Analisi rapporti costo/efficacia, costo/utilità, costo/beneficio

Giorgio L. Colombo

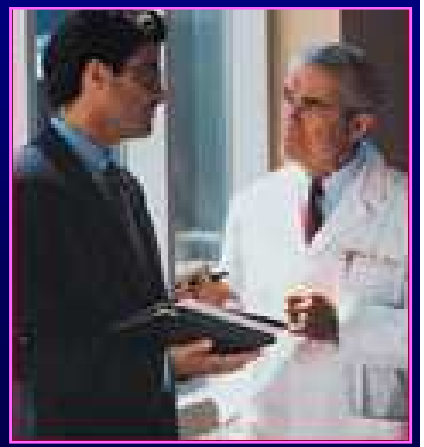
Università degli Studi di Pavia, Facoltà di Farmacia e

S.A.V.E. Studi Analisi Valutazioni Economiche, Milano

© Giorgio L. Colombo

Sintesi della presentazione

- Stato di salute e costi in sanità
  - Oncologia e spesa sanitaria
  - Gli studi di Costo della Malattia (Cost-of-Illness)
    - » Il costo sociale e sanitario dei tumori in Europa
- Valutazione economica in sanità
  - Costi e Benefici in oncologia
  - Come valutare i risultati di una valutazione economica
  - Impiego delle League Tables
- Discussione e conclusioni



© Giorgio L. Colombo

Oncologia e spesa sanitaria

- Negli ultimi decenni si assiste:
  - alla crescita dell'incidenza annua dei tumori
  - al progressivo invecchiamento della popolazione
  - al sensibile aumento dei costi delle nuove opportunità diagnostico terapeutiche
  - ai progressi delle medicina
    - » che potrebbero trasformare alcuni tumori al momento a prognosi rapidamente infausta in patologie croniche a lunga sopravvivenza

Direct cost for cancer in Europe (2002/2003).

Total in million Euro, per capita Euro and share of total healthcare expenditures.

Source: World Health Organization. Priority medicines for Europe and the world. WHO/EDM/PAR/2004.7. 2004.

	Direct costs for cancer (€ million)	Direct costs for cancer per capita (€)	Cancer costsas % of total healthcare costs	Total healthcare expenditure[5] (€ million)	Population[5] (2003)
Total	54,263	120	6.4	844,800	451,263,000
Austria	923	114	6.5	14,200	8,067,000
Belgium	1,469	142	6.5	22,600	10,372,000
Czech Republic	663	65	6.5	10,200	10,202,000
Denmark	748	139	6.5	11,500	5,387,000
Finland	587	113	6.9	8,500	5,213,000
France	7,091	119	5.3[7]	133,800	59,768,000
Germany	12,100	150	5.4[6]	224,000	82,502,000
Greece	1,112	101	6.5	17,100	11,036,000
Hungary	566	56	6.5	8,700	10,124,000
Ireland	468	118	6.5	7,200	3,953,000
Italy	6,578	114	6.5	101,200	57,478,000
The Netherlands	1,525	94	4.1[9]	37,200	16,224,000
Norway	871	191	6.5	13,400	4,564,000
Poland	1,300	34	6.5	20,000	38,195,000
Portugal	943	90	6.5	14,500	10,449,000
Spain	3,855	92	6.5	59,300	41,874,000
Sweden	1,253	140	7.0[4,10,11]	17,900	8,958,000
Switzerland	1,391	189	6.5	21,400	7,343,000
UK	10,823	182	10.6[8]	102,100	59,554,000

Cancer healthcare costs as a proportion of total costs and distribution of direct costs of cancer on inpatient care, ambulatory care and drugs.

	Cancer costs as % of total healthcare costs	Inpatient care	Ambulatory care	Drugs	Total
Germany (2002)	5.4%	67% + 9% other	16%	8%	100%
Sweden (1996)	6%	94%	Not included in the estimate	6%	100%
Sweden (2002)	10%	75% (hospital)	15% (including home care)	10%	100%
France (1998)	5.3%	83%	7% + 6% transport costs	4%	100%
The Netherlands (1994)	4.6%	60% + 11% non-hospital institutional care	18%	11%	100%

Source:

- Gesundheit – Krankenheitskosten 2002, Statistisches Bundesamt, Wiesbaden 2004.
- Santé-Solidarités. Publications de la DREES. 2002. Available at: http://www.sante.gouv.fr/htm/publication/.
- Ragnarson Tennvall G, Karlsson G. Cancer treatment in Sweden--costs of drugs, inpatient and outpatient care from 1985 to 1996 and cost e.ectiveness of new drugs. Acta Oncol 1998; 37: 447-453.
- Swedish Council on Technology Assessment in Health Care. SBU Yellow Report. Chemotherapy for cancer. Report no. 155/2. 2001. Available at: http://www.sbu.se/www/index.asp.

© Giorgio L. Colombo

Indirect Cost of Cancer

Life-years lost due to cancer for different types of cancer in Germany (2002)

Source: Gesundheit – Krankenheitskosten 2002, Statistisches Bundesamt, Wiesbaden 2004

Type of cancer	Lost working years (000)			Total years lost (000)		
	Total	Men	Women	Total	Men	Women
All cancers	431	238	193	3,099	1,564	1,535
Stomach cancer	19	12	7	155	87	69
Colorectal cancer	20	13	8	221	110	111
Lung cancer	59	43	15	557	390	167
Melanoma etc	10	5	4	47	24	23
Breast cancer	65	0	65	389	3	386
Cervix cancer	6	0	6	32	0	32
Prostate cancer	8	8	0	100	100	0
Leukaemia	22	14	8	108	57	51

