

HTA: CASE STUDIES

Bergamo, 4 novembre 2016



Il fibroma uterino e la terapia con Ulipristal Acetate

MARCO ORADEI

*Unità di Valutazione delle Tecnologie
Policlinico Universitario "A. Gemelli"*

- introduzione

Una breve premessa...

Obiettivo dell'economista sanitario, attraverso l'allocazione ottimale delle risorse è:

- *rendere massimo il livello di salute della popolazione assistita, rispettando il vincolo delle risorse disponibili*

... non è invece

- *risparmiare, a qualsiasi costo*



La valutazione economica

Le dimensioni dell'HTA

Le **dimensioni** oggetto di analisi dell'HTA

- Problema di salute e utilizzo attuale della tecnologia
- Caratteristiche tecniche e tecnologiche
- Sicurezza
- Efficacia clinica (effectiveness)
- Costi e valutazione economica
- Aspetti organizzativi
- Aspetti etici
- Aspetti sociali
- Aspetti legali

Farmacoeconomia



I livelli dell'HTA



Tecnologia Sanitaria

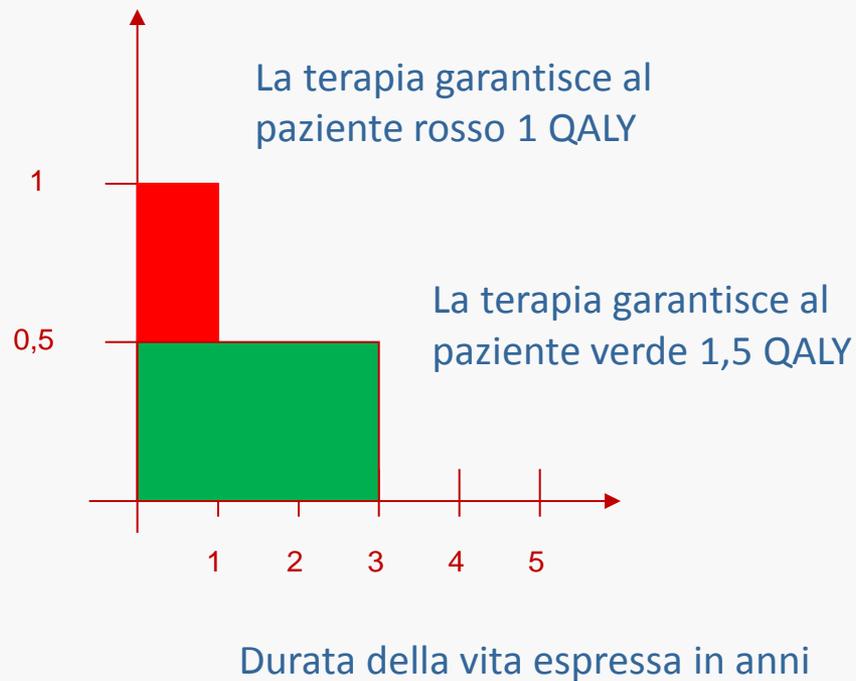
- attrezzature sanitarie
- dispositivi medici
- farmaci
- sistemi diagnostici
- procedure mediche e chirurgiche
- percorsi assistenziali
- assetti strutturali ed organizzativi nei quali viene erogata l'assistenza sanitaria

