

Conferenza

14 febbraio 2023

I processi di valutazione delle tecnologie sanitarie (*Health Technology Assessment* o HTA)

P. Refolo

Introduzione

Oggi giorno, i sistemi sanitari di tutto il mondo sono alle prese con la crescente difficoltà nel conciliare la domanda sulla tutela della salute con la sostenibilità economica. Tale esigenza ha indotto il management sanitario a ricercare misure in grado di far accrescere i livelli di appropriatezza, favorendo la coniugazione dell'imperativo dell'efficacia con le esigenze di economicità.

Nel quadro brevemente descritto, le tecnologie sanitarie hanno assunto un ruolo centrale e peculiare, in ragione sia dell'influenza che esse esercitano sulle infrastrutture, i modelli organizzativi, i processi di lavoro e le professionalità, sia della tendenza – fenomeno che non si verifica in altri settori – ad incrementare i costi piuttosto che a ridurli.

Agli inizi degli anni '90, per esempio, si stimava che la metà dell'incremento della spesa sanitaria statunitense fosse addebitabile ai cambiamenti tecnologici e, nonostante i reiterati tentativi di una politica restrittiva sull'uso di tecnologie, le spese non diminuirono.

Tutto ciò aumenta la necessità di un loro monitoraggio istituzionale, esigenza che si intreccia con l'annosa questione sui limiti derivanti dagli imperfetti meccanismi di trasferimento delle conoscenze scientifiche dall'ambito di elaborazione (la ricerca clinica) a quello applicativo (la pratica assistenziale) e che spiega il perché la qualità dell'assistenza

non sia semplicemente una funzione delle risorse investite in ambito sanitario.

Sul tema del governo delle innovazioni, in particolare in riferimento all'ambito rappresentato dalle tecnologie, la risposta forse più funzionale al management sanitario è provenuta, negli ultimi anni, da quell'area di ricerca che va sotto il nome di *Health Technology Assessment* (HTA), ossia la Valutazione delle Tecnologie Sanitarie.

L'obiettivo del presente contributo è quello di tracciare un breve profilo di questa innovativa modalità di ricerca e del suo livello di diffusione nel panorama nazionale e internazionale, ponendo particolare attenzione al tema delle valutazioni etiche.

Definizioni

Le "tecnologie sanitarie" possono essere definite come quel complesso di procedure, materiali e macchine necessari a utilizzare le conoscenze scientifiche (mediche) nel contesto della ricerca di soluzioni di problemi legati al bisogno, individuale e collettivo, di salute.

Differentemente da ciò cui l'espressione "tecnologia sanitaria" intuitivamente rinvierebbe, essa non fa, tuttavia, esclusivo riferimento a componenti tangibili (per esempio, lo stetoscopio), ma anche a quelle intangibili (per esempio, i diversi modi di praticare il parto).

Nella *Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie* del 2006 – che può essere a buon diritto considerata come uno

dei primi documenti ufficiali italiani in tema di HTA – redatta dalla Società Italiana di *Health Technology Assessment* (SIHTA), si legge infatti che il concetto di *health technology* è ampio e comprende “le attrezzature sanitarie, i dispositivi medici, i farmaci, i sistemi diagnostici, le procedure mediche e chirurgiche, i percorsi assistenziali e gli assetti strutturali, organizzativi e manageriali nei quali viene erogata l’assistenza sanitaria”.

Ciò risulta essere in accordo con la definizione fornita dall’*International Network of Agencies for Health Technology Assessment* (INAHTA), il network che collega il più alto numero di agenzie di HTA nel mondo, che definisce “*health technology*” come “*an intervention that may be used to promote health, to prevent, diagnose or treat acute or chronic disease, or for rehabilitation*” e che include “*pharmaceuticals, devices, procedures and organizational systems used in health care*”.

Venendo alla definizione di HTA, si può dire che essa è un processo di analisi, atto a “valutare”, sotto diverse prospettive, l’impiego delle tecnologie in ambito sanitario con il fine di supportare razionalmente le decisioni di politica sanitaria.

Sempre la Carta di Trento definisce, infatti, l’HTA come la “complessiva e sistematica valutazione multidisciplinare delle conseguenze assistenziali, economiche, sociali ed etiche provocate in modo diretto e indiretto, nel breve e nel lungo periodo, dalle tecnologie sanitarie esistenti e da quelle di nuova introduzione”.

