

IHPB

ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF

OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

INNOVAZIONE TECNOLOGICA E DISEGUAGLIANZE DI ACCESSO AI SERVIZI SANITARI: ESISTONO POLICY EQUE E SOSTENIBILI?

AUTORI

**Giacomo Bruno, Americo Cicchetti, Luca Degli Esposti,
Cinzia Di Novi, Rosella Levaggi, Marcello Montefiori**

Innovazione e ricerca, nuovi dispositivi e vaccini, definizione di terapie sempre più mirate ed efficaci hanno contribuito al generale miglioramento della qualità della vita e al crescente innalzamento delle aspettative di vita. Parallelamente, però, si registrano sempre maggiori costi che potrebbero minare la sostenibilità economica del nostro sistema sanitario, ispirato a principi di universalità e uguaglianza sanciti dalla Costituzione (art. 32).

Anche i bisogni cambiano: l'età media della popolazione e le aspettative di vita crescono così come la prevalenza di patologie cronico-degenerative (i pazienti cronici sono stimati nella misura dell'85% tra la popolazione over 65).

Come rispondere a questi bisogni, per evitare che vengano a crearsi profonde differenze regionali e sociali?

Il lato della spesa: farmaci innovativi e terapie personalizzate

La spesa farmaceutica è il prodotto tra differenti fattori, tra cui il volume di pezzi prescritti, il livello dei prezzi dei farmaci e la preferenza ad utilizzare farmaci a basso costo ("effetto mix"). A sua volta, il volume di pezzi prescritti è il prodotto tra differenti altri fattori, tra cui il numero di pazienti eleggibili/eletti a trattamento e la frequenza prescrittiva con cui tali pazienti sono trattati. Il controllo della spesa farmaceuti-

Introduzione

a cura di **Stefano Del Missier**

Direttore Responsabile Italian Health Policy Brief

Ad inizio ormai avvenuto della nuova legislatura, abbiamo cercato una rappresentazione di sintesi di molti temi che, a tutto tondo, possono contribuire a generare un insieme di spunti di politica sanitaria per dare risposte ai due obiettivi che ci stanno più a cuore: recepire l'innovazione e garantire la sostenibilità del nostro sistema sanitario.

Alcuni docenti del "Corso di Perfezionamento in Economia del Farmaco, della Salute e delle Tecnologie Sanitarie" (www.aphec.unige.it), che affrontano questi temi nell'ambito delle loro lezioni, ci offrono in questo articolo un contributo per cercare di dare una risposta alle domande chiave per la sopravvivenza stessa del sistema sanitario nazionale, almeno per come oggi lo conosciamo.

Il "Corso di Perfezionamento in Economia del Farmaco, della Salute e delle Tecnologie Sanitarie" è attivato dal Dipartimento di Economia dell'Università degli Studi di Genova, ed è giunto quest'anno alla 4 edizione. Esso nasce proprio con l'obiettivo di mettere a disposizione di tutti i soggetti chiamati a prendere decisioni in ambito sanitario, le basi concettuali, metodologiche e culturali tipiche dell'approccio economico, affrontando i temi dell'innovazione, delle nuove tecnologie, della sostenibilità e delle disuguaglianze nell'accesso ai servizi sanitari e di attivare un percorso che coinvolga tutti gli stakeholders.

Il contributo, quindi, non solo aiuta ad approfondire questi temi, ma ha anche il pregio di essere didascalico e divulgativo, caratteristiche estremamente utili a mantenere ad un livello adeguato un dibattito che spesso scivola verso il basso, costretto da esigenze "social".

ca e la valutazione (anche) economica dei fattori che la compongono appare indispensabile in ragione sia della razionalizzazione delle voci di costo di breve periodo, quali il farmaco stesso, sia della minimizzazione degli eventi futuri e dei relativi costi assistenziali. Occorre tuttavia notare che questo processo di definizione del prezzo sta subendo importanti cambiamenti per effetto dell'innovazione.

I farmaci innovativi sono sempre più costosi e le terapie sono sempre più personalizzate: secondo Schork [1] oltre il 20% dei nuovi farmaci (New Molecular Entities – NME) approvate nel 2016 dalla FDA (Food and Drug Administration) può essere considerata medicina personalizzata. In media, i farmaci rappresentano quasi un sesto della spesa sanitaria nei paesi dell'OCSE e sono uno dei principali fattori che contribuiscono all'aumento della spesa sanitaria. Per questo motivo, il mercato dei farmaci innovativi richiede un alto livello di regolamentazione, che non dipende semplicemente dalle scelte fatte per finanziare l'assistenza sanitaria.

In Europa, dove l'assistenza sanitaria è in gran parte finanziata da fornitori pubblici [2], la dinamica dei prezzi ha messo sotto pressione i governi, che stanno rispondendo con una regolamentazione dei prezzi sempre più stringente [3] come le soglie di costo-efficacia [4-5], accordi di risk sharing [6-7], prezzo di riferimento [8] e accordi tra paesi [9].

L'uso della regolamentazione è con-

troverso. Gli oppositori sostengono che potrebbe influire negativamente sull'innovazione perché potrebbe impedire adeguati ritorni ai massicci investimenti per sviluppare nuovi farmaci [10], mentre altri sono a favore di un maggiore ruolo per questo strumento dato che il prezzo elevato dei farmaci innovativi non sembra essere sempre giustificato dal costo di R&D sostenuto per svilupparli.

