

REPORT DI ATTIVITÀ

Workshop · II Edizione Forum Pazienti

Roma, 8 luglio 2026

La prospettiva del paziente nel sistema regolatorio e di accesso

1. Il programma e gli obiettivi del workshop

La II Edizione del Forum Pazienti si è svolta l'8 luglio 2026 a Roma, in continuità con il percorso avviato nel 2025, con l'obiettivo di approfondire il **ruolo della prospettiva del paziente** nella **generazione delle evidenze** e nei **processi regolatori e di accesso.**

Il workshop ha riunito una **faculty multidisciplinare** composta da **rappresentanti delle istituzioni**, delle **Regioni**, dell'**accademia**, della ricerca clinica, delle professioni sanitarie, delle **associazioni dei pazienti** e dell'**industria**.

La giornata si è articolata in due tavole rotonde dedicate a:

Tavola rotonda 1: nel contesto di un approfondimento metodologico, focus sui PREMs: approcci metodologici e strumenti di validazione ai fini del loro utilizzo nei processi regolatori e di accesso anche con riferimento al punto di vista delle Regioni.

L'obiettivo è quindi di fare il punto sui metodi utilizzati per la raccolta delle esperienze dei pazienti e quali possano essere gli elementi chiave (disegno degli studi, dimensione della popolazione, significatività statistica, trasferibilità dei dati, ecc.), affinché le evidenze raccolte possano essere considerate a livello istituzionale e, quindi, giudicate rilevanti dalle imprese nel momento in cui definiscono il loro piano di raccolta dati. In questo quadro, la prospettiva delle Regioni risulta essenziale per orientare criteri, priorità e modalità di utilizzo dei PREMs nei percorsi di valutazione e accesso.

Tavola rotonda 2: sulla base dei quesiti posti dal confronto con le esperienze internazionali: modalità e requisiti minimi per valorizzare PROMs e PREMs e il loro impatto sulle valutazioni e decisioni di AIFA e delle Regioni.

Sulla base dei quesiti posti dal confronto con le esperienze internazionali, verrà discusso il tema del ruolo e dei requisiti minimi metodologici dei PROMs per la valutazione del valore (vantaggio secondo il nuovo documento AIFA sull'innovatività) terapeutico aggiunto, fattore chiave per l'innovatività, la rimborsabilità e l'ottenimento di un premio di prezzo ed il ruolo dei PREMs nella definizione del valore «non» terapeutico in sede negoziale con AIFA e a supporto delle differenziazioni dei farmaci nella fase di disegno ed implementazione delle politiche regionali, dagli acquisti alle azioni di governo del comportamento prescrittivo.

Il confronto ha cercato di superare una domanda ormai acquisita – **se sia utile raccogliere la prospettiva del paziente** – per concentrarsi su una questione più complessa: **a quali condizioni** un'informazione riportata dal paziente può diventare un'**evidenza sufficientemente solida** da essere **utilizzata nelle decisioni**?

Attraverso queste due sessioni, il seminario ha cercato di contribuire alla costruzione e perfezionamento di un contesto istituzionale più maturo e ricettivo verso la prospettiva del paziente, superando criticità strutturali come la frammentazione delle risorse e il limitato coinvolgimento dei pazienti nelle fasi di assessment.

Il programma è consultabile al link: https://www.dephaforum.it/wp-content/uploads/2026/07/Programma-II-Edizione-Workshop-Pazienti_08.07.26.pdf

2. Sintesi esecutiva

Il workshop ha confermato che la **prospettiva del paziente** sta assumendo una **rilevanza crescente** nel sistema di valutazione delle tecnologie sanitarie, ma ha anche evidenziato che il passaggio da un riconoscimento di principio a un **utilizzo sistematico** richiede ancora un importante **lavoro metodologico, organizzativo e culturale**.

Il paziente **non è soltanto destinatario della terapia**, ma **fonte di informazioni** che nessun'altra componente del sistema può sostituire. La sua prospettiva consente di rilevare **effetti sulla qualità di vita**, **esperienza dell'assistenza**, **accessibilità dei servizi**, modalità di somministrazione, continuità della presa in carico e **impatto sulla famiglia e sui caregiver**.

