

L. Pradelli, A. P. Holtorf,  
C. J. Phillips, A. I. Wertheimer

# **Farmacoeconomia in pratica**

**Tecniche di base e modelli**



**SEEd**

© **SEEd srl. Tutti i diritti riservati**

Piazza Carlo Emanuele II, 19 – 10123 Torino, Italy  
Tel. 011.566.02.58 – Fax 011.518.68.92  
www.edizioniseed.it  
info@edizioniseed.it

Prima edizione novembre 2014  
ISBN 978-88-9741-957-0

Titolo dell'edizione inglese originale:  
Pharmacoeconomics. Principles and Practice  
Di Lorenzo Pradelli e Albert Wertheimer  
Prima edizione dicembre 2012

Traduzione a cura di Laura Fascio Pecetto  
Adattamento a cura di Rossella Iannone

Fotocopie per uso personale del lettore possono essere effettuate nei limiti del 15% di ciascun volume/fascicolo di periodico dietro pagamento alla SIAE del compenso previsto dall'art. 68, comma 4, della legge 22 aprile 1941 n. 633 ovvero all'accordo stipulato tra SIAE, AIE, SNS e CNA, CONFARTIGIANATO, CASA, CLAAI, CONFCOMMERCIO, CONFESERCENTI il 18 dicembre 2000.

Le riproduzioni per uso differente da quello personale potranno avvenire solo a seguito di specifica autorizzazione rilasciata dagli aventi diritto/dall'editore.

Le riproduzioni effettuate per finalità di carattere professionale, economico o commerciale o comunque per uso diverso da quello personale possono essere effettuate a seguito di specifica autorizzazione rilasciata da AIDRO, Corso di Porta Romana n. 108, Milano 20122, e-mail segreteria@aidro.org e sito web www.aidro.org

<b>Prefazione</b> .....	5
<b>Introduzione</b> .....	7
Il dilemma sanitario .....	7
Costo-opportunità .....	9
Efficienza ed equità .....	10
Farmacoeconomia .....	12
Analisi di sensibilità .....	15
Conclusioni .....	16
Bibliografia per l'approfondimento .....	17
<b>1 Definizioni e concetti di base</b> .....	19
1.1 Definizioni .....	19
1.2 Costi .....	20
1.3 Conseguenze .....	22
1.4 Prospettive .....	24
1.5 Orizzonte temporale .....	25
<b>2 Valutazioni farmacoeconomiche</b> .....	27
2.1 Introduzione .....	27
2.2 Analisi di costo .....	28
2.3 Analisi costi-outcome .....	29
2.4 Utilità .....	35
2.5 Psicometria .....	37
<b>3 Processo di modellizzazione</b> .....	41
3.1 Step dell'analisi decisionale .....	41
3.2 Diagrammi di influenza .....	48
3.3 Modelli di Markov .....	49
3.4 Simulazione a eventi discreti .....	54
3.5 Modelli ad agenti .....	59

<b>4</b>	<b>Analisi di budget impact</b> .....	61
4.1	Introduzione.....	61
4.2	Esempio: analisi di budget impact delle linee guida cliniche nei pazienti con BPCO .....	63
<b>5</b>	<b>Outcome riportati dal paziente</b> .....	69
5.1	Introduzione.....	69
5.2	Dalle misure biologiche all'outcome riportato dal paziente ....	70
5.3	Qualità di vita, qualità di vita correlata alla salute (HRQoL) e outcome riportato dal paziente (PRO) ...	71
5.4	Dimensioni del PRO .....	74
5.5	Ogni paziente ha percezioni individuali sulla salute.....	75
5.6	Applicazioni degli strumenti PRO .....	77
5.7	Identificare uno strumento appropriato per la misurazione dei PRO .....	78
5.8	Strumenti PRO .....	81
5.9	Quando i risultati dei PRO sono rilevanti?.....	83
5.10	Conclusioni .....	84
<b>6</b>	<b>Fonti dei dati e incertezza</b> .....	85
6.1	Fonti dei dati .....	85
6.2	Analisi statistica.....	93
6.3	Tenere conto dell'incertezza .....	94
6.4	Studi farmaco-economici .....	99
6.5	Conclusioni: valutare gli studi di farmaco-economia .....	104
	<b>Bibliografia</b> .....	107
	<b>Glossario</b> .....	117
	<b>Autori</b> .....	123

