

Settembre 2026



**25° Convegno**

**ESTRATTO**

**“Economia & Politica  
del Farmaco e delle  
Tecnologie Sanitarie”**

Promosso da



*Associazione Italiana  
di Economia Sanitaria*

Con il patrocinio di



Organizzazione Convegno



# Sommario

## **04** Prevenire la progressione naturale della malattia: il caso del Diabete di tipo 1 in STADIO 2

---

## **08** I nuovi criteri AIFA di innovatività dei farmaci

---



**Video Reportage**

# Prevenire la progressione naturale della malattia: il caso del DIABETE di TIPO 1 in STADIO 2

## KEY MESSAGE

- ▶ **Il diabete di tipo 1 (DMT1) è una patologia cronica autoimmune** caratterizzata dalla progressiva distruzione delle beta cellule del pancreas, con conseguente deficit di secrezione dell'insulina fino alla sua completa assenza. La carenza di questo ormone, essenziale per regolare la glicemia e consentire l'utilizzo del glucosio come fonte di energia da parte delle cellule, in particolare del sistema nervoso centrale, rende necessaria la terapia insulinica sostitutiva.
- ▶ **L'identificazione precoce dei soggetti, soprattutto in età pediatrica, a rischio di sviluppare il DMT1** riveste un'importante rilevanza clinica, in quanto consente di prevenire complicanze acute, migliorare la gestione della malattia e contribuire a preservare l'aspettativa e la qualità di vita.
- ▶ **Il principale indicatore del processo autoimmune che precede la comparsa dei sintomi** è rappresentato dalla presenza nel sangue di autoanticorpi diretti contro le beta cellule pancreatiche. La loro ricerca può essere effettuata mediante un prelievo di sangue capillare, generalmente ottenuto con una semplice puntura del polpastrello.
- ▶ **Con la Legge n. 130/2023, l'Italia è diventata la prima nazione al mondo a introdurre un programma nazionale di screening pediatrico gratuito finalizzato alla prevenzione e alla diagnosi precoce del diabete di tipo 1** (con ricerca degli autoanticorpi specifici) **e della celiachia** (con ricerca degli aplotipi specifici).
- ▶ **Nell'ambito di un approccio di medicina preventiva e proattiva**, la diagnosi nella fase pre-sintomatica consente di avviare un percorso assistenziale strutturato e a ritardare la progressione verso il DMT1 clinicamente manifesto mediante trattamento con teplizumab, anticorpo monoclonale immunomodulante.
- ▶ **Lo screening pediatrico e il trattamento farmacologico**, ritardando l'esordio del DMT1, generano benefici anche sotto il profilo economico-organizzativo per il SSN. In particolare, possono determinare una riduzione dei costi sanitari diretti, correlati a ricoveri ospedalieri, episodi di chetoacidosi diabetica e gestione delle complicanze.

L'identificazione precoce del diabete di tipo 1 (DMT1) sta inaugurando una nuova fase nel percorso di prevenzione e gestione della patologia. L'introduzione di programmi di screening in età pediatrica consente infatti di individuare i soggetti nelle fasi precliniche e di diagnosticare il DMT1 già allo stadio 2, prima della malattia conclamata. Questo nuovo paradigma offre l'opportunità di intervenire precocemente, con rilevanti benefici sul piano clinico, assistenziale e organizzativo.

La Professoressa **Raffaella Buzzetti** – Presidente SID [Società Italiana Diabetologia] e Direttore della UOD di Diabetologia dell'AOU Policlinico Umberto I di Roma – **precisa che ci troviamo davanti a un cambiamento di grande rilevanza: la possibilità di identificare, attraverso un semplice test ematico, gli autoanticorpi diretti contro le beta cellule pancreatiche, biomarcatori del processo autoimmune che precede di anni l'esordio clinico della malattia, favorendo una presa in carico tempestiva dei bambini a rischio.**

In caso di positività allo screening, il bambino viene preso in carico dal diabetologo pediatra, con il coinvolgimento della famiglia. La presenza di un singolo autoanticorpo richiede un monitoraggio nel tempo, generalmente in condizioni di normoglicemia, mediante valutazioni periodiche dei suoi livelli glicemici effettuate con test da carico orale di glucosio oppure, quando indicato, attraverso sistemi di monitoraggio continuo di tali valori. La presenza di due o più autoanticorpi, soprattutto se associata a una condizione di disglycemia, identifica invece un bambino a elevato rischio di progressione verso il diabete di tipo 1 clinicamente manifesto e richiede un monitoraggio più ravvicinato.

