

UNIVERSITÀ DEGLI STUDI DEL PIEMONTE ORIENTALE
“AMEDEO AVOGADRO”

DIPARTIMENTO DI SCIENZE DEL FARMACO

Corso di Laurea Magistrale in Farmacia

TESI DI LAUREA

Processi di Pricing & Reimbursement dei medicinali in Europa: analisi comparativa degli assetti organizzativi e di governance in Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra

Relatore

Prof. Claudio Jommi



Firmato digitalmente da Claudio Jommi
Data: 05.10.2026 18:41:52 CEST
Organizzazione: UNIVERSITA' DEGLI
STUDI DEL PIEMONTE
ORIENTALE/01943490027

Candidato

Emanuela Vacari

Anno Accademico 2025/2026
Sessione Autunnale

LISTA DELLE ABBREVIAZIONI

AEMPS – Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios

AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco

AMNOG – Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz

BIA – Budget Impact Analysis

CEESP – Commission d'évaluation économique et de santé publique

CEPS – Comité économique des produits de santé

CIPM – Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

CSE – Commissione Scientifica ed Economica del Farmaco

CT – Commission de la Transparence

G-BA – Gemeinsamer Bundesausschuss

GKV-SV – GKV-Spitzenverband

HAS – Haute Autorité de Santé

HTA – Health Technology Assessment

ICER – Incremental Cost-Effectiveness Ratio

IPT – Informe de Posicionamiento Terapéutico

IQWiG – Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

JCA – Joint Clinical Assessment

NHS – National Health Service

NICE – National Institute for Health and Care Excellence

P&R – Pricing & Reimbursement

QALY – Quality-Adjusted Life Year

VBP – Value-Based Pricing

VPAG – Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing, Access and Growth

VTa – Valore Terapeutico Aggiunto

INDICE

INTRODUZIONE	1
CAPITOLO 1 – I PROCESSI DI P&R: QUADRO DI RIFERIMENTO	6
1.1 P&R e accesso ai farmaci	6
1.2 Il valore del farmaco e il VBP	9
1.3 Il VTA	10
1.4 Valutazione economica: costo-efficacia, ICER, QALY e impatto sul budget	11
1.5 Dal valore alla determinazione del prezzo e del rimborso	12
CAPITOLO 2 -METODOLOGIA	14
2.1 Ricerca bibliografica e fonti documentali	14
2.2 Criteri e dimensione dell'analisi comparativa	15
2.3 Griglia metodologica	16
CAPITOLO 3 – I PROCESSI DI P&R NEI PAESI ANALIZZATI	18
3.1 Italia	18
3.2 Francia	28
3.3 Germania	36
3.4 Spagna	44
3.5 Inghilterra	52
CAPITOLO 4 – ANALISI COMPARATIVA DEGLI ASSETTI ORGANIZZATIVI E DI GOVERNANCE	61
4.1 Impostazione dell'analisi comparativa	61
4.2 Differenze nell'architettura istituzionale dei processi di P&R	66
4.3 Composizione degli organismi e professionalità rappresentate	67
4.4 Regole decisionali, quorum e modalità di deliberazione	69
4.5 Esperti esterni, pazienti e altri stakeholder	71
4.6 Gestione dei conflitti di interesse e indipendenza della valutazione	72
4.7 Sintesi comparativa dei modelli di governance	73
CONCLUSIONI	75
BIBLIOGRAFIA	80
SITOGRAFIA	85

INTRODUZIONE

L'accesso ai farmaci rappresenta una componente essenziale delle politiche sanitarie e costituisce una delle principali sfide per i sistemi sanitari pubblici, chiamati a garantire ai pazienti la disponibilità di trattamenti efficaci e innovativi e, al contempo, a preservare la sostenibilità della spesa farmaceutica. In tale contesto, i processi di **Pricing & Reimbursement (P&R)** assumono particolare rilevanza, in quanto attraverso di essi vengono definite le condizioni di prezzo, rimborsabilità e accesso dei medicinali a carico dei sistemi sanitari.

L'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale e la decisione relativa al suo finanziamento pubblico costituiscono infatti momenti distinti. Alla valutazione del profilo beneficio-rischio necessaria per l'autorizzazione segue, nei diversi sistemi nazionali, un processo finalizzato a stabilire se il medicinale debba essere rimborsato e a quali condizioni. Tale processo può comprendere la valutazione del beneficio terapeutico rispetto alle alternative disponibili, l'analisi delle evidenze cliniche, la valutazione economica, la considerazione del bisogno terapeutico e dell'impatto sulla spesa, nonché una successiva fase di determinazione o negoziazione del prezzo.

La **scelta dell'argomento** nasce dall'interesse per comprendere come sistemi sanitari che condividono l'obiettivo di garantire l'accesso ai medicinali in condizioni di sostenibilità possano adottare assetti istituzionali e processi decisionali differenti per la valutazione, la determinazione del prezzo e la rimborsabilità dei farmaci. In particolare, l'attenzione è stata rivolta non soltanto ai criteri utilizzati per attribuire valore a un nuovo medicinale, ma anche alle modalità attraverso cui le decisioni vengono concretamente organizzate e assunte. La composizione degli organismi competenti, le professionalità rappresentate, le modalità di nomina dei componenti, le regole decisionali, il ricorso a competenze esterne e la gestione dei conflitti di interesse costituiscono infatti elementi che possono contribuire a caratterizzare il funzionamento dei diversi sistemi di P&R. L'analisi comparativa di tali aspetti consente quindi di approfondire una dimensione organizzativa che deve essere interpretata congiuntamente ai criteri clinici ed economici utilizzati nella valutazione dei medicinali.

Nonostante la presenza di problematiche comuni, i Paesi europei hanno sviluppato modelli differenti di valutazione e di definizione delle condizioni di prezzo e rimborso. Le differenze non riguardano esclusivamente i criteri attraverso cui viene attribuito un

valore al medicinale, ma interessano anche l'**assetto organizzativo e istituzionale** del processo decisionale. La valutazione scientifica, quella economica, la negoziazione del prezzo e la decisione finale di rimborsabilità possono essere attribuite a organismi differenti, con composizioni, competenze e modalità decisionali proprie.

La presente tesi ha l'obiettivo di analizzare in prospettiva comparativa i processi di P&R dei farmaci in **Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra**, con particolare attenzione agli aspetti organizzativi e di governance degli organismi coinvolti. La finalità del confronto non consiste nell'individuazione di un modello organizzativo preferibile, ma nella ricostruzione sistematica delle caratteristiche dei diversi sistemi e nell'identificazione delle principali analogie e differenze relative alla struttura e al funzionamento degli organismi che partecipano ai processi decisionali.

La delimitazione geografica dell'analisi ai cinque Paesi considerati permette di confrontare sistemi caratterizzati da differenti modalità di organizzazione delle attività di valutazione, negoziazione e decisione. Il confronto viene condotto considerando le specificità istituzionali di ciascun sistema ed evitando di assumere una piena equivalenza tra organismi che, pur intervenendo nell'ambito del P&R, possono esercitare funzioni differenti.

La scelta di adottare una prospettiva comparativa deriva infatti dalla necessità di considerare gli aspetti organizzativi all'interno del contesto nel quale essi operano. Il confronto diretto tra singole commissioni o organismi può risultare fuorviante qualora non si tenga conto delle differenti funzioni loro attribuite nei rispettivi sistemi nazionali. Un organismo responsabile della valutazione del beneficio terapeutico non è necessariamente comparabile, sotto il profilo funzionale, con un organismo incaricato della negoziazione del prezzo o della decisione finale di rimborso. Per questa ragione, l'analisi degli aspetti organizzativi è preceduta dalla ricostruzione del **processo complessivo di P&R** in ciascuno dei Paesi considerati.

Dal punto di vista metodologico, il lavoro si configura come una **tesi di ricerca bibliografica e documentale**. La ricostruzione dei processi nazionali e delle caratteristiche degli organismi coinvolti si basa sull'analisi della letteratura scientifica e della documentazione istituzionale disponibile. Particolare rilevanza è attribuita alle fonti primarie e ufficiali, quali disposizioni normative, regolamenti, documenti metodologici e procedurali e informazioni pubblicate dalle autorità e dagli organismi competenti nei rispettivi sistemi nazionali. La letteratura scientifica viene utilizzata sia per

l'inquadramento teorico sia per supportare l'interpretazione e il confronto dei differenti modelli di P&R.

Un riferimento per l'impostazione dell'analisi comparativa è rappresentato dal documento *Archetipi per la valutazione e negoziazione del prezzo dei farmaci*, elaborato nell'ambito di ISPOR Italy – Rome Chapter (2025), che analizza differenti modalità di valutazione e negoziazione del prezzo dei farmaci attraverso una prospettiva internazionale. A partire da tale impostazione, l'analisi condotta nella presente tesi approfondisce in particolare la dimensione **organizzativa e di governance** dei processi decisionali.

Al fine di garantire la maggiore omogeneità possibile nella raccolta delle informazioni relative ai diversi Paesi, è stata definita una **griglia comune di analisi**. In primo luogo, per ciascun sistema vengono individuati gli organismi che intervengono nelle principali fasi del processo e le rispettive funzioni, distinguendo, ove applicabile, tra valutazione clinica e/o economica, determinazione del valore terapeutico, negoziazione o determinazione del prezzo e decisione relativa alla rimborsabilità.

Per gli organismi individuati vengono successivamente analizzate alcune dimensioni organizzative comuni. In particolare, il confronto considera il **numero dei componenti**, le **professionalità e competenze rappresentate**, la **provenienza istituzionale**, le **modalità di nomina**, la **durata dell'incarico** e l'eventuale possibilità di rinnovo. La distinzione tra modalità di nomina e professionalità rappresentate assume particolare importanza, poiché la provenienza istituzionale dei componenti non consente, da sola, di descrivere l'insieme delle competenze professionali presenti all'interno dell'organismo.

Una specifica area di approfondimento riguarda inoltre il **processo decisionale interno**. Ove le informazioni siano disponibili, vengono analizzati il quorum necessario per la validità delle decisioni, la maggioranza richiesta per la loro approvazione e le modalità attraverso cui viene espresso il voto. Tali elementi consentono di integrare la descrizione formale della composizione degli organismi con un'analisi delle regole attraverso cui essi giungono concretamente alle proprie determinazioni.

Un ulteriore ambito di confronto è costituito dal **coinvolgimento di esperti esterni**. L'analisi considera se tale possibilità sia prevista nei diversi sistemi, in quali circostanze e per quali ragioni gli esperti possano essere coinvolti, secondo quali modalità vengano individuati e su quali aspetti della valutazione siano chiamati a fornire il proprio contributo. A questo tema è strettamente collegata l'analisi della gestione dei **conflitti di**

interesse, considerata sia con riferimento ai componenti permanenti degli organismi sia, quando applicabile, agli esperti esterni. Viene inoltre presa in esame l'eventuale partecipazione formalizzata di pazienti, cittadini o altri stakeholder.

L'utilizzo di una griglia comune non implica che tutte le variabili siano presenti o direttamente confrontabili nei cinque sistemi. Le differenze istituzionali possono infatti determinare la presenza di organismi con funzioni non perfettamente sovrapponibili o l'assenza di alcune caratteristiche organizzative. In tali casi, l'analisi mira a preservare le specificità nazionali evitando di attribuire artificialmente equivalenza a istituzioni che occupano posizioni differenti nel processo di P&R. Il **ruolo funzionale** dell'organismo all'interno del processo rappresenta pertanto il punto di partenza del confronto.

Il lavoro è articolato in quattro capitoli. Il **primo** capitolo presenta il quadro concettuale di riferimento, approfondendo il rapporto tra valore del farmaco e Pricing & Reimbursement, il concetto di Value-Based Pricing, il Valore Terapeutico Aggiunto e il ruolo della valutazione economica nel processo di determinazione delle condizioni di prezzo e rimborso. Tale inquadramento è funzionale alla comprensione dei differenti modelli adottati nei Paesi successivamente analizzati.

Il **secondo** capitolo descrive la metodologia adottata per la ricerca bibliografica e documentale e per l'analisi comparativa. Vengono illustrate le fonti utilizzate, i criteri di selezione delle informazioni, il criterio funzionale adottato per il confronto tra i cinque Paesi e la griglia metodologica predisposta per rendere omogenea la raccolta e la classificazione delle informazioni relative agli organismi e ai processi di P&R.

Il **terzo** capitolo è dedicato alla descrizione dei processi di P&R in Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra. Per ciascun Paese vengono ricostruiti, secondo uno schema il più possibile omogeneo, gli organismi coinvolti, le principali fasi della valutazione, il ruolo attribuito alla valutazione clinica ed economica e il percorso che conduce alla determinazione o negoziazione del prezzo e alla decisione relativa alla rimborsabilità. La ricostruzione del processo complessivo consente di collocare correttamente ciascun organismo all'interno del rispettivo sistema nazionale e costituisce il presupposto per il successivo confronto organizzativo.

Il **quarto** capitolo sviluppa l'analisi comparativa degli aspetti organizzativi e di governance. Le informazioni raccolte attraverso la griglia comune vengono sistematizzate e confrontate con particolare riferimento alla composizione degli organismi, alle professionalità rappresentate, alle modalità di nomina e alla durata degli incarichi, alle

regole decisionali e alle maggioranze richieste, al coinvolgimento di esperti esterni, alla gestione dei conflitti di interesse e alle eventuali forme di partecipazione degli stakeholder. I risultati vengono inoltre sintetizzati in una tabella comparativa, finalizzata a rendere immediatamente identificabili le principali analogie e differenze tra i sistemi considerati.

Le **conclusioni** riprendono i principali risultati emersi dalla ricerca, evidenziando le differenze riscontrate nella configurazione dei processi di P&R e negli assetti organizzativi degli organismi analizzati, nonché i principali limiti dell'analisi, con particolare riferimento alla diversa disponibilità e comparabilità delle informazioni nelle fonti consultate.

CAPITOLO 1

I PROCESSI DI P&R: QUADRO DI RIFERIMENTO

1.1 P&R e accesso ai farmaci

L'introduzione di un nuovo medicinale nella pratica clinica è il risultato di un percorso articolato, nel quale l'autorizzazione all'immissione in commercio e la successiva definizione delle condizioni di accesso e finanziamento da parte del sistema sanitario rappresentano momenti distinti. L'autorizzazione consente la commercializzazione del medicinale sulla base della valutazione del suo profilo beneficio-rischio, ma non determina automaticamente la sua rimborsabilità da parte del sistema sanitario né le condizioni economiche alle quali esso sarà reso disponibile.

È in questo secondo ambito che si collocano i processi di **P&R**, attraverso i quali vengono definite le condizioni di prezzo, rimborso e accesso dei medicinali. Tali processi assumono particolare rilevanza nei sistemi sanitari pubblici, chiamati a conciliare obiettivi potenzialmente differenti: garantire ai pazienti l'accesso a trattamenti efficaci e innovativi, riconoscere adeguatamente il valore generato dalle nuove tecnologie e preservare, al tempo stesso, la sostenibilità della spesa sanitaria e farmaceutica.

Il P&R non può quindi essere interpretato esclusivamente come un processo amministrativo finalizzato alla determinazione di un prezzo. Esso si colloca all'intersezione tra valutazione clinica, valutazione economica e decisione istituzionale. A seconda del sistema considerato, le condizioni di prezzo e rimborso possono essere influenzate dal beneficio clinico prodotto dal nuovo trattamento rispetto alle alternative disponibili, dalla qualità delle evidenze, dal bisogno terapeutico, dalla presenza di alternative, dall'impatto economico e da ulteriori elementi ritenuti rilevanti ai fini della decisione.

In tale prospettiva assume particolare importanza l'**Health Technology Assessment (HTA)**, inteso come processo multidisciplinare di valutazione delle tecnologie sanitarie volto a supportare le decisioni attraverso l'analisi sistematica delle evidenze disponibili. Nell'ambito dei medicinali, la valutazione può interessare dimensioni cliniche ed economiche e può assumere caratteristiche differenti a seconda dell'assetto istituzionale del Paese.

Le differenze tra i sistemi di P&R non riguardano quindi soltanto i criteri attraverso i quali viene valutato un medicinale, ma anche il modo in cui tale valutazione viene inserita

nel processo decisionale. La valutazione scientifica, quella economica, la negoziazione del prezzo e la decisione relativa alla rimborsabilità possono essere attribuite a soggetti differenti oppure, in alcuni sistemi, essere maggiormente integrate.

Per comprendere tali differenze è necessario partire dal concetto di **valore del farmaco** e dalle modalità attraverso cui il valore viene valutato e successivamente collegato alle decisioni di prezzo e rimborso.

1.1.1 HTA e supporto alla decisione

L'HTA costituisce il quadro entro il quale le evidenze prodotte sul medicinale vengono organizzate e interpretate a supporto delle decisioni sanitarie. Secondo la definizione adottata dall'Organizzazione Mondiale della Sanità, l'HTA è un processo multidisciplinare che utilizza metodi espliciti per determinare il valore di una tecnologia sanitaria nelle diverse fasi del suo ciclo di vita, con la finalità di informare decisioni orientate a un sistema sanitario equo, efficiente e di qualità (WHO, 2025). Ne deriva che l'HTA non coincide con una singola analisi, né con la sola valutazione economica: può includere dimensioni cliniche, economiche, organizzative, sociali ed etiche, selezionate in funzione della tecnologia e del contesto decisionale.

Nel caso dei medicinali, questa impostazione consente di distinguere il giudizio regolatorio sul rapporto beneficio-rischio dalla successiva valutazione del valore per il sistema sanitario. L'autorizzazione all'immissione in commercio risponde principalmente alla domanda se il medicinale presenti requisiti adeguati di qualità, sicurezza ed efficacia; l'HTA, invece, colloca le evidenze in una prospettiva comparativa e decisionale, considerando il nuovo trattamento rispetto alle alternative rilevanti e alle esigenze del sistema che deve finanziarlo. La valutazione può quindi interrogarsi non soltanto sull'efficacia del prodotto, ma anche sull'entità del beneficio incrementale, sulla qualità e trasferibilità delle evidenze, sui costi e sulle conseguenze organizzative della sua introduzione.

La natura multidisciplinare dell'HTA è particolarmente rilevante per la presente ricerca. Il passaggio dalle evidenze alla decisione richiede infatti l'interazione di competenze differenti e non può essere ricondotto esclusivamente alla metodologia di valutazione utilizzata. La struttura dell'organismo, le professionalità che partecipano alla valutazione, il ruolo degli esperti esterni e le regole attraverso cui si forma la decisione possono incidere sul modo in cui le diverse dimensioni del valore vengono considerate. L'HTA

rappresenta quindi anche un punto di raccordo tra il quadro teorico del valore e l'analisi organizzativa sviluppata nei capitoli successivi.

1.1.2 Assessment, appraisal e decisione

Ai fini del confronto internazionale è utile distinguere, sul piano concettuale, la produzione e analisi delle evidenze dalla loro valutazione ai fini della decisione. Con il termine assessment si può fare riferimento alla fase prevalentemente tecnico-scientifica di raccolta, analisi e sintesi delle evidenze rilevanti; l'appraisal riguarda invece il momento nel quale tali evidenze vengono considerate nel contesto decisionale, insieme ai criteri e ai giudizi previsti dal sistema. La decisione finale di prezzo, rimborso o accesso costituisce un ulteriore passaggio, che può essere attribuito allo stesso organismo oppure a soggetti istituzionali differenti.

La distinzione è analitica e non implica che tutti i sistemi adottino formalmente la stessa terminologia o separino rigidamente le tre funzioni. Proprio la diversa distribuzione di assessment, appraisal e decisione rappresenta una delle variabili che caratterizzano i modelli nazionali. Un organismo può svolgere direttamente una parte dell'analisi tecnica, avvalersi di strutture istruttorie o di soggetti esterni e successivamente formulare un parere; in altri casi la valutazione scientifica e la decisione possono essere affidate a istituzioni differenti. Per questo motivo, nel confronto tra Paesi, l'equivalenza non può essere stabilita sulla sola denominazione degli organismi, ma deve essere ricostruita a partire dalla funzione concretamente esercitata nel percorso di P&R.

Il caso inglese rende particolarmente visibile questa distinzione. Nell'ambito delle technology evaluations di NICE, una volta completata la fase di valutazione delle evidenze, il comitato di appraisal competente formula le proprie raccomandazioni considerando le evidenze cliniche ed economiche disponibili, i contributi degli stakeholder e, quando rilevanti, le opinioni degli esperti. La pubblicazione della guidance finale compete a NICE (NICE, 2026a). Tale esempio mostra come l'attività tecnico-scientifica, la deliberazione collegiale e l'adozione dell'esito istituzionale siano concettualmente distinguibili anche quando appartengono a un processo unitario (NICE, 2026a). Nei capitoli successivi la stessa prospettiva funzionale verrà utilizzata per interpretare gli assetti degli altri sistemi senza presupporre una corrispondenza formale tra i rispettivi organismi.

1.1.3 La dimensione europea dell'HTA

Il quadro dell'HTA farmaceutico è inoltre interessato da un crescente livello di cooperazione europea. Il Regolamento (UE) 2021/2282 ha introdotto, tra altri aspetti, un sistema di valutazioni cliniche congiunte (Joint Clinical Assessments, JCA) e consultazioni scientifiche congiunte (Joint Scientific Consultations, JSCs), con applicazione progressiva alle tecnologie previste dalla disciplina europea. Dal 12 gennaio 2025 le JCA riguardano, in una prima fase, i nuovi medicinali oncologici e le terapie medicinali avanzate; l'ambito è destinato ad ampliarsi secondo il calendario previsto dal Regolamento (Commissione europea, 2026).

Le valutazioni cliniche congiunte forniscono un'analisi scientifica delle evidenze cliniche relative agli effetti comparativi della tecnologia e sono concepite per supportare i successivi processi nazionali di HTA. Non sostituiscono tuttavia le decisioni nazionali di prezzo e rimborso e non formulano conclusioni sul finanziamento della tecnologia. La distinzione è rilevante per questa tesi: anche in presenza di una maggiore cooperazione europea nella produzione dell'evidenza clinica comparativa, gli Stati continuano a collocare tali evidenze all'interno di architetture istituzionali e processi decisionali nazionali differenti.

La dimensione europea rafforza quindi l'utilità di separare il contenuto dell'assessment dalla governance della decisione. Una base clinica maggiormente condivisa non determina automaticamente uniformità nelle condizioni di accesso, perché rimangono nazionali la considerazione delle ulteriori dimensioni del valore, l'integrazione delle evidenze economiche e di impatto sul budget e, soprattutto, l'organizzazione del processo attraverso cui si giunge alla decisione. È in questo spazio che si colloca il confronto sviluppato nella presente ricerca tra Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra.

1.2 Il valore del farmaco e il VBP

Il concetto di valore occupa una posizione centrale nei processi contemporanei di P&R. Il valore di un medicinale non coincide necessariamente con il suo beneficio clinico considerato in termini assoluti, ma assume frequentemente una dimensione comparativa: il nuovo trattamento viene valutato rispetto alle alternative terapeutiche disponibili per una determinata popolazione di pazienti.

La valutazione può pertanto dipendere da diversi elementi, tra cui il comparatore utilizzato, la popolazione considerata, gli endpoint clinici selezionati, la qualità delle

evidenze e il grado di incertezza che le caratterizza. A questi elementi possono aggiungersi ulteriori dimensioni, quali il bisogno terapeutico non soddisfatto, la gravità della patologia, la qualità della vita dei pazienti e le conseguenze economiche derivanti dall'introduzione del trattamento.

