

LA VALUTAZIONE ECONOMICA DEI FARMACI

L'incremento della domanda di servizi sanitari ha fatto sì che negli ultimi dieci anni si siano moltiplicate le richieste per l'uso di differenti tecnologie in questo ambito. Tuttavia non è stato sempre possibile soddisfare tali richieste viste le limitazioni che la scarsità di tempo, personale e soldi hanno spesso imposto. Un rapido sviluppo tecnologico nel settore sanitario ha altresì implicato l'emergere di un conflitto tra le potenzialità di sviluppo tecnologico e quelle economiche.

L'incremento dei costi nel settore sanitario ha reso necessario l'assegnamento di priorità ai differenti servizi da fornire. In un libero mercato la domanda dovrebbe essere funzione del prezzo dei prodotti forniti; tuttavia il mercato dei servizi sanitari non è basato su semplici meccanismi di prezzo ma, piuttosto, su priorità la cui assegnazione risulta assai complicata.

E' pertanto vantaggioso fare uso di analisi economiche che possano agevolare l'assegnazione di tali priorità e tramite le quali sia possibile allocare al meglio le risorse a disposizione.

La valutazione economica dei farmaci rappresenta uno strumento di supporto alle politiche pubbliche di regolazione del settore farmaceutico. Essa permette di fornire informazioni utili per agevolare le scelte dei decisori nel rispetto delle priorità esistenti e di quelle che emergono di pari passo con le nuove tecnologie. Questo tipo di valutazione, confrontando i costi e l'efficacia di due o più alternative terapeutiche, ci fornisce il valore delle risorse aggiuntive investite in un certo trattamento, quello che in termini anglosassoni viene generalmente definito 'value for money'.

Fino a un'epoca relativamente recente, l'introduzione in sanità di un nuovo prodotto (si pensi a un nuovo farmaco), di una nuova apparecchiatura (la risonanza magnetica nucleare), di una nuova metodica (i progressi della chirurgia oculare), in una parola l'introduzione di una nuova tecnologia, sottostava esclusivamente a un giudizio di natura clinica, un giudizio cioè volto ad attestarne l'innocuità e l'efficacia.

Con l'aumento del costo dei servizi sanitari in genere, e in particolare con l'incremento spesso notevolissimo dei costi comportati dall'adozione di nuove tecnologie, si è cominciata ad avvertire la necessità di affiancare al giudizio clinico anche un giudizio di natura economica capace di orientare la scelta tra tutte le alternative a disposizione verso quella più profittevole.

Il concetto alla base della valutazione economica è quello di "costo-opportunità", ossia il beneficio cui abbiamo rinunciato usando quelle stesse risorse nel loro migliore impiego alternativo. Destinare una risorsa a uno specifico uso significa sottrarla a qualunque altro impiego alternativo: avremo un utilizzo efficiente delle risorse quando saremo riusciti a massimizzare i benefici, minimizzando i costi.

Una caratteristica essenziale di una analisi farmacoeconomica è la buona qualità, ovvero, l'affidabilità e la riproducibilità dei dati relativi all'efficacia dei trattamenti sotto esame. La validità delle fonti è condizione necessaria, anche se non sufficiente, alla buona riuscita di una valutazione farmacoeconomica.

Prima di descrivere le principali tecniche di valutazione economica, è necessario esplicitare due elementi chiave. Una valutazione economica può essere considerata completa, e in quanto tale utile a fini decisionali, se risponde ai seguenti due requisiti:

- sono presi in considerazione più programmi di intervento (almeno due)
- sono stimati sia i costi sia i benefici di ciascun programma

Il primo requisito sottolinea la necessità di confrontare sempre almeno due alternative, il secondo richiama l'esigenza di tener conto sia dei costi sia dei benefici dei diversi programmi di intervento. Le tecniche di analisi che rispettano tali requisiti, e che costituiscono un'applicazione concreta dell'approccio costo-opportunità, sono sostanzialmente quattro, in ordine crescente di complessità: l'Analisi di Minimizzazione dei Costi o CMA (Cost Minimization Analysis), l'Analisi Costo Efficacia o CEA (Cost Effectiveness Analysis), l'Analisi Costo Utilità o CUA (Cost Utility Analysis) e l'Analisi di Costo Beneficio o CBA (Cost Benefit Analysis). Esse sono diverse sotto importanti aspetti, in particolare negli elementi di costo e di beneficio considerati e negli strumenti utilizzati per la stima dei benefici.

