



SAPIENZA UNIVERSITA' DI ROMA
Dipartimento di Sanità Pubblica e Malattie Infettive

LE TECNICHE DI VALUTAZIONE ECONOMICA DEI PROGRAMMI SANITARI

Paolo Villari

paolo.villari@uniroma1.it

I TRE PROBLEMI FONDAMENTALI DELL'ORGANIZZAZIONE ECONOMICA:

COSA PRODURRE?

COME PRODURRE?

PER CHI PRODURRE?

NON SONO RISOLVIBILI COMPLETAMENTE IN SANITA' ATTRAVERSO IL MODELLO DI LIBERO MERCATO



TECNICHE DI VALUTAZIONE ECONOMICA DEI PROGRAMMI SANITARI:

- **ANALISI DI MINIMIZZAZIONE DEI COSTI (CMA)**
- **ANALISI COSTI-EFFICACIA (CEA)**
- **ANALISI COSTI-UTILITA' (CUA)**
- **ANALISI COSTI-BENEFICI (CBA)**

RAZIONALE:

- **SCARSITA' DELLE RISORSE**
- **CONCETTO DI COSTO-OPPORTUNITA'**

Anni '90

Anni 2000

Riforme e misure di bilancio improntate quasi esclusivamente al contenimento della spesa
(imperativo economico)

Riforme finalizzate al controllo della spesa attraverso recuperi di efficacia, appropriatezza ed efficienza

**"All effective treatments
should be free"**
Archie Cochrane, 1971



**"All cost-effective
treatments should be free"**
Alan Williams, 1997

“ ... La città di Pittsburgh sarà in breve dotata di un impianto di filtrazione dell'acqua destinata al consumo umano, costato circa 7 milioni di dollari. Poiché negli ultimi anni il numero di morti per tifo è stato di circa 400 ogni anno, sembra ragionevole stimare che l'impianto possa salvare almeno 100 vite umane all'anno. Se valutiamo economicamente una vita umana a 5.000 dollari, l'impianto dovrebbe produrre un risparmio annuale di circa mezzo milione di dollari, configurandosi quindi non solo come misura umanitaria, ma anche come un ottimo investimento ... ”

W.T. Sedwick, 1908

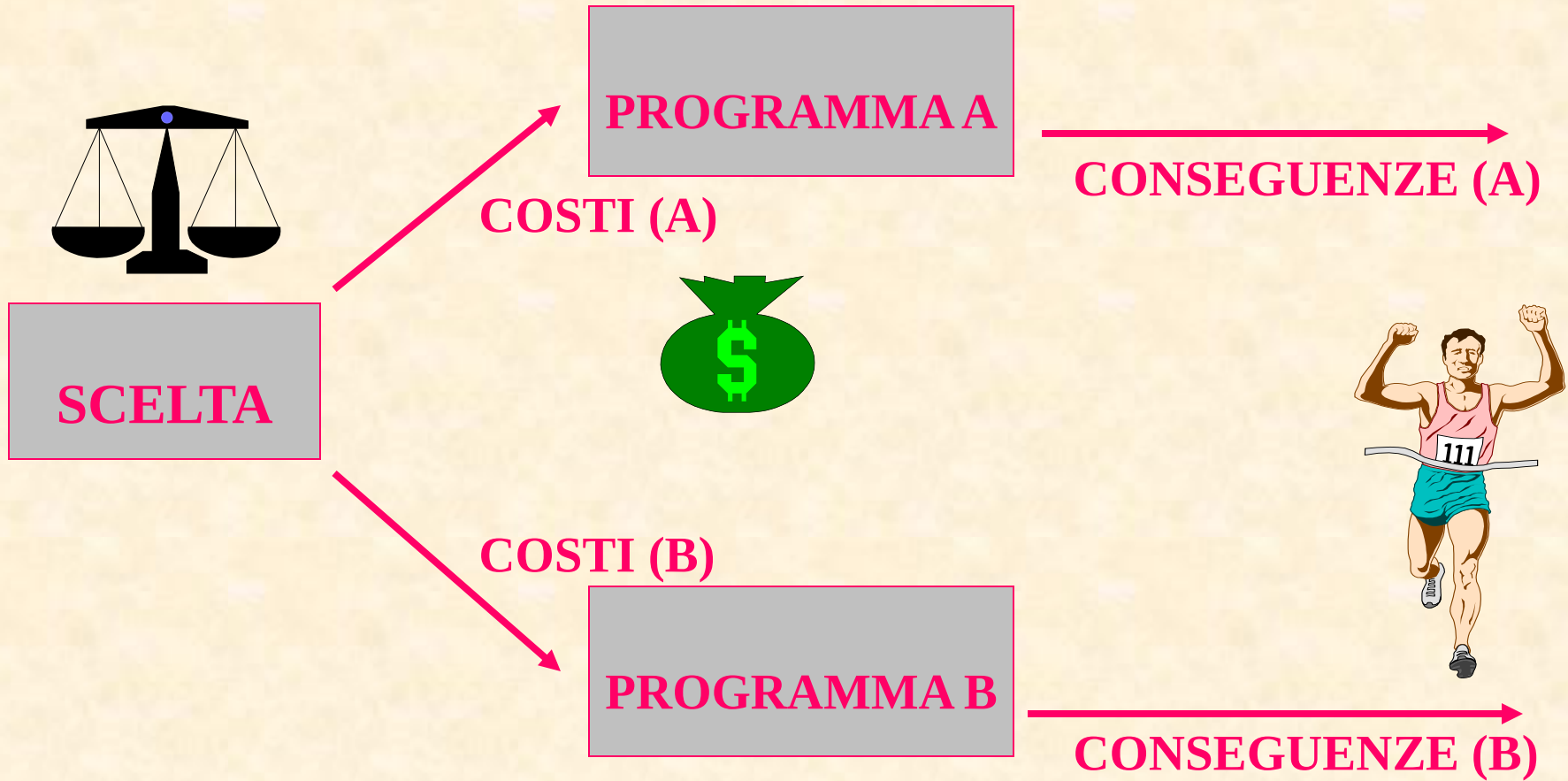
COS'E' LA VALUTAZIONE ECONOMICA?

