La valutazione economica dei farmaci innovativi: tra *Budget-Impact Analysis* e Percorsi Diagnostici Terapeutici

Roma, 11 Giugno, 2010

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

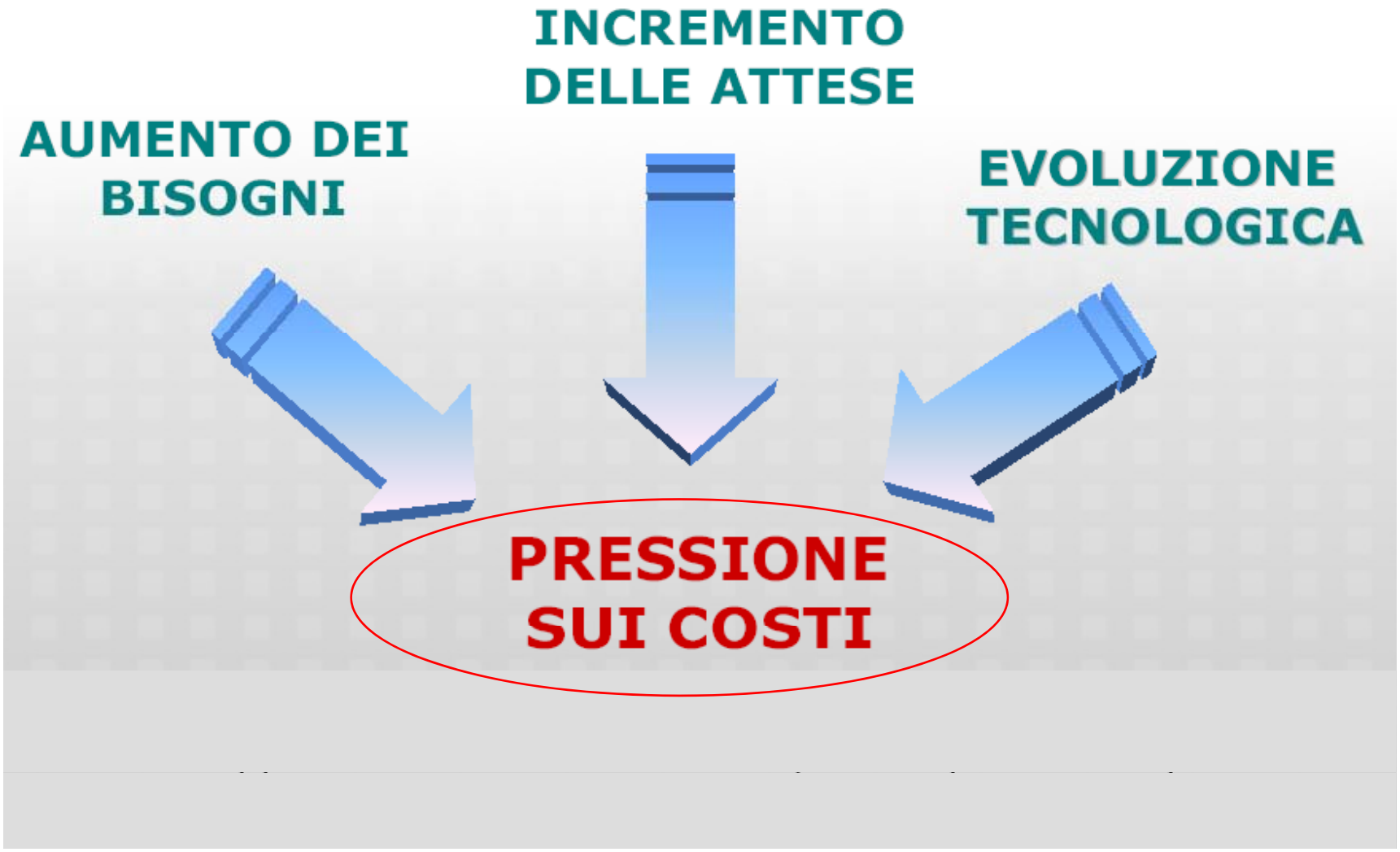
© S.A.V.E. Srl

Programma e contenuti

- Stato di salute e prospettive di spesa sanitaria
  - Mutamenti in corso nella regolamentazione del settore farmaceutico
- Il ruolo della valutazione economica dei farmaci e delle tecnologie sanitarie
  - Tecniche ed impiego della valutazione economica (HTA)
  - Relazione tra innovazione tecnologica, innovazione di processo e cambiamento organizzativo in sanità
- Il Percorso Diagnostico Terapeutico (PDT)
  - PDT nella diagnosi e terapia delle malattie infettive
- Conclusioni e discussione

© S.A.V.E. Srl

Principali tendenze nei ns. sistemi sanitari



© S.A.V.E. Srl

Effetti delle evoluzioni in atto

	Stato	Regioni
Responsabilità e Potere	-	++
Pressione al contenimento dei costi	+	+++
Disponibilità di strumenti d'azione	-	++

Aumento della pressione sugli altri attori del sistema sanitario

- ASL
- AO
- MMG
- Medico specialista
- Provveditore-Economo
- Farmacista ospedaliero
- Paziente
- ...