PARAMETRI CHIAVE IN UNA VALUTAZIONE ECONOMICA

Alternative

Nel disegno di una valutazione economica vi sono due punti "delicati": la scelta dell'alternativa con cui confrontarsi e i dati di efficacia che vengono utilizzati nello studio.

Gli studi, infatti, non vengono condotti su un solo intervento, ma su più trattamenti "omogenei". L'obiettivo di razionalizzare l'uso delle risorse richiede che i costi e gli effetti di un trattamento vengano paragonati con i costi e gli effetti di trattamenti dello stesso genere, al fine di verificare quale sia il più efficiente sotto il profilo economico. Le terapie con cui il trattamento farmacologico viene confrontato possono essere anch'esse farmacologiche, ma si può confrontare tale trattamento anche con l'alternativa 'nessun intervento'. Spesso nella valutazione di un nuovo farmaco si ha la tendenza ad usare un gruppo di confronto con *placebo*, non permettendo confronti diretti sul campo fra i diversi trattamenti.

Prospettiva

Una valutazione farmaco-economica può essere condotta da diversi punti di vista, il più ampio dei quali è la società nel suo complesso poiché esso comprende tutti i possibili costi ed effetti. In generale la maggior parte delle valutazioni farmaco-economiche vengono eseguite dal punto di vista del terzo pagante, vale a dire dell'Ente che copre la spesa sanitaria (in Italia il Servizio Sanitario Nazionale); questo perché se la finalità dello studio deve essere quella di aiutare la decisione di allocare le risorse ad un intervento piuttosto che ad un altro, il punto di vista "naturale" dell'analisi deve essere quello di chi prende tale decisione. La prospettiva della società rimane tuttavia quella favorita dagli economisti poiché è la più completa.

Costi

La scelta dei costi da includere nelle analisi economiche dipende dal *punto di vista* e dalle alternative scelte per lo studio.

Secondo un approccio tradizionale e consolidato, i costi possono essere classificati in tre categorie: costi diretti, indiretti e intangibili. I costi diretti sono principalmente costituiti dalle spese relative all'attività di prevenzione, diagnosi e cura dei pazienti; i costi indiretti individuano il valore della perdita di produttività sul lavoro dovuta all'assenza causata dalla malattia; i costi intangibili tentano di quantificare fattori soggettivi come la qualità della vita, il tempo libero e il dolore.

Le problematiche tecniche e le difficoltà oggettive di quantificazione di tali categorie di costi crescono, prevedibilmente, passando da quelli diretti a quelli intangibili. La valutazione stessa dei costi indiretti è un argomento tuttora molto dibattuto, anche perché la loro definizione non influenza direttamente la spesa sanitaria generata dal trattamento di una patologia. Peraltro, è innegabile che le conseguenze sociali indotte dai trattamenti sanitari siano spesso rilevanti. In base a una recente revisione della letteratura internazionale, è risultato che i costi indiretti costituiscono mediamente più della metà del costo totale di un intervento sanitario.

Per quanto concerne la metodologia di calcolo, l'approccio maggiormente utilizzato è quello del Capitale Umano (*Human Capital Approach*). In base a tale metodo, la perdita di produttività è calcolata per il periodo che intercorre fra il momento dell'evento patologico e il ritorno all'attività lavorativa (o, nel caso delle malattie croniche, il raggiungimento dell'età pensionabile), mentre il parametro di monetizzazione ottimale è rappresentato dal reddito percepito dal paziente prima dell'insorgere della malattia. Di fatto, in assenza di dati puntuali, il reddito normalmente considerato è quello medio nazionale, relativo, tutt'al più, a categorie professionali.

Una delle obiezioni più frequenti al metodo del capitale umano riguarda la sovrastima delle perdite di produttività reali, soprattutto in condizioni di non piena occupazione.

Durante le assenze di breve periodo, infatti, il lavoro può essere svolto dai colleghi (o dal soggetto malato stesso al suo rientro, qualora non si tratti di un lavoro urgente), mentre nel lungo periodo sarà sempre possibile assumere un lavoratore disoccupato, limitando notevolmente, dal punto di vista della società, l'effettiva perdita di produttività conseguente a un evento patologico.

