

## **7° Webinar “Programma di Formazione Nazionale ProMIS”**

**Edizione 2020**

### **“Economic Health Assessment come attività progettuale. Esempi e pratiche”**

**12 ottobre 2020**

Il Programma Mattone Internazionale Salute – ProMIS ha dato avvio, per l’anno 2020, al Piano di Formazione Nazionale online grazie all’organizzazione di una serie di webinar tecnici su focus specifici che riguardano i diversi aspetti della progettazione europea. Dopo aver fornito per il 2019 una panoramica degli strumenti, delle indicazioni utili e delle buone pratiche per partecipare ai bandi, nonché su come strutturare una proposta di successo e gestire un progetto finanziato, durante il 2020 verranno organizzati momenti di sintesi dei bisogni espressi dai partecipanti del 2019 e raccolti quindi da ProMIS.

Il 12 ottobre si è tenuto il 7° webinar dal titolo **“Economic Health Assessment come attività progettuale. Esempi e pratiche”**. **Stefania Bellelli (Nucleo Tecnico HTA, IRES Piemonte)** ha brevemente introdotto l’importanza della valutazione economica, spiegandola nell’aumento dei bisogni di salute della popolazione e nelle aspettative crescenti nella domanda dei servizi. Nello specifico, la limitatezza delle risorse e l’attuazione di politiche di razionamento delle risorse hanno portato alla necessità di operare delle scelte per l’allocazione delle risorse basate su un’analisi strutturata e sistematica delle alternative, perché senza un’analisi sistematica è difficile identificare chiaramente le alternative rilevanti e senza un tentativo di misurazione, l’incertezza sull’ordine di grandezza degli effetti di un programma può essere critica.

Una valutazione economica è un’analisi comparativa, sia dal lato dei costi che delle conseguenze, tra diverse modalità operative. Una valutazione economica identifica, misura, valorizza e confronta i costi e le conseguenze delle alternative prese in considerazione. Il programma (o intervento) sanitario è dato, ad esempio, dalla combinazione di uno o più degli elementi seguenti:

- Prescrizioni farmacologiche
- Esami di laboratorio
- Test strumentali
- Interventi chirurgici

Indipendentemente dalla natura dei costi e delle conseguenze da analizzare e dal modo in cui devono essere misurati e valutati, la regola generale valida per confrontare due o più programmi sanitari è quella di confrontare le differenze nei costi con le differenze nelle conseguenze, secondo un’analisi incrementale. Per costo si intende il sacrificio o il beneficio prodotto dal consumo di una certa risorsa in un programma sanitario. Si considerano non solo le voci di spesa, ma anche le risorse il cui consumo non viene rappresentato dai prezzi di mercato (ad es. il tempo messo a disposizione dai volontari, il tempo libero dei pazienti, dei loro familiari etc.). Dopo avere identificato l’insieme

dei costi da inserire nell'analisi, in base alla prospettiva di analisi adottata, le singole voci devono essere misurate e valorizzate. È necessario:

- Identificare le risorse
- Misurare la quantità di risorse utilizzate (q)
- Attribuire le unità di costo o prezzi (p)
- Valorizzare i costi totale (q×p)

Il punto di vista adottato è fondamentale: una voce può essere ritenuta un costo secondo una certa prospettiva ma non secondo un'altra. Uno stesso programma sanitario può apparire conveniente o meno a seconda della prospettiva adottata.

**I costi diretti** sono i costi operativi e organizzativi del settore sanitario direttamente ricollegabili alla malattia. Misurano l'impiego di risorse per la gestione della malattia in tutte le sue fasi: prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione del paziente. Possono includere anche i costi a carico del paziente e dei suoi familiari. Tra i costi diretti sanitari si evidenziano i farmaci, le visite mediche, esami di laboratorio, diagnostica strumentale, terapie di supporto, ospedalizzazioni.

Tra i **costi diretti** non sanitari si distinguono il trasporto, i servizi sociali, l'assistenza domestica, l'assistenza fornita dai familiari fuori dall'orario di lavoro. I costi indiretti sono i costi riferibili alla malattia in modo indiretto, in corrispondenza di risorse impiegate senza un esborso diretto di denaro. Si riferiscono alle risorse che non è stato possibile produrre a causa della malattia, a carico totale o parziale del paziente e dei familiari. Sono detti anche costi della perdita di produttività, si riferiscono ad es. :

- giornate di lavoro perdute dal paziente per il trattamento e l'assistenza sanitaria,
- giornate di lavoro perdute dal paziente per disabilità momentanee,
- giornate di lavoro perdute dal paziente in termini di minore produttività,
- giornate di lavoro perdute dai familiari per l'assistenza al paziente.

