e con una tensione volta da una parte a ridurre gli elementi di variabilità interregionale non accettabili e dall'altra a valorizzare le esperienze di successo che possano rappresentare dei *benchmark* di riferimento per le altre regioni.

Pur avendo i GdL affrontato temi differenti, possono essere individuati quattro elementi comuni.

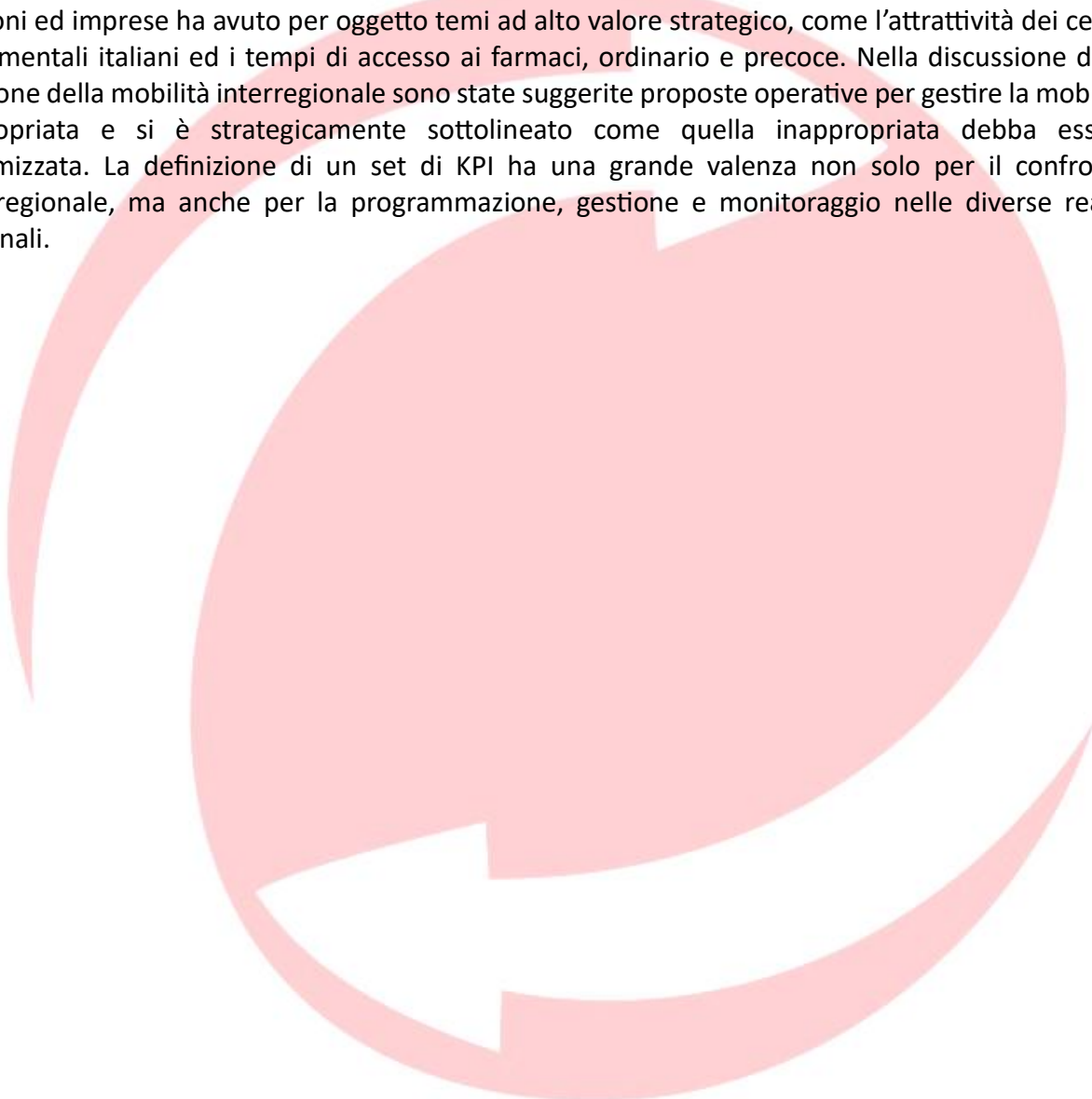
Il primo è lo sforzo di andare oltre all'azione di governo della spesa. Il controllo della spesa è necessario per rendere il sistema sanitario sostenibile, ovvero in grado di rispettare i vincoli di spesa, che, come noto, non partono da una valutazione del fabbisogno di risorse, ma vengono definiti sulla base di vincoli macroeconomici e del livello di priorità attribuito alla sanità rispetto ad altre componenti di spesa pubblica. In tutti i GdL questo obiettivo è stato direttamente o indirettamente richiamato. Ma, allo stesso modo, tutti i GdL hanno affrontato il tema in un'ottica più ampia, che dimostra che il ruolo delle Regioni non è solo quello di gestire i servizi contenendo la spesa, ma di massimizzare la salute dati determinati vincoli di budget. Nel GdL1 le azioni di governo del comportamento prescrittivo si sono ispirate all'appropriatezza d'uso e ad un efficiente utilizzo delle risorse in presenza di alternative terapeutiche. Il tema della mobilità interregionale analizzata dal GdL2 non è stato affrontato solo in termini di compensazione finanziaria, ma anche considerando l'impatto sulla programmazione regionale. La collaborazione tra Regioni ed imprese si è focalizzata sulle tematiche di accesso del paziente al farmaco e della valorizzazione dell'attività sperimentale, per la quale è stato richiamato anche il relativo contributo economico per il SSN. I KPI discussi dal GdL4 riguardano anche il controllo della spesa e l'efficienza allocativa, ma considerano anche l'equità nell'accesso, i tempi di introduzione del farmaco a livello regionale e l'appropriatezza d'uso.

