GRHTA
Glob Reg Health Technol Assess 2026; 13: 269-274
ISSN 2283-5733 | DOI: 10.33393/grhta.2026.3833
POINT OF VIEW

La prospettiva del paziente nel percorso regolatorio e di accesso ai farmaci: riflessioni e raccomandazioni dal Forum Pazienti 2025

Claudio Jommi[1], Fabio Amanti[2], Oriana Ciani[3], Francesco Damele[4], Massimo Di Maio[5,6], Antonella Di Lorenzo[7], Elisabetta Iannelli[8], Anna Lisa Mandorino[9], Andrea Marcellusi[10], Viviana Ruggieri[11], Annalisa Scopinaro[12], Rosy Amodeo[13], Giorgia Fedele[13], Cosetta Bianchi[13], Massimo Medaglia[13], Giuliano Buzzetti[13], Maria Cristina Carena[13]

[1] Department of Pharmaceutical Sciences, Università del Piemonte Orientale, Novara - Italy
[2]Parent Project, Roma - Italy
[3]Centro di Ricerche sulla Gestione dell'Assistenza Sanitaria e Sociale (CERCAS) - SDA Bocconi, Milano - Italy
[4]Sanofi, Milano - Italy
[5]Dipartimento di Oncologia, Università di Torino - AOU Città della Salute e Scienza di Torino, Torino - Italy
[6]AIOM, Milano - Italy
[7]Astellas, Milano - Italy
[8]F.A.V.O., Roma - Italy
[9]Cittadinanzattiva, Roma - Italy
[10]Università degli Studi di Milano, Milano - Italy
[11]Servier, Roma - Italy
[12]UNIAMO, Roma - Italy
[13]Dephaforum S.r.l., Milano - Italy

The patient's perspective in the pharmaceutical regulatory and access pathway: considerations and recommendations from the 2025 Patient Forum

Introduction: Despite the growing attention on Patient-Reported Outcome (PRO) and Patient-Reported Experience (PRE), their use for drugs approval and, especially, price and reimbursement is still limited. The present paper illustrates the discussion and recommendations of three interdisciplinary and multi-stakeholder Working Groups (WGs) on this topic.
Method: The discussion, oriented by a report from the coordinators, focused on the role of PRO in the comparative evaluation of efficacy and risk, of PRE as an expression of preference for the drugs value components and of PRO and PRE in the regulatory process and national and regional access.
Results: The results are reported as reflections and recommendations on the three topics.
Conclusions: There is widespread consensus on the need to enhance the use of PRO and PRE, provided that (i) methodological and operational issues are addressed, (ii) PRO and PRE role in the regulatory and access process is clarified, (iii) representatives of patients and institutions are involved in a more structured way (iv) the actual role played in decision-making is clarified.

Keywords: Access, Drug, Patient-Reported Experience, Patient-Reported Outcome, Value

Introduzione e obiettivi dello studio

Negli ultimi anni si è registrata una crescente attenzione alla prospettiva del paziente nel contesto dei processi regolatori (1-3). Tale prospettiva è poi parte integrante dei domini dell'HTA (Health Technology Assessment) (4), a supporto della valutazione comparativa dei farmaci e delle decisioni di prezzo e rimborso (P&R) (5) e di accesso territoriale.

I dati che provengono direttamente dal paziente, senza l'interpretazione da parte del clinico o di altre figure professionali, possono riferirsi allo stato di salute e agli esiti che farmaci e altre tecnologie e prestazioni sanitarie hanno sulla salute, *Patient-Reported Outcome* (PRO), misurati attraverso i PROM, vale a dire strumenti, scale e questionari che consentono di tradurre in un dato oggettivo la percezione soggettiva del paziente, o all'esperienza derivata dall'uso di farmaci, altre tecnologie e prestazioni sanitarie, *Patient-Reported Experience* (PRE) (6), misurata attraverso i PREM.

