

# La valutazione economica del farmaco e l'analisi di budget impact nel contesto di Health Technology Assessment

Giorgio Lorenzo Colombo

CEFAT - Centro di Economia del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie, Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi, Pavia

G Ital Cardiol 2024;25(1 Suppl 2):e1-e3

## INTRODUZIONE

Il settore farmaceutico, caratterizzato dalla complessità intrinseca dei suoi prodotti, si distingue per l'interdipendenza tra diversi attori, tra cui imprese farmaceutiche, il sistema sanitario, medici e pazienti, con l'ulteriore presenza attiva dello Stato come terzo pagante e regolatore. Tale intervento pubblico è finalizzato al controllo della spesa e alla regolamentazione dell'offerta, inserendosi in un contesto in cui le decisioni riguardanti le risorse sanitarie sono soggette a una serie di variabili complesse<sup>1</sup>. In questo scenario, l'Health Technology Assessment (HTA) emerge come elemento cruciale per la formulazione di decisioni informate e consapevoli riguardo all'allocazione delle risorse nel sistema sanitario. L'HTA rappresenta una valutazione multidisciplinare delle conseguenze derivanti dall'impiego di tecnologie sanitarie, nata per affrontare la limitatezza delle risorse disponibili nel contesto sanitario. Focalizzandosi su aspetti quali efficacia e razionalizzazione dei costi, l'HTA si applica a diversi livelli del sistema sanitario, dall'ambito macro a quello meso e micro. Ha l'obiettivo di migliorare la salute e l'uso appropriato delle tecnologie sanitarie. Per raggiungere tali traguardi, l'HTA si avvale di approcci multidisciplinari, sistematici e orientati politicamente, al fine di fornire informazioni basate sull'evidenza ai decisori del settore sanitario<sup>2</sup>.

L'analisi di HTA esamina proprietà tecniche, efficacia, sicurezza, costo/impatto economico, aspetti epidemiologici, percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali, aspetti organizzativi e implicazioni etiche, legali e sociali di una tecnologia sanitaria. Utilizza diverse tecniche di valutazione economica, come analisi di costo-efficacia, costo-utilità e costo-beneficio. L'obiettivo è guidare decisioni basate su evidenze scientifiche, migliorando l'allocazione delle risorse nel sistema sanitario.

## VALUTAZIONE ECONOMICA DEL FARMACO

Le metodologie di valutazione economica dei farmaci nell'ambito dell'HTA sono sempre in continua evoluzione.

Ogni nuovo studio migliora le metodologie esistenti e anche la terminologia può variare tra diversi autori. La scelta della tecnica migliore dipende dalla natura del problema, dalle informazioni disponibili e dalla capacità di misurare le variabili rilevanti. La valutazione economica si configura come uno strumento guida nelle decisioni che coinvolgono alternative diverse, compresa l'opzione di non intervenire. È importante notare che la scelta di non fare nulla può comportare costi, come nel caso della rinuncia a una campagna di vaccinazione che potrebbe portare a spese per la cura delle persone colpite dalla malattia<sup>3</sup>. I pilastri della valutazione economica sono: il costo (come costo-opportunità, inteso come rinuncia a opportunità alternative) ed il beneficio, rappresentato dalle conseguenze positive (e talvolta negative) di un intervento, come ad esempio un nuovo farmaco (esiti in termini di salute). Questa valutazione riveste un'importanza cruciale nelle decisioni relative alla registrazione e all'inclusione nel Prontuario terapeutico nazionale, con un ruolo chiave affidato al Ministero della Salute e all'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) in Italia. Inoltre, l'analisi farmacoeconomica assume rilevanza per le decisioni ospedaliere in merito ai loro prontuari e contribuisce a rendere più razionali le prescrizioni mediche.

La parte più intricata dell'analisi farmacoeconomica è associata alla valutazione delle conseguenze, con diverse tecniche che differiscono principalmente nei metodi di calcolo di tali conseguenze. Mentre alcune tecniche, come l'analisi dei costi e l'analisi di minimizzazione dei costi, considerano le conseguenze solo se assimilabili, altre come l'analisi di costo-efficacia (*cost-effectiveness analysis*, CEA) e l'analisi di costo-utilità esaminano esplicitamente le conseguenze, utilizzando unità fisiche o monetarie a seconda del contesto.