# PREFAZIONE

**Lorenzo Pradelli**

*AdRes Health Economics and Outcomes Research, Torino*

Onestamente quando mi è stato chiesto per la prima volta di curare un manuale di farmacoeconomia e outcome research, i miei primi pensieri sono stati: «Un altro? Non ce ne sono già abbastanza in circolazione?» e credo che la mia espressione scettica abbia riflettuto questi pensieri, benché io abbia risposto che avrei dato uno sguardo a quanto già pubblicato prima di prendere una decisione. Ma poi, quando mi sono effettivamente guardato intorno, ho notato che la maggior parte della letteratura ha uno stile (e un peso!) accademico oppure è stata concepita come un libro di testo per studenti, mentre sono pochi i volumi dedicati a coloro che si occupano di valutazioni economiche in ambito sanitario, ma non possono impegnarsi in studi di questo tipo.

Abbiamo perciò deciso di provare a scrivere un testo che si presti a una rapida consultazione e che possa essere un ausilio alla comprensione degli articoli riguardanti la farmacoeconomia e l'outcome research, fornendo una base semplice del background teorico, ed esemplificando i concetti attraverso esempi presi dalla letteratura, con l'ambizione di fornire informazioni semplici ma complete senza la ridondanza dei dettagli tecnici.

Pertanto il libro è stato concepito con una prima breve sezione, nella quale vengono riportate le definizioni di base comunemente usate nel settore, seguita da un'esposizione più approfondita dei metodi e delle tecniche principali, spiegati mediante la descrizione di studi recentemente pubblicati in letteratura.

Il risultato è il presente testo, che l'esperienza sul campo di tutti gli autori coinvolti ha reso, a nostro parere, uno strumento

pratico in grado di guidare gli *stakeholder* coinvolti nel processo decisionale in ambito sanitario attraverso una panoramica completa degli aspetti teorici e metodologici della farmacoeconomia moderna.

# INTRODUZIONE

**Ceri J. Phillips**

*Swansea Centre for Health Economics.*

*College of Human and Health Sciences Swansea University*

Negli ultimi anni, la valutazione dei farmaci ha cominciato ad andare oltre a efficacia e sicurezza, tenendo in considerazione anche le implicazioni economiche e altre conseguenze. L'incorporazione di una prospettiva economica nel processo decisionale sulla scelta delle terapie da rimborsare e rendere disponibili da parte dei diversi sistemi sanitari ha sollevato molti dibattiti e discussioni, che talvolta sono stati piuttosto accesi. Sempre più spesso si assiste alla frenesia dei media nel riportare storie di trattamenti "efficaci" negati a pazienti disperati.

Lo scopo di questo capitolo introduttivo consiste nell'esplorare alcuni dei concetti che supportano la valutazione economica dei prodotti farmaceutici per comprendere le motivazioni alla base delle considerazioni economiche e le modalità con cui gli approcci e gli strumenti usati nell'intraprendere una valutazione economica possano essere applicati ai processi decisionali quotidiani.

## Il dilemma sanitario

A chiunque sia coinvolto nei servizi sanitari non può essere sfuggita la cronica carenza di risorse necessarie a fornire i servizi in modo adeguato. La natura del dilemma sanitario, che tutti i sistemi sanitari devono affrontare, è un microcosmo del problema economico di base: quello di dover conciliare infinite volontà, necessità e domande con la disponibilità finita di risorse, in termini di entrate, tempo, competenze, ecc. L'aumento esponenziale della domanda di servizi sanitari è avvenuto contemporaneamente alle pressioni sui governi e sugli enti finanziatori per una più attenta gestione del volume di risorse disponibile

