

**Intervento di Niko Costantino (Cometa ASMME): Forum Risk Management
Agenas, 25 Novembre 2025**

Buongiorno, sono Niko Costantino e rappresento qui Cometa ASMME, associazione di pazienti con malattie metaboliche ereditarie. Ringrazio Agenas per l'invito e per la collaborazione all'interno della Rete degli Stakeholder HTA DM. Le malattie metaboliche nel loro complesso, rare o meno, genetiche o meno, condividono molte delle sfide delle cronicità di cui si occupa Il Progetto PDTA di AGENAS e ALTEMS. Per questo vorrei usare le quattro domande, che mi sono state poste, per ragionare soprattutto su cosa intendiamo, davvero, quando parliamo di "valore" in sanità.

1. Che valore potrà avere il PDTA ottimale?

Per molti anni "valore" in sanità è stato tradotto quasi solo come rapporto tra esiti e costi: in maniera impropria, potremmo dire più outcome possibile per ogni euro speso. Oggi sappiamo che è una definizione troppo stretta. Il Panel di esperti della Commissione Europea parla di quattro dimensioni: valore personale (raggiungere gli obiettivi di salute delle singole persone), valore tecnico (usare bene le risorse), valore allocativo (distribuirle in modo equo) e valore sociale (quanto la sanità contribuisce alla coesione e alla partecipazione).

Un PDTA "ottimale", allora, ha valore solo se tiene insieme tutte queste dimensioni. Sul piano clinico: se migliora in modo dimostrabile esiti e prevenzione delle complicanze. Sul piano organizzativo: se riduce la frammentazione e costruisce una vera presa in carico, in cui il paziente non deve "fare da regista" tra ospedale, territorio e servizi. Sul piano economico: se non si limita a tagliare, ma seleziona e sposta risorse da interventi a basso impatto verso quelli ad alto impatto, in modo trasparente.

C'è poi il valore etico, che riguarda l'equità, e il valore personale e sociale, che riguarda l'effetto del percorso sulla qualità di vita, sull'autonomia, sul carico per le famiglie, sulla possibilità di lavorare, studiare, partecipare. Se un PDTA cura bene ma lascia intatte o peggiora le disuguaglianze, o ignora questi aspetti, il suo valore è parziale.

Insomma: un PDTA ottimale "vale" se cura meglio, organizza meglio, usa meglio le risorse e non perde di vista le persone nella loro interezza.

2. Quali elementi dei PDTA presentati sono più rilevanti o innovativi?

A me colpiscono soprattutto tre cose.

Primo: il metodo. Applicare l'HTA non solo alle singole tecnologie ma all'intero percorso significa chiedersi se il "pacchetto" PDTA produce un valore aggiunto rispetto a come gestiamo oggi la patologia. È un cambio di sguardo: non contano solo le singole buone pratiche, conta l'effetto combinato del percorso sulla vita dei pazienti e sul sistema.

Secondo: la scelta di includere nella valutazione del PDTA anche PREM, PROM, qualità di vita. Vuol dire ammettere che non basta guardare ai parametri clinici: un modello di cura è buono se è anche vivibile, comprensibile, sostenibile per chi ci convive tutti i giorni.

Terzo: il riferimento a modelli di finanziamento che premiano il "valore" e non il volume, in direzione del pay per outcome. È coerente con l'idea che non dobbiamo pagare il fatto che qualcosa è stato fatto, ma il fatto che quella cosa ha prodotto gli esiti cui ci eravamo impegnati.

3. Quali criticità e sfide vedo nell'implementazione?

La prima è concettuale: "valore" è una parola polisemica. Il clinico pensa agli esiti, l'amministratore ai conti, il paziente alla qualità di vita, il decisore all'equità. Se non esplicitiamo queste differenze e non costruiamo un linguaggio comune, rischiamo che ciascuno usi il termine per confermare il proprio punto di vista, invece che come base di confronto.

La seconda è infrastrutturale e culturale: un PDTA basato sul valore richiede dati che oggi spesso non esistono o non vengono usati. Non basta il flusso amministrativo; servono indicatori di outcome clinico ben definiti, ma anche - almeno in alcuni casi - patient-reported outcome (PROM), patient reported experience (PREM), informazioni sull'accesso nei vari gruppi sociali. E servono persone e tempo per leggere quei dati e tradurli in decisioni. Un cruscotto che nessuno guarda non crea valore.

La terza è la difficoltà del cambiamento: lavorare per percorsi e per esiti mette in discussione assetti, abitudini, identità professionali. È un passaggio che richiede tempo, leadership e una certa trasversalità istituzionale e governativa, altrimenti la spinta si esaurisce prima che i benefici diventino visibili.

4. Cosa sviluppare: inclusività, rarità, personalizzazione e pay for outcome

Dal punto di vista di un'associazione che si occupa di malattie metaboliche ereditarie, vorrei che il discorso sul valore facesse un passo in più su tre assi.

Il primo è l'**inclusività**. I PDTA che stiamo costruendo per le grandi cronicità creano infrastrutture preziose - telemedicina, team multidisciplinari, coordinamento ospedale-territorio - che dovrebbero essere accessibili anche a chi ha patologie più rare ma bisogna

molto simili di continuità e complessità assistenziale. Un sistema veramente “basato sul valore” non può funzionare solo per il paziente statistico.

Il secondo è la **rarietà**. Dal punto di vista strettamente economico, molte malattie rare rischiano sempre di risultare “non convenienti”. Dal punto di vista del valore sociale, sono un banco di prova: mostrano se un sistema sanitario sa farsi carico anche dei pochi con bisogni enormi. Se il concetto di valore non è capace di includere questa dimensione, rischia di perdere di senso.

Il terzo è la **personalizzazione**. I PDTA servono a garantire uno standard per tutti, ma non devono diventare gabbie rigide. Tenere insieme standard e flessibilità – soprattutto quando arrivano terapie innovative molto costose, per sottogruppi di pazienti – è il punto in cui il modello del **pay per outcome** mostra la sua forza: pagare in funzione degli esiti reali, rendendo prodotti che a volte costano al sistema svariati milioni di euro sostenibili per il sistema sanitario e soprattutto accessibili a chi realmente ne può beneficiare, condividendo il rischio tra sistema e industria, e rendendo più trasparente il discorso su dove investiamo e da dove disinvestiamo.

Chiudo con una nota di sistema. Quando “valore” viene usato come sinonimo di “fare di più con meno” o come semplice categoria economica, rischiamo di rendere invisibili proprio le cose che tengono in piedi il sistema: fiducia, dignità, qualità delle relazioni di cura, coesione sociale. I conti sono fondamentali, ma registrano solo una parte di ciò che conta.

Se vogliamo che la parola “valore” sia una promessa credibile, dobbiamo mostrare che il sistema sa misurare gli esiti, sa spostare risorse dal basso valore all’alto valore, sa pagare sulla base dei risultati e non solo dei volumi, e sa includere anche chi è raro o complesso. Solo così, credo, possiamo parlare di PDTA “ottimali” in senso pieno.