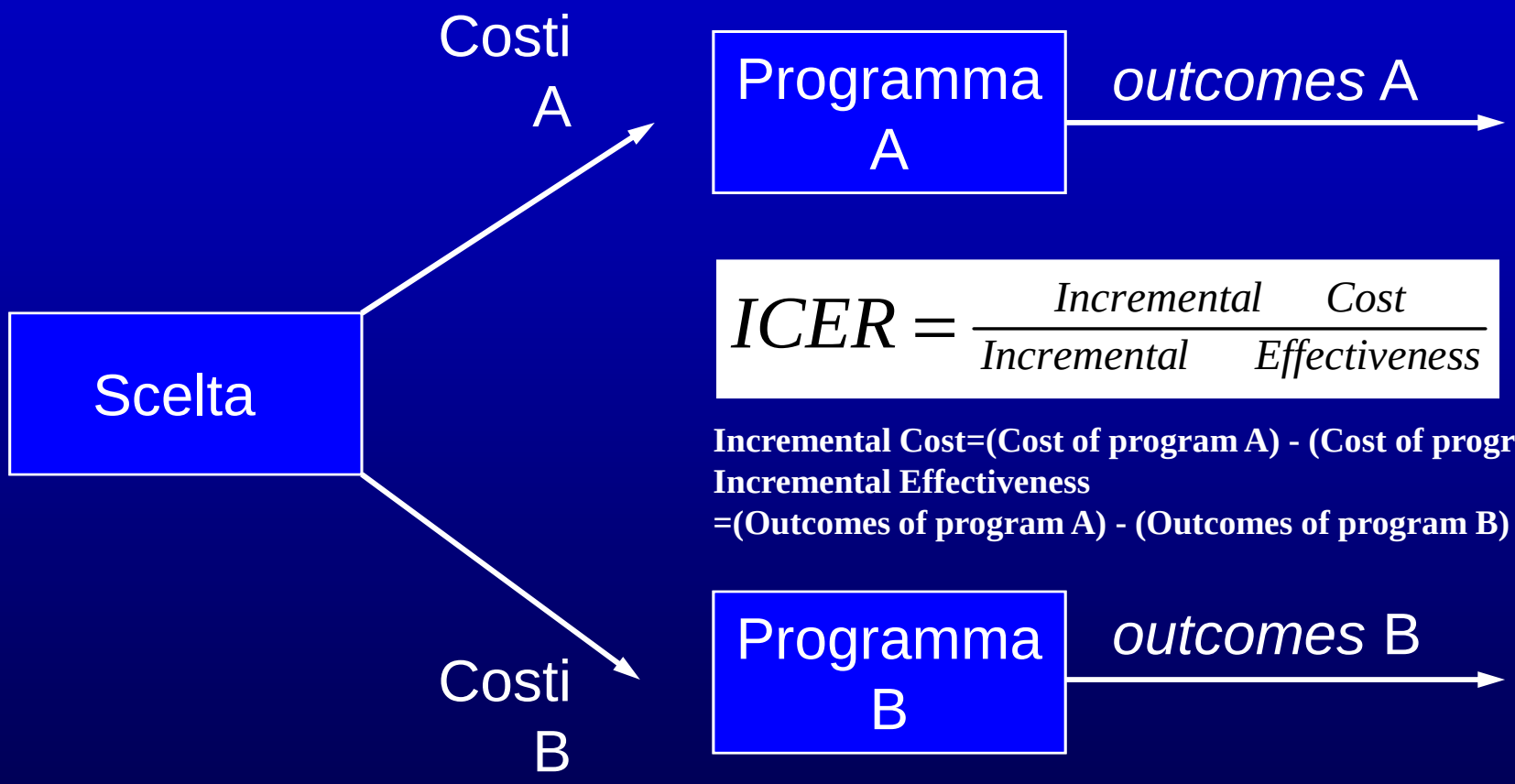
Impiego della valutazione economica

- Con l'obiettivo di migliorare l'efficienza allocativa di un sistema sanitario sono state messe a punto specifiche tecniche di valutazione economica in sanità
  - Il rapporto incrementale di costo-efficacia (ICER) rappresenta oggi lo strumento maggiormente impiegato nella valutazione economica delle terapie farmacologiche
    - » Fornisce informazioni sul costo di una "unità aggiuntiva di salute" nei vari possibili impieghi di salute

What is Economic Evaluation?

- Definition: Economic Evaluation is ...
  - the identification, measure, and comparison of the costs (i.e. resources consumed) and outcomes (clinical, economic, and humanistic) of interventions (pharmaceuticals, non-drug therapies, public health programs)
    - » Source: ISPOR - International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research

Valutazione economica: analisi comparativa tra alternative



$$ICER = \frac{Incremental\ \ Cost}{Incremental\ \ Effectiveness}$$

Incremental Cost=(Cost of program A) - (Cost of program B)
Incremental Effectiveness
=(Outcomes of program A) - (Outcomes of program B)

Fonte: Drummond et al., 2000

Valutazione economica dei farmaci

- TOLLERABILITÀ' (SAFETY)
  Gli effetti collaterali sono accettabili?
- EFFICACIA (EFFICACY)
  Migliora le condizioni del paziente?
- EFFICACIA EPIDEMIOLOGICA (EFFECTIVENESS)
  Può essere impiegato nella pratica medica?

+

EFFICIENZA ALLOCATIVA

Stiamo ottenendo il miglior risultato possibile in termini di salute, con queste risorse?

Componenti della valutazione economica

COSTI

(input)

Misurazione dei costi

Unità Monetarie

C. diretti
C. indiretti
C. intangibili

Prog. SANITARIO

BENEFICI

(outcome)

Misurazione dei benefici

Unità Monetarie

B. diretti
B. indiretti
B. intangibili

CBA

Cost Benefit Analysis

Unità Fisiche

Anni di vita
Vite salvate
Casi diagnostici
Casi evitati

CEA

Cost Effectiveness Analysis

Utilità

Anni di vita pesati per la qualità (QALYs)

CUA

Cost Utility Analysis

© Giorgio L. Colombo

La valutazione economica in oncologia

- Sarebbe opportuno che l'indicatore di utilizzato come misura di salute prodotta con un determinato intervento sia sempre lo stesso
  - Al fine di migliorare la confrontabilità tra i diversi lavori
- Ad oggi tale indicatore è il numero di anni di vita aggiuntivi del nuovo e più efficace trattamento
  - Eventualemente pesati per la qualità della vita
    - » QALYs – Quality Adjusted Life Years
- Ossia il costo incrementale per anno di vita guadagnato (eventualmente ponderato per QALY)
  - Incremental Cost-effectiveness Ratio (ICER)

© Giorgio L. Colombo

Valutazione dei benefici

- Si è passati da "*anni di vita guadagnati*"
- Ad*"anni di vita guadagnati aggiustati per la qualità della vita" (QALYs).*