Tale definizione è molto simile a quella prodotta dall’INAHTA, che definisce l’HTA come “*the systematic evaluation of properties, effects, and/or impacts of health care technology. It may address the direct, intended consequences of technologies as well as their indirect, unintended consequences. Its main purpose is to inform*

technology-related policymaking in health care. HTA is conducted by interdisciplinary groups using explicit analytical frameworks drawing from a variety of methods”.

La definizione di HTA più recente cui fanno attualmente riferimento le agenzie è quella prodotta O’Rourke et al. nel 2020, dove l’HTA viene definita come “*multidisciplinary process that uses explicit methods to determine the value of a health technology at different points in its lifecycle. The purpose is to inform decision-making in order to promote an equitable, efficient, and high-quality health system*”.

Scopo dell’HTA è dunque quello di supportare razionalmente le decisioni di politica sanitaria. Ne consegue che essa non ha tanto l’obiettivo di accrescere le conoscenze, quanto piuttosto di influire sulle decisioni. In questo senso, l’HTA può essere immaginata metaforicamente come una sorte di “ponte” che unisce il mondo tecnico-scientifico (basato sulle evidenze) con l’ambito decisionale (nel quale le conoscenze tecniche e scientifiche devono poi essere applicate, trasformandosi in “comportamenti”). In altre parole, i processi di HTA aiutano i decisori a trasformare i risultati della ricerca biomedica in politiche sanitarie, cioè in raccomandazioni più o meno coercitive.

Le decisioni, a loro volta, possono riguardare tre differenti livelli, tra loro interagenti:

- macro: il livello delle politiche sanitarie (le autorità sanitarie possono avvalersi, per esempio, di un processo di HTA per decidere se ricorre ad un programma di screening o di vaccinazione per una determinata malattia infettiva);

- meso: il livello della gestione nelle organizzazioni sanitarie (un direttore sanitario può avvalersi, per esempio, di un processo di HTA per decidere se acquistare una determinata tecnologia per l’ospedale);

- micro: il livello dell'interazione fra operatori sanitari e pazienti (un medico può richiedere, per esempio, la valutazione di un test per decidere se tale prestazione debba essere introdotta nella routine di laboratorio);

A seconda poi che oggetto di valutazione sia una tecnologia, un problema o un progetto, l'HTA può rispettivamente essere di tre tipi:

- *technology-oriented*: si valutano le caratteristiche e l'impatto di una particolare tecnologia sul sistema sanitario in termini di sicurezza, efficacia, convenienza economica, ecc.;
- *problem-oriented*: si analizzano soluzioni o strategie di gestione di problemi per i quali è possibile il ricorso a un certo numero di tecnologie o piani di azione differenti;
- *project-oriented*: si valuta l'adozione o l'utilizzo di una determinata tecnologia nell'ambito di una particolare organizzazione, progetto o programma assumendo una dimensione progettuale di ampio respiro.

I processi di HTA valutano, come precedentemente affermato, l'impiego delle tecnologie in ambito sanitario sotto diverse prospettive. L'HTA riguarda dunque la valutazione di più aspetti delle tecnologie sanitarie. In letteratura, questi ultimi sono generalmente definiti *domain* (domini) e possono essere schematizzati nel seguente modo:

- Descrizione e uso corrente della tecnologia: in questo *domain* viene descritta la tecnologia oggetto di valutazione (specifiche di fabbricazione, di affidabilità, di semplicità di utilizzo e di manutenzione, ecc.) e il problema di salute per il quale viene impiegata.
- Sicurezza: in questo caso, si valuta il rischio per il paziente o/e per lo staff associato all'uso della tecnologia oggetto di valutazione.