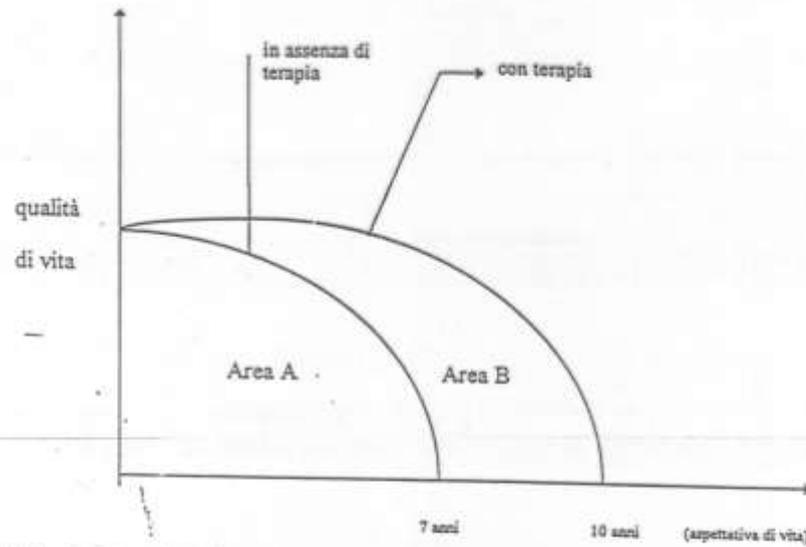
- QALY

QALY: Quality Adjusted Life Years

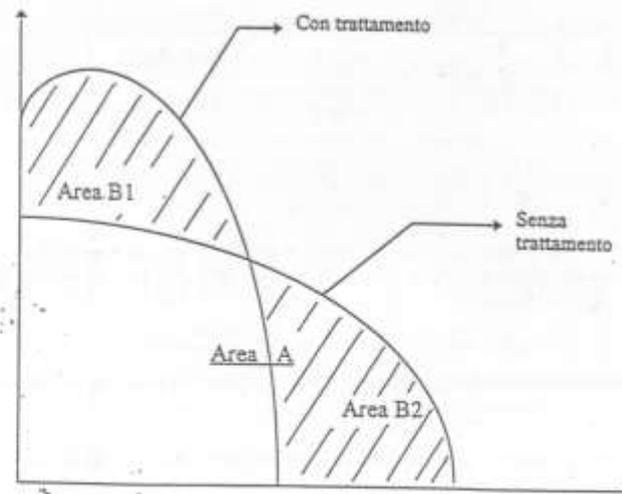
- Valuta l'incremento della qualità della vita in rapporto all'allungamento della aspettativa di vita, determinato dall'intervento sanitario in esame
- L'analisi parte dalla costruzione di un profilo di salute del paziente **in assenza di terapia o con terapia alternativa**, valutando quale sarebbe l'aspettativa di vita e la qualità di vita nei due casi

Il QALY (Quality Adjusted Life Years)





Il beneficio si misura come l'area compresa tra i due profili (l'unità di misura è il QALY):
 operazione di sottrazione: area sottesa al profilo di salute con nuovo trattamento - area
 sottesa al profilo di salute senza trattamento (Area B - Area A).



Le scale visuali analogiche

La scala visuale analogica è composta da una linea, solitamente di 10 cm, con endpoint chiaramente definiti (ad esempio da “assenza di dolore” a “dolore massimo”).

Anche se può includere numeri non è una rappresentazione numerica del dolore, ma rappresenta piuttosto dei ranghi

To help people say how good or bad a health state is, we have drawn a scale (rather like a thermometer) on which the best state you can imagine is marked 100 and the worst state you can imagine is marked 0.

We would like you to indicate on this scale how good or bad your own health is today, in your opinion. Please do this by drawing a line from the box below to whichever point on the scale indicates how good or bad your health state is today.

Your own health state today



Best imaginable health state

100

90

80

70

60

50

40

30

20

10

0

Worst imaginable health state

3

Le scale visuali analogiche

VAS (*Visual Analogue Scale*)

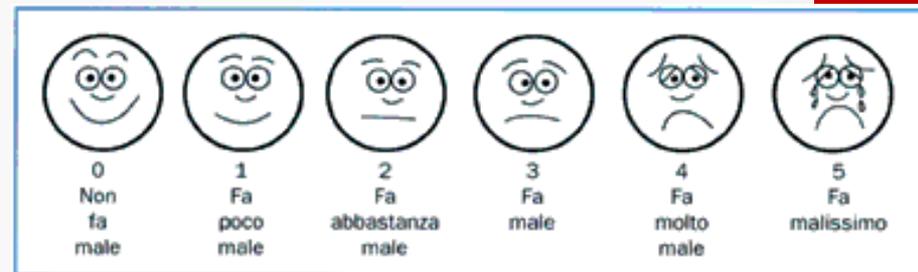
Williamson A, Hoggart B. Pain: a review of three commonly used pain rating scales. J Clin Nurs 2005; 14: 798-804.

NESSUN DOLORE

MAX DOLORE POSSIBILE



"Considerando una scala da 0 a 10 in cui a 0 corrisponde l'assenza di dolore e a 10 il massimo di dolore immaginabile, quanto valuta l'intensità del suo dolore?"



I questionari sulla Qualità di Vita

Esistono diversi tipi di questionari per la valutazione della qualità di vita.