“Essenzialmente, l’analisi costi-benefici consiste in un confronto dei costi e dei benefici di una serie di programmi considerati alternativi o in competizione” (*Klarman, 1967*)

“La valutazione economica è una analisi comparativa dei costi e delle conseguenze di strategie d’azione alternative” (*Drummond et al., 1987*)

“L’analisi costo-efficacia è un metodo finalizzato a valutare in senso comparativo l’impatto della destinazione di quote di spesa a diversi interventi sanitari” (*Garber et al., 1996*)

CARATTERISTICHE DELLE VALUTAZIONI ECONOMICHE COMPLETE



TECNICHE DI VALUTAZIONE ECONOMICA (I)

- ANALISI DI MINIMIZZAZIONE DEI COSTI
- ANALISI COSTI-EFFICACIA
- ANALISI COSTI-UTILITA'
- ANALISI COSTI-BENEFICI

IN RELAZIONE AI COSTI

Tutte le tecniche considerano i costi allo stesso modo

IN RELAZIONE AI BENEFICI DI SALUTE

I metodi per misurare e quantificare i benefici di salute differiscono in modo sostanziale tra le diverse tecniche

LE PRINCIPALI TECNICHE DI VALUTAZIONE ECONOMICA (II)

Tipo di analisi	Misurazione/ valutazione dei costi	Misurazione/ valutazione degli effetti
Analisi di minimizzazione dei costi	Unità monetarie (es. dollari)	Nessuna
Analisi costo-efficacia	Unità monetarie (es. dollari)	Unità di misura fisiche (es. anni di vita guadagnati)
Analisi costo-utilità	Unità monetarie (es. dollari)	“quality-adjusted life-years”, anni di vita guadagnati ponderati per la relativa qualità
Analisi costo-beneficio	Unità monetarie (es. dollari)	Unità monetarie (es. dollari)

ANALISI DI MINIMIZZAZIONE DEI COSTI (C.M.A.)

APPLICAZIONI

Può essere utilizzata nel momento in cui si vogliono valutare interventi/programmi per cui è possibile assumere identica efficacia

MISURAZIONE DELLE CONSEGUENZE DI SALUTE

Non necessaria

MISURAZIONE DEI COSTI

Unità monetarie

REGOLE DECISIONALI

La scelta ricade sull'alternativa a costo minore

ANALISI COSTI-EFFICACIA (C.E.A.)

APPLICAZIONI

Può essere utilizzata nel momento in cui si vogliono valutare interventi/programmi di diversa efficacia, che può essere quantificata in anni di vita salvati

MISURAZIONE DELLE CONSEGUENZE DI SALUTE

Anni di vita salvati (“Life years saved”)

MISURAZIONE DEI COSTI

Unità monetarie

REGOLE DECISIONALI

Il rapporto costo-efficacia, costruito ponendo i costi al numeratore e gli anni di vita salvati al denominatore, ci dice quanto costa, per ciascun intervento/programma, un anno di vita salvato. La scelta ricade, in carenza di risorse, sull'alternativa con rapporto costo-efficacia più basso

ANALISI COSTI-UTILITA' (C.U.A.)

APPLICAZIONI

Può essere utilizzata nel momento in cui si vogliono valutare interventi/programmi di diversa efficacia, quantificabile in aumento della sopravvivenza da correggere, tuttavia, per la qualità della vita

MISURAZIONE DELLE CONSEGUENZE DI SALUTE

Anni di vita salvati corretti per la qualità della vita (“Quality-adjusted life years saved”)

(morte) 0 ————— 1 (perfetta salute)

MISURAZIONE DEI COSTI

Unità monetarie

REGOLE DECISIONALI

Il rapporto costo-utilità ci dice quanto costa, per ciascun intervento/programma, un anno di vita salvato tenendo in debito conto anche la qualità della vita. La scelta ricade, in carenza di risorse, sull'alternativa con rapporto costo-utilità più basso

ANALISI COSTI-BENEFICI (C.B.A.)

