

# HTA E VALUTAZIONI ECONOMICHE

---

Patrizio Armeni

*CERGAS e SDA BOCCONI*

# Agenda

- Perché la farmacoeconomia?
- Cos'è la farmacoeconomia? Cos'è l'HTA?
- Quanto è importante oggi nelle interazioni tra imprese e decisori?
- Come impatterà su queste interazioni in futuro?

# Agenda

- **Perché la farmacoeconomia?**
- Cos'è la farmacoeconomia? Cos'è l'HTA?
- Quanto è importante oggi nelle interazioni tra imprese e decisori?
- Come impatterà su queste interazioni in futuro?

# Perché la farmacoeconomia?

- Il nostro è un sistema sanitario a prevalente componente pubblica → sistema pubblico
  - I sistemi pubblici si finanziano in tre modi:
    - Tassazione → Limitata per natura (dipende dal reddito)
    - Tariffazione → Limitata per equità (ticket, copayment)
    - Deficit → Riduzione imposta da vincoli europei
- } Risorse a disposizione per rispondere ai bisogni
- I bisogni aumentano: longevità, stili di vita, **opportunità terapeutiche (es. nuovi farmaci)**

# La diseguazione strutturale

## Bisogni > Risorse

- Emergono fenomeni di razionamento
- Il razionamento non governato porta a selezione casuale dei pazienti
- Il razionamento non si può evitare...
- ...ma si può governare



**GOVERNARE  
LA SELEZIONE DELLE TECNOLOGIE  
*SIGNIFICA*  
DECIDERE ESPLICITAMENTE QUALI  
FARMACI USARE  
E QUALI NO**

# DECIDERE ESPLICITAMENTE...

- Le decisioni di impiego delle risorse pubbliche hanno alcune particolarità:
  - **Devono essere comparative**
    - Non si può selezionare un farmaco perché «piace» o perché «ci si fida», bisogna provare che sia la scelta più conveniente (concetto ampio di convenienza)
  - **Devono essere trasparenti**
    - I cittadini devono conoscere il percorso della decisione, chi la prende e i criteri che utilizza
  - **Devono essere costantemente aggiornate**
    - Se ci sono nuove proposte queste devono essere valutate: non esistono rendite di posizione garantite

# Agenda

- Perché la farmacoeconomia?
- Cos'è la farmacoeconomia? Cos'è l'HTA?
- Quanto è importante oggi nelle interazioni tra imprese e decisori?
- Come impatterà su queste interazioni in futuro?

# La farmacoeconomia

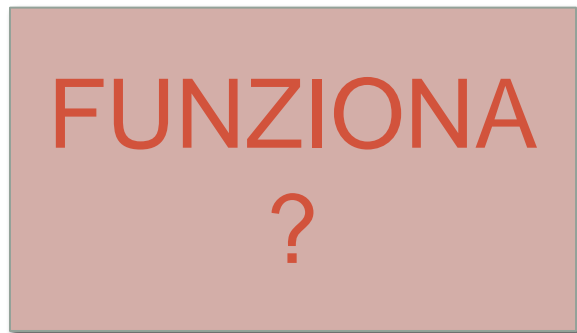
- La farmacoeconomia, o valutazione economica dei farmaci, è un insieme di modelli di valutazione usati per identificarne il valore (convenienza) e l'impatto economico complessivo.
- I risultati delle valutazioni economiche aiutano i decisori ad informare la propria scelta. Il loro vantaggio è che il risultato è ottenuto applicando modelli noti e validati, e tutti possono conoscere la base della decisione → evidence-based decision making
- Il valore clinico-economico e l'impatto finanziario complessivo vanno confrontati con la disponibilità a pagare



# Innovazione, valore e costo

## Bisogni > Risorse

- L'evidence-based medicine non basta più
  - Crescente attenzione dei policymaker sui costi
  - Il problema decisionale si trasforma:



Evidenza sperimentale  
Evidenza real world

RCT, STUDI  
OSSERVAZIONALI



Decisione

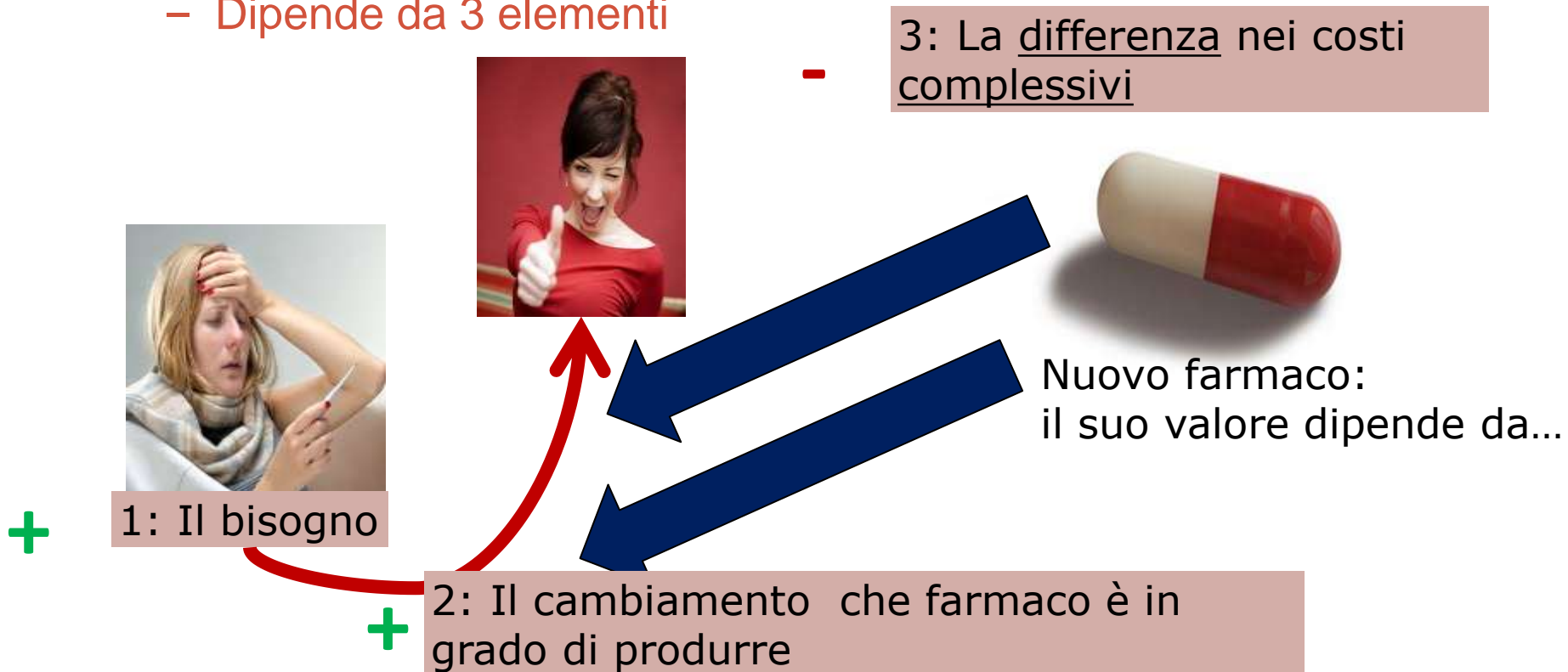
Evidenza sperimentale *comparativa*  
Esperienza RW *comparativa*  
+  
Evidenza economica *comparativa*  
Disponibilità a pagare

VALUTAZIONI  
ECONOMICHE

# Value-based decision-making

- Cos'è il valore?

- Il valore è una percezione di beneficio
- Dipende da 3 elementi



# Value-based decision-making

- Quali strumenti per identificare il valore?
  - Evidenza clinica (RCT e studi *real-world*)
  - Valutazioni economiche:
    - Analisi di costo-efficacia → prospettiva del SSN e della società
    - Analisi di costo-utilità → prospettiva del SSN, del paziente e della società

Quanto è conveniente la tecnologia?