© S.A.V.E. Srl

Strumenti per il controllo della spesa farmaceutica

SPESA = (P x Q) +/- Qualità +/- Servizio

	QUANTITÀ	PREZZO	QUALITÀ	SERVIZIO
REGIONE	■ **Ticket/*Copayment*** ■ Budget Distretto ■ **Logistica** ■ **Osservatorio (Q)**	■ **Strat. comuni acq.** ■ **Generici** ■ Reference price ■ **Distribuzione diretta** ■ **Convenzioni Consip** ■ **Osservatorio (P)** ■ Budget Distretto	■ Budget Distretto (Appr.) ■ Appropriatezza ■ Generici ■ Osservatorio (Prescr.) ■ Reference Price	■ Outsourcing ■ Convenzioni Consip ■ Logistica
ASL/AO	■ Budget Distretto/UO ■ **Logistica** ■ *Compliance*	■ **Strat. comuni acq.** ■ **Convenzioni Consip** ■ **Generici** ■ Budget Distretto ■ **Acquisti pluriennali** ■ Basi d'asta al ribasso ■ **Distribuzione Diretta**	■ Budget Distretto (Appr.) ■ Appropriatezza - PDT ■ Generici ■ Ammodernamento tecnologico ■ Osservatorio (Prescr.)	■ Outsourcing ■ Convenzioni Consip ■ Logistica

© S.A.V.E. Srl

Mutamenti in corso nel Governo della Spesa Farmaceutica

- Spendere meno
  - » trasferire la spesa pubblica dal SSN ad altri attori
    - al paziente → inasprimento ticket
    - al produttore → taglio prezzi
    - al distributore → taglio margini
    - al medico → controllo prescrizioni
- Spendere meglio
  - » strumenti che aumentano l'efficienza del sistema, ossia più salute a parità di risorse spese
    1. Utilizzo farmaci generici
    2. maggiore selettività nell'ammettere alla rimborsabilità i prodotti in base a criteri di efficacia e di economicità
       - Valutazione economica dei farmaci (HTA)
    3. attribuzione di un budget al medico prescrittore e attivazione di Percorsi Diagnostico-Terapeutici (PDT)

© S.A.V.E. Srl

Valutazione economica
dei farmaci e delle tecnologie sanitarie

- Per valutare la migliore allocazione delle risorse ci si deve affidare a strumenti di valutazione economica che:
  - confrontano i costi e l'efficacia di due o più alternative cliniche
  - forniscono il valore delle risorse aggiuntive investite in un certo trattamento,
    - ossia il *value for money*