In questo contesto si colloca il concetto di VBP. In termini generali, il VBP si fonda sul principio secondo cui il prezzo di un medicinale dovrebbe essere collegato principalmente al valore che esso genera. Jommi et al. (2020) evidenziano tuttavia come non esista un unico modello di implementazione del VBP e come la relazione tra valore e prezzo assuma configurazioni differenti nei diversi sistemi.

Il valore può essere collegato al prezzo attraverso una valutazione economica esplicita oppure attraverso una valutazione del beneficio terapeutico aggiunto che viene successivamente utilizzata nella determinazione o nella negoziazione delle condizioni economiche. Il VBP deve pertanto essere interpretato come un principio generale che può tradursi in differenti strumenti e processi istituzionali.

La distinzione tra **valore** e **sostenibilità finanziaria** è inoltre particolarmente rilevante. Un medicinale può produrre un beneficio clinico significativo e, allo stesso tempo, generare un impatto elevato sulla spesa complessiva, ad esempio quando la popolazione potenzialmente eleggibile al trattamento è molto ampia. Valutazione del valore e valutazione dell'impatto finanziario rispondono pertanto a domande differenti, pur potendo concorrere entrambe alla decisione finale.

Il confronto internazionale permette quindi di osservare come sistemi sanitari differenti possano partire da un principio comune – collegare in qualche misura il prezzo e il rimborso al valore prodotto dal farmaco – e tradurlo in processi decisionali diversi.

1.3 Il VTA

Una delle modalità attraverso cui il valore di un nuovo medicinale può essere espresso è la valutazione del VTA, ossia del beneficio incrementale prodotto dal nuovo trattamento rispetto alle alternative terapeutiche considerate rilevanti.

La natura del VTA è necessariamente comparativa. Per determinare se un nuovo medicinale apporti un beneficio aggiuntivo è infatti necessario individuare uno o più comparatori appropriati, definire la popolazione oggetto della valutazione e stabilire quali endpoint ed evidenze siano rilevanti. Di conseguenza, la valutazione non dipende esclusivamente dalle caratteristiche del medicinale, ma anche dal quadro metodologico nel quale viene condotta.

La scelta dei comparatori assume in questo senso particolare importanza. Sistemi differenti possono utilizzare comparatori diversi oppure adottare criteri differenti per la loro individuazione. Analogamente, possono variare il peso attribuito agli endpoint clinici, il trattamento dei sottogruppi di pazienti, la valutazione della qualità delle evidenze e la gestione dell'incertezza.

Boucaud-Maitre et al. (2021), confrontando sistematicamente le valutazioni condotte in Francia e Germania, hanno evidenziato come le differenze nei metodi di valutazione possano contribuire a determinare risultati non coincidenti nell'attribuzione del valore terapeutico aggiunto.

Il tema è stato ulteriormente approfondito da Casilli et al. (2023), che hanno confrontato le valutazioni effettuate da AIFA in Italia, HAS in Francia e G-BA in Germania. Gli autori hanno evidenziato come il grado di concordanza tra le valutazioni possa variare e come la considerazione congiunta del VTA e della qualità delle evidenze contribuisca all'interpretazione delle differenze tra le autorità nazionali.

Tali risultati mostrano un aspetto particolarmente importante per la presente ricerca: anche quando più Paesi attribuiscono rilevanza al beneficio terapeutico aggiunto, ciò non implica necessariamente che utilizzino le stesse modalità di valutazione o che giungano alle medesime conclusioni.

Il VTA può inoltre rappresentare un collegamento tra la fase di valutazione e quella di P&R. Il beneficio aggiunto riconosciuto al medicinale può infatti influenzare, direttamente o indirettamente, la successiva definizione delle condizioni economiche. L'intensità e le modalità di tale relazione variano tuttavia tra i diversi sistemi (Jommi et al., 2020).

1.4 Valutazione economica: costo-efficacia, ICER, QALY e impatto sul budget

Accanto alla valutazione clinica, la **valutazione economica** può assumere un ruolo importante nei processi di P&R. Essa permette di mettere in relazione i costi associati a un intervento sanitario con i benefici che esso produce e costituisce uno degli strumenti utilizzabili per supportare le decisioni sull'allocazione delle risorse sanitarie.

Una delle principali forme di valutazione economica è l'analisi di costo-efficacia. Nel confronto tra due alternative, il risultato può essere espresso attraverso l'**Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER)**, che mette in relazione la differenza dei costi con la differenza degli esiti prodotti dalle alternative considerate.

Quando gli esiti sanitari sono espressi mediante i **Quality-Adjusted Life Years (QALY)**, la valutazione considera congiuntamente quantità e qualità della vita. I QALY permettono quindi di utilizzare una misura comune degli esiti sanitari e di mettere in relazione il beneficio prodotto da un intervento con le risorse necessarie per ottenerlo.

Il ruolo attribuito alla valutazione economica non è tuttavia uniforme tra i Paesi. In alcuni sistemi essa costituisce una componente esplicita e strutturata del processo di appraisal; in altri, la valutazione clinica comparativa e il beneficio terapeutico aggiunto assumono un ruolo più diretto nella successiva determinazione o negoziazione del prezzo.

La valutazione di costo-efficacia deve inoltre essere distinta dalla **Budget Impact Analysis (BIA)**. Quest'ultima è finalizzata a stimare le conseguenze finanziarie dell'introduzione di un nuovo intervento all'interno di uno specifico sistema o per uno specifico soggetto pagatore. Come evidenziato da Sullivan et al. (2014), la BIA rappresenta quindi una componente distinta e complementare rispetto alla valutazione di costo-efficacia.

Un trattamento può, ad esempio, presentare un rapporto favorevole tra costi ed esiti ma determinare comunque un impatto complessivo elevato sulla spesa qualora la popolazione eleggibile sia molto numerosa. La valutazione economica e quella dell'impatto sul budget rispondono pertanto a esigenze decisionali differenti.

Ai fini del confronto internazionale, è quindi necessario verificare non soltanto **se** una valutazione economica venga effettuata, ma anche **da quale organismo, in quale fase del processo**, con quale ruolo rispetto alla valutazione clinica e in quale misura essa influenzi la successiva decisione di prezzo e rimborso.

1.5 Dal valore alla determinazione del prezzo e del rimborso

Il riconoscimento del valore di un medicinale non conclude il processo di P&R. Il risultato della valutazione deve infatti essere tradotto in una decisione relativa alle condizioni concrete di prezzo, rimborso e accesso.

Il collegamento tra valutazione e decisione può assumere forme differenti. In alcuni sistemi, la valutazione economica e il rapporto tra costi ed esiti svolgono un ruolo esplicito nel processo decisionale, unitamente alla definizione di valori-soglia o range di valore soglia all'ICER. In altri, il beneficio terapeutico aggiunto rappresenta un elemento che orienta una successiva fase di determinazione o negoziazione del prezzo. In altri ancora possono coesistere più strumenti e criteri.

La distinzione tra modelli diretti e indiretti di VBP non deve pertanto essere interpretata come una classificazione rigida. I sistemi reali possono presentare configurazioni ibride nelle quali valutazione clinica, valutazione economica, prezzi dei comparatori, impatto sul budget e ulteriori criteri concorrono, con modalità differenti, alla definizione delle condizioni economiche.

Il documento *Archetipi per la valutazione e negoziazione del prezzo dei farmaci*, elaborato nell'ambito di ISPOR Italy – Rome Chapter (2025), costituisce un riferimento particolarmente utile per interpretare questa eterogeneità. Il confronto internazionale permette infatti di identificare differenti modalità attraverso cui la valutazione del valore viene collegata alla negoziazione o determinazione del prezzo.

Questa prospettiva evidenzia inoltre che l'analisi del P&R non può limitarsi ai criteri utilizzati per valutare il medicinale. È necessario comprendere l'intero processo istituzionale e identificare **chi valuta, chi negozia, chi decide e attraverso quali regole**. La distribuzione delle funzioni tra organismi rappresenta quindi un elemento fondamentale. La valutazione clinica, quella economica, la negoziazione del prezzo e la decisione relativa al rimborso possono essere attribuite allo stesso soggetto oppure distribuite tra organismi differenti. Ne consegue che organismi appartenenti a Paesi diversi non possono essere considerati automaticamente equivalenti soltanto perché intervengono nel processo di P&R.

Per questa ragione, il Capitolo 3 ricostruirà innanzitutto il **processo complessivo di P&R** in Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra. Soltanto dopo aver individuato il ruolo effettivamente svolto dai diversi organismi sarà possibile sviluppare il confronto delle rispettive caratteristiche organizzative.

CAPITOLO 2

METODOLOGIA

2.1 Ricerca bibliografica e fonti documentali

La presente ricerca adotta un approccio di raccolta strutturata di evidenze di letteratura scientifica e documenti istituzionali. La letteratura scientifica è stata individuata mediante una ricerca bibliografica mirata su PubMed, finalizzata sia all'identificazione di contributi pertinenti ai processi di P&R e di HTA, sia alla verifica dell'esistenza di precedenti studi comparativi relativi ai Paesi oggetto dell'analisi.

A tal fine sono state utilizzate combinazioni di termini riferiti a “pricing and reimbursement”, “health technology assessment”, “added therapeutic value”, “added benefit”, “pharmaceuticals” e “medicines”, associati ai Paesi considerati (“Italy”, “France”, “Germany”, “Spain”, “England” e “United Kingdom”).

La ricerca bibliografica ha consentito di individuare precedenti contributi comparativi riguardanti i sistemi di prezzo e rimborso dei medicinali e i processi di HTA nei Paesi europei, nonché studi più specificamente rivolti al confronto delle valutazioni del valore terapeutico aggiunto e dei tempi di accesso ai medicinali. Tra i contributi individuati rientrano Garattini et al. (2007), Boucaud-Maitre et al. (2021), Casilli et al. (2023) e Delcroix-Lopes et al. (2025). Tali studi sono stati utilizzati per l'inquadramento del tema e per verificare l'esistenza di precedenti analisi comparative. Il loro oggetto risulta tuttavia parzialmente differente rispetto a quello della presente ricerca, che concentra il confronto sulle caratteristiche organizzative e di governance degli organismi coinvolti nei processi di P&R.

La letteratura scientifica è stata integrata con la consultazione di fonti istituzionali ufficiali, utilizzate prevalentemente per ricostruire i processi nazionali, le funzioni attribuite ai diversi organismi e le rispettive caratteristiche organizzative e decisionali. Per l'Italia sono state considerate le fonti dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) e del Ministero della Salute; per la Francia quelle della Haute Autorité de Santé (HAS) e delle competenti istituzioni francesi; per la Germania quelle del Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) e dell'Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG); per la Spagna quelle dell'Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), del Ministerio de Sanidad e la normativa pubblicata nel Boletín Oficial del Estado (BOE); per l'Inghilterra quelle del National Institute for Health and Care Excellence (NICE), del National Health Service

(NHS) e delle competenti fonti governative. Sono state inoltre considerate fonti dell'Organizzazione Mondiale della Sanità e della Commissione europea per gli aspetti sovranazionali.

La ricerca non è stata configurata come una revisione sistematica della letteratura, ma come una ricerca bibliografica e documentale strutturata, coerente con l'obiettivo di ricostruire i processi di P&R e confrontarne gli assetti organizzativi e di governance.

2.2 Criteri e dimensione dell'analisi comparativa

La comparazione tra i cinque Paesi viene effettuata secondo un criterio prevalentemente funzionale. Tale scelta deriva dal fatto che gli organismi presenti nei diversi sistemi non sono necessariamente sovrapponibili. Un organismo incaricato della valutazione clinica non può essere automaticamente equiparato a un organismo responsabile della negoziazione del prezzo soltanto perché entrambi partecipano al processo di P&R.

Il primo livello di analisi consiste pertanto nella ricostruzione del percorso nazionale, identificando le principali fasi del processo e gli organismi responsabili della valutazione, della negoziazione e della decisione. Tale ricostruzione sarà sviluppata separatamente per Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra nel Capitolo 3.

Il secondo livello riguarda invece le caratteristiche **organizzative e di governance** degli organismi individuati. Per rendere il confronto il più possibile omogeneo è stata definita una griglia comune di raccolta e classificazione delle informazioni.

Particolare attenzione viene attribuita alla distinzione tra **provenienza istituzionale e professionalità rappresentate**. L'indicazione dell'istituzione responsabile della nomina di un componente, infatti, non consente necessariamente di conoscere le competenze professionali presenti nell'organismo. L'analisi considera quindi separatamente i due aspetti e, quando la normativa non stabilisce esplicitamente le professionalità richieste, la ricostruzione può essere effettuata sulla base delle informazioni pubblicamente disponibili relative alla composizione effettiva dell'organismo.

Un ulteriore ambito riguarda le **regole decisionali**. Non viene quindi considerata soltanto la composizione degli organismi, ma anche, ove le fonti lo consentano, il quorum necessario per la validità delle sedute o delle decisioni, la maggioranza richiesta per l'approvazione e le modalità attraverso cui viene espresso il voto.

L'analisi considera inoltre il rapporto con gli **esperti esterni**, verificando se il loro coinvolgimento sia previsto, in quali circostanze possano essere chiamati a partecipare,

per quali finalità, secondo quali modalità siano individuati e su quali aspetti possano fornire il proprio contributo.

A tale dimensione è collegata la gestione dei **conflitti di interesse**, analizzata distinguendo, ove possibile, tra le regole applicabili ai componenti permanenti e quelle previste per gli esperti esterni. Viene inoltre rilevata l'eventuale partecipazione formalizzata di pazienti, cittadini o altri stakeholder.

Quando una determinata informazione non è prevista dal sistema, non è applicabile oppure non risulta reperibile nelle fonti consultate, tale circostanza viene indicata esplicitamente, evitando di assimilare l'assenza di informazione all'assenza della caratteristica considerata.

2.3 Griglia metodologica

Sulla base dei criteri descritti, è stata predisposta una **griglia metodologica comune**, utilizzata per guidare la raccolta delle informazioni nei cinque Paesi. La griglia ha la funzione di rendere il più possibile omogenea l'analisi, preservando al contempo le specificità dei singoli sistemi.

Tabella 1. Griglia metodologica per l'analisi comparativa dei sistemi di Pricing & Reimbursement

Dimensione	Informazione rilevata
Organismo	Organismo/i coinvolto/i nel processo di P&R
Ruolo nel P&R	Posizione e ruolo dell'organismo nel processo
Funzione	Valutazione, negoziazione e/o decisione
Componenti	Numero dei componenti
Professionalità	Competenze e professionalità rappresentate
Provenienza	Provenienza istituzionale dei componenti
Nomina	Modalità di nomina e soggetto competente
Mandato	Durata dell'incarico e possibilità di rinnovo
Regole decisionali	Quorum, maggioranza richiesta e modalità di voto
Esperti esterni	Previsione e modalità di coinvolgimento
Selezione degli esperti	Criteri e procedure di selezione
Ruolo degli esperti	Ambiti e modalità di intervento
Conflitti di interesse	Regole applicabili ai componenti e agli esperti esterni

Dimensione	Informazione rilevata
Stakeholder	Partecipazione di pazienti, società scientifiche e altri soggetti
Natura dell'esito	Parere, raccomandazione, accordo o decisione
Carattere dell'esito	Carattere vincolante o non vincolante

Fonte: elaborazione propria sulla base della letteratura e della documentazione analizzate.

La griglia costituisce lo strumento metodologico attraverso cui vengono raccolte e organizzate le informazioni sviluppate nei capitoli successivi. Nel **Capitolo 3**, la ricostruzione dei processi nazionali consentirà di identificare gli organismi funzionalmente rilevanti in ciascun sistema. Nel **Capitolo 4**, le informazioni raccolte attraverso la griglia saranno successivamente riportate in una **tabella comparativa per Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra** e discusse con particolare attenzione alle analogie e alle differenze relative agli assetti organizzativi e di governance.

L'utilizzo di una struttura comune non implica che tutte le variabili siano necessariamente presenti o direttamente confrontabili in ogni Paese. La mancata disponibilità di una determinata informazione sarà pertanto distinta dall'effettiva assenza di una previsione normativa o procedurale. In questo modo, la comparazione mira a mantenere l'omogeneità dell'analisi senza eliminare le specificità istituzionali dei singoli sistemi.

CAPITOLO 3

I PROCESSI DI P&R NEI PAESI ANALIZZATI

3.1 ITALIA

3.1.1 Quadro istituzionale e organizzazione del processo

In Italia, la regolazione dei medicinali e la gestione delle procedure di determinazione del prezzo e della rimborsabilità sono attribuite all'AIFA, che opera nell'ambito del Servizio Sanitario Nazionale (SSN). L'Agenzia interviene nel governo della spesa farmaceutica attraverso la negoziazione dei prezzi dei medicinali, la gestione del Prontuario Farmaceutico Nazionale e l'impiego di ulteriori strumenti finalizzati a favorire l'appropriatezza prescrittiva e il controllo della spesa.

La procedura di P&R deve essere distinta dalla fase di autorizzazione all'immissione in commercio. L'ottenimento dell'autorizzazione consente infatti la commercializzazione del medicinale, ma non determina automaticamente la sua rimborsabilità da parte del SSN. Per i medicinali per i quali viene richiesta la rimborsabilità pubblica è necessario un successivo procedimento nel quale vengono valutate le caratteristiche cliniche ed economiche del prodotto e vengono definite le condizioni di prezzo e rimborso.

Il principale riferimento normativo della negoziazione è rappresentato dal Decreto del Ministero della Salute del 2 agosto 2019, che disciplina i criteri e le modalità attraverso cui AIFA determina, mediante negoziazione, i prezzi dei medicinali rimborsati dal SSN. La disciplina si applica ai medicinali autorizzati attraverso le diverse procedure previste dalla normativa europea e nazionale per i quali venga richiesta l'ammissione alla rimborsabilità, nonché alle ulteriori fattispecie individuate dalla normativa (Ministero della Salute, 2019; AIFA, 2026a).

Un elemento particolarmente rilevante dell'attuale assetto istituzionale deriva dalla riorganizzazione di AIFA entrata a regime nel 2024. La riforma ha superato la precedente separazione tra Commissione Tecnico-Scientifica (CTS) e Comitato Prezzi e Rimborso (CPR), attribuendone le funzioni alla Commissione scientifica ed economica del farmaco (CSE). La CSE costituisce pertanto l'organismo collegiale centrale nell'attuale processo valutativo e negoziale italiano e svolge le funzioni precedentemente attribuite ai due organismi, adottando le proprie determinazioni con autonomia sul piano tecnico-scientifico e sanitario e svolgendo attività di supporto tecnico-consultivo all'AIFA ai fini della contrattazione dei prezzi dei medicinali rimborsati dal SSN (AIFA, 2026b).

La riforma assume particolare interesse ai fini della presente analisi comparativa poiché riunisce all'interno di un'unica Commissione competenze che nel precedente assetto erano distribuite tra la valutazione tecnico-scientifica e la negoziazione economica. Ciò non significa, tuttavia, che l'intero procedimento sia svolto esclusivamente dalla CSE. Gli Uffici dell'AIFA mantengono infatti un ruolo essenziale nella fase istruttoria, mentre il procedimento si conclude con l'intervento degli organi dell'Agenzia competenti all'adozione del provvedimento finale.

3.1.2 Avvio del procedimento e dossier di rimborsabilità e prezzo

Il procedimento di determinazione della rimborsabilità e del prezzo prende ordinariamente avvio con la presentazione da parte del soggetto richiedente di un'istanza ad AIFA, corredata da un dossier contenente le informazioni necessarie alla valutazione del medicinale. La presentazione del dossier rappresenta quindi il punto di ingresso formale del prodotto nel processo nazionale di P&R.

A partire dal 1° aprile 2026 sono applicabili le nuove *Linee guida per la compilazione del dossier a supporto dell'Health Technology Assessment di un medicinale ai fini della rimborsabilità e del prezzo a carico del Servizio Sanitario Nazionale*, adottate con Determinazione DTS n. 88/2025 del 23 dicembre 2025. Le nuove Linee guida sostituiscono quelle adottate nel 2020 e rafforzano esplicitamente l'inquadramento della domanda di prezzo e rimborso all'interno di un processo di Health Technology Assessment (AIFA, 2025; AIFA, 2026a).

Il dossier ha la funzione di fornire all'Agenzia le evidenze necessarie per valutare il medicinale e la proposta formulata dal richiedente. Il processo non si limita pertanto alla presentazione di una proposta di prezzo, ma richiede un insieme strutturato di informazioni riguardanti il prodotto, il contesto terapeutico, le evidenze cliniche disponibili e gli elementi economici rilevanti ai fini della decisione.

Nell'attuale organizzazione dell'Agenzia, l'attività istruttoria viene svolta dagli Uffici AIFA competenti. Il Regolamento della CSE stabilisce espressamente che gli Uffici predispongano l'istruttoria a supporto della valutazione e della successiva emanazione dei pareri della Commissione e che il Direttore tecnico-scientifico, o un suo delegato, sovrintenda alle istruttorie predisposte dagli Uffici (AIFA, 2026b).

Nell'ambito del processo assumono particolare rilevanza, in funzione delle caratteristiche della procedura, le competenze relative alle valutazioni cliniche, alle valutazioni economiche e al prezzo e rimborso. L'Ufficio Prezzi e Rimborso, in particolare, coadiuva

la Direzione tecnico-scientifica e la CSE nel procedimento di fissazione del prezzo e nella definizione degli accordi negoziali, predispone le istruttorie di propria competenza e gestisce gli accordi relativi ai medicinali ammessi alla rimborsabilità (AIFA, 2026c).

La fase istruttoria assume quindi una funzione di raccordo tra le evidenze presentate dal richiedente e la successiva valutazione collegiale. Tale caratteristica è rilevante anche ai fini del confronto internazionale: l'organismo collegiale chiamato a esprimere un parere non coincide necessariamente con il soggetto che svolge materialmente tutte le analisi tecniche alla base della decisione.

3.1.3 Valutazione clinica, terapeutica ed economica

La valutazione condotta nell'ambito del procedimento di P&R considera una pluralità di dimensioni. Sul piano clinico, assume rilievo la collocazione del medicinale nel contesto terapeutico, anche attraverso il confronto con le alternative disponibili e la considerazione del VTA.

Il Regolamento della CSE stabilisce, tra i principi che devono orientarne le decisioni, la necessità di garantire un accesso universale e omogeneo ai farmaci innovativi, ai medicinali orfani e ai farmaci essenziali, di assicurare modalità di impiego sicure e appropriate e di operare nel rispetto dei vincoli di spesa farmaceutica. Il Regolamento indica inoltre l'obiettivo di adottare una politica dei prezzi capace di premiare i medicinali caratterizzati da VTA e riconosciuti come innovativi sulla base di criteri tecnico-scientifici predeterminati (AIFA, 2026b).

La CSE interviene, in particolare, nella definizione del *place in therapy* del medicinale, anche tenendo conto della valutazione del suo VTA ai fini dell'ammissione alla rimborsabilità. Alla Commissione sono inoltre attribuite funzioni relative ai criteri per la classificazione dei farmaci innovativi e all'attribuzione del requisito dell'innovatività nei casi previsti dalla normativa.

3.1.4 Valutazione dell'innovatività

Il riconoscimento dell'innovatività terapeutica costituisce un ambito specifico della valutazione svolta da AIFA. Il modello adottato è multidimensionale e considera tre elementi fondamentali: il bisogno terapeutico, il VTA e la qualità delle prove scientifiche disponibili.