Tutti i GdL hanno poi sottolineato la necessità di massimizzare le potenzialità dei flussi informativi esistenti, prevedendo un'integrazione il più possibile ampia che consenta il monitoraggio sull'uso dei farmaci, sul loro impatto sul percorso del paziente e sugli esiti. Questo dovrebbe avvenire prima dell'ingresso dei nuovi farmaci per rendere più fluida la programmazione regionale e dopo il loro ingresso per agevolare le azioni di governo del comportamento prescrittivo, gestire al meglio la mobilità, cercando anche di minimizzare quella inappropriata, e a supporto dei KPI regionali.

Un terzo elemento chiave, comune anche a molti GdL dei precedenti Forum, è la sentita esigenza di un rafforzamento della collaborazione tra soggetti istituzionali al loro interno (AIFA, Regioni ed Aziende Sanitarie) e tra questi e i diversi portatori di interesse in una logica complessiva di gestione ottimale delle risorse disponibili per la tutela della salute. Questa esigenza richiede una chiarezza e trasparenza sul ruolo dei diversi soggetti. Questo ultimo aspetto è stato particolarmente sottolineato dal GdL1. L'utilizzo prospettico di esperienze di successo di alcune Regioni sul tema dei KPI, la riduzione dei contenziosi tra Regioni nella mobilità interregionale, le opportunità generate da una collaborazione tra Regioni ed imprese e la necessità di un confronto sistematico con i clinici nelle

azioni di governo del comportamento prescrittivo sono tutti elementi che richiamano la necessità di un confronto collaborativo.

Un ultimo aspetto che ha caratterizzato l'attività dei GdL è la volontà di andare oltre tematiche di stretta urgenza / contingenza nel dibattito politico (nello specifico, revisione del prontuario, introduzione di meccanismi automatici di rinegoziazione dei prezzi, effetti della riclassificazione dei farmaci antidiabetici) per affrontare tali tematiche in ottica più strategica. Il governo della prescrizione non può essere eluso: questo non vuol dire negare l'autonomia prescrittiva, ma strutturare un sistema dove tale autonomia venga esercitata in un contesto di risorse limitate e di esigenza di massimizzare l'efficienza con cui tali risorse vengono impiegate. La collaborazione tra Regioni ed imprese ha avuto per oggetto temi ad alto valore strategico, come l'attrattività dei centri sperimentali italiani ed i tempi di accesso ai farmaci, ordinario e precoce. Nella discussione della gestione della mobilità interregionale sono state suggerite proposte operative per gestire la mobilità appropriata e si è strategicamente sottolineato come quella inappropriata debba essere minimizzata. La definizione di un set di KPI ha una grande valenza non solo per il confronto interregionale, ma anche per la programmazione, gestione e monitoraggio nelle diverse realtà regionali.