(ICER=diff costi/diff benefici) → costo incrementale per unità di beneficio incrementale

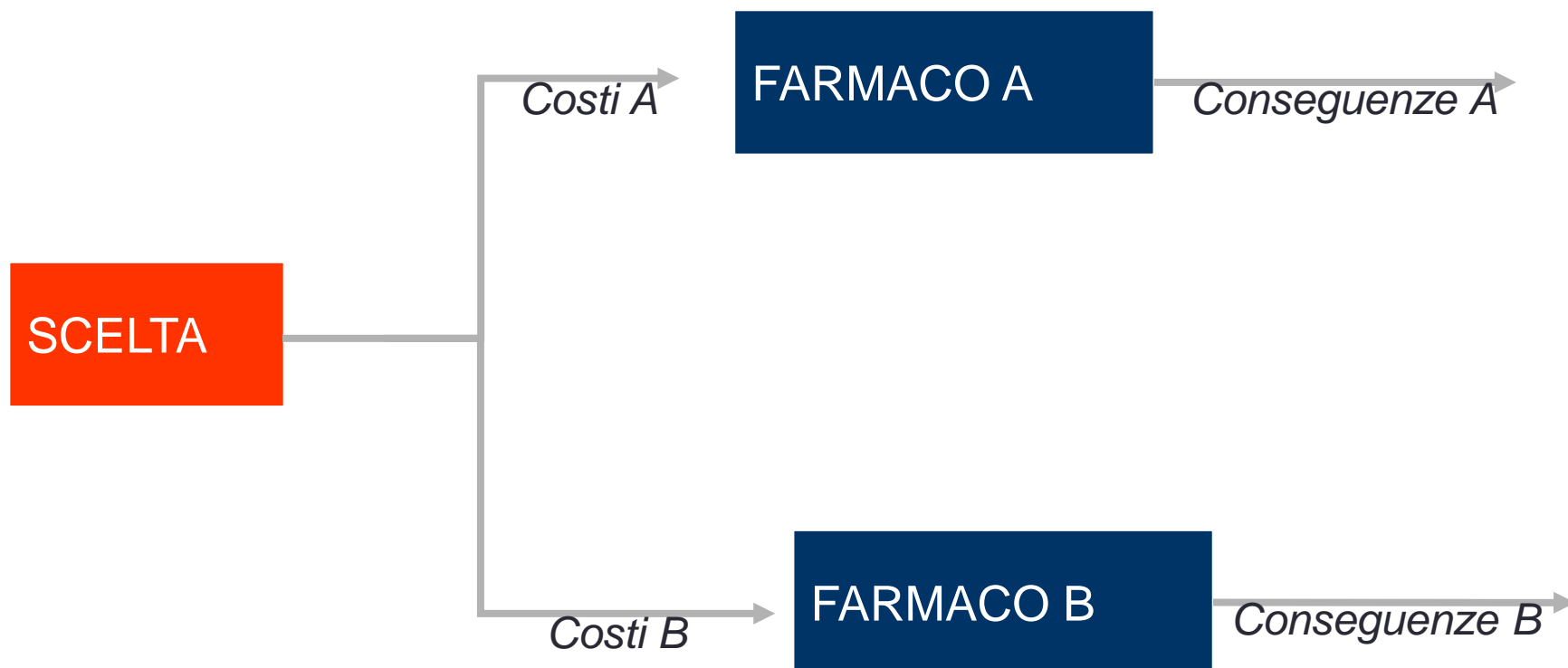
- Quali strumenti per identificare l'impatto finanziario complessivo?