I costi diretti sono, di norma, valorizzabili in modo relativamente agevole: per gli interventi ai quali si riferiscono esiste un prezzo di mercato. Nella valutazione si dovrebbe tenere conto dei costi che, per effetto del programma, in futuro non verranno sostenuti. Le risorse consumate per attuare un programma sanitario (servizi e prestazioni) dovrebbero essere valorizzate in modo da rappresentare il costo-opportunità, il valore cioè che le risorse avrebbero avuto se fossero state impiegate nella migliore alternativa possibile. I costi indiretti sono stimati in relazione ai tempi richiesti per la gestione e la cura della malattia e sottratti allo svolgimento di attività alternative (teoria del capitale umano), oppure al costo che si sarebbe dovuto sostenere impiegando personale retribuito per svolgere le stesse attività svolte in via informale da familiari o amici (valore di rimpiazzo).

I costi possono essere calcolati con un approccio gross-costing o micro-costing:

- **Approccio gross-costing:** si calcola il costo medio dei servizi e delle prestazioni come rapporto tra i costi totali dell'unità erogatrice (esempio unità operativa di degenza di un ospedale) e il numero totale delle prestazioni erogate in un determinato periodo (esempio numero totale di ricoveri).
- **Approccio micro-costing:** si calcola il costo effettivo dei servizi e delle prestazioni come somma di tutti i fattori produttivi che concorrono all'erogazione del servizio o della prestazione.

L'approccio gross costing è meno costoso e più veloce anche se meno preciso.

Nell'approccio gross costing o top-down, la rilevazione dei costi dall'alto avviene allocando una parte della spesa sanitaria alla malattia o a intere categorie di malattia, sulla base della prevalenza della stessa. Esempio: se la prestazione oggetto di studio è il ricovero ospedaliero, il costo unitario verrà stimato dividendo il costo totale dell'Unità Operativa di Degenza per il numero totale di ricoveri erogati dall'U.O. in un determinato periodo (per es. un anno). Nell'approccio micro costing o bottom-up, invece, la rilevazione dei costi avviene attraverso l'identificazione puntuale e la successiva aggregazione delle varie componenti di costo per singolo paziente. La stima dei costi avviene in due fasi:

- ✓ identificazione e misurazione delle quantità di risorse utilizzate
- ✓ stima dei costi unitari. Esempio: il costo del ricovero sarà dato dalla somma del costo dei fattori produttivi consumati per produrre il ricovero stesso, quali per es. il consumo dei farmaci, gli esami diagnostici, le visite, la degenza etc.

I costi possono essere variamente distribuiti nel tempo. Il confronto tra costi può avvenire solo se sono riportati allo stesso momento temporale di riferimento tramite procedure di attualizzazione. I valori convenzionali utilizzati per il tasso di sconto variano da un minimo del 3% ad un massimo del 5%.

**Le conseguenze** sono i benefici che derivano da un programma o da un servizio sanitario oggetto della valutazione. Sono raggruppate in tre categorie principali:

- **Cambiamenti nello stato di salute del malato** che può essere misurata in termini di effetto (es. anni di vita guadagnati, giorni di invalidità evitati etc.) oppure valutata in termini di preferenze sullo stato di salute oppure in termini di disponibilità a pagare (willingness to pay) degli individui per ottenere miglioramenti nello stato di salute.
- **Il valore che un programma sanitario può produrre** indipendentemente dal miglioramento nello stato di salute (es. programma in grado di mettere a disposizione maggiori informazioni e/o che fornisce rassicurazioni riguardo allo stato di salute).
- **Risorse risparmiate** a seguito dell'attuazione del programma sanitario.