**A rendere ancora più significativo questo cambiamento è la disponibilità di una terapia in grado di modificare la storia naturale della malattia. Teplizumab**, un anticorpo monoclonale immunomodulante già approvato dalla FDA e dall'EMA e attualmente in valutazione da parte di AIFA, è già disponibile in Italia attraverso programmi di uso compassionevole. **Nei soggetti con diabete di tipo 1 in stadio 2 il trattamento è in grado di ritardare mediamente di almeno 2-3 anni, e in molti casi anche più a lungo, la progressione verso la fase clinica-**



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata 04' 41"

### **Diabete di tipo 1: screening pediatrico e teplizumab per ritardarne l'esordio** **Professoressa Raffaella Buzzetti**

L'identificazione precoce del diabete di tipo 1 sta aprendo una nuova fase nella gestione della malattia. Grazie allo screening e alla possibilità di riconoscere i soggetti nelle fasi precliniche, oggi è possibile individuare il diabete di tipo 1 già in stadio 2, prima della comparsa dei sintomi, con importanti implicazioni cliniche e organizzative. Ne parliamo con la Prof.ssa Raffaella Buzzetti, Presidente SID [Società Italiana Diabetologia] e Direttore della UOD di Diabetologia dell'AOU Policlinico Umberto I di Roma.

**mente manifesta della malattia**, con un potenziale beneficio nella prevenzione delle complicanze acute e nella preservazione della funzione residua delle beta cellule. Inoltre, la FDA ha recentemente esteso l'indicazione del farmaco ai pazienti di età compresa tra 8 e 17 anni con diabete di tipo 1 in stadio 3, sulla base delle evidenze che dimostrano la capacità del trattamento di preservare più a lungo la funzione beta cellulare anche dopo l'esordio clinico della malattia.

La Legge n. 130/2023 ha precisato il Dottor **Marco Silano** (Direttore Dipartimento Malattie Cardiovascolari, Endocrino-metaboliche e Invecchiamento, dell'Istituto Superiore di Sanità) ha introdotto – in Italia, primo paese al mondo – un programma di screening pediatrico gratuito finalizzato all'identificazione precoce dei soggetti a rischio di diabete di tipo 1 e di celiachia non ancora diagnosticate, con l'obiettivo di ridurre le complicanze associate a una diagnosi tardiva di entrambe le patologie.

**In particolare, per il diabete di tipo 1, lo screening mira a prevenire l'insorgenza della chetoacidosi diabetica, una complicanza acuta grave associata a elevata morbilità e a un significativo rischio per la vita del bambino. Per la celiachia, l'identificazione precoce permette l'avvio tempestivo della dieta priva di glutine, favorendo il controllo della malattia e la prevenzione delle complicanze extra-gastrointestinali.**

Al fine di valutare applicabilità, accettabilità e sostenibilità del programma nazionale di screening pediatrico all'interno del SSN è stato attivato il Progetto propedeutico "D1Ce Screen" realizzato nelle Regioni Campania, Lombardia, Marche e Sardegna.

**I risultati della sperimentazione hanno evidenziato un'ampia disponibilità a partecipare sia da parte delle famiglie sia dei pediatri di libera scelta, oltre a consentire l'identificazione dei bambini a rischio, successivamente presi in carico dai centri specialistici regionali per gli approfondimenti diagnostici e il follow-up. Inoltre, ha permesso di individuare i punti chiave da considerare per l'attuazione dello screening a livello nazionale.**



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata 03' 08"

### **Screening pediatrico per la diagnosi precoce del Diabete di tipo 1 e Celiachia**

#### **Dottor Marco Silano**

Con l'applicazione della Legge 130/2023 prende il via in Italia uno dei più importanti programmi di screening pediatrico mai realizzati nel nostro Paese. L'obiettivo è identificare precocemente il diabete di tipo 1 e la celiachia, aprendo nuove prospettive per la prevenzione e la presa in carico tempestiva. Ne parliamo con il Dottor Marco Silano (Direttore Dipartimento Malattie Cardiovascolari, Endocrino-metaboliche e Invecchiamento, dell'Istituto Superiore di Sanità).