Received: May 28, 2026
Accepted: September 3, 2026
Published online: October 26, 2026

This article includes supplementary materials

Indirizzo per la corrispondenza:
Maria Cristina Carena
email: mc.carena@dephaforum.it

© 2026 The Authors. This article is published by AboutScience and licensed under Creative Commons Attribution-NonCommercial 4.0 International (CC BY-NC 4.0).
Commercial use is not permitted and is subject to Publisher's permissions. Full information is available at www.aboutscience.eu

Esito ed esperienza rappresentano due aspetti distinti. Con riferimento ai farmaci, nello specifico, i PROM misurano l'esito in termini di qualità della vita correlata allo stato di salute e sono parte integrante del valore terapeutico del farmaco, mentre i PREM si focalizzano su altre dimensioni (per esempio, modalità/luogo di somministrazione). Tale distinzione non comporta che PROM e PREM siano scollegati tra loro: per esempio, se una somministrazione di un farmaco è più accettabile per il paziente, è probabile che aumenti l'aderenza al trattamento, che favorisce l'esito in termini di salute (7).

In Italia si è osservata una graduale apertura alla considerazione della prospettiva del paziente da parte dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), fino all'esplicita inclusione strutturata nella recente riforma dei criteri e del processo di valutazione dell'innovatività (8). Uno studio ha mostrato come l'esistenza di PRO abbia un'associazione statisticamente significativa con l'ottenimento dello status di "innovatività" dei farmaci: secondo lo stesso studio, i PRO vengono citati, però, solo nel 20% dei documenti di *appraisal* dei farmaci innovativi (9). Un secondo studio più recente, pur evidenziando un aumento della citazione dei PRO negli *appraisal* dei farmaci innovativi, non ha identificato una significatività statistica nell'associazione tra citazione dei PRO e ottenimento dell'innovatività (10). Nelle Linee Guida del Dossier di P&R (11), l'AIFA specifica poi che le modalità per la conduzione della ricerca e l'identificazione delle informazioni sulla qualità della vita debbano essere descritte e che, per la misurazione della qualità della vita, vengano considerati sia i questionari generici sia gli strumenti specifici di malattia. Non vi sono studi che abbiano analizzato il ruolo effettivo di PROM e PREM nella negoziazione di P&R, vale a dire quanto i PROM abbiano contribuito alla valutazione del valore terapeutico aggiunto e quanto studi sull'esperienza espressa dai pazienti abbiano contribuito a determinare il valore.

Il Forum Pazienti dal titolo "La prospettiva del paziente nel sistema regolatorio e di accesso ai farmaci", realizzato il 5 e il 6 giugno del 2025, ha affrontato il ruolo attuale e prospettico di PROM e PREM nel processo di valutazione e accesso dei farmaci, attraverso un confronto tecnico, multidisciplinare e *multistakeholder* (istituzioni pubbliche, ricercatori, clinici, rappresentanti dei pazienti e delle organizzazioni civiche, imprese), con l'obiettivo di formulare raccomandazioni concrete per il Servizio Sanitario Nazionale (SSN). Il presente contributo ne sintetizza le proposte.

Metodologia

Il seminario si è articolato in tre Gruppi di Lavoro (GdL) focalizzati su tre punti.

- PROM nella valutazione comparativa di efficacia e rischio dei farmaci. Nello specifico, il GdL 1 si è posto l'obiettivo di inquadrare vantaggi, limiti e robustezza metodologica dei PROM, con particolare attenzione al loro impiego nello sviluppo clinico dei farmaci e nel processo regolatorio e di accesso, formulando riflessioni e raccomandazioni per rafforzarne l'utilità informativa e l'utilizzo.
- PREM nella valutazione del valore dei farmaci. Il GdL 2 si è concentrato in particolare sulle evidenze che traducono l'esperienza in preferenza prospettica, cercando di rispondere ai seguenti quesiti: per quale obiettivo dovrebbero essere utilizzati gli studi di preferenza del paziente? Qual è il loro utilizzo attuale e come dovrebbe posizionarsi in futuro tale utilizzo? Come devono essere realizzati gli studi di preferenza dei pazienti per aumentarne l'utilizzo? Chi dovrebbe promuoverli e realizzarli? Quali sono le condizioni abilitanti del loro effettivo utilizzo?
- PROM e PREM nel processo regolatorio e di accesso (nazionale e regionale). Nel GdL 3, la discussione si è ispirata alla necessità di creare un linguaggio condiviso tra istituzioni, industria, professionisti e cittadini e di strutturare e accreditare questi strumenti nel processo decisionale.

