



## L'uso della farmacoeconomia da parte dei "decisori": utopia o realtà?

Carlo Lucioni\*

“Ma questi decisori, li utilizzano i risultati degli studi farmacoeconomici quando fanno le loro scelte?”. La domanda è lecita e viene posta con sempre maggior frequenza soprattutto da parte di coloro che tali studi fanno, e cioè gli economisti sanitari applicati, chiamati anche farmacoeconomisti. Queste persone soffrono infatti di una grave frustrazione derivante dal fatto di non sapere se ciò che hanno fatto è effettivamente servito a “migliorare l'efficienza allocativa del sistema sanitario”, come spesso usano dire in premessa ai loro studi.

E condizione necessaria, anche se non sufficiente, perché ciò possa accadere è che i risultati di tali studi vengano presi in considerazione da coloro cui spetta il compito di effettuare le scelte relative ai beni e servizi da acquistare e utilizzare per la cura degli assistiti: i decisori, appunto.

Purtroppo per i farmacoeconomisti, bisogna prendere atto che i risultati degli studi farmacoeconomici non costituiscono, per il momento almeno, il principale elemento in base al quale vengono prese le decisioni. Alcune ricerche hanno cercato di valutare l'impatto che la farmacoeconomia ha avuto sulle decisioni, ad esempio in tema di determinazione dei prezzi o dei livelli di rimborso, e hanno concluso che tale impatto è molto limitato. Del resto spesso è difficile persino valutare se possa esistere un impatto, per la carenza di informazioni disponibili, ad esempio, sui contenuti degli studi di valutazione presentati a supporto delle domande di prezzo/rimborso.

Va anche tenuto presente che non esiste un unico contesto in cui opera il “decisore”. Ne esistono almeno due (o meglio tre), ciascuno con proprie specificità. A livello centrale, vengono prese decisioni che riguardano l'intera popolazione di uno Stato: si tratta generalmente di decisioni che riguardano il prezzo di un nuovo farmaco o la misura della sua rimborsabilità. Tipici esempi sono l'Australia o alcune Province del Canada. Altre decisioni, sempre a livello centrale, possono riguardare programmi di prevenzione, campagne di vaccinazione o di screening. A livello locale, invece, si prendono decisioni che possono riguardare un ospedale, o un distretto sanitario o un gruppo di medici convenzionati con l'amministrazione di una azienda sanitaria locale. Esse possono riguardare l'adozione, o meno, di linee-guida di trattamento di particolari malattie, l'inclusione di un nuovo farmaco in un Prontuario Terapeutico e così via. Infine

non andrebbe dimenticato che esiste anche un terzo e ultimo livello che è quello del paziente, che si materializza nel momento cioè in cui il singolo curante prende decisioni riguardanti una determinata persona. A tale ultimo livello non è molto probabile che la farmacoeconomia possa esercitare una grande influenza sulle decisioni del medico. I maggiori potenziali impatti si hanno a livello centrale e locale. Peraltro non è difficile immaginare che le decisioni prese a tali livelli influenzeranno indirettamente, e in misura consistente, quanto verrà poi deciso *vis-à-vis* col paziente.

La qualità degli studi di valutazione economica non dovrebbe essere condizionata dal livello cui essi sono destinati, tuttavia il farmacoeconomista non può ignorare che le caratteristiche dei decisori che operano ai due livelli (centrale e locale) non sono identiche. Se a livello centrale non è impossibile che i decisori siano in possesso della necessaria competenza per giudicare della bontà di uno studio, ciò è assai meno probabile quando si passa al livello locale. Ancora, a livello centrale spesso esistono (ad esempio nel Regno Unito, in Olanda, Svezia e così via) delle linee-guida sulle metodologie da seguire per una buona esecuzione degli studi; ciò non accade a livello locale, per cui a tale livello sarà più facile incontrare delle diffidenze sui risultati degli studi, e dubbi sulla esistenza di bias, soprattutto se gli studi sono stati finanziati da industrie farmaceutiche. Ciò non significa che a livello centrale i risultati degli studi saranno acriticamente accettati, ma a tale livello sarà più facile cercare di iniziare una discussione e un confronto sulle metodologie e sulle fonti dei dati utilizzati, ad esempio per calcolare costi e risultati.