APPLICAZIONI

Può essere utilizzata nel momento in cui si vogliono valutare interventi/programmi di diversa efficacia, non quantificabile nelle stesse unità di misura

MISURAZIONE DELLE CONSEGUENZE DI SALUTE

Unità monetarie

MISURAZIONE DEI COSTI

Unità monetarie

REGOLE DECISIONALI

In teoria, qualsiasi intervento/programma in cui i benefici sono superiori ai costi deve essere implementato

ANALISI COSTI-BENEFICI (C.B.A.)

METODI PER LA QUANTIFICAZIONE MONETARIA DEI BENEFICI IN TERMINI DI SALUTE

“ HUMAN CAPITAL APPROACH”

“REVEALED PREFERENCE APPROACH”

“ WILLINGNESS TO PAY APPROACH”

LE FASI PRINCIPALI DELL'ANALISI COSTI-EFFICACIA

1. DEFINIZIONE DEL PROBLEMA E DESCRIZIONE PRECISA DEGLI INTERVENTI ALTERNATIVI

2. QUANTIFICAZIONE DEI COSTI (COSTO NETTO DELL'INTERVENTO)

N.B.: i costi “futuri” vanno espresso in “valore attuale” mediante procedure di attualizzazione (“discounting”)

3. QUANTIFICAZIONE DELLE CONSEGUENZE IN TERMINI DI SALUTE (EFFICACIA NETTA DELL'INTERVENTO)

N.B.: anche i benefici “futuri” devono essere “attualizzati”

4. CALCOLO DEL RAPPORTO COSTI-EFFICACIA E VALUTAZIONE DELLA DECISIONE DA PRENDERE

5. ESECUZIONE DELLE OPPORTUNE ANALISI DI SENSIBILITA'

TIPOLOGIE METODOLOGICHE DI ANALISI COSTI-EFFICACIA

1. MODELLO MATEMATICO

2. DISEGNO OSSERVAZIONALE

3. DISEGNO SPERIMENTALE

SPECIAL ARTICLE

FOUNDATIONS OF COST-EFFECTIVENESS ANALYSIS FOR HEALTH AND MEDICAL PRACTICES

MILTON C. WEINSTEIN, PH.D., AND WILLIAM B. STASON, M.D., S.M.

Abstract Limits on health-care resources mandate that resource-allocation decisions be guided by considerations of cost in relation to expected benefits. In cost-effectiveness analysis, the ratio of net health-care costs to net health benefits provides an index by which priorities may be set. Quality-of-life concerns, including both adverse and beneficial effects of therapy, may be incorporated in the calculation of health benefits as adjustments to life expectancy. The timing of future benefits and costs may

be accounted for by the appropriate use of discounting. Current decisions must inevitably be based on imperfect information, but sensitivity analysis can increase the level of confidence in some decisions while suggesting areas where further research may be valuable in guiding others. Analyses should be adaptable to the needs of various health-care decision makers, including planners, administrators and providers. (N Engl J Med 296:716-721, 1977)

ELEMENTI DEL RAPPORTO COSTO-EFFICACIA SECONDO WEINSTEIN E STASON (1977)

$$\frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{\Delta C_{Rx} + \Delta C_{SE} - \Delta C_{Morb} + \Delta C_{Rx\Delta LE}}{\Delta Y + \Delta Y_{Morb} - \Delta Y_{SE}}$$

ΔC	=	<i>Costo netto(incrementale) dell'intervento espresso in unità monetarie</i>
ΔE	=	<i>Efficacia netta (incrementale) dell'intervento espressa in QALY's</i>
ΔC_{Rx}	=	<i>Costi sanitari diretti dell'intervento</i>
ΔC_{SE}	=	<i>Costi sanitari legati al trattamento di eventuali effetti collaterali dell'intervento</i>
ΔC_{Morb}	=	<i>Risparmi legati alla prevenzione o alla cura della malattia oggetto dell'intervento</i>
$\Delta C_{Rx\Delta LE}$	=	<i>Costi sanitari legati al trattamento di malattie dovute all'aumento della sopravvivenza</i>
ΔY	=	<i>Anni di vita guadagnati grazie all'intervento</i>
ΔY_{morb}	=	<i>Miglioramento della qualità di vita indotta dall'intervento</i>
ΔY_{SE}	=	<i>Peggioramento della qualità della vita dovuto agli effetti collaterali dell'intervento</i>

REGOLE DECISIONALI NELL'ANALISI COSTI-EFFICACIA

		COSTO NETTO	
		+	-
EFFICACIA NETTA	+	<i>Situazione n. 1</i> ?	<i>Situazione n. 2</i> programma “cost-saving”
	-	<i>Situazione n. 3</i> programma “dominato”	<i>Situazione n. 4</i> ?

