

T Servizio | **Oncologia**

Innovatività dei farmaci, il valore va misurato sulla base degli esiti clinici dei pazienti

Tra i nuovi criteri Aifa e l'implementazione del regolamento Health Technology Assessment di Ema: le proposte di un Gruppo di lavoro multidisciplinare

di Carmine Pinto *, Giuseppe Curigliano **, Giovanni Pappagallo ***

9 giugno 2026



Il riconoscimento dell'innovatività dei farmaci rappresenta uno degli strumenti centrali attraverso cui l'Agenzia italiana del farmaco (Aifa) orienta l'accesso precoce alle terapie, promuove il valore clinico e governa l'allocazione delle risorse pubbliche. Con la Determinazione n. 519 del 31 marzo 2017, l'Agenzia ha definito un modello di valutazione multidimensionale fondato su tre criteri cardine: bisogno terapeutico, valore terapeutico aggiunto e qualità delle prove.

Nel periodo 2017-2024, Aifa ha valutato oltre 160 indicazioni terapeutiche onco-ematologiche, riconoscendo l'innovatività piena nel 36% dei casi. L'analisi retrospettiva di queste decisioni evidenzia come il valore terapeutico aggiunto abbia rappresentato il principale determinante dell'esito valutativo, più ancora del bisogno terapeutico considerato isolatamente.

Valutazione dell'innovatività e nuovi criteri

In questo contesto, l'evoluzione recente dell'assetto istituzionale Aifa – con l'istituzione di una (unica) Commissione Scientifica ed Economica (Cse) e la pubblicazione di criteri aggiornati per il riconoscimento dell'innovatività – assieme all'implementazione dell'HTA Regulation a livello europeo, offrono l'opportunità di una riflessione critica e prospettica. In particolare, sui parametri utilizzati per definire il “vantaggio terapeutico aggiunto” in relazione agli endpoint non basati sulla sopravvivenza globale (Overall Survival, OS) nel trattamento delle neoplasie in fase iniziale.

Per analizzare tale ambito è stato costituito un Gruppo di lavoro multidisciplinare - comprendente esperti di clinica oncologica, metodologia della ricerca, procedure regolatorie ed economia sanitaria - al quale hanno partecipato, oltre gli Autori, anche Francesco De Lorenzo, Maria Carmela Piccirillo ed Entela Xoxi, nel contesto del Progetto “Oncology Early Asset Percorso di Consensus con metodologia NGT (Nominal Group Technique)”, con il contributo non condizionante di AstraZeneca.

Le proposte

Integrando le diverse prospettive disciplinari, il Gruppo di lavoro multidisciplinare ha raggiunto un consenso condiviso sui seguenti elementi di sintesi:

- Il valore di un trattamento deve essere misurato sulla base degli esiti clinici rilevanti per il paziente, indipendentemente dal grado di novità farmacologica del meccanismo sottostante.

- Negli ultimi anni strumenti di misura più sofisticati hanno ampliato il ventaglio di endpoint utilizzabili, molti dei quali sono patologia-specifici e informativi nelle fasi precoci della malattia.

- Tra questi rientrano, ad esempio: (i) la malattia minima residua valutata tramite biopsia liquida; (ii) la invasive disease-free survival nel tumore della mammella; (iii) la radiographic progression-free survival nel tumore della prostata.

- Tali endpoint seppur non validati come surrogati della sopravvivenza globale, hanno un impatto diretto sulle decisioni cliniche, sulla pianificazione dei trattamenti successivi e sull'organizzazione dei percorsi assistenziali.

- La quantificazione di questi parametri sulla strategia terapeutica complessiva, il loro impatto economico e sociale, rappresenta un'informazione di grande valore per supportare le decisioni della Cse in una logica di valutazione integrata.

- L'importanza della qualità della vita e degli esiti riportati dal paziente (Patient-Reported Outcomes, PROs), devono essere considerati componenti strutturali della valutazione del vantaggio terapeutico e non elementi accessori.

- La piena implementazione dell'HTA Regulation-Ema, con l'introduzione del Joint Clinical Assessment e la considerazione dei domini etici, sociali ed economici a livello nazionale, offre un'opportunità concreta per una valorizzazione sistematica di tali dimensioni.

** Direttore Oncologia Medica, Comprehensive Cancer Centre, Ausl-Irccs Reggio Emilia*

*** Dipartimento di Oncologia ed Emato-Oncologia, Università degli Studi di Milano;
Istituto Europeo di Oncologia, Irccs Milano*

**** Coordinatore scientifico Scuola di Metodologia della Ricerca Clinica, Irccs Sacro
Cuore Don Calabria, Negrar di Valpolicella*