



H.A.I.R.D.: Horizon scanning & Artificial Intelligence in Rare Disease

Presentato dal gruppo di lavoro multidisciplinare H.A.I.R.D.- team:

Dott. Ugo Trama
Dott.ssa Maria Galdo
Prof. Giuseppe Limongelli
Dott.ssa Francesca Futura Bernardi
Dr.ssa Giulia De Marchi
Dr.ssa Stefania Farace
Dott. Giuseppe Borriello

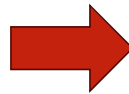
Il contesto

HORIZON SCANNING

Il valore dei sistemi che permettono di prevedere e valutare l'impatto di tecnologie in fase di sviluppo sui servizi sanitari è riconosciuto dalla comunità scientifica internazionale.

In particolare, in ambito sanitario, i sistemi di Horizon Scanning (HS) mirano a identificare, filtrare e prioritarizzare le tecnologie nuove o emergenti, a stimarne l'effetto sull'assistenza, sui costi, sulla società e sui servizi sanitari e non da ultimo, ad informare i decisori e chi si occupa della pianificazione delle attività di ricerca sanitaria.

Piano Nazionale Malattie Rare 2023-2026: Capitolo «Trattamenti farmacologici»



Azioni da implementare a livello nazionale e regionale: **“Avvio di un percorso di Horizon Scanning e conseguenti valutazioni d'impatto economico a breve – medio termine (3-5 anni) e pianificazione delle strategie nazionali e regionali al fine di garantire un accesso equo e sostenibile nel tempo”** nonché la “Produzione entro 12 mesi dall'approvazione del PNMR di un primo documento di Horizon Scanning sui farmaci per le malattie rare e relativo impatto economico stimato a seguito della rimborsabilità' SSN”

Horizon Scanning nelle MR in Regione Campania

Il PNMR MR 2023-2026 è stato recepito in Regione Campania con il DGRC 29/2024, con il quale è stato emanato il **Piano Regionale MR (PRMR) 2023-2026**.

Con il Piano Regionale MR è stata quindi disposta formalmente l'implementazione di un sistema regionale di HS.

Le azioni successive sono state rispettivamente:

- istituzione del **gruppo di lavoro (gdl) regionale per attività di Horizon Scanning nell'ambito delle malattie rare (DD 597/2024 Regione Campania)**;
- predisposizione di **report di HS** su farmaci emergenti per MR da parte del gdl.

Gli obiettivi che il gruppo di lavoro regionale di HS persegue, primariamente ma non esclusivamente, sono rappresentati **dall'individuare in maniera più efficiente, equa e veloce i centri da autorizzare alla prescrizione ed i fabbisogni regionali, fornire informazioni su particolari modalità organizzative in merito ai medicinali per malattia rara emergenti nonché il possibile impatto sulla spesa sanitaria regionale, ove preventivabile.**

Problematica affrontata

L'attività viene svolta nel rispetto della metodologia corrente **gold standard** e in particolare eseguite le seguenti fasi essenziali del processo di Horizon Scanning:

- identificazione delle tecnologie;
- filtraggio;
- prioritarizzazione;
- valutazione;
- disseminazione delle informazioni.

Ad oggi, **l'intero processo viene svolto senza automazione intelligente.** Nello specifico, nella fase di identificazione delle tecnologie e di valutazione, la ricerca viene effettuata dai membri del gruppo di lavoro (soggetti coinvolti) in banche dati, letteratura grigia o su siti web di enti regolatori con notevole impiego di tempo, al fine di non tralasciare fonti informative e predisporre sunti delle evidenze. Altresì il filtraggio e la prioritarizzazione **richiedono lunghi periodi, che rendono difficoltoso tenere il passo con l'approvazione prossima di farmaci per malattia rara.**



KEY RESOURCES

Infrastruttura informatica di AI (intelligenza artificiale) da addestrare grazie a collaborazione tra azienda informatica e membri del gruppo di lavoro Horizon Scanning Regione Campania

KEY ACTIVITIES

Il sistema AI dovrà essere in grado di svolgere attività di:

- Deep searching
- Deep reasoning
- Machine learning

KEY PARTNERS

Azienda informatica specialista nello sviluppare e fornire servizi (es. manutenzione) di sistemi di AI

VALUE PROPOSITIONS

Grazie a AI, ridurre il tempo dedicato, durante il processo di Horizon Scanning, alle fasi di:

- identificazione;
- filtraggio e prioritizzazione;
- valutazione.

Valore ottenuto: recupero di ore lavorative da destinare a un più costante ed efficiente aggiornamento dell'attività. Miglioramento delle attività di programmazione regionale dei fabbisogni del medicinale emergente per MR.