I GdL hanno visto la partecipazione di esperti diversi, in un'ottica, come specificato sopra, multidisciplinare e *multistakeholder*, inclusi referenti delle istituzioni pubbliche, della ricerca, della comunità dei clinici, delle associazioni dei pazienti e delle organizzazioni civiche e delle imprese. Per ogni GdL sono stati previsti dei coordinatori scientifici, che hanno orientato con una relazione iniziale la discussione all'interno dei GdL, dei coordinatori operativi ("facilitatori" della discussione) e un relatore/*rapporteur*, che ha illustrato in plenaria gli esiti del GdL, per un totale di 51 partecipanti (17, 14 e 20 rispettivamente nei GdL 1, 2 e 3). L'elenco e le affiliazioni dei partecipanti ai GdL sono riportati in Appendice. La struttura, la durata e l'articolazione delle sessioni sono consultabili sul sito di Dephaforum (12). Prima dell'incontro è stato fornito del materiale introduttivo su PROM e PREM e sul loro utilizzo nei contesti regolatori e di accesso, con riferimento al contesto italiano.

La discussione all'interno dei GdL è avvenuta a partire da domande specifiche poste nelle relazioni introduttive dei coordinatori, che hanno curato una sintesi finale mediante presentazione condivisa da tutti i partecipanti ed esposta dal relatore/*rapporteur* in sessione plenaria. Le presentazioni sono state poi convertite in un documento di sintesi finale (12).

La discussione ha seguito un approccio tecnico, non affrontando né le dinamiche negoziali (per esempio, come gestire al meglio l'interazione tra soggetti rappresentanti dei pazienti e soggetti istituzionali) né le condizioni di *policy* più generali, affinché sia facilitato il riconoscimento del valore nella prospettiva del paziente, vale a dire sia creato un ambiente che "accolga" tale prospettiva. Se tale ambiente non è modificabile nel breve periodo, si è condivisa la rilevanza che gli elementi critici siano considerati per un loro superamento. Tra questi risultano cruciali: (i) il sistema di gestione delle risorse a *silos*, che non consente di valorizzare gli effetti di un farmaco (positivi o negativi) su altre parti del sistema sanitario e sulla società nel suo complesso e (ii) la necessità di prevedere interazioni con i pazienti, almeno nella fase di *assessment*, vale a dire di valutazione tecnica.

© 2026 The Authors. Global & Regional Health Technology Assessment - ISSN 2283-5733 - www.aboutscience.eu/grhta

Risultati

I risultati vengono espressi come riflessioni sulle tre tematiche e raccomandazioni dei tre GdL.

PROM nella valutazione comparativa di efficacia e rischio (GdL 1)

I PROM rappresentano un elemento importante per definire il valore di un trattamento e la loro piena adozione richiede, tra gli altri aspetti, un cambiamento culturale, volto a diffondere consapevolezza e riconoscimento del loro ruolo. I PROM rappresentano un complemento essenziale alle evidenze cliniche tradizionali, poiché permettono di quantificare direttamente la percezione del paziente, di rilevare sintomi e dimensioni soggettive non documentabili con altri strumenti e di contribuire ai processi regolatori e di accesso. Anche se discussi principalmente nel contesto sperimentale, i PROM mostrano un potenziale rilevante anche negli studi *real-world*: una buona ricerca *real-world* con disegno prospettico potrebbe favorirne l'utilizzo e la considerazione. I PROM possono poi offrire informazioni di supporto al clinico sia nel rapporto con i pazienti sia nella scelta e nella gestione della terapia. La loro rilevazione può essere utile anche per una valutazione più completa di impatto sulle aziende sanitarie e, quindi, per il *management* sanitario.

