

Milano, 21/03/2025

**Consultazione pubblica sul documento**  
**“CRITERI DI VALUTAZIONE PER L’ATTRIBUZIONE**  
**DELL’INNOVATIVITÀ TERAPEUTICA E SULLA**  
**GESTIONE DEGLI AGENTI ANTINFETTIVI**  
**PER INFEZIONI DA GERMI MULTIRESISTENTI “**

**EUROPA DONNA ITALIA**

Europa Donna Italia è un’associazione di promozione sociale, indipendente e senza scopo di lucro; a far data dal 16 novembre 2018 è iscritta nel registro delle Associazioni riconosciute della Prefettura di Milano. È la sede nazionale di Europa Donna Breast Cancer Coalition, movimento di respiro internazionale che rappresenta presso le istituzioni pubbliche i diritti delle donne nella prevenzione e cura del tumore al seno. Fondata nel 1994 a Milano su intuizione dell’oncologo Umberto Veronesi e iniziativa della European School of Oncology, Europa Donna è oggi presente in 47 Paesi. Con l’obiettivo di rispondere efficacemente alle esigenze delle donne prima, durante e dopo la malattia, Europa Donna svolge un’opera di sensibilizzazione sul tumore al seno, proponendosi come il principale movimento di opinione sul tema. L’impegno di Europa Donna Italia si concretizza in tre macroaree; sensibilizzazione, prevenzione e cura.

La nostra coalizione comprende:

- 47 Stati Membri in Europa
- 186 associazioni della rete italiana
- 10 delegazioni regionali

Dal 2019 analizziamo il Valore Sociale che le associazioni di volontariato in senologia portano al Paese. Alcuni dati dell’analisi del 2023\*:

- 9.898.521€ Fondi raccolti
- 5.856 volontari delle associazioni
- 6.297 forza lavoro delle associazioni
- 30.078 pazienti assistite

**EUROPA DONNA ITALIA**

Sede operativa e legale: Via Conservatorio, 15 - 20122 Milano

Tel. 02 36709790 - [www.europadonna.it](http://www.europadonna.it), [segreteria@europadonna.it](mailto:segreteria@europadonna.it)

C.F. 97560520153 – P.IVA 07862560963 - [europa.donna@pec.it](mailto:europa.donna@pec.it) - Codice univoco M5UXCR1

## CRITERI DI VALUTAZIONE PER L'ATTRIBUZIONE DELL'INNOVATIVITÀ TERAPEUTICA

### Il nostro punto di vista

In merito al documento “*Criteri di valutazione per l’attribuzione dell’innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti*” vorremo indicare due punti per noi importanti:

- 1- Nel documento viene considerato il concetto del **criterio dell’innovatività terapeutica** limitatamente a quelle specifiche malattie o condizioni patologiche gravi a medio-basso impatto epidemiologico.

Di fatto, se ben interpretato, i criteri non prendono in considerazione come patologia quella del tumore al seno che è ad alta prevalenza, essendo la forma tumorale maggiormente diagnosticata nelle donne (nel 2024 sono stimate circa 53.686 nuove in base al valore riportato ne “I Numeri del cancro in Italia 2024”).

Ci preme sottolineare che l’elevato numero dei pazienti potenzialmente eleggibili **non garantisce**, come affermato nel documento, “...di per sé un sufficiente riconoscimento del valore terapeutico del medicinale”: in alcune circostanze, infatti, alcuni farmaci per la cura di specifiche tipologie di tumore al seno, che riguardano una percentuale minore di donne, **sono stati approvati ed erogati alle pazienti con difficoltà e/o limitazioni e con tempi di attesa importanti.**

Riteniamo quindi che il **BISOGNO TERAPEUTICO debba essere considerato indipendentemente dalla prevalenza della patologia**, ma in considerazione della capacità di un farmaco di determinare la guarigione, di rallentare la progressione della malattia o di migliorare la qualità della vita dei pazienti relativamente alle dimensioni della capacità di movimento e di cura della persona, così come indicato nel documento; **campo, quest’ultimo, applicabile a molte patologie oncologiche** per le quali la progressione di malattia o la metastatizzazione in sede celebrale o ossea, ad esempio, limitano fortemente l’autonomia e la qualità di vita della persona e della famiglia

- 2- In merito al concetto di **VANTAGGIO TERAPEUTICO AGGIUNTO**, fatte salve le considerazioni di merito relativamente al criterio con il quale viene definito, ovvero *influenzato fortemente dal giudizio relativo alla qualità delle prove prodotte a supporto delle evidenze cliniche, in particolare dalla qualità, affidabilità e riproducibilità dei*

**EUROPA DONNA ITALIA**

Sede operativa e legale: Via Conservatorio, 15 - 20122 Milano

Tel. 02 36709790 - [www.europadonna.it](http://www.europadonna.it), [segreteria@europadonna.it](mailto:segreteria@europadonna.it)

C.F. 97560520153 – P.IVA 07862560963 - [europa.donna@pec.it](mailto:europa.donna@pec.it) - Codice univoco M5UXCR1

*risultati ottenuti nelle sperimentazioni cliniche*, ci preme sottolineare che **non tiene in considerazione un endpoint fondamentale** per tutti i pazienti oncologici relativo alla **qualità di vita**.