Le misure di outcome più utilizzate sono rappresentate da:

- indicatori relativi a unità di misura fisiche (es. anni di vita guadagnati, giorni di invalidità evitati, numero di casi evitati o trattati con successo etc.).
- indicatori che riguardano il cambiamento nel livello della qualità della vita dei pazienti affetti da una certa patologia (insieme di caratteristiche fisiche e psicologiche che descrivono la capacità degli individui di funzionare nel loro ruolo e trarre soddisfazione da ciò. La qualità della vita è funzione delle preferenze dei soggetti rispetto a diversi stati di salute temporanei o permanenti, il suo valore è calcolato con indici di utilità, che rappresentano le preferenze degli individui circa la percezione del benessere prodotto dal trattamento in oggetto.

Le conseguenze possono essere variamente distribuite nel tempo. Anche il confronto tra le conseguenze è più agevole se esse sono riportate allo stesso momento temporale di riferimento, anche se alcuni sostengono che non sia necessario scontare le conseguenze. È preferibile scontare anche le conseguenze e utilizzare gli stessi tassi di sconto dei costi.

Ogni valutazione contiene un certo grado di incertezza e imprecisione. Chi utilizza i risultati di un'analisi dovrà identificare le assunzioni e le aree metodologiche maggiormente interessate dall'incertezza. Dovrebbe essere possibile modificare l'analisi utilizzando diverse ipotesi di base o stime per testare la sensibilità dei risultati rispetto a tali cambiamenti. Se, nonostante queste modifiche, i risultati non subiscono variazioni rilevanti, è possibile avere maggiore fiducia nella robustezza dei risultati stessi. Se, invece, a seguito di queste modifiche i risultati subiscono variazioni rilevanti, è necessario lavorare ancora sulle ipotesi di base per ridurre l'incertezza e/o migliorare la precisione delle stime ottenute. Questo procedimento è detto analisi di sensibilità e costituisce un elemento molto importante per svolgere correttamente analisi di valutazione economica. L'obiettivo **dell'analisi di sensibilità** è testare quanto i risultati di una valutazione economica sono sensibili alla variazione di specifiche ipotesi o al valore di alcuni specifici dati. È un test che mette alla prova la stabilità delle conclusioni dell'analisi valutando la robustezza delle conclusioni. Le fonti dell'"incertezza" possono essere: efficacia (studi clinici, valutazione degli esperti); costi (tipo di dati raccolti, metodologia dell'analisi); le assunzioni adottate. Le fasi:

- Identificare le variabili da sottoporre ad analisi
- Specificare un intervallo di valori plausibile per tali variabili
- Ricalcolare i risultati dello studio con i valori delle variabili negli intervalli identificati

Le tecniche di valutazione economica:

- A seconda dell'obiettivo che ci si prefigge è diversa la tecnica di valutazione economica che risulta più idonea a conseguirlo
- La valutazione può essere parziale oppure completa a seconda che:
  - si confrontino due o più alternative

- si esaminino costi e conseguenze delle opzioni considerate
- La mancanza di uno solo di questi elementi caratterizza la natura parziale dell'analisi.

Nell'**analisi di costo sociale (Cost of Illness - COI)** l'obiettivo principale è determinare il peso economico di una malattia per la società nel suo complesso in termini di costi diretti (sanitari e non sanitari), perdite di produttività (costi indiretti). L'analisi di COI è lo strumento che permette di evidenziare sia le problematiche relative alla gestione a livello individuale della patologia, sia il consumo di risorse economiche che si registra a livello collettivo. Sono studi descrittivi orientati a:

- Identificare le maggiori componenti di costo e la loro incidenza sui costi totali
- Identificare il percorso diagnostico-terapeutico dei pazienti affetti dalla malattia a livello nazionale
- Spiegare la variabilità dei costi

L'analisi costo-efficacia, l'analisi costo-utilità e l'analisi costo-beneficio consentono il confronto di alternative i cui risultati sono espressi secondo valori e parametri diversi.

**L'analisi di minimizzazione dei costi (CMA)** è una metodologia impiegata per confrontare i costi di due o più alternative che hanno la stessa efficacia in termini di risultati terapeutici. L'obiettivo della CMA è determinare l'alternativa meno costosa, assumendo che le conseguenze siano identiche. I costi dei programmi sanitari sono misurati in termini monetari mentre gli effetti sono valutati sulla base di unità di misura fisiche e non monetarie (es. numero di vite salvate, numero di casi evitati o trattati con successo etc.). Una volta calcolati il costo e l'efficacia dei programmi, si procede a calcolare il rapporto costo/efficacia e a confrontarli (es. programmi possono avere diversi gradi di successo nel raggiungere il risultato, misurato in "anni di vita guadagnati", e diversi costi). Il confronto avverrà in base al costo per unità di effetto, cioè per anno di vita guadagnato. Il rapporto costo efficacia incrementale è il costo aggiuntivo dovuto al cambiamento di una unità di risultato. I risultati sono quindi espressi in termini di costo per "unità di effetto". Ricondurre ad una unità di risultato consente la confrontabilità tra alternative con diversi costi e/o diversa efficacia.