I PROM presentano però diverse criticità tecniche: discrepanze tra valutazioni cliniche e PROM, eterogeneità nella disponibilità e nella validazione degli strumenti, barriere alla compilazione, complessità analitiche legate a dati mancanti e a misurazioni longitudinali, difficoltà interpretative in assenza di soglie/valori consolidati di differenza minima importante (*Minimal Important Difference*, MID) e necessità di sistemi di *reporting* e visualizzazione adeguati e pensati per fruitori diversi. A queste si aggiungono ostacoli di contesto, quali una limitata consapevolezza del tema, l'assenza di indicazioni prescrittive nelle Linee Guida del *Joint Clinical Assessment* (JCA), il ruolo ancora non centrale della qualità di vita nei processi regolatori e l'incertezza delle imprese rispetto al reale utilizzo dei PROM da parte delle autorità regolatorie e di accesso, sulla base di criteri condivisi e di metodologie rigorose.

Considerando tali elementi, viene raccomandato di rafforzare formazione e informazione su PROM, di aumentarne il peso nei processi regolatori, di definire metodologie validate per area terapeutica e di sviluppare database condivisi di strumenti validati (sull'esempio del progetto PRO4ALL per l'area oncologica) (13). Sarebbe inoltre opportuno includere sistematicamente i PROM nei protocolli di ricerca (anche come *endpoint* primari quando appropriati), garantire la pubblicazione tempestiva dei risultati, promuovere il loro impiego in studi osservazionali prospettici e investire in algoritmi per la derivazione delle utilità. Inoltre, è importante sottolineare la necessità di coinvolgere tutti gli attori rilevanti nel processo di raccolta e di definire soglie MID condivise per una corretta interpretazione clinica e regolatoria.

PREM e valutazione del valore (GdL 2)

I PREM, nati per valutare l'esperienza dei pazienti nell'erogazione dei servizi sanitari e nei percorsi di cura, consentono di misurare la qualità percepita, di individuare criticità territoriali e di orientare interventi di miglioramento centrati sul paziente. Solo successivamente il loro impiego si è esteso alla valutazione di tecnologie sanitarie e di terapie farmacologiche, con attenzione ai domini che influenzano l'accettabilità dei trattamenti.

In questo contesto, la misurazione dell'esperienza è divenuta uno strumento per dedurre le preferenze dei pazienti rispetto ai diversi attributi di una terapia (efficacia, sicurezza, modalità, luogo e frequenza di somministrazione, ecc.), integrando così la valutazione del valore del farmaco oltre i tradizionali profili di efficacia e rischio. Il GdL si è soffermato su questo aspetto.

Le metodologie per descrivere e misurare le preferenze dei pazienti sono relativamente consolidate (14). La discussione si è focalizzata su cinque temi rilevanti: finalità degli studi di preferenza, loro utilizzo attuale e prospettico, requisiti metodologici per aumentarne l'adozione, soggetti responsabili della loro promozione e realizzazione e condizioni abilitanti per un impiego effettivo nei processi decisionali.

Con riferimento al primo tema, le analisi delle preferenze dei pazienti mirano a quantificare il peso attribuito alle dimensioni di alternative terapeutiche, includendo sia dimensioni cliniche (efficacia, sicurezza, impatto sulla qualità della vita) sia aspetti/dimensioni non terapeutici (modalità, *setting* e frequenza di somministrazione, dispositivi di supporto delle somministrazioni, programmi di supporto al paziente [PSP], impatto su *caregiver* e gestione assistenziale), con effetti sull'accettabilità e, potenzialmente, sull'aderenza che impatta a sua volta sull'efficacia dei farmaci.