Il workshop ha ribadito la distinzione tra **PROMs** e **PREMs**: i primi utilizzati per misurare gli **esiti riferiti direttamente dal paziente**; i secondi misurano l'**esperienza del paziente nel percorso assistenziale**. La distinzione non implica però una separazione: le due dimensioni possono interagire e contribuire insieme a una **valutazione più completa del valore della terapia**.

È emersa una **diversa maturità di utilizzo e metodologica tra PROMs e PREMs**. I **PROMs** dispongono di **strumenti e riferimenti metodologici più consolidati**, mentre i **PREMs** sono ancora utilizzati in modo sporadico e con una disponibilità limitata di **strumenti validati e standardizzati**.

Il tema centrale è quindi la **qualità dell'evidenza**, **non basta raccogliere dati; è necessario e prioritario definire cosa si vuole misurare**, scegliere strumenti appropriati, garantire **qualità e completezza**, gestire i dati mancanti, assicurare **rappresentatività** numerica laddove possibile, e stabilire preventivamente **come i risultati saranno interpretati**.

Il confronto ha inoltre sottolineato la necessità di **coinvolgere i pazienti** e gli altri stakeholder già nella **progettazione degli studi**, di integrare la generazione di evidenze **lungo tutto il ciclo di vita della terapia** e di valorizzare la **dimensione regionale**, dove i PREMs possono contribuire alla valutazione dei percorsi organizzativi.

Il percorso emerso può essere sintetizzato nei seguenti passaggi: raccolta della voce del paziente, produzione di evidenze robuste, definizione delle condizioni per interpretarle e loro utilizzo nelle decisioni.

3. Dalla partecipazione del paziente alla patient-generated evidence

La prospettiva dei pazienti non dovrebbe essere considerata soltanto una modalità di consultazione ma una **componente strutturata della generazione delle evidenze**, poiché consente di identificare **dimensioni che non possono essere ricostruite** attraverso i soli dati clinici o amministrativi.

La prospettiva assume particolare rilevanza quando si passa dalla valutazione del singolo farmaco alla valutazione del percorso di cura: diagnosi, accesso al centro prescrittore, modalità di somministrazione, frequenza degli accessi, monitoraggio, follow-up, gestione degli effetti della terapia e rapporto con i professionisti sanitari.

Il workshop ha evidenziato come il farmaco debba essere considerato all'interno di un sistema più ampio. Una diversa modalità di somministrazione, ad esempio, può ridurre gli accessi ospedalieri, modificare il carico per il caregiver e produrre effetti sull'organizzazione dei servizi. È stato richiamato anche il tema delle preferenze: non esiste necessariamente una modalità universalmente migliore. Una soluzione domiciliare può essere vantaggiosa per alcuni pazienti e meno desiderabile per altri.

La raccolta del dato deve quindi essere accompagnata dalla capacità di **interpretarne** e **comprenderne il contesto**.

4. PROMs e PREMs: due dimensioni distinte, un'unica prospettiva

I **PROMs** rilevano gli **esiti riferiti direttamente dal paziente circa**: sintomi, qualità di vita, funzionamento fisico, psicologico e sociale e capacità di svolgere le attività quotidiane. I **PREMs** riguardano invece l'**esperienza nell'interazione con il sistema di cura riguardo** a: comunicazione, rispetto, coinvolgimento nelle decisioni, tempi dell'assistenza, accoglienza, continuità e accessibilità.

La distinzione è importante anche in riferimento all'utilizzo nei processi decisionali. I PROMs possono contribuire alla **valutazione degli esiti e del valore terapeutico**; i PREMs forniscono soprattutto informazioni sul **modo in cui la terapia viene inserita nel percorso assistenziale**.

Le due dimensioni possono però interagire: l'esperienza del percorso può influenzare l'aderenza, la modalità di somministrazione può incidere sulla qualità di vita e una riduzione degli accessi può modificare il carico assistenziale per paziente e famiglia.

5. PROMs: dalla raccolta del dato alla sua valorizzazione

Il workshop ha riconosciuto una **maggiore maturità metodologica e regolatoria dei PROMs** rispetto ai PREMs. Tuttavia, la **disponibilità di dati non equivale automaticamente alla loro valorizzazione** nelle decisioni.