- Analisi di impatto sul budget

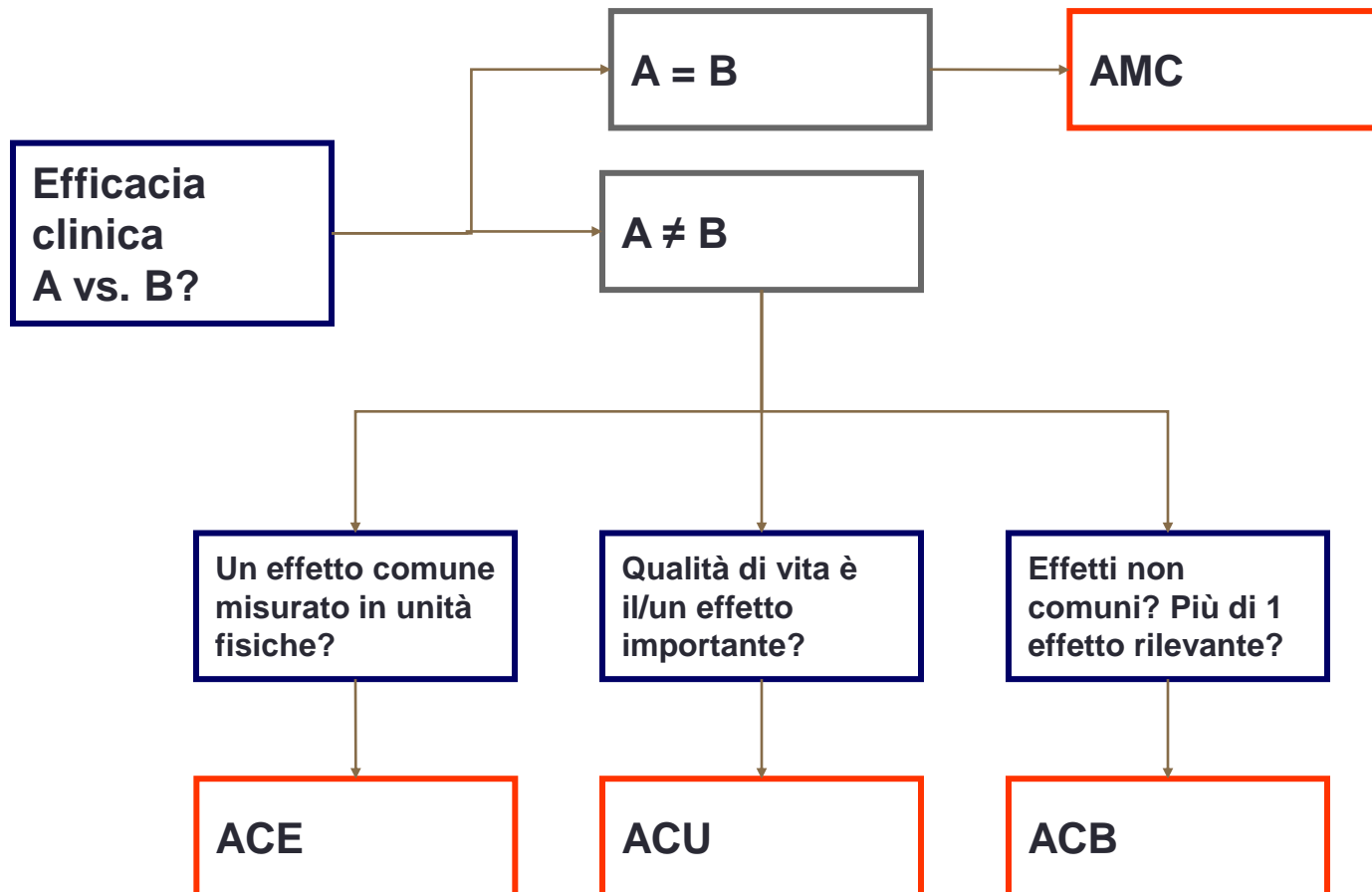
Posso permettermi la tecnologia?

Quanto costa **in più** al Paese, alla Regione e all'Azienda *realmente* l'introduzione

# La valutazione economica è SEMPRE un'analisi comparativa



# La scelta della tecnica di valutazione economica



# Analisi costo-efficacia

✓ Analisi economica completa che misura i benefici in:

- Vite salvate, Anni di vita guadagnati, QALYs – quality adjusted life years (analisi costo-utilità) – outcome finali

Quanto costa salvare un anno di vita (in perfetta salute)?

- Numero di pazienti necessari ad ottenere un livello desiderato di efficacia (NNT)

Quanto devo spendere  
per ottenere un determinato livello di efficacia?

