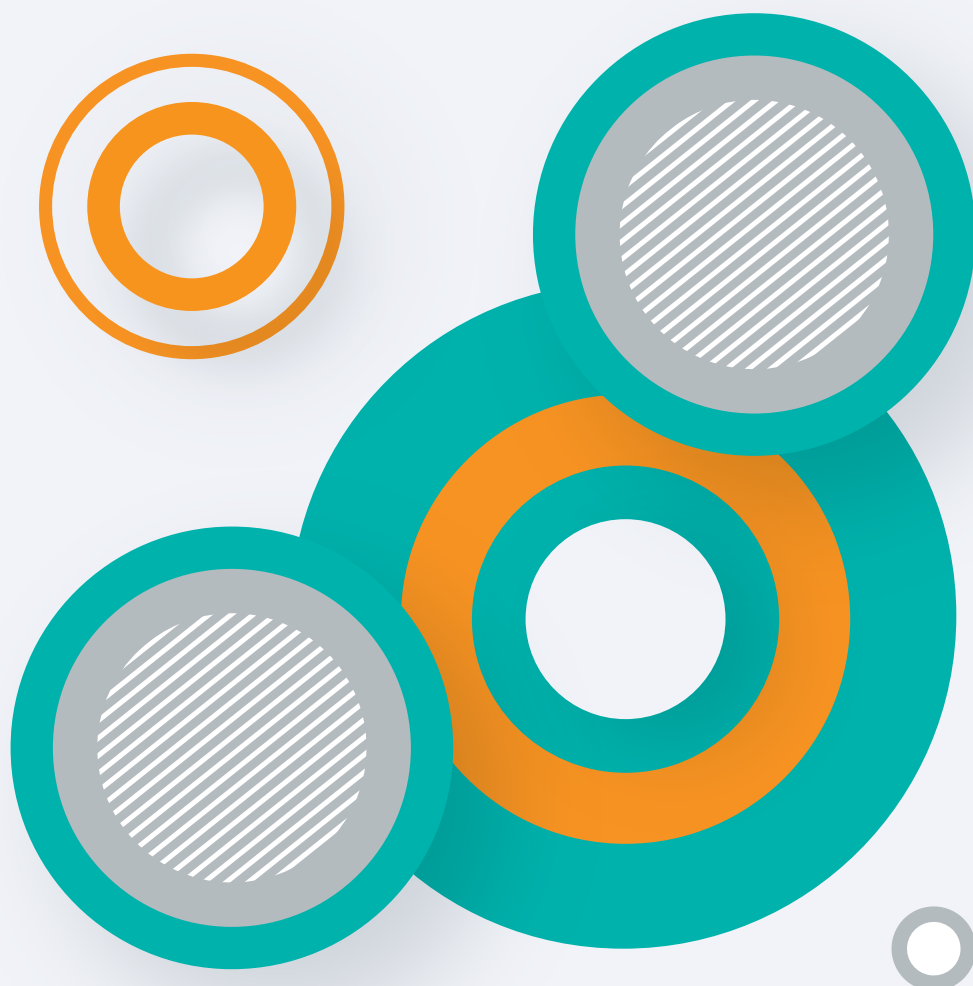




INPAGS 2025

PARTECIPAZIONE È VALORE





Editore **Rarelab Srl**
Progetto grafico **Pavlo Romanyuk**
Testi e coordinamento editoriale **Roberta Venturi, Stefania Collet**

Il presente documento, finito di elaborare nel mese di Novembre 2025, ha scopo informativo e non promozionale. I contenuti sono di proprietà di Rarelab, e non possono essere riprodotti in alcun modo se non previa autorizzazione scritta di Rarelab e citazione della fonte.

©Rarelab Srl

INDICE

IL PROGETTO INPAGS	p. 05
IL REGISTRO UNICO DELLE ASSOCIAZIONI DELLA SALUTE (RUAS)	p. 06
LA SURVEY RIVOLTA ALLE ASSOCIAZIONI	p. 08
INCONTRI DELL'INPAGS NETWORK E RIFLESSIONI RACCOLTE	p. 09
LA PARTECIPAZIONE DEI PAZIENTI AI PROCESSI DECISIONALI: RIFLESSIONI SUL CONTESTO ITALIANO E SULL'ISTITUZIONE DEL RUAS	p. 13
IL COINVOLGIMENTO DELLE ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI NEL PROCESSO HTA IN ITALIA, UK, FRANCIA, SPAGNA E GERMANIA	p. 16



IL PROGETTO INPAGS

Negli ultimi anni, il ruolo delle Associazioni di Pazienti nei processi regolatori è andato progressivamente consolidandosi, sia a livello europeo che nazionale. Questo percorso di riconoscimento formale della loro funzione consultiva e rappresentativa riflette la crescente consapevolezza del valore che tali realtà possono apportare alle decisioni in materia di salute pubblica.

A livello europeo, **l'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA)** ha adottato un approccio sistematico volto a garantire l'inclusione della prospettiva dei pazienti lungo l'intero ciclo di vita dei farmaci. La loro partecipazione è prevista nei principali organismi consultivi, tra cui il Comitato per i Medicinali Orfani (COMP), il Comitato Pediatrico (PDCO), il Comitato per le Terapie Avanzate (CAT) e il Comitato per la Farmacovigilanza (PRAC), nonché all'interno del Consiglio di amministrazione. A ciò si affiancano strumenti di consultazione diretta per raccogliere contributi puntuali e qualificati da parte delle associazioni di pazienti.

In Italia, il processo di valorizzazione del ruolo delle Associazioni di Pazienti è stato avviato nel 2022 con un atto di indirizzo del Ministero della Salute, e ha trovato un importante sviluppo nel 2024 con l'approvazione del Regolamento sul funzionamento della Commissione Scientifica ed Economica del Farmaco (CSE) dell'AIFA. L'articolo 11 di tale Regolamento introduce un primo riconoscimento formale del ruolo delle associazioni nei processi decisionali che riguardano l'autorizzazione e l'accesso alle terapie.