per i servizi sanitari. Non si tratta soltanto di una mancanza di fondi – anche se questa ha effettivamente un ruolo centrale – ma come individui dobbiamo continuamente affrontare le conseguenze di non avere tempo a sufficienza per fare tutto ciò che occorre e che ci piacerebbe tanto fare. Inoltre, la lista della spesa è sempre troppo lunga rispetto a quanto possiamo spendere, e il buon proposito di fare esercizio fisico tutti i giorni spesso si scontra con la mancanza di energia dopo un'intensa giornata lavorativa in ufficio, in ambulatorio o in sala operatoria! Il problema economico fondamentale è che tutti abbiamo esigenze e desideri illimitati, ma risorse limitate (tempo, energia, competenze e soldi) a nostra disposizione per soddisfarli. Questa situazione è diventata particolarmente evidente nella sanità ed è stata aggravata da fattori come l'aumento delle aspettative delle persone in relazione a ciò che può essere effettivamente erogato da parte dei servizi sanitari, i continui progressi nella tecnologia sanitaria e nella scienza medica e l'aumento dei bisogni e delle richieste in ambito sanitario da parte di una popolazione che invecchia. Come individui facciamo continuamente delle scelte su come usare il nostro tempo, in quali attività incanalare le nostre energie e su come spendere i soldi che abbiamo a disposizione. Dedicare del tempo a un'attività o comprare un determinato prodotto comporta necessariamente che quel lasso di tempo o quei soldi non siano più disponibili per altre attività o per altri acquisti. Lo stesso problema si presenta per i servizi sanitari: quali pazienti trattare, quando e con quali terapie? Le risposte non risiedono nell'aumento della spesa: come facciamo a sapere se una determinata spesa aggiuntiva produrrà effettivamente benefici sanitari addizionali? I sistemi sanitari non saranno mai in grado di soddisfare le necessità sanitarie di tutti, tanto meno le loro volontà e i loro desideri. I politici, i manager e gli altri funzionari che gestiscono i servizi passano dal tentativo di contenere i costi a quello di contenere la collera dei pazienti, delle famiglie e dell'elettorato per l'inadeguatezza dei servizi forniti. I media, spesso concentrati solo sulle pressioni e sui problemi anziché sui successi, non contribuiscono ad alleviare la situazione, mentre la frustrazione e la



rabbia dei professionisti sanitari per quelli che loro stessi percepiscono come disservizi ed effetti negativi sulla gestione dei pazienti sono sempre più evidenti.

## ■ Costo-opportunità

È pertanto evidente che effettuare una scelta per usare fondi e risorse in una direzione significa che essi non siano più disponibili per altri scopi. Di conseguenza i benefici che ne sarebbero derivati vengono sacrificati. Questi sacrifici sono chiamati **costo-opportunità**. La loro stessa esistenza fornisce agli economisti le motivazioni per interessarsi a tutte le risorse che vengono utilizzate, dagli individui, dai governi, dai servizi sanitari e dalle società, indipendentemente dal fatto che vengano o meno spesi dei soldi per esse, allo scopo di ottenere il massimo beneficio. Le questioni relative all'allocazione di risorse, cioè quanto scarse siano le risorse, potrebbero o dovrebbero essere poste all'interno dell'infinita varietà di attività tra loro in competizione, e sono pertanto fondamentali in qualsiasi studio di economia. I diversi sistemi economici che sono esistiti e si sono evoluti nel tempo hanno tutti tentato di risolvere il problema di economia di base dell'allocazione di risorse in modo tale da massimizzare i benefici per la società. Analogamente, i vari approcci per finanziare la sanità messi in atto dai diversi Paesi hanno tutti lo stesso scopo di base: cercare di massimizzare i benefici sanitari per tutti i cittadini partendo dalle risorse a disposizione in quel momento. La natura, il tipo e il finanziamento dei sistemi sanitari continua a impegnare le menti di molti *policy maker* e a stimolare il dibattito nelle istituzioni accademiche, nei media e nella società civile. Quando si sviluppa un profilo di costo è importante che le implicazioni delle risorse associate a una determinata terapia che vengono stimate mediante confronto con i trattamenti correnti vengano identificate, misurate e valutate nell'ambito di un contesto pertinente e includano un commento sulla validità dell'uso dei dati relativi a risorse derivanti da altri contesti, se non sono disponibili dati locali. La stima dovrebbe presentare l'uso di ri-