## Analisi costo-efficacia: Le alternative di confronto

- Il programma innovativo deve essere confrontato con la corrente pratica clinica, nell'ipotesi che essa rappresenti l'opzione migliore disponibile ai pazienti
- Il comparatore in sintesi dovrebbe essere contemporaneamente:
  - corrente pratica clinica
  - opzione migliore disponibile ai pazienti
  - possibilmente la meno costosa
- Se non esiste l'alternativa di confronto, poiché il programma innovativo copre bisogni precedentemente non soddisfatti, è necessario confrontare il programma con il "non fare niente", che non sempre è tuttavia un'alternativa a costi zero

## Analisi costo-efficacia: Quali costi? Dipende dalla prospettiva d'analisi...

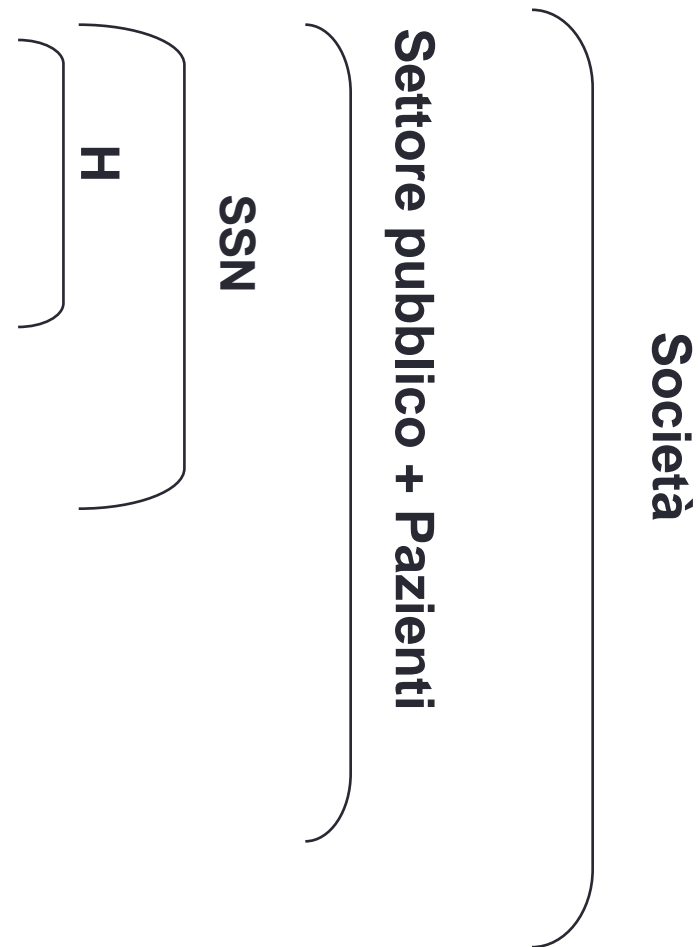
- **COSTI DIRETTI SANITARI**

- Esami di laboratorio
- Visite/consulenze specialistiche
- Terapie farmacologiche
- Degenza ospedaliera
- Prestazioni riabilitative
- Prestazioni di diagnostica strumentale

- **COSTI DIRETTI NON SANITARI**

- Trasporti
- Servizi sociali
- Assistenza informale

- **PERDITE DI PRODUTTIVITÀ**





# Mettere insieme efficacia e costi

- Efficacia rilevata in anni di vita / QALY guadagnati
  - ICER= rapporto tra costi incrementali e QALY incrementali
  - Quanti € spendo per ogni anno di vita
- Efficacia rilevata in NNT
  - Costo per NNT
  - Principio semplice: moltiplico il costo di un paziente per il numero di pazienti necessari per ottenere l'effetto voluto (NNT)
  - Quanti € spendo per ottenere il beneficio desiderato
  - Vantaggio: posso impostare io il livello di efficacia desiderato (es ACR70 in 6 mesi)

# Es. A.R. (Batticciotto et al., 2016)

**Table 1** ACR 20, 50, and 70: bDMARDs monotherapy vs. placebo [20]

Treatments	ACR 20	ACR 50	ACR 70
Placebo	14.1% (11.1%, 17.7%)	5.9% (3.9%, 8.7%)	1.3% (0.6%, 3.1%)
ADA 40 mg/EOW	44.8% (32.4%, 57.9%)	23.2% (12.5%, 39.8%)	13.2% (3.6%, 42.8%)
ETN 2 × 25 mg/week	66% (45.6%, 83.4%)	46.4% (21.3%, 78.1%)	20.9% (3.3%, 92%)
TCZ 8 mg/kg/4 weeks	81.1% (61%, 92.8%)	74.7% (31.2%, 98.3%)	43% (5.4%, 98.9%)

*ACR* American College of Rheumatology, *ADA* adalimumab, *bDMARDs* biologic disease-modifying anti-rheumatic drugs, *EOW* every other week, *ETN* etanercept, *TCZ* tocilizumab

+11.8% vs plac.  
+19.6% vs plac.  
+41.7% vs plac.