Attualmente tali studi sono utilizzati principalmente dalle imprese farmaceutiche nelle seguenti fasi: (i) di ricerca e sviluppo, per orientarla verso aree a elevato *unmet need*, per la valutazione di accettabilità della terapia, quando somministrata con metodiche complesse o con profilo di rischio atteso rilevante, e per la valutazione della rilevanza, per i pazienti, degli *endpoint* utilizzati nel disegno dello studio clinico; (ii) nei processi di approvazione, per integrare la prospettiva del paziente nella valutazione rischio-beneficio o il peso attribuibile agli *endpoint* secondari riportati dai pazienti, quando l'*endpoint* primario di tipo clinico non ha raggiunto la significatività statistica; (iii) nelle analisi di *marketing*, per comprendere come le preferenze influenzino i comportamenti prescrittivi, e l'impatto dei PSP finalizzati ad aumentare l'aderenza al trattamento. A oggi i PREM non trovano invece applicazione in ambito pubblico (i) nella definizione del valore del farmaco ai fini della negoziazione di P&R, in quanto il premio di prezzo non è influenzato da domini non terapeutici e non esiste conseguentemente una sezione dedicata del Dossier di P&R, (ii) nel supportare decisioni prescrittive, per esempio preferenze per l'uso di farmaci coperti da brevetto con modalità di somministrazione più accettabili rispetto a farmaci a brevetto scaduto ma più complessi da gestire, e (iii) nelle scelte organizzative in materia di governo dell'assistenza farmaceutica, per esempio nelle diverse modalità di scelta dei centri prescrittori e di distribuzione dei farmaci a livello territoriale.

In merito ai requisiti metodologici, le condizioni necessarie per un maggiore impiego degli studi sulle preferenze dei pazienti possono essere così sintetizzate: definizione di metodi coerenti

© 2026 The Authors. Published by AboutScience - www.aboutscience.eu

con la domanda di ricerca, contestualizzazione nel *setting* italiano, rigore metodologico, con un eventuale indirizzo di AIFA sul rigore minimo richiesto per tali studi, numerosità campionaria adattata a specifiche situazioni, ottimizzazione della capacità di reclutamento dei pazienti, facilitata da un coinvolgimento delle associazioni di riferimento e di tutti gli *stakeholder*, inclusi i Medici di Medicina Generale (MMG) e i farmacisti (ospedalieri e di farmacia di comunità), e trasparenza sul disegno, sulla gestione, sulla proprietà dei dati e sui rapporti tra *stakeholder*.

Con riferimento agli attori coinvolti, non vi è la necessità di normare in modo specifico chi possa promuovere studi sulle preferenze dei pazienti e le organizzazioni deputate a realizzarli. Si raccomanda solo di pianificare i rapporti di collaborazione dei progetti in base alle competenze sul disegno dello studio e sulla *capacity* di reclutare i *responder* ed entrambi i fattori (competenze e *capacity*) rispetto all'analisi e all'interpretazione dei risultati. In ogni caso vanno sottolineati il ruolo cruciale delle associazioni dei pazienti nella definizione degli attributi/domini da includere nonché nella fase di reclutamento dei pazienti e l'importanza del coinvolgimento delle istituzioni (regioni e aziende sanitarie).

Infine, l'utilizzo effettivo degli studi di preferenza è favorito quando: (i) le preferenze incidono sulle scelte terapeutiche e sull'aderenza al trattamento; (ii) tali studi si allineano a vantaggi di tipo organizzativo; (iii) sono definiti criteri minimi di rigore; (iv) gli obiettivi e l'utilizzo nel processo regolatorio e di accesso sono chiaramente esplicitati. Tali studi rappresentano quindi una fonte informativa aggiuntiva utile alla valutazione comparativa e dovrebbero trovare uno spazio dedicato nel Dossier di P&R di AIFA.

PROM e PREM nel processo regolatorio e di accesso (GdL 3)

Il punto di partenza delle riflessioni del GdL è simile a quello degli altri GdL: scarsa considerazione, soprattutto nei processi decisionali nazionali e regionali, degli esiti, delle esperienze e delle preferenze riportati dai pazienti e ruolo ancora marginale delle associazioni dei pazienti nella definizione degli indicatori di valore sociale e nella valorizzazione dei dati PROM e PREM.

L'obiettivo è di analizzare come PROM e PREM possano contribuire alla gestione dell'accesso ai farmaci, promuovendo un linguaggio condiviso tra istituzioni, industria, professionisti e cittadini e favorendo l'accreditamento di questi strumenti nel processo decisionale. La discussione si è sviluppata nella convinzione che il rafforzamento della voce del paziente rappresenti un presupposto essenziale per un sistema sanitario più sostenibile e orientato al valore.