- Efficacia clinica: nel *domain* si valuta il beneficio clinico che si ottiene in termini di salute a seguito dell'utilizzo di una determinata tecnologia.
- Impatto economico: in questo ambito si valuta la convenienza economica dell'implementazione di una determinata tecnologia attraverso diverse tipologie di studio come la *budget impact analysis*, l'analisi di costo-efficacia o costi-utilità.
- Impatto organizzativo: in questo ambito si valutano gli effetti (diretti e indiretti, a breve e a lungo termine) che l'impiego di una tecnologia produce sull'organizzazione sanitaria o, viceversa, i mutamenti che si rendono necessari all'interno di un'organizzazione sanitaria al fine di adoperare una determinata tecnologia.
- Implicazioni etiche-sociali e legali (ELSI): definita anche come parte "*soft*" della valutazione, questa analisi si occupa della valutazione relativa alle conseguenze di tipo etico, sociale e legale che fanno seguito all'uso di una certa tecnologia sanitaria.

Quanto invece alla modalità di realizzazione dei processi di HTA, a livello generale, si può affermare che non esiste un processo standard per la realizzazione di un report: esso può infatti variare in funzione del tipo di tecnologia da valutare, delle risorse disponibili, del tempo a disposizione, del team che compie la valutazione e così via. È possibile tuttavia rintracciare dieci step fondamentali che vengono di norma utilizzati: 1. *Identificazione dell'oggetto di valutazione*; 2. *Specificazione del problema*; 3. *Determinazione del gruppo che procederà alla valutazione*; 4. *Recupero dei dati già disponibili per la valutazione*; 5. *Raccolta di nuovi dati principali*; 6. *Interpretazione delle evidenze*; 7. *Sintesi e consolidamento delle evidenze*; 8. *Formulazione dei risultati e delle raccomandazioni*; 9. *Diffusione e disseminazione dei risultati e delle raccomandazioni*; 10. *Monitoraggio dell'impatto ottenuto dalla valutazione*.

Nascita e sviluppo dell'HTA nel mondo

Benché di HTA si parlasse già in un documento ufficiale del Congresso degli Stati Uniti nel 1967, storicamente, l'atto di nascita di questo nuovo indirizzo di ricerca viene di solito fatto risalire al 1975, allorché l'*Office of Technology Assessment* statunitense (fino ad allora specializzato nella valutazione di progetti aerospaziali) iniziò ad occuparsi di problematiche sanitarie.

Da allora, l'HTA ha avuto un notevole sviluppo: si è dapprima diffusa nel corso degli anni Ottanta in paesi come Canada, Francia, Svezia, Australia, Israele, Finlandia, Spagna e Regno Unito, per poi consolidarsi negli anni Novanta, assumendo, infine, una diffusione pressoché planetaria dagli anni Duemila in poi, anche grazie all'azione di organismi sovranazionali e network internazionali come l'*Health Technology Assessment International* (HTAI) e l'INAHTA.

Momento importante di questo processo di sviluppo è stata la risoluzione WHA67.23 del 24 maggio 2014, con la quale l'Organizzazione Mondiale della Sanità ha esortato gli Stati Membri ad istituire programmi nazionali di HTA, per assicurare nel tempo la sostenibilità dei servizi sanitari nazionali.

L'Unione Europea (UE) è stata da sempre molto attenta a questo tema, ben comprendendo i vantaggi che possono derivare da una rete di collegamento tra le varie agenzie, rete operativamente promossa con la *Direttiva 2011/24/UE*.

Oltre che tramite i suoi programmi quadro, il settore dell'HTA è stato finanziato dall'UE attraverso alcuni progetti ad hoc come l'EUR-ASSESS, l'HTA-EUROPE, l'HCHTA/ECAHI e soprattutto l'*EUnetHTA collaboration*, il cui finanziamento, iniziato nel 2006, è terminato dopo ben 14 anni nel 2020. Se obiettivi di questi progetti erano fondamentalmente facilitare un collegamento tra le varie agenzie di HTA europee e standardizzare le procedure di

valutazione, per una più facile circolazione delle informazioni, l'obiettivo cui mira ora l'Europa è rendere la collaborazione stabile e organica ai processi decisionali. In questa prospettiva va letto il recente Regolamento (UE) 2021/2282 del Parlamento europeo e del Consiglio del 15 dicembre 2021 relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie, la cui entrata in vigore sta iniziando a produrre i primi effetti.

