

Ruolo della FARMACOECONOMIA nello sviluppo e nell'impiego dei farmaci

LUCIANO CAPRINO

Prof. Farmacologia Medica
Università La Sapienza, Roma

Presidente S.I.F.E.I.T

SOCIETÀ ITALIANA per STUDI di ECONOMIA ed ETICA
sul FARMACO e sugli INTERVENTI TERAPEUTICI

TUTTI GLI STATI DEVONO OGGI AFFRONTARE LA SFIDA RELATIVA ALLE SPESE DELLA SALUTE (a fronte delle risorse disponibili)

Questa sfida nasce dalla sommatoria di diversi fattori:

- **invecchiamento progressivo** della popolazione con conseguente aumento della morbidità
- introduzione di **nuovi mezzi** tecnologici
- immissione nel mercato di **farmaci innovativi, ad elevata tecnologia** e molto **costosi**

Appare necessario:

- ⊙ Razionalizzare la spesa farmaceutica
- ⊙ mantenere, anzi migliorare, i livelli di assistenza sanitaria.

Sembrano due obiettivi tanto contrapposti da ipotizzare impossibile qualsiasi tentativo di realizzazione

**La dimostrazione della utilità
e della convenienza
di un farmaco sta diventando
un necessario complemento
della sua validità terapeutica**

La Farmacoeconomia si propone di

Aiutare a **selezionare** i farmaci correlando il **beneficio** al **costo**

*non ridurre contemporaneamente il **livello dell'assistenza terapeutica***

tener presente che il farmaco non è solo un costo, ma anche un **investimento di carattere socio-economico**

La Farmacoeconomia valuta un trattamento farmaco-terapeutico attraverso:

- 📄 l'efficacia clinica
- 📄 la tollerabilità
- 📄 la **qualità di vita raggiungibile**
- 📄 i costi d'impiego
- 📄 le ripercussioni sulla spesa sanitaria

Il **valore** di un farmaco **prima** legato soltanto
al **rapporto Rischio/Beneficio Terapeutico**



Rapporto Costo/Efficacia – Costo/Utilità

Includendo i costi per ADR

Ricerca
clinica



Efficacy

Outcomes
research



Effectiveness

Farmaco
economia



Costo/effectiveness

Valutazione dell'efficacia clinica di un medicamento

Mediante sperimentazioni cliniche controllate (**RCT**) che confrontano il farmaco innovativo con un altro di riferimento o con il placebo

 **Efficacy**

Efficacy:

Valutazione dell'efficacia clinica registrata su pazienti (**campione di popolazione**) **arruolati** in una sperimentazione clinica

Studi sulla popolazione

 **Effectiveness**

Effectiveness:

Valutazione dell'efficacia clinica registrata su popolazione nelle **normali condizioni di impiego**

CRITERI PER LA VALUTAZIONE EFFICACY - EFFECTIVENESS

Outcome

- **TARGET SECONDARI**

(Surrogate endpoints)

- normalizzazione di un parametro coinvolto nel processo fisiopatologico di una malattia

– Es.: ↓ Px Arteriosa
 ↓ Aggr. Piastrinica

- **TARGET PRIMARI**

(Hard endpoints)

- prolungamento della vita
- miglioramento della qualità di vita
- prevenzione o riduzione dell'incidenza di uno specifico esito patologico

11

**Tutte le analisi
Farmacoeconomiche sono
essenzialmente costituite
da un rapporto: costi/outcome**

**Gli Outcomes sono gli esiti
o le conseguenze cliniche
di una terapia**

12

Tipi di Outcome

prolungamento della vita

miglioramento della qualità di vita

**prevenzione / riduzione
di un'esito patologico**

**normalizzazione di un parametro
indicatore di una malattia**

Esempi di outcome:

anni di vita guadagnati

riduzione attacchi epilettici

**giorni liberi da attacchi
asmatici**

diminuzione di complicanze

vite salvate

Principali *Outcomes* considerati nelle analisi farmacoeconomiche:

- **Efficacia:** outcome clinici/ fisici (giorni liberi da malattia, anni di vita guadagnati)
- **Utilità:** outcome clinici-fisici ponderati per la qualità di vita

19

Un trattamento **costoso** può avere **basse priorità** solo se i benefici appaiono **troppo modesti** per giustificarne il costo.

Un trattamento farmacologico **particolarmente costoso** può risultare **economico** in caso di **assoluta insostituibilità** per patologie o quanto capace di ridurre la degenza.

20

ESEMPIO

Morbo di Alzheimer

L'impiego di farmaci di *sicura attività* e attivi per lungo periodo di tempo:

- determinerebbe un aumento della spesa, ma
- comporterebbe una diminuzione del costo dell'assistenza

La Farmacoeconomia valuta un trattamento farmaco-terapeutico attraverso:

- 📄 l'efficacia clinica
- 📄 la tollerabilità
- 📄 la *qualità di vita raggiungibile*
- 📄 i costi d'impiego
- 📄 le ripercussioni sulla spesa sanitaria



Bassa - alta priorità

La FARMACOECONOMIA come strumento per il SSN si propone di valutare:

•Benefici terapeutici quali:

- Aumento dell'aspettativa di vita
- Aumento dell'aspettativa di vita e della sua qualità
- Correzione di alcuni parametri patologici (**End Point surrogati**)
- Riduzione delle complicanze invalidanti indotte dalla malattia.