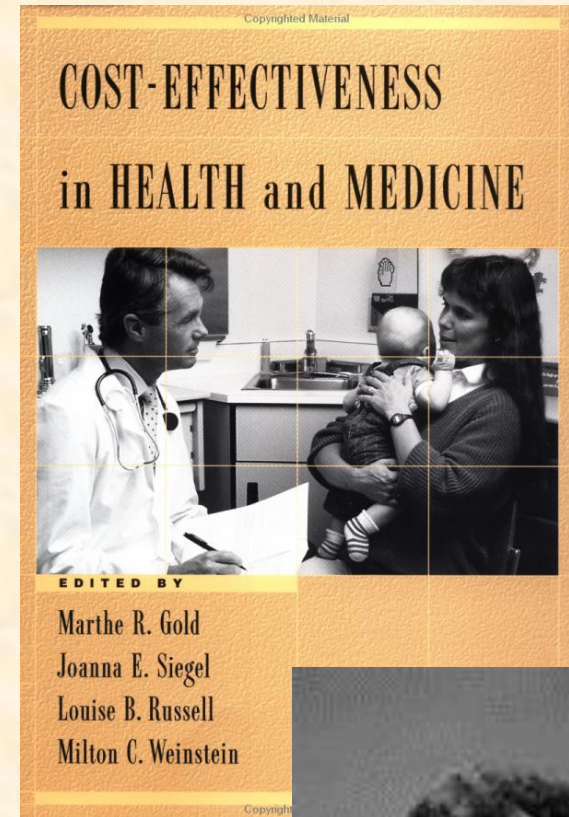
RAPPORTO COSTO-EFFICACIA (COSTO-UTILITA')

$$\frac{\text{Costo netto dell'intervento}}{\text{Efficacia netta dell'intervento}}$$

Costo netto dell'intervento in termini monetari (\$, € , etc.)

Anni di vita ponderati per la qualità guadagnati grazie all'intervento (QALYs)

In termini pratici, il rapporto costo-efficacia (costo-utilità) indica quanto costa 1 anno di vita (corretto per la qualità) guadagnata mediante l'attuazione dell'intervento



LA NECESSITA' DI STANDARDIZZAZIONE DELLE METODOLOGIE

Un esempio

Screening mammografico per il ca della mammella
(donne $\geq$ 50 anni)

- 16 studi rinvenuti in letteratura
- Rapporto costo efficacia:
"cost-saving" - 84.000\$/LY

Brown ML, Fintor L. BCRT 1993; 25:113-8

Rapporti costo-efficacia dello screening mammografico per il ca della mammella (donne $\geq$ 50 anni) riportati in letteratura

Australia	Gerard, 1990	20.000 \$/LY
	Australian Health Ministry, 1990	10.671 \$/LY
UK	Clarke, 1991	40.517 \$/LY
	Forrest, 1987	3.900 \$/LY
U.S.A.	OTA, 1987	34.600 \$/LY
	Forsyth, 1988	35.500 \$/LY
	Eddy, 1989	83.830 \$/LY
	Brown, 1992	30.000 \$/LY
Japan	Okubo, 1991	18.200 \$/LY
Netherl	Van der Maas, 1989	4.850 \$/LY
	de Koning, 1991	3.825 \$/LY
Sweden	Tabar, 1989	3.400 \$/LY

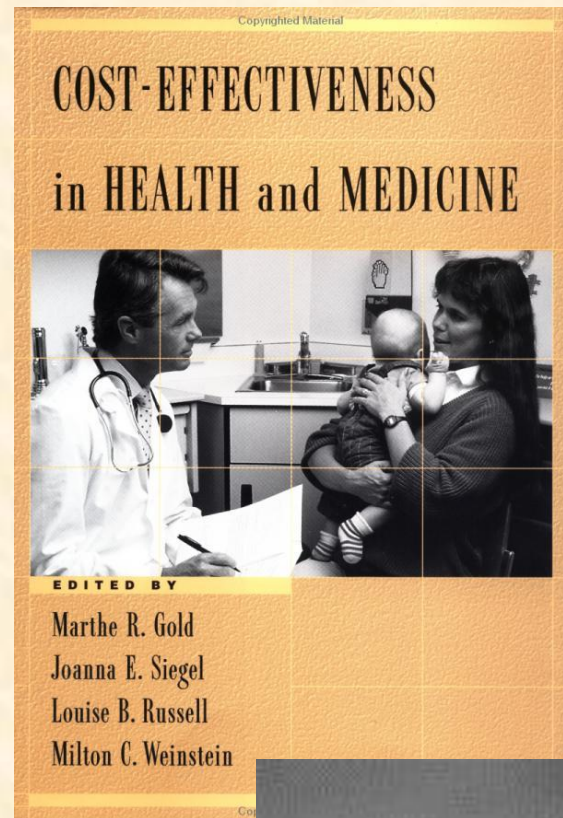
Brown ML, Fintor L. BCRT 1993; 25:113-8

Rapporti costo-efficacia dello screening mammografico
per il ca della mammella (donne $\geq$ 50 anni) riportati in
letteratura (uniformando il costo dello screening)

