

CAMERA DEI DEPUTATI N. 1333

PROPOSTA DI LEGGE

D'INIZIATIVA DEI DEPUTATI

**LOIZZO, PANIZZUT, LAZZARINI, MATONE, CAVANDOLI, OTTAVIANI,
PIERRO, PRETTO**

Disposizioni concernenti l'impiego dei dati relativi agli esiti riferiti dai pazienti nei procedimenti di valutazione dei farmaci

Presentata il 26 luglio 2023

ONOREVOLI COLLEGHI! – Ascoltare la voce del paziente e raccogliergli le istanze mediante misurazioni condivise e validate può portare ingenti benefici nelle decisioni di politica sanitaria. Il dato riferito dal paziente presenta infatti diversi vantaggi: permette di considerare gli aspetti soggettivi relativi al benessere della persona, compresa la sua qualità della vita, monitora l'andamento di un trattamento migliorando l'aderenza del paziente, fornisce *input* importanti per la definizione del valore di una terapia, contribuisce alla personalizzazione delle terapie in base alle esigenze del paziente, facilita l'interpretazione e l'analisi dei risultati degli studi clinici e misura la qualità dei servizi sanitari in un determinato contesto.

Nel nostro Paese, l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) aveva definito nel 2012 un

mezzo di dialogo per interagire con pazienti e consumatori, denominato « Open AIFA », poi interrotto nel 2019; allo stesso modo il Ministero della salute, nel 2022, aveva previsto un atto di indirizzo riguardante le modalità di partecipazione ai processi decisionali del Ministero della salute da parte delle associazioni e organizzazioni dei cittadini e dei pazienti impegnate su tematiche sanitarie.

Inoltre, l'AIFA nel « Dossier a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale » ha previsto la richiesta di fornire informazioni utili alla valutazione di impatto sulla qualità di vita dei pazienti, da raccogliere sia con questionari generici che attraverso strumenti specifici di malattia.

Tuttavia, siamo ancora ben lontani a livello nazionale dall'impiegare efficace-

mente un modello di analisi degli esiti riferiti dai pazienti, come invece accade a livello globale ed europeo.

Infatti, la *Food and Drug Administration* (FDA) negli USA e l'Agencia europea dei medicinali (EMA) nell'Unione europea hanno già avviato da tempo un dibattito sulla raccolta e utilizzo dei dati riferiti direttamente dal paziente e chiamati *Patient-Reported Outcomes* (PRO). I PRO sono definiti dall'EMA come « qualsiasi risultato valutato direttamente dal paziente stesso e basato sulla percezione da parte del paziente di una malattia e del suo trattamento ».

Al livello dell'Unione europea, l'EMA ha pubblicato nel 2005 il « *Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health-related quality of life measures in the evaluation of medicinal products* » e ha poi emanato nuove linee guida sulla misurazione dei PRO nei *trial* clinici per i farmaci oncologici nel 2014. Inoltre, la legislazione europea prevede oggi la partecipazione dei pazienti, con lo stesso ruolo di tutti gli altri membri, in quattro dei comitati scientifici dell'EMA.

Analogamente, sono molti gli Stati europei ad aver incluso all'interno dei propri percorsi regolatori e sanitari un contributo dei pazienti. A titolo di esempio: in Germania i pazienti sono coinvolti in tutti i livelli dei processi di *health technology assessment*; in Francia, i pazienti sono invitati a fornire il loro parere sui prodotti farmaceutici all'interno della Commissione trasparenza dell'*Haute Autorité de Santé* da cui discendono, poi, le successive fasi di prezzo e rimborso sulle terapie farmacologiche; in Svezia, gli esiti riferiti dai pazienti sono importanti per comprendere l'opinione dei pazienti sugli effetti di un trattamento e in quel Paese i registri nazionali di qualità sono obbligati a incorporare tali esiti per la certificazione di alto livello; nel Regno Unito, inoltre, c'è uno specifico programma nazionale sui *Patient Reported Outcomes Measures* avviato nel 2009 che consente di cogliere le differenze di impatto di interventi sanitari e terapie farmacologiche sulla qualità di vita delle persone. Ancora, in Danimarca è stato fi-

nanche deciso di standardizzare e promuovere l'uso nazionale dei dati PRO nel settore sanitario a 360 gradi con l'obiettivo di impiegarli negli incontri clinici quotidiani e nei processi di miglioramento della sanità pubblica.

La misurazione dei PRO avviene attraverso strumenti, scale e questionari che, combinati con dati clinici, forniscono un quadro completo dello stato di salute del paziente. Producono, infatti, un punto di vista sulla prospettiva del paziente rispetto ad uno specifico trattamento attraverso le istanze riferite sugli aspetti intangibili della persona: dal funzionamento fisico (difficoltà motorie, affanno), al *burden* sociale (dipendenza da altri soggetti, limitazione delle attività sociali) fino al benessere psichico ed emotivo (percezione di ansia, tensione, problemi di concentrazione).