Con la Legge di Bilancio 2025 (L. 207/2024, commi 293-297), è stato istituito il **Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS)**, destinato a raccogliere gli Enti del Terzo Settore operanti in ambito sanitario, suddivisi per aree tematiche. Il Registro sarà gestito dal Ministero della Salute e rappresenterà il canale ufficiale attraverso cui le associazioni iscritte potranno essere **coinvolte nei principali processi decisionali in materia di salute, comprese le fasi di consultazione della CSE di AIFA.**

La recente introduzione del RUAS è stata accolta positivamente da molte associazioni, che ne riconoscono il valore in termini di legittimazione formale e possibilità di interlocuzione diretta con le istituzioni sanitarie. Tuttavia, alcuni dei criteri stabiliti per l'iscrizione rischiano di rappresentare una barriera all'accesso per molte realtà nate più di recente, soprattutto nell'ambito delle malattie rare.

In questo contesto si inserisce il **progetto InPAGs**, promosso da RareLab, con l'obiettivo di **contribuire alla definizione di un modello di partecipazione delle Associazioni di Pazienti ai processi regolatori, attraverso un dialogo stabile con le istituzioni e gli attori coinvolti.** Nel corso del 2024, InPAGs ha dato vita all'InPAGs Network, una rete che raccoglie associazioni attive nell'ambito delle malattie rare, croniche e oncologiche, sia pediatriche che adulte.

L'esperienza maturata nel primo anno di lavoro ha messo in luce **la necessità di definire criteri condivisi e strumenti operativi per garantire un coinvolgimento qualificato e rappresentativo delle associazioni**. Tra i criteri individuati e condivisi con AIFA, figurano: una definizione chiara di "associazione di pazienti", la capacità di consultare i propri associati, la competenza scientifica, l'equilibrata gestione dei conflitti di interesse e la rappresentanza di patologie rare.

Il progetto InPAGs 2.0 nel corso del 2025 ha approfondito e consolidato questo percorso, anche attraverso la realizzazione di una survey nazionale rivolta alle associazioni, finalizzata a **raccogliere dati e informazioni utili a documentare la loro struttura, il livello di attività e il potenziale contributo ai processi decisionali**. I risultati dell'indagine sono stati discussi nell'ambito di due tavoli tematici di confronto, pensati per favorire una riflessione condivisa sulle modalità di partecipazione e sulle condizioni di accesso al RUAS.

IL REGISTRO UNICO DELLE ASSOCIAZIONI DELLA SALUTE (RUAS)

Con i **commi 293 297 dell'art. 1 della Legge di Bilancio 2025 (n. 207/2024)**, è stata introdotta una novità normativa di particolare rilievo: il **Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS)**. Tale strumento, gestito dal Ministero della Salute, intende raccogliere e valorizzare le associazioni del Terzo Settore attive nel campo sanitario, organizzandole in base a aree tematiche specifiche (per patologia o ambito di intervento), e riconoscendone il ruolo nel dialogo istituzionale.

L'iscrizione al RUAS non avviene automaticamente: per fare domanda, le associazioni devono soddisfare una serie di requisiti chiave, che vanno al di là della mera presenza nel settore. In particolare, la norma prevede che possano accedere al registro solo le associazioni che:

- sono costituite da almeno dieci anni, condizione che assicura una base di esperienza e stabilità organizzativa;
- sono iscritte al Registro Unico Nazionale del Terzo Settore (RUNTS) o a un albo ufficialmente riconosciuto, a dimostrazione della loro regolarità e trasparenza amministrativa;
- rappresentano e promuovono direttamente le istanze di cittadini, pazienti e caregiver in ambito sanitario;
- adottano l'approccio indicato dalla scheda 14 del "Patto per la Salute" (intesa Stato Regioni del 18 dicembre 2019), che enfatizza la centralità del paziente attraverso servizi partecipati;
- applicano criteri di trasparenza e rendicontazione previsti per le attività di interesse pubblico.

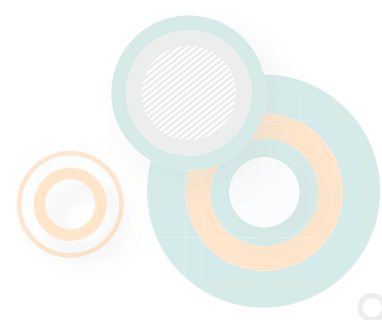


Le associazioni regolarmente iscritte al RUAS acquisiscono così la possibilità di partecipare ai principali processi decisionali sanitari definiti dal Ministero, nonché alle fasi di consultazione della Commissione Scientifica ed Economica dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) nelle aree individuate dalla stessa Agenzia. In queste sedi, eventuali decisioni contrarie alle osservazioni fornite dalle associazioni dovranno essere accompagnate da una giustificazione esplicita, a garanzia di trasparenza e responsabilità istituzionale. Il rappresentante nominato dovrà operare senza compenso ed essere selezionato in base alla rilevanza del tema o della patologia rappresentata, dichiarando l'assenza di conflitti di interesse.

Il RUAS è dunque pensato come una piattaforma istituzionale in grado di valorizzare il contributo delle associazioni nei processi decisionali, promuovendo una governance sanitaria più partecipata, trasparente e attenta ai bisogni reali dei pazienti. Tuttavia, alcune organizzazioni - in particolare quelle nate negli ultimi anni nel campo delle malattie rare - hanno espresso preoccupazione circa il criterio dei "dieci anni di vita", avvertendolo come un potenziale fattore di esclusione ingiustificata per realtà giovani ma attive e qualificate.

La partecipazione delle Associazioni di pazienti ai processi decisionali in ambito sanitario rappresenta oggi un elemento imprescindibile per costruire politiche realmente orientate ai bisogni delle persone. Non si tratta soltanto di garantire un ascolto formale, ma di riconoscere il valore specifico che queste realtà apportano in termini di esperienza diretta, competenza maturata sul campo e capacità di attivare reti a livello territoriale e nazionale. In un sistema sanitario sempre più complesso, il coinvolgimento strutturato delle Associazioni contribuisce a rendere le scelte pubbliche più informate, più eque e più vicine alla realtà concreta dei pazienti.

Tuttavia, questa partecipazione rischia di essere compromessa da criteri normativi e amministrativi che, pur nati con finalità di trasparenza e rigore, possono tradursi in barriere all'accesso per molte organizzazioni. Da qui nasce la necessità di comprendere, con dati alla mano, quali siano le caratteristiche operative, le modalità di funzionamento e le eventuali criticità vissute dalle Associazioni attive nei settori delle malattie rare, oncologiche e croniche.