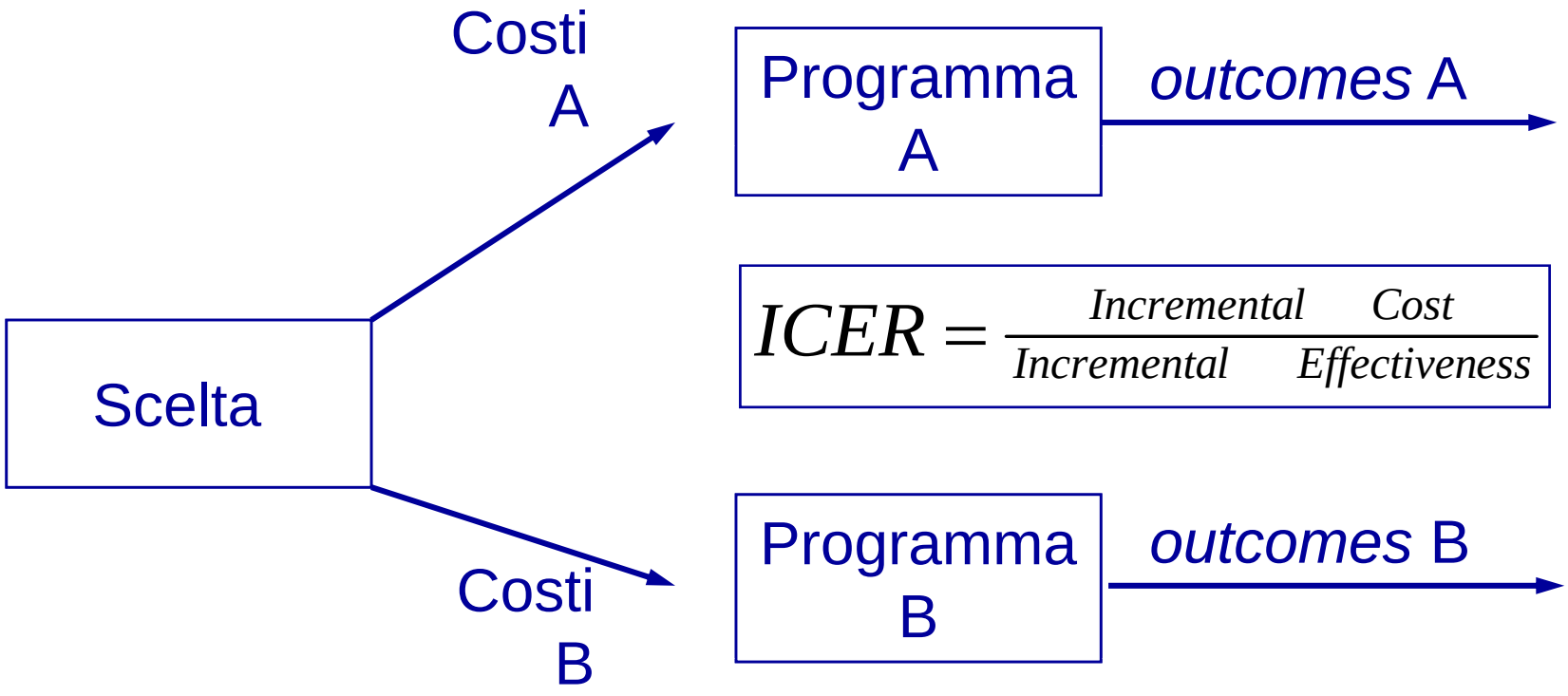
© S.A.V.E. Srl

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

© S.A.V.E. Srl

Valutazione economica: analisi comparativa tra alternative



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

© S.A.V.E. Srl

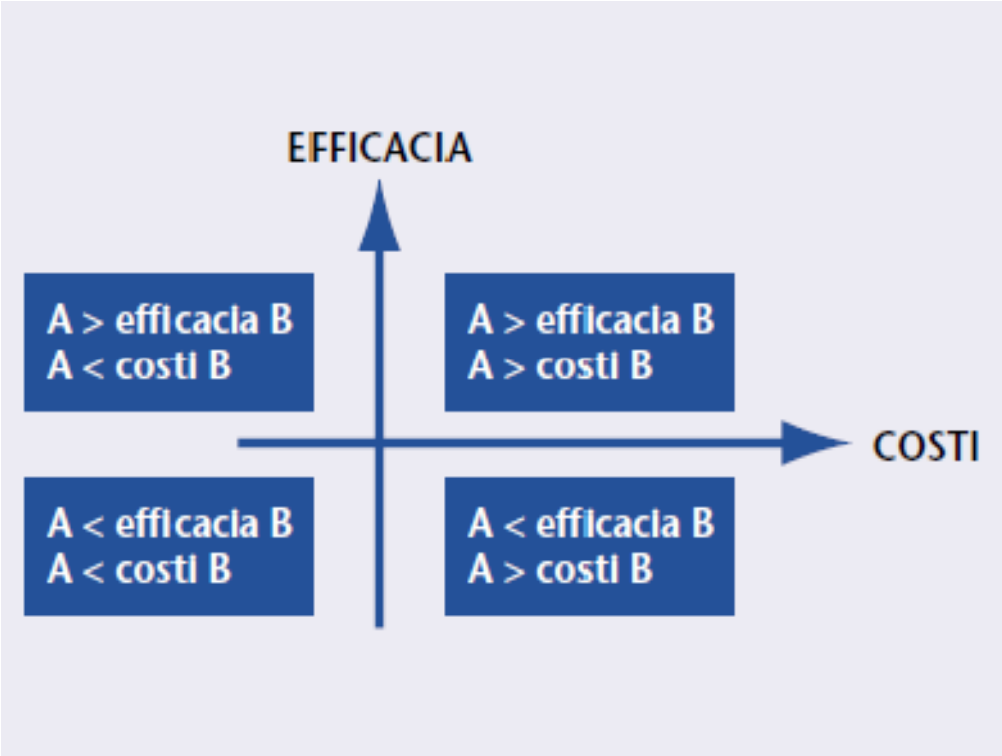
La valutazione economica dei farmaci

- Una corretta valutazione economica non giudica solo il costo del farmaco,
  - Una corretta valutazione economica valuta i benefici e il consumo di risorse complessivi
- 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 internevinti
- 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)