Il bisogno terapeutico esprime la necessità di nuove opzioni rispetto alle terapie già disponibili per la specifica indicazione. Il VTA considera invece l'entità del beneficio apportato dal nuovo trattamento rispetto alle alternative appropriate. La qualità delle

prove riguarda la robustezza delle evidenze scientifiche utilizzate a sostegno della richiesta ed è valutata secondo criteri metodologici definiti da AIFA.

La valutazione congiunta di queste dimensioni consente alla CSE di esprimere il giudizio relativo all'innovatività per la specifica indicazione terapeutica. Il riconoscimento dell'innovatività non deve essere confuso con la determinazione del prezzo del medicinale: si tratta di una valutazione specifica del valore terapeutico e della qualità delle evidenze, che produce gli effetti previsti dalla disciplina nazionale in materia di medicinali innovativi (AIFA, 2025b).

Accanto alla dimensione clinica, il processo considera gli aspetti economici e finanziari. La valutazione economica può comprendere, in relazione alle caratteristiche del medicinale e della procedura, analisi economiche e valutazioni dell'impatto finanziario atteso sul SSN. Tali elementi consentono di affiancare alla valutazione del beneficio prodotto dal medicinale una stima delle conseguenze economiche derivanti dalla sua eventuale rimborsabilità.

La distinzione tra valutazione clinica ed economica non deve tuttavia essere interpretata come una successione necessariamente rigida di fasi indipendenti. L'attuale impostazione del dossier AIFA si colloca infatti esplicitamente in una prospettiva di HTA, nella quale le diverse dimensioni contribuiscono alla costruzione del quadro informativo utilizzato nel procedimento di prezzo e rimborso (AIFA, 2025).

Questo aspetto permette di collegare il caso italiano al quadro teorico discusso nel Capitolo 1. Il valore del medicinale costituisce uno degli elementi rilevanti della valutazione, ma la determinazione del prezzo rimborsato non deriva automaticamente dall'applicazione di un'unica misura di valore. La valutazione delle evidenze cliniche, degli aspetti economici, dell'impatto sul SSN e delle condizioni negoziali confluisce infatti in un processo istituzionale articolato.

3.1.5 La CSE

Nell'attuale assetto dell'AIFA, la CSE rappresenta l'organismo collegiale di riferimento per la valutazione tecnico-scientifica ed economica. La Commissione svolge le funzioni precedentemente attribuite alla CTS e al CPR e fornisce supporto tecnico-consulativo all'Agenzia ai fini della contrattazione dei prezzi dei medicinali rimborsati dal SSN (AIFA, 2026b).

La CSE è composta da dieci componenti. Ne fanno parte, quali membri di diritto, il Direttore tecnico-scientifico dell'AIFA e il Presidente dell'Istituto Superiore di Sanità, o

un suo delegato. Gli altri componenti sono designati rispettivamente dal Ministero della Salute, dal Ministero dell'Economia e delle Finanze e dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano. La nomina avviene con decreto del Ministro della Salute. Per i componenti non di diritto è previsto un mandato di tre anni, consecutivamente rinnovabile una sola volta (AIFA, 2026b).

L'attuale composizione della CSE comprende professionalità provenienti da ambiti differenti. La presidenza è affidata a Lara Nicoletta Angela Gitto, professoressa associata di Economia politica con formazione e attività di ricerca anche nell'ambito dell'economia sanitaria. Tra gli altri componenti sono presenti figure con competenze cliniche, farmacologiche, di organizzazione sanitaria, di politica del farmaco e di gestione farmaceutica. La ricostruzione analitica delle professionalità dei singoli componenti, distinta dalla loro provenienza istituzionale e dal soggetto che li ha designati, sarà sviluppata nel Capitolo 4, nel quale tale dimensione verrà confrontata con quella degli organismi corrispondenti degli altri Paesi considerati. (AIFA, 2026e)

Dal punto di vista decisionale, il Regolamento disciplina espressamente sia il quorum sia le modalità di deliberazione. Per la validità della singola giornata di lavoro è necessaria la presenza della maggioranza dei componenti. Le deliberazioni vengono assunte a maggioranza semplice e il voto è palese. In caso di voto dissenziente o di astensione è prevista la motivazione della posizione espressa, mentre in caso di parità prevale il voto del Presidente (AIFA, 2026b).

Tali elementi sono particolarmente rilevanti ai fini della presente ricerca, poiché consentono di distinguere la composizione formale dell'organismo dalle concrete regole attraverso le quali vengono assunte le decisioni. Il medesimo approccio verrà pertanto utilizzato per gli organismi individuati negli altri sistemi nazionali.

3.1.6 Esperti esterni, stakeholder e conflitti di interesse

Il Regolamento della CSE disciplina espressamente anche il ricorso a competenze esterne. A supporto dell'attività valutativa, AIFA può individuare singoli esperti dotati di comprovata competenza tecnico-scientifica nazionale o internazionale, ai quali può essere richiesta la formulazione di proposte di parere su specifici quesiti da sottoporre alla Commissione. L'Agenzia può inoltre istituire Gruppi di Lavoro i cui componenti afferiscono a specifici ambiti di competenza (AIFA, 2026b).

Il ricorso all'esperto esterno non comporta pertanto una sostituzione della Commissione nella funzione decisionale, ma costituisce uno strumento di supporto all'attività valutativa

quando siano richieste competenze specifiche. L'attività degli esperti e dei Gruppi di Lavoro è inoltre subordinata alla valutazione preliminare delle dichiarazioni di interessi. La disciplina prevede forme di partecipazione anche per le associazioni di pazienti e le società scientifiche. La CSE può convocare in audizione le organizzazioni maggiormente rappresentative in relazione alle tematiche in discussione, con l'obiettivo di ampliare il quadro conoscitivo disponibile durante il processo decisionale. Le posizioni espresse in tali audizioni hanno tuttavia natura esclusivamente informativa e i soggetti coinvolti sono tenuti a sottoscrivere la dichiarazione pubblica di interessi (AIFA, 2026b).

Un ulteriore meccanismo di interlocuzione riguarda il soggetto che ha presentato l'istanza, normalmente rappresentato dall'impresa titolare dell'AIC.

La Commissione può convocarlo quando lo ritenga necessario ed è prevista la possibilità per il medesimo soggetto di richiedere una sola audizione, della durata massima di trenta minuti. In caso di diniego motivato dell'istanza, l'interessato può inoltre presentare fino a due controdeduzioni, sulle quali la Commissione procede a una successiva valutazione prima di esprimere il parere finale (AIFA, 2026b).

Le modalità di interlocuzione possono comprendere la presentazione di osservazioni e, nei casi previsti, l'audizione davanti alla CSE. L'audizione consente all'impresa di fornire chiarimenti e rappresentare le proprie argomentazioni rispetto agli aspetti oggetto del procedimento, senza trasferire all'impresa alcun ruolo nella deliberazione della Commissione.

La possibilità di interlocuzione non riguarda esclusivamente una singola fase del procedimento, ma deve essere considerata nel più generale quadro delle modalità attraverso cui AIFA acquisisce informazioni e contributi dai soggetti interessati.

Particolare attenzione è dedicata alla gestione dei conflitti di interesse. I componenti della Commissione sono tenuti a rendere annualmente una dichiarazione relativa ai conflitti di interesse e ad aggiornarla ogniqualvolta intervenga una modifica rispetto alla dichiarazione precedentemente resa. L'AIFA vigila inoltre affinché i soggetti incaricati e coinvolti nelle attività della Commissione, comprese le attività istruttorie, abbiano dichiarato i propri interessi secondo le regole adottate dall'Agenzia. Ai componenti è inoltre vietato incontrare rappresentanti delle aziende farmaceutiche al di fuori dell'AIFA in relazione a procedure riguardanti medicinali o categorie di medicinali sottoposti alla valutazione della Commissione (AIFA, 2026b).

3.1.7 Negoziazione del prezzo, rimborsabilità e decisione finale

La determinazione del prezzo dei medicinali rimborsati dal SSN avviene attraverso un processo di negoziazione tra AIFA e il soggetto richiedente. Nell'attuale assetto, la CSE svolge funzioni di supporto tecnico-consultivo all'Agenzia ai fini della contrattazione e valuta gli scenari relativi al prezzo a carico del SSN e alle condizioni di ammissione alla rimborsabilità.

Il Regolamento distingue espressamente la natura dei diversi pareri della Commissione. In via generale, i pareri espressi nell'esercizio della funzione consultiva sono obbligatori ma non vincolanti per gli organi di amministrazione attiva, salvo i casi per i quali la legge attribuisce loro carattere vincolante (AIFA, 2026b).

Tra i pareri vincolanti rientrano, in particolare, quelli relativi al regime di fornitura, alla definizione del *place in therapy*, ai criteri per la classificazione dei farmaci innovativi e all'attribuzione del requisito dell'innovatività nei casi previsti dalla normativa. Diversamente, nell'ambito dei pareri obbligatori ma non vincolanti rientrano la valutazione degli scenari di contrattazione del prezzo e delle condizioni di ammissione alla rimborsabilità, l'eventuale adozione di registri o piani terapeutici, l'individuazione di meccanismi di rimborso condizionato e, all'esito della contrattazione, la proposta dello schema di accordo negoziale contenente la classificazione ai fini della rimborsabilità, il regime di fornitura, il prezzo e le eventuali ulteriori condizioni (AIFA, 2026b).

Questa distinzione è importante per ricostruire correttamente il processo decisionale. Il parere della CSE non deve infatti essere automaticamente identificato con il provvedimento amministrativo finale. Il Regolamento specifica che i pareri della Commissione costituiscono atti endoprocedimentali nell'ambito di un procedimento finalizzato all'emanazione di un provvedimento finale da parte dell'AIFA. Il Consiglio di amministrazione, su proposta del Direttore tecnico-scientifico e acquisito il parere della Commissione nei casi previsti, delibera ai fini dell'adozione dei provvedimenti finali dell'Agenzia (AIFA, 2026b).

La conclusione del procedimento determina quindi le condizioni alle quali il medicinale può essere rimborsato dal SSN, compresi il prezzo e gli eventuali ulteriori vincoli o strumenti di gestione dell'accesso. Il provvedimento viene successivamente pubblicato attraverso gli strumenti istituzionali previsti. In particolare, i provvedimenti AIFA relativi alla classificazione e alle condizioni di rimborsabilità sono pubblicati nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana e sono reperibili attraverso la banca dati AIFA Trova

Norme Farmaco, che consente la consultazione della documentazione normativa relativa ai medicinali.

Il sistema italiano contempla inoltre strumenti che possono accompagnare la rimborsabilità, quali registri di monitoraggio, piani terapeutici e meccanismi di rimborso condizionato. Tali strumenti consentono di collegare le condizioni di accesso al medicinale a esigenze di appropriatezza, monitoraggio o gestione dell'incertezza e dell'impatto economico.

3.1.8 Procedure semplificate e fast track

Nel 2026 AIFA ha ulteriormente modificato l'organizzazione dell'iter di P&R attraverso l'armonizzazione delle procedure semplificate e l'introduzione di procedure *fast track*. Tale evoluzione è rilevante perché mostra come il percorso di prezzo e rimborso non sia identico per tutte le tipologie di medicinali.

Le procedure semplificate riguardano specifiche fattispecie per le quali non è prevista la valutazione della CSE. Rientrano in tale ambito, in particolare, la negoziazione dei medicinali equivalenti e biosimilari, purché siano rispettate le condizioni economiche previste da AIFA; le estensioni di indicazioni terapeutiche di medicinali equivalenti o biosimilari relative a indicazioni già rimborsate per il medicinale originator, a condizione che il prezzo risulti allineato al prezzo di riferimento o al più basso vigente; le nuove confezioni derivanti dalla modifica del confezionamento primario; e i medicinali di importazione parallela. Per tali procedure la pratica viene istruita dall'Ufficio Prezzi e Rimborso e sottoposta direttamente all'approvazione del Consiglio di amministrazione prima della pubblicazione del relativo provvedimento (AIFA, 2026d).

Le procedure *fast track*, invece, mantengono il passaggio valutativo presso la CSE, ma sono organizzate secondo modalità finalizzate a una più rapida conclusione dell'iter, basata su pareri standardizzati e parametri negoziali definiti preventivamente dalla Commissione. Rientrano in questa categoria: le nuove confezioni derivanti da variazioni del numero di unità posologiche o del dosaggio; le nuove associazioni fisse di medicinali, qualora rispettino le condizioni economiche previste; le rinegoziazioni di medicinali carenti finalizzate a garantirne la permanenza sul mercato; le rinegoziazioni di medicinali soggetti a tetto di spesa, in presenza delle condizioni stabilite da AIFA; e le richieste di classificazione in classe C per medicinali per i quali siano già disponibili analoghi nella medesima classe di rimborsabilità, come nel caso dei vaccini (AIFA, 2026d).

La presenza di percorsi differenziati conferma che la ricostruzione del sistema italiano non può essere ridotta a una sequenza unica applicabile indistintamente a tutti i medicinali. Ai fini della comparazione internazionale, la procedura ordinaria costituisce il principale riferimento per l'analisi del modello di P&R, mentre le procedure semplificate e accelerate rappresentano varianti che rispondono alla necessità di proporzionare l'intensità della valutazione alle caratteristiche della singola fattispecie.

3.1.9 Trasparenza delle decisioni

Con riferimento alla trasparenza del processo valutativo, AIFA rende pubblici i report relativi alla valutazione dell'innovatività terapeutica per singola indicazione, compresi quelli relativi alle valutazioni con esito negativo. La disponibilità pubblica della documentazione di appraisal riguarda pertanto, in particolare, la valutazione dell'innovatività. Gli esiti conclusivi dei procedimenti di prezzo e rimborso sono invece resi pubblici attraverso i relativi provvedimenti, pubblicati nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana e resi disponibili attraverso la banca dati AIFA “Trova Norme Farmaco” (AIFA, 2025c).

3.1.10 Sintesi del processo italiano di P&R

Nel complesso, il processo italiano può essere rappresentato come una sequenza che prende avvio dalla presentazione ad AIFA della domanda di rimborsabilità e prezzo corredata dal relativo dossier, prosegue attraverso l'istruttoria tecnica degli Uffici dell'Agenzia e la valutazione della CSE e comprende la fase di negoziazione delle condizioni economiche e di accesso. Il procedimento conduce quindi alla deliberazione degli organi competenti dell'AIFA e all'adozione del provvedimento finale, con successiva pubblicazione secondo le modalità previste dalla normativa.

Le principali fasi del processo sono sintetizzate nella Figura 1.

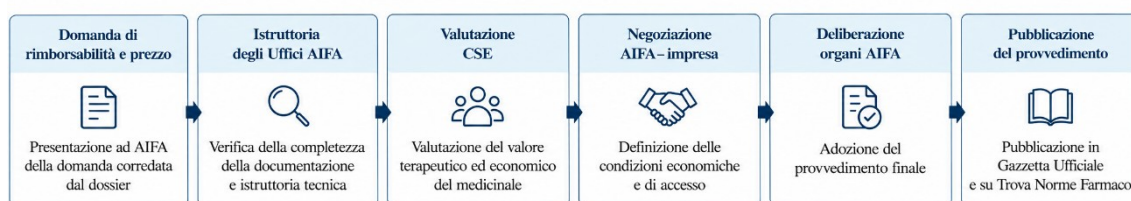


Figura 1 – Processo di P&R dei medicinali in Italia.

Fonte: elaborazione propria sulla base della documentazione AIFA.

L'attuale configurazione presenta come elemento distintivo l'esistenza di una

Commissione unica, la CSE, alla quale sono state attribuite le funzioni precedentemente distribuite tra CTS e CPR. La Commissione integra, pertanto, competenze scientifiche ed economiche all'interno di un medesimo organismo collegiale, pur operando sulla base delle istruttorie predisposte dagli Uffici AIFA e all'interno di un procedimento nel quale la decisione amministrativa finale compete agli organi dell'Agenzia previsti dalla normativa.

Dal punto di vista della governance, il modello italiano presenta inoltre una regolamentazione esplicita della composizione della Commissione, delle modalità di nomina e della durata degli incarichi, del quorum e delle maggioranze richieste, delle modalità di voto, del ricorso a esperti esterni, della partecipazione di associazioni di pazienti e società scientifiche e della gestione dei conflitti di interesse.

Queste caratteristiche costituiscono la base per il successivo confronto con Francia, Germania, Spagna e Inghilterra. In particolare, nel Capitolo 4 l'analisi non sarà limitata alla presenza o assenza di organismi formalmente analoghi alla CSE, ma considererà la distribuzione funzionale delle attività di valutazione, negoziazione e decisione nei diversi sistemi, così da evitare di attribuire equivalenza a organismi che occupano posizioni differenti nei rispettivi processi nazionali.

3.2 FRANCIA

3.2.1 Quadro istituzionale e organizzazione del processo

In Francia, il processo di P&R dei medicinali si caratterizza per una separazione istituzionale tra la fase di valutazione del valore del farmaco e quella relativa alla determinazione del prezzo. Diversamente dal modello italiano attuale, nel quale la CSE riunisce funzioni precedentemente attribuite a organismi distinti, il sistema francese distribuisce le principali attività del processo tra più soggetti istituzionali.

Un ruolo centrale nella valutazione è svolto dalla HAS, autorità pubblica indipendente che interviene, attraverso proprie commissioni specializzate, nella valutazione clinica ed eventualmente economica dei medicinali. Nell'ambito della HAS, la Commission de la Transparence (CT) è responsabile della valutazione clinica dei medicinali per i quali l'impresa richiede l'ammissione al rimborso. Nei casi previsti dalla disciplina francese, alla valutazione clinica può affiancarsi una valutazione economica svolta dalla Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP). (HAS, 2026a; HAS, 2026b)

La determinazione del prezzo è invece affidata al Comité économique des produits de santé (CEPS), organismo interministeriale che opera sulla base degli orientamenti ricevuti dai ministri competenti. Il CEPS contribuisce alla politica economica del farmaco, negozia con le imprese farmaceutiche i prezzi dei medicinali e interviene nel monitoraggio della spesa e nella regolazione finanziaria del mercato. (Ministère de la Santé, 2026)

Il processo francese presenta pertanto una distinzione relativamente marcata tra *assessment/appraisale* negoziazione: la HAS produce le valutazioni che alimentano il processo decisionale, mentre il CEPS utilizza tali valutazioni, insieme agli ulteriori criteri previsti dalla normativa, nell'ambito della determinazione negoziale del prezzo.

3.2.2 Avvio del procedimento e valutazione da parte della HAS

A seguito dell'ottenimento dell'autorizzazione all'immissione in commercio, l'impresa che intende ottenere la copertura pubblica del medicinale presenta la relativa domanda. L'ammissione al mercato e l'accesso al rimborso costituiscono pertanto, anche nel sistema francese, momenti distinti.

La domanda di rimborso determina l'avvio della valutazione da parte della CT. Il dossier presentato dall'impresa viene esaminato con il supporto tecnico dei servizi della HAS e, quando necessario, mediante il ricorso a esperti esterni. (HAS, 2023)

La CT formula un parere destinato alle autorità competenti in materia di salute e sicurezza sociale, fornendo gli elementi clinici necessari alla decisione sulla presa in carico del medicinale da parte del sistema pubblico. La valutazione si fonda principalmente su due concetti: il *Service Médical Rendu* (SMR) e l'*Amélioration du Service Médical Rendu* (ASMR).

La distinzione tra i due indicatori è essenziale per comprendere il funzionamento del sistema francese, poiché essi svolgono funzioni differenti nel successivo percorso di rimborso e determinazione del prezzo.

3.2.3 Service Médical Rendu e Amélioration du Service Médical Rendu

Il *Service Médical Rendu* esprime il beneficio clinico del medicinale e contribuisce alla valutazione della sua idoneità alla presa in carico da parte del sistema assicurativo sociale nazionale. Nella sua determinazione vengono considerati diversi elementi, tra cui l'efficacia e gli effetti indesiderati del medicinale, la gravità della patologia, la collocazione del prodotto nella strategia terapeutica e le alternative disponibili. (HAS, 2023)

L'*Amélioration du Service Médical Rendu* assume invece natura esplicitamente comparativa e valuta il progresso terapeutico apportato dal medicinale rispetto alle alternative pertinenti disponibili. L'ASMR viene classificata secondo livelli che vanno da I a V: i livelli da I a IV identificano, con intensità decrescente, un miglioramento rispetto al comparatore, mentre il livello V corrisponde all'assenza di un miglioramento del servizio medico reso. (HAS, 2023)

SMR e ASMR svolgono pertanto ruoli differenti. Il primo è strettamente connesso alla valutazione del beneficio del medicinale ai fini della copertura pubblica, mentre il secondo costituisce uno degli elementi centrali per la successiva determinazione del prezzo.

Questa impostazione rende il modello francese particolarmente rilevante rispetto al concetto di VTA discusso nel Capitolo 1. Il valore aggiunto non viene infatti espresso direttamente attraverso una misura monetaria, ma mediante una classificazione del beneficio incrementale rispetto alle alternative terapeutiche. Tale valutazione viene successivamente utilizzata nella fase economico-negoziale.

3.2.4 La valutazione economica e il ruolo della CEESP

Accanto alla valutazione clinica svolta dalla CT, il sistema francese prevede, per determinate tecnologie sanitarie, una valutazione economica da parte della CEESP (HAS, 2023). Nell'ambito dei medicinali, tale valutazione riguarda, in particolare, i prodotti per i quali l'impresa rivendica un miglioramento del servizio medico reso (ASMR) di livello I, II o III e che sono suscettibili di determinare un impatto significativo sulla spesa dell'Assurance Maladie.

La CEESP ha il compito di produrre pareri economici e di valutare l'efficienza delle tecnologie sanitarie, mettendo in relazione gli effetti prodotti dagli interventi con le risorse necessarie alla loro realizzazione. Nell'ambito dei medicinali, la valutazione economica non viene pertanto applicata indistintamente a tutte le procedure di rimborso. Per i prodotti che soddisfano le condizioni previste, l'impresa presenta un'analisi di efficienza, la cui qualità metodologica e i cui risultati vengono valutati dalla CEESP.

L'analisi di efficienza può essere espressa attraverso un rapporto differenziale costo-risultato (*ratio différentiel coût-résultat*, RDCR), concettualmente riconducibile all'ICER discusso nel Capitolo 1. L'obiettivo è mettere in relazione i costi incrementali della tecnologia con i risultati sanitari incrementali ottenuti rispetto alle alternative considerate. Alla valutazione dell'efficienza può inoltre affiancarsi l'analisi dell'impatto sul budget. Per i medicinali, l'analisi di impatto finanziario assume particolare rilievo nei casi in cui l'introduzione della tecnologia possa produrre conseguenze significative sulla spesa dell'Assurance Maladie.

Il parere economico della CEESP viene prodotto parallelamente al parere della CT e, una volta completato, viene trasmesso ai decisori pubblici e in particolare al CEPS, che può utilizzarlo nell'ambito della negoziazione del prezzo.

La valutazione economica non sostituisce quindi la valutazione clinica della CT e non determina autonomamente il prezzo del medicinale. Essa costituisce piuttosto un ulteriore elemento informativo all'interno del processo di P&R.