LA SURVEY RIVOLTA ALLE ASSOCIAZIONI

Per meglio comprendere il ruolo, il grado di strutturazione e le modalità operative delle Associazioni di Pazienti attive nei campi delle patologie rare, croniche e oncologiche, è stata **promossa una survey rivolta ai vertici delle principali organizzazioni del Terzo Settore in ambito sanitario**. L'indagine, parte del progetto InPAGs, nasce con l'obiettivo di raccogliere elementi utili a valutare il livello di rappresentatività, le competenze maturate, il coinvolgimento nei processi clinici e regolatori, e la trasparenza gestionale delle associazioni. I risultati aggregati, mirano a documentare l'impatto che alcuni requisiti introdotti per l'iscrizione al RUAS - in particolare l'anzianità minima di dieci anni per l'accesso al Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS) - potrebbero avere sulla reale inclusione di realtà associative attive e qualificate.

I primi dati raccolti restituiscono un quadro variegato e dinamico. **La quasi totalità delle associazioni partecipanti (90%) opera a livello nazionale**, segno di una capacità organizzativa consolidata e di una rete di contatti estesa sull'intero territorio. Una parte significativa **(35%) è coinvolta attivamente nei trial clinici**, contribuendo in modo concreto all'avanzamento della ricerca e alla valutazione delle nuove terapie. Ancora più rilevante è il dato relativo alla disponibilità di dati: **il 55% delle organizzazioni dichiara di disporre di dati epidemiologici validati**, mentre **il 25% gestisce o sta implementando un proprio Registro di Pazienti**, strumenti fondamentali per comprendere l'andamento delle patologie e orientare le scelte terapeutiche e regolatorie.

Anche sotto il profilo della governance, emerge un impegno concreto verso l'integrazione e il dialogo con il sistema sanitario: **nel 12% dei casi, clinici e professionisti della salute sono presenti nei direttivi associativi, e nel 10% le associazioni partecipano attivamente agli organi decisionali di aziende sanitarie**, rafforzando il legame tra mondo associativo e istituzioni.

Per quanto riguarda la natura giuridico-amministrativa, **il 91% delle associazioni risulta iscritto al RUNTS (Registro Unico del Terzo Settore)**, a testimonianza della volontà di operare in piena trasparenza e conformità alla normativa vigente. Una quota più contenuta è iscritta all'Anagrafe delle ONLUS (6,4%), mentre percentuali marginali risultano registrate in altri elenchi o non iscritte affatto. Sul piano della rendicontazione, **il 65,4% dichiara di essere soggetto all'obbligo di rendicontare** le proprie attività di interesse generale, mentre un terzo circa (33,3%) non vi è tenuto.

Infine, l'analisi dell'anzianità di costituzione evidenzia una crescente presenza di realtà più giovani: oltre **il 36% non possiede il requisito dei dieci anni di costituzione**. Questo dato assume particolare rilievo alla luce di quanto previsto dalla Legge di Bilancio 2025 in merito al requisito di anzianità per l'iscrizione al Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS). Il fatto che il 36% delle associazioni partecipanti alla survey sia stato costituito dal 2015 in poi rappresenta una quota significativa, che evidenzia con chiarezza come il criterio dei dieci anni di anzianità rischi di limitare l'accesso al RUAS per una parte rilevante del mondo associativo. Si tratta spesso di organizzazioni nate per rispondere a bisogni emergenti, dotate di competenze specifiche, capacità di rappresentanza e una forte connessione con le comunità di riferimento. L'esclusione di queste realtà potrebbe tradursi in una perdita di contributi fondamentali per garantire un'effettiva pluralità di voci nei processi decisionali in ambito sanitario.



INCONTRI DELL'INPAGS NETWORK E RIFLESSIONI RACCOLTE

L'osservazione delle buone pratiche europee ha ispirato l'avvio del progetto InPAGs, nato con l'intento di trasferire anche nel contesto italiano un approccio partecipativo maturo, in cui le associazioni di pazienti possano contribuire in modo effettivo e riconosciuto ai processi regolatori. In questo scenario si inserisce l'istituzione del RUAS - il Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS), gestito dal Ministero della Salute.

Nel corso degli incontri promossi dall'InPAGs Network, è stata condotta un'analisi approfondita sull'impatto che il requisito dei dieci anni di attività potrebbe generare nei confronti delle realtà associative più piccole, in particolare quelle attive nell'ambito delle malattie rare. Pur caratterizzate da una base numerica contenuta e da una costituzione più recente, queste organizzazioni conservano un patrimonio di esperienze e competenze difficilmente replicabile da realtà non specificamente focalizzate sulla patologia di riferimento. Il confronto ha evidenziato come tale criterio rischi di escludere soggetti che, pur giovani, svolgono un ruolo fondamentale nella rappresentanza dei bisogni dei pazienti e nella costruzione di percorsi di partecipazione qualificata. Parallelamente, è stato ampiamente discusso il concetto di qualità di vita come parametro centrale nei processi decisionali e regolatori, nonché il tema della formazione delle associazioni. È emersa con chiarezza la necessità di promuovere percorsi formativi strutturati e continuativi, volti a rafforzare le competenze delle organizzazioni in ambiti strategici quali la conoscenza del ciclo di vita del farmaco, il dialogo con le autorità regolatorie, la lettura e l'interpretazione dei dati clinici e sociali, e l'advocacy istituzionale. Tali competenze rappresentano un presupposto imprescindibile per garantire una partecipazione consapevole, efficace e coerente con le esigenze di una sanità sempre più orientata alla centralità del paziente.

La partecipazione dei pazienti alle decisioni politiche e il RUAS

Nel corso dei lavori dell'InPAGs Network, il requisito dei dieci anni di attività ha rappresentato uno dei principali temi di confronto. Le associazioni di pazienti hanno più volte espresso preoccupazione rispetto al rischio di esclusione dai processi decisionali, e in particolare dai procedimenti regolatori presso AIFA, dove si discutono terapie che riguardano direttamente le patologie da loro rappresentate e che possono avere un impatto significativo sulla qualità di vita dei pazienti. Il modello di partecipazione promosso a livello europeo, unitamente alle sfide poste dallo sviluppo di terapie innovative e personalizzate, ha spinto anche le associazioni di più recente costituzione ad avviare percorsi di formazione e consolidamento delle competenze, al fine di contribuire attivamente al dibattito pubblico in ambito sanitario, sia in termini generali sia con riferimento specifico alle patologie di interesse.

Al fine di raccogliere e sintetizzare le principali riflessioni emerse nel corso dei lavori dell'InPAGs Network, di seguito vengono riportate alcune considerazioni tratte dalle interviste realizzate con le associazioni aderenti al Network. Le interviste complete sono disponibili sul sito dell'Osservatorio Malattie Rare: www.osservatoriomalattierare.it.