Con l'approvazione del voretigene neparvovec (Luxturna) nel dicembre del 2017 si aprono nuovi scenari per quanto riguarda la regolazione del prezzo e della ricerca in nuovi farmaci. Luxturna può essere considerato il primo farmaco terapia genica approvata dalla FDA per una malattia ereditaria: modifica infatti direttamente il gene RPE65 e avrà un target stimato di pazienti negli US di 1000-2000 persone. Il trattamento monouso per entrambi gli occhi è stato fissato a 850 mila dollari [11]. Questo è l'ultimo passo di una tendenza intrapresa di recente dall'industria nella ricerca di farmaci sempre più specifici per gruppi di pazienti e che potrà essere ancora più marcata in futuro. Mentre questo farmaco, almeno al momento, sembra che sarà registrato solo per un utilizzo molto specifico, esistono già farmaci con una provata efficacia differenziale a seconda del tipo di pazienti. Bach [12] dimostra come l'efficacia differenziale di alcuni farmaci oncologici sia molto diversa a seconda del tipo di tumore curato. Queste caratteristiche dei nuovi farmaci potrebbero avere

un effetto dirompente sul mercato; per meglio comprendere questo meccanismo occorre però capire i criteri di rimborsabilità del farmaco.

La regolazione del prezzo

Per migliorare il value for money delle risorse spese per l'acquisto di farmaci, i regolatori pubblici hanno di recente introdotto numerosi criteri circa la rimborsabilità del farmaco, soprattutto nei casi in cui esistono diverse alternative per curare la stessa patologia.

Le situazioni, in cui due farmaci sono sovrapponibili in termini di risultato (sicurezza e tollerabilità) ma l'uno presenta un costo inferiore all'altro, sono definite dalla farmacoeconomia di *dominanza*. Non si pone, in sostanza, alcun dubbio che l'alternativa a costo inferiore sia quella preferibile. Purtroppo tale situazione risulta poco frequente nella pratica clinica, in quanto, più spesso, l'alternativa che presenta il risultato migliore è disponibile ad un prezzo superiore. In queste situazioni, il prezzo del farmaco diviene oggetto di una valutazione di *accettabilità economica*, cioè ci si chiede se il prezzo addizionale sia accettabile in funzione del beneficio addizionale.

Lo strumento utilizzato per le valutazioni di accettabilità economica del prezzo di una tecnologia sanitaria è il rapporto costo-efficacia incrementale. Tale rapporto è calcolato come il rapporto tra la differenza dei costi e la differenza dei benefici tra l'alternativa da valutare ed il confronto.

Nelle analisi di costo-utilità, il QALY

(*Quality Adjusted Life Years*) è l'unità di misura in cui è espresso il risultato di una tecnologia sanitaria. È calcolato come il prodotto tra il beneficio espresso in unità fisiche (es, anni di vita guadagnati) e un indice di qualità di vita (variabile tra 0, morte, ed 1, salute ottimale). A titolo di esempio, una tecnologia sanitaria che determina un'aspettativa di vita pari a 4,2 anni ed una qualità di vita pari a 0.75 è associata ad un risultato pari a 3,15 QALY (Tabella I). Mantenendo ad esempio l'analisi costo-utilità, il rapporto costo-utilità incrementale è pari a 40,000 Euro/QALY ed è calcolato come il rapporto tra l'incremento di costo pari a 18,000 Euro e l'incremento di risultato pari a 0,45 QALY. Il rapporto costo-utilità incrementale misura il costo per unità di risultato, cioè il costo per QALY, e viene utilizzato per valutare l'*accettabilità* dell'incremento di costo dell'alternativa "in valutazione" rispetto all'incremento di risultato. La soglia di accettabilità è arbitraria e variabile nei differenti Paesi. A titolo di esempio, il *National Health Service* (NHS) inglese utilizza specifiche soglie per cui l'alternativa "in valutazione" è economicamente accettabile se il costo per QALY è inferiore a 30,000 Sterline, è dubbia se il costo per QALY è compreso tra 30,000 e 60,000 Sterline, è economicamente non accettabile se il costo per QALY è superiore a 60,000 Sterline. Alcune differenti soglie sono proposte dall'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS) (Tabella II).

	Costo del trattamento (Euro)	Efficacia del trattamento (attesa di vita)	Indice di qualità di vita (qualità di vita)	Utilità del trattamento (QALY)
Alternativa "in valutazione"	2.000	4,2	0.75	3.15
Alternativa "di confronto"	20.000	4,5	0.80	3.80

Tabella I. Rapporto costo-utilità incrementale (alias, Incremental Cost-Utility Ratio, ICUR).

	Costo-efficacia elevata (accettabile)	Costo-efficacia intermedia (da valutare)	Costo-efficacia bassa (non accettabile)
NICE	<30,000 £	30,000 - 60,000 £	>60,000 £
OMS	>1 x PIL pro-capite	1-3 x PIL pro-capite	>3 x PIL pro-capite

Tabella II. Soglie di accettabilità economica per la valutazione di una tecnologia sanitaria.

Il rapporto costo-utilità incrementale viene utilizzato dal "Regolatore" e dal "Produttore" della tecnologia sanitaria (eg, Aziende Farmaceutiche) come strumento per il calcolo del *prezzo*. Riprendendo l'esempio precedente, in relazione alle soglie di accettabili anglosassoni, un farmaco con un rapporto incrementale pari a 40,000 Euro/QALY risulta di dubbia rimborsabilità. Il "Produttore" può risolvere tale dubbio riducendo il prezzo richiesto fino al valore per cui il rapporto costo-utilità incrementale scende al di sotto di 30,000 Euro/QALY. Riducendo il prezzo a 5,000, il rapporto incrementale scenderebbe a 29,800 Euro/QALY e, di conseguenza, entro

la soglia di *accettabilità economica*.