Australia	Gerard, 1990	40.816 \$/LY
	Australian Health Ministry, 1990	23.903 \$/LY
UK	Clarke, 1991	144.704 \$/LY
	Forrest, 1987	26.000 \$/LY
U.S.A.	OTA, 1987	34.600 \$/LY
	Forsyth, 1988	35.500 \$/LY
	Eddy, 1989	55.887 \$/LY
	Brown, 1992	27.273 \$/LY
Japan	Okubo, 1991	45.500 \$/LY
Netherl	Van der Maas, 1989	13.288 \$/LY
	de Koning, 1991	9.563 \$/LY
Sweden	Tabar, 1989	11.333 \$/LY

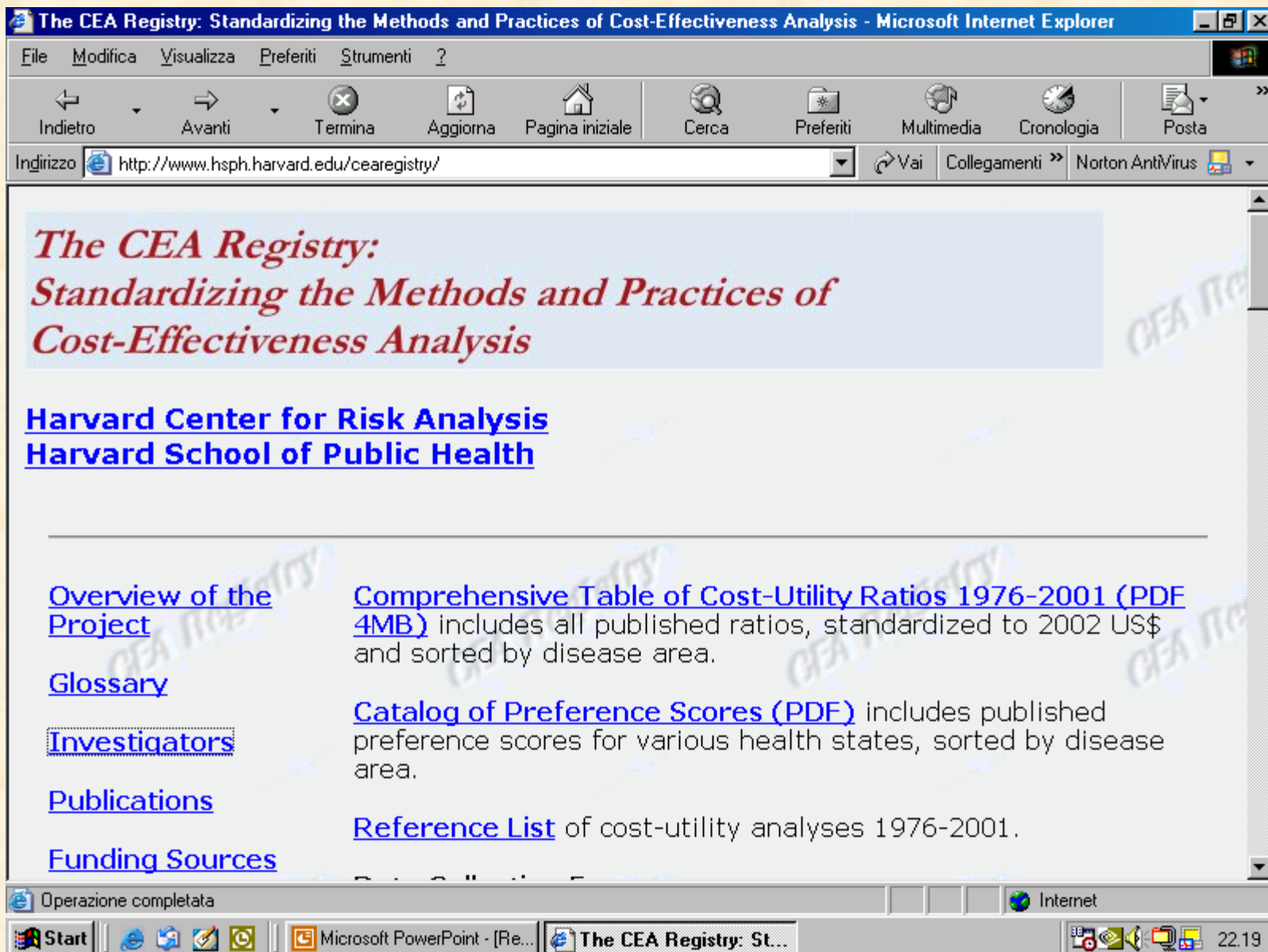
RACCOMANDAZIONI METODOLOGICHE DEL PANEL

- Utilizzo prospettiva societaria
- Misurazione efficacia netta intervento tramite QALYs stimati mediante surveys di popolazione
- Misurazione costo netto intervento (costi diretti sanitari e costi indiretti non sanitari)
- Misurazione costo netto ed efficacia netta dell'intervento sempre in modo incrementale rispetto allo *status quo*
- "Attualizzazione" costi e benefici mediante tassi di sconto del 3% e del 5%
- Analisi di sensibilità