Per completare questa introduzione, è importante ricordare gli sforzi volti a calcolare il costo complessivo o l'onere imposto alla società dalla presenza di specifiche malattie, noti come costo della malattia o burden di malattia. Tali studi forniscono informazioni cruciali per stabilire priorità nell'allocazione delle risorse destinate al controllo o all'eradicazione di determinate malattie. Tuttavia, è fondamentale evidenziare che essi non costituiscono valutazioni economiche dirette, ma forniscono indicazioni utili per identificare i principali "cost-driver" di una malattia, valutare i comportamenti dei pazienti e dei medici, e individuare gli elementi essenziali per condurre successivi studi di valutazione economica, come analisi di costo-efficacia o costo-beneficio.

© 2024 Il Pensiero Scientifico Editore

L'autore dichiara nessun conflitto di interessi.

Realizzato con il sostegno non condizionato di PIAM Farmaceutici SpA.

Per la corrispondenza:

**Prof. Giorgio Lorenzo Colombo** CEFAT - Centro di Economia del Farmaco e delle Tecnologie Sanitarie  
Dipartimento di Scienze del Farmaco, Università degli Studi,  
Via Taramelli 14, 27100 Pavia  
e-mail: colombog@unipv.it

## ANALISI DI BUDGET IMPACT

Poiché un aumento dell'efficacia spesso si traduce in un aumento della spesa sanitaria, la letteratura economica suggerisce di accompagnare le valutazioni economiche con un'analisi dell'impatto sulla spesa, nota come *budget impact analysis* (BIA)<sup>4</sup>.

La BIA valuta le implicazioni finanziarie derivanti dall'adozione e dalla diffusione di una nuova tecnologia in uno specifico contesto. Si concentra sul concetto di "affordability" (sostenibilità economica) ed è complementare alla CEA. Entrambe sono importanti strumenti per i decisori sanitari nella valutazione di nuove tecnologie, ma possono fornire risultati discordanti se condotte da prospettive diverse:

- CEA (dal punto di vista della società): la nuova tecnologia è costo-efficace.
- BIA (dal punto di vista del terzo pagatore): la nuova tecnologia potrebbe non essere sostenibile economicamente per il budget e il contesto di interesse.

La BIA confronta scenari realistici definiti da un mix di interventi, piuttosto che analizzare singolarmente le tecnologie come avviene nella CEA. Inoltre, tiene conto del fatto che l'introduzione di una nuova tecnologia potrebbe non sostituire immediatamente l'alternativa attuale, ma avviene nel tempo con impatti temporali successivi sul servizio sanitario. La prospettiva della BIA può essere limitata, ad esempio, al budget di una farmacia ospedaliera<sup>4</sup>.

## IDENTIFICAZIONE E CLASSIFICAZIONE DEI COSTI E DELLE CONSEGUENZE

Nel processo di valutazione economica, il passo successivo è identificare e classificare i costi e le conseguenze, assumendo

per semplicità che le conseguenze siano benefici, ipotizzando solo esiti positivi dell'intervento. Anche se non tutti i costi e i benefici verranno quantificati, è importante che il processo di identificazione sia il più completo possibile per evitare di trascurare costi o benefici rilevanti, anche se di difficile quantificazione<sup>5</sup>.

Le principali categorie di costi utilizzate nelle valutazioni economiche includono:

- *Costi diretti*
  - Costi sanitari: comprendono le spese per prevenire, curare, diagnosticare e riabilitare i pazienti.
  - Costi non sanitari: rappresentati dalle spese esterne al sistema sanitario, come quelle di trasporto e supporto.
- *Costi indiretti*
  - Costi dei giorni di lavoro perso e/o mancato guadagno: riflettono l'impatto sulla collettività in termini di perdita di produttività lavorativa.
- *Costi intangibili*
  - Rappresentati da costi derivati da stati o fattori soggettivi, come il dolore o l'ansia, associati a una determinata patologia e/o terapia.

Il flusso dei costi, che riflette l'impiego delle risorse, segue da vicino il flusso degli atti sanitari specifici che l'azione comporta. Una descrizione dettagliata degli atti elementari e dei materiali utilizzati diventa cruciale per l'identificazione accurata dei costi.