Sono stati richiamati alcuni requisiti fondamentali:

- utilizzo di strumenti validati;
- scelta coerente tra strumenti generici e specifici per patologia;
- inserimento dei PROMs nei protocolli sin dalla progettazione;
- definizione preventiva di endpoint e tempi di raccolta;
- pianificazione delle analisi;
- strategie per i dati mancanti;
- definizione della rilevanza clinica attesa;
- trasparenza metodologica.

È stata inoltre sottolineata la necessità di infrastrutture interoperabili, in grado di dialogare con cartelle elettroniche e Fascicolo Sanitario Elettronico, per evitare raccolte frammentate e favorire il riutilizzo delle informazioni.

6. Quanto i PROMs incidono sulle decisioni?

Il workshop ha affrontato anche l'impatto del dato derivato dai PROMs sulle decisioni di prezzo e accesso. Un'analisi su farmaci oncologici approvati in Italia e Germania tra il 2017 e il 2024 non ha evidenziato un'associazione diretta tra misurazione dei PROMs, risultati positivi, tipologia o numero di strumenti e premium price. Tuttavia, il risultato è stato letto come evidenza di un **gap di standardizzazione e interpretazione**, non come dimostrazione dell'irrilevanza dei PROMs. Se non sono definite ex ante le modalità con cui le evidenze devono essere considerate, la loro semplice presenza nei dossier non determina automaticamente un effetto sulle decisioni.

Da qui l'interesse per una possibile **sezione dedicata ai PROMs nei dossier di prezzo e rimborso**, accompagnata da **criteri condivisi sulla qualità e sull'interpretazione dei dati**.

7. PREMs: la sfida metodologica

Per i PREMs il problema è ancora più a monte: **definire cosa misurare e come farlo**. Oggi sono utilizzati soprattutto per **valutazione della performance dei servizi**, accreditamento e miglioramento della qualità, mentre il loro impiego nei processi di **HTA** e nelle **decisioni regolatorie** è più limitato.

Gli esempi internazionali mostrano che è possibile costruire **strumenti strutturati** per misurare comunicazione, educazione, continuità, dignità, relazione con gli operatori e tempi dell'assistenza. Nel contesto italiano emerge però la necessità di individuare le **dimensioni prioritarie** e la **finalità decisionali**:

- accessibilità e tempi di attesa;
- comunicazione, rispetto e dignità;
- coinvolgimento nelle decisioni;
- continuità e organizzazione del percorso;
- modalità e luogo di somministrazione;
- distribuzione e accesso ai centri prescrittori;
- impatto sulla quotidianità e sul caregiver.

8. La dimensione regionale: PREMs come strumento di equità di accesso

La **dimensione regionale** ha rappresentato uno dei temi ricorrenti. Il paziente vive concretamente il percorso di cura all'interno di un'organizzazione regionale e locale e le **differenze tra territori** possono modificare significativamente l'**esperienza di accesso a una terapia**.

Nelle **malattie rare** il problema è ancora più evidente in quanto la **frammentazione regionale** rende complessa la definizione di **campioni rappresentativi**: sono state evidenziate **differenze non solo tra Regioni, ma anche tra distretti** della stessa azienda sanitaria.

La prospettiva emersa non è quella di imporre un unico strumento, ma di individuare **dimensioni comuni** e declinarle nei diversi contesti. In questo senso i PREMs possono diventare uno **strumento di equità**, contribuendo ad identificare **disuguaglianze**, **criticità organizzative** e **ostacoli nell'accesso**.

Il tema è particolarmente rilevante nelle malattie rare, dove la necessità di raggiungere centri di riferimento, anche a causa di differenze territoriali può rendere l'accesso effettivo diverso dall'accesso formale alla terapia.

9. PREMs, organizzazione e prossimità della cura

Una delle prospettive più interessanti riguarda l'utilizzo dei **PREMs** per valutare come una tecnologia modifica il **percorso assistenziale**. La modalità di somministrazione può determinare un diverso **numero di accessi**, una diversa distribuzione delle responsabilità tra ospedale e territorio e un diverso impatto sui caregiver.

È stata discussa la possibilità di utilizzare queste informazioni anche per orientare la scelta del **setting assistenziale** e delle **modalità distributive**. In questa prospettiva il PREM **non misura soltanto il grado di soddisfazione**, ma contribuisce a rendere visibili **dimensioni organizzative** che incidono sull'esperienza e sulla sostenibilità del percorso.