Nel momento in cui si è inteso normare e valorizzare il contributo sociale delle associazioni operanti in ambito sanitario - ha sottolineato **Italia Agresta, Vicepresidente Associazione Nazionale Persone con Malattie reumatologiche e Rare - APMARRAPS ETS** - il legislatore ha ritenuto necessario definire

criteri oggettivi volti a misurarne la rappresentatività. In tale quadro, tra i requisiti previsti per l'accesso al Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS), è stato introdotto il limite dei dieci anni di attività continuativa. **Tale soglia temporale, pur rispondendo all'esigenza di garantire solidità e continuità operativa, ha suscitato perplessità in alcune realtà associative, che ne evidenziano il potenziale effetto escludente nei confronti di organizzazioni più giovani, ma già attive, competenti e meritevoli di partecipazione.**

Inoltre, sempre in termini di adesione delle Associazioni al RUAS, anche **Pietro Mantovano, Presidente AAEE Associazione angioedema ereditario ed altre forme rare APS - ETS** ha evidenziato che molte associazioni non dispongono di personale strutturato o risorse economiche dedicate, e che la crescente richiesta di adempimenti burocratici e documentali finisce per generare un forte senso di scoraggiamento. Il rischio concreto è che l'accesso al confronto istituzionale diventi un privilegio riservato a poche grandi realtà a scapito delle piccole associazioni che, pur rappresentando un numero minore di pazienti, **custodiscono un'esperienza diretta, unica e insostituibile di patologie specifiche.**

Giancarlo Magri, Associazione Nazionale Alfa1-AT ODV ha sottolineato che **il contributo del paziente nei processi regolatori non è sostitutivo dell'evidenza scientifica, ma assolutamente complementare.** La voce del paziente fornisce informazioni cruciali su aspetti che nessuna indagine strumentale o dato clinico può pienamente cogliere: l'esperienza vissuta della malattia, l'impatto quotidiano dei sintomi, la reale efficacia percepita di un trattamento e la qualità della vita che ne deriva. Solo affiancando alla valutazione tecnico-scientifica una lettura esperienziale, fondata sull'ascolto dei pazienti, possiamo davvero parlare di medicina centrata sulla persona e garantire scelte regolatorie più giuste, inclusive e sostenibili.

Esistono oggi associazioni che, pur avendo una storia inferiore ai dieci anni, hanno dimostrato di possedere competenze avanzate, sviluppate attraverso master, corsi di alta formazione e partecipazione a tavoli tecnici. Queste realtà operano con serietà, continuità e spirito collaborativo, e sono già oggi pienamente titolate a contribuire al dibattito pubblico e alle politiche sanitarie del Paese. Per questo, **Italia Agresta, Vicepresidente Associazione Nazionale Persone con Malattie reumatologiche e Rare - APMARR APS ETS** - auspica che il criterio temporale previsto per l'accesso al RUAS venga interpretato in modo flessibile, valorizzando il merito e l'effettiva capacità di contribuire in modo qualificato ai processi decisionali.

Le testimonianze dei pazienti, secondo **Federica Braghieri, Consigliere AAEE Associazione angioedema ereditario ed altre forme rare APS - ETS**, umanizzano il dibattito, sensibilizzano e mettono in evidenza anche le sfide psicologiche e sociali spesso invisibili, rendendo la presenza di pazienti e caregiver indispensabile nei processi decisionali.



Qualità della vita, scelte terapeutiche e competenze condivise

Il concetto di qualità della vita, come ricordato da **Angelo Lupi, Presidente A.Ma.R.E. Associazione Malattie Rare Ematologiche**, non è astratto né uniforme: può voler dire recuperare un'ora senza dolore, tornare a svolgere un'attività quotidiana in autonomia, riuscire a lavorare o semplicemente non dover dipendere costantemente da altri. **Sono aspetti che sfuggono a una valutazione meramente clinica, ma che sono centrali per una piena comprensione dell'impatto di una terapia.**

Gianmarco Sambataro, Vicepresidente AAEE Associazione angioedema ereditario ed altre forme rare APS - ETS ha sottolineato come, talvolta, anche il passaggio a terapie con modalità di somministrazione più semplici, come quelle orali, rappresenta un enorme passo avanti non solo dal punto di vista medico, ma anche psicologico e sociale. Ridurre, infatti, l'invasività del trattamento significa favorire l'indipendenza del paziente, diminuire lo stress associato alla terapia e permettere una vita più normale e serena, soprattutto nell'età pediatrica. Tuttavia, queste sfumature non possono essere pienamente comprese da chi osserva dall'esterno: **solo chi vive quotidianamente l'esperienza di dover gestire una terapia regolare conosce davvero il peso che può avere una semplice modifica nella modalità di somministrazione.**

L'interlocuzione con i pazienti - ha poi ribadito **Pietro Mantovano, Presidente AAEE Associazione angioedema ereditario ed altre forme rare APS - ETS** - consente di cogliere la necessità di avere opzioni terapeutiche diverse - anche quando clinicamente equivalenti - per permettere una scelta condivisa medico-paziente basata sulla preferenza individuale. Ogni forma ha vantaggi diversi e può risultare più adatta in funzione dello stile di vita, delle abitudini o delle capacità organizzative della persona. **Questo tipo di confronto può dunque orientare le decisioni non solo sulla rimborsabilità dei farmaci, ma anche sull'equità di accesso e sull'importanza di mantenere tutte le opzioni disponibili a livello nazionale.**

Formazione: una condizione necessaria per una partecipazione qualificata

La partecipazione delle associazioni di pazienti ai processi decisionali e regolatori in ambito sanitario richiede non solo il riconoscimento formale del loro ruolo, ma anche una preparazione adeguata e continuativa. In un contesto sempre più complesso e multidisciplinare, **la formazione rappresenta un presupposto imprescindibile per garantire un contributo competente, consapevole e coerente con le esigenze del sistema.** Dotarsi delle conoscenze necessarie per comprendere le dinamiche istituzionali, i processi regolatori, la lettura dei dati clinici e sociali, nonché le modalità di interlocuzione con gli stakeholder, consente alle associazioni di operare con maggiore efficacia e di rappresentare in modo qualificato i bisogni delle comunità di riferimento. Investire nella formazione significa, dunque, rafforzare la legittimità della partecipazione e promuovere una governance sanitaria realmente inclusiva e centrata sulla persona.