Peraltro, non sempre ci si potrà trovare in questa situazione ideale: tra le principali cause che hanno limitato il ricorso alla farmacoeconomia è bene ricordare l'insufficiente comunicazione tra chi produce gli studi e chi dovrebbe utilizzarli, il che ha impedito il sorgere e il consolidarsi di una cultura comune. La mancanza di un linguaggio e di una metodologia condivisa, inoltre, fanno sì che molti studi siano presentati in modo incomprensibile per chi dovrebbe utilizzarli.

In generale sta diventando sempre più evidente che due sono i principali ostacoli che si frappongono ad un sereno utilizzo dei risultati degli studi: il loro insufficiente livello di affidabilità e la scarsa importanza attribuita dagli esecutori degli studi alle conseguenze economiche di scelte basate sui risultati degli studi stessi.

\*Wolters Kluwer Health, Adis International, Milano

La non affidabilità degli studi, e in particolare la loro scarsa trasparenza, costituisce la principale preoccupazione di chi sarebbe anche disposto a utilizzarli nelle sue decisioni. L'uso estensivo delle ipotesi, in mancanza di dati empirici, o la sempre più frequente estrapolazione a lungo termine, nell'ambito di sofisticati modelli, di dati temporalmente limitati, sono tutti ostacoli che mettono in crisi la fiducia del decisore. Ad esempio, per quanto riguarda i benefici, spesso i trial sono di durata insufficiente per osservarli nella misura necessaria per effettuare una valutazione economica. E quindi i benefici a sei mesi o a un anno vengono estrapolati a cinque quando non a dieci o quindici anni: come non comprendere in questi casi la diffidenza del decisore, che vorrebbe invece sempre trovarsi davanti a studi basati su benefici realmente osservati e non sulle simulazioni di un modello? E questo vale, anche se su scala più ridotta, quando in uno studio si stimano i costi di trattamento delle varie alternative basandosi sul parere di esperti e non su pratiche terapeutiche realmente osservate.

Non è raro poi trovare decisori molto diffidenti nei confronti dei cosiddetti QALY (Quality Adjusted Life Years), indicatore sempre più usato per la quantificazione dei benefici e molto amato dai farmacoeconomisti perché riassume in sé il dato di sopravvivenza con quello di qualità della vita: diffidenza motivata dalla mancanza di soluzioni condivise dagli economisti e dai clinici su come misurare i QALY. L'evoluzione della metodologia di analisi dei risultati porterà prima o poi alla definizione di uno standard per la misura dei QALY, ma questo purtroppo non renderà più facile al decisore la comprensione dei concetti che stanno dietro a tale indicatore, in particolare la necessità di aggregare le numerose dimensioni dei risultati di un trattamento in un unico indice. Per non citare poi le diffidenze che possono generarsi quando si parla di *willingness to pay*, di analisi di contingenza, di modelli stocastici e via discorrendo.

E veniamo al secondo degli ostacoli sopra evidenziati, e cioè la mancanza di attenzione degli Autori degli studi alle conseguenze economiche derivanti dalla eventuale applicazione dei risultati dei loro studi. Spesso gli studi concludono che l'adozione di un nuovo prodotto o di una nuova tecnologia comporteranno dei risparmi in "altre parti del sistema sanitario", con ciò significando, di solito, che ad un maggior costo della terapia farmacologica corrisponderà una diminuzione più che proporzionale della spesa per altre risorse, ad esempio ricoveri ospedalieri. Ma un minor numero di giornate di ricovero non è di per sé garanzia di risparmio, data la presenza di ingenti costi fissi nelle strutture ospedaliere. La possibilità di risparmiare si basa piuttosto, in questi casi, sulla "liberazione" di risorse da impiegare in modo alternativo, ad esempio per ricoverare altri pazienti. Si tratta cioè di una speranza di risparmio, e quindi perché stupirsi se persino i decisori disponibili a considerare i risparmi non solo all'interno del proprio budget dimostrano un certo scetticismo sulla possibilità di realizzare effettivamente i risparmi promessi? E a maggior ragione questo scetticismo si manifesta tutte le volte che i vantaggi economici di una certa scelta sono determinati dai guadagni

di produttività (i cosiddetti costi indiretti) che dovrebbero manifestarsi al di fuori del sistema sanitario.