Il GdL mette in evidenza il ruolo potenziale di PROM e PREM nelle fasi successive alla valutazione europea (*Joint Clinical Assessment* [JCA]/*Joint Scientific Consultation* [JSC]), evidenziandone l'utilità nella valutazione dell'innovatività da parte di AIFA, nella negoziazione di P&R, nei processi regionali di accesso e nella rinegoziazione *post-marketing* e, più in generale, nella valutazione di impatto *real-life*. È stata ribadita la necessità che tali dati siano raccolti e interpretati secondo criteri metodologici rigorosi e trasparenti, condizione essenziale per garantirne validità e utilizzo mediante approcci standardizzati.

Per la fase di negoziazione del P&R, il GdL propone l'introduzione di un capitolo dedicato ai PROM/PREM nel Dossier di P&R (Sezione B e C), con distinzione tra dati sperimentali, solo per i PROM, ed evidenze *real-world*, così da valorizzare la prospettiva del paziente. La disponibilità di dati *real-world*, che meglio riflettono l'eterogeneità dei pazienti, delle condizioni di trattamento e dei modelli organizzativi è ritenuta cruciale per valutare l'impatto di modalità di somministrazione, modelli organizzativi e canali distributivi sull'esperienza e sull'aderenza del paziente.

In tema di innovatività, il *panel* sottolinea come i criteri attuali siano ancora troppo ancorati a dimensioni cliniche tradizionali e raccomanda (i) di includere esplicitamente i PROM tra gli elementi determinanti la valutazione dell'innovatività, cosa che si è realizzata successivamente all'organizzazione del Forum Pazienti nella revisione dei criteri di innovatività (8) e (ii) di rendere trasparente il peso attribuito dalla CSE ai dati riportati dai pazienti. Per la negoziazione del prezzo, pur confermando che il premio è giustificato solo da un valore terapeutico aggiunto, si riconosce la rilevanza dei PREM nel supportare la definizione degli sconti e, in caso di maggiore accettabilità e di potenziale incremento dell'aderenza, nel contribuire a ipotizzare un *parity price*.

A livello regionale, si evidenzia il valore dei PROM/PREM per monitorare accessibilità, equità, soddisfazione e performance dei modelli organizzativi e distributivi. Per rafforzare l'impatto di queste misure sarebbe raccomodabile strutturare la raccolta dei PREM tramite piattaforme interoperabili, raccogliere *feedback* su centri prescrittori e modelli distributivi e adottare *best practice* europee che riconoscano il paziente come partner attivo nella programmazione e nella valutazione dei servizi.

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

Conclusioni

Dal confronto *multistakeholder* è emerso un quadro chiaro: PROM e PREM rappresentano strumenti con un potenziale elevato per migliorare la valutazione del valore dei trattamenti e dei percorsi di cura, ma il loro impiego in Italia nei processi di accesso rimane ancora limitato e frammentato. Nonostante la crescente attenzione internazionale verso gli esiti e le esperienze riportati dai pazienti, tali informazioni non sono ancora integrate in modo sistematico né nella valutazione comparativa dei farmaci né nella definizione delle condizioni di accesso.

Per quanto riguarda i PROM, il confronto multidisciplinare ha confermato la loro utilità nell'arricchire le evidenze cliniche tradizionali, fornendo una misurazione diretta dell'impatto

dei trattamenti sulla qualità della vita e su dimensioni soggettive non rilevabili con strumenti clinici. Tuttavia, persistono criticità metodologiche e operative: eterogeneità degli strumenti disponibili, difficoltà di validazione, barriere alla compilazione, complessità analitiche e assenza di soglie MID consolidate. A queste si aggiungono ostacoli di contesto, come la scarsa familiarità degli *stakeholder* e l'incertezza sul reale utilizzo regolatorio di tali dati. Ne deriva la necessità di un investimento strutturato in formazione, standardizzazione metodologica e sviluppo di database condivisi, oltre che di una maggiore trasparenza nei criteri di valutazione.