In Italia, la cultura dell'HTA ha iniziato a diffondersi con notevole ritardo e, differentemente dagli altri Paesi, si è inizialmente caratterizzata per uno sviluppo più a livello ospedaliero (il c.d. *hospital-based HTA*) che nell'ambito di politiche centralizzate (anche se il tema della sicurezza delle biotecnologie è stato oggetto di uno dei primi documenti del Comitato Nazionale per la Bioetica nel 1991). Risale, infatti, al 2004 la costituzione del Network Italiano di HTA (NI-HTA) che collegava le poche esperienze ospedaliere allora presenti, a cui si deve la stesura della *Carta di Trento*, e la successiva nascita della SIHTA (2007).

Benché lo sviluppo dell'HTA sia stato segnalato come obiettivo prioritario nel *Piano sanitario nazionale 2006-2008*, si è dovuta attendere la *Nota di aggiornamento del Documento di Economia e Finanza (DEF) 2013* per vederne riconosciuta la centralità nella elaborazione delle politiche sanitarie. Da quel momento, il processo di istituzionalizzazione dell'HTA ha ricevuto una decisa accelerazione: ripresa nel DEF del 2014, la centralità dell'HTA è stata di fatto sancita nel *Patto per la salute 2014-2016*, che prevedeva, all'articolo 26, lo sviluppo di un modello istituzionale di HTA dei dispositivi medici mediante la creazione di una Cabina di Regia, coordinata dall'Agenzia Nazionale per i servizi sanitari Regionali (AGENAS). Questa Cabina di Regia è stata istituita con il DM del 12 marzo 2015, e i suoi compiti sono stati definiti nella Legge di Stabilità del 2016. Del 21 settembre 2017 è l'Intesa Stato-Regioni sul *Documento strategico per l'Health*

Technology Assessment dei dispositivi medici, redatto dalla sopramenzionata Cabina di Regia, con il quale sono state delineate le principali tappe del Programma nazionale di HTA.

La valutazione etica nell'HTA

Le analisi etiche sono state da sempre considerate parte integrante dei processi di HTA, nel senso che la valutazione delle conseguenze di tipo etico, rappresenta uno degli obiettivi fondamentali di questo settore di ricerca, alla stregua delle valutazioni sulla sicurezza, l'efficacia e l'impatto economico.

Il *domain* etico nell'HTA ha come obiettivo fondamentale quello di affrontare le questioni etiche relative sia all'impiego di una determinata tecnologia sanitaria, sia al processo stesso di HTA. I processi di HTA possono, infatti, sollevare essi stessi questioni di tipo etico, quale è, per esempio, quella relativa alla scelta della tecnologia di comparazione per la valutazione o l'accertamento della presenza di eventuali conflitti di interesse relativamente al gruppo che svolge la ricerca.

Esistono, poi, due differenti modi di intendere le analisi etiche nell'HTA: per alcuni, esse consistono nell'identificare e discutere le problematiche etiche relative all'impiego di una determinata tecnologia sanitaria (questa modalità è in genere quella più utilizzata); per altri, esse consistono nella elaborazione di un giudizio di liceità o illiceità morale. Per fare un esempio, la valutazione etica dell'uso di una tecnologia sanitaria come la FIVET può essere intesa o come identificazione e discussione delle varie problematiche a rilevanza etica connesse al suo impiego (per esempio, la crioconservazione degli embrioni, la diagnosi pre-impianto, la soppressione degli embrioni in sovrannumero, ecc.) o come espressione di un giudizio morale (l'uso della FIVET è eticamente lecito/illecito).

Questo diverso modo di intendere le analisi etiche si riflette anche sui differenti

metodi proposti per effettuare le valutazioni, suddivisibili fundamentalmente in due grandi tipologie: alcuni (per esempio, il modello elaborato da EUnetHTA) sono rappresentati da framework il cui obiettivo fondamentale è identificare in modo "efficiente" le varie questioni etiche; altri sono rappresentati dai modelli classici della bioetica (Principlismo, Casuistica, Utilitarismo, Personalismo, ecc.), che risultano, invece, più funzionali ad assumere una posizione sulla liceità o illiceità morale sull'uso di tecnologie.

Alle dichiarazioni di intenti generali sulla necessità di inclusione di questa prospettiva, non è però sempre corrisposta una effettiva attuazione nella pratica: anche se l'analisi ELSI è stata considerata da sempre elemento fondamentale dell'HTA, in pratica la sua integrazione nei report è stata abbastanza limitata.