3.2.5 CT: composizione e processo decisionale

La CT costituisce l'organismo scientifico della HAS specificamente incaricato della valutazione dei medicinali. La composizione attuale comprende 29 membri con voce deliberativa, di cui 22 titolari e 7 supplenti, oltre a sei rappresentanti istituzionali. Il mandato attualmente in corso si estende dall'11 novembre 2024 al 10 novembre 2027. (HAS, 2026a)

Dal punto di vista delle professionalità rappresentate, la composizione della Commissione comprende prevalentemente medici appartenenti a diverse specialità cliniche, insieme a competenze in farmacologia, farmacia, biostatistica e metodologia. Sono inoltre presenti membri appartenenti ad associazioni di pazienti e utenti del sistema sanitario. Tra le istituzioni rappresentate figurano le direzioni competenti dei ministeri, l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) e organismi dell'assicurazione sanitaria.

La disciplina francese definisce anche le regole per la validità delle deliberazioni e l'adozione dei pareri. Le deliberazioni sono valide quando risultano presenti almeno dodici membri con voce deliberativa. I pareri vengono adottati a maggioranza dei voti espressi e, in caso di parità, il voto del Presidente è prevalente. I pareri devono inoltre essere motivati. (HAS, 2022)

Questi elementi saranno ripresi in forma sistematica nel Capitolo 4, dove la CT verrà confrontata con gli organismi che esercitano funzioni analoghe negli altri sistemi analizzati, mantenendo distinta la provenienza istituzionale dei membri dalle professionalità concretamente rappresentate.

3.2.6 Esperti esterni, pazienti e gestione dei conflitti di interesse

La valutazione dei medicinali da parte della HAS può prevedere il ricorso a esperti esterni quando siano necessarie competenze specifiche per approfondire aspetti rilevanti del dossier. La normativa relativa alla CT consente infatti alla Commissione di ascoltare persone qualificate o esperti qualora ritenga utile il loro contributo. (HAS, 2022)

Il ricorso all'esperto esterno svolge quindi una funzione di supporto alla valutazione e non modifica la titolarità della decisione, che rimane in capo alla Commissione. La CT può ricorrere a uno o più esperti esterni individuati in funzione delle specifiche competenze richieste dall'ambito oggetto della valutazione. Il regolamento della Commissione non prevede una lista predefinita di esperti dalla quale debba necessariamente avvenire la selezione, ma stabilisce che il loro coinvolgimento sia giustificato dalla competenza posseduta rispetto alle questioni da approfondire. Gli esperti predispongono un rapporto scritto destinato ai membri della Commissione e possono essere invitati a presentarlo durante la seduta e a rispondere alle domande dei componenti; non partecipano tuttavia alla deliberazione né al voto (HAS, 2022).

Il procedimento prevede inoltre forme di interlocuzione con l'impresa. Nell'ambito della fase contraddittoria, l'impresa può presentare osservazioni sul progetto di parere e

richiedere un'audizione dinanzi alla Commissione. Anche nell'ambito della valutazione economica della CEESP è prevista la possibilità per l'impresa di richiedere un'audizione; durante quest'ultima dispone di un tempo definito per esporre le proprie osservazioni e può farsi assistere da esperti di propria scelta. Gli esperti che abbiano precedentemente supportato la Commissione nella valutazione del prodotto non possono tuttavia intervenire, nella fase contraddittoria, come esperti dell'impresa (HAS, 2022).

La partecipazione dei pazienti e degli utenti è presente anche nella composizione stessa delle commissioni della HAS. Nella CT siedono membri provenienti da associazioni di pazienti e utenti del sistema sanitario. Nell'ambito della valutazione economica, inoltre, le associazioni possono trasmettere contributi relativi alla patologia, alle esperienze dei pazienti e alle aspettative rispetto alle tecnologie sottoposte a valutazione; tali contributi possono essere messi a disposizione della CEESP durante l'esame del dossier (HAS, 2026).

Il coinvolgimento di componenti ed esperti è accompagnato da specifiche regole deontologiche. I membri delle commissioni e i soggetti che prestano loro supporto devono rispettare le disposizioni della HAS in materia di deontologia e gestione dei legami di interesse. Le dichiarazioni pubbliche di interessi dei membri sono rese accessibili attraverso il sistema nazionale previsto a tale scopo. (HAS, 2022)

Anche questo aspetto assume particolare importanza ai fini della comparazione sviluppata nel Capitolo 4, poiché consente di verificare non soltanto se un sistema faccia ricorso a competenze esterne, ma anche secondo quali modalità tali competenze vengano integrate nel processo e sottoposte alle regole relative ai conflitti di interesse.

3.2.7 Negoziazione del prezzo e ruolo del CEPS

Conclusa la fase valutativa, la determinazione del prezzo coinvolge il CEPS. Per i medicinali rimborsabili dispensati in ambito territoriale, il prezzo di vendita viene ordinariamente definito attraverso una convenzione tra l'impresa che commercializza il medicinale e il CEPS. In assenza di accordo, il prezzo può essere stabilito mediante decisione del Comitato secondo quanto previsto dal Code de la sécurité sociale. (Ministère de la Santé, 2026)

La determinazione del prezzo non dipende da un unico parametro. La normativa francese stabilisce che essa tenga conto principalmente dell'ASMR attribuita al medicinale, degli eventuali risultati della valutazione medico-economica, dei prezzi dei medicinali con analoga finalità terapeutica, dei volumi di vendita previsti o osservati e delle condizioni

prevedibili e reali di utilizzo. Nell'attuale disciplina è considerata anche la sicurezza dell'approvvigionamento del mercato francese garantita dalla localizzazione dei siti produttivi. (Ministère de la Santé, 2026)

L'ASMR costituisce quindi un elemento di raccordo fondamentale tra la valutazione clinica della HAS e la negoziazione economica condotta dal CEPS. Il livello di valore terapeutico aggiunto riconosciuto dalla CT non si traduce automaticamente in un prezzo predeterminato, ma entra a far parte di una negoziazione che considera contemporaneamente ulteriori dimensioni cliniche, economiche e finanziarie.

Il CEPS può stipulare con le imprese o con gruppi di imprese convenzioni che riguardano non soltanto il prezzo e la sua evoluzione, ma anche eventuali sconti, impegni relativi al buon uso del medicinale, volumi di vendita e altre condizioni connesse all'attuazione degli orientamenti della politica farmaceutica.

Il modello francese configura pertanto la determinazione del prezzo come una fase istituzionalmente distinta dalla valutazione scientifica. La CT non negozia il prezzo e il CEPS non sostituisce la CT nella valutazione clinica del medicinale: i rispettivi risultati sono collegati all'interno di un processo nel quale il giudizio sul valore terapeutico alimenta la successiva fase negoziale.

3.2.8 Decisione di rimborso e accesso

La decisione relativa alla presa in carico del medicinale da parte del sistema pubblico si fonda sul percorso valutativo precedentemente descritto e coinvolge le autorità competenti in materia di salute e sicurezza sociale. Il parere della Commission de la Transparence fornisce gli elementi scientifici necessari alla decisione sul rimborso, mentre il CEPS interviene nella definizione delle condizioni economiche.

La configurazione del rimborso varia anche in funzione del contesto di utilizzo del medicinale. Il sistema distingue, in particolare, tra medicinali dispensati in ambito territoriale e medicinali utilizzati nelle strutture sanitarie, in particolare ospedaliere (*établissements de santé*), per i quali possono operare meccanismi differenti di finanziamento e determinazione delle condizioni economiche.

Accanto alla procedura ordinaria, l'ordinamento francese contempla inoltre meccanismi di accesso anticipato. L'*accès précoce* consente, in presenza delle condizioni previste dalla normativa, la messa a disposizione e la copertura di determinati medicinali prima del completamento del normale percorso di accesso. Dal 1° luglio 2021 la HAS interviene nella valutazione dei medicinali nell'ambito di tale regime (HAS, 2026c).

Questi meccanismi non sostituiscono il percorso ordinario di P&R, ma costituiscono strumenti derogatori finalizzati ad anticipare l'accesso in situazioni specifiche, in particolare quando ricorrono condizioni cliniche e terapeutiche che giustificano una disponibilità precoce del trattamento.

3.2.9 Trasparenza delle decisioni

La trasparenza del processo valutativo è assicurata anche attraverso la pubblicazione da parte della HAS della documentazione relativa alle valutazioni dei medicinali. In particolare, sono resi pubblici gli *avis* della CT, nei quali sono riportati gli esiti della valutazione clinica, compresi il livello di SMR e di ASMR attribuito al medicinale e gli elementi che supportano il giudizio della Commissione. Nei casi in cui sia prevista una valutazione medico-economica, la HAS rende inoltre disponibili i relativi pareri della CEESP. La documentazione pubblicata consente pertanto di ricostruire gli elementi valutativi che precedono la successiva fase di determinazione delle condizioni di rimborso e di negoziazione del prezzo (HAS, 2026a; HAS, 2026b).

3.2.10 Sintesi del processo francese di P&R

Nel complesso, il sistema francese può essere rappresentato come un processo articolato in più livelli istituzionali. Dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio e la presentazione della domanda di rimborso, il medicinale viene sottoposto alla valutazione clinica della CT della HAS. La CT esprime il proprio giudizio attraverso il SMR e l'ASMR, fornendo rispettivamente elementi rilevanti per la presa in carico pubblica e per l'apprezzamento del VTA rispetto alle alternative disponibili.

Nei casi previsti, a tale valutazione si affianca l'analisi economica della CEESP, che esamina l'efficienza e, quando pertinente, l'impatto finanziario della tecnologia. I risultati della valutazione clinica ed economica vengono quindi utilizzati nella successiva fase di determinazione delle condizioni di accesso.

La negoziazione del prezzo è attribuita al CEPS, che opera distintamente dalla HAS e negozia con l'impresa sulla base dell'ASMR, dell'eventuale valutazione medico-economica e degli ulteriori criteri previsti dalla normativa.

Le principali fasi del processo sono sintetizzate nella Figura 2.



Figura 2 – Processo di P&R dei medicinali in Francia (percorso ordinario).

Fonte: elaborazione propria sulla base della documentazione HAS (2020) e CEPS (2021).

Rispetto al sistema italiano, emerge già a livello descrittivo una differenza organizzativa significativa. In Francia, la valutazione clinica, l'eventuale valutazione economica e la negoziazione del prezzo sono attribuite a organismi distinti, sebbene collegati all'interno dello stesso percorso di P&R. Nel modello italiano attuale, invece, la CSE integra all'interno di un'unica commissione funzioni scientifiche ed economiche, pur inserendosi in un procedimento che coinvolge gli Uffici e gli altri organi dell'AIFA.

Questa differenza verrà approfondita nel Capitolo 4, dove il confronto non riguarderà soltanto le funzioni esercitate dagli organismi, ma anche la loro composizione, le professionalità rappresentate, le modalità di nomina, la durata degli incarichi, le regole decisionali, il ricorso a esperti esterni, la partecipazione degli stakeholder e la gestione dei conflitti di interesse.

3.3 GERMANIA

3.3.1 Quadro istituzionale e organizzazione del processo

In Germania, il processo di P&R dei medicinali innovativi è strettamente connesso alla procedura di valutazione precoce del beneficio introdotta dall'*Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz* (AMNOG), entrato in vigore nel 2011. Tale sistema ha modificato profondamente la regolazione dei nuovi medicinali, introducendo una valutazione sistematica del beneficio aggiunto (*Zusatznutzen*) quale elemento centrale per la successiva determinazione dell'importo di rimborso a carico dell'assicurazione sanitaria obbligatoria (*Gesetzliche Krankenversicherung*, GKV). (G-BA, 2026; IQWiG, 2026)

Il processo coinvolge diversi organismi con funzioni distinte. Il G-BA rappresenta il principale organo decisionale dell'autogoverno sanitario tedesco e assume la decisione finale relativa al beneficio aggiunto del medicinale. Nell'attività di valutazione scientifica il G-BA può avvalersi dell'IQWiG, istituto scientifico indipendente incaricato, tra le altre attività, della valutazione dei benefici e dei danni degli interventi sanitari. (IQWiG, 2026) Alla fase di valutazione segue quella relativa alla determinazione dell'importo di rimborso. La negoziazione viene condotta tra l'impresa farmaceutica e il *GKV-Spitzenverband*, l'associazione federale delle casse dell'assicurazione sanitaria obbligatoria. In caso di mancato accordo, interviene un organismo arbitrale.

Il modello tedesco presenta quindi una separazione funzionale tra valutazione scientifica, decisione sul beneficio aggiunto e negoziazione economica. Tale configurazione rende necessario distinguere, ai fini della comparazione internazionale, il soggetto che svolge materialmente la valutazione delle evidenze dal soggetto titolare della decisione e da quello responsabile della successiva negoziazione.

3.3.2 Avvio della procedura AMNOG e presentazione del dossier

La procedura di valutazione precoce del beneficio trova il proprio principale riferimento nel § 35a del Libro V del Codice sociale tedesco (*Sozialgesetzbuch V*, SGB V). Per i nuovi medicinali soggetti alla procedura, l'impresa farmaceutica deve presentare al G-BA un dossier contenente le evidenze necessarie a dimostrare l'eventuale beneficio aggiunto del prodotto. (G-BA, 2026a)

Un elemento caratteristico del sistema tedesco è la stretta prossimità temporale tra accesso al mercato e valutazione del beneficio. Il medicinale può essere immesso sul mercato

dopo l'autorizzazione, mentre la procedura AMNOG interviene immediatamente nella fase successiva per determinare il beneficio aggiunto rispetto alla terapia comparativa appropriata.

Il dossier presentato dall'impresa contiene le informazioni richieste per la valutazione, comprese le evidenze relative alle indicazioni autorizzate, ai gruppi di pazienti interessati, alla terapia comparativa e agli esiti clinicamente rilevanti.

La definizione della *zweckmäßige Vergleichstherapie*, ossia della terapia comparativa appropriata, assume un ruolo essenziale. Essa è definita dal G-BA sulla base dei criteri previsti dalla propria procedura e dello stato delle conoscenze mediche disponibili. Nell'ambito della fase di consulenza (*Beratung*), le imprese farmaceutiche possono confrontarsi con il G-BA anche in merito alla terapia comparativa da utilizzare ai fini della valutazione del beneficio aggiunto. La determinazione giuridicamente vincolante della terapia comparativa appropriata compete comunque al G-BA nell'ambito della decisione sulla valutazione del beneficio. Il beneficio aggiunto non viene infatti valutato in termini assoluti, ma attraverso il confronto del nuovo medicinale con la terapia ritenuta appropriata per la specifica popolazione di pazienti (G-BA, 2026a).

La struttura del processo evidenzia quindi una caratteristica già richiamata nel Capitolo 1: il VTA è necessariamente comparativo e dipende dalla scelta del comparatore, dalla popolazione considerata e dalle evidenze disponibili.

3.3.3 Il ruolo dell'IQWiG nella valutazione scientifica

Il G-BA può affidare all'IQWiG la valutazione scientifica del dossier presentato dall'impresa. Nell'ambito della procedura AMNOG, l'Istituto esamina se le evidenze fornite dimostrino un beneficio aggiunto del nuovo medicinale rispetto alla terapia comparativa appropriata. (IQWiG, 2026)

La valutazione si concentra su esiti rilevanti per i pazienti, considerando in particolare mortalità, morbidità, qualità della vita correlata alla salute ed effetti indesiderati. L'obiettivo è verificare se il nuovo trattamento determini vantaggi o svantaggi rispetto al comparatore individuato.

L'IQWiG deve completare la valutazione del dossier entro il termine previsto dalla normativa, pari a tre mesi. Al termine dell'analisi produce una *Dossierbewertung*, successivamente pubblicata e utilizzata all'interno del procedimento condotto dal G-BA. È importante sottolineare che l'IQWiG non assume la decisione definitiva relativa al beneficio aggiunto e non negozia il prezzo del medicinale. Il suo ruolo è prevalentemente

scientifico e valutativo: l'Istituto produce una valutazione delle evidenze che costituisce una delle principali basi informative per la successiva decisione del G-BA.

Tale distinzione assume particolare rilevanza nel confronto con gli altri sistemi analizzati. L'IQWiG non deve infatti essere considerato automaticamente equivalente a una commissione decisionale quale la CSE italiana o la CT francese. Ai fini della presente ricerca, gli organismi vengono pertanto confrontati sulla base delle funzioni effettivamente esercitate e non esclusivamente sulla loro denominazione formale.

3.3.4 La valutazione del beneficio aggiunto

Il concetto di *Zusatznutzen* costituisce il nucleo della procedura AMNOG. La valutazione è finalizzata a determinare se il nuovo medicinale presenti un beneficio aggiunto rispetto alla terapia comparativa appropriata e, in caso affermativo, quale sia l'entità di tale beneficio. (G-BA, 2026a)

Il giudizio può differire tra sottogruppi di pazienti. Uno stesso medicinale può quindi ottenere valutazioni differenti in relazione alle caratteristiche della popolazione, al comparatore pertinente e alla solidità delle evidenze disponibili.

La valutazione distingue diversi livelli di beneficio aggiunto. Il beneficio può essere classificato, secondo le categorie previste dalla disciplina, come maggiore, considerevole o minore; può inoltre essere riconosciuto un beneficio aggiunto non quantificabile. Negli altri casi può risultare che il beneficio aggiunto non sia dimostrato o che il nuovo trattamento presenti un beneficio inferiore rispetto alla terapia comparativa.

Accanto all'entità del beneficio, viene considerato anche il livello di certezza delle evidenze che ne supportano il riconoscimento. La decisione sul beneficio aggiunto non costituisce pertanto una semplice classificazione del farmaco, ma deriva dalla valutazione comparativa delle evidenze disponibili per le specifiche popolazioni considerate.

Il sistema tedesco presenta sotto questo profilo una chiara analogia concettuale con il VTA discusso nel Capitolo 1. Anche in questo caso, tuttavia, il beneficio aggiunto non corrisponde direttamente al prezzo: costituisce piuttosto una delle principali basi per la fase economica successiva.

3.3.5 Dal dossier assessment alla decisione del G-BA

Una volta pubblicata la valutazione, il procedimento prosegue presso il G-BA. Alla fase scientifica segue un procedimento di consultazione nel quale i soggetti aventi titolo possono presentare osservazioni scritte e partecipare a un'audizione orale. (G-BA, 2026a)

Questa fase consente di integrare il quadro informativo disponibile prima dell'adozione della decisione definitiva. Nelle procedure di valutazione sono coinvolti, secondo le modalità previste, l'impresa titolare del medicinale e altri soggetti qualificati, tra cui organizzazioni professionali e società scientifiche.

A conclusione della procedura, il G-BA adotta una decisione formale relativa al beneficio aggiunto. La decisione può specificare, per le diverse popolazioni di pazienti, l'entità e la probabilità del beneficio aggiunto, la terapia comparativa appropriata e ulteriori elementi rilevanti ai fini della valutazione.

Il provvedimento viene inserito nell'allegato pertinente della *Arzneimittel-Richtlinie* e costituisce il riferimento per la successiva fase di determinazione dell'importo di rimborso.

La sequenza IQWiG-G-BA evidenzia quindi due livelli distinti: il primo riguarda la valutazione scientifica delle evidenze, mentre il secondo riguarda la decisione istituzionale sul beneficio aggiunto. La distinzione è importante anche ai fini dell'analisi organizzativa sviluppata nel Capitolo 4.

3.3.6 Il G-BA: composizione e processo decisionale

Il G-BA rappresenta il principale organismo decisionale dell'autogoverno del sistema sanitario tedesco. Le decisioni definitive vengono assunte dal Plenum, composto da tredici membri con diritto di voto. (G-BA, 2026b)

La composizione riflette la struttura corporativa del sistema sanitario tedesco. Ne fanno parte un Presidente imparziale e altri due membri imparziali, cinque rappresentanti del GKV-Spitzenverband e complessivamente cinque rappresentanti delle organizzazioni dei fornitori di assistenza sanitaria. Questi ultimi rappresentano il settore ospedaliero, i medici convenzionati e i dentisti convenzionati.

La struttura del G-BA differisce quindi sensibilmente da quella di commissioni costituite prevalentemente da esperti nominati sulla base della loro specializzazione scientifica. Nel caso tedesco, la composizione dell'organo decisionale riflette in misura significativa la rappresentanza istituzionale dei principali attori dell'autogoverno sanitario. (G-BA, 2026b)

Alle riunioni partecipano inoltre rappresentanti dei pazienti, che dispongono di ampi diritti di partecipazione e di proposta ma non del diritto di voto. Il procedimento prevede anche forme di coinvolgimento della componente clinica: nell'ambito della valutazione del beneficio possono essere consultati esperti clinici (*klinische Sachverständige*) al fine

di acquisire specifiche competenze mediche; inoltre, nella successiva fase di consultazione sono previste osservazioni scritte e audizioni orali da parte dei soggetti aventi titolo, tra cui esperti e rappresentanti della comunità scientifica. Tali forme di partecipazione non attribuiscono tuttavia diritto di voto nell'organo decisionale del G-BA. La distinzione tra partecipazione al processo e titolarità del voto sarà considerata specificamente nell'analisi comparativa del Capitolo 4 (G-BA, 2026a; G-BA, 2026b).

In termini generali, ciascuno dei tredici componenti dispone di un voto, ferma restando l'esistenza di specifiche regole di ponderazione per alcune decisioni riguardanti soltanto determinati settori dell'assistenza. Salvo diversa previsione, una deliberazione del Plenum viene approvata quando ottiene almeno sette voti favorevoli.

Anche le condizioni relative alla validità della seduta sono formalmente disciplinate. La regolamentazione del G-BA stabilisce requisiti specifici di presenza e rappresentanza ai fini della capacità deliberativa dell'organo. Questi aspetti saranno analizzati in modo più dettagliato nella griglia organizzativa del Capitolo 4, insieme alla durata degli incarichi, alle modalità di nomina e alla distribuzione delle professionalità.

3.3.7 Esperti, pazienti e partecipazione degli stakeholder

La partecipazione di soggetti esterni e stakeholder si realizza in diverse fasi del procedimento tedesco. (G-BA, 2026a; G-BA, 2026b)

Nella preparazione delle proprie valutazioni, l'IQWiG può coinvolgere competenze mediche specialistiche e pazienti al fine di acquisire informazioni rilevanti per la valutazione. Tale coinvolgimento non trasferisce agli esperti la responsabilità della decisione, ma contribuisce alla costruzione della base scientifica dell'assessment.

Una forma distinta di partecipazione si realizza nel procedimento del G-BA successivo alla pubblicazione della valutazione del dossier. I soggetti aventi diritto possono presentare osservazioni e, quando previsto, partecipare all'audizione orale. Il procedimento consente pertanto all'impresa farmaceutica, alle organizzazioni professionali e ad altri soggetti qualificati di contribuire alla discussione prima della decisione finale sul beneficio aggiunto.

Particolarmente rilevante è la partecipazione dei pazienti all'interno dello stesso G-BA. I rappresentanti delle organizzazioni dei pazienti dispongono di diritti di consultazione e proposta, ma non partecipano al voto finale. Il modello tedesco distingue quindi chiaramente tra diritto di partecipazione al processo deliberativo e potere formale di assumere la decisione.

Ai fini della comparazione internazionale, sarà inoltre necessario distinguere il ricorso a esperti scientifici nell'attività dell'IQWiG dalla partecipazione di stakeholder ed esperti nelle procedure del G-BA. Le due modalità rispondono infatti a funzioni differenti e non devono essere considerate come un unico meccanismo di coinvolgimento esterno.

Le regole relative ai conflitti di interesse e alla trasparenza saranno analizzate più dettagliatamente nel Capitolo 4, distinguendo le disposizioni applicabili ai membri degli organismi decisionali da quelle relative agli esperti e agli altri soggetti coinvolti nelle valutazioni.