In conclusione, la BIA, nell'esempio riportato in Figura 1, è un importante complemento alla valutazione economica delle nuove tecnologie nel settore sanitario. Poiché l'aumento dell'efficacia spesso si accompagna a un aumento della spesa, la BIA è fondamentale per valutare l'effettiva sostenibilità economica di un'innovazione nel contesto di interesse. Mentre la

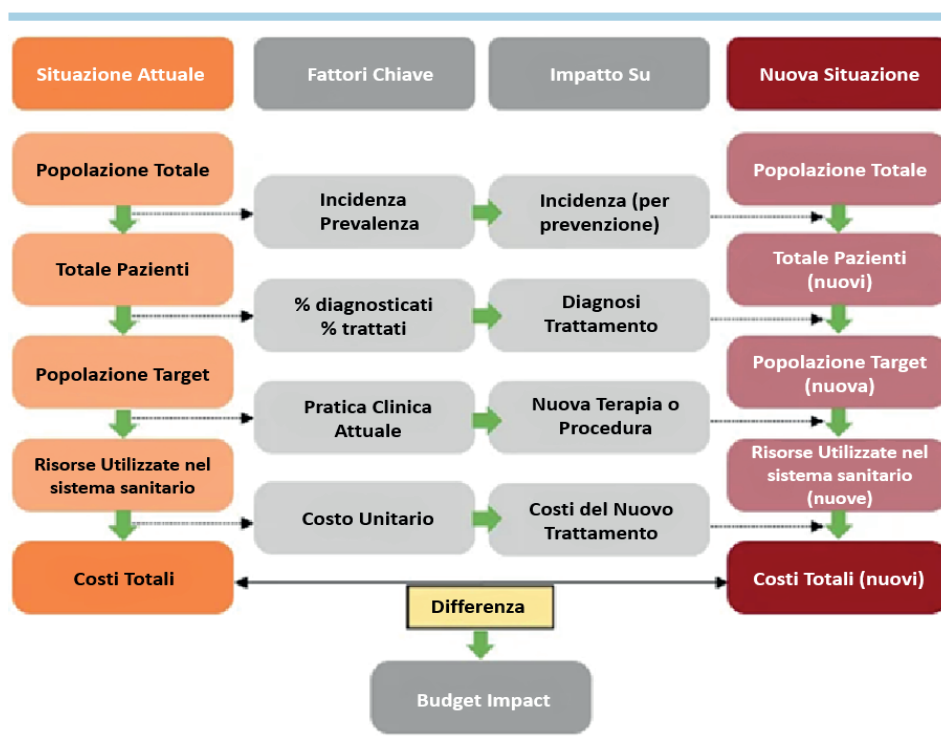


Figura 1. Struttura di una analisi di budget impact.

CEA si concentra sull'efficacia dal punto di vista della società nel suo complesso, la BIA fornisce una prospettiva più ristretta, concentrandosi sul terzo pagatore e sul budget disponibile. Inoltre, la BIA considera scenari realistici che includono il mix di interventi e i tempi di transizione nell'adozione di

nuove tecnologie, offrendo una visione più completa dell'impatto finanziario. Pertanto, entrambe queste analisi sono fondamentali per i decisori sanitari, ma servono a scopi diversi e forniscono informazioni complementari per prendere decisioni informate e sostenibili nel campo della sanità.

## BIBLIOGRAFIA

1. Colombo GL. Economia e gestione della farmacia. Pavia: Selecta Medica; 2002.
2. Croce D. Health Technology Assessment. Governance tecnologica per la sanità. Milano: Guerini Next; 2019.
3. Colombo GL, Castagna A, Salpietro S, et al. Cost-effectiveness evaluation of initial HAART regimens for managing HIV-infected patients according to real clinical practice [abstract]. *J Int AIDS Soc* 2012;15(Suppl 4):18386.
4. Marcellusi A, Ragonese A, Marinozzi A, et al. Buone pratiche per lo sviluppo dei modelli di budget impact a livello regionale. *Glob Reg Health Technol Assess* 2023;10:53-61.
5. Tarricone R. Valutazioni economiche e management in sanità. Milano: McGraw-Hill; 2004.