Solitamente vengono esaminate diverse dimensioni di qualità:

- dimensioni fisiche
- dimensioni psicologiche

TABELLA 6.4 - IL SISTEMA DI CLASSIFICAZIONE BASATO SULL'EuroQoL

Capacità di movimento

- Non ho difficoltà nel camminare
- Ho qualche difficoltà nel camminare
- Sono costretto/a a letto

Cura della persona

- Non ho difficoltà nel prendermi cura di me stesso/a
- Ho qualche difficoltà nel lavarmi o vestirmi
- Non sono in grado di lavarmi o vestirmi

Attività abituali (es.: lavoro, studio, lavori domestici, attività familiari o di svago)

- Non ho difficoltà nello svolgimento delle attività abituali
- Ho qualche difficoltà nello svolgimento delle attività abituali
- Non sono in grado di svolgere le mie attività abituali

Dolore o fastidio

- Non provo alcun dolore o fastidio
- Provo dolore o fastidio moderati
- Provo estremo dolore o fastidio

Ansia e depressione

- Non sono ansioso/a o depresso/a
- Sono moderatamente ansioso/a o depresso/a
- Sono estremamente ansioso/a o depresso/a

Nota: per comodità ciascuno stato di salute ha un codice formato da 5 elementi che fanno riferimento ai rilevanti livelli di ciascuna dimensione, con le dimensioni ordinate nel modo appena visto sopra. Quindi un punteggio di 11223 significa:

1. Non ho difficoltà nel camminare
1. Non ho difficoltà nel prendermi cura di me stesso/a
2. Ho qualche difficoltà nello svolgimento delle attività abituali
2. Provo dolore o fastidio moderati
3. Sono estremamente ansioso/a o depresso/a

Un esempio: la classificazione NYHA

Classificazione dello scompenso secondo la New York Heart Association (NYHA).

Classe I Nessuna limitazione: l'attività fisica abituale non provoca astenia, dispnea, ne' palpitazioni.

Classe II Lieve limitazione dell'attività fisica: benessere a riposo, ma l'attività fisica abituale provoca affaticamento, dispnea, palpitazioni o angina.

Classe III Grave limitazione dell'attività fisica: benessere a riposo, ma attività fisiche di entità inferiore a quelle abituali provocano sintomi.

Classe IV Incapacità a svolgere qualsiasi attività senza disturbi: sintomi di scompenso sono presenti anche a riposo, con aumento dei disturbi ad ogni minima attività.

NB: I pazienti in classe NYHA I devono avere segni obiettivi di disfunzione cardiaca, avere nell'anamnesi sintomi di scompenso ed essere in terapia con farmaci utili per lo scompenso secondo la definizione riportata nella tabella I.

Relazione tra NYHA e QALY

La valorizzazione in QALY è stata studiata in diversi articoli di letteratura.

Il dato qui presentato è derivato da:

Christopher Rao et al Does preservation of the sub-valvular apparatus during mitral valve replacement affect long-term survival and quality of life? A Microsimulation Study

J Cardiothorac Surg. 2008; 3: 17.

NYHA	QALY
Classe 1	0,97
Classe 2	0,80
Classe 3	0,65
Classe 4	0,30

Un altro esempio: scale di misura dell'efficacia per la valutazione nella sclerosi multipla

Cosa valutare nella sclerosi multipla?

- la mortalità
- la progressione della malattia
- le ricadute
- il numero di lesioni evidenziato dalla risonanza magnetica

Il sistema EDSS

L'Expanded Disability Status Scale (EDSS) è una scala il cui punteggio varia da 0 (esame neurologico normale) a 10 (morte). La scala si costruisce valutando lo status del paziente su 8 sistemi funzionali (SF) e combinando in un unico valore sintetico i valori per ogni specifica SF.