POSSIBILI UTILIZZI (A FINI DECISIONALI) DEL RAPPORTO COSTO-EFFICACIA (COSTO-UTILITA') DEGLI INTERVENTI SANITARI

- Valutazione della "convenienza" economica di un intervento sanitario sulla base di un valore di "cut-off" prestabilito (valori proposti: 50.000 - 100.000 \$/QALY)
- Valutazione della "convenienza" economica di un intervento sanitario sulla base del posizionamento nell'ambito di classifiche "globali", in cui gli interventi sanitari sono elencati in ordine *crescente* di rapporto costo-utilità ("league tables")
- Altri approcci più pragmatici?



A Comprehensive League Table of Cost–Utility Ratios and a Sub-table of “Panel-worthy” Studies

RICHARD H. CHAPMAN, MS, PATRICIA W. STONE, RN, MPH, PhD,
EILEEN A. SANDBERG, MS, MBA, CHAIM BELL, MD,
PETER J. NEUMANN, ScD

647 interventi sanitari
descritti in 228 studi
pubblicati

Solo 112 interventi sono
stati valutati secondo le
raccomandazioni
metodologiche del Panel

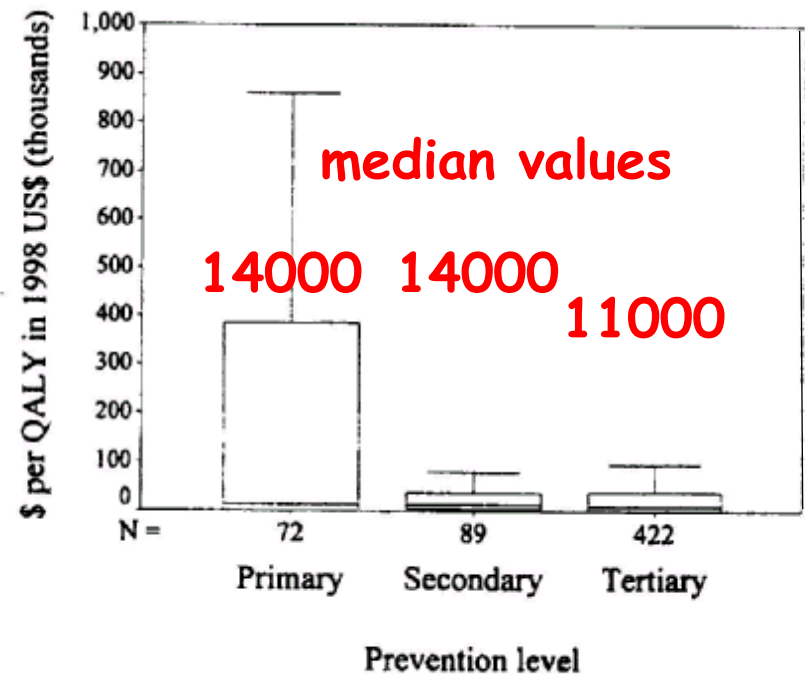


FIGURE 2. Cost-utility ratios by intervention's level of prevention (outliers excluded). Thick lines indicate medians, and boxes the interquartile ranges.

LA SCALA GERARCHICA DELLE EVIDENZE SCIENTIFICHE

-
- I Evidence obtained from at least one properly randomized, controlled trial.
 - II-1 Evidence obtained from well-designed controlled trials without randomization.
 - II-2 Evidence obtained from well-designed cohort or case-control analytic studies, preferably from more than one center or research group.
 - II-3 Evidence obtained from multiple time series with or without the intervention. Dramatic results in uncontrolled experiments (such as the results of the introduction of penicillin treatment in the 1940s) could also be regarded as this type of evidence.
 - III Opinions of respected authorities, based on clinical experience; descriptive studies and case reports; or reports of expert committees.
-

*The grades are those of the U.S. Preventive Services Task Force.⁷



www.thecommunityguide.org

*Guide to Clinical Preventive
Services, Third Edition:
Periodic Updates*

Print Publication with CD-ROM



U.S. Department of Health and Human Services
Agency for Healthcare Research and Quality

www.ahrq.gov

CRITERI PER STABILIRE LA FORZA DELLE PROVE DI EFFICACIA



Evidence of Effectiveness ^a	Execution- good or fair ^b	Design Suitability- Greatest, moderate or least	Number of studies	Consistent ^c	Effect Size ^d	Expert Opinion ^e
Strong	Good	Greatest	At least 2	Yes	Sufficient	Not used
	Good	Greatest or moderate	At least 5	Yes	Sufficient	Not used
	Good or Fair	Greatest	At least 5	Yes	Sufficient	Not used
	Meet design, execution, number and consistency criteria for sufficient but not strong evidence				Large	Not used
Sufficient	Good	Greatest	1	Not applicable	Sufficient	Not used
	Good or Fair	Greatest or Moderate	At least 3	Yes	Sufficient	Not used
	Good or Fair	Greatest, Moderate or Least	At least 5	Yes	Sufficient	Not used
Expert opinion	Varies	Varies	Various	Varies	Sufficient	Supports a recommendation
Insufficient	A. Insufficient designs or execution		B. Too few studies	C. Inconsistent	D. Small	E. Not used

^a The categories are not mutually exclusive; a body of evidence meeting criteria for more than one of these should be categorized in the highest possible category.