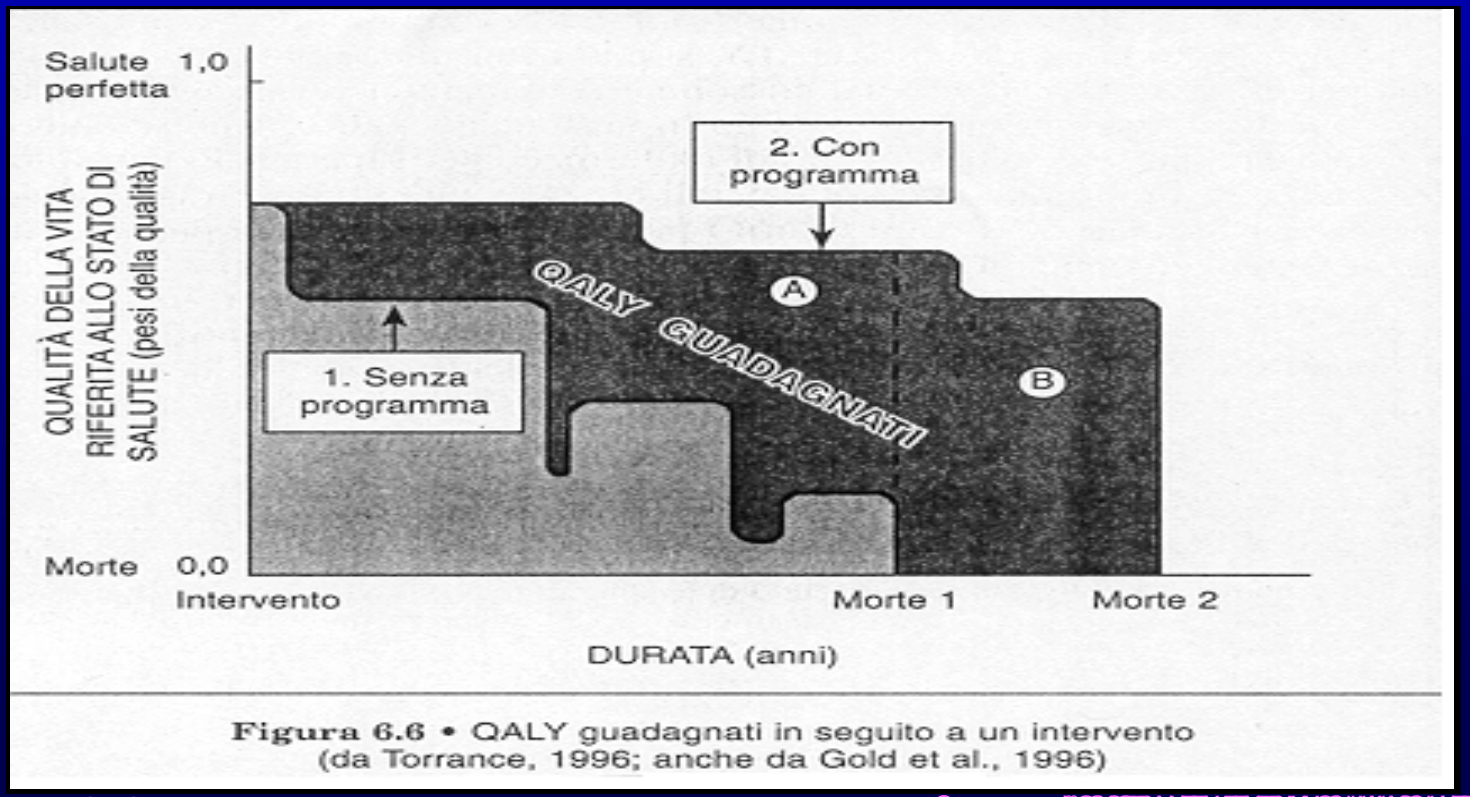
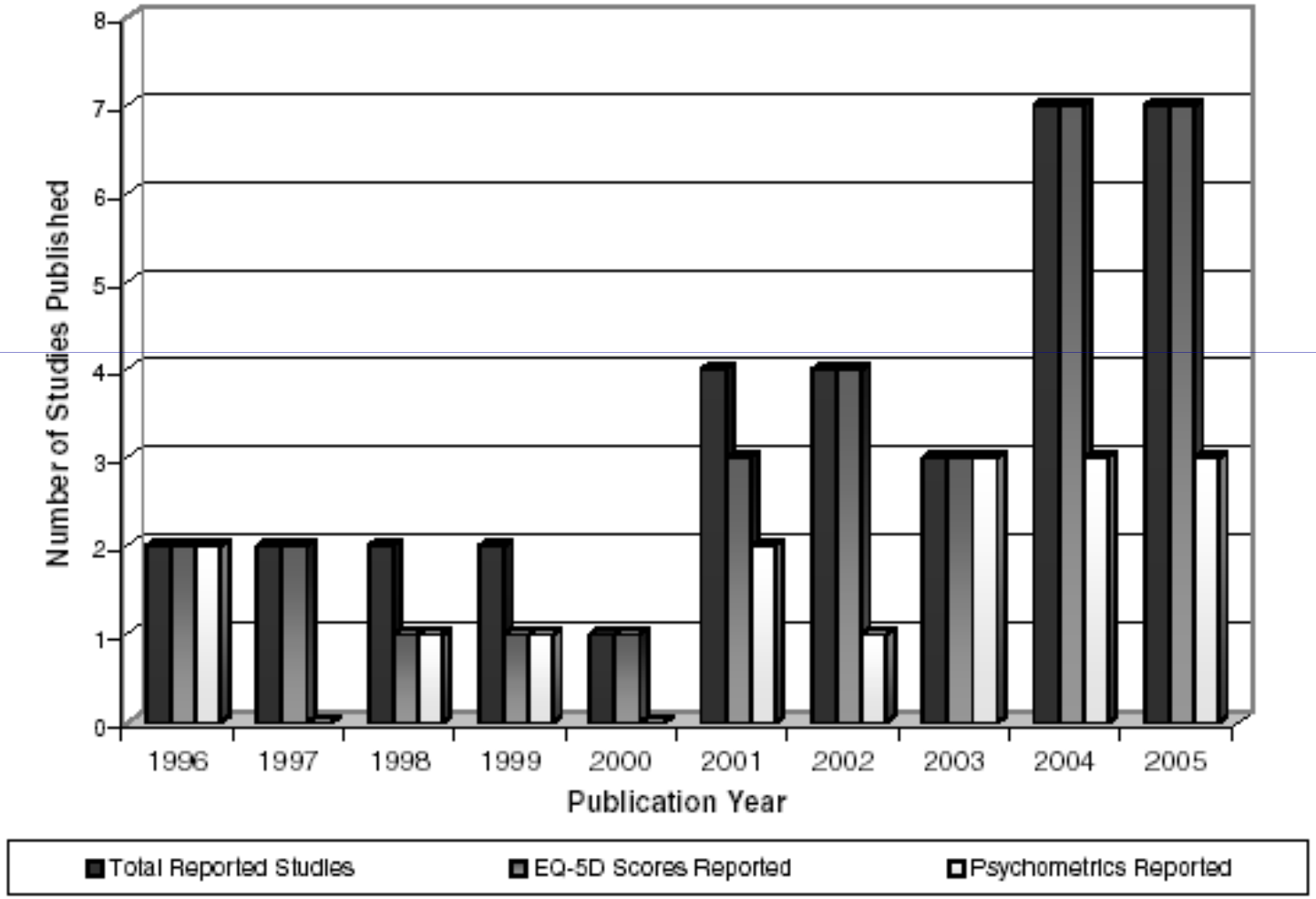


Figura 6.6 • QALY guadagnati in seguito a un intervento (da Torrance, 1996; anche da Gold et al., 1996)