Parallelamente, i PREM e gli studi sulle preferenze dei pazienti offrono una prospettiva complementare focalizzata sull'esperienza e sull'accettabilità delle terapie. Sebbene le metodologie di misurazione delle preferenze siano ormai consolidate, il loro impiego rimane confinato principalmente all'industria farmaceutica, con scarsa integrazione nei processi di negoziazione di P&R o nelle decisioni dei valutatori pubblici. Il *panel* ha evidenziato come tali informazioni potrebbero supportare scelte prescrittive, valutazioni organizzative e analisi di aderenza, soprattutto in contesti in cui le preferenze dei pazienti influenzano significativamente l'uso appropriato delle terapie. Per favorirne l'adozione, è necessario garantire rigore metodologico, rappresentatività dei campioni, trasparenza dei processi e un coinvolgimento strutturato delle associazioni dei pazienti.

Nel complesso, emerge una criticità trasversale: la voce del paziente, anche se riconosciuta come fondamentale, non è ancora pienamente valorizzata nei processi decisionali nazionali e regionali. La proposta è quella di permettere un'evoluzione del sistema, che includa capitoli dedicati ai PROM/PREM nei dossier di P&R, criteri espliciti per il loro utilizzo nella valutazione dell'innovatività, piattaforme regionali interoperabili per la raccolta dei PREM e un riconoscimento formale del valore dei dati riferiti dai pazienti nella fase *post-marketing*. L'integrazione sistematica di queste misure potrebbe contribuire a decisioni più trasparenti e orientate al valore, rafforzando la capacità del sistema sanitario di rispondere ai bisogni reali dei pazienti.

Acknowledgements

We thank the GdL participants *(listed in alphabetical order):*

Mario Alberto Battaglia, *AISM*; Simona Barbaglia, *Respiriamo Insieme*; Elisabetta Brioschi, *Daiichi Sankyo*; Ovidio Brignoli, *Fondazione SIMG*; Greta Brocculi, *Novartis*; Daniel Bonfanti, *UNIAMO*; Riccardo Candido, *Azienda sanitaria universitaria Giuliano Isontina, Trieste*; Agnese Cangini, *Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma*; Celeste Cagnazzo, *AOU Città della Salute di Torino - Ospedale Regina Margherita*; Mauro Di Gesù, *Sanofi*; Federica Di Maio, *Gilead*; Stefano Fagnani, *Planning Congressi*; Lara Gitto, *Commissione Scientifico Economica del Farmaco - AIFA*; Eleonora Grippa, *Servier*; Dario Manfellotto, *Dipartimento di emergenza e medicina interna, Ospedale Isola Tiberina, Gemelli Isola, Roma*; Aldo Maggioni, *Centro Studi ANMCO, Fondazione per il Tuo Cuore, Firenze*; Elisabetta Marano, *Alfasigma*; Gianmarco Marrocco, *F.I.M.M.G. Nazionale*; Walter Marrocco, *F.I.M.M.G. Nazionale e CSE AIFA*; Sara Mollea, *Gilead*; Carmine Pinto, *U.O. Oncologia Medica, Comprehensive Cancer Centre, AUSL - IRCCS di Reggio Emilia*; Angela Pasquariello, *Farmacia ospedaliera IRCCS Istituto Neurologico C. Beta, Milano*; Teresa Rea, *Consigliera Comitato Centrale FNOPI*; Laura Reali, *Associazione Culturale Pediatri e Conferenza Europea delle Cure Primarie Pediatriche*; Leonardo Radicchi, *AOP Health*; Alessandra Romano, *Boehringer Ingelheim*; Vincenzo Salvatore, *Dipartimento di Economia - Università degli Studi dell'Insubria*; Andrea Scarlatti, *AOP Health*; Carlo Selmi, *Reumatologia e Immunologia Clinica, Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico IRCCS, Ospedale di Ricerca Humanitas*; Alessandra Sinibaldi, *Alfasigma*; Federico Spandonaro, *Università degli Studi di Roma "Tor Vergata" e C.R.E.A. Sanità*; Silvia Tonolo, *ANMAR*; Filippo Urso, *SIFO*; Diletta Valsecchi, *Novartis*; Pierluigi Viale, *Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche, Alma Mater Studiorum, Università di Bologna*; Bruna Zancocchia, *Novartis*.