È stato inoltre sottolineato che una parte di queste informazioni può essere utilizzata ex ante, per comprendere come una nuova tecnologia potrebbe impattare sull'organizzazione regionale e quali criticità di impiego potrebbero emergere.

10. Malattie rare: rappresentatività, caregiver e personalizzazione

Le malattie rare rendono particolarmente evidente la **complessità della generazione di evidenze patient-reported**. La **ridotta numerosità** può rendere difficili i criteri tradizionali di rappresentatività, e in alcune condizioni ultra-rare è possibile lavorare su **popolazioni molto vicine alla totalità dei pazienti conosciuti**.

Il **caregiver** rappresenta inoltre una **componente essenziale dell'esperienza della terapia**. Il valore di un trattamento può consistere anche nella capacità di mantenere una funzione, ridurre un bisogno assistenziale, diminuire il tempo dedicato alla cura o aumentare l'**autonomia della famiglia**.

La personalizzazione introduce infine un equilibrio necessario tra **standardizzazione metodologica** e **specificità individuale**: lo stesso percorso può essere preferibile per un paziente e non esserlo per un altro.

11. Dal pre-autorizzativo al real-world

Le evidenze patient-reported possono accompagnare il farmaco **lungo tutto il suo ciclo di vita**. Sono particolarmente utili quando al momento dell'accesso rimangono incertezze sull'**aderenza**, sull'**impatto organizzativo**, sulla modalità di utilizzo o sull'**esperienza del paziente**.

Il workshop ha discusso la possibilità di utilizzare **studi post-autorizzativi** e **studi di fase 4** per raccogliere dati utili a successive rivalutazioni. Il punto centrale è definire ex ante quali dati saranno raccolti, con quali criteri e con quale finalità decisionale.

In questa prospettiva è stata avanzata l'ipotesi di forme di collaborazione nelle quali, già al momento dell'accesso, siano definiti gli **elementi informativi necessari per una successiva rivalutazione**, anche nell'ambito di **accordi di rimborso o managed entry agreements**.

12. La necessità di una metodologia condivisa

Il confronto ha portato alla necessità di un **quadro metodologico condiviso**. I requisiti possono essere ricondotti a **qualità del dato**, **rappresentatività**, coerenza tra strumento e domanda decisionale, **validazione**, pianificazione, **rilevanza clinica**, **trasparenza** e **coinvolgimento precoce degli stakeholder**.

L'obiettivo non è introdurre un sistema eccessivamente rigido, ma creare un **riferimento comune** per distinguere **dati robusti e utilizzabili** da evidenze la cui interpretazione è più limitata.

Questi elementi possono costituire la base di un percorso di consenso tra esperti e di una successiva sperimentazione su casi concreti.

13. Cultura, formazione e infrastrutture

La piena valorizzazione delle evidenze patient-reported richiede anche un **investimento culturale**. **Pazienti, professionisti e decisori** devono poter **comprendere cosa viene misurato** e come **interpretare i risultati**.

Le **associazioni dei pazienti** possono contribuire non solo alla definizione dei domini, ma anche alla diffusione di una maggiore **capacità di misurazione e interpretazione** tra i pazienti.

Parallelamente, servono **infrastrutture interoperabili** e **repository condivisi**. La prospettiva è quella di rendere i dati patient-reported più facilmente **integrabili con gli altri sistemi informativi** e **riutilizzabili** per ricerca, valutazione e miglioramento dei percorsi.

14. Verso una governance condivisa

La valorizzazione di PROMs e PREMs richiede una maggiore capacità di **dialogo tra istituzioni, Regioni, comunità scientifica, clinici, associazioni dei pazienti e industria**.

Il **coinvolgimento precoce** consente di definire quali dimensioni siano rilevanti, quali strumenti utilizzare, in quale popolazione e con quale frequenza, oltre a chiarire in anticipo il **possibile utilizzo decisionale del dato**.

Ne emerge un principio di **co-costruzione dell'evidenza**: il paziente **non è coinvolto soltanto per rispondere a un questionario**, ma contribuisce a definire **cosa debba essere misurato e perché**.