Ora, nonostante un'opera di sensibilizzazione, per la gran parte interna al movimento stesso dell'HTA, finalizzata ad evitare di ridurre l'HTA alle sole valutazioni "tecniche", il *domain* etico (ma lo stesso discorso vale per quello sociale e legale) è stato spesso trascurato. Come attestano infatti alcune indagini retrospettive, le analisi etiche hanno trovato spazio nei report con qualche difficoltà, anche se, in tempi recenti, la situazione sembra essere cambiata nel senso che si dedica molta più attenzione oltre che agli aspetti tecnici ed economici anche all'impatto etico, legale e sociale (ELSI).

Diverse sono le ragioni (teoriche e pratiche) che sono state proposte per spiegare la difficoltà di integrare le valutazioni etiche nell'HTA. Tra le principali, vi sono la difficoltà nel "riconoscere" l'esistenza stessa di questioni etiche connesse all'uso di tecnologie da parte degli organizzatori dei processi (in quanto spesso le questioni "percepite" come rilevanti per prendere una decisione sono solo quelle cliniche ed economiche); l'"incapacità" dell'etica di produrre "evidenze empiriche" che sono invece alla base degli aspetti clinico-

economici; l'eterogeneità epistemologica dell'etica rispetto ai *domain* tecnici; l'esiguità del numero di ricercatori in grado di svolgere questo tipo di valutazioni.

Andando più a fondo, al centro di questa questione ci potrebbe essere il fatto che l'HTA deve molto del suo successo al controllo empirico, nel senso che gran parte di esso può essere spiegato dalla capacità che ha questo settore di ricerca di fornire sintesi ben accurate sulle migliori "prove" (o come si direbbe nel gergo medico, sulle migliori "evidenze") inerenti l'uso tecnico-strumentale di tecnologie sanitarie, prove che l'analisi ELSI non è invece in grado di fornire. Detto in modo diverso, mentre le valutazioni di sicurezza e di efficacia vengono condotte sulla base di osservazioni empiriche da cui è poi possibile desumere "informazioni obiettive" (l'HTA è infatti collegata alla ben nota *Evidence-based Medicine*), le analisi ELSI, attingendo a un ramo differente della conoscenza, non hanno la possibilità di produrre "evidenze", non hanno, cioè, "fatti" scientificamente accertabili da utilizzare come "prove" a sostegno di quel che affermano.

A livello di inquadramento dell'HTA come disciplina, queste differenze epistemologiche non vengono rimarcate; tutte le valutazioni vengono poste sullo stesso piano, sicché soprattutto chi non è esperto di analisi ELSI può essere indotto a pensare che queste analisi siano in grado di produrre evidenze alla stregua di *domain* quali sicurezza ed efficacia. Non riuscendo questa operazione, ne deriva una serie di difficoltà e la percezione (soprattutto da parte degli utilizzatori dei report) di una loro inconcludenza se non di inutilità, che possono spiegarne l'insuccesso.

In realtà, tutti i *domain* dell'HTA hanno una dimensione empirica e una dimensione etica-sociale-legale. Per es., la sicurezza non è un fatto empirico, ma un insieme di fatti ordinati attorno a un valore che si è deciso di perseguire (per esempio, il dovere di non

arretrare danni). Si potrebbe anzi aggiungere che senza una adeguata considerazione degli aspetti normativi dell'HTA non sia possibile realizzare valutazioni nemmeno sotto il punto di vista fattuale. Per approfondire questa tematica si rinvia alla lettura dei risultati di un progetto europeo sulla linea Erasmus+ da poco conclusosi: '*Values in doing assessments of healthcare technologies*' (<https://validatehta.eu/>).