Principalmente per questa ragione, è stato recentemente sviluppato un metodo più sofisticato, quello del Costo Frizionale (*Friction Cost Method*). Il concetto base è che il valore della mancata produzione associato a una patologia dipende dal periodo necessario a recuperare il livello originale di produzione (definito periodo frizionale).

Quindi, l'assunzione sottostante è che nel lungo periodo non si registreranno diminuzioni della produzione complessiva, in quanto il lavoratore malato verrà sostituito in modo permanente da un altro lavoratore. Anche il parametro di monetizzazione delle assenze di breve periodo cambia. Infatti, diversi studi hanno dimostrato come una riduzione delle ore di lavoro provochi un decremento meno che proporzionale della produttività. In particolare, si è stimato che la riduzione di produttività derivante da un giorno di assenza dal lavoro è pari a circa l'80% del reddito giornaliero del lavoratore malato. Pertanto, il periodo frizionale viene valutato pari all'80% del reddito, e non più al suo valore complessivo. Nonostante rappresenti uno sviluppo rispetto al

metodo del Capitale Umano, anche tale metodologia è stata comunque sottoposta a critiche. In particolare, rilevanti risultano le difficoltà di ordine empirico collegate alla stima dei valori di elasticità e del periodo frizionale.

Infine, in letteratura è presente anche un terzo approccio, quello della Disponibilità a Pagare (*Willingness to Pay*). Derivato dalla teoria economica del benessere, questo metodo richiede che si stimi, attraverso interviste, quanto un individuo sarebbe disposto a pagare pur di ricevere un determinato trattamento sanitario. A tale proposito, va sottolineato che l'approccio della Disponibilità a Pagare, prendendo in considerazione tutti gli aspetti che possono determinare la desiderabilità di un trattamento, non si limita alla quantificazione dei costi indiretti, ma definisce anche quelli intangibili. Nonostante il solido impianto teorico sottostante, la *Willingness to Pay* presenta evidenti difficoltà pratiche in fase di attuazione e, per questo motivo, è ancora poco utilizzata nelle valutazioni economiche.

Effetti

Gli effetti di un trattamento farmacologico rispecchiano la stessa suddivisione adottata per i costi (diretti, indiretti e intangibili).

- effetti diretti : sono quelli attribuibili alle pratiche diagnostiche, terapeutiche e riabilitative connesse all'intervento in analisi o alle complicanze della patologia d'interesse. Possono essere variazioni di parametri clinici oggettivi come, ad esempio, il livello di colesterolo nel plasma o la pressione arteriosa, ma anche risultati derivanti dalla diminuzione della probabilità di determinati eventi indesiderati, quali il rischio di infarto o di altri eventi cerebrovascolari, oppure conseguenze cosiddette finali, quali la mortalità o l'aspettativa di vita in anni.
- effetti indiretti : si intendono generalmente gli effetti derivanti dalla perdita di produttività causata dalla patologia e/o dall'intervento in esame.
- effetti intangibili : si tratta degli aspetti psicologici dei soggetti sottoposti a trattamento che non hanno carattere tangibile e non possono essere, pertanto, misurati direttamente, ma incidono sulla qualità di vita del paziente (ansia, stress, dolore, etc.).

Identificazione, misurazione e quantificazione di costi ed effetti

Costi ed effetti dei programmi farmacologici devono essere identificati, misurati e, soprattutto i costi, quantificati economicamente. Esistono diversi metodi per rilevare e stimare gli effetti e i costi: panel di esperti, trial clinico, studio naturalistico.

La quantificazione monetaria riguarda in generale tutti i costi, mentre gli effetti vengono tradotti in unità monetarie nella sola analisi di costo beneficio, descritta in seguito.

Tecniche di analisi

1. **Analisi di minimizzazione dei costi o CMA** (Cost Minimization Analysis): la tecnica è impiegata per confrontare trattamenti alternativi con dimostrata efficacia e finalità terapeutiche equivalenti. In questo caso la scelta può essere effettuata limitando il confronto ai soli costi. Ovviamente verrà preferito il trattamento meno costoso.