© S.A.V.E. Srl

Valutazione economica
dei farmaci e delle tecnologie sanitarie

Confronto tra trattamento A e trattamento B: scenari possibili



BIF bollettino d'informazione sui farmaci. Ministero della salute, 2005

© S.A.V.E. Srl

Budget Impact Analysis, BIA

- Il decisore pubblico però richiedere non solo di conoscere il *value for money* di una nuova terapia, ma anche il suo impatto in termini assoluti sul budget gestito*
  - all'aumento dell'efficacia corrisponderà quasi sempre un aumento della spesa sanitaria
    - » Trueman** ha proposto di accompagnare le valutazioni economiche con una valutazione dell'impatto sulla spesa *(budget impact analysis)*

*Jommi. Focus di Economia Sanitaria 2008

**Trueman P, Drummond M, Hutton J. Developing guidance for budget impact analysis. Pharmacoeconomics 2001; 19: 609-21

© S.A.V.E. Srl

Budget Impact Analysis **BIA**

- La BIA valuta le implicazioni finanziarie derivanti dall'adozione e diffusione di una nuova tecnologia in uno specifico contesto
- E' l'unica analisi economica focalizzata sul concetto di "affordability" (sostenibilità)
- La BIA permette di stimare che impatto abbia sul budget un cambiamento del mix di trattamento (farmaci, dispositivi, etc.)
- Non rappresenta una alternativa all'analisi costo-efficacia ma è complementare a questa

© S.A.V.E. Srl

Consumo di risorse per pazienti con disordini acido-correlati

Bloom et al, 1989 in uno studio osservazionale retrospettivo, analizzarono il consumo di risorse determinato da pazienti con ARDs nel decennio 1976 – 1985 in USA

Sulla base delle richieste di rimborso del California Medicaid, è stato calcolato il costo diretto sanitario relativo a 1.000 assistiti per tutti i tipi di diagnosi di ARDs.

ARDs: Ulcera peptica, reflusso gastroesofageo, gastriti e dispepsia, circa il 9% delle patologie dell'apparato digerente