Questi strumenti possono essere impiegati in diverse fasi che costituiscono il ciclo di vita di una terapia farmacologica: dai *trial* clinici, alle decisioni regolatorie, fino alle decisioni di prezzo e rimborso di un farmaco con un impatto possibile anche sul giudizio di valore di una terapia.

A questo riguardo, dunque, la presente proposta di legge ha l'obiettivo di includere nei percorsi regolatori la voce e il punto di vista dei pazienti, in linea con quanto già avviene in sede di Unione europea e al fine di riempire di contenuto il concetto di « paziente al centro » delle decisioni sanitarie. Gli obiettivi principali che la proposta di legge si propone di conseguire sono i seguenti:

a) la partecipazione di rappresentanti dei pazienti in seno alle commissioni consultive dell'Agenzia italiana del farmaco;

b) l'adeguamento delle linee guida dell'AIFA contenute nel *dossier* a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale.

A tali fini, l'articolo 1 chiarisce le finalità della legge, richiamando i principi nazionali e sovranazionali relativamente alla necessità di valutare sempre con rigore gli impatti delle decisioni sanitarie sui pazienti.

L'articolo 2 reca la definizione di « esiti riferiti dal paziente sul proprio stato di salute », richiamando in modo letterale la definizione che ne ha dato l'EMA nel proprio « *Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health related quality of life (HRQL) measures in the evaluation of medicinal products* ».

L'articolo 3 prevede l'adozione di un decreto del Ministro della salute per definire l'adozione delle norme regolamentari dell'AIFA al fine di far partecipare rappresentanti dei pazienti ai propri comitati consultivi.

L'articolo 4 introduce la previsione di un aggiornamento delle linee guida dell'AIFA sul *dossier* che le aziende farmaceutiche devono presentare a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale per includervi non solo i parametri legati alla qualità della vita ma anche – più in generale – la metodologia dei PRO già in essere al livello dell'EMA e consolidato a livello globale.

L'articolo 5, infine, reca la clausola di invarianza finanziaria.

PROPOSTA DI LEGGE

Art. 1.

(Finalità, principi e ambito di applicazione)

1. La presente legge, in conformità all'articolo 32 della Costituzione e alla legge 23 dicembre 1978, n. 833, ha la finalità di consentire la partecipazione dei pazienti nell'ambito delle decisioni valutative dei farmaci, in modo da comprendere e tenere in considerazione, nei relativi percorsi di valutazione, la percezione dello stato di salute in connessione alle terapie farmacologiche.

2. Il Ministero della salute e l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) favoriscono, nei rispettivi ambiti di competenza, il confronto con i pazienti per migliorare la comprensione dell'utilizzo quotidiano dei farmaci, al fine di favorire un impiego appropriato, sicuro e sostenibile dei farmaci stessi e una valutazione degli esiti per quanto concerne la qualità percepita, anche nell'ambito dell'analisi del rapporto tra i rischi e i benefici dei farmaci medesimi.

Art. 2.

(Definizioni)

1. Ai fini della presente legge, per « esiti riferiti dal paziente sul proprio stato di salute » si intende qualsiasi risultato valutato direttamente dal paziente stesso e basato sulla sua percezione di una malattia e del relativo trattamento o trattamenti.

Art. 3.

(Rappresentanza delle associazioni di pazienti nei comitati consultivi dell'Agenzia italiana del farmaco)

1. Nelle more della riorganizzazione dell'AIFA, di cui all'articolo 3 del decreto-legge 8 novembre 2022, n. 169, convertito, con modificazioni, dalla legge 16 dicembre

2022, n. 196, al fine di garantire la raccolta e l'impiego degli esiti riferiti dal paziente sul proprio stato di salute nel processo di valutazione dei farmaci, con regolamento adottato con decreto del Ministro della salute, da adottare entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, sono stabilite le norme per la convocazione e la partecipazione dei rappresentanti delle associazioni di pazienti nei comitati consultivi dell'AIFA.

Art. 4.

(Aggiornamento dei criteri per la compilazione del dossier a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale)

1. Con il medesimo decreto di cui all'articolo 3 si provvede all'aggiornamento dei criteri, stabiliti dal decreto del Ministro della salute 2 agosto 2019, pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* n. 184 del 24 luglio 2020, per la determinazione della documentazione da presentare all'AIFA da parte delle aziende farmaceutiche a supporto della domanda di rimborsabilità e prezzo di un medicinale, al fine di includervi gli esiti riferiti dal paziente sul proprio stato di salute.

2. Gli esiti riferiti dal paziente sul proprio stato di salute di cui al comma 1 sono raccolti in appositi questionari somministrati, a carico delle aziende farmaceutiche, ai pazienti medesimi.

Art. 5.

(Clausola di invarianza finanziaria)

1. All'attuazione delle disposizioni della presente legge si provvede mediante l'utilizzo delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente e senza nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica.

PAGINA BIANCA

PAGINA BIANCA



19PDL0047920