2. **L'Analisi di Costo Efficacia CEA** (Cost Effectiveness Analysis): rappresenta la tecnica più utilizzata in farmacoeconomia, i costi delle alternative vengono rapportati all'efficacia delle stesse espressa in unità naturali. Si può trattare di parametri intermedi di rilevanza clinica per una certa malattia (pressione arteriosa, colesterolemia) o di outcomes finali (morti evitate, anni di vita salvati). In questo tipo di studi il risultato finale è un rapporto in cui il numeratore è un costo, che viene pertanto espresso in unità monetarie, mentre il denominatore è un effetto, che viene espresso in unità naturali. Il risultato consiste in un rapporto di costo efficacia puro o di carattere incrementale. In quest'ultimo caso i maggiori costi sostenuti nel trattamento più efficace vengono rapportati alla maggiore efficacia del trattamento stesso, al fine di verificarne l'efficienza economica. Il risultato viene espresso come:

$$\frac{C_1 - C_2}{E_1 - E_2}$$

dove C_1 e C_2 sono rispettivamente i costi dell'alternativa 1 e dell'alternativa 2; E_1 ed E_2 rappresentano i rispettivi dati di efficacia.

Con l'analisi di tipo Costo-Efficacia possono essere confrontati solo interventi omogenei, vale a dire interventi che hanno effetti che possono essere quantificati nella stessa unità di misura.

3. **Analisi Costo Utilità CUA** (Cost Utility Analysis): rappresenta una tecnica più sofisticata dell'ACE di cui è un'evoluzione. Nell'ACU i risultati del trattamento farmacologico vengono espressi in anni di vita salvati aggiustati per la qualità (utilità) (Quality Adjusted Life Years o QALYs). L'utilità sintetizza ed esprime, in un indice che assume valori da zero ad uno, la desiderabilità di una condizione di salute, cogliendo anche gli effetti e gli aspetti intangibili, quelli cioè inerenti la qualità della vita. Lo zero rappresenta il peggior stato di salute possibile, ovvero la morte del paziente, l'uno indica il perfetto stato del soggetto. Tra questi estremi un infinito numero di stati di salute riflette differenti gradi di malattia.

In genere il metodo che permette di assegnare un peso ai vari possibili livelli di qualità dell'anno di vita guadagnato, circa la desiderabilità delle varie condizioni di salute ipotizzabili, si basa sul giudizio soggettivo. Per fare ciò sono necessari strumenti ad hoc di valutazione della qualità di vita. Per raccogliere tali informazioni si ricorre a sistemi di misurazione della qualità di vita che possono essere diretti o indiretti. Tuttavia negli ultimi anni l'uso dei metodi diretti si è fatto più raro a vantaggio dei sistemi di misurazione indiretti capaci di fornire profili di salute efficienti. Parliamo in particolar modo di questionari che, fatti compilare ai pazienti, forniscono la percezione che il soggetto ha del proprio stato di salute (es. EuroQol-5D)

3.1 *Quality-adjusted life years*

Nella cost-utility analysis le conseguenze sono pertanto misurate e valutate tramite una scala di utilità o preferenza che prende il nome di **Qaly**. Questa tecnica prende in considerazione il fatto che i servizi sanitari e le relative tecnologie possono avere effetto sulla durata della vita e sulla sua qualità per i pazienti verso i quali l'intervento è indirizzato. La metodologia **Qaly** si rivela più utile nei problemi di decision-making, e di conseguenza nell'HTA, poiché è un approccio che può essere applicato a qualsiasi popolazione, qualunque malattia ed intervento, e può essere usato per comparare programmi diversi nel settore sanitario. Questa tecnica si basa sull'utilizzo di un indice che assume valori da zero ad uno in relazione alla qualità degli anni di vita guadagnati durante il periodo preso in considerazione. Lo zero rappresenta il peggior stato di salute possibile, ovvero la morte del paziente, l'uno indica il perfetto stato del soggetto. Tra questi estremi un infinito numero di stati di salute riflette differenti gradi di malattia ed handicap.

Per raccogliere tali informazioni si ricorre a sistemi di misurazione della qualità di vita che possono essere come detto prima diretti o indiretti.