Sulla base delle evidenze emerse dal progetto D1Ce Screen, il Decreto Ministeriale attuativo del programma nazionale di screening (rivolto alle fasce di età 2 e 5-7 anni per DMT1), è stato approvato dalla Conferenza Stato-Regioni il 26 febbraio 2026. Il provvedimento demanda alle singole Regioni la definizione delle modalità organizzative di attuazione del programma, prevedendo il coinvolgimento dei centri vaccinali e/o della rete dei pediatri di libera scelta, mentre le analisi dei campioni ematici saranno effettuate presso laboratori di riferimento individuati a livello regionale.

In Italia, il costo complessivo del diabete di tipo 1 (DMT1) è stimato in circa 2,2 miliardi di euro all'anno, comprendendo sia i costi sanitari diretti sostenuti dal Servizio Sanitario Nazionale, sia i costi indiretti e sociali che gravano sulle famiglie e sul sistema produttivo.

Il DMT1 precisa il Prof. **Andrea Marcellusi** (Dipartimento Scienze Farmaceutiche, della Università degli Studi di Milano) non è solo una sfida clinica, ma una priorità macroeconomica per il SSN. I costi sanitari diretti annui per paziente, correlati all'evoluzione della malattia e comprensivi di ricoveri ospedalieri, terapie farmacologiche, prestazioni specialistiche e assistenza sanitaria, sono stimati in 2.287 euro nello stadio 2; 5.231 euro nello stadio 3 e 7.085 euro nello stadio 4.

In questo contesto, assume un ruolo strategico per il nostro SSN la valutazione del beneficio clinico ed economico, derivante dal ritardo nell'esordio del DMT1. **Infatti, l'implementazione di programmi di screening e l'impiego di terapie in grado di rallentare la progressione della malattia possono determinare una significativa riduzione dei costi diretti sanitari, i cosiddetti costi evitati, relativi alla gestione delle complicanze acute, posticipando la necessità di interventi assistenziali più intensivi: benefici economici destinati a consolidarsi nel medio-lungo periodo.** Le risorse così liberate potrebbero essere riallocate verso interventi ad elevato valore aggiunto, quali l'innovazione terapeutica, il rafforzamento dei programmi di prevenzione e diagnosi precoce e il miglioramento dei percorsi assistenziali dedicati alle persone con diabete.



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata 03' 08"

### **Diabete di tipo 1: screening e terapia possono ridurre i costi per il SSN nel medio-lungo periodo**

**Prof. Andrea Marcellusi**

L'introduzione dello screening nazionale per il diabete di tipo 1 e la celiachia apre nuove prospettive non solo sul piano clinico, ma anche su quello economico e organizzativo. Valutare il burden della malattia nelle sue fasi precoci è fondamentale per comprendere il valore degli interventi di prevenzione e diagnosi anticipata per il Servizio Sanitario Nazionale. Ne parliamo con il Prof. Andrea Marcellusi (Dipartimento Scienze Farmaceutiche, dell'Università degli Studi di Milano).

# I nuovi criteri AIFA di innovatività dei farmaci

## KEY MESSAGE

- ▶ **Il riconoscimento dell'innovatività dei farmaci** rappresenta uno degli strumenti centrali attraverso cui AIFA orienta l'accesso precoce alle terapie, promuove il valore clinico e governa l'allocazione delle risorse pubbliche.
- ▶ **La Determinazione AIFA n. 519/2017 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: il valore terapeutico aggiunto ha rappresentato il principale determinante dell'esito valutativo.
- ▶ **I nuovi criteri (Determina Pres. AIFA n. 966/2025) rafforzano l'integrazione tra dimensione clinica, regolatoria ed economica**, consolidando un approccio esplicitamente value-based.
- ▶ **In tale quadro, il vantaggio terapeutico aggiunto** viene confermato come sintesi del beneficio clinico complessivo apportato dal nuovo trattamento rispetto alle alternative disponibili, in relazione al bisogno terapeutico.