La capacità di un'associazione di relazionarsi con interlocutori di alto livello - come AIFA o altre autorità sanitarie - secondo **Italia Agresta, Vicepresidente Associazione Nazionale Persone con Malattie reumatologiche e Rare - APMARR APS ETS** - non dipende unicamente dall'anzianità, ma da una combinazione di elementi: la formazione dei propri rappresentanti, la qualità delle attività svolte, la trasparenza nella gestione, la coerenza tra obiettivi statutari e azioni concrete, e la capacità di generare impatto reale nei contesti in cui opera.

Secondo quanto emerso dalla discussione, si sintetizzano di seguito i principali ambiti su cui dovrebbe concentrarsi questo percorso di formazione:

- **Comprensione del ruolo delle associazioni nel Terzo Settore.** È essenziale conoscere la normativa che regola il Terzo Settore, il significato del Registro Unico Nazionale (RUNTS) e le responsabilità che derivano dall'essere un ente riconosciuto. Questo consente alle associazioni di muoversi con maggiore consapevolezza nel panorama istituzionale e di cogliere le opportunità previste per gli enti che operano in ambito sanitario.
- **Conoscenza del ciclo di vita di un farmaco.** Comprendere come nasce, si sviluppa e viene autorizzata una molecola è fondamentale per partecipare ai processi regolatori. Le associazioni devono sapere perché i criteri di valutazione sono rigorosi, quali sono le fasi di sperimentazione, e come vengono analizzati efficacia, sicurezza e sostenibilità economica.
- **Capacità di dialogo con le autorità regolatorie.** Per interfacciarsi con enti come AIFA ed EMA, è necessario conoscere le dinamiche istituzionali e il linguaggio tecnico utilizzato. Sapere cosa comunicare, in che forma e con quali strumenti è cruciale per rendere il contributo del paziente efficace e ascoltato.
- **Competenze in HTA (Health Technology Assessment) e gestione dei dati.** Le associazioni devono essere in grado di leggere, interpretare e presentare dati clinici, economici e sociali. In particolare, devono conoscere e saper utilizzare strumenti come i PROs e i PREM, che rappresentano gli esiti e le esperienze riferite direttamente dai pazienti.
- **Advocacy e comunicazione istituzionale.** È importante sviluppare la capacità di interagire con istituzioni, società scientifiche e altri stakeholder, utilizzando un linguaggio tecnico ma accessibile. Presentare le istanze dei pazienti in modo documentato e costruttivo è una competenza chiave per incidere nei processi decisionali.

Perché le associazioni di pazienti possano essere riconosciute come interlocutori autorevoli nei processi regolatori, **Italia Agresta, Vicepresidente Associazione Nazionale Persone con Malattie reumatologiche e Rare - APMARR APS ETS**, ha ribadito quanto sia fondamentale che le Associazioni intraprendano un percorso di formazione progressiva e continua. **Questo vale non solo per le realtà più strutturate, ma anche - e soprattutto - per quelle più piccole, che spesso custodiscono un'esperienza diretta e preziosa delle patologie.** La formazione non deve essere generica, ma mirata a sviluppare competenze specifiche in ambiti strategici, che permettano ai rappresentanti di dialogare con le istituzioni in modo competente, consapevole e costruttivo.

Approfondimento: PROs e PREM come strumenti di valutazione centrati sul paziente

Un esempio concreto del contributo qualificato che le associazioni possono offrire è dato dall'inserimento nei processi valutativi di parametri come i **PROs (Patient Reported Outcomes)** e i **PREMs (Patient Reported Experience Measures)**. Questi strumenti, riconosciuti grazie all'interlocuzione tra AIFA e le associazioni, permettono di integrare la valutazione clinica con la prospettiva del paziente.

I **PROs** raccolgono direttamente dai pazienti informazioni sugli esiti percepiti di una terapia: il controllo dei sintomi, la funzionalità fisica, il benessere emotivo, la capacità di svolgere attività quotidiane.

I **PREMs**, invece, restituiscono la qualità dell'esperienza vissuta nel percorso di cura: accessibilità dei servizi, comunicazione con i professionisti, rispetto, coinvolgimento e continuità assistenziale.

Questi dati sono fondamentali per orientare le scelte regolatorie in modo più efficace, ad esempio accelerando l'accesso a terapie che migliorano significativamente la vita quotidiana o prevenendo la disabilità - ha ribadito **Italia Agresta, Vicepresidente Associazione Nazionale Persone con Malattie reumatologiche e Rare - APMARR APS ETS**. Ma per raccogliarli, interpretarli e presentarli in modo utile, è necessario che le associazioni siano composte da persone preparate, con competenze maturate attraverso percorsi formativi e una profonda conoscenza della patologia. Solo così la partecipazione può diventare davvero incisiva e contribuire a costruire una medicina più giusta, inclusiva e centrata sulla persona.

LA PARTECIPAZIONE DEI PAZIENTI AI PROCESSI DECISIONALI: RIFLESSIONI SUL CONTESTO ITALIANO E SULL'ISTITUZIONE DEL RUAS

A cura di Dario Martino, Presidente ATES - Associazione Talassemia ed Emoglobinopatia Sardegna

La Legge di Bilancio 2025 ha istituito il Registro unico delle associazioni della salute (RUAS), fissando criteri stringenti per l'iscrizione, tra cui 10 anni di attività e trasparenza nella gestione. Rarelab, con la seconda edizione del Progetto InPAGs, intende promuovere un dialogo con AIFA per rivedere i criteri di accreditamento e garantire un'ampia partecipazione, sensibilizzando le istituzioni sulla rilevanza delle associazioni di nuova costituzione.

In conformità a quanto previsto dalla Legge di Bilancio 2025, ai fini dell'iscrizione al Registro Unico delle Associazioni della Salute (RUAS), sono stati definiti specifici criteri oggettivi, finalizzati a riconoscere la rappresentatività, la solidità e la continuità operativa delle organizzazioni interessate:

- le associazioni devono dimostrare un'esperienza di almeno dieci anni nel campo della salute;
- è obbligatoria l'iscrizione al Registro Unico Nazionale del Terzo Settore (RUNTS) o ad altri albi riconosciuti.
- aderenza alla Scheda 14 del Patto per la Salute: le associazioni devono seguire le linee guida della Scheda 14, che enfatizzano l'importanza di strumenti per un accesso partecipato e personalizzato ai servizi sanitari;
- devono rappresentare e promuovere istanze di cittadini, pazienti e caregiver in ambito sanitario;
- è richiesta la trasparenza e la rendicontazione delle attività di interesse pubblico.