Un case study nel processo di definizione della rimborsabilità

I farmaci ipolipemizzanti (per esempio le statine) sono stati valutati efficaci nel ridurre la morbilità e mortalità specifica nei pazienti con un rischio cardiovascolare ad un anno uguale o superiore allo 0,6%. Sulla base di queste evidenze scientifiche, il Servizio Sanitario Inglese dovrebbe prescrivere la statina ad un numero di assistibili pari a circa il 40% della popolazione totale per una spesa farmaceutica complessiva di circa 6 miliardi di sterline.

Questo intervento non risulta finanziariamente sostenibile (*Financial availa-*

bility).

Non è stata posta in discussione l'efficacia di una così diffusa prevenzione farmacologica quanto, piuttosto, la possibilità di poterla sostenere attingendo alle risorse attualmente disponibili. L'ammontare di risorse destinabile a questo intervento, infatti, è risultato pari a circa 1,2 miliardi di sterline. Si è posto, quindi, la necessità di scegliere tra alternative concorrenti (in questo caso, tra pazienti). Il criterio di allocazione utilizzato è stato il grado di rischio cardiovascolare del paziente. In particolare, solamente i pazienti con un rischio cardiovascolare ad un anno uguale o superiore al 3,0% hanno potuto beneficiare della rimborsabilità della terapia farmacologica con statine (Figura 1)¹.

Nelle valutazioni per la definizione della soglia di rimborsabilità di una tecnologia sanitaria, il rapporto incrementale viene utilizzato per stabilire le priorità di intervento tra pazienti alternativi che concorrono ad uno stesso ammontare di risorse.

Le considerazioni esposte sopra hanno ispirato i regolatori ad utilizzare le formule value based (basate sull'efficacia del paziente marginale) invece dei classici processi di negoziazione. Fino ad oggi, molti regolatori hanno usato formule per il rimborso dei farmaci basate su un unico prezzo per lo stesso, indipendentemente dalla indicazione terapeutica. L'industria da parte sua sembra però muoversi ver-

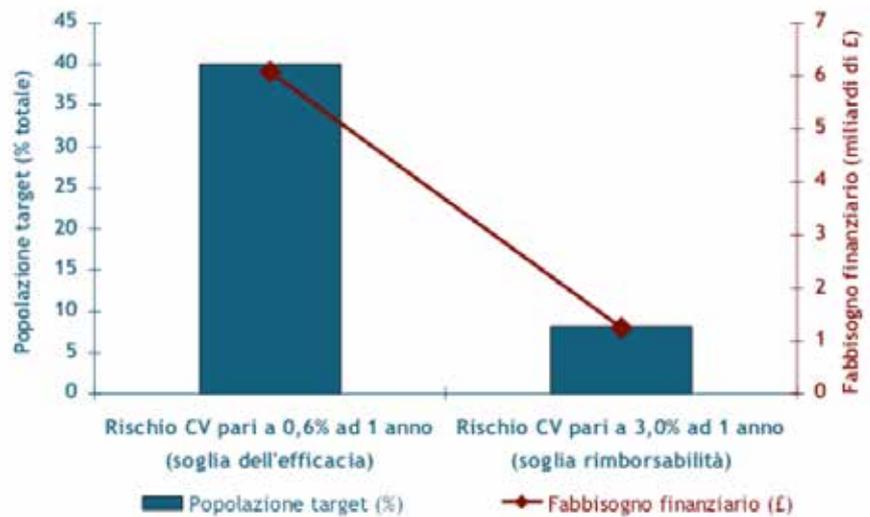


Figura 1. La soglia di rimborsabilità dei farmaci ipolipemizzanti nel Servizio Sanitario Inglese.

so altre direzioni. Negli USA, dove il prezzo del farmaco è libero, alcune industrie farmaceutiche hanno già espresso l'intenzione di chiedere prezzi differenziali per indicazioni diverse. I regolatori nazionali europei si troveranno presto a dover affrontare questo problema, che è molto complesso. L'utilizzo di un prezzo unico riesce ad aumentare il value for money dei nuovi farmaci, ma al costo di ridurre l'accesso degli stessi [13-14]. Siccome l'efficacia differenziale del farmaco per diversi tipi di pazienti è conosciuta solo dall'industria farmaceutica (nella fase iniziale i regolatori non hanno ancora chiare indicazioni sulla stratificazione dei pazienti nella sperimentazione), è l'industria stessa che riesce a controllare l'efficacia marginale del farmaco tramite le indicazioni per cui intende registrarlo. Se il gruppo di pazienti con efficacia alta è "sufficientemente alto" o la differenza in efficacia tra pazienti è molto elevata, l'industria potrebbe

avere interesse a non registrare il farmaco per le indicazioni con efficacia più bassa lasciando quindi fuori dal mercato una parte di pazienti che trarrebbero giovamento dal farmaco. L'alternativa per il regolatore potrebbe essere quella di rimborsare l'industria sulla base di una efficacia media invece che marginale [13]. In questo caso, l'industria potrebbe avere interesse ad estendere a tutti l'utilizzo del farmaco, ma i costi per il SSN aumenterebbero e per un gruppo di pazienti il prezzo pagato per il farmaco sarebbe più alto dell'efficacia "guadagnata" in termini di salute. Questo secondo sistema tende quindi ad operare una "redistribuzione" fra pazienti: coloro che hanno minore giovamento pagano una parte del prezzo delle cure di coloro che hanno maggiore beneficio. Tale sistema potrebbe essere in principio sostenibile in un sistema di finanziamento pubblico della sanità in cui esiste un principio di solidarietà e di divisione