Acronimi

AEMPS	<i>Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios)</i>
AIFA	Agenzia Italiana del Farmaco
ATC	(classificazione) Anatomica-Terapeutica-Clinica
BIA	<i>Budget Impact Analysis</i>
BPCO	Broncopneumopatia Cronica Ostruttiva
C(nn)	Classe C non (ancora) negoziata
CET	Comitati Etici Territoriali
CIG	Codice Identificativo Gara
CSE	Commissione Scientifica ed Economica del farmaco
DPO	<i>Data Protection Officer</i>
D.Lgs.	Decreto Legislativo
DDD	<i>Defined Daily Dose</i>
DM	Decreto Ministeriale
GdL	Gruppo di Lavoro
GReFO	Gruppo Regionale Farmaci Oncologici
GU	Gazzetta Ufficiale
HTA	Health Technology Assessment
IPT	<i>Informes de posicionamiento terapéutico</i>
ISS	Istituto Superiore di Sanità
LEA	Livelli Essenziali di Assistenza
LPD	<i>Longitudinal Patient Database</i>
KPI	<i>Key Performance Indicator</i>
MEA	<i>Managed Entry Agreement</i>
MMG	Medici Di Medicina Generale
NICE	<i>National Institute for Health and Care Excellence</i>
NSG	Nuovo Sistema di Garanzia
OsMed	Osservatorio sull'impiego dei Medicinali
P&R	Prezzo e Rimborso
PNE	Programma Nazionale Esiti
PNRR	Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza
PTN	Prontuario Terapeutico Nazionale
RCR	Reti Cliniche di Ricerca
RWD	Real World Data
SFR	Servizi Farmaceutici Regionali
SSN	Servizio Sanitario Nazionale

Allegato 1: Governance di Progetto e Partecipanti ai Gruppi di Lavoro

Governance di progetto

Coordinatori del Forum

Massimo Medaglia	Dephaforum
Giovanna Scroccaro	Regione Veneto, CSE AIFA

Comitato Promotore

Mattia Altini	Azienda USL Modena
Claudio Jommi	Università del Piemonte Orientale
Marzia Mensurati	Regione Lazio
Paola Rossi	Regione Friuli-Venezia Giulia
Silvia Sansone	Servier
Paolo Stella	Regione Puglia
Ugo Trama	Regione Campania

Advisory Committee

Alberto Bortolami	Regione Emilia-Romagna
Giuliano Buzzetti	Dephaforum
Arturo Cavaliere	ASL Roma 6 e Presidente SIFO
Vito Ladisa	Regione Lombardia, IRCCS Istituto nazionale Tumori Milano
Annalisa Scopinaro	UNIAMO

Partecipanti ai Gruppi di Lavoro

Gruppo 1

Coordinatori

Giovanna Scroccaro	Regione Veneto e CSE, AIFA
Antonio La Greca	Ufficio Prezzi & Rimborso, AIFA
Marco Pulicati	Astellas

Facilitatore

Massimo Medaglia	Dephaforum
------------------	------------

Rapporteur

Annalisa Scopinaro	Presidente UNIAMO
--------------------	-------------------

Partecipanti

Claudia Bernardini	Ufficio Governance Della Spesa Farmaceutica Aifa
Cesare Bettinzoli	Abbvie
Alessandra Bianchi	GSK
Luana Bortone	AOP Health
Fabio Bergamini	Madrigal

Filippo Bresciani	Ipsen
Tiziano Calvo	Recordati
Annalisa Campomori	ASUIT (Azienda Sanitaria Universitaria Integrata del Trentino)
Francesco Catavittello	Alfasigma
Arturo Cavaliere	ASL Frosinone, Presidente SIFO
Chiara Cernetti	BeOne
Elena Cimino	Pfizer
Vito Colella	Alexion
Giuseppe Curcio	Menarini Stemline
Dario Costa	Ascendis Pharma
Maddalena Costanzo	Astrazeneca
Alessandra Falcone	CSL Vifor
Stefano Fagnani	Planning Congressi
Giulia Granetto	Direzione Farmaceutico-Protesica Dispositivi Medici, Regione Veneto
Edoardo Maggi	Astellas
Monica Mangone	Galderma
Walter Marrocco	FIMMG, CSE Aifa
Roberto Pala	Menarini
Rita Pacello	Ufficio Prezzi E Rimborso, AIFA
Carmine Pinto	AUSL IRCCS Reggio Emilia
Patrizia Ponzi	Boehringer Ingelheim
Anna Ponzianelli	SIHTA
Emanuele Pria	Gilead
Stefania Pulimeno	Teva
Roberta Rondena	Novartis
Virginia Ronco	Incyte
Adamo Ruscelli	Novo Nordisk
Ahmed Shannah	Daiichi Sankyo
Federico Spandonaro	CREA Sanità, Università Di Roma Tor Vergata
Paolo Stella	Regione Puglia
Simone Taglietti	Chiesi
Giulia Tambos	Gedeon Richter
Francesca Venturini	AOU Padova
Bruna Vinci	CSE, AIFA; Ministero della Salute