Tra i primi i più noti sono lo **Standard gamble** e il **Time trade-off**. Il metodo consente di costruire una scala in cui i vari stati di salute assumono valori dall'unità allo zero sottoponendo ai pazienti varie alternative sulle quali gli stessi sono chiamati a esprimere le rispettive preferenze. Più precisamente, con lo **Standard gamble** vengono presentate all'individuo due alternative. La prima è costituita da un intervento che presenta il 50% di probabilità di sopravvivenza in perfetta salute. La seconda alternativa riguarda un trattamento che permette la sopravvivenza con una qualità della vita intermedia. Si fanno poi variare le probabilità della prima fin quando all'individuo le due alternative non risultino indifferenti. Nel **Time trade-off** invece, all'individuo si chiede di scegliere tra condizioni di salute diverse accompagnate da diverse lunghezze di vita. In questo caso un'alternativa è costituita da un anno di vita in condizioni specifiche di malattia cronica e invalidante. Si fanno quindi variare gli anni di sopravvivenza della seconda alternativa fino a che l'individuo mostra indifferenza tra le due.

Tuttavia negli ultimi anni l'uso dei metodi diretti si è fatto più raro a vantaggio dei sistemi di misurazione indiretti capaci di fornire **profili di salute** efficienti. Parliamo in particolar modo di questionari che, fatti compilare ai pazienti, forniscono la percezione che il soggetto ha del proprio stato di salute in funzione del servizio offertogli. Questi strumenti catturano tante più informazioni quanto più sono ampi e analitici. Occorre però tenere presente la loro concreta praticabilità (tempi e costi di somministrazione). Si è quindi ricercato un compromesso tra la "eleganza psicometrica e gli standard di fattibilità e praticità".

3.1.1 Strumenti per la valutazione dell'Health Status: EuroQol-5D

EQ-5D è uno strumento standard, utilizzabile nella generalità delle patologie. Lo stato di salute in cui collocare ciascun paziente viene identificato/percepito dal singolo paziente stesso, che indica sul questionario il livello di soddisfazione (opportunosamente esemplificato) più rispondente al suo caso tra i tre previsti per ciascuna delle cinque dimensioni:

- A. Capacità di movimento
- B. Cura della persona
- C. Attività abituali

D. Dolore e fastidio

E. Ansia o depressione

Le 5 dimensioni, per un totale di 15 voci, generano 243 possibili stati di salute. Un apposito algoritmo permette poi di sintetizzare le informazioni così raccolte in un punteggio sintetico (0-1).

In particolare il sistema di classificazione è il seguente:

A. Capacità di movimento

Livello 1. Non ho difficoltà nel camminare (0.000)

Livello 2. Ho qualche difficoltà nel camminare (0.069)

Livello 3. Sono costretto/a a letto (0.314)

B. Cura della persona

Livello 1. Non ho difficoltà nel prendermi cura di me stesso/a (0.000)

Livello 2. Ho qualche difficoltà nel lavarmi o vestirmi (0.104)

Livello 3. Non sono in grado di lavarmi o vestirmi (0.214)

C. Attività abituali

Livello 1. Non ho difficoltà nello svolgimento delle attività abituali (0.000)

Livello 2. Ho qualche difficoltà nello svolgimento delle attività abituali (0.036)

Livello 3. Non sono in grado di svolgere le mie attività abituali (0.094)

D. Dolore o fastidio

Livello 1. Non provo alcun dolore o fastidio (0.000)

Livello 2. Provo dolore o fastidio moderati (0.123)

Livello 3. Provo estremo dolore o fastidio (0.386)

E. Ansia e depressione

Livello 1. non sono ansioso/a o depresso/a (0.000)

Livello 2. Sono moderatamente ansioso/a o depresso/a (0.071)

Livello 3. Sono estremamente ansioso/a o depresso/a (0.236)

Ogni "stato di salute" ha un codice formato da 5 cifre che fanno riferimento a rilevanti livelli di ciascuna dimensione sopraindicata. Per esempio il punteggio 21123 significa:

A. Livello 2. Ho qualche difficoltà nel camminare

B. Livello 1. Non ho alcuna difficoltà nel prendermi cura di me stesso/a

C. Livello 1. Non ho difficoltà nello svolgimento delle attività abituali

D. Livello 2. Provo dolore o fastidio moderati

E. Livello 3. Sono estremamente ansioso/a o depresso/a

Il punteggio dell'EuroQol (basato sul metodo time trade-off) è calcolato sottraendo i coefficienti rilevanti da 1,000. Per ciascuna dimensione vengono registrati i coefficienti relativi al livello indicato. Inoltre vengono inseriti la costante (pari a 0.081) se esiste una qualunque disfunzione e il coefficiente N3 (pari a 0.269) quando una qualunque dimensione presenta il livello 3.