1 Raithatha N, Smith RD. Paying for statins. British Medical Journal, 2004; 328: 400-2.

del rischio a vari livelli (diverso rischio di ammalarsi e diversa capacità di reddito), mentre sarebbe invece difficilmente sostenibile in un sistema sanitario privato basato sul rischio individuale. I sistemi sanitari pubblici stanno tuttavia subendo le conseguenze della riduzione nella crescita del reddito complessivo e potrebbero non essere in grado di sostenere il costo crescente dei farmaci che questo tipo di formule di rimborso potrebbe comportare.

La letteratura più recente ha proposto l'introduzione di meccanismi che vengono chiamati "indication based prices" [15] e che nella letteratura economica più tradizionale verrebbero definiti come politiche di discriminazione del prezzo. L'uso di queste formule, in pratica, consentirebbe all'industria di commercializzare il farmaco a prezzi diversi per le diverse indicazioni. Per esempio, se un farmaco avesse un'efficacia 100 volte maggiore per i pazienti del gruppo A rispetto al gruppo B (questo secondo gruppo formato da pazienti con indicazioni diverse sia per tipo di patologia che per patrimonio genico), l'industria potrebbe vendere il farmaco a due prezzi diversi, fino a 100 volte più alto per il gruppo di pazienti A. Tale meccanismo potrebbe sembrare iniquo: se l'industria è in grado di avere un profitto vendendo al prezzo più basso, applicare prezzi molto più alti potrebbe sembrare un modo per sfruttare la disponibilità a pagare (individuale o sociale) legata ad una patologia più

grave. A questo ragionamento si potrebbe però obiettare che non usando una strategia di prezzo differenziale, i pazienti del gruppo B potrebbero semplicemente restare fuori dai potenziali utilizzatori del farmaco.

Nel futuro prossimo i regolatori potrebbero trovarsi di fronte a scelte molto difficili in questo settore.

Innovazione tecnologica e HTA

La dinamica demografica e l'evoluzione epidemiologica associate all'innovazione tecnologica impongono ai sistemi sanitari modelli di valutazione sempre più raffinati per garantire un uso delle risorse in grado di restituire salute in modo efficiente ed equo.

La scelta tra opzioni alternative nei modelli di allocazione delle risorse dovrebbe basarsi su modelli valutativi in grado di catturare tutte quelle dimensioni del "valore" rilevanti per i singoli e per la collettività per garantire sostenibilità al sistema sanitario sia in senso economico che sociale.

Nel 2014 l'OMS ha definito l'HTA come il solo strumento in grado di assicurare nel tempo la sostenibilità dei servizi sanitari nazionali, soprattutto quelli ad accesso universale di tipo solidaristico come quello italiano. Questa sollecitazione dell'OMS pone al mondo della sanità pubblica e alla comunità dell'HTA a livello nazionale ed internazionale, un nuovo e più sfidante traguardo: perfezionare i propri metodi per garantire processi di allocazione delle risorse tali da garantire a tutti l'accesso alle migliori cure, evi-

tando l'esclusione, la discriminazione e la marginalizzazione dei più deboli.

Sotto questa prospettiva, adottare un approccio razionale, robusto e condiviso alle scelte di allocazione delle risorse per la salute non appare solo un impegno per le Istituzioni pubbliche ma delineano un vero e proprio "diritto umano" per tutti gli uomini e le donne del pianeta ad avere un buon sistema di governo ovvero in grado di trasformare in valore tutte le risorse disponibili.

In un sistema caratterizzato da risorse scarse, è la qualità delle decisioni finalizzate all'allocazione di queste risorse ad essere la vera determinante della promozione della salute. È quindi indispensabile, e dal nostro punto di vista "etico", dotarsi di approcci in grado di selezionare le migliori strategie di combinazione delle politiche pubbliche per massimizzare il valore generato per la collettività sulla base di principi di giustizia distributiva ampiamente condivisi e resi operativi attraverso adeguate procedure.

Innovazione tecnologica e dispositivi medici

In tema di innovazione tecnologica il settore dei dispositivi medici occupa un'importante posizione. Negli ultimi anni si è assistito a un continuo flusso di innovazione nel settore dei dispositivi medici la cui applicazione in campo medico ha dimostrato quanto questi siano rilevanti nei processi di diagnosi precoce di malattia e nell'offerta di efficaci opzioni di trattamento per

gestire cause di disabilità e mortalità. L'industria dei dispositivi comprende un'ampia varietà di prodotti e tecnologie fra loro molto diversificati, dai più tradizionali ai più sofisticati in grado di soddisfare le esigenze personalizzate dei pazienti. Complessivamente questa area rappresenta una componente chiave per i sistemi sanitari e si è assistito negli anni ad un aumento della quota della spesa sanitaria dedicata ai dispositivi. Per questi motivi, come per l'innovazione in campo farmaceutico, anche l'innovazione in ambito dei dispositivi necessita di misurazione attraverso processi di valutazione con HTA da parte dei decisori al fine di compiere scelte che contemplino appropriatezza, sostenibilità e equità dell'impiego.