Gruppo 2

Relatore

Andrea Marcellusi	Università degli Studi Milano e Presidente ISPOR Italy Rome Chapter
-------------------	---

Coordinatori

Alberto Bortolami	Regione Emilia-Romagna
Andrea Marcellusi	Università degli Studi Milano e Presidente ISPOR Italy Rome Chapter
Massimiliano Palermo	Galderma

Facilitatori

Rosy Amodeo	Dephaforum
Giorgia Fedele	Dephaforum

Rapporteur

Lorella Lombardozi

AO San Camillo Forlanini, Roma

Partecipanti

Giovanni Alquati

Gilead

Francesco Attanasio

Regione Toscana

Sabrina Baldanzi

Madrigal

Beatrice Cantini

Otsuka

Stefano Cavallo

Daiichi Sankyo

Marzia Colani

Dephaforum

Mirco Dondi

Novo Nordisk

Federica Gelmini

Boehringer Ingelheim

Alberto Giovanzana

Teva

Ylenia Ingrasciotta

Università degli Studi di Verona

Federico Le Piane

Planning Congressi

Domenico Manna

CSL Vifor

Giacomo Massardo

Servier

Gianmarco Marrocco

FIMMG

Cinzia Musella

UCB

Francesco Oliva

Daiichi Sankyo

Maurizio Pastorello

ASP (Azienda Sanitaria Provinciale) Palermo

Dario Punzi

Vertex Pharmaceuticals

Andrea Scarlatti

AOP Health

Paolo Serra

ARES (Azienda Regionale della Salute) Sardegna

Daniela Settesoldi

AIFA

Cristian Stefenoni

Pfizer

Silvia Tonolo

Presidente ANMAR (Associazione Nazionale Malattie Reumatiche)

Adriano Vercellone

ASL Napoli 3, Segretario SIFO

Gruppo 3**Relatori**

Paola Rossi

Regione Friuli-Venezia Giulia

Silvia Marangoni

Almirall

Coordinatori

Paola Rossi

Regione Friuli-Venezia Giulia

Silvia Marangoni

Almirall

Facilitatore

Cosetta Bianchi

Dephaforum

Rapporteur

Alessia Pisterna

AOU Maggiore della Carità, Novara

Alessandro Policreti

Novartis

Partecipanti

Lucia Alberghini	Regione Valle D'Aosta
Fausto Bartolini	AUSL Umbria 2, Regione Umbria
Silvia Bosi	UCB
Alberto Costantini	Regione Abruzzo
Daniele Destro	Incyte
Miryana Dobрева	Ascendis Pharma
Maria Elena Filippini	Abbvie
Angelo Freschi	Daiichi Sankyo
Marcello Migliorati	BeOne
Monica Monterosso	Menarini Stemline
Alessandra Mura	Regione Sardegna
Luca Paoles	Farminindustria
Marcello Pani	IRCCS Gemelli Roma
Francesco Pavone	Biogen
Luigi Patregnani	Regione Marche
Federica Piccolo	GSK
Marco Sala	Argenx
Katia Sangermano	Provincia Autonoma di Bolzano
Giovanni Santoro	Recordati
Filippo Urso	Consiglio Direttivo Sifo
Andrea Zovi	AREU Lombardia
Luigi Zarrelli	Regeneron

Gruppo 4**Relatore**

Claudio Jommi	Università degli Studi del Piemonte Orientale
---------------	---

Coordinatori

Claudio Jommi	Università degli Studi del Piemonte Orientale
Roberto Da Cas	Istituto Superiore di Sanità
Francesco Perrone	Alexion