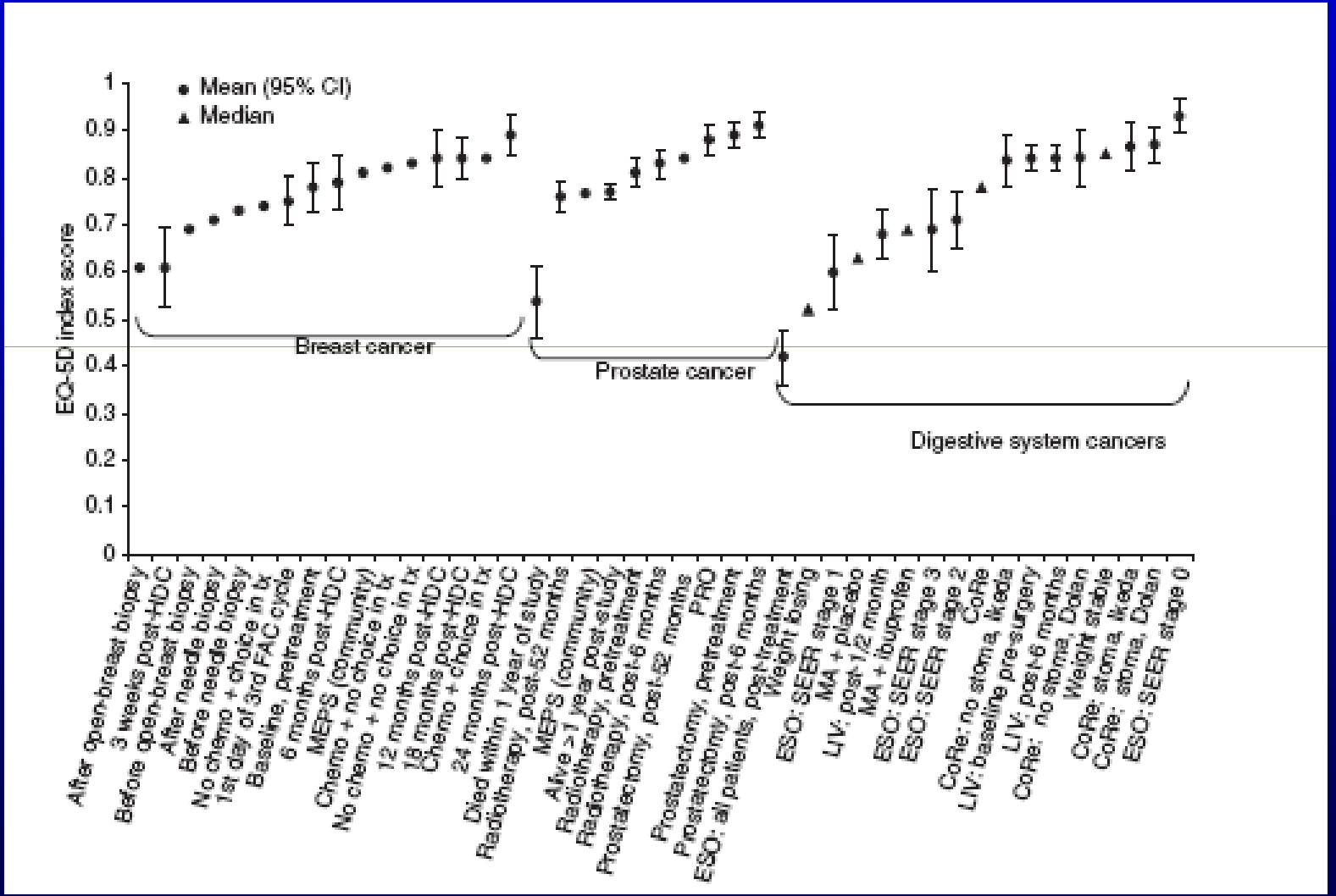
Studi pubblicati che valutano HR-QOL di pazienti oncologici utilizzando EQ-5D (1996 – 2005)

Source: Pickard AS et al 2007

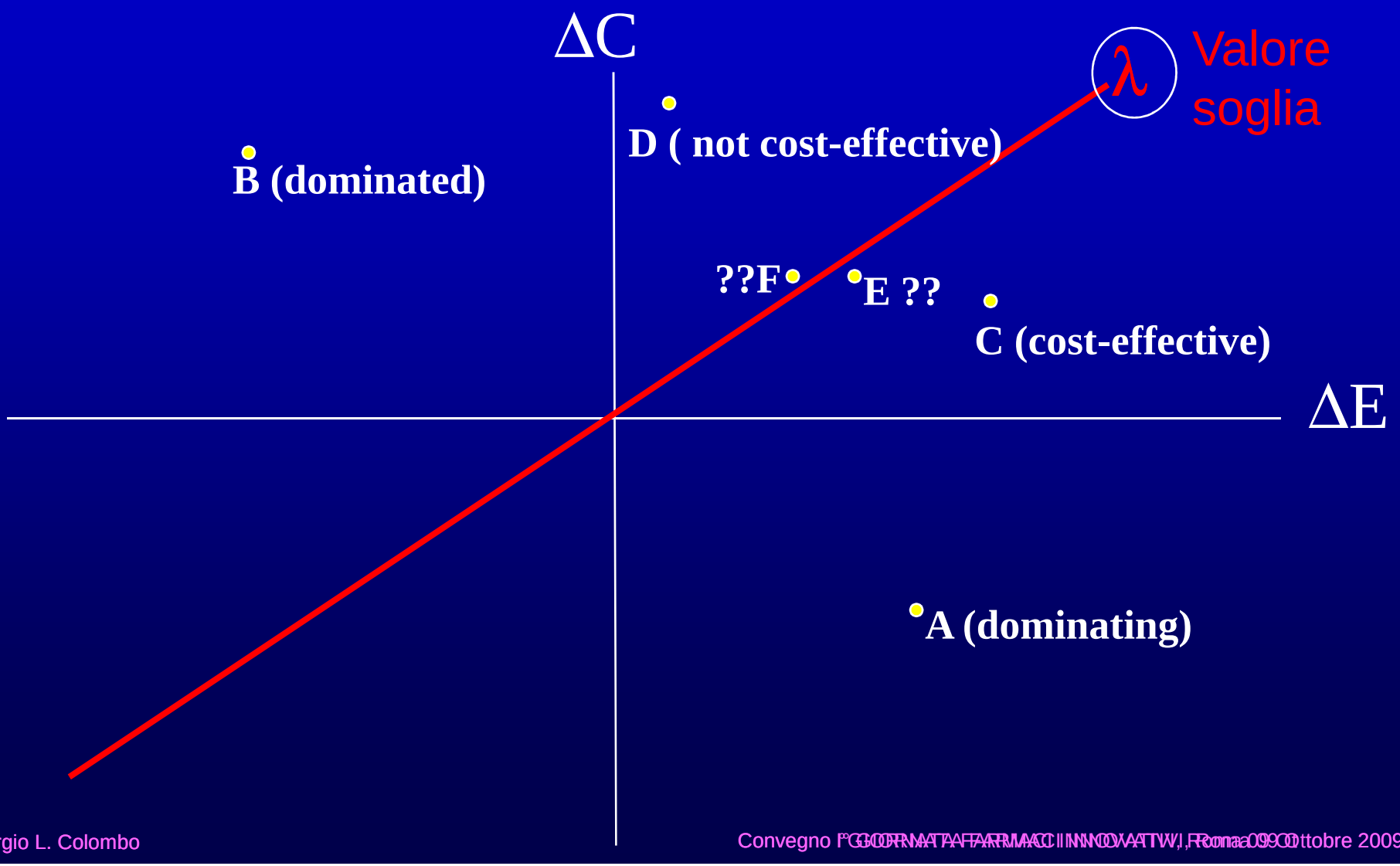


EQ-5D mean/median index scores of patients with breast, prostate or digestive system cancers.