L'accesso al mercato dei dispositivi presenta alcune specifiche peculiarità rispetto al settore farmaceutico avendo a che fare con prodotti necessariamente sottoposti a rinnovamento caratterizzati da un breve ciclo di vita (2/3 anni massimo) e incontra alcuni ostacoli quali la lentezza di aggiornamento dei nomenclatori tariffari e dei DRG, le differenze fra le regioni (che portano a fenomeni di "turismo sanitario"), e le misure di controllo delle spesa adottate, quali payback e centralizzazione degli acquisti.

Sostenibilità economica: il ruolo della prevenzione

Come già è stato evidenziato, è fondamentale dotarsi di approcci che permettano l'individuazione di soluzioni

costo-efficacia, così da massimizzare il valore generato per la collettività. Da questo punto di vista la prevenzione rappresenta un vero paradosso. Pur esistendo evidenze schiaccianti in merito al costo-efficacia delle attività di prevenzione rispetto a quelle diagnostico-terapeutiche, la quota di spesa sanitaria dedicata alla prevenzione rappresenta una porzione minoritaria nei budget dei sistemi sanitari. È dimostrato come i programmi di screening per il tumore della mammella o del cancro al colon retto siano economicamente "dominanti" le rispettive alternative terapeutiche (senza considerare le implicazioni sociali). È ampiamente dimostrato la costo-efficacia di tutti i programmi vaccinali.

L'Italia, sotto questo profilo, mostra dei dati certamente non brillanti. A fronte di una previsione del 5% del fondo sanitario da dedicare alle attività di prevenzione (vaccinazioni incluse), le spese effettivamente sostenute non superano il 4,2% della spesa sanitaria complessiva. E la proporzione peggiorerebbe se considerassimo il totale della spesa sanitaria dei cittadini, pubblica e privata, dal momento in cui – quella privata – è quasi esclusivamente dedicata alla terapia.

Partendo da questo scenario, la prevenzione e, in particolare, le vaccinazioni sono state al centro della recente azione politica del precedente Governo con il lancio del nuovo Piano Nazionale della Prevenzione Vaccinale (PNPV 2017-2019) e i discussi provvedimenti in ambito vaccinale per i

minori in età scolare. Queste politiche sono state sostenute grazie a robuste evidenze scientifiche disponibili sulle implicazioni di tali strategie sulla salute pubblica. Le evidenze di carattere economico in genere sono concentrate sulla valutazione dell'impatto in termini di riduzione della spesa sanitaria.

Tra queste evidenze ci sono anche quelle specificatamente generate dall'Alta Scuola di Economia e Management dei Sistemi Sanitari dell'Università Cattolica del Sacro Cuore che ha sviluppato un modello di politica economica in grado di catturare tutte le conseguenze economiche dell'investimento in salute effettuato attraverso le vaccinazioni, con particolare riferimento agli adulti in età lavorativa. Lo studio che ha stimato i costi sociali di alcune patologie infettive (influenza, pneumococco e herpes zoster) ha poi valutato l'impatto in termini di riduzione dei costi per giornate di malattia, impatto sul gettito fiscale e sul ciclo economico di un investimento teso ad allargare la platea dei beneficiari delle vaccinazioni nei tre stessi ambiti. In estrema sintesi, lo studio mostra come ogni euro investito nella vaccinazione antinfluenzale produce 13 euro per il sistema economico nazionale. Solo per l'antinfluenzale, tra giornate di lavoro che non vengono perse e minore spesa previdenziale, la vaccinazione impatta per 500 euro a persona nell'arco dell'anno. Se si riuscisse a "convincere" 900.000 adulti in età lavorativa in più a vaccinarsi (rispetto ai circa 2 milioni di Italiani che attual-

mente si vaccinano in età adulta), il sistema economico “guadagnerebbe” ben 450 milioni di euro ogni anno.

I numeri sono ancora più eclatanti per i vaccini anti-pneumococcici e per l'herpes zoster i cui effetti, diversamente da quanto accade per il vaccino antinfluenzale, si ripercuotono per molti anni dopo l'inoculazione: per ogni euro investito nella vaccinazione anti-pneumococcica l'impatto economico è pari a 19,5 volte l'investimento; per l'herpes zoster si arriva a 21,5 volte.

Questi numeri dovrebbero far riflettere il legislatore e l'esecutivo perché nell'allocazione delle risorse per il sistema sanitario la prevenzione e i vaccini non possono e non devono continuare a rappresentare la “cenerentola” del budget sanitario. In essi si nasconde un enorme valore sotto il profilo sanitario, economico e sociale ed è nel diritto dei cittadini vedere investite al meglio le risorse che ciascuno ha contribuito a produrre con il proprio lavoro.

Appropriatezza e aderenza

L'eliminazione di sprechi e inefficienze corrisponde ad una delle sfide per il raggiungimento della sostenibilità: il maggior controllo dell'appropriatezza degli interventi e dell'aderenza alle terapie gioca un ruolo importante in tal senso.

L'appropriatezza definisce un intervento sanitario (preventivo, diagnostico, terapeutico, riabilitativo) correlato al bisogno del paziente (o della col-

lettività), fornito nei modi e nei tempi adeguati, sulla base di standard riconosciuti, con un bilancio positivo tra benefici, rischi e costi.

L'attenta misurazione di tale aspetto consente l'individuazione e correzione di comportamenti devianti comportanti un dispendio non appropriato di risorse.

