

## Introduzione alla farmacoeconomia

### Il contesto di riferimento

Tutti i moderni sistemi sanitari negli ultimi anni si sono trovati a dover gestire una realtà molto complessa, caratterizzata dall'esplosione dei costi, a fronte di limitate risorse da impegnare.

L'avvio di nuove terapie farmacologiche ad alto costo, l'aumento progressivo del consumo dei farmaci e il conseguente incremento della spesa hanno imposto ai soggetti istituzionalmente coinvolti nella gestione della sanità pubblica l'esigenza di razionalizzare l'impiego delle risorse.

Questo ha comportato la necessità di applicare, anche in campo sanitario, alcune tecniche di valutazione tipiche dell'analisi economica, al fine di attuare delle scelte che ripartiscano nel miglior modo possibile le scarse risorse disponibili.

### La farmacoeconomia come strumento di allocazione razionale delle risorse sanitarie

In quanto metodo di valutazione utile a chi prende decisioni in tema di allocazione delle risorse, specialmente in ambito pubblico, la farmacoeconomia – insieme all'economia sanitaria – può fornire molti strumenti per una corretta programmazione degli interventi.

La farmacoeconomia può essere definita come la ricerca che identifica, misura e confronta i costi (ad esempio le risorse impiegate) ed i risultati dovuti ai farmaci e alle procedure terapeutiche.

La possibilità di confrontare i vari trattamenti alternativi per individuare quello che presenta il miglior rapporto beneficio/costo, costituisce non solo una grande opportunità per razionalizzare l'impiego delle risorse, ma anche un dovere etico-sociale.

Infatti, anche sotto il profilo etico, il medico che induce un consumo di risorse per curare il proprio paziente, dovrebbe considerare che le sue scelte sottraggono beneficio ad altri.

I medici, però, per tradizione culturale, sono stati abituati a considerare la salute come bene assoluto, e come tale svincolato da condizionamenti di tipo economico. Conseguentemente si è diffusa tra i medici la convinzione che gli atti posti in essere nell'esercizio della loro professione dovessero essere giustificati esclusivamente dall'efficienza nella prevenzione e nella cura dei pazienti, indipendentemente dal costo dei singoli interventi.

Da qualche tempo, tuttavia, si sta affermando anche tra i medici un atteggiamento diverso: gli operatori sanitari più attenti hanno sentito l'esigenza di completare le proprie conoscenze aprendosi ad una prospettiva "economica" del proprio agire, sollecitati anche dalla diffusione di una cultura scientifica che tende a validare empiricamente le scelte e a giustificarle in base ad una serie di valori etico-sociali.

Il medico, quale principale ordinatore della spesa sanitaria e farmaceutica, è implicitamente coinvolto nelle analisi farmacoeconomiche e sembra quindi necessario ed inevitabile che ne acquisisca almeno gli elementi fondamentali.

In questo modo i medici potrebbero intraprendere un percorso critico che, comportando un miglioramento della capacità prescrittiva, contribuirebbe alla riqualificazione della spesa farmaceutica nell'ambito della spesa sanitaria globale.

Relativamente ai trattamenti farmacologici, infatti, la conoscenza, ad esempio, del rapporto beneficio/costo e la possibilità correlata di trarre un giudizio di convenienza sono importanti elementi offerti dalla farmacoeconomia per poter razionalizzare la prescrizione dei farmaci.

### Applicabilità della farmacoeconomia alle decisioni sull'impiego dei farmaci: cautele e limiti

Bisogna naturalmente essere consapevoli non solo dell'utilità, ma anche dei limiti degli studi di farmacoeconomia: la loro qualità, infatti, dipende fortemente dalla correttezza metodologica e dall'obiettività con cui vengono impostati e condotti. Affinché le analisi farmacoeconomiche non si trasformino in strumenti promozionali, e non siano condizionate da variabili soggettive, dovrebbero essere eseguite da strutture indipendenti che scelgano gli obiettivi in base alla loro rilevanza sanitaria e non a quella commerciale. Tali analisi, pertanto, possono acquisire validità soltanto se utilizzano dati attendibili che derivano da meta-analisi o, comunque, da studi clinici metodologicamente ben condotti. Di questo devono quindi essere consapevoli i medici ed i farmacisti per poter leggere ed interpretare in modo critico le ormai numerosissime pubblicazioni dedicate all'argomento.