CUSTOMER RELATIONSHIP

Supporto al "Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici" della Regione Campania

CHANNELS

Il report generato e validato verrà inviato in formato elettronico alla segreteria del Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici della Regione Campania

CUSTOMER SEGMENTS

"Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici" della Regione Campania (secondo DD 597/2024)

COST STRUCTURE

- Costo per lo sviluppo della piattaforma di intelligenza artificiale ed accesso alla stessa da parte delle utenze del gdl regionale HS
- Costo del capitale umano dell'azienda informatica che fornisce il servizio (es. ingegneri, programmatori)
- Costo di manutenzione ed aggiornamento della piattaforma di intelligenza artificiale

REVENUE STREAM

- Possibili fonti di finanziamento per il progetto:
- finanziamento non condizionante (es. da aziende farmaceutiche, fondazioni, etc.)

SOLUZIONE PROPOSTA

FOCUS SULLA SOLUZIONE PROPOSTA : tecnologie utilizzate

- La soluzione immagina una **infrastruttura informatica di AI (intelligenza artificiale)** da addestrare grazie a **collaborazione tra azienda informatica e membri del gruppo di lavoro Horizon Scanning Regione Campania**.
- L'azienda informatica dovrà essere **specialista con comprovata esperienza nello sviluppare e fornire servizi (es. manutenzione) di sistemi di AI**.
- Il sistema AI dovrà essere in grado di svolgere attività di **deep searching, deep reasoning e machine learning**. Tali attività andranno implementate a supporto delle seguenti fasi del processo di HS:
 - a) **identificazione**: il gdl regionale ha come compito l'identificare proattivamente, con cadenza trimestrale, i farmaci per malattia rara per i quali il CHMP di EMA ha adottato un parere positivo. AI potrebbe pertanto fornire dei report riassuntivi periodici nei quali vengono inseriti tutti i farmaci che hanno ricevuto parere positivo da parte del CHMP di EMA in un determinato lasso di tempo e tale informazione essere filtrata ulteriormente per verificare che tali farmaci siano destinati al trattamento di malattie inserite in Allegato 7 al DPCM del 12 gennaio 2017 (**deep searching**).
 - b) **filtraggio e prioritizzazione**: i medicinali identificati nella fase precedente verranno filtrati e prioritizzati da AI addestrata secondo i criteri stabiliti dal gruppo di lavoro e che riflettono gli indirizzi assegnati dal Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici della Regione Campania (**deep reasoning**).
 - c) **valutazione**: AI potrebbe essere addestrata a riepilogare le evidenze disponibili, dopo ricerca su banche dati, etc. selezionati da parte del gruppo di lavoro, al fine di coadiuvare la stesura del report di valutazione (**deep searching**). Per tale fase potrebbero essere costruiti anche modelli di **machine learning** per attività di programmazione dei fabbisogni regionali e possibile impatto sulla spesa del medicinale emergente (interfaccia con altre piattaforme regionali: SINFONIA-PT e Registro Regionale Malattie Rare).

FOCUS SULLA SOLUZIONE PROPOSTA: costi e tempistiche

Costi ipotizzabili

Costo per sviluppo di piattaforma di intelligenza artificiale ed accesso alla stessa da parte delle utenze del gdl regionale HS

Costo del capitale umano dell'azienda informatica che fornisce il servizio (es. ingegneri, programmatori)

Costo di manutenzione ed aggiornamento della piattaforma di intelligenza artificiale

Tempistiche per la realizzazione e avvio del sistema di AI:12-18 mesi

Composizione del team multidisciplinare

- Dott. Ugo Trama, Direttore Settore Accreditamento Istituzionale HTA rapporti con il mercato, Direzione Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del Sistema Sanitario Regione Campania
- Dott.ssa Maria Galdo, componente della Commissione malattie rare Regione Campania
- Prof. Giuseppe Limongelli, Direttore del Centro di Coordinamento Malattie Rare Regione Campania
- Dott.ssa Francesca Futura Bernardi, Responsabile U.O.S Politiche del Farmaco e Dispositivi Medici – HTA, Direzione Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del Sistema Sanitario Regione Campania
- Dr.ssa Giulia De Marchi, Dirigente Farmacista del SSR Regione Campania, con funzione di segreteria nel gruppo di lavoro regionale per attività di Horizon Scanning nell'ambito delle malattie rare
- Dr.ssa Stefania Farace, SSFO Università degli Studi di Napoli, Federico II
- Dott. Giuseppe Borriello, Responsabile Interventi di Sanità Regionale, Regione Campania

METODOLOGIA DI LAVORO DEL TEAM:

Durante un primo briefing, individuato il tema, il team ha discusso i limiti attuali del processo di Horizon Scanning e quindi ragionato sulle modalità con cui l'intelligenza artificiale potesse fungere da supporto per tali limiti.

Successivamente il gruppo ha pertanto costruito il progetto, avvalendosi del Business Model Canvas, il quale ha permesso il completo approfondimento degli aspetti cruciali della soluzione immaginata.

La presentazione finale del progetto è stata discussa e approvata collegialmente.



Grazie dell'attenzione!