Il dottor **Giovanni Pappagallo** (Coordinatore Scientifico della Scuola di Metodologia Ricerca Clinica, dell'IRCCS Sacro Cuore Don Calabria, Negrar di Valpolicella) ha sottolineato come **i nuovi criteri di innovatività si caratterizzano per una maggior attenzione alle esigenze cliniche.**

In particolare, il vantaggio terapeutico viene valutato rispetto alla migliore alternativa disponibile al momento della valutazione, mentre il bisogno terapeutico è definito sulla base delle opzioni effettivamente a disposizione dei clinici.

Inoltre, i nuovi criteri individuano con maggiore chiarezza gli ambiti di intervento che possono determinare il riconoscimento dell'innovatività, definendo con precisione i relativi parametri di beneficio e di danno da considerare nella valutazione.

Alla luce di questa nuova impostazione – ha precisato il dottor Pappagallo – i trial registrativi dovrebbero essere progettati con un focus sempre più orientato alla rilevanza clinica, oltre che alla significatività statistica. **Gli studi dovrebbero pertanto essere strutturati per valutare non soltanto l'endpoint primario di efficacia, ma anche endpoint clinicamente rilevanti, quali la tollerabilità, la qualità di vita, gli esiti riportati dal paziente e possibilmente l'impatto sui percorsi assistenziali e, più in generale, le ricadute sul sistema sanitario e sulla società.** Tale impostazione è coerente con una prospettiva di valutazione lungo l'intero ciclo di vita del farmaco e apre alla possibilità di rivalutazioni dinamiche del giudizio di innovatività alla luce di nuove evidenze.

**Nel complesso, i nuovi criteri rafforzano l'esigenza di una valutazione multidimensionale e contestualizzata del vantaggio terapeutico aggiunto,** offrendo l'opportunità di superare approcci rigidamente ancorati alla sola sopravvivenza globale e di valorizzare in modo più appropriato, soprattutto in oncologia, i trattamenti destinati alle fasi precoci della malattia.



### **I nuovi criteri di innovatività: Vantaggio Terapeutico Aggiunto e qualità delle Prove**

#### **Dottor Giovanni Pappagallo**

I nuovi criteri di innovatività attribuiscono un ruolo centrale al vantaggio terapeutico aggiunto e alla affidabilità delle evidenze cliniche. La combinazione di questi due elementi è destinata a incidere sempre più sulle decisioni regolatorie e di accesso alle terapie. Ne parliamo con il dottor Giovanni Pappagallo, Coordinatore Scientifico della Scuola di Metodologia Ricerca Clinica, dell'IRCCS Sacro Cuore Don Calabria, Negrar di Valpolicella]



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata 02' 41"

I nuovi criteri di innovatività dell'AIFA – ha indicato la dottoressa **Patrizia Popoli** (già Direttrice del Centro Nazionale Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità) – sono strettamente correlati alla valutazione clinica condotta a livello europeo nell'ambito della Joint Clinical Assessment (JCA).

**Entrambi i sistemi rispondono alla medesima domanda fondamentale: se un nuovo farmaco, indipendentemente dal suo meccanismo d'azione o dal grado di innovazione tecnologica, sia in grado di offrire un beneficio clinico superiore rispetto alle alternative terapeutiche già disponibili.**

Nella valutazione dell'innovatività un elemento strategico è rappresentato dall'analisi comparativa. I nuovi criteri introducono la definizione di cosa può essere considerato un comparatore; questa è una cosa senz'altro positiva che potrebbe tuttavia essere ulteriormente affinata, prevedendo una sorta di gerarchia in grado di guidare l'applicazione nei diversi contesti clinici. Al contrario, i parametri relativi alla qualità di vita risultano descritti in modo molto dettagliato, con il rischio di rendere più complessa la valutazione. Si tratta, comunque, di aspetti di carattere secondario che non alterano la coerenza dell'impianto complessivo dei nuovi criteri, la cui validità – come avvenuto per quelli del 2017 – dovrà essere confermata attraverso la loro applicazione nella pratica valutativa.