Sempre in tema di insufficiente analisi delle conseguenze economiche sul sistema sanitario sono molto pochi gli studi di *budget impact*, studi condotti cioè con lo scopo di verificare concretamente la sostenibilità di una nuova tecnologia, più efficace ma anche più costosa di quelle esistenti. In generale, invece, si fanno degli studi che calcolano il costo incrementale per anno di vita guadagnato (Incremental Cost Effectiveness Ratio, ICER) e poi lo confrontano con dei valori di soglia desunti dalla letteratura. Quando l'ICER risulta essere inferiore a tale soglia (ad esempio a 50.000 dollari) l'autore conclude che la nuova tecnologia è *cost effective* e quindi può essere impiegata a carico del sistema sanitario pubblico. Purtroppo le cose non sono così semplici. L'ICER rappresenta comunque una spesa aggiuntiva, anche se esso è inferiore al valore di soglia. Ed è la sostenibilità di questa nuova spesa (al di là della conformità al valore di soglia) che interessa maggiormente al decisore, ossia se essa è compatibile con l'ammontare delle risorse aggiuntive di cui dispone. In altre parole, dovendo valutare se potrà farvi fronte vorrebbe sapere dal farmacoeconomista a quanto ammonta questa spesa aggiuntiva. Per rispondere a questa domanda occorre approfondire l'analisi e stimare ad esempio, quanti pazienti potranno utilizzare la nuova terapia, per quanto tempo e così via. Il calcolo dell'ICER, per quanto accurato e trasparente sia, non riflette i concetti di scarsità, di scelta, di costo-opportunità che sono fondamentali quando l'obiettivo è quello di massimizzare la produzione di salute con le risorse disponibili. E tutto questo è, più o meno consciamente, ben presente al decisore (anche se non ha una grande preparazione economica), che trae dalla mancanza di studi di *budget impact* un ulteriore, in buona parte giustificato, motivo di diffidenza.

Molta strada deve ancora essere percorsa prima che la farmacoeconomia divenga un elemento normalmente preso in considerazione quando il decisore sanitario effettua le sue scelte ai vari livelli di responsabilità. La cosa più importante perché ciò avvenga è il superamento degli attuali elevati livelli di diffidenza del decisore. L'esecuzione di studi di elevata qualità è condizione a ciò necessaria, così come lo è lo sviluppo delle necessarie conoscenze economiche da parte del decisore. Una condivisione delle conoscenze e del linguaggio economico faciliterà questo cammino, così come la messa a punto di linee-guida promosse da istituzioni pubbliche (cioè dai decisori stessi). In molti Paesi gli organismi regolatori (che potremmo identificare con i decisori operanti a livello centrale) hanno messo a punto, e in prospettiva probabilmente renderanno obbligatorie, delle "Direttive/Raccomandazioni" su come condurre studi di valutazione economica delle nuove tecnologie sanitarie innovative. Si tratta di esperienze frutto di una lunga e collaborativa attività preparatoria che ha consentito ai ricercatori indipendenti e ai valutatori/decisori di area pubblica di porre le basi per una comune cultura farmacoeconomica. Tra questi Paesi purtroppo non è compresa l'Italia: nel nostro Paese non è ancora chiaro se, e quan-

to, la farmacoeconomia possa avere un ruolo nei processi decisionali. Anche da noi sarebbe invece estremamente utile uno sforzo di tipo "istituzionale" per elaborare metodi condivisi di valutazione economica.

### **Letture consigliate**

- Lucioni C, Ravasio R. Come valutare i risultati di uno studio farmacoeconomico? *Pharmacoeconomics Italian Research Articles* 2004; 6 (3): 121-130.
- Lucioni C. L'importanza di Linee Guida istituzionali negli studi farmacoeconomici: l'esperienza olandese e svedese. *Economia & Politica del Farmaco* 2004; 1: 38-43.
- Drummond M, Brown R, Fendrick MA et al. Use of pharmacoeconomics information. Report of the ISPOR Task Force on use of pharmacoeconomic/health economic information in health-care decision making. *Value Health* 2003; 6: 407-416.
- Hoffman C, Graf von der Schulenburg JM. On behalf of the EUROMET group. The influence of economic evaluation studies on decision making: a European survey. *Health Policy* 2000; 52: 179-192.