Nell'odierna fase un po' di ripiegamento della bioetica, soprattutto quella accademica, l'HTA può a questo punto costituire una importante chance per ridare linfa alla disciplina. "Indebolita" dalla misura legislativa che ha determinato una forte riduzione del numero di Comitati Etici, e alle prese con le perduranti difficoltà del suo riconoscimento come disciplina accademica autonoma e nell'istituzionalizzazione dei servizi di bioetica clinica, la Bioetica potrebbe trovare nuovo slancio tramite questo settore di ricerca. Considerata la sua ascesa negli ultimi anni e il ruolo centrale che si appresta ad assumere nei processi decisionali della Sanità in Europa, così come in Italia, essa può costituire un "fruttuoso spazio" per lo sviluppo del dibattito bioetico. Avendo, infatti, l'HTA anche il problema della trasferibilità delle informazioni, questo pone la necessità dell'utilizzo di metodologie condivise, elemento questo che può facilitare, appunto, il "dialogo" tra le diverse impostazioni etiche, cercando di far superare le divisioni, che molto spesso hanno finito per indebolire la stessa disciplina bioetica.

Rilievi conclusivi

La presenza di un modello maturo di HTA può rappresentare oggi uno dei più importanti indicatori del livello raggiunto da ogni paese nella governance del proprio sistema sanitario. Il 24 maggio 2014 la Settima Assemblea Generale dell'Organizzazione Mondiale della Sanità ha sancito l'importanza dell'HTA nel governo dei sistemi sanitari approvando all'unanimità una determinazione che impegna tutte le nazioni

firmatarie (oltre 190 paesi) a promuovere l'adozione di un modello di HTA per informare le decisioni inerenti il rimborso delle tecnologie e delle prestazioni.

Nel declinare questa importante affermazione la WHO ha sottolineato l'importanza della multidimensionalità dell'approccio e del coinvolgimento degli *stakeholder* quali fattori caratterizzanti l'approccio stesso.

Ogni sforzo culturale e metodologico in grado di offrire un avanzamento a questi pilastri dell'HTA deve essere quindi salutato con soddisfazione e speranza.

BIBLIOGRAFIA ESSENZIALE

Assasi N, Schwartz L, Tarride JE et al. Methodological guidance documents for evaluation of ethical considerations in health technology assessment: a systematic review. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2014; 14: 203-20.

Bond K, Oremus M, Duthie KM, Griener GG. Ethics expertise for health technology assessment: a Canadian national survey. *Int J Technol Assess Health Care* 2014; 30: 131-6.

Hofmann B, Lysdahl KB, Droste S. Evaluation of ethical aspects in health technology assessment: more methods than applications? *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res* 2015; 15: 5-7.

International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA). *Health Technology Assessment (HTA) Glossary*. Stockholm; 2006. <http://htaglossary.net/HomePage>.

O'Rourke B, Oortwijn W, Schuller T; International Joint Task Group. The new definition of health technology assessment: A milestone in international collaboration. *Int J Technol Assess Health Care* 2020; 36: 187-90.

Refolo P. *Health Technology Assessment e valutazione etica*. Roma: Società Editrice Universo, 2015.

Refolo P, Bond K, Bloemen B et al. Core competencies for ethics experts in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2020; 36: 534-9.

Refolo P, Sacchini D. Il dominio ELSI (ethical-social-legal) nell'HTA. *Pneumorama* 2021; 4: 54-6.

Refolo P, Sacchini D, Spagnolo AG. Nuove prospettive epistemologiche nell'Health Technology Assessment: il Progetto "INTEGRATE-HTA" per la valutazione di tecnologie complesse. *Giornale Italiano di Health Technology Assessment Delivery* 2018; 11: 2.

Refolo P, Sacchini D, Spagnolo AG. Un altro tipo di consulenza etica in ambito sanitario: l'analisi etica nei processi di Health Technology Assessment (HTA). *MEDIC* 2019; 27: 51-6.

Sacchini D, Refolo P, Minacori R, Spagnolo AG. The ethical domain in Health Technology Assessment (HTA): basics, approaches and issues. *Rivista Internazionale di Scienze Sociali* 2016; 3-4: 385-96.

Società Italiana di Health Technology Assessment (SIHTA). Carta di Trento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie in Italia (28.03.2006). <https://www.sihta.it/web/carta-di-trento/>.

Thokala P, Srivastava T, Smith R, et al. Living Health Technology Assessment: Issues, Challenges and Opportunities. *Pharmacoeconomics* 2023; 18: 1-11.

Prof. Pietro Refolo, Dipartimento di Sicurezza e Bioetica, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Per la corrispondenza:
pietro.refolo@unicatt.it