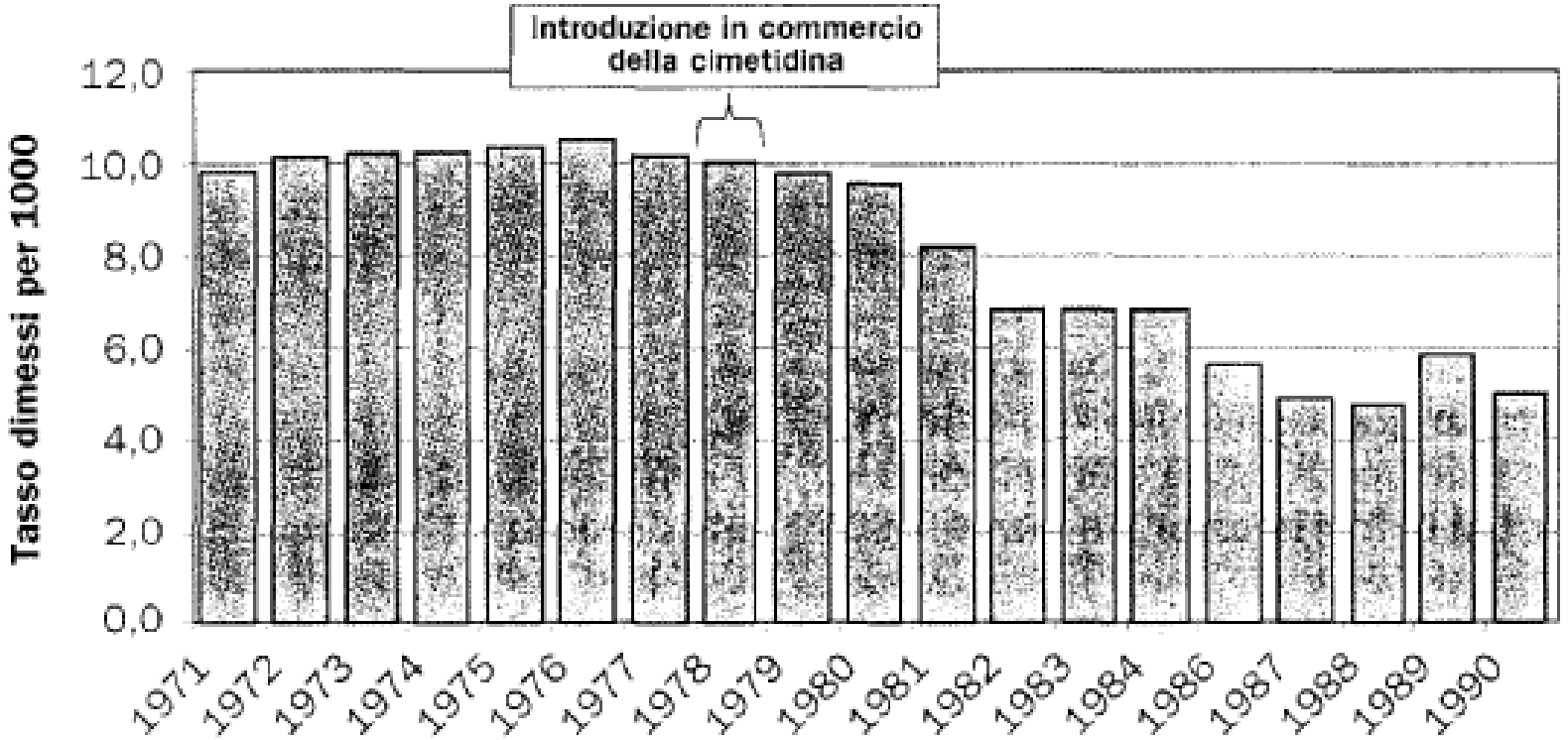
© S.A.V.E. Srl

Spese totali per ARDs suddivise per anno e per tipologia di servizio (migliaia di $) (3)

	1976	1977	1978	1979	1980	1981	1982	1983	1984	1985
Ospedalizzaz.	20.159	15.212	21.041	19.646	20.979	20.048	17.913	13.842	12.339	9.963
Interv. chirurg.	1.623	1.192	1.261	975	1.026	282	271	234	189	94
Endoscopie	429	318	834	1.316	1.436	1.409	1.392	1.142	893	786
Visite mediche	4.065	3.419	4.484	4.242	3.812	3.722	3.916	3.572	3.055	2.623
Antiacidi	5.541	5.524	6.863	7.080	7.573	7.968	8.460	7.903	7.456	6.587
Anticolinergici	2.205	2.121	2.467	2.178	2.156	2.087	2.038	1.570	1.257	1.102
Cimetidina	0	0	0	0	1.879	5.742	8.208	8.432	8.081	8.653
TOTALE	**34.022**	**27.786**	**36.950**	**35.437**	**38.861**	**41.258**	**42.198**	**36.695**	**33.270**	**29.808**