Nell'**analisi Costo Utilità (CUA)** – che viene considerata un'estensione dell'analisi costo-efficacia - è presente un elemento ulteriore e distintivo: la valutazione della qualità della vita. I costi di un determinato trattamento sono valutati in termini monetari, mentre le conseguenze di tale trattamento sono espresse in unità di misura non monetarie rappresentative del grado di utilità associato ai vari stati di salute. L'unità di misura generalmente utilizzato nella valutazione dell'impatto è l'anno di sopravvivenza tenendo conto della qualità della vita. L'indicatore di sintesi più comunemente usato è il QALY (Quality-Adjusted Life Years) che misura gli anni di sopravvivenza ponderati per la qualità della vita. Il QALY è "il prodotto aritmetico dell'aspettativa di vita per la qualità degli anni rimanenti, guadagnati per opera dell'intervento sanitario stesso". Permette di catturare contemporaneamente sia la riduzione della morbilità (in termini di guadagno in qualità di vita) che la riduzione della mortalità (guadagno in quantità). Un QALY è un singolo indice ottenuto

moltiplicando il punteggio di utilità per il numero di anni trascorsi in quel determinato stato di salute (riflette le valutazioni degli individui e non degli specialisti).

Nell'**analisi Costo Beneficio (CBA)** i costi e le conseguenze dell'intervento sono misurati in termini monetari. L'obiettivo della CBA è determinare se un programma sanitario è sostenibile o meno in termini assoluti. Si deve rispondere alla domanda: i benefici di un programma terapeutico sono superiori ai costi sostenuti per realizzarlo? Il beneficio connesso all'utilizzo di un intervento sanitario può essere espresso come la differenza tra i benefici totali e i costi totali, beneficio per Euro spesi (benefici/costi), tasso di rendimento sull'investimento  $[(\text{benefici}-\text{costi})/\text{costi}]$ . Consente la valutazione di interventi singoli e l'analisi comparativa di interventi che possono avere obiettivi molto diversi tra loro, permettendo di decidere, in presenza di risorse scarse, fra programmi che hanno risultati di natura diversa e che sarebbero altrimenti difficilmente confrontabili.

L'**analisi costo-efficacia (CEA)** determina il rapporto tra l'efficacia misurata in unità fisiche e i costi di programmi sanitari alternativi. I programmi a confronto devono avere effetti sanitari misurabili in termini omogenei. I risultati del confronto possono essere valutati sia in termini di effetto per unità di costo, sia in termini di costo per unità di effetto.

La decisione in merito alla tecnica da utilizzare dipende essenzialmente dall'obiettivo dello studio e dall'importanza che per questo riveste la tipologia di risultati (o benefici) o dalla misurabilità degli stessi. Allo stato attuale l'approccio maggiormente utilizzato per gli studi di valutazione economica in sanità risulta l'analisi Cost-Effectiveness.

Una **checklist** per una **lettura critica delle valutazioni economiche**:

1. Il problema, espresso in maniera precisa, è stato posto in una forma che permetta di dare una risposta?
2. Le alternative sono state descritte in maniera esaustiva?
3. È stata verificata l'efficacia del programma o del servizio?
4. Per ciascuna alternativa sono stati identificati tutti i costi e le conseguenze pertinenti ed importanti?
5. I costi e le conseguenze sono stati misurati accuratamente e utilizzando appropriate unità fisiche di misura?
6. I costi e le conseguenze sono stati valorizzati in maniera credibile?
7. La valutazione dei costi e delle conseguenze è stata fatta tenendo conto di come si distribuiscono nel tempo?
8. È stata condotta un'analisi incrementale dei costi e delle conseguenze tra le alternative?
9. Si è tenuto conto dell'incertezza nella stima dei costi e delle conseguenze?
10. La presentazione e la discussione del lavoro svolto coprono tutti i punti d'interesse per gli utilizzatori dell'analisi?