Source: Pickard AS et al 2007



ICER-Plane



© Giorgio L. Colombo

Sostenibilità del costo incrementale *Incremental Cost-Effectiveness Ratio* (ICER) da parte di sistemi pubblici

- Un volta determinato l'Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER) occorre verificare la convenienza per il sistema finanziario pubblico
  - Impiego di valori soglia
  - Parametri basati sul costo per unità aggiuntiva
    - » Costo per anno di vita guadagnato
    - » Costo per QALY

Published Guideline of Economic Evaluation

- Australia
  - » Valori soglia stimati ~ € 25.000 – €. 45.000
    - *George et al 2001*
- Canada – Ontario
- US – BC/BS HTA, AMCP guideline
  - » Valori soglia stimati ~ US$ 42.000
    - Tengs et al 1995
- UK – National Institute of Clinical Excellence (updated guideline published in 2003)
  - – Guide to the Methods of Technology Appraisal
  - – Guide to the Technology Appraisal Process
    - » Valori soglia proposti ~ € 30.000 – €. 45.000
      - NICE Present Evidence to Health Select Committee, 2002

PIL pro-capite in alcuni paesi europei (PPA in Euro)

Paesi	*Anno 1993*	*Anno 2000*	*Anno 2004*
Francia	€ 19.829,00	€ 23.853,00	€ 23.408,00
Germania	€ 21.315,00	€ 24.640,00	€ 23.597,00
Italia	€ 14.927,00	€ 20.165,00	€ 23.408,00
Paesi bassi	€ 18.715,00	€ 25.185,00	€ 26.009,00
Regno Unito	ND	€ 25.652,00	€ 26.223,00
Spagna	€ 10.386,00	€ 15.426,00	€ 21.416,00

Fonte: Ocse Health Data 2002, Eurostat 2005-2006.

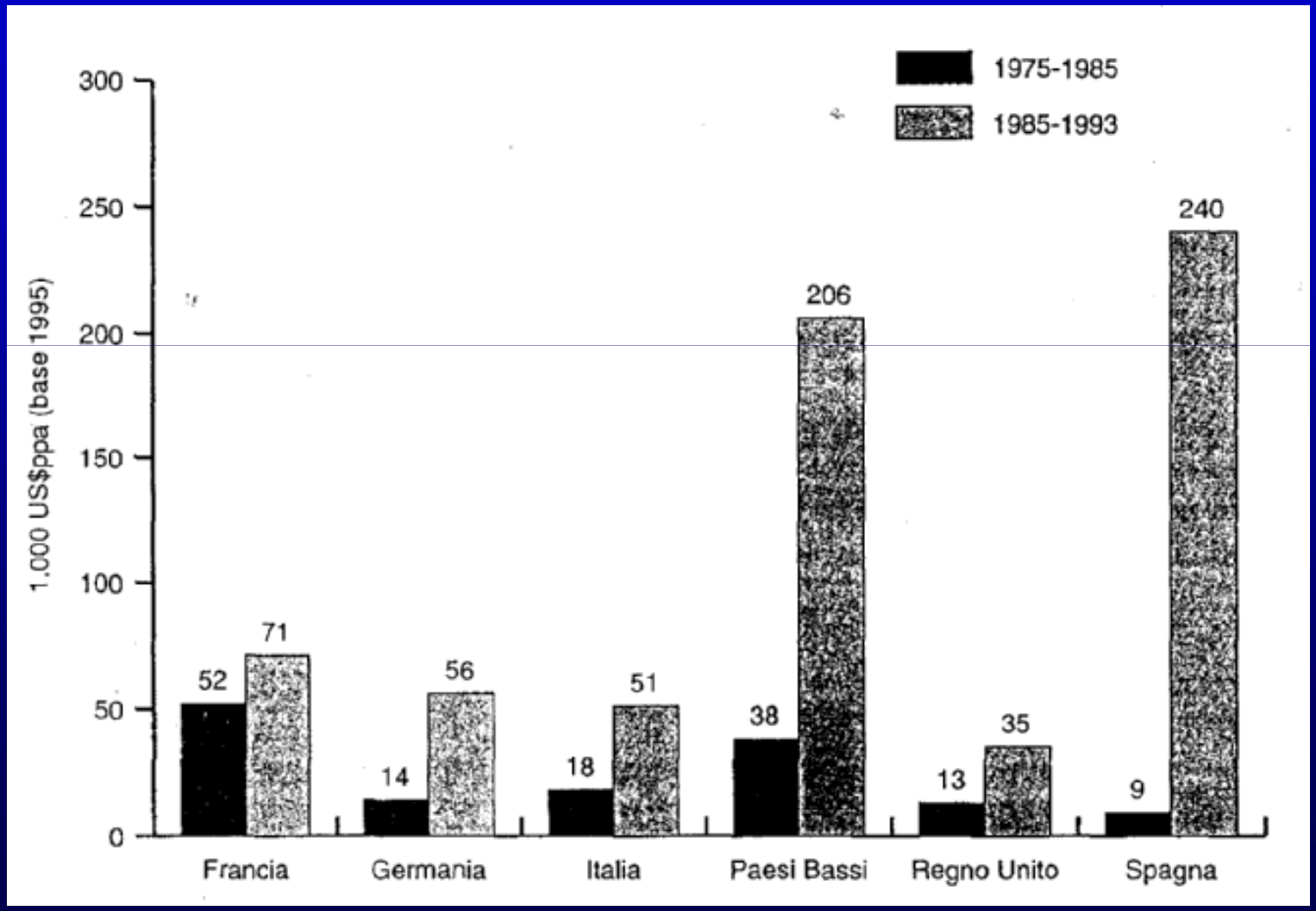
© Giorgio L. Colombo

Esperienza Italiana

- In un lavoro italiano gli autori considerano un intervallo accettabile un costo per anno di vita salvato compreso tra 12.000 euro e 60.000 euro
  - Il cui valore finale dipenderebbe da:
    - » fattori di tipo clinico (solidità ed evidenza di efficacia)
    - » fattori di mercato (dimensione potenziale di popolazione trattata)
      - (Messori et al, 2003)
- In Italia la stima del costo incrementale per anno potenziale di vita guadagnato, nel periodo 1985-1993, è risultato pari a 51.000 $ ppa (base 1995) per la spesa totale e 31.000 $ ppa (base 1995) per la sola spesa pubblica.
  - (Fonte: Lucioni et al, 2004)

Costo incrementale per anno potenziale di vita guadagnato (con riferimento alla spesa sanitaria totale)

– US$ppa=dollari a parità di potere di acquisto



Fonte:

Lucioni et al 2004

Le league Tables (LT)

- Classifiche di interventi finalizzati all'aumento dell'efficienza allocativa di un sistema sanitario
  - In testa alla classifica vengono poste le tecnologie più efficienti
    - » ossia con il più basso ICER e poi tutte le altre
  - È possibile identificare l'opzione migliore/peggiore e la posizione di un nuovo trattamento
- Due modalità di impiego:
  - per allocare un dato ammontare di risorse
  - per confrontare ICER di una nuova tecnologia con ICER di altri trattamenti già impiegati