$1/\Delta\%$   
=  
NNT

Es

$1/11,8\%$   
= 8.4%

**Table 5** NNT

NNT vs. placebo	TCZ (iv)	TCZ (sc)	ETN (sc)	ADA (sc)
ACR criteria				
ACR 20	1.49	1.49	1.93	3.26
ACR 50	1.45	1.45	2.47	5.78
ACR 70	2.40	2.40	5.10	8.40
EULAR criteria				
Moderate response	2.33	2.33	4.76	3.85
Good response	2.04	2.04	7.14	5.26

*ACR* American College of Rheumatology, *ADA* adalimumab, *ETN* etanercept, *EULAR* European League Against Rheumatism, *iv* intravenous, *sc* subcutaneous, *TCZ* tocilizumab

# NNT come indicatore della convenienza dell'investimento

Table 6 Mean 6-month costs of treatment per patient

Costs	TCZ (iv)	TCZ (sc)	ETN (sc)	ADA (sc)
Administration	€69.72	€0.00	€0.00	€0.00
Monitoring	€270.46	€100.48	€100.48	€100.48
Medicinal product	€6790.65	€6787.13	€6301.71	€6598.36
Total	€7130.83	€6887.61	€6402.19	€6698.84

ADA adalimumab, ETN etanercept, iv intravenous, sc subcutaneous, TCZ tocilizumab

Table 5 NNT

NNT vs. placebo	TCZ (iv)	TCZ (sc)	ETN (sc)	ADA (sc)
ACR criteria				
ACR 20	1.49	1.49	1.93	3.26
ACR 50	1.45	1.45	2.47	5.78
ACR 70	2.40	2.40	5.10	8.40
EULAR criteria				
Moderate response	2.33	2.33	4.76	3.85
Good response	2.04	2.04	7.14	5.26