Sta crescendo, infatti, nella comunità scientifica la consapevolezza **dell'importanza di dare spazio alla valutazione della qualità di vita del paziente e ai PROs (esiti riferiti dal paziente)** non solo nella pratica clinica, ma anche negli studi clinici e a seguire quindi nei criteri di valutazione per l'approvazione di un farmaco, al fine di rendere l'aderenza alle cure un elemento centrale nella valutazione dello stesso. L'aderenza infatti è un fattore determinante nel percorso terapeutico, soprattutto quando gli effetti collaterali sono molto pesanti e richiedono interventi complementari per sostenere la loro efficacia. Questo tema riguarda tutti i pazienti oncologici, ma soprattutto quelli metastatici che sono sottoposti a cure continuative e, spesso, da lungo tempo con conseguenze importanti sulla condizione psico-fisica.

Per quanto riguarda l'impiego dei PROs nella pratica clinica, negli scorsi anni sono stati pubblicati i risultati di vari studi randomizzati: nello specifico i pazienti erano stati randomizzati a ricevere o la sola visita tradizionale o l'approccio tradizionale integrato con l'impiego di strumenti che prevedono la possibilità per il paziente di registrare in tempo reale, tramite la risposta a questionari, alcuni sintomi di tossicità. Uno di questi studi, presentato ad ASCO 2017, portato avanti dal Memorial Sloan Kettering Cancer Center di New York, ha dimostrato che i pazienti sottoposti all'approccio integrato avevano ottenuto **un miglioramento significativo della qualità di vita, dell'aderenza al trattamento, della riduzione degli accessi in pronto soccorso e delle ospedalizzazioni e anche un prolungamento dell'aspettativa di vita**. Questo stesso approccio deve essere implementato anche negli studi clinici e le stesse società scientifiche di riferimento per l'ambito oncologico lo stanno sostenendo.

Considerare la **qualità di vita dei pazienti** nel valutare il vantaggio terapeutico di un farmaco **non è una questione di bassa rilevanza**.

Un farmaco che non tiene in considerazione la qualità di vita di un paziente, infatti, spesso ha un forte impatto: **sull'aderenza alla cura**, sul numero di **accessi aggiuntivi** di una paziente in ospedale, **sulla tossicità finanziaria** al quale una paziente è sottoposta, oltre a quella specifica della terapia, perché legata a spostamenti evitabili, farmaci a compensazione degli effetti collaterali evitabili, sullo **stato di salute** psico-fisico del malato.

La qualità di vita deve essere considerata considerando diversi fattori.

Dal nostro punto di vista, quindi, un farmaco ha un vantaggio terapeutico aggiunto se:

- **ha una formulazione facile da gestire:** un farmaco orale, ad esempio, non costringe un paziente a recarsi in ospedale settimanalmente o con una certa periodicità, non lo costringe a giorni di day hospital o ricoveri;
- **ha effetti collaterali gestibili,** che non vanno a impattare sulla vita quotidiana del malato: fatigue, neuropatie periferiche, implicazioni gastrointestinali importanti, alterazioni della memoria;
- **permette a una paziente di continuare a svolgere le proprie attività quotidiane** quali lavoro, accudimento della famiglia, dei genitori...;
- **non impatta sulla sfera psicologica, familiare** che sono a loro volta causa di scarsa aderenza.

Inserire la qualità di vita come elemento di valutazione del vantaggio terapeutico aggiunto, **non deve essere considerato un costo** ma un risparmio per il nostro SSN per i motivi sopra riportati.

Ci auguriamo, come associazione pazienti che fa riferimento alla patologia oncologica con numero maggiore di diagnosi annuali tra le donne, e non solo, che questi nuovi criteri di innovatività, con la soglia di prevalenza come requisito di accesso al fondo e bisogno terapeutico almeno “importante” tenga in giusto conto l’equilibrio tra sostenibilità economica, reale valore dell’innovazione e real life del paziente nel suo quotidiano. Sostenibilità economica che, con un investimento in ambito di ricerca e di approccio gestionale ai pazienti, potrebbe essere migliorata dando proprio spazio e valore alla qualità di vita come outcome.

In fede  
Europa Donna Italia

*\*Indagine PWC 2023*

**EUROPA DONNA ITALIA**

Sede operativa e legale: Via Conservatorio, 15 - 20122 Milano

Tel. 02 36709790 - [www.europadonna.it](http://www.europadonna.it), [segreteria@europadonna.it](mailto:segreteria@europadonna.it)

C.F. 97560520153 – P.IVA 07862560963 - [europa.donna@pec.it](mailto:europa.donna@pec.it) - Codice univoco M5UXCR1