Description of Intervention, Alternative, and Target Population	Cost Utility
Biopsy versus no biopsy for 50-year-old men with elevated PSA levels[47]	< $0
Second-line paclitaxel versus vinorelbine for metastatic breast cancer[24]	< $0
Second-line docetaxel versus paclitaxel for metastatic breast cancer[24]	< $0
One-time Pap smear screening program versus no screening program for a low-income 70-year-old black woman seeking medical care from a municipal hospital outpatient clinic[44,45]	< $0
Endorectal surface coil for MR imaging versus conventional magnetic resonance imaging for otherwise healthy men with biopsy-proved prostate cancer[39]	$1,300
Current treatment versus no treatment for patients with Hodgkin's disease at a university hospital in Norway[30]	$2,000
Immediate biopsy versus 6-month observation for a 50-year-old woman with abnormal findings on mammography[48]	$2,500
Second-line treatment with docetaxel versus paclitaxel for patients with recurrent widely disseminated metastatic breast cancer who are failing on standard treatments[20]	$4,100
Triennial breast cancer screening in age group 50-65 versus no screening program for the population of Dutch women[22]	$4,200
Universal screening program for breast, cervical, and colorectal cancers versus no screening program for Nordic population[21]	$4,700
Alternating CAV and VP-P chemotherapy versus standard CAV chemotherapy for patients with extensive SCLC[31]	$5,400
Adjuvant tamoxifen versus no treatment for a 45-year-old premenopausal woman with node-positive, ER-positive breast cancer[26]	$5,700
Adjuvant chemotherapy versus tamoxifen for a 45-year-old premenopausal woman with node-positive, ER-negative breast cancer[26]	$6,400
Adjuvant chemotherapy versus tamoxifen for a 45-year-old premenopausal woman with node-negative, ER-negative breast cancer[26]	$6,500
Adjuvant chemotherapy, assuming lifelong benefit, versus no adjuvant chemotherapy for women age 45 with stage I or IIa node-negative, ER-negative breast cancer[25]	$6,700
Biennial breast cancer screening in age group 50 to 70 years versus triennial breast cancer screening in age group 50 to 65 years for the population of Dutch women[22]	$6,900
Adjuvant chemotherapy after surgery, assuming a 15% gain in life expectancy, versus surgery alone for Duke's B or C colorectal cancer patients[42]	$8,100
Paclitaxel, cisplatin, and tamoxifen versus cyclophosphamide and cisplatin for women with stage III/IV ovarian cancer[35]	$8,800
Adjuvant chemotherapy, assuming lifelong benefit, versus no adjuvant chemotherapy for women age 60 with stage I or IIa node-negative, ER-negative breast cancer[25]	$9,700
Bone marrow transplantation versus no BMT for patients with a variety of hematologic malignancies[28]	$9,900
Adjuvant chemotherapy after surgery, assuming a 10% gain in life expectancy, versus surgery alone for Duke's B or C colorectal cancer patients[42]	$11,000
Paclitaxel, cisplatin, and hexamethylmelamine versus cyclophosphamide and cisplatin for women with stage III/IV ovarian cancer[35]	$11,000
Adjuvant chemotherapy versus tamoxifen for a 45-year-old premenopausal woman with node-positive, ER-positive breast cancer[26]	$12,000
High-specificity versus normal-specificity endorectal surface coil for MR imaging for otherwise healthy men with biopsy-proved prostate cancer[39]	$12,000
Adjuvant tamoxifen versus no adjuvant treatment for a 45-year-old premenopausal woman with node-negative, ER-positive breast cancer[26]	$15,000
Adjuvant chemotherapy versus tamoxifen for a 45-year-old premenopausal woman with node-negative, ER-positive breast cancer[26]	$15,000
First-line 5-FU–based chemotherapy versus supportive care alone for patients with surgically noncurable colorectal cancer[49]	$15,000
Biopsy versus no biopsy for 60-year-old men with elevated PSA levels[47]	$15,000
Adjuvant high-dose interferon alfa-2b therapy versus no interferon treatment for newly diagnosed resectable primary cutaneous melanoma patients[38]	$16,000
Surgery plus adjuvant chemotherapy versus surgery alone for patients with Duke's stage C colon cancer[41]	$17,000
TP-ifosfamide versus CP for women with stage III/IV ovarian cancer[35]	$18,000
Mammography screening versus no population-based screening for women aged 45 to 69[50]	$18,000
Adjuvant combined chemohormonal therapy versus chemotherapy alone for a 45-year-old premenopausal woman with node-positive, ER-	$19,000

League Table of Cost/QALY in US$ - 1998 (1)

Source

Earle et al, 2000

Table 5. (cont.)

Description of Intervention, Alternative, and Target Population	Cost Utility
Flutamide plus orchiectomy versus orchiectomy alone for 70-year-old men with newly diagnosed, untreated, severe metastatic prostate carcinoma with good performance status[33]	$ 21,000
Breast conserving surgery versus modified radical mastectomy for women with stage I & II breast cancer[27]	$ 21,000
Adjuvant chemotherapy, assuming 5 years of benefit, versus no adjuvant chemotherapy for women age 60 with stage I or IIa node-negative, ER-negative breast cancer[25]	$ 25,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for 60-year-old premenopausal women who have undergone surgery for node-negative, ER-negative stage I or IIa breast cancer[53]	$ 25,000
Adjuvant chemotherapy after surgery, assuming a 5% gain in life expectancy, versus surgery alone for Duke's B or C colorectal cancer patients[42]	$ 28,000
First-line 5-FU–based chemotherapy versus supportive care alone for patients with surgically noncurable gastric cancer with no previous chemotherapy[49]	$ 30,000
Flutamide plus orchiectomy versus orchiectomy alone for 70-year-old men with newly diagnosed, untreated minimal metastatic prostate carcinoma and good performance status[33]	$ 30,000
First-line 5-FU–based chemotherapy versus supportive care alone for patients with surgically noncurable gastric, pancreatic/biliary, or colorectal cancer[49]	$ 31,000
High-dose chemotherapy with ABMT versus standard chemotherapy for a 45-year-old woman with metastatic breast cancer[23]	$ 34,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for a 60-year-old woman with node-negative breast cancer[54]	$ 37,000
Adjuvant chemotherapy versus no adjuvant chemotherapy for a 60-year-old woman with early-stage node-negative, ER-negative breast cancer[55]	$ 37,000
Interferon alfa versus hydroxyurea for 50-year-old patients with chronic-phase, Ph-positive chronic myelogenous leukemia (CML)[29]	$ 37,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for a 65-year-old woman with node-negative breast cancer[54]	$ 41,000
Sequential testing strategy using sputa, FNA, and thoracoscopy versus sputa, FNA, and expectant management for a 50-year-old man with a radiographically detected large (> 3 cm), peripheral lung mass[37]	$ 42,000
Combined chemohormonal therapy versus chemotherapy alone for a 45-year-old premenopausal woman with node-negative, ER-positive breast cancer[26]	$ 44,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for a 70-year-old woman with node-negative breast cancer[54]	$ 48,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for a 75-year-old woman with node-negative breast cancer[54]	$ 58,000
Adjuvant chemotherapy versus no adjuvant chemotherapy for 75-year-old woman with early-stage node-negative, ER-negative breast cancer[55]	$ 58,000
Adjuvant chemotherapy, assuming an increase in disease-free survival but no change in overall 10-year survival with treatment, versus no adjuvant chemotherapy for women age 45 with node-negative breast cancer[25]	$ 64,000
Biennial breast cancer screening in age group 40 to 70 years versus biennial breast cancer screening in age group 50 to 70 years for the population of Dutch women[22]	$ 70,000
Adjuvant chemotherapy, assuming an increase in disease-free survival but no change in overall 10-year survival with treatment, versus no adjuvant chemotherapy for women age 60 with node-negative breast cancer[25]	$ 75,000
Chemotherapy versus no chemotherapy for an 80-year-old woman with node-negative breast cancer[54]	$ 75,000
Breast cancer screening every 2 years versus no breast cancer screening post age 75[51]	$ 80,000
Routine preoperative brain CT versus no preoperative brain CT for patients with potentially resectable lung cancer and no clinical evidence of CNS involvement[56]	$ 81,000
Interferon alfa versus conventional chemotherapy for 45 to 50-year-old patients diagnosed with chronic myelogenous leukemia in the early chronic phase[46]	$ 96,000
Adjuvant combined chemohormonal therapy versus chemotherapy alone for a 45-year-old premenopausal woman with node-positive, ER-negative breast cancer[26]	$ 110,000
High-dose chemotherapy with ABMT versus standard chemotherapy for a 45-year-old woman with metastatic breast cancer[23]	$ 120,000