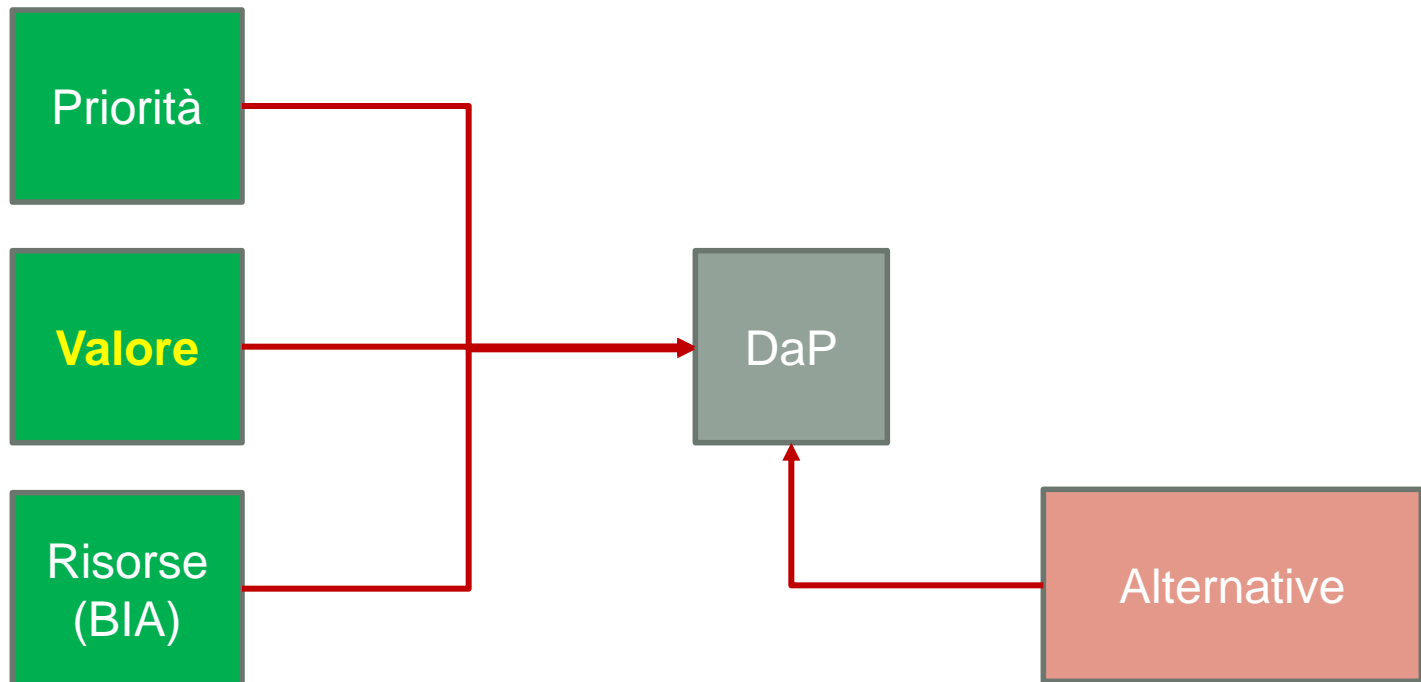
Moltiplico → € 17,113.99

Moltiplico → € 32,651.17

ACR American College of Rheumatology, ADA adalimumab, ETN etanercept, EULAR European League Against Rheumatism, iv intravenous, sc subcutaneous, TCZ tocilizumab

# La disponibilità a pagare

- Determinato il valore (“convenienza”), si individua la disponibilità a pagare
- La DaP dipende anche da altri fattori, non tutti “scientifici”



# Budget Impact Analysis: una definizione

La BIA è una parte essenziale e complementare di una valutazione completa di una tecnologia sanitaria, sempre più richiesta – per ora solamente per fini regolatori \*

La BIA ha lo scopo di stimare le conseguenze dell'adozione e della diffusione di una tecnologia sanitaria in termini finanziari in uno specifico contesto caratterizzato da limitata disponibilità di risorse