Altro aspetto da considerare è l'aderenza alle terapie da parte del paziente: infatti, quando i farmaci sono assunti in modo diverso da quanto prescritto, si possono creare alterazioni in specifiche situazioni nel rapporto rischio/beneficio, sia per ridotto beneficio, sia per aumentato rischio, sia per entrambe le condizioni.

Numerosi studi hanno dimostrato che inadeguate aderenza e persistenza in trattamento risultano in un aumento di morbilità e mortalità per una grande varietà di malattie e, in contemporanea, in un incremento significativo dei costi correlati alla gestione della salute.

Il potenziamento dell'appropriatezza è adottabile con la definizione e impiego per un numero crescente di patologie di piani diagnostici terapeutici assistenziali (PDTA) che corrispondono a strumenti di governo clinico in grado di strutturare e integrare attività e interventi in un contesto in cui diverse specialità, professioni e aree d'azione sono coinvolte nella presa in cura del paziente, stimolando l'osservazione dell'insieme delle azioni da intraprendere rispetto al caso da trattare, concentrando l'attenzione sulle

dimensioni dell'attività e del tempo quali oggetti da gestire per ottenere un maggior controllo sulle cause di formazione dei costi (ad esempio, riducendo la variabilità nel consumo di risorse per il trattamento della medesima patologia).

Digitalizzazione della sanità e Big Data

Restando in tema di innovazione va menzionato il processo di digitalizzazione della sanità verso cui stanno muovendo i sistemi sanitari moderni. Questa rappresenta uno strumento estremamente potente che consente il reperimento di moltissimi dati e informazioni in merito agli esiti clinici in real world di un sempre più ampio numero di strategie terapeutiche. Nell'ottica della razionalizzazione delle risorse disponibili, la disponibilità di database amministrativi (Banca Dati Assistito – BDA) che registrano e monitorano i consumi e i rimborsi del paziente da parte del Sistema Sanitario Nazionale ha consentito il reperimento di informazioni a basso costo, tendenzialmente relative a tutti i servizi presenti in un determinato contesto sanitario, utili a livello di controllo e gestione, la cui integrazione rappresenta un potente strumento da affiancare ai metodi classici degli studi epidemiologici.

L'e-health è in grado di fornire in futuro ulteriori benefici utili per la riduzione dei costi sanitari quali la possibilità di attivare centri unici di prenotazione, l'istituzione di fascicolo elettronico

sanitario e la dematerializzazione dei documenti sanitari.

Diseguaglianze di accesso ai servizi sanitari

Lo stato socioeconomico, misurato attraverso ricchezza, reddito, istruzione e occupazione, è considerato tra le determinanti dell'accesso alle cure, dello stile vita e dello stato di salute individuale. Qualunque sia l'indicatore di posizione sociale impiegato, il rischio di mortalità cresce in ragione inversa delle risorse sociali di cui gli individui dispongono. L'appartenenza ad una classe sociale bassa è spesso associata ad un alto tasso di mortalità, in particolare a causa di malattie cardiovascolari. Nonostante il miglioramento generale dello stato di salute in Europa registrato negli ultimi decenni, con la Grande Recessione iniziata nel 2008, la disuguaglianza sociale si è inasprita e con essa le disparità nell'accesso alle cure e nello stato di salute.

La diseguaglianza nello stile di vita e quella nell'accesso ai servizi contribuiscono ad accrescere le diseguaglianze in salute più di altri fattori e la persistenza del problema ha messo in evidenza la necessità di sviluppare azioni volte a correggere lo stile di vita e a promuovere l'accesso ai servizi sanitari soprattutto tra coloro che appartengono alle classi socio-economiche più svantaggiate. Preme focalizzarsi, in particolare, sulle diseguaglianze di accesso ai servizi sanitari nello specifico ricorso al medico di base, alle visite ambulatoriali, alle visite specialistiche,

e ai ricoveri ospedalieri, per capire se le diseguaglianze sono aumentate dopo la crisi economica a parità di bisogni individuali misurati attraverso caratteristiche demografiche e stato di salute individuale.

I dati utilizzati in questa analisi sono basati sull'indagine "Survey of Health, Ageing and Retirement in Europe" (SHARE). SHARE è la prima banca dati Europea che contiene informazioni dettagliate sullo stato di salute, sulle caratteristiche socio-economiche, sulle relazioni familiari degli ultracinquantenni in Europa. Dato il progressivo invecchiamento della popolazione che sta interessando il "vecchio" continente e l'Italia, in particolare, il tema dell'accesso ai servizi sanitari nella popolazione anziana è diventato di grande rilievo per le politiche sociali ed economiche dell'Europa e del nostro Paese. Nello specifico, verranno utilizzati i dati provenienti da tre indagini SHARE: la prima condotta tra il 2004/2005; la seconda condotta tra il 2006/2007; la quarta condotta tra il 2011/2012. Le tre indagini ci consentono di indagare sulle dinamiche relative all'accesso ai servizi sanitari sia nel periodo antecedente alla crisi economica, sia nel periodo post-crisi. L'attenzione sarà posta principalmente sull'Italia inserita in un contesto comparato a livello europeo.

Oltre all'Italia, i paesi monitorati nello studio SHARE nelle tre indagini considerate sono: Spagna, Germania, Austria, Svezia, Paesi Bassi, Francia, Danimarca e Belgio.

Equità Orizzontale e Disuguaglianza di Accesso ai Servizi Sanitari

Un sistema sanitario equo in senso orizzontale è essenzialmente un sistema in cui è garantita la possibilità di accedere in egual misura alle prestazioni sanitarie a parità di bisogno e senza distinzioni dovute allo stato socioeconomico.