Disclosures

Conflict of interest: FA, RA, CB, GB, MCC, GF, EI, CJ, ALM, MM, AS, AM, MDM declare no conflict of interest. OC reports that her institution has received payments from Roche. FD claims to be an employee of Sanofi; VR claims to be an employee of Servier; ADL claims to be an employee of Astellas.

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

Bibliografia

1. Eastern Research Group (ERG). Assessment of the Use of Patient Experience Data in Regulatory Decision-Making. Final Report. 2021. Online. (Accessed May 2026).
2. European Medicines Agency (EMA). Reflection paper on patient experience data. 2025. Online. (Accessed May 2026)
3. Meregaglia M, Malandrini F, Angelini S, Ciani O. The assessment of patient-reported outcomes for the authorisation of medicines in Europe: A review of European Public Assessment Reports from 2017 to 2022. *Appl Health Econ Health Policy*. 2023;21(6):925-935. CrossRef PubMed
4. Kristensen FB, Lampe K, Wild C, Cerbo M, Goettsch W, Becla L. The HTA Core Model®—10 years of developing an international framework to share multidimensional value assessment. *Value Health*. 2017;20(2):244-250. CrossRef PubMed
5. Kleijnen S, Lipska I, Leonardo Alves T, et al. Relative effectiveness assessments of oncology medicines for pricing and reimbursement decisions in European countries. *Ann Oncol*. 2016;27(9):1768-1775. CrossRef PubMed
6. Minvielle E, Fierobe A, Fourcade A, et al. The use of patient-reported outcome and experience measures for health policy purposes: A scoping review in oncology. *Health Policy*. 2023;129:104702. CrossRef PubMed
7. Jommi C, Novaro R, Meregaglia M. Ruolo dei Patient-Reported Outcome e Patient-Reported Experience nell'accesso dei farmaci al mercato. Online. (Accessed May 2026)
8. Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti, 2025. Online. (Accessed May 2026)
9. Malandrini F, Borroni C, Meregaglia M, Sarra M, Ciani O. Il ruolo degli esiti riferiti dal paziente nelle decisioni di rimborso e innovatività dei farmaci in Italia. *Glob Reg Health Technol Assess*. 2023;10:12-17. CrossRef PubMed

© 2026 The Authors. Published by AboutScience - www.aboutscience.eu

10. Verde A, Turati F, Trimarchi C, Galeone C, Jommi C. Assessment and Appraisal of Drug Innovativeness in Italy: Ultimate Evidence on Key Drivers and Consistency. *J Mark Access Health Policy*. 2026;14(2):28. CrossRef PubMed
11. Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA). Linee Guida per la compilazione del dossier a supporto dell'Health Technology Assessment di un medicinale ai fini della rimborsabilità e del prezzo a carico del Servizio Sanitario Nazionale. Online. (Accessed May 2026)
12. Dephaforum. Quaderno della I Edizione Forum Pazienti. "La prospettiva del paziente nel sistema regolatorio e di accesso". Milano, 5 e 6 giugno 2025. Online. (Accessed May 2026).
13. Valsecchi AA, Giovanardi F, Malandrini F, et al. Breast-cancer specific comprehensive archive of Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) for clinical research and clinical practice in oncology: Results from the PRO4All project. *Breast*. 2024;78:103817. CrossRef PubMed
14. Bridges JFP, de Bekker-Grob EW, Hauber B, et al. A roadmap for increasing the usefulness and impact of patient-preference studies in decision making in health: A good practices report of an ISPOR Task Force. *Value Health*. 2023;26(2): 153-162. CrossRef PubMed

© 2026 The Authors. Global & Regional Health Technology Assessment - ISSN 2283-5733 - www.aboutscience.eu/grhta