© S.A.V.E. Srl

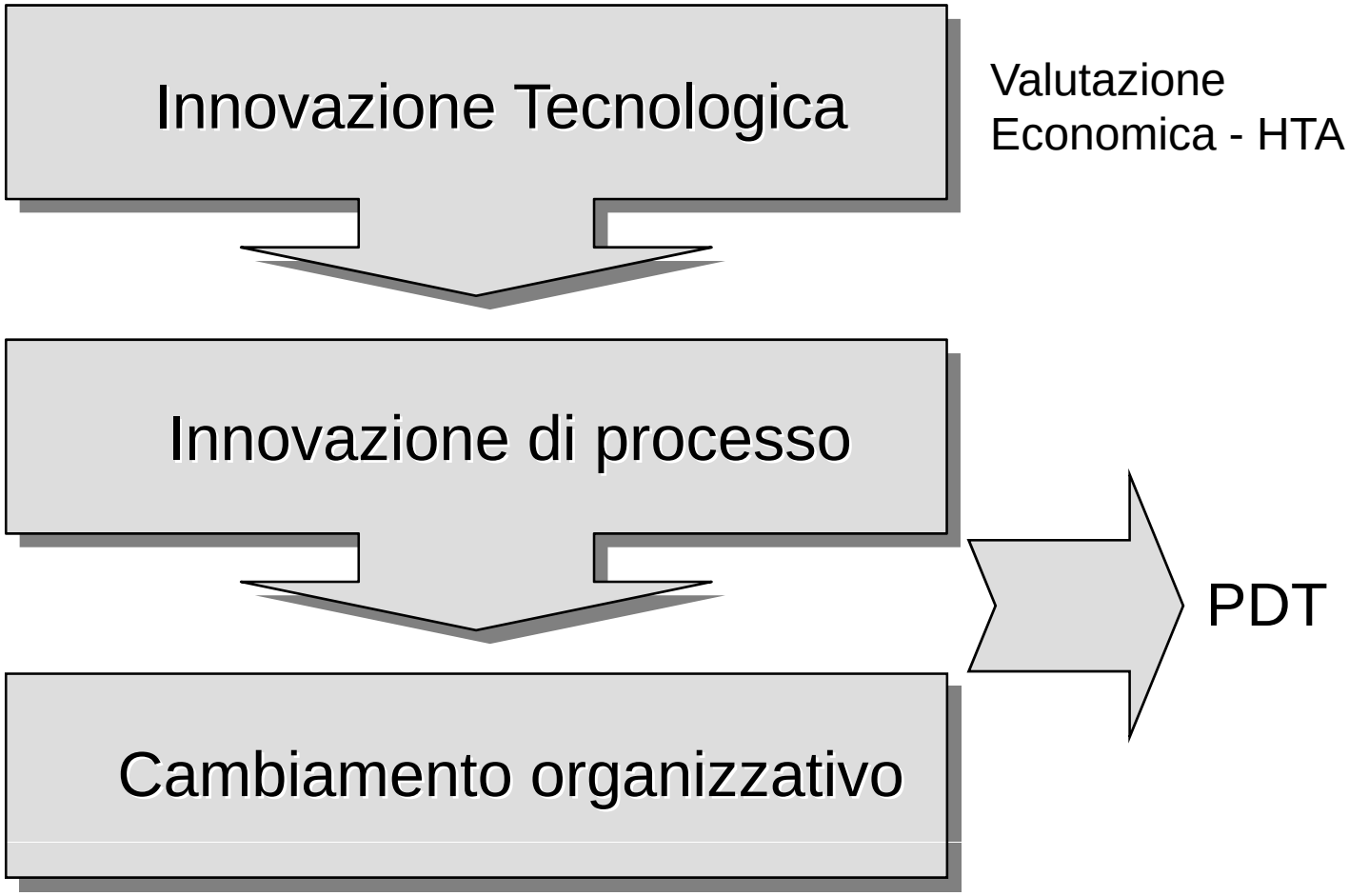
Tasso di dimissione da ricoveri con diagnosi «ulcera gastrica e duodenale» sul totale



Fonte ISTAT

© S.A.V.E. Srl

Relazione tra innovazione tecnologica, innovazione di processo e cambiamento organizzativo



© S.A.V.E. Srl

Il Percorso Diagnostico Terapeutico (PDT)

- Il PDT stimola l'osservazione dell'insieme delle azioni da intraprendere rispetto al caso da trattare e si pone l'obiettivo:

  - di coordinare all'interno della migliore sequenza temporale possibile l'intervento e gli apporti richiesti dai diversi soggetti coinvolti nella gestione del paziente.

  - di concentrare contemporaneamente l'attenzione sulle dimensioni dell'attività e del tempo quali oggetti da gestire per ottenere un maggior controllo sulle cause di formazione dei costi (ad esempio riducendo la variabilità nel consumo di risorse per il trattamento della medesima patologia)

© S.A.V.E. Srl

Quale ruolo assegnare ai PDT

- **Variabilità**
  - Valutazione e riduzione del grado di variabilità nel trattamento clinico (consumo di risorse) e nelle modalità di accesso.

- **Qualità**
  - Fornire il miglior servizio possibile al paziente, attraverso la comunicazione personale e ai familiari di quanto lo attende nello svolgimento del percorso stesso, sviluppando una modalità di gestione del rapporto tra struttura sanitaria e utente/paziente basata sulla completezza e trasparenza delle informazioni relative al percorso di cura;

- **Efficienza**
  - Individuazione della miglior combinazione risorse-risultati, dove la variabile indipendente è il risultato.