sorse sanitarie dirette per il trattamento e per le sue alternative terapeutiche separatamente ed espresse in unità naturali, come giorni di ricovero, dosi e durata del trattamento, con la citazione delle fonti dei dati. Questi dati andranno a costituire i costi per i rispettivi sistemi sanitari. Tuttavia, quando si ritiene che sia significativo, e specialmente quando vi sono grandi differenze tra il trattamento in studio e le alternative terapeutiche, bisognerebbe includere anche l'uso delle risorse del paziente per accedere e usufruire della terapia. Il consumo di altre risorse può anche essere considerato separatamente laddove vi siano delle differenze tra l'agente terapeutico e le alternative terapeutiche, per esempio l'uso di risorse dirette non sanitarie, come quelle di altri enti, mentre anche le perdite di produttività attribuibili ai cambiamenti negli outcome sanitari potrebbero meritare un'attenzione particolare.

## Efficienza ed equità

Il termine **efficienza** è utilizzato dagli economisti per esaminare la misura in cui le decisioni relative all'allocazione delle limitate risorse massimizza i benefici per la società. Il concetto di efficienza comprende gli input (costi) e gli output e/o gli outcome (benefici) e la relazione tra loro, e una società viene giudicata in termini di efficienza dalla misura in cui massimizza i benefici per la propria popolazione partendo dalle risorse a propria disposizione. Nella sua forma più semplice, efficienza è sinonimo di risparmio, e viene spesso indicata con l'espressione **risparmi di efficienza**, cioè quelli nei quali ci si attende che l'output venga mantenuto e contemporaneamente i costi vengano ridotti, oppure che venga generato un output addizionale partendo dallo stesso livello di input. Questo tipo di efficienza è stato anche chiamato **costo-efficacia**<sup>1</sup>. Si applica quando occorre operare

---

<sup>1</sup> In questo testo si è utilizzato il termine "costo-efficacia" facendo sempre riferimento al concetto anglosassone di *cost-effectiveness*, cioè alla costo-efficacia reale, valutata in contesti terapeutici relativi alla normale pratica clinica. La *cost-efficacy*, invece, è la costo-efficacia valutata in situazioni sperimentali controllate. V. anche paragrafo 5.2

una scelta tra alternative che hanno lo scopo di raggiungere lo stesso obiettivo e sussiste quando un output è massimizzato per un dato costo o quando i costi di produzione di un dato output sono minimizzati. È ampiamente utilizzata nei contesti in cui nuove terapie vengono confrontate con trattamenti esistenti e le autorità devono decidere se vale la pena di spendere di più per i potenziali benefici aggiuntivi che la nuova terapia offre. Comunque la costo-efficacia non è sufficiente a stabilire le priorità, né all'interno dei sistemi sanitari, né quando si confronta la fornitura di servizi sanitari con altri servizi finanziati con fondi pubblici. Per determinare se e in quale misura determinati servizi possono essere erogati e per stabilire le priorità occorre utilizzare l'efficienza allocativa. Questo tipo di efficienza si utilizza quando è impossibile determinare dei miglioramenti in una persona senza allo stesso tempo determinare dei peggioramenti in un'altra. Questo quadro rappresenta una situazione in cui nessun input e nessun output può essere trasferito per causare dei miglioramenti in una persona senza allo stesso tempo determinare dei peggioramenti in qualcun altro.

In ogni caso è impossibile separare la spinta verso un'efficiente allocazione delle risorse dal suo impatto sulla distribuzione degli income. Un passo verso l'efficienza potrebbe provocare una redistribuzione degli income a favore delle persone benestanti, cosa che non è accettabile per motivi di giustizia e di equità. Praticamente tutti i sistemi sanitari adottano una combinazione di valori libertari ed egualitari. Il concetto di equità è indissolubilmente legato ai concetti di imparzialità e di giustizia ma è importante distinguerlo dal concetto di parità. Le politiche che mirano a ottenere la parità di opportunità, di accesso, di utilizzo o di esito sono auspicabili ma non devono necessariamente essere eque.