**I fondi dedicati ai farmaci innovativi rappresentano uno strumento fondamentale per coniugare il rapido accesso alle terapie innovative con la sostenibilità del Servizio Sanitario Nazionale, consentendo la tempestiva disponibilità di questi trattamenti per i pazienti che ne hanno indicazione (come previsto dalla legge istitutiva del 2016).**

La valutazione dell'innovatività resta, tuttavia, un processo complesso, che richiede una corretta stima del valore clinico del farmaco e una sua coerente valorizzazione economica.

**Tale processo deve fondarsi sulle migliori evidenze scientifiche disponibili, sulla quantificazione del vantaggio terapeutico aggiunto e sull'adozione di modelli di determinazione del prezzo basati sul valore, in grado di allineare il costo del trattamento ai benefici clinici effettivamente prodotti.**



**CLICCA E GUARDA IL VIDEO**

Durata 05' 16"

### **I nuovi criteri di innovatività sono in grado di valutare il valore clinico dei farmaci?**

#### **Dottoressa Patrizia Popoli**

La valutazione dell'innovatività rappresenta uno snodo fondamentale per garantire ai pazienti un accesso rapido alle terapie realmente in grado di modificare la storia naturale delle malattie. Un tema che richiede equilibrio tra rigore scientifico, sostenibilità ed equità. Ne parliamo con la dottoressa Patrizia Popoli, già Direttrice del Centro Nazionale Ricerca e Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci dell'Istituto Superiore di Sanità.

## NEOPLASIE IN FASE INIZIALE: ANALISI “VANTAGGIO TERAPEUTICO AGGIUNTO”

Un Gruppo di lavoro multidisciplinare (comprendente esperti di Clinica oncologica, Metodologia della ricerca, Procedure regolatorie ed Economia sanitaria) ha approfondito nell'ambito dei nuovi criteri di innovatività i 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. I lavori sono stati condotti mediante la Tecnica dei Gruppi Nominali (Nominal Group Technique, NGT), una metodologia codificata e validata per la raccolta sistematica delle opinioni in contesti decisionali complessi, che consente di valorizzare in modo equilibrato il contributo di competenze eterogenee ed è particolarmente indicata per processi di consultazione multi-stakeholder, come quelli che caratterizzano la valutazione del valore terapeutico e dell'innovatività dei farmaci.

[Link per consultare  
la pubblicazione integrale](#)

Vantaggio terapeutico aggiunto e ruolo degli  
endpoint non basati sulla sopravvivenza globale  
nella valutazione dell'innovatività dei farmaci  
oncologici nelle fasi precoci di malattia

Carmine Pinto, Giuseppe Curigliano, Francesco De Lorenzo,  
Maria Carmela Piccirillo, Entela Xoxi, Giovanni Pappagallo

Economia  
Politica e delle  
Tecnologie  
del Farmaco sanitario

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 d'azione 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.

Il Convegno è stato realizzato con il contributo non condizionante di:

*Platinum Sponsors*



*Gold Sponsors*



*Silver Sponsors*



**PHARMASTAR**

[www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it)

Registrazione al Tribunale di Milano

n° 516 del 6 settembre 2007

**EDITORE**

MedicalStar

Via San Gregorio, 12 - 20124 Milano

[info@medicalstar.it](mailto:info@medicalstar.it) - [www.medicalstar.it](http://www.medicalstar.it)

**AVVERTENZE PER I LETTORI**

Nessuna parte di questa pubblicazione può essere copiata o riprodotta anche parzialmente senza l'autorizzazione dell'Editore.

L'Editore declina ogni responsabilità derivanti da errori od omissioni in merito a dosaggio o impiego di medicinali o dispositivi medici eventualmente citati negli articoli e invita il lettore a controllare personalmente l'esattezza delle informazioni, facendo riferimento alla bibliografia relativa.

**DIRETTORE RESPONSABILE**

Danilo Magliano

**INTERVISTE**

Alessandra Flavetta

**VIDEOMAKER**

Dante Daurelio

**PROGETTO E GRAFICA**

Francesca Bezzan - [www.franbe.it](http://www.franbe.it)