Un metodo intuitivo per misurare il grado di equità orizzontale che ha caratterizzato i vari sistemi sanitari in Europa pre e post crisi è il calcolo dell'indice di concentrazione nell'accesso alle prestazioni sanitarie. L'indice di concentrazione misura la magnitudine della disuguaglianza ed è uno strumento utile per confrontare i paesi, dal più al meno diseguale.

L'indice di concentrazione che utilizzeremo è stato stimato con il metodo proposto da Wagstaff e Van Doorslaer (2000) e con la standardizzazione indiretta che corregge l'indice dalle differenze demografiche e dalle condizioni di salute individuale (noti in letteratura come "need"). In sintesi, l'indice standardizzato consente di verificare se, tra persone dello stesso sesso e della stessa età, con lo stesso bisogno di cure, ma caratterizzate da stato socioeconomico diverso, si osservano probabilità diseguali in termini di accesso ai servizi sanitari. Ai fini della nostra analisi utilizziamo quattro indicatori di accesso alle prestazioni sanitarie: accesso alle visite ambulatoriali, accesso al medico di base, accesso alle visite specialistiche, accesso alle cure ospedaliere. Con accesso alle vi-

site ambulatoriali ci riferiamo a visite al pronto soccorso o visite in ambulatorio ed escludendo visite dal dentista e ricoveri ospedalieri nei dodici mesi che precedono l'intervista. Per accesso al medico generico consideriamo nella fattispecie l'aver avuto o meno contatti con il medico di famiglia, mentre l'accesso alle visite specialistiche riguarda l'aver consultato o meno, sempre nel corso dei dodici mesi antecedenti all'intervista, un medico specialista (i.e. cardiologo, pneumologo, gastroenterologo, diabetologo o endocrinologo, dermatologo, neurologo, oculista, otorinolaringoiatra, reumatologo o fisiatra, ortopedico, chirurgo, psichiatra, ginecologo, urologo, oncologo e geriatra). Infine, per cure ospedaliere consideriamo l'essere stato ricoverato in ospedale con degenza di almeno una notte (nello specifico, ricoveri in un reparto medico, chirurgico, psichiatrico o in un qualsiasi altro tipo di reparto specializzato).

Tra le determinanti dell'accesso consideriamo lo stato socio-economico degli individui. Prima di tutto il *reddito familiare equivalente* (secondo la scala di equivalenza OCSE), che consentirà di ordinare la popolazione di riferimento sulla base di una misura di reddito che tiene conto sia della dimensione del nucleo familiare sia del numero di figli. Inoltre, considereremo tra gli indicatori dello stato socio-economico il livello di istruzione (misurato sulla base della classificazione ISCED-97), lo stato civile (se l'individuo è sposato o convivente) e lo stato occupazionale

(pensionato, occupato, o appartenente ad altre categorie).

Tra gli indicatori demografici e di "domanda di salute" sono inclusi: età (espressa in anni), sesso, salute percepita, numero di limitazioni in termini di mobilità, numero di disturbi fisici di cui l'individuo ha sofferto negli ultimi sei mesi prima dell'intervista (ad esempio mal di schiena, dolori agli arti, difficoltà di respirazione, ecc.) numero di patologie diagnosticate in passato o durante l'anno dell'intervista e, infine, se l'individuo riceve o meno cure informali da un parente, amico o vicino di casa che potrebbero influenzare l'accesso ai servizi sanitari (Bolin et al., 2008).

Dall'analisi dei risultati emerge che, in Italia, gli indici di concentrazione che si riferiscono all'accesso verso prestazioni sanitarie specialistiche, ricorso al medico di base e visite ambulatoriali, nei tre periodi in considerazione (2004/2005; 2006/2007; 2011/2012) presentano segno positivo e in generale statisticamente significativo. Il segno positivo mostra che l'accesso a questi servizi tende ad essere concentrato tra gli individui appartenenti a fasce di reddito più elevate. Anche l'accesso al medico di base presenta un indice di disuguaglianza positivo: questo risultato è in contrasto con altri paesi europei. Confrontando gli indici nelle tre indagini emerge un trend crescente nella disuguaglianza pro-ricchi ovvero un peggioramento in termini di accesso alle cure da parte delle classi sociali più svantaggiate, in

particolare nel periodo post- crisi economica. Non emerge disuguaglianza nel ricorso ai ricoveri ospedalieri. Per quanto riguarda in particolare l'accesso alle cure specialistiche l'istruzione ha un ruolo fondamentale: il contributo dell'appartenenza ad una classe di istruzione bassa assume valore positivo ed è significativo in tutti e tre i periodi considerati (anche se lievemente ridotto nel periodo post-crisi), a conferma del fatto che la scarsa istruzione penalizza l'accesso alle cure specialistiche per gli individui poveri.

Se guardiamo al contesto europeo, l'Italia segue il trend degli altri paesi per quanto riguarda, una volta ancora, l'accesso alle cure specialistiche.

Negli altri paesi europei considerati nel gruppo SHARE, in controtendenza rispetto all'Italia, l'accesso verso le visite ambulatoriali e il ricorso al medico di base tendono ad essere concentrati tra le classi più povere della popolazione. Tuttavia, non è possibile identificare un chiaro trend pre e post crisi per questi servizi (ovvero un andamento crescente della disuguaglianza nel corso degli anni), ed inoltre gli indici di concentrazione nei diversi periodi non sempre risultano statisticamente significativi.