Facilitatore

Maria Cristina Carena – Dephaforum

Rapporteur

Paolo Sciattella	Università degli Studi di Roma Tor Vergata
------------------	--

Partecipanti

Mattia Altini	Ausl Di Modena, Presidente Simm
Luca Bolognese	Accord
Ovidio Brignoli	SIMG
Francesco Brunetti	Regione Puglia
Rosario Chimirri	Otsuka
Lorenzo Cioni	Regeneron

Fiorenza Enrico	Fondazione del Piemonte per l'Oncologia IRCCS Candiolo
Emma Giordani	ASL Rieti
Eugenia Livoti	Regione Liguria
Alessandro Monti	Chiesi
Stefano Morello	Planning Congressi
Stefano Palcic	ASU Giuliano Isontina
Stefano Pataleo	Biogen
Luca Piccoli	Regione Veneto
Barbara Polistena	CREA Sanità
Elio Rosati	Cittadinanzattiva
Fulvia Romoli	Almirall
Silvia Sansone	Servier
Fabio Spoto	Gedeon Richter
Gianluca Trifirò	Università degli Studi di Verona
Alessio Vitullo	Astrazeneca
Elena Visentin	Alfasigma
Simona Zito	Ufficio Governance della spesa farmaceutica, AIFA



Allegato 2: Pubblicazioni derivanti dalle edizioni del Forum Politiche Farmaceutiche Regionali

III Edizione - 2025

- Sansone S, Carena MC, Fedele G, Da Cas R, Traversa G. Come le Regioni possono utilizzare il Rapporto OsMed per condividere le azioni di miglioramento dell'appropriatezza. Glob Reg Health Technol Assess 2026; 13: 74-78 ISSN 2283-5733 | DOI: 10.33393/grhta.2026.3684.
- Jommi C, Rebesco B, Perrone F, Amodeo R, Bortolami A. Programmare e ripartire alle Aziende Sanitarie le risorse per la farmaceutica: una proposta dal Forum Politiche Farmaceutiche Regionali. Glob Reg Health Technol Assess 2025; 12: 265-270 ISSN 2283-5733 | DOI: 10.33393/grhta.2025.3598.
- https://www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2025/05/Quaderno-Forum-Politiche-Farmaceutiche-Regionali_III-Edizione_2025.pdf