3.3.8 Negoziazione dell'importo di rimborso

La decisione del G-BA sul beneficio aggiunto costituisce la base della successiva fase economica. La negoziazione dell'importo di rimborso (*Erstattungsbetrag*) viene condotta tra il GKV-SV e l'impresa farmaceutica ai sensi del § 130b SGB V. (GKV-SV, 2026; SGB V, § 130b)

Il modello tedesco non prevede quindi che il G-BA negozi direttamente il prezzo del medicinale. Il suo compito consiste nel determinare il beneficio aggiunto, mentre la successiva traduzione di tale valutazione in condizioni economiche avviene attraverso un confronto negoziale tra l'associazione delle assicurazioni sanitarie obbligatorie e l'impresa.

Il risultato della valutazione del beneficio assume un ruolo fondamentale in questa fase. La presenza e l'entità del beneficio aggiunto incidono infatti sul quadro all'interno del quale viene determinato l'importo di rimborso.

Nel caso in cui non venga dimostrato un beneficio aggiunto, trovano applicazione specifiche regole relative alla determinazione dell'importo rimborsabile e, ove applicabile, all'inquadramento del medicinale nel sistema dei prezzi di riferimento (*Festbetrag*). Quando non sia possibile l'inserimento in un gruppo a prezzo di riferimento, la determinazione dell'importo di rimborso avviene comunque secondo le condizioni previste dalla normativa e dal quadro negoziale applicabile.

La relazione tra beneficio aggiunto e rimborso rende il modello AMNOG un esempio particolarmente significativo di collegamento tra valutazione comparativa del valore clinico e determinazione delle condizioni economiche. Tale collegamento non assume tuttavia la forma di una conversione automatica del beneficio in un prezzo predeterminato: permane una fase di negoziazione tra le parti.

3.3.9 Mancato accordo e procedura arbitrale

Qualora il GKV-SV e l'impresa farmaceutica non raggiungano un accordo sull'importo di rimborso, il sistema prevede l'intervento di un organismo arbitrale (*Schiedsstelle*), che determina l'importo secondo le disposizioni applicabili. (GKV-SV, 2026; SGB V, § 130b) La presenza di tale meccanismo costituisce un elemento importante della governance del processo. La negoziazione non è infatti priva di un esito istituzionale nel caso di mancato accordo tra le parti: il sistema prevede una procedura specifica destinata a superare lo stallo negoziale.

L'esito della valutazione AMNOG continua a rappresentare il riferimento fondamentale anche in questa fase, insieme agli ulteriori criteri economici previsti dalla normativa e dagli accordi applicabili.

La distinzione tra decisione sul beneficio, negoziazione e arbitrato evidenzia ulteriormente la distribuzione delle funzioni tra organismi diversi che caratterizza il modello tedesco.

3.3.10 Trasparenza delle decisioni

Il sistema tedesco presenta un elevato livello di trasparenza della fase valutativa. Nell'ambito della procedura AMNOG vengono rese pubbliche le valutazioni del dossier (*Dossierbewertungen*), generalmente predisposte dall'IQWiG, nonché le decisioni del G-BA relative al beneficio aggiunto del medicinale. La documentazione pubblicata consente di ricostruire gli elementi principali della valutazione, tra cui la terapia comparativa appropriata, le popolazioni di pazienti considerate e l'entità del beneficio aggiunto riconosciuto. Le decisioni del G-BA e la relativa documentazione costituiscono pertanto una fonte pubblicamente accessibile per ricostruire l'esito del processo di appraisal che precede la successiva negoziazione dell'importo di rimborso (G-BA, 2026; IQWiG, 2026).

3.3.11 Sintesi del processo tedesco di P&R

Nel complesso, il sistema tedesco può essere rappresentato come un percorso nel quale la valutazione del beneficio aggiunto precede e orienta la determinazione dell'importo di rimborso.

Dopo l'autorizzazione e l'ingresso del nuovo medicinale nel mercato, l'impresa presenta il dossier previsto dalla procedura AMNOG al G-BA. La valutazione scientifica viene frequentemente affidata all'IQWiG, che confronta il medicinale con la terapia comparativa appropriata e produce una valutazione del beneficio aggiunto.

Successivamente si svolge il procedimento di consultazione e il G-BA assume la decisione formale sull'entità del beneficio aggiunto.

La decisione del G-BA costituisce quindi la base per la negoziazione dell'importo di rimborso tra il GKV-SV e l'impresa farmaceutica. In caso di mancato accordo, interviene l'organismo arbitrale previsto dal sistema.

In forma schematica, il percorso di P&R può essere sintetizzato come illustrato nella Figura 3.

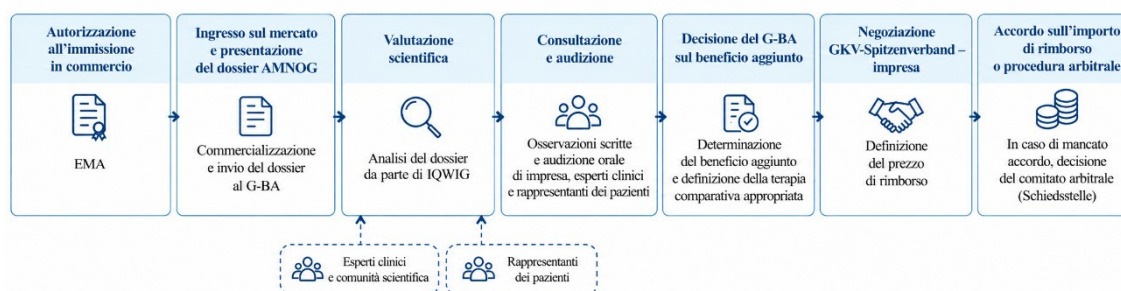


Figura 3 – Processo di P&R dei medicinali in Germania.

Fonte: elaborazione propria sulla base di G-BA (2024, 2026) e IQWiG (2024).

La Germania presenta pertanto una distribuzione funzionale particolarmente netta: l'IQWiG svolge principalmente l'assessment scientifico, il G-BA assume la decisione istituzionale sul beneficio aggiunto e il GKV-SV conduce la successiva negoziazione economica con l'impresa.

Questa articolazione sarà particolarmente rilevante nel Capitolo 4. Il confronto con Italia, Francia, Spagna e Inghilterra non potrà infatti basarsi sull'individuazione di un singolo organismo tedesco formalmente equivalente alle commissioni degli altri Paesi, ma dovrà ricostruire le funzioni esercitate dai diversi soggetti e confrontarne separatamente composizione, professionalità, modalità di nomina, regole decisionali, partecipazione degli stakeholder, ricorso a esperti esterni e gestione dei conflitti di interesse.

3.4 SPAGNA

3.4.1 Quadro istituzionale e organizzazione del processo

In Spagna, il processo di P&R dei medicinali si inserisce nel quadro del Sistema Nacional de Salud (SNS) e presenta una distribuzione delle funzioni tra diversi organismi dell'amministrazione sanitaria centrale, con una significativa partecipazione delle Comunità Autonome.

Il principale riferimento normativo è rappresentato dal *Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio*, che approva il testo consolidato della *Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios*. La normativa stabilisce che la finanziabilità pubblica di un medicinale richieda la sua inclusione nella prestazione farmaceutica del SNS mediante una decisione espressa dell'autorità competente, nella quale vengono definite le condizioni di finanziamento e di prezzo. (Real Decreto Legislativo 1/2015)

Tra gli organismi maggiormente rilevanti nel percorso possono essere individuati l'AEMPS, la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia del Ministerio della Sanità e la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM). (Ministerio de Sanidad, 2026)

L'AEMPS interviene, tra le altre funzioni, nella valutazione e nel posizionamento terapeutico dei medicinali. La Dirección General competente in materia farmaceutica svolge invece un ruolo centrale nell'istruttoria relativa alla finanziabilità, mentre alla CIPM è attribuita la competenza relativa alla fissazione motivata del prezzo di finanziamento pubblico dei medicinali.

Il sistema spagnolo presenta quindi una separazione tra la valutazione tecnico-scientifica e la decisione relativa alle condizioni economiche di finanziamento. Tale distinzione sarà particolarmente rilevante nell'analisi comparativa del Capitolo 4, poiché anche in questo caso non è possibile individuare un unico organismo direttamente equivalente alla CSE italiana.

3.4.2 Dall'autorizzazione all'avvio del percorso nazionale

Come negli altri Paesi analizzati, l'autorizzazione all'immissione in commercio e la decisione di finanziamento pubblico costituiscono due momenti distinti. Perché un medicinale possa essere finanziato dal SNS è necessaria una specifica decisione di inclusione nella prestazione farmaceutica pubblica. (Real Decreto Legislativo 1/2015)

La normativa spagnola adotta il principio della finanziabilità selettiva e non indiscriminata. La decisione deve essere assunta sulla base di criteri generali, oggettivi e pubblicati, considerando, tra gli altri elementi, la gravità, la durata e le conseguenze della patologia, le esigenze di particolari gruppi di pazienti, il valore terapeutico e sociale del medicinale e il beneficio clinico incrementale, la necessità di razionalizzare la spesa farmaceutica e l'esistenza di alternative terapeutiche disponibili a costo inferiore.

Per i nuovi medicinali autorizzati attraverso la procedura centralizzata europea, l'attività nazionale di posizionamento può iniziare già in prossimità della conclusione della fase regolatoria europea. Nel 2026 l'AEMPS continua infatti ad avviare gli Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) relativi ai medicinali che hanno ottenuto un'opinione positiva del Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) dell'EMA. Per i nuovi medicinali, l'avvio dell'IPT è collegato alla comunicazione da parte dell'impresa dell'intenzione di commercializzare il prodotto in Spagna e alla richiesta del relativo codice nazionale.

Il percorso di accesso deve pertanto essere interpretato come una sequenza nella quale l'autorizzazione regolatoria costituisce il presupposto per le successive attività di valutazione, posizionamento, finanziamento e determinazione del prezzo.

3.4.3 Gli IPT

Un elemento caratteristico del sistema spagnolo è rappresentato dagli IPT, documenti finalizzati a definire il posizionamento di un medicinale all'interno della pratica clinica sulla base delle evidenze disponibili e delle alternative terapeutiche esistenti. (AEMPS, 2026)

Gli IPT consentono di contestualizzare il nuovo medicinale rispetto allo standard terapeutico e alle alternative disponibili, contribuendo alla costruzione della base informativa utilizzabile nel percorso di accesso al SNS. Il loro ruolo è quindi distinto dalla decisione finale relativa al prezzo e alla finanziabilità, che compete agli organismi ministeriali previsti dalla normativa. (AEMPS, 2026)

La valutazione considera le caratteristiche della patologia e della popolazione interessata, l'efficacia e la sicurezza del medicinale e il confronto con le alternative terapeutiche pertinenti. In questo senso, anche il sistema spagnolo attribuisce particolare rilievo alla dimensione comparativa del valore del medicinale.

È necessario distinguere l'attuale elaborazione degli IPT dal precedente modello organizzativo della *Red de Evaluación de Medicamentos del Sistema Nacional de Salud*

(REvalMed). Il Piano per il consolidamento degli IPT, sul quale era stata costruita REvalMed, è stato dichiarato nullo dall'Audiencia Nacional nel 2023. Non sarebbe pertanto corretto descrivere REvalMed come l'attuale organismo responsabile del processo spagnolo. Gli IPT, tuttavia, non sono scomparsi: l'AEMPS continua a pubblicare e ad avviare tali valutazioni anche nel 2026.

Questa distinzione è particolarmente importante ai fini della presente ricerca, poiché consente di evitare di attribuire all'attuale sistema una struttura organizzativa che apparteneva a un assetto precedente.

3.4.4 Valutazione clinica ed economica

La valutazione del medicinale ai fini dell'accesso al SNS non si esaurisce nell'analisi clinica. La normativa relativa alla finanziabilità pubblica prevede infatti che la decisione consideri anche elementi economici e finanziari.

Il *Real Decreto Legislativo 1/2015* attribuisce espressamente rilevanza al valore terapeutico e sociale del medicinale e al beneficio clinico incrementale, tenendo contemporaneamente conto della necessità di razionalizzare la spesa farmaceutica e dell'impatto sul bilancio del SNS.

Inoltre, nell'ambito della fissazione del prezzo, la normativa stabilisce che la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos tenga in considerazione le analisi di costo-efficacia e di impatto sul budget.

Il sistema spagnolo integra, pertanto, dimensioni cliniche ed economiche nel processo decisionale, ma non utilizza necessariamente un unico indicatore quantitativo come meccanismo automatico di determinazione del prezzo. Come negli altri modelli esaminati, la valutazione economica rappresenta uno degli elementi che concorrono alla decisione.

Questo aspetto assume particolare rilievo rispetto al quadro teorico discusso nel Capitolo 1: anche nel caso spagnolo il VTA e le evidenze economiche contribuiscono al processo di P&R, ma la loro traduzione nelle condizioni di prezzo e rimborso avviene all'interno di un procedimento istituzionale che considera una pluralità di criteri.

3.4.5 La decisione di finanziamento

L'inclusione di un medicinale nella prestazione farmaceutica del SNS richiede una decisione espressa dell'autorità competente del Ministero della Sanità. Tale decisione

stabilisce le condizioni alle quali il prodotto viene finanziato con risorse pubbliche. (Real Decreto Legislativo 1/2015)

La normativa identifica una serie di criteri da considerare ai fini dell'inclusione. Oltre alla gravità e alla durata della patologia e alle esigenze di specifici gruppi di pazienti, vengono considerati il valore terapeutico e sociale del medicinale, il beneficio clinico incrementale rispetto alle alternative, la necessità di razionalizzare la spesa pubblica e l'esistenza di medicinali o altre alternative terapeutiche disponibili per le medesime condizioni a costo inferiore.

Il processo non coincide pertanto con una valutazione esclusivamente clinica né con una decisione fondata unicamente sul prezzo proposto dall'impresa. La finanziabilità deriva da una valutazione multidimensionale che collega il beneficio del medicinale alle priorità del sistema sanitario e alla sostenibilità della spesa.

Le decisioni adottate in materia di finanziamento dei medicinali hanno efficacia sull'intero territorio nazionale. Questo elemento deve tuttavia essere letto nel contesto di un sistema sanitario fortemente decentralizzato, nel quale le Comunità Autonome svolgono un ruolo significativo nell'organizzazione e nella gestione dell'assistenza sanitaria.

3.4.6 La CIPM

La CIPM rappresenta l'organismo centrale per la determinazione del prezzo di finanziamento pubblico. (Ministerio de Sanidad, 2026)

Il *Real Decreto Legislativo 1/2015* attribuisce alla CIPM il compito di fissare, in maniera motivata e sulla base di criteri oggettivi, i prezzi di finanziamento del SNS dei medicinali e dei prodotti sanitari per i quali sia richiesta la prescrizione medica e che vengano dispensati nel territorio spagnolo. (Real Decreto Legislativo 1/2015)

La CIPM è un organismo collegiale interministeriale. La sua configurazione riflette sia la partecipazione dell'amministrazione statale sia quella delle Comunità Autonome. Questa caratteristica assume particolare rilievo rispetto agli altri sistemi analizzati, poiché introduce nella fase di determinazione del prezzo una rappresentanza territoriale collegata alla struttura decentralizzata del SNS.

La composizione della Commissione viene aggiornata e resa pubblica dal Ministero della Sanità. Ai fini dell'analisi organizzativa del Capitolo 4 sarà quindi necessario distinguere, anche per la Spagna, la provenienza istituzionale dei componenti dalle loro specifiche professionalità. Tale distinzione permetterà di rispondere alla domanda se la

composizione dell'organismo rifletta prevalentemente una logica di rappresentanza istituzionale o una selezione basata su competenze tecnico-scientifiche ed economiche. La CIPM non deve essere confusa con l'AEMPS né con i soggetti coinvolti nella predisposizione degli IPT. Le funzioni sono differenti: la valutazione e il posizionamento terapeutico producono informazioni utilizzabili nel processo, mentre alla CIPM compete la decisione relativa al prezzo pubblico nei termini stabiliti dalla normativa.

3.4.7 Determinazione del prezzo

La fissazione del prezzo dei medicinali finanziati dal SNS avviene sulla base dei criteri stabiliti dalla legislazione nazionale. La CIPM deve assumere una decisione motivata e fondata su criteri oggettivi. (Real Decreto Legislativo 1/2015)

Nell'ambito di tale decisione possono assumere rilievo il beneficio clinico incrementale, il valore terapeutico e sociale del medicinale, le alternative disponibili, le evidenze economiche, l'impatto sul budget e gli ulteriori elementi previsti dalla normativa.

Il legislatore stabilisce espressamente che la CIPM tenga in considerazione le analisi di costo-efficacia e di impatto sul budget. Ciò conferma che la dimensione economica costituisce una componente formalmente riconosciuta del processo di determinazione delle condizioni di finanziamento.

Il prezzo di finanziamento pubblico costituisce il riferimento economico applicabile al medicinale nell'ambito del SNS. Per i medicinali finanziati e dispensati attraverso le farmacie territoriali, il prezzo al pubblico deriva dall'aggiunta al prezzo industriale autorizzato dei margini previsti per le attività di distribuzione e dispensazione.

Accanto alla fissazione iniziale del prezzo, il sistema spagnolo prevede inoltre meccanismi di regolazione successiva, tra cui il sistema dei prezzi di riferimento. Quest'ultimo stabilisce la quantità massima finanziabile dal SNS per le presentazioni comprese nei gruppi di riferimento definiti dalla normativa.

La regolazione del prezzo non deve pertanto essere interpretata come un evento esclusivamente puntuale: il sistema contempla strumenti attraverso i quali le condizioni economiche dei medicinali possono essere successivamente sottoposte a revisione e regolazione.

3.4.8 Partecipazione delle Comunità Autonome e governance del processo

La presenza delle Comunità Autonome costituisce una delle caratteristiche istituzionali più rilevanti del sistema spagnolo. Sebbene le decisioni nazionali in materia di

finanziamento e prezzo producano effetti sull'intero SNS, la gestione dell'assistenza sanitaria è fortemente decentralizzata (Ministerio de Sanidad, 2026).

La partecipazione territoriale si riflette anche nella composizione della CIPM, all'interno della quale sono rappresentate le Comunità Autonome secondo le modalità stabilite per il funzionamento dell'organismo. Sotto questo profilo, è possibile individuare un elemento di analogia con il sistema italiano: anche nella CSE dell'AIFA è prevista una rappresentanza territoriale, poiché tre dei dieci componenti sono designati dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano. In entrambi i sistemi, pertanto, la dimensione territoriale trova una rappresentanza nell'organismo coinvolto nelle decisioni relative all'accesso e alle condizioni economiche dei medicinali, pur nell'ambito di assetti istituzionali differenti (AIFA, 2026b; Ministerio de Sanidad, 2026).

Tale configurazione differenzia il modello spagnolo sia da sistemi maggiormente centralizzati sia da modelli nei quali i soggetti pagatori partecipano direttamente alla negoziazione attraverso organismi propri.

Ai fini del confronto organizzativo, sarà pertanto importante analizzare non soltanto il numero dei componenti della CIPM, ma anche la loro provenienza istituzionale, le modalità con cui le rappresentanze territoriali vengono individuate e le regole attraverso le quali vengono adottate le decisioni.

Analogamente, sarà necessario ricostruire separatamente le modalità di ricorso a esperti esterni, la gestione dei conflitti di interesse e le eventuali forme di partecipazione di pazienti, professionisti e altri stakeholder. Questi elementi saranno approfonditi nel Capitolo 4 sulla base della normativa e della documentazione istituzionale applicabile agli organismi effettivamente operanti nell'attuale sistema.

3.4.9 Trasparenza delle decisioni

La trasparenza costituisce un elemento rilevante nell'evoluzione recente del sistema spagnolo. Il Ministero della Sanità pubblica informazioni relative alle riunioni e alle decisioni della CIPM e ha progressivamente ampliato la disponibilità di documentazione sulle decisioni di finanziamento dei medicinali. (Ministerio de Sanidad, 2025)

In particolare, dal 2025 il Ministero ha rafforzato la pubblicazione degli *informes públicos de financiación*, relativi all'inclusione dei nuovi medicinali nella prestazione farmaceutica del SNS. Tali documenti consentono di rendere maggiormente conoscibili gli elementi che hanno condotto alle decisioni di finanziamento.

Anche gli IPT vengono pubblicati dall'AEMPS e costituiscono una fonte pubblicamente accessibile per comprendere il posizionamento terapeutico attribuito ai medicinali.

La disponibilità di tali documenti è rilevante anche dal punto di vista metodologico per la presente tesi, poiché consente di ricostruire il processo non soltanto attraverso la normativa, ma anche attraverso documentazione istituzionale prodotta nell'applicazione concreta del sistema.

3.4.10 Sintesi del processo spagnolo di P&R

Nel complesso, il sistema spagnolo di P&R si caratterizza per la distribuzione delle funzioni tra organismi differenti e per l'interazione tra livello statale e Comunità Autonome.

Dopo la fase regolatoria, l'AEMPS interviene nella valutazione e nel posizionamento terapeutico attraverso gli IPT. Parallelamente, il procedimento di finanziamento viene gestito nell'ambito del Ministero della Sanità, considerando i criteri clinici, terapeutici, economici e finanziari previsti dalla normativa.

La determinazione del prezzo di finanziamento pubblico compete alla Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, che assume la propria decisione sulla base dei criteri stabiliti dalla legge e tenendo in considerazione anche le analisi di costo-efficacia e di impatto sul budget. La procedura si conclude con la decisione relativa alle condizioni di finanziamento e prezzo applicabili nell'ambito del SNS.

In forma schematica, il percorso di P&R può essere sintetizzato come illustrato nella Figura 4.

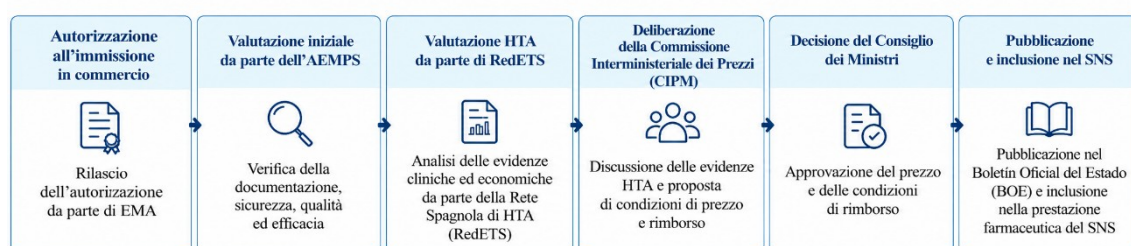


Figura 4 – Processo di P&R dei medicinali in Spagna.

Fonte: elaborazione propria sulla base della documentazione AEMPS, RedETS e Ministero della Sanità spagnolo.

Tale rappresentazione deve essere considerata una sintesi funzionale e non implica che tutte le attività si svolgano necessariamente secondo una successione rigidamente lineare. Rispetto ai sistemi precedentemente analizzati, il modello spagnolo presenta alcuni elementi distintivi. Come in Francia e Germania, le funzioni di valutazione e

determinazione delle condizioni economiche non sono concentrate in un unico organismo. Al tempo stesso, la partecipazione delle Comunità Autonome alla governance del prezzo riflette la particolare struttura territoriale del sistema sanitario spagnolo.