League Table of Cost/QALY in US$ - 1998

(2)

Source

Earle et al, 2000

Critiche all'uso di League Tables

Fonte: Mauskopf et al 2003

- Sono estranee a considerazioni di equità o etiche
  - » Non forniscono informazioni né sull'ampiezza della popolazione beneficiaria né sulla dimensione economica richiesta
- Differenti metodologie di stima, di fonti, e di periodo temporale di rilevazione
- Limiti temporali nell'utilizzo e precoce obsolescenza
- Non sono un "prodotto finito" ma "un lavoro in continua evoluzione"

Quali miglioramenti per le LT

Fonte: Mauskopf et al 2003

- Indicare la scelta del comparatore
  - » (ad es. il più usato, il più efficace in meno costoso)
- Esplicitare la popolazione target e le risorse aggiuntive necessarie
- Calcolare gli ICER per sottogruppi
- Evidenziare il livello di incertezza delle stime
  - » Medie, varianze, intervalli di confidenza
  - – Non tutti i decisori hanno la stessa propensione al rischio
- Costruire LT per specifiche patologie o tipologie di intervento

Discussione (1)

- Il problema prioritario dei moderni sistemi sanitari:
  - scarsità di risorse disponibili a fronte della generale e crescente domanda di salute
- Disporre di strumenti per confrontare,
  - secondo criteri di efficacia e convenienza, progetti e tecnologie sanitarie,
    - » per identificare una scala di priorità in base alla quale indirizzare l'uso delle risorse pubbliche.
- L'attività di valutazione economica appare in Italia ancora sottostimata rispetto ad altri paesi europei.
  - si preferiscono criteri di selezione non basati su razionalità e trasparenza
  - è' sorprendente la mancanza di dati sui costi dei Tumori e delle terapie antiblastiche:
    - » l'analisi dei costi merita quindi ulteriori studi di approfondimento
  - la mancanza di un quadro complessivo delle risorse utilizzate e delle alternative impiegate può determinare decisioni non ottimali

© Giorgio L. Colombo

Discussione (2)

- Occorre individuare anche per l'Italia dei valori soglia di riferimento per rapportare i risultati delle valutazioni economiche al ns. contesto sanitario
- L'approfondimento del dato clinico e la verifica della sua "solidità" rappresentano un'esigenza primaria di qualsiasi ricerca farmacoeconomica.
  - Rappresentare con modelli gli eventi clinici ed i processi legati ai tumori ed al loro trattamento al fine di estendere i risultati delle sperimentazioni cliniche controllate ed integrarne i dati
- Raccogliere dati più approfonditi ed analitici sullo stato e sulle preferenze del paziente, necessari per un'ottimizzazione del processo decisionale.
  - Monitorare l'appropriatezza e l'uso di farmaci innovativi tramite ricerche di outcome
  - Dimostrare in oncologia il valore degli interventi sanitari per il denaro speso "Value for money"

© Giorgio L. Colombo

Considerazioni finali

- L'importanza di disporre di strumenti adatti:
  - » a confrontare i dati di utilizzo di determinati interventi sanitari in termini di costo incrementale per efficacia incrementale
- La valutazione economica in sanità:
  - » Investire in ricerca valutativa affinché questi strumenti diventino un riferimento costante nelle scelte dei medici e dei responsabili delle politiche sanitarie


SEMPRE PIÙ ALTO IL COSTO DELLA VITA
FARANNO TAGLI ALLA SANITA'
GIANNELLI

Giorgio L. Colombo

www.savestudi.it

giorgio.colombo@savestudi.it

© Giorgio L. Colombo

I GIORNATA

FARMACI INNOVATIVI

QUALITA' EFFICACIA APPROPRIATEZZA

Garanzia dell'universalità delle cure sul Territorio Nazionale

Tra consumismo e appropriatezza nei 21 Sistemi Diversi di Accesso: Miracolo o Miraggio

Venerdì 9 ottobre 2009 ore 08.30 – 14.00

CAMERA DEI DEPUTATI
Palazzo Marini – Sala delle Conferenze
Roma

L'ANALISI DEI RAPPORTI COSTO/EFFICACIA COSTO/UTILITA'

G.L.Colombo
Università degli Studi di Pavia, Facoltà di Farmacia e S.A.V.E. Studi Analisi Valutazioni Economiche, Milano

L'obiettivo della scienza economica nelle scelte dei sistemi sanitari è quello di migliorarne l'efficienza allocativa. Con la valutazione economica si cerca di rispondere alla seguente domanda: "Possiamo mettere a disposizione dei pazienti e quindi a carico del SSN questa nuova tecnologia?" Esistono delle tecniche di valutazione economica che misurano l'incremento di costo di una determinata tecnologia rapportandola all'esito clinico (efficacia, utilità, ecc.). Ad esempio: dobbiamo decidere se rimborsare una nuova terapia del costo di 10.000 euro l'anno; dai dati clinici emerge una sopravvivenza aggiuntiva di circa 6 mesi (ossia 0,5 anni di vita salvati). Rapportando il costo incrementale (euro 10.000) con l'aumento di sopravvivenza (0,5 anni), otterremo un rapporto costo efficacia incrementale pari a 20.000 euro (10.000/0,5). Questo valore indica il costo per anno di vita salvato, ossia il costo aggiuntivo necessario per ottenere un anno di vita in più. In letteratura tale rapporto viene denominato Incremental Cost-Effectiveness Ratio (ICER).