15. Proposte operative e sviluppi futuri

15.1 Definizione di requisiti minimi di qualità per studi su PROMs e PREMs

Definire un set condiviso di **requisiti metodologici minimi** relativi a **disegno**, **validazione**, popolazione, raccolta, **gestione dei dati mancanti**, analisi, **rilevanza clinica** e **trasferibilità**. Il percorso potrebbe prevedere una **consultazione Delphi** tra esperti e una successiva sperimentazione.

15.2 Una linea di ricerca indipendente su PROMs e PREMs

Valutare la possibilità di individuare un'area dedicata alla **ricerca indipendente**, con priorità a **validazione e confronto di strumenti**, **minimal important difference, missing data**, PREMs per specifici percorsi, **studi prospettici**, preferenze, **caregiver** e utilizzo nei **sistemi real-world**. Il primo passo può essere una proposta di fattibilità.

15.3 PROMs e PREMs negli studi post-autorizzativi e negli accordi con le imprese

Esplorare la fattibilità di **studi di fase 4 concordati**, nei quali siano **definiti ex ante** dimensioni, strumenti, popolazione, tempi, outcome e **criteri per la rivalutazione**. Particolare attenzione può essere dedicata all'**aderenza** e alla possibilità di collegare la generazione di evidenze a **successivi meccanismi di rivalutazione**.

15.4 Identificazione dei topic prioritari per i PREMs a livello regionale

Avviare un **confronto con le Regioni e le associazioni dei pazienti** per individuare i **percorsi nei quali la misurazione dell'esperienza può produrre il maggiore valore**: accesso, prossimità, distribuzione, centri prescrittori, referral, follow-up, assistenza territoriale, modalità di somministrazione e continuità.

16. Conclusioni e next steps

Il workshop ha confermato la rilevanza di **come trasformare ciò che il paziente racconta in un'evidenza metodologicamente solida, interpretabile e utilizzabile**.

PROMs e PREMs rappresentano **due strumenti diversi ma complementari**. I primi dispongono di una maggiore **maturità metodologica e regolatoria** e possono contribuire alla valutazione degli esiti e del valore terapeutico; i secondi hanno un potenziale particolarmente rilevante per comprendere l'**esperienza del percorso assistenziale**, l'organizzazione delle cure, l'**accessibilità e l'equità**.

Il workshop ha però mostrato che **la raccolta di informazioni non può essere considerata un obiettivo in sé**. La loro utilità dipende dalla **qualità metodologica**, dalla **chiarezza della finalità**, dalla possibilità di interpretare i risultati e dalla presenza di un **processo decisionale** in grado di utilizzarli.

Il passo successivo è quindi costruire un **sistema strutturato di generazione dell'evidenza patient-reported**, con il **coinvolgimento precoce** di pazienti, clinici, ricercatori, istituzioni, Regioni e imprese.

Le priorità individuate sono: **definire requisiti minimi condivisi**; sviluppare una possibile proposta di **ricerca indipendente**; verificare la fattibilità di **studi post-autorizzativi e di fase 4**; individuare con le Regioni i primi ambiti nei quali **sperimentare l'utilizzo dei PREMs**.

L'obiettivo finale è creare le condizioni affinché le **evidenze generate direttamente dai pazienti** possano affiancare in modo strutturato le evidenze cliniche, economiche e organizzative, contribuendo a una **valutazione più completa del valore delle terapie e dei percorsi di cura**.

Sponsor



Il presente documento è stato redatto nel mese di Ottobre 2026 da Dephaforum srl.

Ai seguenti link è possibile consultare:

Articolo AboutPharma di lancio del workshop, pubblicato il 15 maggio 2026

https://www.aboutpharma.com/legal-regulatory/la-voce-dei-pazienti-nei-processi-approvativi-dei-famaci-dibattito-a-roma/

Articolo AboutPharma di follow-up del workshop, pubblicato il 16 settembre 2026

https://www.aboutpharma.com/sanita-e-politica/le-evidenze-riportate-dai-pazienti-nei-processi-regolatori-e-di-accesso-dei-farmaci-le-prospettive-emerse-a-roma/

Articolo GRHTA I Edizione "Forum pazienti" - 2025

https://journals.aboutscience.eu/index.php/grhta/article/view/3833/5376