Nel Capitolo 4 tali caratteristiche saranno approfondite attraverso l'analisi della composizione degli organismi, delle professionalità rappresentate, delle modalità di nomina, delle regole decisionali, del ricorso a competenze esterne, della partecipazione degli stakeholder e della gestione dei conflitti di interesse. Particolare attenzione sarà dedicata alla CIPM, evitando di attribuire all'attuale sistema strutture organizzative, come REvalMed, che non risultano più vigenti.

3.5 INGHILTERRA

3.5.1 Quadro istituzionale e organizzazione del processo

In Inghilterra, il processo di accesso dei medicinali al finanziamento pubblico si caratterizza per il ruolo centrale del NICE, organismo responsabile della valutazione delle tecnologie sanitarie e della formulazione di raccomandazioni destinate al NHS. (NICE, 2026a)

Il modello inglese presenta caratteristiche differenti rispetto ai sistemi precedentemente analizzati. In particolare, la valutazione del medicinale attribuisce un ruolo esplicito all'analisi del rapporto tra costi e risultati di salute, integrando evidenze cliniche ed economiche all'interno del processo di HTA.

NICE non deve tuttavia essere interpretato come un organismo che determina direttamente il prezzo dei medicinali attraverso una negoziazione analoga a quella svolta, ad esempio, da AIFA in Italia o dal CEPS in Francia. Il sistema distingue infatti la valutazione clinica ed economica della tecnologia dalle attività commerciali relative alle condizioni di accesso, nelle quali possono intervenire NHS England, il Department of Health and Social Care (DHSC) e l'impresa farmaceutica.

Il quadro relativo ai medicinali branded si inserisce inoltre nella più ampia politica nazionale di regolazione della spesa farmaceutica, nella quale opera il *2024 Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing, Access and Growth* (VPAG), accordo tra governo, NHS England e industria farmaceutica, accanto al relativo regime statutario.

Ai fini della presente analisi è quindi necessario distinguere almeno tre dimensioni: la valutazione della tecnologia svolta da NICE; la formulazione della raccomandazione relativa al suo utilizzo nel NHS; e le condizioni commerciali e di prezzo che possono accompagnare l'accesso del medicinale.

3.5.2 Avvio della valutazione e ruolo del NICE

NICE valuta i nuovi medicinali e le altre tecnologie sanitarie attraverso specifici programmi di Health Technology Evaluation. Nell'ambito dei medicinali, le *technology appraisals* costituiscono uno degli strumenti principali attraverso cui viene valutato se una tecnologia rappresenti un uso appropriato delle risorse del NHS. (NICE, 2026a)

Il processo viene avviato secondo le procedure di selezione e programmazione previste da NICE. L'obiettivo è fare in modo che la valutazione possa essere coordinata, per

quanto possibile, con l'ingresso della nuova tecnologia nel sistema sanitario, riducendo il tempo tra autorizzazione regolatoria e disponibilità di una raccomandazione per il NHS. L'impresa produttrice presenta le evidenze cliniche ed economiche relative alla tecnologia. La documentazione include le caratteristiche della popolazione interessata, il comparatore rilevante, i risultati clinici e un modello economico finalizzato a stimare il rapporto tra costi ed esiti di salute.

Le evidenze presentate dall'impresa non vengono tuttavia accettate senza una valutazione indipendente. Nell'ambito della procedura, NICE si avvale di gruppi accademici indipendenti incaricati di esaminare criticamente la documentazione e le analisi economiche prodotte dall'impresa.

La valutazione combina pertanto informazioni provenienti dal produttore, analisi indipendenti e contributi degli stakeholder coinvolti nella procedura.

3.5.3 Valutazione clinica ed economica

La valutazione NICE considera sia l'efficacia clinica sia la costo-efficacia della tecnologia rispetto alle alternative pertinenti. (NICE, 2026a)

La componente clinica mira a stabilire i benefici e i rischi associati all'impiego del medicinale nella popolazione considerata. L'analisi viene effettuata in relazione al comparatore rilevante e tiene conto della qualità e dell'incertezza delle evidenze disponibili.

La componente economica valuta invece il rapporto tra le risorse impiegate e i risultati di salute prodotti. In questo contesto assume particolare rilevanza il QALY, utilizzato per combinare quantità e qualità della vita in una misura comune degli esiti di salute.

L'ICER mette in relazione la differenza nei costi tra il nuovo trattamento e il comparatore con la differenza negli esiti, frequentemente espressi in QALY.

Il modello inglese rappresenta quindi una delle applicazioni più esplicite dell'approccio basato sulla costo-efficacia discusso nel Capitolo 1. Il risultato della valutazione economica non viene tuttavia considerato isolatamente. Il comitato prende in esame anche la qualità delle evidenze, l'incertezza delle stime, gli elementi relativi alla gravità della condizione, l'impatto sulla qualità della vita e gli ulteriori fattori previsti dai metodi NICE.

La decisione non deve pertanto essere descritta come il risultato automatico dell'applicazione di una singola soglia economica. Il rapporto costo-efficacia costituisce

un elemento centrale del processo, ma viene interpretato all'interno di una valutazione più ampia.

3.5.4 La soglia di costo-efficacia

Un elemento particolarmente caratteristico del modello NICE è l'utilizzo di un intervallo di riferimento per interpretare i risultati della valutazione di costo-efficacia.

Nel corso del 2026 il quadro metodologico è stato modificato, con un aggiornamento della soglia di costo-efficacia utilizzata nelle technology appraisals. Tale modifica è stata recepita nel manuale NICE aggiornato nel marzo 2026 e deve essere tenuta presente nell'analisi dell'attuale sistema inglese. (NICE, 2026a)

La soglia non deve essere interpretata come un prezzo massimo del medicinale. Essa rappresenta piuttosto un riferimento per valutare se il costo incrementale associato ai benefici incrementali prodotti dalla tecnologia possa essere considerato compatibile con un uso costo-efficace delle risorse del NHS.

L'ICER e il relativo riferimento decisionale svolgono quindi una funzione differente rispetto alle classificazioni di beneficio terapeutico osservate in Francia e Germania. Nel sistema inglese, la valutazione economica è integrata direttamente nel giudizio sul valore della tecnologia per il NHS.

Questa caratteristica rende l'Inghilterra particolarmente utile per il confronto internazionale sviluppato nella presente tesi, poiché rappresenta un modello nel quale la relazione tra valore clinico, risultati di salute e costo è resa esplicita attraverso la valutazione economica.

3.5.5 Il Technology Appraisal Committee

Le raccomandazioni nell'ambito delle technology appraisals vengono elaborate da comitati consultivi indipendenti di NICE. L'organizzazione attuale prevede il Technology Appraisal Committee articolato in quattro branches, identificate come A, B, C e D, che operano secondo il medesimo quadro metodologico e procedurale. (NICE, 2026b)

Questa configurazione non deve essere interpretata come l'esistenza di quattro sistemi di appraisal differenti. Le quattro articolazioni consentono di distribuire il volume delle valutazioni mantenendo un quadro comune di riferimento.

I membri sono nominati per un mandato di tre anni e provengono da differenti ambiti professionali e istituzionali. NICE indica, tra le principali provenienze, il NHS, le

organizzazioni di pazienti e caregiver, il mondo accademico e l'industria farmaceutica e dei dispositivi medici. (NICE, 2026b)

La composizione multidisciplinare consente di integrare competenze cliniche, economiche, metodologiche e relative all'esperienza dei pazienti. I componenti sono assegnati a una delle quattro articolazioni e normalmente rimangono nella stessa per la durata del proprio mandato.

La ricostruzione dettagliata della composizione e delle professionalità effettivamente rappresentate nelle quattro articolazioni sarà sviluppata nel Capitolo 4 sulla base degli elenchi e delle biografie pubblicati da NICE. Ciò consentirà di distinguere, analogamente a quanto previsto per gli altri Paesi, la provenienza istituzionale dalle competenze professionali dei singoli membri.

3.5.6 Processo deliberativo e formulazione della raccomandazione

Il comitato esamina le evidenze cliniche ed economiche disponibili, le analisi indipendenti e i contributi dei soggetti coinvolti nella valutazione. (NICE, 2026a)

La deliberazione non consiste esclusivamente nell'accettazione o nel rigetto del valore di ICER prodotto dal modello economico. Il comitato deve valutare criticamente le assunzioni utilizzate, le fonti di incertezza, la trasferibilità dei risultati alla pratica clinica del NHS e gli ulteriori fattori previsti dal manuale metodologico.

A conclusione dell'appraisal, NICE può formulare differenti tipologie di raccomandazione in relazione all'utilizzo della tecnologia nel NHS. Il medicinale può essere raccomandato per l'impiego previsto, raccomandato soltanto in determinate circostanze o popolazioni, oppure non raccomandato quando le evidenze non supportino il suo utilizzo secondo i criteri applicabili. (NICE, 2026a)

In determinate situazioni, la raccomandazione può inoltre prevedere l'accesso nell'ambito di specifici meccanismi finalizzati alla gestione dell'incertezza e alla raccolta di ulteriori evidenze.

La raccomandazione NICE assume un peso particolarmente rilevante nel sistema inglese. Quando una tecnologia viene raccomandata nell'ambito delle condizioni previste dalla relativa guidance, il NHS è tenuto a rendere disponibile il finanziamento entro i termini stabiliti dalla disciplina applicabile. (NICE, 2026a)

Il ruolo del NICE si estende quindi oltre la mera produzione di un parere scientifico: la technology appraisal guidance determina concretamente le condizioni nelle quali la

tecnologia deve essere resa disponibile nel NHS, pur senza trasformare NICE nell'organismo responsabile della negoziazione generale del prezzo del medicinale.

3.5.7 Esperti esterni, pazienti e stakeholder

Il coinvolgimento degli stakeholder costituisce una componente strutturale del processo NICE.

Nel corso della technology appraisal possono essere coinvolte organizzazioni rappresentative dei pazienti e dei caregiver, associazioni professionali, esperti clinici, esperti dei pazienti, produttori della tecnologia e altri soggetti rilevanti. (NICE, 2026a)

Il contributo degli esperti clinici consente di contestualizzare le evidenze rispetto alla pratica assistenziale, mentre gli esperti dei pazienti possono fornire informazioni relative all'esperienza della malattia, ai risultati ritenuti maggiormente rilevanti e agli effetti della tecnologia sulla vita quotidiana.

NICE distingue tra organizzazioni formalmente coinvolte nel processo e ulteriori soggetti che possono fornire osservazioni e informazioni. Tale partecipazione permette al comitato di integrare le evidenze scientifiche con elementi relativi alla pratica clinica e all'esperienza dei pazienti.

Anche la gestione degli interessi costituisce un elemento formalmente regolato. NICE prevede procedure per la dichiarazione e la gestione dei conflitti di interesse dei componenti e degli altri soggetti che partecipano alle attività dei comitati. In funzione della natura e della rilevanza dell'interesse dichiarato possono essere previste limitazioni alla partecipazione alla discussione o alla decisione. (NICE, 2026b)

Nel Capitolo 4 tali meccanismi saranno confrontati con quelli previsti per gli esperti esterni e gli stakeholder negli altri quattro Paesi, distinguendo il ruolo dei membri permanenti del comitato da quello degli esperti invitati nell'ambito di una specifica appraisal.

3.5.8 Prezzo, accordi commerciali e ruolo di NHS England

La presenza di una valutazione economica esplicita potrebbe indurre a identificare la raccomandazione NICE con una decisione diretta sul prezzo del medicinale. I due aspetti devono invece essere distinti.

Un elemento centrale nel collegamento tra valutazione economica e condizioni di prezzo è rappresentato dalla soglia di costo-efficacia utilizzata da NICE. Nell'ambito delle technology appraisals, NICE considera l'ICER, espresso come costo per QALY

guadagnato, rispetto ai valori di riferimento utilizzati per valutare se una tecnologia rappresenti un impiego costo-efficace delle risorse del NHS. Nell'attuale metodologia, il range standard di riferimento è compreso tra £25.000 e £35.000 per QALY guadagnato; all'aumentare dell'ICER all'interno di tale intervallo assumono maggiore rilievo gli ulteriori fattori considerati dal Committee nella formulazione della raccomandazione (NICE, 2026a).

La soglia non costituisce un meccanismo di determinazione diretta del prezzo del medicinale, ma può influenzarlo indirettamente. Poiché il prezzo costituisce una delle componenti che incidono sull'ICER, la necessità di raggiungere un livello di costo-efficacia compatibile con i criteri NICE può favorire la definizione di condizioni economiche o accordi commerciali capaci di modificare il costo effettivo del trattamento per il NHS. In questo senso, la valutazione di costo-efficacia può esercitare un'influenza indiretta sulle condizioni di prezzo e di accesso, pur rimanendo distinta dalla negoziazione commerciale.

Il prezzo del medicinale e le eventuali condizioni commerciali possono essere oggetto di accordi tra l'impresa e i soggetti competenti del sistema sanitario. NHS England svolge un ruolo importante nelle attività commerciali relative ai medicinali e può intervenire, in particolare per prodotti caratterizzati da rilevante impatto finanziario o da specifiche esigenze di accesso, nella definizione di accordi commerciali. (NHS England, 2025)

Tali accordi possono modificare il costo effettivamente sostenuto dal NHS rispetto al prezzo di listino e possono essere utilizzati per rendere una tecnologia compatibile con i criteri di costo-efficacia o per gestire specifiche condizioni di accesso.

La relazione tra appraisal e dimensione commerciale è quindi bidirezionale. Da un lato, NICE valuta la tecnologia sulla base delle condizioni economiche rilevanti per il NHS; dall'altro, le condizioni commerciali possono essere strutturate in modo da incidere sul rapporto costo-efficacia e quindi sull'esito della valutazione.

Tra gli strumenti utilizzabili rientrano i *Patient Access Schemes* e altri *commercial arrangements*, secondo le procedure applicabili. Tali strumenti possono prevedere condizioni economiche che consentono di ridurre il costo effettivo della tecnologia per il NHS. (NICE, 2026a)

Il modello inglese deve quindi essere descritto distinguendo chiaramente la funzione valutativa di NICE dalla negoziazione e dalla gestione delle condizioni commerciali. NICE valuta se una tecnologia rappresenti un uso appropriato delle risorse del NHS; non

opera come un'autorità nazionale che attribuisce unilateralmente a ogni medicinale un prezzo negoziato.

3.5.9 Il quadro generale della regolazione dei medicinali branded

La dimensione del P&R inglese deve inoltre essere collocata nel più ampio sistema britannico di regolazione della spesa per i medicinali branded.

Dal 1° gennaio 2024 è operativo il VPAG, accordo volontario concluso tra il Department of Health and Social Care, NHS England e l'Association of the British Pharmaceutical Industry. Il sistema è previsto per il periodo 2024-2028. (DHSC, NHS England & ABPI, 2026)

Il VPAG persegue contemporaneamente obiettivi di accesso dei pazienti ai medicinali, sostenibilità finanziaria del NHS e supporto al settore delle life sciences. Il meccanismo prevede, tra gli altri elementi, pagamenti da parte delle imprese partecipanti collegati alla crescita della spesa per medicinali branded. (DHSC, NHS England & ABPI, 2026)

Accanto al regime volontario opera un sistema statutario applicabile alle imprese che non partecipano al VPAG, secondo le disposizioni previste dalla normativa britannica. (DHSC, 2026)

Questi strumenti agiscono a un livello differente rispetto alla singola technology appraisal. Il VPAG e il regime statutario concorrono infatti alla regolazione complessiva della spesa farmaceutica branded, mentre NICE valuta il valore clinico ed economico delle singole tecnologie sottoposte ad appraisal.

È quindi necessario evitare di sovrapporre i due livelli: la costo-efficacia NICE riguarda la valutazione della specifica tecnologia, mentre VPAG e statutory scheme costituiscono strumenti più ampi di politica e controllo della spesa farmaceutica.

3.5.10 Accesso e implementazione nel NHS

Una volta pubblicata la raccomandazione finale NICE, la tecnologia raccomandata deve essere resa disponibile dal NHS secondo le condizioni definite nella guidance e nel rispetto dei termini previsti. (NICE, 2026a)

L'accesso può essere subordinato alle caratteristiche della popolazione, alla linea terapeutica o alle condizioni commerciali considerate nella valutazione. Di conseguenza, una raccomandazione positiva non implica necessariamente l'utilizzo indistinto del medicinale in tutti i pazienti compresi nell'autorizzazione regolatoria.

Il sistema prevede inoltre strumenti per favorire l'accesso a medicinali innovativi in presenza di incertezza. In determinati casi possono essere utilizzati meccanismi di accesso gestito che consentono di rendere disponibile una tecnologia mentre vengono raccolte ulteriori evidenze.

NICE e NHS England operano quindi in maniera complementare: il primo definisce attraverso la propria valutazione le condizioni nelle quali l'utilizzo della tecnologia può essere raccomandato, mentre il secondo svolge le funzioni proprie del NHS relative alla commissione dei servizi, all'implementazione e, nei casi pertinenti, agli aspetti commerciali.

3.5.11 Trasparenza delle decisioni

Con riferimento alla trasparenza del processo valutativo, NICE rende pubblicamente disponibile la documentazione relativa alle diverse fasi della technology appraisal. La documentazione pubblicata comprende gli elementi relativi alla definizione iniziale dell'ambito della valutazione (scoping), le evidenze considerate nel processo, la documentazione relativa alle valutazioni e alle consultazioni e, infine, la raccomandazione conclusiva. Tale disponibilità documentale consente di ricostruire le principali fasi del processo valutativo, dagli elementi che definiscono l'ambito dell'appraisal fino alla decisione finale di NICE (NICE, 2026a).

3.5.12 Sintesi del processo inglese di P&R

Nel complesso, il modello inglese si caratterizza per una forte integrazione tra valutazione clinica ed economica nell'ambito dell'HTA.

Dopo l'autorizzazione regolatoria e l'avvio della technology appraisal, l'impresa presenta a NICE le evidenze cliniche ed economiche relative al medicinale. Tali evidenze vengono sottoposte a valutazione critica indipendente e successivamente esaminate dal Technology Appraisal Committee, insieme ai contributi degli esperti e degli stakeholder. Il comitato considera il beneficio clinico, il rapporto costo-efficacia, l'incertezza e gli ulteriori elementi previsti dai metodi NICE, formulando quindi una raccomandazione relativa all'utilizzo della tecnologia nel NHS.

Parallelamente, le condizioni commerciali possono essere definite attraverso l'interazione tra l'impresa e i soggetti competenti, in particolare NHS England, e possono essere incorporate nella valutazione economica della tecnologia.

In forma schematica, il percorso può essere sintetizzato come in figura 5.

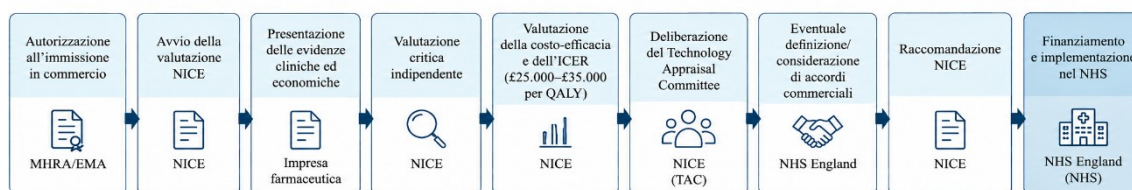


Figura 5. Processo di P&R dei medicinali in Inghilterra.

Fonte: elaborazione propria.

La sequenza costituisce una rappresentazione funzionale del processo e non implica che la componente commerciale e la valutazione NICE si svolgano necessariamente in fasi completamente separate o rigidamente successive.

Rispetto agli altri Paesi analizzati, l’Inghilterra presenta una caratteristica particolarmente rilevante: la valutazione economica e il rapporto costo-efficacia sono integrati esplicitamente nel processo attraverso cui viene formulata la raccomandazione sull’utilizzo della tecnologia nel NHS. Ciò differenzia il modello inglese sia dai sistemi nei quali il VTA costituisce il principale collegamento tra assessment e successiva negoziazione, sia dal modello italiano, nel quale valutazione e supporto alla negoziazione sono attualmente riuniti nell’ambito della CSE.

Nel Capitolo 4 il confronto sarà approfondito analizzando l’organizzazione del Technology Appraisal Committee, le professionalità rappresentate, la durata degli incarichi, le regole deliberative, il ruolo degli esperti clinici e dei pazienti, le modalità di gestione dei conflitti di interesse e la relazione funzionale tra NICE e gli organismi responsabili degli aspetti commerciali.

CAPITOLO 4 – ANALISI COMPARATIVA DEGLI ASSETTI ORGANIZZATIVI E DI GOVERNANCE

4.1 Impostazione dell'analisi comparativa

Dopo aver ricostruito nel Capitolo 3 il processo di P&R nei cinque Paesi considerati, il presente capitolo sviluppa il confronto degli assetti organizzativi e delle modalità di governance che caratterizzano tali processi.

La comparazione viene condotta secondo la griglia metodologica definita nel Capitolo 2 e adotta un criterio prevalentemente funzionale. Non si assume, pertanto, che in ciascun sistema esista un unico organismo direttamente equivalente a quelli presenti negli altri Paesi. Vengono invece individuati gli organismi che esercitano le principali funzioni di valutazione, determinazione del valore terapeutico, supporto alla negoziazione, determinazione delle condizioni economiche e formulazione della decisione o raccomandazione finale.

L'analisi considera, in primo luogo, composizione, professionalità, provenienza istituzionale, modalità di nomina e regole decisionali. In secondo luogo, vengono confrontati il ricorso a esperti esterni, le modalità del loro coinvolgimento, la partecipazione di pazienti e altri stakeholder e gli strumenti previsti per la gestione dei conflitti di interesse.

CAPITOLO 4 – ANALISI COMPARATIVA DEGLI ASSETTI ORGANIZZATIVI E DI GOVERNANCE

Tabella 2. Struttura e regole decisionali degli organismi rilevanti nei sistemi di P&R

Dimensione	Italia	Francia	Germania	Spagna	Inghilterra
Organismo/i principale/i	AIFA – CSE	HAS – CT; CEESP; CEPS	G-BA; IQWiG; GKV-Spitzenverband	AEMPS; CIPM	NICE – TAC; NHS England/DHSC
Funzione nel P&R	Valutazione scientifica/economica e supporto alla negoziazione	CT: SMR/ASMR; CEESP: valutazione economica; CEPS: prezzo	IQWiG: assessment; G-BA: beneficio aggiunto; GKV-SV: negoziazione	AEMPS: valutazione/posizionamento; CIPM: prezzo	TAC: appraisal clinico-economico e raccomandazione
Numero componenti	CSE: 10	CT: 29 votanti (22 titolari + 7 supplenti) + 6 rappresentanti istituzionali	Plenum G-BA: 13 votanti	Composizione istituzionale aggiornata periodicamente	TAC articolato in quattro branches A–D
Professionalità / competenze	Cliniche, farmacologiche, economico-sanitarie, farmaceutiche e organizzative	Cliniche, farmacologiche, farmaceutiche, metodologiche; pazienti/utenti	Plenum basato soprattutto sulla rappresentanza istituzionale	Prevalentemente istituzionali e amministrative	NHS, pazienti/caregiver, accademia, industria; competenze multidisciplinari
Provenienza istituzionale	2 di diritto; 4 Salute; 1 MEF; 3 Stato-Regioni	HAS + rappresentanti istituzionali previsti	3 imparziali; 5 GKV-SV; 5 providers	Amministrazione centrale + Comunità Autonome	NHS, associazioni, università/accademia, industria
Nomina	Decreto del Ministro della Salute	Secondo disciplina HAS	Secondo struttura dell'autogoverno G-BA	Incarichi/designazioni istituzionali	Nomina NICE
Durata incarico	3 anni (non di diritto)	3 anni	Secondo mandato G-BA	Dipende dall'incarico/rappresentanza	3 anni
Rinnovo	Una volta consecutivamente	Secondo disciplina HAS	Secondo regole G-BA	Non uniformemente assimilabile a mandato personale	Secondo procedure NICE

Dimensione	Italia	Francia	Germania	Spagna	Inghilterra
Quorum	Maggioranza dei componenti; regola specifica in caso di vacanze	Almeno 12 membri con voce deliberativa	Secondo Geschäftsordnung G-BA	Secondo regolamento CIPM/norme sugli organi collegiali	Secondo standing orders NICE
Maggioranza	Maggioranza semplice	Maggioranza dei voti espressi	Di regola almeno 7 voti favorevoli su 13	Secondo regolamento applicabile	Normalmente consenso; voto se necessario
Modalità di voto	Palese; dissenso/astensione motivati; parità: prevale Presidente	Votazione; parità: prevale voto del Presidente	Un voto per componente, salvo regole settoriali	Secondo disciplina applicabile	Consenso; eventuale voto secondo standing orders
Natura dell'esito	Parere endoprocedimentale CSE	CT: avis; CEESP: avis economico; CEPS: accordo/decisione prezzo	Decisione G-BA + successivo accordo sul rimborso	Decisione prezzo + risoluzione di finanziamento	Raccomandazione NICE
Carattere dell'esito	Generalmente obbligatorio non vincolante; vincolante nei casi previsti	Informa rimborso/prezzo; non coincide con decisione CEPS	Base formale della negoziazione successiva	Incide su prezzo e finanziamento SNS	Raccomandazione positiva comporta obblighi di finanziamento secondo le regole applicabili

Fonte: elaborazione propria sulla base della normativa e della documentazione istituzionale analizzate.