L'entità delle ineguaglianze nella sanità all'interno dei Paesi e oltre i confini nazionali fa sì che l'equità resti in cima alla lista degli obiettivi delle politiche sanitarie. Molti documenti programmatici autorevoli, a livello sia nazionale sia internazionale, sottolineano l'importanza dell'equità come obiettivo della politica e l'attuale necessità di implementare delle misure corret-

tive per ridurre le ineguaglianze tra le popolazioni e all'interno delle popolazioni, che restano ampie e sconcertanti. È comprovato che l'ambiente, lo status sociale, il livello di istruzione, l'etnia, l'età, il sesso, ecc. influenzano lo stato di salute e che allo stesso modo le condizioni e le caratteristiche delle persone determinano una miglior capacità di rispondere ai trattamenti e di godere di un'aspettativa di vita più lunga.

Una questione che ha effettivamente polarizzato l'opinione, sia tra le professioni sanitarie sia tra i decisori, per esempio, è se le persone che coscientemente adottano dei comportamenti lesivi della propria salute dovrebbero ricevere un trattamento: è giusto ed equo che le limitate risorse sanitarie vengano allocate a queste persone mentre altri, che hanno cercato di vivere una vita sana, devono aspettare per essere trattati oppure accedere ai servizi del settore privato? Il fatto stesso che la fornitura di servizi sia limitata determina inevitabilmente che alcune persone non possano ricevere quanto desiderato o persino quanto necessario. Il processo decisionale volto all'identificazione di chi deve ricevere i servizi, i trattamenti e gli interventi è cosparso di vittime, che possono legittimamente sostenere che tali decisioni sono ingiuste e inique. Inoltre non c'è consenso su come affrontare le politiche che aumentano l'efficienza aumentando anche l'ineguaglianza o quelle che aumentano l'equità diminuendo l'efficienza.

È pertanto piuttosto evidente che in questa situazione gli obiettivi economici dei sistemi sanitari, cioè le considerazioni sull'efficienza e quelle sull'equità, siano componenti vitali e debbano essere tenuti seriamente in conto. In ogni caso è inevitabile che cercando di ottenere un'allocazione delle risorse più equa, un certo grado di efficienza debba essere sacrificato, o, nel tentativo di rendere più efficiente il sistema sanitario, debbano essere sacrificate l'uguaglianza nella fornitura o nell'accesso ai servizi.

## **Farmacoeconomia**

Sono queste questioni che la valutazione economica sanitaria cerca di analizzare, soprattutto in relazione ai prodotti

farmaceutici, e che forniscono i presupposti teorici sui quali si basa la farmacoeconomia. Il termine **farmacoeconomia** è stato coniato per descrivere le valutazioni economiche dei prodotti farmaceutici e per stimare la misura in cui essi forniscono benefici aggiuntivi rispetto ai costi addizionali sostenuti. È necessario pertanto ottenere le informazioni che possono guidare i decisori a scegliere la terapia in grado di garantire il miglior ritorno sull'investimento. In altre parole, vale la pena pagare di più per i potenziali benefici aggiuntivi che una nuova terapia offre quando confrontata con i trattamenti esistenti? Il termine **costo-efficacia** è diventato sinonimo di farmacoeconomia ed è stato usato (e abusato) per descrivere la misura in cui gli interventi sono all'altezza di ciò che si considera rappresenti un buon investimento. In senso stretto, comunque, l'analisi di costo-efficacia (*Cost-Effectiveness Analysis* – CEA) è una delle tante tecniche di valutazione economica utilizzate quando la scelta della tecnica dipende dalla natura dei benefici previsti. La CEA è stata definita dal NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*)<sup>2</sup> come il disegno di uno studio di economia nel quale le conseguenze di diversi interventi vengono misurate usando un singolo outcome, generalmente espresso in unità "naturali" (per esempio anni di vita guadagnati, morti evitate, infarti del miocardio evitati o casi rilevati), e gli interventi vengono confrontati in termini di costo per unità di efficacia.