•Effetti avversi del farmaco

•Compliance dei pazienti (*trattamenti cronici*)

•Costi d'impiego in rapporto alla gravità della patologia.

• Ripercussioni sulla spesa sanitaria (le risorse non sono infinite)

11

La FARMACOECONOMIA come strumento per il SSN necessita di:

ESPERTI NEL SETTORE per:

- Impostazione, svolgimento e stesura di analisi di Farmacoeconomia
- Verifiche (*su richiesta del Decision Maker*) delle analisi condotte

BANCHE DATI SPECIFICHE PER STUDI FARMACOECONOMICI:

- Outcomes
- Farmacoutilizzazione
- Compliance
- Costi / rimborsabilità



Sono altresì necessari:

PER L'EFFETTUAZIONE DI ANALISI FARMACOECONOMICHE:

Good Clinical Practice (GCP)



Good Pharmacoeconomic Practice (GFP)

MOTIVAZIONI: È possibile “indirizzare” uno studio farmacoeconomico in base a scelte/selezioni più o meno attente su:

- Outcomes
- compliance
- QALYs e criteri di misurazione
- tipi di costi da considerare
- altro

31

Compiti della FARMACOECONOMIA (Farmacologo-Farmacoeconomista)

**indicare al SSN (“*Decision Maker*”) la
priorità di un trattamento farmacologico**

**contribuire alla scelta dei farmaci
per i Prontuari terapeutici**

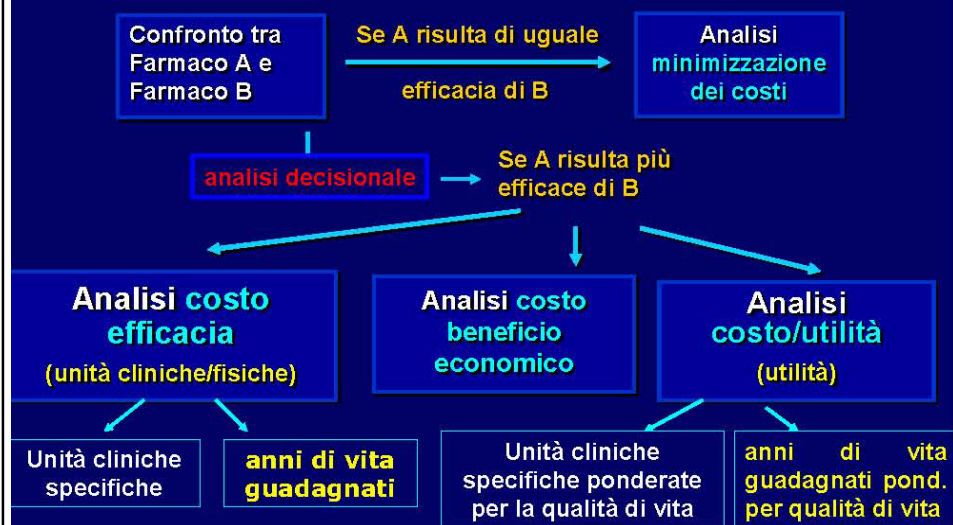
**Indirizzare le industrie farmaceutiche
verso l’individuazione di nuovi
chemicals come farmaci innovativi**

32

Modelli di analisi farmacoeconomica



Modelli di analisi farmacoeconomica



Gli studi farmacoeconomici non devono trascurare i principi etici.

E' etico non prendere in considerazione, *per una particolare patologia*, una *terapia ad alto costo* e con *ridotta probabilità di successo*?

Da una parte : una *esigua probabilità di successo*, è sempre meglio della **certezza di niente**

Dall'altra parte: occorre tenere in considerazione che *le risorse non sono illimitate* e che quanto viene assegnato ad un paziente viene *inevitabilmente* sottratto ad un altro

24

Conclusioni 1

Un sistema sanitario deve razionalizzare gli interventi farmaco-terapeutici e stabilire una scala di priorità basata sulla stima di:

- beneficio terapeutico ottenibile,
- potenziali danni (*ADR*),
- costo e importanza del risultato
(*ad esempio vita salvata*)

Avendo presente le esigenze di carattere etico

25

Conclusioni 2

La **Farmacoeconomia** e l'**Outcomes Research** svolgono e, a maggior ragione, svolgeranno un **ruolo centrale**



- Programmazione Sanitaria
- Prescrizione farmaci con attenzione ai motivi etici:
 - **Versus** pazienti
 - **Versus** collettività

37

In sintesi gli studi di **Farmacoeconomia** si propongono di

Aiutare (Autorità Sanitarie, Medico) a **selezionare** i farmaci correlando il **beneficio** al **costo**

non ridurre contemporaneamente il livello dell'assistenza terapeutica

tener presente che il farmaco non è solo un costo, ma anche un **investimento di carattere socio-economico**

38

SM. Grundy scrive:

(Circulation. 2005; 111:3016)

I medici dovrebbero avere la responsabilità di conoscere e comprendere il **profilo di sicurezza** e il **rapporto costo/efficacia** di ciascun medicinale affinché la **scelta** del farmaco e della **dose** possano bilanciare appropriatamente i **benefici** ed i **rischi** legati alla terapia.