A questo riguardo vi sono alcune doverose considerazioni.

Per quanto riguarda le associazioni che operano oggi nel settore sanitario, è nota la complessità della gestione per via della sensibilità specifica del comparto, giustamente sempre più normato.

Oggi le associazioni operanti nel comparto devono dotarsi in modo consistente di strumenti che fino a poco tempo fa non erano obbligatori o consigliati, inoltre devono far fronte ad una sempre crescente richiesta di trasparenza in tutte le sue parti (avremo quindi sempre più attenzione sui bilanci, COI, RUNTS, GDPR In ambito sanitario).

Questa brevissima introduzione rende visibile uno dei motivi per il quale molte associazioni con uno storico decennale, non sono state purtroppo in grado di adeguarsi alle tante richieste, seppur lecite, degli ultimi anni, per via quindi anche di una struttura e natura associativa a volte obsoleta o non abbastanza dinamica da accogliere questo cambiamento repentino e necessario.

Si è visto quindi un rimodellamento nelle associazioni operanti come, allo stesso tempo, la creazione di nuove associazioni per rispondere a esigenze e cambiamenti di varia natura avvenute negli ultimi decenni: nuove esigenze nell'ambito giuridico, necessità di rappresentatività (nuove diagnosi con conseguenti nuove patologie, soprattutto nel campo MR), motivi gestionali, di ricambio generazionale, modifiche nel sostrato sociale, cambio di sensibilità e/o opinione pubblica etc.

I dati ufficiali mostrano quindi più stabilità nel numero di enti, con una lieve flessione recente e una trasformazione in corso.

Al 31/12/2022 gli enti non profit attivi sono 360.061; tra 2021 e 2022 c'è una lieve diminuzione (-0,2%), mentre **i dipendenti crescono** (+2,9%).⁽¹⁾

ISTAT segnala, rispetto al 2015, **un calo dei volontari complessivi** (-15,7%) nei dati presentati post-pandemia, indice di fatica organizzativa in alcune aree.⁽²⁾

Gli enti iscritti a fine 2023 sono ~120.000 (prevalenza APS e ODV). L'elenco ufficiale è aggiornato in modo continuo dal Ministero del Lavoro. Il dato suggerisce ricomposizione/riqualificazione⁽³⁾ fenomeno quindi dipeso anche da maggior complessità gestionale.

I dati ufficiali indicherebbero uno spostamento degli equilibri (meno volontari rispetto al 2015, crescita occupazionale, migrazioni/iscrizioni al RUNTS).⁽⁴⁾

Molte associazioni "nuove" sono quindi spesso composte da persone esperte, con competenze trasversali, che hanno da subito dovuto dotare le loro organizzazioni di tutti gli strumenti sopra esposti o, quantomeno, sono mediamente processi già in essere e con una chiara pianificazione, se non quindi all'atto della fondazione, già nei primissimi anni di operato, complici in questo percorso virtuoso anche i CSV territoriali.

Bibliografia e riferimenti:

⁽¹⁾ Report Istat anno 2022 sulle non profit https://www.istat.it/wp-content/uploads/2024/10/REPORT_Istituzioni-non-profit_2022.pdf

⁽²⁾ Censimento Istat 2023 sulle non profit
<https://www.istat.it/it/files/2023/05/Censimento-non-profit-primi-risultati.pdf>

⁽³⁾ Elenco ufficiale, Ministero del Lavoro
<https://www.unioncamere.gov.it/sites/default/files/articoli/2024-05/Rapporto%20RUNTS%202024.pdf>

⁽⁴⁾ Report Istat anno 2022 sulle non profit https://www.istat.it/wp-content/uploads/2024/10/REPORT_Istituzioni-non-profit_2022.pdf

Se quindi alcuni degli organismi presenti da più tempo non sono riusciti a tenere il passo, vediamo il sorgere di nuovi enti oltre che un rimodellamento degli stessi proprio per l'esigenza di modernità, rappresentatività e adattamento al contesto moderno.

Bisogna inoltre ricordare che normalmente i direttivi di queste organizzazioni si rinnovano ogni triennio, presentando spesso un bilancio associativo non vincolante a fine mandato, mostrando un operato a volte molto consistente e innovativo.

Conclusioni:

Alla luce di quanto sopra esposto si ritiene di proporre una diminuzione del criterio, dai DIECI (10) anni ai TRE (3) anni dalla costituzione di un ente del terzo settore, di modo da dare agli organismi che hanno tutti gli strumenti e le competenze, di dimostrare al contempo anche una "solidità" strutturale e "politica", evitando quindi di rendere possibili abili manovre di astroturfing o entrismo. ⁽⁵⁾

Bibliografia e riferimenti:

- ⁽⁵⁾ **Durkee, M. J. (2017). "Astroturf Activism." *Stanford Law Review*, 69: 201-272.** Analisi giuridico-istituzionale dell'astroturfing e delle sue implicazioni per il policymaking. <https://review.law.stanford.edu/wp-content/uploads/sites/3/2017/01/69-Stan-L-Rev-201.pdf>
- Walker, E. T. (2014). *Grassroots for Hire: Public Affairs Consultants in American Democracy*. Cambridge University Press.** Studio di riferimento sull'"advocacy a pagamento" e sulle mobilitazioni pseudo-dal-basso <https://www.cambridge.org/core/books/grassroots-for-hire/34BF1602635C2870428C34A9E1387415>



IL COINVOLGIMENTO DELLE ASSOCIAZIONI DI PAZIENTI NEL PROCESSO HTA IN ITALIA, UK, FRANCIA, SPAGNA E GERMANIA

A cura di Dario Martino, Presidente ATES - Associazione Talassemia ed Emoglobinopatia Sardegna

La panoramica seguente riassume brevemente il ruolo delle associazioni di pazienti (ed enti non profit) **nel processo decisionale dell'Health Technology Assessment (HTA) in Italia e lo confronta brevemente con gli analoghi meccanismi nel Regno Unito, Francia, Spagna e Germania.**

Alcuni sistemi sono più strutturati e "maturi" di altri.