L'approccio di valutazione economica in sanità comporta la proposizione del problema nelle seguenti modalità: dispongo di un farmaco A, che determina dei costi e delle conseguenze vs. un farmaco B, da cui derivano sempre costi e conseguenze. L'analisi economica cerca di individuare l'incremento di costo rapportato in termini di benefici, che possono essere valutati in anni di vita salvati eventualmente ponderati per la qualità (Quality Adjusted Life Years – QALYs). Oltre ai tre criteri classici di valutazione del farmaco (tollerabilità, efficacia e sicurezza) se ne aggiunge un quarto ossia l'efficacia allocativa: queste risorse sono impiegate in maniera ragionevole? Stiamo ottenendo il massimo di salute ottenibile dal loro impiego? Bisogna infatti sempre considerare che destinando ad un determinato scopo le risorse (in sanità come in altri settori) si sottraggono ad altri obiettivi e trattamenti che potrebbero dimostrarsi potenzialmente più validi. Da questo punto di vista l'investimento in nuove terapie oncologiche si giustifica solo sulla base dei dati ottenuti in termini di costi incrementali e di efficacia incrementale.

Sarebbe tuttavia opportuno che l'indicatore di efficacia sia possibilmente sempre lo stesso, perché ciò semplificherebbe molto le scelte dei decisori nel confrontare le varie opzioni. Ad oggi la letteratura è concorde nel ritenere che tale indicatore sia il numero di anni di vita aggiuntivi del nuovo e più efficace trattamento, eventualmente pesati ("aggiustati") per la qualità (ad esempio con il QALY).

Quando una nuova tecnologia arriva sul mercato, questa presenta generalmente un prezzo maggiore rispetto a quella che dovrebbe andare a sostituire ma si accompagna (in molti casi) ad un'efficacia maggiore. Un problema importante tuttavia è come valutare questo delta di efficacia (si tratta infatti di un valore soglia). Una volta determinato l'ICER attraverso il processo di valutazione economica occorre verificare la convenienza di tale rapporto per il sistema finanziario pubblico. Questa verifica di compatibilità costituisce un aspetto critico, in quanto purtroppo non

esistono parametri risolutivi in merito e la letteratura economica non presenta indicazioni univoche. Per farci un'idea, possiamo ad esempio verificare come si sono comporti alcuni paesi (tipicamente anglosassoni) che, da oltre 10 anni, utilizzano in fase di ingresso di nuovi prodotti e tecnologie, dei parametri di valutazione economica.

L'Australia, ha un sistema che dal '91 richiede obbligatoriamente delle valutazioni economiche. In un lavoro del 2001 sono stati analizzati tutti i dossier presentati all'agenzia regolatoria ed è stato stimato che per valori di soglia inferiori ai 25.000 euro per anni di vita salvato, era molto probabile che l'autorità regolatoria accettasse la strategia terapeutica senza nessuna limitazione, per valori superiori a 25.000 e fino a 45.000 era accettata ma con limitazioni all'uso, mentre sopra i 45.000 per anno di vita salvato era probabile che la tecnologia venisse rifiutata (l'azienda può a questo punto può decidere di rivedere il prezzo).

Negli USA si è scelto di utilizzare un valore più pragmatico: sono state analizzate varie strategie mediche salvavita e si è osservato che la mediana del costo per anno di vita salvato era pari a 42.000 euro e quindi è stato proposto questo come valore di soglia.

Nel Regno Unito (NICE) è emerso un valore soglia di circa 30.000 euro: al di sotto è molto probabile che la tecnologia venga adottata senza limitazioni, fra 30 e 45.000 con alcune limitazioni all'uso, sopra i 45.000 è probabile (ma non è detto) che venga rifiutata.

Da altri autori è stato suggerito di utilizzare come valore soglia il beneficio che una vita salvata arreca alla ricchezza nazionale, ossia il PIL procapite (in Italia attualmente di circa 23.000 euro). Questo criterio è stato utilizzato ad esempio in India per giustificare l'introduzione di una nuova strategia vaccinale. Nell'esperienza italiana, Messori in un lavoro del 2003, individuava come intervallo accettabile un costo per anno di vita salvato compreso tra 12.000 euro e 60.000 euro. Un range molto ampio per giustificare fattori di tipo clinico (solidità ed evidenza di efficacia) e fattori di mercato (dimensione potenziale di popolazione trattata). In un altro lavoro di Lucioni dell'anno successivo, ha stimato quanto storicamente il nostro sistema sanitario ha speso per anno di vita potenzialmente salvato, utilizzando gli anni di vita perduti dalle statistiche OCSE relativamente alla "mortalità evitabile". Ha quindi individuato che nel periodo 1985-1993, è risultato pari a 51.000 $ a parità di potere d'acquisto (base 1995) per la spesa totale e 31.000 $ ppa (base 1995) per la sola spesa pubblica.

Come economista al termine di questa relazione il mio suggerimento è quello di predisporre anche per l'Italia strumenti per confrontare, secondo criteri di efficacia e convenienza, progetti e tecnologie sanitarie, per identificare una scala di priorità in base alla quale indirizzare l'uso delle risorse pubbliche. È importante disporre di criteri di selezione basati su trasparenza e razionalità perché, in loro assenza, il rischio è quello di sviluppare una scelta allocativa con criteri soggettivi o politici di cui non si ha di fatto il reale il controllo sui risultati e non si è più in grado di misurare qual è stato l'effettivo incremento di salute a fronte delle scelte compiute. La mancanza di un quadro complessivo delle risorse utilizzate e delle alternative impiegate può determinare decisioni non ottimali. L'attività di valutazione economica appare infine in Italia ancora sottostimata rispetto ad altri paesi europei. È sorprendente ad esempio la mancanza di dati sui costi dei tumori e delle terapie antiblastiche: l'analisi dei costi merita quindi ulteriori studi di approfondimento, e andrebbero individuati anche nel nostro Paese dei valori soglia di riferimento per calcolare i risultati delle valutazioni economiche rispetto al nostro contesto sanitario.

L'approfondimento del dato clinico e la verifica della sua "solidità" rappresentano un'esigenza primaria di qualsiasi ricerca farmacoeconomica. Bisognerebbe individuare dei modelli per rappresentare gli eventi clinici ed i processi legati ai tumori ed al loro trattamento per estendere i risultati delle sperimentazioni cliniche controllate ed integrarne i risultati. Inoltre servirebbero dati più approfonditi ed analitici sullo stato e sulle preferenze del paziente, necessari per un'ottimizzazione del processo decisionale. Infine andrebbero monitorati, con ricerche di outcome l'appropriatezza e l'uso di farmaci innovativi in oncologia per dimostrare il valore degli interventi sanitari per il denaro speso.