Il calcolo del peso è molto semplice, ad esempio per uno stato di salute con un punteggio pari a 211233:

Piena salute 1.000

- A. Capacità di movimento (livello 2) -0.069
- B. Cura della persona (livello 1) -0.000
- C. Attività abituali (livello 1) -0.000
- D. Dolore o fastidio (livello 2) -0.123
- E. Ansia o depressione (livello 3) -0.236
- Costante (per qualunque stato di disfunzione) -0.081
- N3 (il livello 3 è presente nell'ultima dimensione) -0.269
- Valore stimato per il punteggio 21123 =0.222

4. Analisi di Costo Beneficio o ACB (Cost Benefit Analysis): si applica quando gli effetti di due o più alternative non sono direttamente paragonabili tra di loro. Ciò è possibile traducendo anche gli effetti in unità monetarie rendendoli paragonabili tra di loro e con i costi. Si richiede cioè di monetizzare i giorni di malattie evitati, gli anni di vita guadagnati, le complicanze evitate ecc. Come è facile intuire, risulta assai difficile e talora concettualmente opinabile tradurre una vita salvata in termini di denaro. Ciò può avvenire attraverso strumenti assai complessi, come, ad esempio, la *willingness to pay* (disponibilità a pagare), che è basata sulla determinazione degli importi che gli individui sarebbero disposti a pagare per evitare le malattie date certe probabilità di contrarle. Il risultato di una CBA viene normalmente espresso in termini di beneficio o costo netto (differenza tra costi e benefici) o di un rapporto in cui sia il numeratore (costi) che il denominatore (benefici) sono tradotti in unità monetarie. Si tratta di una tecnica poco applicata in farmacoconomia.

TIPO DI ANALISI	MISURA DEI COSTI	MISURA DELLA EFFICACIA
Minimizzazione dei costi (CMA)	Monetaria	Equivalenza dimostrata in gruppi simili
Costi-efficacia (CEA)	Monetaria	Unità naturali (anni di vita guadagnati; pressione arteriosa)
Costi-utilità (CUA)	Monetaria	Unità fisiche modificate per la qualità
Costi-benefici (CBA)	Monetaria	Monetaria

Attualizzazione

In generale il profilo naturale di uno studio di farmacoconomia è il medio-lungo periodo. Di norma il trattamento analizzato esplica costi e benefici non in unico momento temporale, ma estesi su di un periodo. Non esiste in realtà un profilo temporale ottimale per qualunque tipo di

intervento, ma questo parametro va verificato caso per caso. Solitamente tuttavia l'orizzonte di analisi si situa nell'intervallo 5-10 anni.

In una valutazione economica corretta è bene ponderare (attualizzare) costi ed effetti per esprimere valori comparabili. La necessaria ponderazione richiede di convertire l'ammontare dei costi e dei risultati nel loro valore attuale con il ricorso ad un tasso di sconto. In genere, in questo tipo di studi, si usa attualizzare i valori futuri tanto dei costi quanto dei risultati ad un tasso del 5% annuo, su orizzonti temporali compresi tra i cinque ed i dieci anni.

Analisi di sensibilità

Al fine di valutare la "robustezza" dei risultati della valutazione economica, bisogna procedere ad una analisi di sensibilità¹³, procedimento attraverso cui tutti i parametri usati per il calcolo dei costi e dell'efficacia vengono fatti variare. Avremo una analisi univariata, modificando un parametro per volta, o multivariata, modificando più parametri contemporaneamente. In quest'ultimo caso potremo calcolare il caso migliore (minori costi per la nuova alternativa e maggiore efficacia) e il caso peggiore (maggiori costi e peggiore efficacia).

Lo studio sarà definito "robusto" se le sue conclusioni non vengono sostanzialmente modificate da tali variazioni.

Risultati di una valutazione economica

In una valutazione economica di confronto fra un nuovo trattamento A rispetto a un vecchio trattamento B, per quanto riguarda i risultati, possiamo avere in sintesi quattro diverse situazioni:

1. il trattamento A è meno efficace di B e più costoso e ovviamente non viene preso in considerazione (dominato);
2. il trattamento A è più efficace di B e meno costoso; in questo caso viene sempre adottato (dominante);
3. il trattamento A è meno efficace di B e meno costoso;
4. il trattamento A è più efficace e anche più costoso. Si tratta in genere del caso più frequente per le nuove terapie, si terrà conto del 'rapporto incrementale', ossia il rapporto fra le differenze di costo fra A e B e le differenze di efficacia fra A e B.