Rispetto ad altre aree occidentali come gli Stati Uniti d'America, l'ambito europeo con la sua forte base comune si presta, con le dovute differenze, ad una comparazione, per semplicità solo tra alcuni stati che vengono riportati di seguito a titolo illustrativo e d'esempio.

Si cita per conoscenza del lettore che in ambito europeo, parlando in modo molto generale con tutto il rispetto per l'esperto che si troverà a leggere questo testo, si possono trovare fino a tre livelli nel processo HTA. Partendo da un primo livello regolatorio di EMA, si passa in caso di approvazione al livello nazionale.

In una Nazione a carattere marcatamente centrale come la Francia si avrà poi solo un secondo livello, in questo caso specifico rappresentato dalla *Haute Autorité de Santé (HAS)* che si pronuncerà sul percorso.

In Italia o Spagna, in modo più o meno formalizzato, esiste all'atto pratico un terzo livello regionale che a seconda dei casi può incidere sul processo HTA. **Nel caso dell'Italia risulta la possibile differenza di accesso in base alle regioni e marcate differenze Nord - Sud - Isole**, nel caso della Spagna invece riscontriamo la peculiarità di un forte assetto sui due poli, Castigliano e Catalano.

La tematica molto ampia e articolata, trattata da questo documento, è quindi solo introdotta e non si può ritenere minimamente esaustivo questo brevissimo compendio.

Inoltre, non si prendono qui posizioni sulle criticità e le loro risoluzioni, criticità note a livello europeo, in un futuro percorso oltre che tecnico di natura prettamente politica, intesa quindi come organizzazione della cosa pubblica, che probabilmente dovrebbe vedere coinvolti gli sforzi degli stati membri e dei tantissimi portatori d'interesse per rendere questi processi sempre più condivisi ed uniformi, proprio nell'ottica di un ecosistema europeo basato sull'uguaglianza e sulla libera circolazione dei cittadini europei.

(Ci sono vari lavori a riguardo, ad esempio dal 12 gennaio 2025 si applica il Reg. (UE) 2021/2282 con valutazioni cliniche congiunte (JCA): queste non sostituiscono le decisioni nazionali su prezzo/rimborso, ma forniscono dossier clinici comuni che l'Italia dovrà usare (sul farmaco in primis). Dal 2026 entrano i dispositivi medici ad alto rischio, 2028 estensione a tutti i farmaci orfani, 2030 tutti gli altri medicinali soggetti a JCA. Ciò tenderà a irrobustire l'uso di logiche HTA anche in AIFA - NDR)

Italia

In **Italia**, il percorso di HTA sarebbe gestito a livello nazionale da **AIFA** (Agenzia Italiana del Farmaco, per i farmaci) e **AGENAS** (Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali, per dispositivi medici e altre tecnologie). Negli ultimi anni sono stati istituiti canali ufficiali di partecipazione per le organizzazioni civiche dei pazienti. In particolare, il Ministero della Salute ha creato il **RUAS** (Registro Unico delle Associazioni della Salute) per censire e riconoscere formalmente le associazioni dei pazienti. AIFA prevede la possibilità per tali associazioni iscritte al RUAS di essere **udite** (consultate) dalla sua Commissione Tecnico-Scientifica del Farmaco, mentre Agenas ha istituito una **"rete dei portatori di interesse"** per coinvolgere pazienti e altri stakeholder nei processi valutativi. Queste iniziative mirano a rendere più **strutturato** e trasparente il **dialogo** tra istituzioni sanitarie e associazioni di pazienti nel percorso decisionale HTA in Italia, ma ancora il percorso è lungo per arrivare ad un sistema maturo, come può in parte essere definito tale quello del Regno Unito, spesso preso come riferimento in ambito europeo.

Regno Unito (UK)

Nel Regno Unito, l'HTA è affidato al NICE (National Institute for Health and Care Excellence), noto per il forte coinvolgimento di pazienti e pubblico nei suoi processi. Ogni comitato di valutazione del NICE include almeno due membri "laici" - persone con esperienza diretta come pazienti, caregiver o cittadini - che siedono al fianco degli esperti clinici come pari grado. Questo modello assicura che la prospettiva dei pazienti sia rappresentata attivamente durante le valutazioni. Inoltre, NICE consulta regolarmente le associazioni dei pazienti: ad esempio, pubblica online le bozze di scope (documenti preliminari che definiscono gli obiettivi della valutazione) per raccogliere commenti pubblici, integrando spesso i suggerimenti dei gruppi di pazienti sulle popolazioni, comparatori e outcome rilevanti. Durante le valutazioni tecnologiche, NICE accetta anche contributi scritti da parte delle patient advocacy groups, tramite moduli standardizzati che raccolgono le evidenze ed esperienze dei pazienti sulla malattia e le terapie in esame. Grazie a queste procedure, il sistema NICE è considerato un riferimento per la partecipazione strutturata dei pazienti nel processo decisionale HTA.

Francia

In Francia, l'agenzia HTA di riferimento è la Haute Autorité de Santé (HAS). Per i farmaci rimborsabili, la valutazione è condotta dalla Commissione di Trasparenza (Commission de la Transparence, CT) della HAS. All'interno di questa commissione siedono anche rappresentanti dei pazienti e consumatori: su 29 membri totali, 3 sono esponenti di organizzazioni di pazienti o di tutela dei consumatori. Questi rappresentanti partecipano a pieno titolo ai lavori (con diritto di voto al pari degli altri membri). Il contributo delle associazioni pazienti nel processo HTA francese avviene principalmente tramite dossier scritti inviati alla Commissione: le osservazioni dei pazienti sono raccolte e poi presentate in sede di commissione da uno dei rappresentanti dei pazienti, assicurando che il punto di vista dei malati sia considerato nella discussione. In sintesi, il modello francese istituzionalizza la presenza dei pazienti negli organi valutativi (garantendo loro voce e voto), integrando le evidenze cliniche con il vissuto e le priorità dei pazienti nelle decisioni di rimborso.