Comunque, dal momento che gli output e gli outcome sono altamente specifici e differiscono a seconda della natura della condizione, è necessario usare "una moneta comune" per poter confrontare le mele con le pere – cioè gli output in ostetricia e ginecologia devono poter essere confrontati con gli output e gli outcome nelle nefropatie, in geriatria, nelle patologie muscolo-scheletriche, ecc. – in modo tale che la costo-efficacia di un intervento in un'area terapeutica possa essere confrontata con

---

<sup>2</sup> <http://publications.nice.org.uk/guide-to-the-methods-of-technology-appraisal-2013-pmg9/glossary#cost-effectiveness-analysis> (ultimo accesso luglio 2014)

la costo-efficacia di un intervento in un'area diversa. La moneta comune che viene generalmente utilizzata è il *Quality-Adjusted Life Year* – QALY, che deriva dalla combinazione dell'impatto di un intervento sulla quantità e sulla qualità di vita. Il QALY tiene conto sia della quantità sia della qualità di vita ed è il prodotto aritmetico dell'aspettativa di vita e di una misura della qualità degli anni di vita rimanenti. Costituisce una moneta comune per misurare l'entità del guadagno di salute che deriva dagli interventi terapeutici e, quando combinato con i costi associati agli interventi, può essere utilizzato per determinare il loro valore relativo da un punto di vista economico. La quantità di vita, espressa in termini di sopravvivenza o di aspettativa di vita, è una misura tradizionale ampiamente accettata e presenta pochi problemi di comparazione: le persone o sono vive o non lo sono. La qualità di vita, d'altro canto, include un'ampia varietà di aspetti diversi della vita delle persone, non solo del loro stato di salute. Anche limitandosi a considerare solo gli aspetti della qualità di vita correlati alla salute, ci si trova dinanzi a una gran quantità di dimensioni correlate sia alla capacità fisica sia a quella mentale. Diversi approcci sono stati utilizzati per formulare queste valutazioni della qualità di vita, denominate "utilità" (*health utilities*): ad esempio lo *standard gamble*, il *time trade-off* e l'uso delle *rating scales*. Le utilità che vengono prodotte rappresentano le valutazioni correlate a ciascuno stato di salute su una scala continua tra 0 e 1, dove 0 equivale a essere morti e 1 rappresenta il miglior stato di salute possibile, benché alcuni stati di salute vengano considerati peggiori della morte e abbiano pertanto valutazioni negative. Lo specifico tipo di analisi di costo-efficacia che viene effettuato quando si usano i QALY viene chiamato "analisi di costo-utilità" (*Cost-Utility Analysis* – CUA).

In alcune occasioni gli outcome generati dagli interventi possono potenzialmente risultare uguali o comunque molto simili. In tali circostanze è possibile effettuare un'analisi di minimizzazione dei costi (*Cost-Minimization Analysis* – CMA), quando sono necessarie solo le differenze di costo tra gli interventi per stabilire quale di essi sia la scelta più razionale. In ogni caso

occorre prestare cautela su che cosa si intende per equivalenza o somiglianza – la condizione per utilizzare la CMA è che gli outcome siano identici – perché mentre la via di somministrazione orale e quella endovenosa di un farmaco possono offrire outcome terapeutici equivalenti, gli outcome dal punto di vista del paziente possono essere molto diversi.

Nell'analisi costo-beneficio (*Cost-Benefit Analysis* – CBA) i costi e gli outcome sono espressi in termini monetari, in modo da consentire di effettuare dei confronti tra le varie aree della sanità, confronti che possono anche essere effettuati con programmi e schemi del settore dell'istruzione, dei trasporti e dell'ambiente, per esempio. Le difficoltà sorgono, però, quando si cerca di attribuire un valore monetario ai benefici intangibili, dove non esiste un prezzo di mercato. In questi casi possono essere usate principalmente due tecniche: la *Willingness To Pay* (disponibilità a pagare) e i *discrete choice experiments* (esperimenti a scelta discreta).

È importante tenere a mente che lo scopo di tutti gli approcci usati per effettuare delle valutazioni farmacoeconomiche è massimizzare il livello dei benefici – effetti sulla salute – in relazione al livello di risorse disponibile. Tuttavia, considerando che l'assegnazione di un valore in termini monetari ad outcome di salute rimane un argomento complesso e fonte di notevole dibattito, e che la CEA e la CMA possono risultare spesso inadeguate, la CUA è diventata la principale tecnica utilizzata per condurre le valutazioni farmacoeconomiche.