Il **Rapporto incrementale di Costo-Efficacia (ICER)** esprime il costo di una unità extra di efficacia prodotta con la nuova tecnologia:

$$ICER = \frac{C_{(new)} - C_{(old)}}{E_{(new)} - E_{(old)}}$$

Prima di consentire l'uso di una nuova terapia (più efficace e più costosa), a carico del Servizio Sanitario Nazionale, è necessario avere informazioni sul costo incrementale anche se si tratta di una condizione necessaria ma non sufficiente.

Quando un trattamento viene definito costo-efficace? Esistono diversi valori-soglia di riferimento che molto spesso vengono implicitamente stabiliti. Ad esempio, nel Regno Unito, viene utilizzato un valore-soglia, implicito nelle raccomandazioni adottate dal National Institute of Health and

Clinical Excellence (NICE). Tale valore (ICER pesato per la qualità) si collocherebbe tra le 20.000 e le 30.000 sterline.

In realtà quali siano questi valori di soglia, se essi debbano essere stabiliti esplicitamente e quali altri parametri debbano essere presi in considerazione, è tuttora oggetto di discussione.

Dal punto di vista dei decisori sanitari, resta di fatto che ogni volta che viene approvato l'uso di una terapia innovativa, anche se il suo costo incrementale per anno di vita guadagnato è al di sotto della soglia di accettabilità (comunque definita), si genera normalmente un incremento di spesa pubblica. Sarebbe pertanto opportuno verificare la sostenibilità di questa nuova spesa, valutando l'impatto in termini assoluti sul budget gestito.

Bibliografia

- Briggs A., Sculpher M., Buxton M. Uncertainty in the economic evaluation of health care technologies: the role of sensitivity analysis. *Health Economics*. 1994;3(2):95-104.
- CESAV Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri L'INCLUSIONE DEI COSTI INDIRETTI NELLE VALUTAZIONI ECONOMICHE: LA SITUAZIONE ITALIANA.
- Dirindin N, Vineis P *Elementi di Economia Sanitaria*. Ed. Il Mulino.
- Donaldson C, Currie G, Mitton C. Cost effectiveness analysis in health care: contraindications. *BMJ* 2002; 325: 891-4.
- Douw K, Vondeling H. Selection of new health technologies for assessment aimed at informing decision making: A survey among horizon scanning systems. *Int J Technol Assess Health Care* 2006; 22 (2): 177-183
- Drummond MF, O'Brien B, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*. Oxford, Oxford University Press, 1997.
- Jommi C. *La Budget Impact Analysis*. Focus di economia sanitaria 2008
- Joppi R, Demattè L, Menti AM, Pase D, Poggiani C, Mezzalana L on behalf of the Italian Horizon Scanning Project Group. The Italian Horizon Scanning Project. *Eur J Clin Pharmacol* (2009) 65:775–781
- Katz D.A., Welch H.G. Discounting in Cost-Effectiveness Analysis of Healthcare Programmes. *Pharmacoeconomics*.1993;3(4):276-285.
- Keeler E.B., Cretin S. Discounting of life-savings and other non-monetary effects. *Management Science*.1983;29(3):300-306.
- Mantovani LG, de Portu S, Menditto E . **Farmacoeconomia: principi e concetti** *Cronache Farmaceutiche aprile 2005*
- Mauskopf 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* 2005; 10(5): 336-347
- Murphy K, Packer C, Stevens A, Simpson S. Effective early warning systems for new and emerging technologies: Developing an evaluation framework and an assessment of current systems. *Int J Technol Assess Health Care* 2007 (3): 324-330
- Pocock S.J. *Clinical trials. A practical approach*. New York, John Wiley and Sons (1983).
- Simpson S, Vonderling H, Eskildsen D, Simpson S. Use of the Internet in Scanning the Horizon for New and Emerging Health Technologies: A Survey of Agencies Involved in Horizon Scanning. *J Med Internet Res* 2003; 5 (1): 1-10
- Torrance G.W. Measurement of Health State Utilities for Economic Appraisal. *Journal of Health Economics* 1986;5:1-30.
- Trueman P, Drummond M, Hutton J. Developing guidance for budget impact analysis. *Pharmacoeconomics* 2001; 19: 609-21.