### Presentazione delle principali tecniche farmacoeconomiche

Alla luce di queste considerazioni, la serie di articoli che verranno presentati in questa rubrica ha lo scopo di

contribuire, almeno in parte, alla diffusione delle basi della farmacoeconomia, affinché possano divenire patrimonio comune degli operatori sanitari in una realtà complessa in cui si rende indispensabile una mediazione fra gli interessi del singolo paziente e quelli di tutti i cittadini, anche attraverso la capacità di gestire le scelte secondo criteri di costo/efficacia, e non solo di rischio/beneficio.

Ci limiteremo, in questa sede, a portare all'attenzione dei lettori le caratteristiche fondamentali dei principali modelli dell'analisi farmacoeconomica, attraverso la definizione degli stessi e l'illustrazione del tipo di risultato prodotto, rinviando ulteriori approfondimenti ed esempi di applicazione ai prossimi numeri del *Bollettino*.

## Le principali tecniche dell'analisi farmacoeconomica

1. **Analisi di minimizzazione dei costi (CMA: *Cost Minimization Analysis*)**: si applica per determinare quale sia il trattamento più economico nell'ambito di più alternative aventi la stessa efficacia e finalità terapeutiche simili;
2. **Analisi costo/efficacia (CEA: *Cost/Effectiveness\* Analysis*)**: serve a calcolare il rapporto tra costi e benefici (esprimendo il beneficio in unità cliniche o fisiche) in relazione ad un singolo trattamento oppure nel confronto tra più trattamenti finalizzati allo stesso scopo terapeutico, ma aventi diversa efficacia clinica;
3. **Analisi costo/beneficio (CBA: *Cost/Benefit Analysis*)**: si usa per calcolare il rapporto tra costi e benefici clinici (entrambi espressi in termini monetari); si esegue in relazione ad un singolo trattamento ovvero nel confronto tra più trattamenti che hanno lo stesso scopo terapeutico, ma efficacia clinica differente;
4. **Analisi costo/utilità (CUA: *Cost/Utility Analysis*)**: si applica per calcolare il rapporto tra costi e benefici monetizzando il costo ed esprimendo il beneficio in unità cliniche che incorporano una stima della qualità di vita dei pazienti (i cosiddetti *quality-adjusted life years* o QALYs).

I metodi di valutazione economica presentati rientrano nella categoria delle tecniche di analisi "complete", in quanto valutano sia i costi sia le conseguenze delle alternative terapeutiche; tali metodi possono quindi essere ricondotti ad un unico principio: l'analisi di uno o più interventi attraverso il confronto tra le risorse necessarie alla realizzazione (*input*) e le conseguenze e gli effetti derivanti (*outcome*). Queste quattro fondamentali tecniche si differenziano per finalità e obiettivi, per le peculiarità dei risultati terapeutici considerati e per le unità di misura scelte per quantificare gli *outcome*. Hanno invece in comune l'unità di misura dei costi che sono sempre espressi in valori monetari.

L'applicazione delle tecniche "complete" nelle valutazioni farmacoeconomiche deve essere privilegiata rispetto a quella delle tecniche cosiddette "parziali", in quanto queste ultime, considerando solo i costi o solo le conseguenze di due o più alternative, non sono in grado di fornire elementi decisivi per poter valutare la convenienza di una scelta tra programmi terapeutici diversi.

\*Il termine italiano "efficacia" traduce i due termini inglesi *efficacy* ed *effectiveness*. Nei paesi anglosassoni tali termini hanno una diversa accezione. *Efficacy* è l'efficacia di un trattamento dimostrata misurando il beneficio prodotto in una popolazione studiata in condizioni ideali di attuazione di tale trattamento. Classicamente la dimostrazione di *efficacy* si ottiene mediante studi clinici controllati randomizzati. *Effectiveness* è invece l'efficacia dello stesso trattamento misurata attraverso il beneficio prodotto in un ambito non più sperimentale, ma di normale pratica clinica: è quindi riferita ad una popolazione il più possibile prossima a quella reale e in condizioni di pratica clinica normali (v. *BIF* 2000;1:36-7).