Nei capitoli successivi verranno affrontati ulteriori approfondimenti su questi approcci.

## **Analisi di sensibilità**

La farmacoeconomia è lungi dall'essere una scienza precisa, e i risultati che emergono da tali valutazioni dovrebbero essere trattati con una certa prudenza. C'è spesso una considerevole incertezza associata ai risultati, con ampie variazioni legate a quanto emerge dalle analisi: pertanto è imperativo che tutte

le valutazioni farmacoeconomiche siano soggette ad analisi di sensibilità. Tale necessità nasce a causa di numerosi fattori:

- questioni metodologiche dovute ai diversi approcci e metodi impiegati nella valutazione;
- potenziale variazione nelle stime dei costi e degli effetti usate nella valutazione;
- estrapolazione degli outcome finali di salute da eventi osservati nel tempo o da outcome intermedi;
- trasferibilità dei risultati e validità dei risultati derivanti da popolazioni diverse o diversi gruppi di pazienti.

È necessario pertanto attribuire un livello di confidenza ai risultati derivanti dalle valutazioni di costo-efficacia. Che cosa succederebbe, per esempio, se il "costo reale" di una delle strategie di trattamento fosse leggermente più alto o più basso rispetto alla stima usata nello studio o se ci fossero delle differenze significative negli anni di vita guadagnati o negli altri parametri usati? L'analisi di sensibilità testa tutte le assunzioni usate nel modello valutando l'impatto dei cambiamenti rispetto alle stime basali. Nei capitoli successivi verranno fornite ulteriori informazioni sull'analisi di sensibilità.

## Conclusioni

Il processo decisionale per determinare quali servizi e trattamenti debbano essere forniti è molto complesso e coinvolge diversi fattori, spesso contrastanti. La farmacoeconomia può aiutare i decisori a usare le informazioni relative all'efficacia e all'efficienza di un intervento, contribuendo anche in qualche modo al processo di determinazione delle priorità sanitarie e a fare un uso più efficiente possibile delle risorse disponibili entro i limitati budget della sanità. I professionisti della sanità sono sempre più esposti a scelte di grande responsabilità ed emotività, e la farmacoeconomia non può in alcun modo fornire una soluzione a questioni così complesse e difficili. Ciò che può offrire è un modo di pensare che può essere d'aiuto per arrivare



a possibili soluzioni (da notare l'espressione "può essere d'aiuto" – la farmacoeconomia non può da sola offrire le soluzioni, ma deve essere parte di un più ampio approccio al processo decisionale) a questi problemi spesso controversi. Il suo scopo è identificare le terapie che possono fornire il massimo beneficio di salute per la società nell'ambito della dotazione di risorse disponibili. È lo stesso processo che affrontiamo come individui, nel prendere una decisione tra una vacanza all'estero o una cucina nuova: la prima ci fornirà benefici significativi all'interno di un limitato periodo di tempo, ma la durata di questi diminuirà rapidamente al ritorno alla nostra esistenza normale. D'altro canto la cucina, in confronto, fornirà meno benefici immediati, ma la durata dei benefici si estenderà per diversi anni. I prezzi delle alternative sono sostanzialmente gli stessi, ma possiamo permettercene una sola. Quali fattori devono essere considerati nel prendere la decisione? Come si possono fare queste scelte difficili? Come si può decidere quali terapie finanziare? L'uso delle tecniche di farmacoeconomia può essere di aiuto a prendere queste decisioni, ma esse devono sempre essere solo una componente di un processo dalle molte sfaccettature, nel quale vengono considerati anche altri fattori.

## Bibliografia per l'approfondimento

- Drummond MF, Sculpher MJ, Torrance GW, et al. Methods for the economic evaluation of health care programmes. Oxford: Oxford University Press, 2005
- Phillips CJ. Health economics: an introduction for health professionals. Oxford: Blackwell Publishing, 2005