Tabella 3. Esperti esterni, stakeholder e conflitti di interesse

Dimensione	Italia	Francia	Germania	Spagna	Inghilterra
Ricorso a esperti esterni	Sì	Sì	Sì, con modalità diverse per IQWiG e G-BA	Possibile nelle attività tecnico-scientifiche	Sì
Quando / perché	Questioni specifiche che richiedono competenze tecnico-scientifiche	Necessità di competenze specialistiche aggiuntive	Supporto scientifico e consultazione nel benefit assessment	Esigenze tecnico-scientifiche della valutazione	Competenze cliniche, esperienza dei pazienti e interpretazione delle evidenze
Selezione	AIFA seleziona esperti di comprovata competenza	Procedure HAS e verifica degli interessi	Procedure proprie di IQWiG/G-BA	Procedure dell'organismo valutativo	Secondo procedure NICE
Ambito di intervento	Specifiche questioni tecnico-scientifiche	Supporto specialistico alla valutazione	Supporto scientifico/consultivo	Supporto alla valutazione tecnico-scientifica	Pratica clinica, evidenze, esperienza della malattia
Potere decisionale esperti	No	No	No, salvo appartenenza formale all'organo decisionale	No, se esperti esterni	No
COI – membri	Dichiarazioni e aggiornamenti; incompatibilità e regole di condotta	Policy HAS e dichiarazioni pubbliche	Regole di trasparenza e gestione degli interessi	Regole di imparzialità, astensione e conflitto	Policy NICE; possibili limitazioni/esclusione
COI – esperti	Valutazione preventiva delle dichiarazioni di interessi	Verifica prima del coinvolgimento	Secondo procedure dell'organismo	Secondo procedure applicabili	Dichiarazione e valutazione di compatibilità
Pazienti	Possibili audizioni; funzione informativa	Rappresentati nella CT e contributi associativi	Partecipano al G-BA con consultazione/proposta, senza voto	Partecipazione nei processi di valutazione/consultazione	Membri e patient experts/organizzazioni consultee
Altri stakeholder	Società scientifiche; impresa nei casi previsti	Associazioni, professionisti e altri soggetti	Impresa, società scientifiche, professionisti e aventi titolo	Comunità Autonome e altri soggetti secondo procedura	Professionisti, produttori, NHS, consultees/commentators

Dimensione	Italia	Francia	Germania	Spagna	Inghilterra
Ruolo stakeholder	Informativo/consultivo	Consultivo/informativo	Consultivo e partecipativo	Variabile secondo organismo e funzione	Consultivo; deliberazione al TAC

Fonte: elaborazione propria sulla base della normativa e della documentazione istituzionale analizzate.

4.2 Differenze nell'architettura istituzionale dei processi di P&R

Il confronto tra i cinque Paesi evidenzia innanzitutto come funzioni sostanzialmente riconducibili al processo di P&R siano distribuite tra gli organismi competenti secondo architetture istituzionali differenti. La comparazione non può quindi fondarsi sulla ricerca di una perfetta equivalenza tra singole commissioni, ma deve considerare la funzione svolta da ciascun organismo all'interno del rispettivo processo decisionale.

L'Italia rappresenta, tra i sistemi analizzati, un modello caratterizzato da una significativa concentrazione delle funzioni all'interno dell'AIFA. La CSE, istituita nell'ambito della riorganizzazione dell'AIFA, ha infatti assorbito le funzioni precedentemente attribuite alla Commissione tecnico-scientifica (CTS) e al Comitato prezzi e rimborso (CPR). In questo modo, valutazione scientifica e aspetti economici e negoziali vengono ricondotti a un unico organismo collegiale, pur rimanendo distinta la fase istruttoria svolta dagli uffici dell'Agenzia e la successiva adozione dei provvedimenti finali da parte degli organi competenti di AIFA.

Questa soluzione differisce sensibilmente da quella francese, nella quale le diverse funzioni risultano maggiormente distribuite tra organismi distinti. La CT della HAS svolge la valutazione clinica del medicinale, esprimendosi in particolare sul Service Médical Rendu (SMR) e sull'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR). Nei casi previsti, la valutazione economica viene invece effettuata dalla CEESP, mentre la determinazione del prezzo coinvolge il CEPS. Ne deriva una maggiore separazione istituzionale tra valutazione clinica, valutazione economica e determinazione delle condizioni economiche di accesso.

Anche il sistema tedesco presenta una significativa distribuzione delle funzioni, ma secondo una logica differente. Nell'ambito del procedimento introdotto dall'AMNOG, l'IQWiG può essere incaricato della valutazione scientifica del dossier presentato dall'impresa, mentre la decisione sul beneficio aggiunto compete al G-BA. Tale decisione costituisce successivamente un elemento fondamentale per la negoziazione dell'importo di rimborso tra l'impresa farmaceutica e il GKV-SV. Assessment scientifico, decisione sul beneficio e negoziazione economica risultano pertanto collocati in momenti distinti e attribuiti a soggetti differenti.

In Spagna è ugualmente rilevante la distinzione tra valutazione tecnico-scientifica e determinazione delle condizioni economiche. L'AEMPS svolge un ruolo centrale nella valutazione e nel posizionamento terapeutico dei medicinali, mentre la CIPM interviene

nella determinazione del prezzo nell'ambito del finanziamento pubblico. Una caratteristica particolarmente rilevante del modello spagnolo è inoltre la partecipazione delle Comunità Autonome alla CIPM, elemento che introduce nella governance del P&R una componente territoriale particolarmente evidente.

Il modello inglese presenta infine una separazione ancora diversa tra valutazione e dimensione commerciale. NICE, attraverso i Technology Appraisal Committees, valuta le evidenze cliniche ed economiche e formula raccomandazioni sull'utilizzo delle tecnologie nel NHS. NICE non deve quindi essere interpretato come un organismo di negoziazione del prezzo direttamente equivalente alla CSE italiana o al CEPS francese. Gli aspetti commerciali e gli eventuali accordi relativi all'accesso coinvolgono infatti ulteriori soggetti, tra cui NHS England e, a seconda dello strumento considerato, il Department of Health and Social Care.

Il primo elemento che emerge dal confronto è dunque l'assenza di un unico modello organizzativo europeo. I cinque sistemi perseguono finalità in parte comuni – valutare il valore del medicinale, determinarne le condizioni di accesso e garantire la sostenibilità della spesa – ma distribuiscono tali funzioni in maniera differente. In particolare, il sistema italiano presenta una maggiore integrazione delle funzioni scientifiche ed economiche nella CSE, mentre Francia e Germania mostrano una più evidente separazione tra assessment, decisione e negoziazione. Spagna e Inghilterra presentano a loro volta configurazioni peculiari, rispettivamente caratterizzate dal rilievo della rappresentanza territoriale e dalla centralità dell'HTA nella formulazione delle raccomandazioni di accesso.

4.3 Composizione degli organismi e professionalità rappresentate

Una seconda dimensione rilevante riguarda la composizione degli organismi analizzati. Il confronto mostra che la composizione delle commissioni non risponde esclusivamente alla necessità di disporre di competenze tecnico-scientifiche, ma riflette anche il diverso assetto istituzionale dei sistemi sanitari nei quali esse operano.

La CSE italiana è composta da dieci membri. Accanto ai due componenti di diritto – il Direttore tecnico-scientifico dell'AIFA e il Presidente dell'Istituto Superiore di Sanità o un suo delegato – sono presenti componenti designati dal Ministro della Salute, dal Ministro dell'Economia e delle Finanze e dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome. La composizione combina quindi

competenze tecnico-scientifiche con una precisa articolazione delle provenienze istituzionali.

L'analisi dei profili professionali dei componenti consente inoltre di evidenziare una pluralità di competenze, comprendenti aree cliniche, farmacologiche, farmaceutiche, economico-sanitarie e di organizzazione e politica del farmaco. Questo elemento è particolarmente importante ai fini della presente ricerca: la sola indicazione del soggetto che designa ciascun componente non sarebbe infatti sufficiente a descrivere la competenza effettivamente presente all'interno della Commissione. La provenienza istituzionale e la professionalità costituiscono pertanto due dimensioni distinte della governance.

Una logica differente emerge in Francia. La CT presenta una composizione numericamente più ampia e prevalentemente tecnico-scientifica. Il mandato in corso, relativo al periodo novembre 2024-novembre 2027, prevede 29 membri con voce deliberativa, di cui 22 titolari e 7 supplenti, oltre a rappresentanti istituzionali. I profili dei membri mostrano la presenza di numerose specialità cliniche, insieme a competenze di farmacologia, biostatistica e metodologia e alla presenza di membri provenienti dalle associazioni di pazienti e utenti del sistema sanitario. La composizione appare pertanto coerente con la funzione primaria della CT, concentrata sulla valutazione del beneficio clinico del medicinale.

Il caso tedesco è strutturalmente differente. Il Plenum del G-BA comprende tredici membri con diritto di voto: tre membri imparziali, inclusa la presidenza, cinque componenti designati dal GKV-SV e cinque appartenenti alle organizzazioni rappresentative dei fornitori di assistenza sanitaria. La composizione non è quindi costruita principalmente come un collegio di specialisti selezionati in funzione della singola valutazione, ma riflette la struttura dell'autogoverno del sistema sanitario tedesco. Le competenze scientifiche necessarie all'assessment possono essere acquisite anche attraverso il ruolo dell'IQWiG e attraverso le procedure di consultazione previste nel procedimento.

Nel sistema spagnolo la composizione della CIPM riflette invece in maniera particolarmente evidente la dimensione istituzionale del processo decisionale. Accanto alla Presidenza e alla Vicepresidenza sono rappresentati diversi Ministeri e le Comunità Autonome. Tale configurazione evidenzia come la decisione sul prezzo non sia costruita

esclusivamente come valutazione tecnico-scientifica, ma incorpori direttamente esigenze di politica sanitaria, finanza pubblica e coordinamento territoriale.

NICE adotta un ulteriore modello. I Technology Appraisal Committees sono articolati in quattro branches, A, B, C e D, che operano nell'ambito del medesimo sistema di technology appraisal. I membri sono nominati per un periodo di tre anni e provengono dal NHS, dalle organizzazioni di pazienti e caregiver, dal mondo accademico e dall'industria farmaceutica e dei dispositivi medici. Ne deriva una composizione deliberatamente multidisciplinare, nella quale prospettive cliniche, economiche, organizzative e dei pazienti possono concorrere alla valutazione.

Il confronto evidenzia pertanto almeno tre logiche di composizione. Una prima è prevalentemente tecnico-scientifica, particolarmente visibile nella CT francese e nei TAC del NICE; una seconda attribuisce maggiore peso alla rappresentanza istituzionale e degli attori del sistema sanitario, come nel G-BA tedesco e nella CIPM spagnola; una terza combina le due dimensioni, come avviene nella CSE italiana. Tali differenze sono rilevanti perché la composizione dell'organismo determina quali competenze e quali prospettive siano incorporate direttamente nel momento deliberativo e quali, invece, debbano essere acquisite attraverso istruttorie tecniche, consultazioni o ricorso a esperti esterni.

4.4 Regole decisionali, quorum e modalità di deliberazione

La comparazione delle regole decisionali consente di osservare un ulteriore elemento di differenziazione tra i sistemi analizzati. La composizione di una commissione, infatti, non è sufficiente a comprenderne la governance: occorre considerare anche in quali condizioni l'organo possa validamente deliberare e con quale maggioranza vengano assunte le decisioni.

Il regolamento della CSE italiana disciplina in maniera esplicita tali aspetti. Per la validità delle sedute è richiesta la presenza della maggioranza dei componenti; il regolamento contempla inoltre il caso di vacanze nella composizione dell'organo. Le deliberazioni sono adottate a maggioranza semplice, il voto è palese e le eventuali astensioni o posizioni dissenzianti devono essere motivate. In caso di parità prevale il voto del Presidente. Il modello italiano presenta quindi una formalizzazione relativamente dettagliata del processo deliberativo.

Anche la CT francese dispone di regole esplicite. Il regolamento interno stabilisce che le deliberazioni siano valide quando siano presenti almeno dodici membri con voce

deliberativa. La formalizzazione del quorum assume particolare rilievo considerando la maggiore numerosità della Commissione e contribuisce a garantire che il parere non sia formulato da una porzione eccessivamente ridotta del collegio.

Nel G-BA tedesco la relazione tra composizione e voto assume una valenza particolarmente significativa. Ciascuno dei tredici membri del Plenum dispone, di regola, di un voto e, salvo eccezioni previste dalla Geschäftsordnung, una deliberazione viene approvata quando raccoglie almeno sette voti. Sono inoltre previste regole specifiche per determinate decisioni che riguardano particolari settori assistenziali. La regola della maggioranza deve pertanto essere letta congiuntamente alla struttura rappresentativa del Plenum: il processo deliberativo non coinvolge semplicemente esperti individuali, ma soggetti collocati all'interno dell'architettura dell'autogoverno sanitario.

Per la CIPM spagnola la dimensione deliberativa deve essere letta insieme alla sua natura di organo collegiale interministeriale e alla rappresentanza delle Comunità Autonome. La documentazione pubblica relativa alle riunioni consente inoltre di distinguere gli accordi assunti dalla Commissione dal successivo provvedimento definitivo. Gli accordi della CIPM non costituiscono infatti necessariamente l'atto conclusivo immediatamente efficace: è previsto il successivo procedimento amministrativo, comprensivo della possibilità per l'impresa di formulare osservazioni prima dell'adozione della risoluzione definitiva.

Nel sistema NICE assume invece particolare rilievo la deliberazione collegiale basata sulla discussione delle evidenze. Il Technology Appraisal Committee esamina la documentazione scientifica ed economica insieme ai contributi provenienti dagli esperti e dagli stakeholder coinvolti nel procedimento. Il sistema privilegia la ricerca del consenso nell'elaborazione della raccomandazione, mentre l'eventuale ricorso a una votazione formale è disciplinato dalle regole applicabili al Committee.

Le differenze nelle regole decisionali mostrano quindi che la governance non può essere ricondotta esclusivamente alla presenza o meno di una maggioranza numerica. Nei modelli maggiormente rappresentativi, come quello tedesco, la distribuzione dei voti riflette l'equilibrio tra gli attori istituzionali del sistema; nei modelli maggiormente tecnico-scientifici, il momento deliberativo è invece strettamente collegato alla discussione collegiale delle evidenze. Il caso italiano presenta caratteristiche intermedie, combinando una composizione istituzionalmente definita con regole formali di deliberazione e voto.

4.5 Esperti esterni, pazienti e altri stakeholder

Il ricorso a soggetti esterni agli organismi decisionali rappresenta un'ulteriore dimensione rilevante della governance. La presenza di esperti esterni consente infatti di integrare competenze altamente specialistiche che non potrebbero essere stabilmente rappresentate all'interno di una commissione permanente. Parallelamente, il coinvolgimento dei pazienti permette di incorporare nel processo elementi relativi all'esperienza della malattia, agli outcome ritenuti rilevanti e all'impatto concreto dei trattamenti.

In Italia, il regolamento della CSE prevede espressamente la possibilità per AIFA di selezionare esperti individuali dotati di comprovata competenza tecnico-scientifica a livello nazionale o internazionale. Il loro coinvolgimento può riguardare specifiche questioni sottoposte alla Commissione e può avvenire anche attraverso gruppi di lavoro. L'esperto svolge quindi una funzione di supporto alla decisione, senza sostituirsi alla Commissione nella titolarità della deliberazione.

Il regolamento contempla inoltre il coinvolgimento delle associazioni dei pazienti e delle società scientifiche mediante audizioni. In questo caso la funzione è essenzialmente informativa: il contributo degli stakeholder amplia la base conoscitiva disponibile alla CSE, ma non attribuisce loro un potere deliberativo.

Anche il modello francese ricorre a competenze esterne. La stessa HAS evidenzia come l'attività della CT possa essere integrata dal parere di esperti esterni e, quando pertinente, dai contributi delle associazioni di pazienti e utenti. La partecipazione dei pazienti assume inoltre una dimensione strutturale, poiché alcuni membri della CT provengono direttamente da associazioni di malati e utenti del sistema sanitario.

Nel sistema tedesco la partecipazione assume una configurazione ancora differente. I rappresentanti dei pazienti partecipano alle attività del G-BA e dispongono di ampi diritti di consultazione e di proposta, pur non disponendo del diritto di voto nel Plenum. Ciò determina una distinzione particolarmente interessante tra capacità di incidere sull'agenda e sulla discussione e titolarità formale della decisione.

Il modello NICE presenta uno dei sistemi più strutturati di coinvolgimento degli esperti nel singolo appraisal. Possono essere selezionati clinical experts, patient experts e NHS commissioning experts sulla base delle candidature ricevute e delle competenze rilevanti per la tecnologia e la patologia considerate. Gli esperti contribuiscono alla comprensione delle evidenze e delle aree di incertezza, ma non assumono la funzione deliberativa propria dei membri del Committee. La partecipazione non riguarda inoltre soltanto esperti

individuali: organizzazioni di pazienti, professionisti sanitari, produttori e altri consultees e commentators possono contribuire al processo secondo le rispettive modalità previste da NICE.

Il confronto suggerisce pertanto una distinzione tra partecipazione **interna** ed **esterna** alla governance. Nel primo caso, determinate prospettive – come quella dei pazienti nella CT francese o nei TAC NICE – sono rappresentate nella stessa composizione dell'organismo. Nel secondo, vengono acquisite mediante audizioni, consultazioni o esperti invitati, come avviene in maniera più evidente nella CSE. Il G-BA presenta una configurazione ulteriore, nella quale i rappresentanti dei pazienti partecipano formalmente al processo e dispongono di diritti procedurali senza essere titolari del voto finale.

4.6 Gestione dei conflitti di interesse e indipendenza della valutazione

L'apertura delle commissioni a professionalità differenti, esperti esterni, pazienti e stakeholder rende centrale la gestione dei conflitti di interesse. Tale dimensione non costituisce soltanto un requisito formale, ma rappresenta uno degli strumenti attraverso i quali le istituzioni cercano di garantire indipendenza, trasparenza e credibilità alla valutazione.

Nel sistema italiano il regolamento della CSE disciplina le dichiarazioni di interessi dei componenti e degli esperti. Per gli esperti esterni, in particolare, il coinvolgimento è preceduto dalla valutazione delle dichiarazioni di interessi. Anche i rappresentanti di associazioni di pazienti e società scientifiche chiamati in audizione sono sottoposti agli obblighi dichiarativi previsti. La disciplina distingue quindi tra partecipazione alla decisione e contributo informativo, ma applica la necessità di verificare gli interessi anche ai soggetti che intervengono dall'esterno.

La HAS francese collega esplicitamente l'attività della CT ai principi di rigore scientifico, trasparenza e indipendenza. I membri della Commissione, il personale coinvolto nell'istruttoria e gli esperti esterni sono soggetti a una politica di prevenzione dei conflitti di interesse. La gestione dell'indipendenza assume pertanto carattere trasversale rispetto alle diverse figure che contribuiscono alla valutazione.

Analoghe esigenze sono presenti negli altri sistemi, sebbene attraverso strumenti organizzativi differenti. Nel sistema NICE, i membri e i soggetti che contribuiscono direttamente alla discussione dichiarano i propri interessi; la presenza di un conflitto può determinare limitazioni alla partecipazione o, nei casi rilevanti, l'esclusione del membro

dalla specifica appraisal. La selezione degli esperti tiene inoltre conto preventivamente dei possibili conflitti.

Dal confronto emerge che la gestione del conflitto di interesse non può essere considerata separatamente dalle modalità di partecipazione. Quanto più il procedimento incorpora contributi provenienti da soggetti differenti – clinici, economisti, industria, pazienti, società scientifiche e amministrazioni – tanto maggiore diventa la necessità di rendere trasparenti le relazioni rilevanti e di stabilire in anticipo le condizioni della partecipazione. La gestione degli interessi costituisce pertanto una componente strutturale della governance del P&R e non un elemento meramente accessorio.

4.7 Sintesi comparativa dei modelli di governance

L'analisi congiunta dei cinque sistemi evidenzia come obiettivi simili possano essere perseguiti attraverso configurazioni istituzionali profondamente differenti. In tutti i Paesi considerati è possibile individuare una combinazione di valutazione scientifica, considerazione delle conseguenze economiche e definizione delle condizioni di accesso; ciò che cambia è il modo in cui tali funzioni vengono distribuite tra organismi e fasi del procedimento.

L'Italia si caratterizza attualmente per un grado relativamente elevato di integrazione delle funzioni nella CSE, nella quale convergono le competenze precedentemente attribuite alla CTS e al CPR. La Francia mantiene una distinzione più evidente tra valutazione clinica, valutazione economica e determinazione del prezzo. La Germania separa in maniera netta l'assessment tecnico-scientifico, la decisione sul beneficio aggiunto e la successiva negoziazione dell'importo di rimborso. La Spagna combina una valutazione tecnico-scientifica con un processo di determinazione del prezzo caratterizzato da una significativa presenza delle amministrazioni centrali e territoriali. L'Inghilterra attribuisce invece particolare centralità alla valutazione clinica ed economica condotta nell'ambito del NICE, mantenendo distinta la dimensione commerciale.

Anche la composizione degli organismi riflette differenti concezioni della governance. Alcuni sistemi privilegiano la multidisciplinarietà tecnico-scientifica, altri la rappresentanza degli attori istituzionali e del sistema sanitario, mentre altri ancora combinano entrambe le logiche. La stessa eterogeneità emerge nelle modalità di coinvolgimento dei pazienti: questi possono essere membri dell'organismo, partecipanti

senza diritto di voto, esperti della singola valutazione oppure soggetti ascoltati attraverso audizioni e consultazioni.