- **Integrazione ospedaliera con il territorio**
  - Migliorare i rapporti di collaborazione e di scambio interni ed esterni all'ospedale, favorendo processi di integrazione e coordinamento tra unità operative che partecipano congiuntamente, seppur con professionalità differenti, alla realizzazione di un percorso

© S.A.V.E. Srl

Vantaggi e potenzialità dei PDT

- **Rispetto all'azienda sanitaria**:
  - Consente di ottenere una determinazione più puntuale del costo per prestazione.
  - Maggiore integrazione nell'intervento assistenziale.
  - Esplicitazione del legame tra qualità e consumo di risorse.
  - Confronti spazio-temporali con altre aziende.
- **Rispetto al paziente**:
  - Ipotesi di intervento assistenziale.
  - Ipotesi di lavoro e coinvolgimento del paziente tramite l'informazione.
- **Rispetto al professionista medico**:
  - Metodo condiviso per sistematizzare le pratiche e la conoscenza.
  - Stimolo alla diffusione della conoscenza ed al continuo aggiornamento.
  - Sviluppo delle buone pratiche e tutela rispetto alla responsabilità civile.
  - Valorizzazione del ruolo medico in ottica di case-manager

© S.A.V.E. Srl

Ad esempio: PDT nella diagnosi e terapia delle malattie infettive.

Obiettivi :

- mantenere e garantire l'efficacia terapeutica
- ridurre i disagi del cittadino attraverso la collaborazione di differenti figure e/o strutture interne e nel territorio
- ridurre i tempi di attesa
- ridurre i costi/utente



© S.A.V.E. Srl

La risposta "contabile": controllo di ciascun componente del Sistema Sanitario

	Budgets				
Diseases	Hospital	Ambulatory Care	Physician Services	Laboratory Diagnostic Services	Pharmacy
CAD	€€€	€	€€	€€	€€
Diabetes	€€	€€	€	€€	€
Asthma	€€	€€	€	€	€
Cancer	€€	€€	€€	€€	€€
Depression	€	€€	€€	€	€€
AIDS	€€	€€	€€	€€	€€
.....	.....	.....	.....	.....	.....
Total Costs	€	€	€	€	€

Fonte: Stan Bernard, 1995

© S.A.V.E. Srl

L'approccio:
"Gestione della malattia con PDT"

	Budget					PDT	
Diseases	Hospital	Ambulatory Care	Physician Services	Laboratory Diagnostic Services	Pharmacy	Total Costs	Quality measure-ments
CAD	€€€	€	€€	€€	€€	€	↑ ↑
Diabetes	€€	€€	€	€€	€	€	-----
Asthma	€€	€€	€	€	€	€	↓
Cancer	€€	€€	€€	€€	€€	€	↓ ↓ ↓
Depression	€	€€	€€	€	€€	€	↑ ↑
AIDS	€€	€€	€€	€€	€€	€	↑
.....	.....	.....	.....	.....	.....	€	↑

Fonte: Stan Bernard, 1995

© S.A.V.E. Srl

Discussione

- 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.
  - la mancanza di un quadro complessivo delle risorse utilizzate e delle alternative impiegate può determinare decisioni non ottimali

© S.A.V.E. Srl

Conclusione

- L'analisi economica applicata alle attività sanitarie ha lo scopo di rendere evidente l'uso più efficiente delle risorse disponibili, non quello di ridurre la spesa
  - Per effettuare una scelta razionale è necessario osservare delle regole:
    - » Informazioni sui consumi, le prescrizioni, modalità di trattamento
    - » Rendere omogenee e confrontabili le alternative
- Investire in ricerca valutativa affinché questi strumenti diventino un riferimento costante nelle scelte dei medici e dei responsabili delle politiche sanitarie