^b Studies with limited execution are not used to assess effectiveness

^c Generally consistent in direction and size.

^d Sufficient and large effect sizes are defined on a case-by-case basis and are based on Task Force opinion.

^e Expert opinion will not be routinely used in the Guide but can affect the classification of a body of evidence as shown.

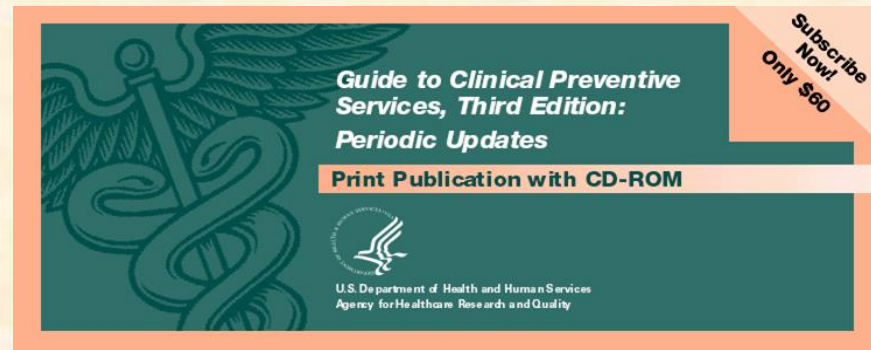
RELAZIONE TRA FORZA DELLE PROVE DI EFFICACIA E FORZA DELLE RACCOMANDAZIONI



Strength of Evidence of Effectiveness	Recommendation
Strong	Strongly recommended
Sufficient	Recommended
Insufficient empirical information supplemented by expert opinion	Recommended based on expert opinion
Available studies do not provide sufficient evidence to assess	Insufficient evidence to determine effectiveness
Sufficient or strong evidence of ineffectiveness or harm	Discouraged

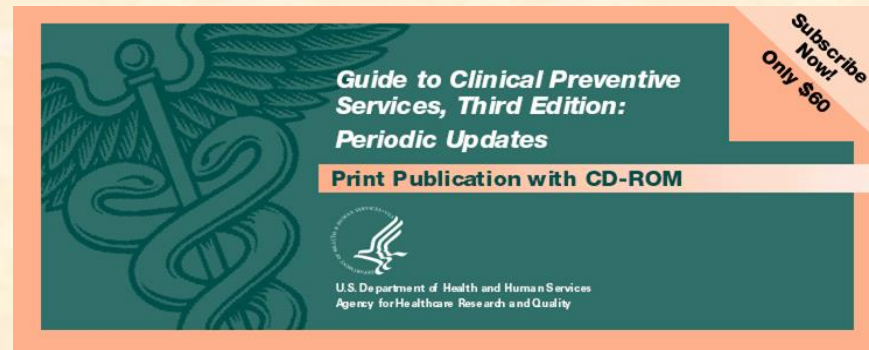
- Revisioni sistematiche di valutazioni economiche effettuate solo per gli interventi preventivi fortemente raccomandati e raccomandati
- Risultati "corretti" secondo i criteri metodologici del Panel di esperti "Cost-effectiveness in Health and Medicine"
- Risultati esposti solo in modo descrittivo; non influenzano la forza delle raccomandazioni

TIPOLOGIE E LIVELLI DI RACCOMANDAZIONI



Recommendation	Language ^a
A	The USPSTF <u>strongly recommends</u> that clinicians routinely provide [the service] to eligible patients. (The USPSTF found good evidence that [the service] improves important health outcomes and concludes that benefits substantially outweigh harms.)
B	The USPSTF <u>recommends</u> that clinicians routinely provide [the service] to eligible patients. (The USPSTF found at least fair evidence that [the service] improves important health outcomes and concludes that benefits outweigh harms.)
C	The USPSTF makes <u>no recommendation for or against</u> routine provision of [the service]. (The USPSTF found at least fair evidence that [the service] can improve health outcomes but concludes that the balance of benefits and harms is too close to justify a general recommendation.)
D	The USPSTF <u>recommends against</u> routinely providing [the service] to asymptomatic patients. (The USPSTF found at least fair evidence that [the service] is ineffective or that harms outweigh benefits.)
I	The USPSTF concludes that <u>the evidence is insufficient to recommend</u> for or against routinely providing [the service]. (Evidence that [the service] is effective is lacking, of poor quality, or conflicting and the balance of benefits and harms cannot be determined.)