Conclusioni

La cura della salute produce effetti positivi non solo sul benessere individuale, ma anche su quello della società nel suo complesso. La sostenibilità di un welfare che eroga tutti i servizi a tutti i cittadini non può che essere

affrontata con una revisione di sistema, puntando ad interventi mirati di efficientamento dei servizi e all'identificazione dei bisogni prioritari da soddisfare a reale beneficio dell'intera popolazione. In un contesto quale quello attuale, caratterizzato dalla contrazione della spesa pubblica da un lato e dalla disponibilità crescente di innovazione in ambito di tecnologie sanitarie dall'altro, è fondamentale la misurazione e valutazione dell'innovazione in quanto, quando efficace sebbene caratterizzata da alti costi, offre notevoli benefici al sistema. Per aprire la strada all'innovazione e all'equità dell'accesso delle terapie non perdendo di vista la sostenibilità delle scelte intraprese, i decisori devono affidarsi a metodi di valutazione dell'effettivo beneficio clinico ponderato, considerando aspetti di rischio/beneficio e costi. A livello nazionale risulta importante avviare un processo di revisione del sistema al fine di superare i limiti legati alle differenze di gestione inter e intra regionali, che si traducono in differenze di prestazioni e di offerta sanitaria, e alla necessità di soddisfare maggiormente i bisogni dei pazienti cronici sul territorio. La sfida del futuro consiste nel ricercare la sostenibilità sulla base di questi aspetti e il suo raggiungimento richiede necessariamente l'aggiornamento del modello organizzativo e strutturale del sistema sanitario nazionale con eventuale individuazione di benchmark locali da seguire e potenziare.

BIBLIOGRAFIA

- [1] Schork NJ. Personalized medicine: Time for one-person trials. *Nature*. 2015 Apr;520(7549):609–11
- [2] OECD. Health at a Glance 2011: OECD Indicators. OECD; 2011.
- [3] Carone G, Schwierz C, Xavier A. Cost-containment policies in public pharmaceutical spending in the EU. *European Commission-Economic and Financial Affairs*; 2012.
- [4] Jena AB, Philipson T. Cost-effectiveness analysis and innovation. *Journal of Health Economics*. 2008;27(5):1224–1236.
- [5] Coyle D, Buxton MJ, O'Brien BJ. Stratified cost-effectiveness analysis: a framework for establishing efficient limited use criteria. *Health Economics*. 2003;12(5):421–427.
- [6] De Pouvourville G. Risk-sharing agreements for innovative drugs. *The European Journal of Health Economics*. 2006;7:155–157.
- [7] Adamski J, Godman B, Ofierska-Sujkowska G, Osinska B, Herholz H, Wendykowska K, et al. Risk sharing arrangements for pharmaceuticals: potential considerations and recommendations for European payers. *BMC Health Services Research*. 2010;10(1):153.
- [8] Dickson M, Redwood H. Pharmaceutical Reference Prices: How do They Work in Practice? *PharmacoEconomics*. 1998;14(5):471–479.
- [9] Pharmexec (2017) Europe: A Long Hot Summer of Drug Pricing Tension <http://www.pharmexec.com/europe-long-hot-summer-drug-pricing-tension>
- [10] Danzon PM, Chao LW. Does Regulation Drive out Competition in Pharmaceutical Markets? *Journal of Law and Economics*. 2000 October;43(2):311–57.
- [11] Kaltenboeck A, Bach PB. Value-Based Pricing for Drugs: Theme and Variations. *JAMA*. 2018;319(21):2165–2166. doi:10.1001/jama.2018.4871
- [12] Bach P, Pearson S. Payer and policy maker steps to support value-based pricing for drugs. *JAMA*. 2015;314(23):2503–2504.
- [13] Levaggi R. Pricing schemes for new drugs: A welfare analysis. *Social Science & Medicine*. 2014;102(0):69 – 73
- [14] Levaggi R, Pertile P. Pricing Policies When Patients are Heterogeneous: A Welfare Analysis. University of Verona, Department of Economics; 2016. WP17.
- [15] Chandra, A., Garthwaite, C. The Economics of Indication-Based Drug Pricing *New England Journal of Medicine*, 2017, 377, 103-106

Italian Health Policy Brief

Anno VIII - N° 3 - 2018

Direttore Responsabile

Stefano Del Missier

Direttore Editoriale

Marcello Portesi

Editore



ALTIS Omnia Pharma Service S.r.l.

Contatti redazione:

Tel. +39 02 49538300

info@altis-ops.it

www.altis-ops.it

Comitato esperti

Achille Caputi
Claudio Cricelli
Roberto Labianca
Antonio Nicolucci
Francesco Ripa Di Meana
Carlo Signorelli
Ketty Vaccaro
Antonello Zangrandi



Tutti i diritti sono riservati, compresi quelli di traduzione in altre lingue. **Nota dell'Editore:** nonostante l'impegno messo nel compilare e controllare il contenuto di questa pubblicazione, l'Editore non sarà ritenuto responsabile di ogni eventuale utilizzo di questa pubblicazione nonché di eventuali errori, omissioni o inesattezze nella stessa. Ogni prodotto citato deve essere utilizzato in accordo con il Riassunto delle Caratteristiche di Prodotto (RPC) fornito dalle Case produttrici. L'eventuale uso dei nomi commerciali ha solamente l'obiettivo di identificare i prodotti e non implica suggerimento all'utilizzo.