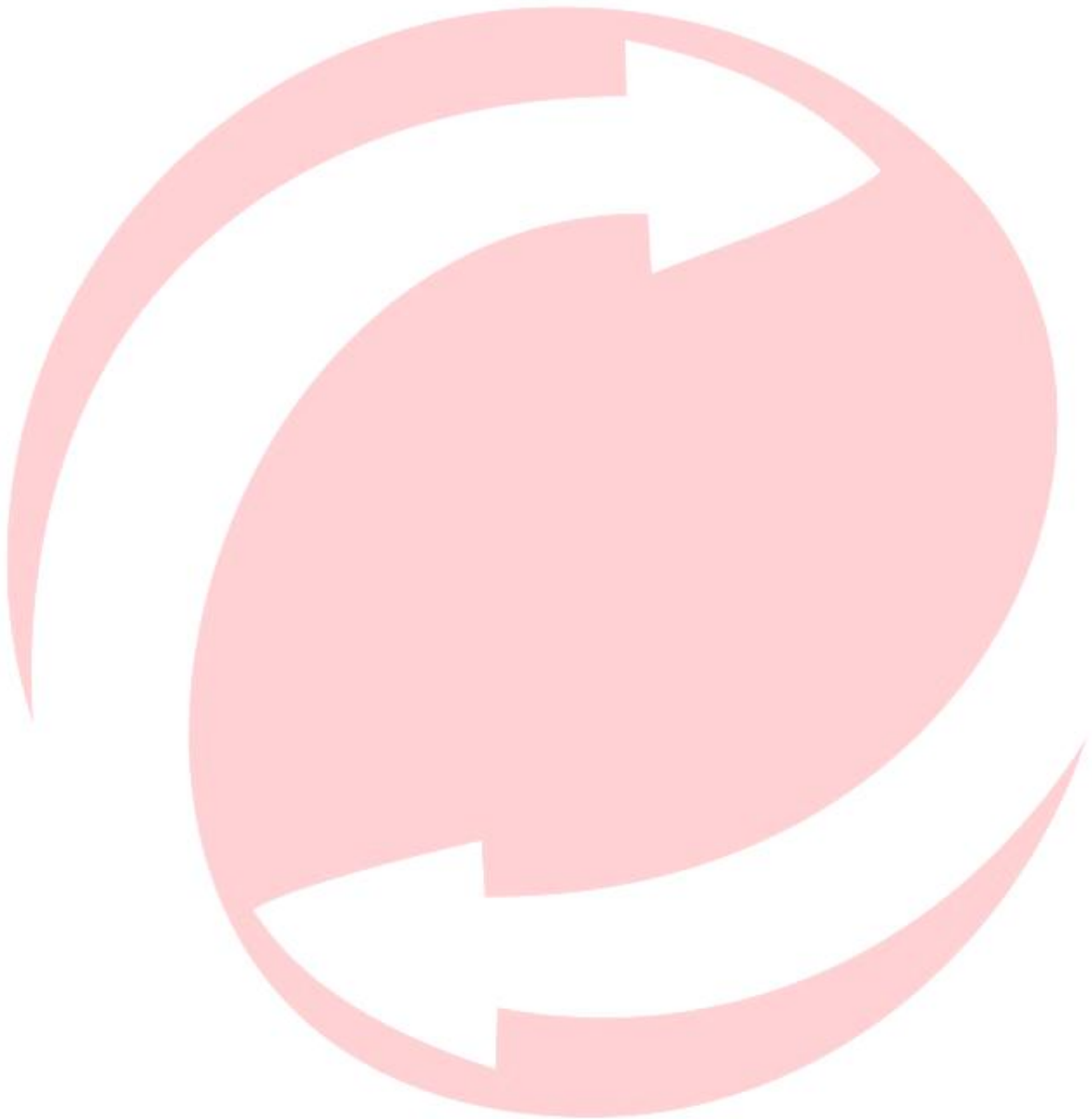
II Edizione - 2024

- Scroccaro G, Piccoli L, Vitturi G, Carena MC, Valenzano G. Gli strumenti regionali di governo del comportamento prescrittivo e della spesa farmaceutica: dalla letteratura alle esperienze concrete e raccomandazioni di un panel di esperti. Glob Reg Health Technol Assess. 2025 Apr 24; 12:98-105. Italian. doi: 10.33393/grhta.2025.3324.
- Bortolami A, Marzona I, Stella P, Acciai V, Ladisa V, Medaglia M. C(nn) e uso compassionevole: due approcci per l'early access. Proposte per una migliore gestione. Glob Reg Health Technol Assess 2025; 12: 158-162 ISSN 2283-5733 | DOI: 10.33393/grhta.2025.3464.
- https://www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2024/07/Secondo-quaderno-Forum-Politiche-Farmaceutiche-Regionali_2024.pdf

I Edizione - 2023

- Bortolami A, Jommi C, Bresciani F, Piccoli L, Sangiorgi E, Scroccaro G. Prontuari Terapeutici Regionali in Italia: stato dell'arte e prospettive future. Glob Reg Health Technol Assess. 2024 Mar 8; 11:68-74. Italian. doi: 10.33393/grhta.2024.2677.

- Marzona I, Stella P, Trifirò G, Corrao G. Dati regionali e loro ruolo nella pianificazione, nella programmazione e nel controllo a livello regionale. Glob Reg Health Technol Assess. 2024 Apr 25; 11:101-104. Italian. doi: 10.33393/grhta.2024.3024.
- <https://www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2023/07/Quaderno-1%C2%B0-Forum-Regioni.pdf>



Allegato 3: Programma del Forum

4^a Edizione

**FORUM POLITICHE
FARMACEUTICHE REGIONALI 2026**

**Autonomia regionale
e governance del farmaco:
bilanciare risorse e responsabilità**

25-26 marzo 2026

Roma
Hotel Sheraton Parco de' Medici

Con il patrocinio di:

 **AIFA**
AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

 **Egualea**
INDUSTRIA FARMACEUTICA ACCESSIBILE

 **FARMINDUSTRIA**

 **Dephaforum**

 **SIFO**
Società Italiana di Farmacologia Ospedaliera
e dei servizi farmaceutici delle aziende sanitarie

 **sihta**
SOCIETÀ ITALIANA DI INFORMATICA E TECNOLOGIA FARMACEUTICA

 **SIMeF**
Società Italiana di Medicina Farmacologica
Italian Society of Pharmaceutical Medicine

1 Il Servizio Sanitario Nazionale (SSN) deve conciliare il diritto alla salute (art. 32 Costituzione) con l'equilibrio dei conti pubblici (art. 81 e 97), creando una tensione tra equità e sostenibilità. In particolare, la governance del farmaco è complessa in quanto multilivello: AIFA ne definisce prezzo e rimborsabilità, ma le Regioni gestiscono centri prescrittori, monitoraggio e programmazione finanziaria, con responsabilità operative rilevanti. Questi due livelli di intervento complementari vengono sensibilmente influenzati dal sistema di finanziamento pubblico. L'assistenza farmaceutica regionale affronta quindi diverse sfide strutturali e operative, che derivano dall'equilibrio tra autonomia delle Regioni e vincoli nazionali.

In ambito farmaceutico, l'autonomia regionale, riconosciuta dal titolo V della Costituzione, comporta sia vantaggi che svantaggi. Da un lato le Regioni possono modellare i servizi sanitari in base alle caratteristiche demografiche, epidemiologiche e socioeconomiche del territorio,

rispondendo meglio a bisogni specifici o, ancora, introdurre più rapidamente nuovi modelli organizzativi e gestionali. Dall'altro, tale autonomia determina inevitabilmente una disomogeneità tra territori che può influenzare disponibilità, tempi e modalità di accesso alle terapie.

Il Forum Politiche Farmaceutiche Regionali è nato quattro anni fa da un'idea di Dephaforum, con la finalità principale di dar voce alle Regioni e di supportare il confronto tra le stesse sui temi caldi dell'assistenza farmaceutica. Favorire quindi il dialogo, condividere le criticità, presentare best practice in una logica multistakeholder dove i principali protagonisti (i responsabili dei servizi farmaceutici regionali) si confrontano tra loro, ma anche con colleghi farmacisti delle strutture sanitarie, clinici in rappresentanza di società scientifiche, professionisti di AIFA, esperti di economia sanitaria e in ambito regolatorio, rappresentanti dei pazienti e, non ultimi, esponenti dell'industria farmaceutica.

L'edizione 2026 del Forum, giunto alla quarta edizione, si focalizzerà su quattro tematiche, individuate dal Comitato Promotore, anche sulla base dei risultati della survey somministrata ai professionisti del settore:

1. Il governo del comportamento prescrittivo su farmaci rimborsati: autonomia regionale o palla al centro?

Un confronto tra gli strumenti adottati a livello centrale e quelli implementati a livello regionale, per interrogarsi sulle possibilità di integrazione e miglioramento

2. Mobilità interregionale dei pazienti e programmazione sanitaria: impatto economico, anticipazione della spesa e governance dei flussi farmaceutici

Focus sul File F e sulle complessità di gestione a livello regionale, soprattutto tra regioni con differente mobilità (attiva vs passiva); possibile approfondimento sul tema dei farmaci innovativi

3. Servizi Farmaceutici Regionali e Aziende Farmaceutiche: bisogni ed obiettivi a confronto per realizzare un rapporto di collaborazione trasparente ed efficace

Focus su accesso (ordinario e precoce) e sperimentazione clinica

4. Identificazione di nuovi KPI per monitorare l'utilizzo dei medicinali e misurare le performance regionali

Proposta di indicatori di consumo farmaceutico che supportino le regioni nell'analisi, anche comparativa, dell'utilizzo dei farmaci rispetto ai bisogni di salute.

Tali temi verranno sviluppati tramite il consueto format che vedrà protagonisti i Gruppi di Lavoro multidisciplinari, al fine di supportare le stesse Regioni e AIFA/MinSal tramite la proposizione di raccomandazioni operative, condivise da una ampia comunità tecnico-scientifica, che possano ispirare i decisori nelle future scelte strategiche, allo scopo di armonizzare l'accesso dei pazienti ai farmaci sul territorio nazionale, limitando le differenze di accesso regionale.