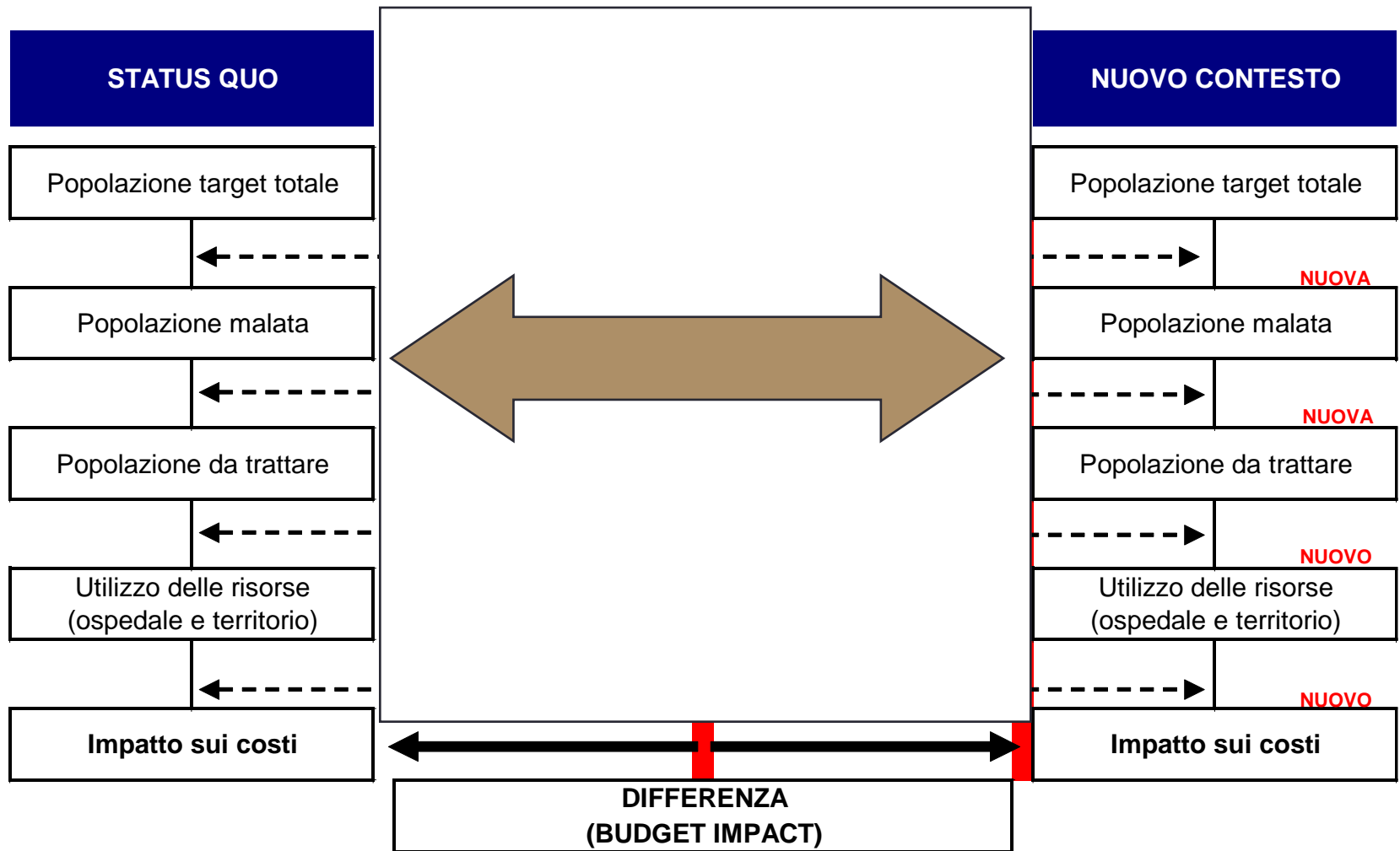
Diviene importante il fattore tempo

Non solo adozione di una nuova tecnologia MA anche differenziazione del mix dei servizi /trattamenti per la cura di una determinata condizione

Destinatari/Utilizzatori: management regionale, nazionale e aziendale, assicurazioni private

(\*) Josephine A. Mauskopf, Sean D. Sullivan, Lieven Annemans, et al. Principles of Good Practice for Budget Impact Analysis: Report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices-Budget Impact Analysis. Value in Health, Volume 10, Number 5 (September 2007), pp. 336-347<<

# Il processo di analisi



# Agenda

- Perché la farmacoeconomia?
- Cos'è la farmacoeconomia? Cos'è l'HTA?
- Quanto è importante oggi nelle interazioni tra imprese e decisori?
- Come impatterà su queste interazioni in futuro?

# Non abbiamo ancora un modello decisionale basato sulle evidenze

Alcuni errori **gravi** attualmente in atto

1. Scetticismo e frizioni sull'evidenza *real-world*
2. Prospettiva verticale sulla tipologia di voce di costo e non orizzontale sul problema (focus solo sul prezzo)
3. Resistenza ad adottare un modello di selezione esplicito (basato sulle analisi di cui sopra) perché per troppo tempo la responsabilità decisionale è stata scaricata sul clinico → approccio fatalista al razionamento



...Ma ci stiamo arrivando

# Agenda

- Perché la farmacoeconomia?
- Cos'è la farmacoeconomia? Cos'è l'HTA?
- Quanto è importante oggi nelle interazioni tra imprese e decisori?
- Come impatterà su queste interazioni in futuro?

# Modello decisionale esplicito (HTA)



## Modello decisionale razionale (HTA)

**Evidenza clinica**  
*Trial e studi osservazionali*



# Conclusione

- Evidenze necessarie per operare selezione trasparente
- Farmacoeconomia: evidenze a supporto delle decisioni
- Tecniche principali: costo-efficacia e budget impact
- Ad oggi usate poco, in modo eterogeneo, con poca consapevolezza del significato
- Ma andiamo verso un modello dove le valutazioni economiche saranno centrali
- Gli interlocutori a qualunque livello non potranno non farvi riferimento
- Si ridurrà l'eterogeneità territoriale e diventerà più cruciale saper formulare e comunicare la proposta di valore di nuove tecnologie in coerenza con l'evidenza farmacoeconomica.

**GRAZIE**

patrizio.armeni@unibocconi.it