Può essere usato come sistema per definire il livello di gravità dei pazienti

Relazione tra EDSS e QALY

La valorizzazione in QALY dei punteggi EDSS è stata proposta da Kobelt G., Jönsson L., Miltenburger C., Jönsson B., “Cost-utility analysis of interferon beta-1B in secondary progressive multiple sclerosis using natural history disease data” Int J Technol Assess Health Care. 2002 Winter;18(1):127-38

EDSS	QALY
3 o meno	0,677
3,5/4,0	0,534
4,5/5,0	0,544
5,5/6,5	0,418
7,0	0,210
7,5 o più	-0,027
morte	0

KDOQI Clinical Practice Guidelines for Chronic Kidney Disease:

Evaluation, Classification, and Stratification

Stadio	Descrizione	VFG (ml/min/1.73 m ²)
1	Danno renale con VFG normale o aumentato	≥ 90
2	Lieve riduzione del VFG	89-60
3	Moderata riduzione del VFG	59-30
4	Severa riduzione del VFG	29-15
5	IR terminale	< 15

Si definisce come Insufficienza Renale Cronica Progressiva la condizione in cui sia presente da almeno 3 mesi una riduzione della Velocità di Filtrazione Glomerulare (VFG) < 60 ml/min, calcolabile più adeguatamente con la formula di Cockcroft, corrispondente allo stadio 3 della tabella e che può evolvere più o meno rapidamente negli stadi successivi 4-5 fino alla necessità di una terapia dialitica sostitutiva.

- I costi

Il «Punto di vista» nella misurazione dei costi

- Il punto di vista del **sistema sanitario**
 - ✓ Macro: le istituzionale (SSN, Regioni, ...)
 - ✓ Meso: le singole strutture (Aziende Ospedaliere, ASL)
- Il punto di vista della **società**
 - ✓ Il recupero di produttività
- Il punto di vista del **paziente**
 - ✓ Cosa spende il paziente?

Il costo dell'assistenza

- costi ospedalieri (ricovero ordinario)
- costi ospedalieri (Day Hospital)
- costi ambulatoriali (eventualmente APA/PAC)
- costi assistenza domiciliare
- costi riabilitazione (in centri dedicati)
- ... altri costi del sistema sanitario (MMG...)

ma anche

- costi legati alle attività di volontariato
- caregiver
- costi sociali in genere

Costo “finanziario” e costo “economico”

- In senso finanziario “La spesa che dobbiamo sostenere per acquistare un particolare bene o servizio” (Levin, 1983)
- In senso economico “Per un economista, il concetto di costo si riferisce al sacrificio (di benefici) effettuato quando una data risorsa è utilizzata in un programma o in un trattamento” (Drummond, Stoddart and Torrance, 1987)

• DIFFERENZE TRA COSTO ECONOMICO E COSTO FINANZIARIO:

- ✓ Prospettiva
- ✓ Componenti incluse nel calcolo
- ✓ Valutazione

Classificazione in base al rapporto con i volumi produttivi

- Costi fissi: quelli che non variano con il livello di produzione in un periodo di tempo determinato (es. costi di struttura, la maggior parte dei costi per il personale)
- Costi variabili: costi che variano con il livello della produzione (es. farmaci, materiale monouso)
- Costi pieni: la somma dei costi variabili più una porzione di costi fissi ripartita sulla singola unità di prodotto.

Classificazione in base al rapporto con le unità prodotte

- Costo medio: il costo totale diviso per il numero di unità di prodotto
- Costo marginale: il costo di produrre una unità aggiuntiva di prodotto
- Costo incrementale: il costo di aggiungere una attività aggiuntiva o un numero definito di unità di prodotto.

Altre classificazioni dei costi

- Costi diretti: risorse consumate o risparmiate da un programma rispetto a un programma alternativo
- Costi indiretti: valore del tempo dei pazienti (o delle loro famiglie) consumato o reso disponibile dal programma
- Costi intangibili: conseguenze che sono difficili da misurare e valutare, come dolore fisico e sofferenza psicologica.

Classificazione nell'analisi differenziale

- Costi cessanti: sono rappresentati dagli oneri che l'impresa non dovrà più sostenere laddove decidesse di passare dalla produzione interna a quella esterna
- Costi emergenti: sono rappresentati da tutti gli oneri che l'impresa dovrebbe sopportare nel caso ricorresse al mercato esterno

Quali ingredienti per il calcolo dei costi

I costi sono una misura composta:

costo = unità di risorse impiegate * costo delle unità

“Il metodo degli ingredienti richiede che ogni intervento sia descritto in termini di risorse o ingredienti richiesti per produrre gli outcomes che saranno osservati. Ognuno di questi ingredienti deve essere attentamente identificato al fine di assegnargli un costo” (Levin, 1983)

Vantaggi:

- stime più precise dei costi
- trasparenza
- analisi di sensibilità/analisi di scenario
- generalizzabilità