Spagna

In Spagna, il sistema di HTA è decentralizzato su base regionale. Esiste la RedETS (Red Española de Agencias de Evaluación de Tecnologías Sanitarias), una rete che coordina le agenzie regionali di valutazione delle tecnologie sanitarie per fornire analisi al Servizio Sanitario Nazionale. Per i farmaci, invece, la valutazione e il pricing/rimborso sono gestiti a livello centrale: l'agenzia regolatoria AEMPS (Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios) elabora rapporti di posizionamento terapeutico (IPT) per i nuovi farmaci, che informano le decisioni di rimborso prese dalla commissione interministeriale competente. Il coinvolgimento formale dei pazienti nel processo HTA spagnolo finora è stato limitato, soprattutto rispetto ad altri Paesi. Tuttavia, nel 2017 RedETS ha pubblicato un quadro metodologico per l'inclusione dei pazienti nelle valutazioni HTA, riconoscendo l'importanza della loro prospettiva. Negli anni recenti è emersa l'esigenza di rafforzare la partecipazione attiva dei pazienti come stakeholder nelle decisioni - ad esempio tramite consultazioni pubbliche o coinvolgimento diretto nelle commissioni - ma tali pratiche sono ancora in fase iniziale di sviluppo. La Spagna sta dunque muovendo i primi passi per allinearsi alle migliori pratiche internazionali di patient engagement in HTA.

Germania

In Germania, l'HTA è inserito nel sistema di autogoverno della sanità pubblica. L'organo decisionale principale è il G-BA (Gemeinsamer Bundesausschuss, il Comitato Federale Congiunto), che definisce quali farmaci, dispositivi e prestazioni sono rimborsati dall'assicurazione sanitaria nazionale. Nel G-BA sono rappresentati tutti gli stakeholder chiave, inclusi medici, ospedali, enti assicurativi e rappresentanti dei pazienti. I rappresentanti dei pazienti partecipano a tutte le fasi del processo valutativo nelle commissioni del G-BA, contribuendo con la prospettiva dei malati durante le deliberazioni. Tuttavia, pur sedendo al tavolo decisionale, i pazienti in Germania non hanno diritto di voto nelle deliberazioni finali del G-BA (il voto è riservato ai rappresentanti di provider e payer). Dal punto di vista tecnico-scientifico, il IQWiG (Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen) supporta il G-BA conducendo valutazioni indipendenti sull'efficacia e costo-efficacia delle tecnologie. L'IQWiG ha sviluppato strumenti per coinvolgere i pazienti nelle sue analisi: ad esempio raccoglie regolarmente il punto di vista dei pazienti tramite questionari e colloqui, spesso in collaborazione con il Comitato di Coordinamento per il Coinvolgimento dei Pazienti del G-BA, in modo da includere nei report elementi sull'impatto di esami e terapie sulla qualità di vita reale. In sintesi, il modello tedesco prevede una partecipazione istituzionalizzata ma consultiva dei pazienti nel processo HTA: i loro rappresentanti siedono nei comitati e contribuiscono attivamente alle valutazioni, sebbene senza potere di veto, assicurando che le decisioni tengano conto anche delle esigenze e preferenze dei pazienti.

Di seguito si condivide una veloce panoramica riassuntiva, dall'integrazione più strutturata/efficace a quella meno matura dei paesi sopra menzionati.

1. **UK (NICE)** - Coinvolgimento "di sistema": membri laici/pazienti nei comitati, consultazioni pubbliche standard, submission strutturate dei gruppi pazienti integrate nel processo. Diritto di voto dei rappresentanti pazienti.
2. **Francia (HAS)** - Rappresentanti pazienti con diritto di voto nella Commissione di Trasparenza; canali formali per dossier/osservazioni dei pazienti.
3. **Germania (G-BA/IQWiG)** - Pazienti presenti in tutte le fasi (senza voto nel G-BA), metodologie dedicate di IQWiG per includere esperienza e preferenze dei pazienti.
4. **Italia (AIFA/AGENAS + RUAS)** - Architettura in consolidamento: registro RUAS, audizioni/consultazioni strutturate ma implementazione ancora disomogenea e in crescita.
5. **Spagna (RedETS/AEMPS)** - Sistema più frammentato e in evoluzione: linee per patient involvement esistono, ma il coinvolgimento regolare/strutturale è meno sistematico.

Fonti: Le informazioni sono tratte da report e documenti ufficiali sulle procedure di HTA nei vari Paesi, inclusi articoli e blog specialistici che descrivono il coinvolgimento dei pazienti nei processi decisionali di NICE (UK), HAS (Francia), RedETS/AEMPS (Spagna) e G-BA/IQWiG (Germania). Questi confronti evidenziano come, pur con strutture diverse, tutti i sistemi si stiano muovendo verso una maggiore integrazione della voce dei pazienti nell'HTA, sia attraverso rappresentanti nei comitati sia tramite consultazioni e submission dedicate.

Commissione Europea - Implementazione della normativa HTA (applicazione dal 12 gennaio 2025).

https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/implementation-regulation-health-technology-assessment_en

EUR-Lex - Regolamento (UE) 2021/2282 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 15 dicembre 2021, relativo alla valutazione delle tecnologie sanitarie.

<https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2021/2282/oj/eng>

Commissione Europea - Joint Clinical Assessments (JCA): ambito e scadenze.

https://health.ec.europa.eu/health-technology-assessment/implementation-regulation-health-technology-assessment/joint-clinical-assessments_en

Commissione Europea - HTA/HTAR Factsheet: Joint Clinical Assessments (timeline 2025> 2028> 2030).

https://health.ec.europa.eu/document/download/ced91156-ffe1-472d-85eb-aa6a91dd707e_en?filename=hta_htar_factsheet-jca_en.pdf

EUR-Lex - Regolamento di esecuzione (UE) 2025/117 della Commissione, del 24 gennaio 2025 (JSC per dispositivi medici/IVD).

https://eur-lex.europa.eu/eli/reg_impl/2025/117/oj/eng

Julian, E. (2025). Avoiding Error and Finding the Right Balance in European HTA. Health Economics, Policy and Law.

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11843953/>



Il Progetto InPags è realizzato grazie al contributo non condizionante



Rarelab è la prima ed unica società di consulenza e servizi in Italia totalmente patient oriented. Muovendo le leve di formazione e informazione, patient access, advocacy & policy shaping, Rarelab aumenta il peso dei pazienti e delle loro associazioni nel ridisegnare un SSN pensato intorno alle loro esigenze. In questo modo Rarelab vuole contribuire a migliorare la vita delle persone che si trovano cronicamente o in una fase della propria vita ad essere affetti da una patologia. Attraverso la collaborazione con tutti gli altri attori di sistema (aziende, istituzioni, media e mondo scientifico), Rarelab intende a tale scopo essere il soggetto aggregatore di partner di eccellenza, qualificati a realizzare in modo efficiente progetti complessi e di valore.