CRITERI PER STABILIRE TIPOLOGIE E LIVELLI DI RACCOMANDAZIONI



Quality of Evidence	Net Benefit			
	Substantial	Moderate	Small	Zero/Negative
Good	A	B	C	D
Fair	B	B	C	D
Poor = I				

- Effettuazione di revisioni sistematiche delle valutazioni economiche solo nei casi in cui esistono "questioni aperte" di costo-efficacia (costo-utilità)
- Presa in considerazione solo degli studi di elevata qualità metodologica (raccomandazioni del Panel)
- Influenza dei risultati sulla tipologia e sui livelli delle raccomandazioni, seppure non in modo prioritario

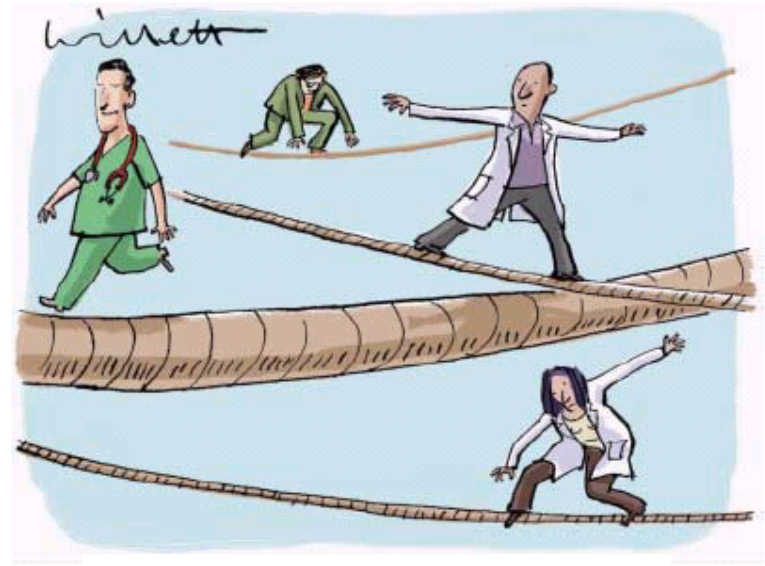
Grading quality of evidence and strength of recommendations

GRADE Working Group

Clinical guidelines are only as good as the evidence and judgments they are based on. The GRADE approach aims to make it easier for users to assess the judgments behind recommendations

Qualità dell'evidenza scientifica

- Disegno dello studio
- Qualità metodologica degli studi
- Consistenza dei risultati tra i diversi studi
- Applicabilità ai contesti specifici



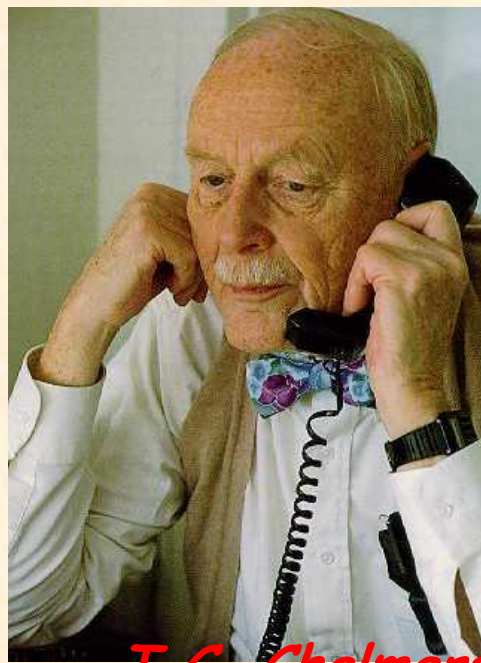
BMJ VOLUME 328 19 JUNE 2004 bmj.com

Forza delle raccomandazioni

- Qualità dell'evidenza scientifica
 - Beneficio netto dell'intervento
- Costi (rapporti costo-efficacia e costo-utilità)



K. Pearson



T.C. Chalmers



LE FASI METODOLOGICHE DI UNA META-ANALISI

1. PROTOCOLLO DI RICERCA
2. CRITERI DI INCLUSIONE DEGLI STUDI
3. RICERCA BIBLIOGRAFICA
4. VALUTAZIONE DELLA QUALITA' METODOLOGICA
5. ESTRAZIONE DATI
6. COMBINAZIONE STATISTICA DEI DATI
7. ANALISI DI SENSIBILITA'
8. VALUTAZIONE EVENTUALE ETEROGENEITA'

ANALISI COSTO-EFFICACIA E COSTO-UTILITA'

PROBLEMI DI EQUITA'

	<i>Intervento A</i>	<i>Intervento B</i>
Costi dell'intervento (in migliaia di euro)	3.000	3.000
Anni di vita guadagnati	600	300
Rapporto costi-efficacia (euro per anno di vita salvato)	5.000	10.000
Popolazione "target"	bambini	anziani
Vite salvate	12	20