Un ulteriore elemento comune è rappresentato dalla necessità di integrare competenze specialistiche senza compromettere l'indipendenza della valutazione. Il ricorso agli esperti esterni è presente, con forme differenti, nei sistemi considerati e si accompagna a meccanismi di dichiarazione e gestione degli interessi. La comparazione suggerisce quindi che il problema organizzativo non consiste soltanto nell'individuare quali competenze debbano partecipare al processo, ma anche nel definire in quale fase esse debbano intervenire, con quale ruolo e attraverso quali garanzie di indipendenza.

Nel complesso, non emerge un modello organizzativo unico di P&R. La principale differenza riguarda piuttosto il bilanciamento tra tre dimensioni: **integrazione delle funzioni, specializzazione degli organismi e rappresentanza degli stakeholder istituzionali e sociali**. Il confronto consente quindi di interpretare i sistemi di P&R non soltanto sulla base dei criteri utilizzati per attribuire valore ai medicinali, ma anche sulla base dell'architettura decisionale attraverso la quale tale valore viene tradotto in condizioni concrete di rimborso e accesso.

CONCLUSIONI

Il presente lavoro ha analizzato in prospettiva comparativa i processi di Pricing & Reimbursement dei medicinali in Italia, Francia, Germania, Spagna e Inghilterra, con particolare attenzione agli assetti organizzativi e alle regole di governance che accompagnano la valutazione e la decisione pubblica. L'obiettivo non è stato individuare un modello nazionale preferibile, ma comprendere come sistemi sanitari accomunati dalla necessità di conciliare accesso all'innovazione, appropriatezza e sostenibilità economica traducano tali obiettivi in strutture istituzionali, competenze e procedure differenti. In questa prospettiva, l'analisi ha affiancato alla ricostruzione del processo complessivo di P&R l'esame di chi valuta, chi decide, secondo quali regole e con quale contributo di professionalità, esperti e stakeholder.

Il confronto dei cinque Paesi conferma, infatti, l'assenza di un unico modello europeo di organizzazione del P&R. Le differenze non riguardano soltanto i criteri utilizzati per valutare i medicinali, ma anche la distribuzione delle funzioni lungo il procedimento. In Italia la CSE concentra oggi, all'interno dell'AIFA, competenze che in precedenza erano ripartite tra organismi distinti, pur restando separate l'attività istruttoria degli uffici e l'adozione dei provvedimenti finali. In Francia il processo presenta una maggiore specializzazione funzionale, con la CT per la valutazione clinica, la CEESP per la valutazione economica nei casi previsti e il CEPS per la determinazione del prezzo. In Germania la valutazione scientifica, la decisione sul beneficio aggiuntivo e la successiva negoziazione dell'importo di rimborso sono attribuite a soggetti differenti. In Spagna la valutazione tecnico-scientifica e il posizionamento terapeutico si affiancano alla competenza della CIPM in materia di prezzo e finanziamento, con una rilevante componente di rappresentanza territoriale. In Inghilterra, infine, NICE svolge un ruolo centrale nella valutazione clinica ed economica e nella formulazione delle raccomandazioni per il NHS, mentre gli aspetti commerciali seguono sedi e strumenti ulteriori.

Queste configurazioni mostrano che l'integrazione delle funzioni e la loro separazione costituiscono due diverse modalità di organizzare il medesimo problema decisionale. Un modello più integrato può concentrare in una sede comune la lettura delle evidenze cliniche ed economiche e il confronto sulle condizioni di rimborso; un modello maggiormente specializzato rende invece più visibili i passaggi tra assessment, appraisal e decisione e attribuisce compiti distinti a organismi con funzioni specifiche. Il lavoro

svolto non consente di stabilire quale configurazione produca risultati migliori in termini di tempi di accesso, prezzi, appropriatezza o sostenibilità, perché tali outcome non sono stati oggetto di una misurazione comparativa. Il dato rilevante ai fini della ricerca è piuttosto che la struttura organizzativa condiziona il percorso attraverso cui le evidenze vengono trasformate in una decisione pubblica.

Una seconda dimensione significativa riguarda la composizione degli organismi. L'analisi ha evidenziato l'importanza di distinguere due aspetti che possono facilmente essere sovrapposti: la provenienza istituzionale dei componenti e le professionalità rappresentate. La prima consente di comprendere quali amministrazioni, livelli di governo o attori del sistema sanitario partecipino formalmente alla governance; la seconda permette invece di osservare quali competenze tecniche siano disponibili nel processo deliberativo. La presenza di medici, farmacologi, farmacisti, economisti sanitari, metodologi, statistici o altre figure specialistiche risponde all'esigenza di valutare tecnologie complesse attraverso prospettive differenti, mentre la rappresentanza di amministrazioni centrali, livelli territoriali, assicurazioni sanitarie o soggetti erogatori riflette la distribuzione delle responsabilità nel sistema sanitario di riferimento.

Da questo punto di vista, i cinque sistemi non si dispongono lungo una semplice contrapposizione tra organismi tecnici e organismi politici. Emergono piuttosto combinazioni differenti tra competenza tecnico-scientifica e rappresentanza istituzionale. La CT e i Technology Appraisal Committees di NICE attribuiscono particolare rilievo alla multidisciplinarietà della valutazione; il G-BA tedesco incorpora in modo strutturale la logica dell'autogoverno del sistema sanitario; la CIPM spagnola rende particolarmente visibile la dimensione istituzionale e territoriale; la CSE italiana combina componenti di nomina istituzionale con professionalità chiamate a sostenere una valutazione scientifica ed economica integrata. Questa eterogeneità conferma l'utilità di non limitare il confronto al numero dei membri o all'autorità che li nomina, ma di osservare congiuntamente competenze, provenienza e funzione esercitata.

Un terzo risultato riguarda le regole con cui gli organismi trasformano il confronto tecnico in una deliberazione. Quorum, maggioranze, modalità di voto, gestione delle astensioni e soluzione delle situazioni di parità non rappresentano dettagli meramente procedurali. Essi definiscono le condizioni minime perché una decisione collegiale possa essere considerata valida e contribuiscono alla trasparenza e alla tracciabilità del procedimento. La comparazione ha mostrato livelli differenti di formalizzazione e di pubblicità di tali

regole. In alcuni sistemi esse sono esplicitamente disciplinate nei regolamenti dell'organismo; in altri la documentazione disponibile enfatizza maggiormente il processo di discussione, la formazione del giudizio e la motivazione della raccomandazione. Anche in questo caso, la comparazione richiede cautela: l'assenza di una regola identica non implica l'assenza di governance, ma segnala modalità differenti di strutturare la responsabilità collegiale.

Particolarmente rilevante, anche alla luce dell'elevata specializzazione richiesta nella valutazione dei medicinali, è il ricorso a esperti esterni. Nessuna commissione può incorporare stabilmente tutte le competenze cliniche, metodologiche ed economiche necessarie per ogni tecnologia esaminata. Per questo i sistemi considerati prevedono, con modalità differenti, la possibilità di acquisire contributi specialistici su specifiche patologie, tecnologie, aspetti metodologici o esperienze di cura. L'analisi suggerisce tuttavia di mantenere distinta la funzione consultiva da quella deliberativa: l'esperto può ampliare la base informativa disponibile, ma ciò non significa necessariamente che partecipi alla decisione finale o disponga di diritto di voto. La distinzione tra membro dell'organismo, esperto chiamato per una singola valutazione e stakeholder consultato è quindi essenziale per interpretare correttamente la governance.

La partecipazione dei pazienti e degli altri stakeholder costituisce un ulteriore ambito nel quale le differenze nazionali sono rilevanti. Il contributo può essere incorporato attraverso membri stabilmente presenti nell'organismo, rappresentanti senza diritto di voto, audizioni, osservazioni scritte, consultazioni o partecipazione come esperti nell'ambito di una specifica valutazione. Queste forme non sono equivalenti, perché attribuiscono livelli diversi di continuità e di influenza sul procedimento. Nel complesso, tuttavia, il confronto mostra una tendenza comune a riconoscere che la valutazione del valore di un medicinale non dipende esclusivamente dai risultati degli studi clinici, ma può richiedere anche informazioni sull'esperienza della malattia, sui bisogni non soddisfatti, sull'impatto dei trattamenti e sulle condizioni concrete di utilizzo nel sistema sanitario.

L'apertura del processo a competenze e interessi differenti rende centrale la gestione dei conflitti di interesse. Dichiarazioni preventive, valutazione degli interessi dichiarati, eventuali limitazioni alla partecipazione e regole specifiche per esperti e stakeholder rappresentano strumenti attraverso cui le istituzioni cercano di preservare indipendenza e credibilità della valutazione. La gestione del conflitto non deve essere interpretata come un elemento separato dalla partecipazione, ma come una condizione che consente di

utilizzare conoscenze esterne e punti di vista diversi mantenendo trasparente il rapporto tra contributo informativo e responsabilità decisionale. La comparazione ha inoltre evidenziato che il livello di dettaglio reperibile nelle fonti pubbliche non è uniforme tra i Paesi, elemento che costituisce esso stesso un limite per un confronto perfettamente simmetrico.

Nel loro insieme, i risultati permettono di ricondurre le principali differenze di governance a tre assi. Il primo è il grado di integrazione o separazione delle funzioni di valutazione clinica, valutazione economica, appraisal, negoziazione e decisione di rimborso. Il secondo riguarda il bilanciamento tra specializzazione tecnico-scientifica e rappresentanza degli attori istituzionali o del sistema sanitario. Il terzo concerne le modalità con cui conoscenze ed esperienze esterne entrano nel procedimento, attraverso esperti, pazienti e altri stakeholder. I diversi sistemi combinano questi tre elementi in modo differente e la loro lettura congiunta consente di superare una comparazione basata esclusivamente sul nome formale delle commissioni.

Il lavoro presenta alcuni limiti. In primo luogo, la natura bibliografica e documentale della ricerca consente di ricostruire soprattutto la dimensione formale dei processi, mentre non permette di osservare direttamente le dinamiche informali delle deliberazioni, il peso effettivo dei diversi partecipanti o le modalità con cui le regole vengono applicate nei singoli casi. In secondo luogo, le fonti istituzionali non offrono sempre lo stesso livello di dettaglio per tutti i Paesi e alcune informazioni organizzative possono essere distribuite tra norme, regolamenti, pagine istituzionali e documenti procedurali. Un ulteriore limite è rappresentato dalla frequente evoluzione dei sistemi di P&R: riforme organizzative, aggiornamenti metodologici e modifiche delle procedure possono rendere rapidamente superate alcune caratteristiche descritte. Per tale ragione la delimitazione temporale delle fonti e il riferimento alla configurazione vigente nel periodo analizzato sono elementi essenziali per interpretare i risultati.

Un ulteriore sviluppo della ricerca potrebbe collegare le differenze organizzative qui individuate a indicatori di risultato, quali i tempi intercorrenti tra autorizzazione e accesso rimborsato, le condizioni di rimborso, l'utilizzo di accordi commerciali o di managed entry agreements e la variabilità dell'accesso all'interno dei singoli sistemi. Sarebbe inoltre utile approfondire l'effetto delle iniziative europee di Health Technology Assessment sui processi nazionali, verificando nel tempo in quale misura la crescente condivisione della valutazione clinica modifichi la distribuzione delle attività tra

organismi nazionali senza eliminare le competenze dei singoli Paesi in materia di prezzo e rimborso. Tali approfondimenti consentirebbero di mettere in relazione la governance formale con gli effetti concreti delle decisioni sull'accesso ai medicinali.

In conclusione, l'analisi comparativa mostra che il P&R non può essere compreso pienamente osservando soltanto i criteri clinici ed economici utilizzati nella valutazione. Il valore attribuito a un medicinale viene tradotto in accesso pubblico attraverso un'architettura di organismi, competenze, regole decisionali e forme di partecipazione che varia significativamente tra i sistemi considerati. Studiare il P&R significa quindi interrogarsi non soltanto su quali evidenze vengano valutate, ma anche su chi le interpreta, chi assume la responsabilità della decisione, secondo quali procedure e con il contributo di quali soggetti. È in questo passaggio dalle evidenze alla decisione che gli assetti di governance diventano una componente sostanziale delle politiche farmaceutiche e contribuiscono a definire le modalità con cui ciascun sistema sanitario cerca di conciliare innovazione, accesso e sostenibilità.

BIBLIOGRAFIA

- Agenzia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) (2026). *Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT): informazioni istituzionali*. Madrid: AEMPS. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2025a). *Determinazione DTS n. 88/2025 del 23 dicembre 2025 e Linee guida per la compilazione del dossier a supporto dell'Health Technology Assessment di un medicinale ai fini della rimborsabilità e del prezzo a carico del Servizio Sanitario Nazionale*. Roma: AIFA.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2025b). *Determinazione del Presidente n. 966/2025 e Allegato 1 – Criteri di valutazione per l'attribuzione dell'innovatività terapeutica e sulla gestione degli agenti antinfettivi per infezioni da germi multiresistenti*. Roma: AIFA. [AIFA](#)
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2025c). *Farmaci innovativi: elenchi e report di valutazione dell'innovatività terapeutica*. Roma: AIFA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026. [AIFA](#)
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2026a). *Domanda di rimborsabilità e prezzo: linee guida e procedure per la presentazione delle domande di prezzo e rimborso*. Roma: AIFA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2026b). *Regolamento recante norme sull'organizzazione e sul funzionamento della Commissione scientifica ed economica del farmaco dell'Agenzia Italiana del Farmaco (CSE)*. Pubblicato il 9 marzo 2026. Roma: AIFA.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2026c). *Ufficio Prezzi e Rimborso: funzioni e competenze*. Roma: AIFA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2026d). *Determinazione DTS n. 20/2026. Documento di armonizzazione delle procedure di semplificazione dell'iter negoziale di prezzo e rimborso*. Roma: AIFA.
- Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) (2026e). *Commissione scientifica ed economica del farmaco: composizione e componenti della CSE*. Roma: AIFA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

- Boucaud-Maitre, D., Berdaï, D. & Salvo, F. (2021). Added Therapeutic Value of Medicinal Products for French and German Health Technology Assessment Organizations: A Systematic Comparison. *Value in Health*, 24(3), 346–352. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2020.10.020>.
- Casilli, G., Lidonnici, D., Jommi, C., De Nigris, M. & Genazzani, A.A. (2023). Do France, Germany, and Italy agree on the added therapeutic value of medicines? *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 39(1), e54. <https://doi.org/10.1017/S026646232300048X>.
- Commissione europea (2026). *Joint Clinical Assessments*. Directorate-General for Health and Food Safety. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Delcroix-Lopes, S., Amer, N., Chaignot, C. & Pelletan, C. (2025). Early access to medicines with added therapeutic value: Measuring and comparing time to medicines access in England, France, Germany, Italy and Spain. *Health Policy*, 157, 105317. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2025.105317>.
- Department of Health and Social Care (DHSC) (2026). *Statutory scheme to control the cost of branded health service medicines*. London: UK Government. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Department of Health and Social Care (DHSC), NHS England & Association of the British Pharmaceutical Industry (ABPI) (2026). *2024 Voluntary Scheme for Branded Medicines Pricing, Access and Growth (VPAG)*. London: UK Government. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Garattini, L., Cornago, D. & De Compadri, P. (2007). Pricing and reimbursement of in-patent drugs in seven European countries: A comparative analysis. *Health Policy*, 82(3), 330–339. <https://doi.org/10.1016/j.healthpol.2006.11.004>.
- Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) (2026a). *Benefit Assessment of Medicinal Products in accordance with § 35a SGB V*. Berlin: G-BA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) (2026b). *Plenum: composition and decision-making rules*. Berlin: G-BA. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

- GKV-Spitzenverband (GKV-SV) (2026). *Übersicht zu den Erstattungsbetragsverhandlungen nach § 130b SGB V*. Berlin: GKV-Spitzenverband. Ultimo accesso: 26 settembre 2026. [GKV-Spitzenverband](#)
- Haute Autorité de Santé (HAS) (2022). *Règlement intérieur de la Commission de la Transparence*. Saint-Denis La Plaine: HAS.
- Haute Autorité de Santé (HAS) (2023). *Doctrine de la Commission de la Transparence*. Saint-Denis La Plaine: HAS.
- Haute Autorité de Santé (HAS) (2026a). *Commission de la transparence (CT): présentation, missions, composition et fonctionnement*. Saint-Denis La Plaine: HAS. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Haute Autorité de Santé (HAS) (2026b). *Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP): présentation, composition et fonctionnement*. Saint-Denis La Plaine: HAS. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Haute Autorité de Santé (HAS) (2026c). *Accès précoce à un médicament*. Saint-Denis La Plaine: HAS. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) (2026). *The AMNOG procedure*. Cologne: IQWiG. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- ISPOR Italy – Rome Chapter (2025). *Archetipi per la valutazione e negoziazione del prezzo dei farmaci*. Draft Report, 6 dicembre 2025. Coordinamento: Claudio Jommi e Andrea Pierini.
- Jommi, C., Armeni, P., Costa, F., Bertolani, A. & Otto, M. (2020). Implementation of Value-based Pricing for Medicines. *Clinical Therapeutics*, 42(1), 15–24. <https://doi.org/10.1016/j.clinthera.2019.11.006>.
- Ministère de la Santé (France) (2026). *Comité économique des produits de santé (CEPS): missions et informations institutionnelles*. Paris: Ministère de la Santé. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Ministerio de Sanidad (España) (2025). *Informes públicos sobre la decisión de financiación de medicamentos*. Madrid: Ministerio de Sanidad. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

- Ministerio de Sanidad (España) (2026). *Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos y Productos Sanitarios: funciones, composición, reglamento e informazioni istituzionali*. Madrid: Ministerio de Sanidad. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- Ministero della Salute (2019). *Decreto 2 agosto 2019. Criteri e modalità con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale*. Gazzetta Ufficiale, Serie Generale n. 185 del 24 luglio 2020.
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE) (2026a). *NICE technology appraisal and highly specialised technologies guidance: the manual (PMG36)*. Aggiornato il 31 marzo 2026. London: NICE. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- National Institute for Health and Care Excellence (NICE) (2026b). *Technology appraisal committees: terms, membership and participation*. London: NICE. Ultimo accesso: 26 settembre 2026.
- NHS England (2025). *NHS Commercial Framework for New Medicines*. London: NHS England. Aggiornato il 29 gennaio 2025. Ultimo accesso: 26 settembre 2026. [NHS England](#)
- Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la *Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios*. *Boletín Oficial del Estado*, n. 177, 25 luglio 2015, testo consolidato.
- Sozialgesetzbuch (SGB) Fünftes Buch (V), § 35a. *Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen*.
- Sozialgesetzbuch (SGB) Fünftes Buch (V), § 130b. *Vereinbarungen zwischen dem Spitzenverband Bund der Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmen über Erstattungsbeträge für Arzneimittel*.
- Sullivan, S.D., Mauskopf, J.A., Augustovski, F., Caro, J.J., Lee, K.M., Minchin, M., Orlewska, E., Penna, P., Rodriguez Barrios, J.M. & Shau, W.Y. (2014). Budget Impact Analysis—Principles of Good Practice: Report of the ISPOR 2012 Budget Impact Analysis Good Practice II Task Force. *Value in Health*, 17(1), 5–14. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2013.08.2291>.

World Health Organization (WHO) (2025). *Health technology assessment of medical devices*. 2nd ed. Geneva: World Health Organization. ISBN 978-92-4-011087-8.

SITOGRAFIA

Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) – Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT).

<https://www.aemps.gob.es/medicamentos-de-uso-humano/evaluacion-de-tecnologias-sanitarias/informes-de-posicionamiento-terapeutico/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) – sito istituzionale, prezzo e rimborso, Commissione scientifica ed economica del farmaco e documentazione istituzionale.

<https://www.aifa.gov.it/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) – Farmaci innovativi, criteri di attribuzione dell'innovatività, elenchi e report di valutazione. [AIFA](#)

<https://www.aifa.gov.it/farmaci-innovativi>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Boletín Oficial del Estado (BOE) – normativa sui medicinali e testo consolidato del Real Decreto Legislativo 1/2015.

<https://www.boe.es/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Commissione europea – Health Technology Assessment – quadro europeo dell'HTA e Joint Clinical Assessments.

https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment_en

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA) – valutazione del beneficio ai sensi del § 35a SGB V, procedura AMNOG e Plenum.

<https://www.g-ba.de/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

GKV-Spitzenverband (GKV-SV) – Erstattungsbetragsverhandlungen nach § 130b

SGB V. [GKV-Spitzenverband](#)

<https://www.gkv-spitzenverband.de/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Haute Autorité de Santé (HAS) – Commission de la Transparence, CEESP, accès précoce e documentazione relativa alla valutazione dei medicinali.

<https://www.has-sante.fr/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) – procedura AMNOG e valutazione del beneficio.

<https://www.iqwig.de/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

ISPOR Italy – Rome Chapter – documentazione e pubblicazioni.

<https://www.isporitaly.org/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Ministerio de Sanidad – España, Área Farmacia – finanziamento dei medicinali, CIPM e informes públicos de financiación.

<https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

Ministère de la Santé – France, Comité économique des produits de santé (CEPS) – funzioni e attività del CEPS.

<https://sante.gouv.fr/ministere/acteurs/instances-rattachees/comite-economique-des-produits-de-sante-ceps/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

National Institute for Health and Care Excellence (NICE) – technology appraisals, PMG36, Technology Appraisal Committees e documentazione metodologica.

<https://www.nice.org.uk/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

NHS England – NHS Commercial Framework for New Medicines. [NHS England](https://www.england.nhs.uk/publication/nhs-commercial-framework-for-new-medicines/)

<https://www.england.nhs.uk/publication/nhs-commercial-framework-for-new-medicines/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

UK Government – GOV.UK – medicines pricing, VPAG e statutory scheme.

<https://www.gov.uk/>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026.

World Health Organization (WHO) – Health Technology Assessment.

<https://www.who.int/health-topics/health-technology-assessment>

Ultimo accesso: 26 settembre 2026

RINGRAZIAMENTI

Desidero ringraziare il Prof. Claudio Jommi, per la disponibilità, il supporto e i preziosi suggerimenti forniti durante la realizzazione di questo lavoro.

Rivolgo inoltre un sincero ringraziamento alla Prof.ssa Maria Luisa Torre, Presidente del Consiglio di Corso di Studio, per la disponibilità e l'attenzione dimostrate nel corso del mio percorso accademico.

Un ringraziamento speciale va alla mia famiglia: a Riccardo, Mattia e Antonio, per essermi stati accanto con affetto e per aver condiviso con me questo percorso; ai miei genitori, per il loro sostegno e per avermi sempre incoraggiata; a mio fratello, a Olga e a Viola, per la loro presenza e il loro affetto.

Ringrazio inoltre il mio socio Francesco, per il sostegno, l'incoraggiamento e per essere stato una fonte di ispirazione che mi ha aiutata a continuare a credere in questo mio sogno.

Un pensiero particolarmente affettuoso va ai miei cari amici: Rosalinda e Angelo, Elena, Tommaso e Chiara, che mi sono stati vicini durante tutto il percorso. A ogni esame superato hanno condiviso con me la soddisfazione e la felicità del momento, incoraggiandomi sempre a proseguire e a non arrendermi.

Ringrazio con affetto anche le mie amiche: Valentina, Eleonora, Laura ed Elena, per essermi state vicine, per il sostegno e per l'amicizia dimostrata nel tempo.

A tutti loro va la mia gratitudine più sincera per aver contribuito, ciascuno a modo proprio, al raggiungimento di questo importante traguardo.