© S.A.V.E. Srl

Studi
Analisi
Valutazioni
Economiche

Giorgio L. Colombo

+39 02 48.51.92.31

giorgio.colombo@unipv.it

www.savestudi.it

© S.A.V.E. Srl

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

© S.A.V.E. Srl

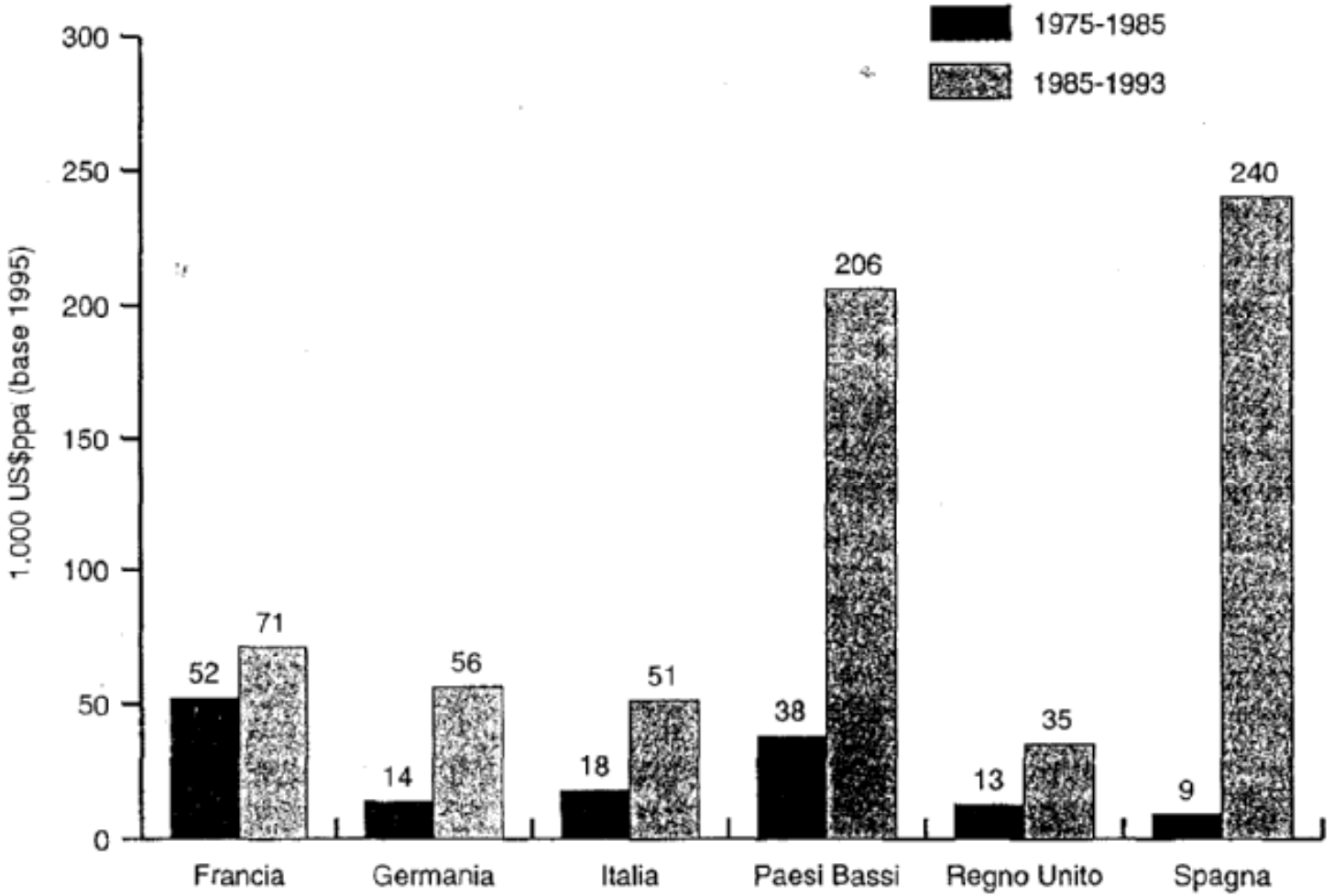
Esperienza Italiana

- 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)

© S.A.V.E. Srl

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

© S.A.V.E. Srl

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

© S.A.V.E. Srl

Classifica dei costi per QALY di alcuni interventi sanitari

(Maynard,1991, attualizzati al 2006)

	Costo/QALY (euro
Esame colesterolo e terapia dietetica (età 40-69))	442
Intervento neurochirurgico per trauma cranico	483
Consiglio di smettere di fumare del MMG	543
Intervento neurochirurgico per emorragia subaracnoidea	985
Terapia anti-ipertensiva per prevenire l'ictus	1.890
Applicazione pacemaker	2.212
Sostituzione collo femorale	2.372
Sostituzione valvola per stenosi aortica	2.292
Esame colesterolemia e relativo trattamento	2.975
CABG(patologia del ramo principale sinistro,angina grave)	4.202
Trapianto del rene	9.469
Screening per tumore al seno	11.621
Trapianto di cuore	15.762
Esame colesterolemia e relativo trattamento (età 25-39)	28.448
Emodialisi a domicilio	34.701
CABG(patologia del primo ramo,angina moderata)	37.857
CAPD	39.948
Emodialisi ospedaliera	44.170
Trattamento con eritropoietina di pazienti in dialisi	109.329
Intervento neurochirurgico per tumore maligno al cranio	216.689
Trattamento con eritropoietina per anemia di pazienti in dialisi	253.902

© S.A.V.E. Srl

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"
  - Indicare la scelta del comparatore
    - » (ad es. il più usato, il più efficace in meno costoso)
  - Calcolare gli ICER per sottogruppi
  - Evidenziare il livello di incertezza delle stime
    - » Medie, varianze, intervalli di confidenza
  - Costruire LT per specifiche patologie o tipologie di intervento

© S.A.V.E. Srl