COORDINATORI SCIENTIFICI

- ✓ Massimo Medaglia
- ✓ Giovanna Scroccaro

COMITATO PROMOTORE

- ✓ Mattia Altini
- ✓ Claudio Jommi
- ✓ Marzia Mensurati
- ✓ Paola Rossi
- ✓ Silvia Sansone
- ✓ Paolo Stella
- ✓ Ugo Trama

ADVISORY COMMITTEE

- ✓ Alberto Bortolami
- ✓ Giuliano Buzzetti
- ✓ Arturo Cavaliere
- ✓ Vito Ladisa
- ✓ Annalisa Scopinaro

FACILITATORI Dephaforum

- ✓ Rosy Amodeo
- ✓ Cosetta Bianchi
- ✓ Maria Cristina Carena
- ✓ Giorgia Fedele
- ✓ Massimo Medaglia

PRIMA GIORNATA mercoledì 25 marzo 2026

- 11.00** Introduzione ai lavori ed obiettivi del seminario
G. Scroccaro e M. Medaglia

I SESSIONE IN PLENARIA
OPINIONI A CONFRONTO

- 11.20** Le novità della Legge Finanziaria 2026 sull'assistenza farmaceutica: impatto sulle Regioni
Relatore: A. Cavaliere

- 11.35** Discussione plenaria

RELAZIONI INTRODUTTIVE

Moderatori: A. Scopinaro e U. Trama

- 11.50** **GdL1**
Il governo del comportamento prescrittivo su farmaci rimborsati: autonomia regionale o palla al centro?
Relatore: G. Scroccaro

- 12.10** **GdL2**
Mobilità interregionale dei pazienti e programmazione sanitaria: impatto economico, anticipazione della spesa e governance dei flussi farmaceutici
Relatore: A. Marcellusi

- 12.30** **GdL3**
Servizi Farmaceutici Regionali e Aziende Farmaceutiche: bisogni ed obiettivi a confronto per realizzare un rapporto di collaborazione trasparente ed efficace
Relatori: P. Rossi e S. Marangoni

- 12.50** **GdL4**
Identificazione di nuovi KPI per monitorare l'utilizzo dei medicinali e misurare le performance regionali
Relatore: C. Jommi

- 13.30** *Lunch*

PRIMA GIORNATA mercoledì 25 marzo 2026**II SESSIONE****QUATTRO GRUPPI DI LAVORO PARALLELI**

15.00 Analisi del contesto, discussione e proposta dei contenuti

GdL1

Coordinatori: G. Scroccaro, A. La Greca e M. Pulicati
Facilitatore: M. Medaglia

GdL2

Coordinatori: A. Marcellusi, A. Bortolami e M. Palermo
Facilitatori: R. Amodeo e G. Fedele

GdL3

Coordinatori: P. Rossi e S. Marangoni
Facilitatore: C. Bianchi

GdL4

Coordinatori: C. Jommi, R. Da Cas e F. Perrone
Facilitatore: M.C. Carena

17.30 *Coffee Break*

18.00 Proseguimento attività GdL

19.30 Conclusione prima giornata

20.00 *Aperitivo*

20.30 *Cena*

SECONDA GIORNATA giovedì 26 marzo 2026**III SESSIONE****QUATTRO GRUPPI DI LAVORO PARALLELI**

8.30 Condivisione dell'output e predisposizione del documento di sintesi

GdL1

Coordinatori: G. Scroccaro, A. La Greca e M. Pulicati

GdL2

Coordinatori: A. Marcellusi, A. Bortolami e M. Palermo

GdL3

Coordinatori: P. Rossi e S. Marangoni

GdL4

Coordinatori: C. Jommi, R. Da Cas e F. Perrone
Facilitatori Dephaforum per ogni GdL

11.00 *Coffee Break*

IV SESSIONE**CONCLUSIVA IN PLENARIA**

Moderatori: M. Altini e P. Stella

11.30 Presentazione dei risultati e discussione
Rapporteur individuato per ciascun GdL 1-2

13.00 *Lunch*

14.00 Presentazione dei risultati e discussione
Rapporteur individuato per ciascun GdL 3-4

15.30 Strumenti regolatori e strategie di efficientamento per la rimborsabilità dei medicinali
R. Pacello

16.00 Take home message - Next Steps
G. Scroccaro e M. Medaglia

16.30 Termine dei lavori

Allegato 4: Aziende Sponsor

