

HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT UN'INTRODUZIONE

L'HTA valuta la sanità ad ogni livello e – almeno potenzialmente – in ogni fase dei suoi mille passaggi che riguardano la prevenzione, l'assistenza e la riabilitazione. Far crescere una "cultura della valutazione" (di sistema e individuale) perché il nostro sistema sanitario sia efficiente ed equo, ossia in grado di garantire l'erogazione e la disponibilità di ciò che è meglio per i propri assistiti, è quindi un segno di dovuta attenzione nei confronti dei cittadini.

Con questo obiettivo si è svolto a Roma dal 19 al 20 settembre 2011 il workshop *Introduzione all'Health Technology Assessment*, patrocinato dalla Fondazione MSD e riservato ad un numero di 20 clinici, farmacisti ospedalieri e dirigenti del Servizio Sanitario Regionale del Lazio. Il seminario è stato coordinato da Tom Jefferson, epidemiologo che da diversi anni lavora all'elaborazione di documenti di HTA per conto del National Health Service inglese, e si è concluso con una tavola rotonda dedicata a una contestualizzazione delle esperienze di HTA in ambito regionale, alla quale hanno partecipato Michele Loiudice, ANMDO Consigliere regionale Lazio, Lorella Lombardozi, Responsabile Area Politiche del Farmaco della Regione Lazio e Alessandra Mecozzi, Responsabile della Distribuzione per Conto della Regione Lazio.



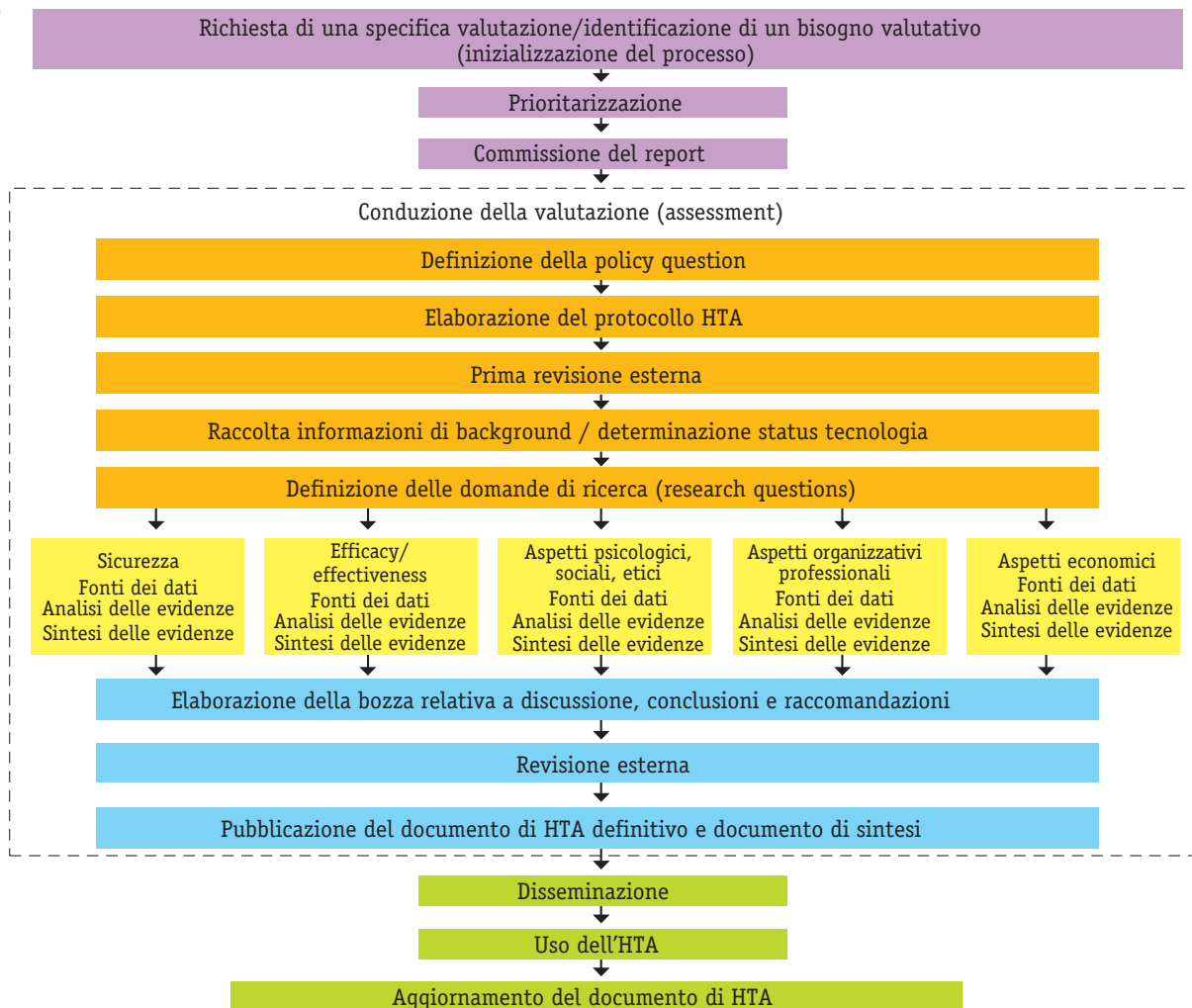
GLI ORIENTAMENTI DI BASE DELLE VALUTAZIONI

Il workshop è stato aperto da una dettagliata relazione di Marina Cerbo, dirigente dell'area Innovazione, Sperimentazione e Sviluppo dell'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali. Uno degli aspetti più interessanti della lettura introduttiva è nella distinzione tra **Assessment** e **Appraisal** che, secondo la definizione di Milne (2004), si differenziano per riguardare il primo il processo analitico scientifico e tecnico finalizzato a sintetizzare le evidenze disponibili sull'oggetto di studio; laddove il secondo riguarda la decisione 'politica' sulle tecnologie sanitarie, assunta sì in considerazione delle prove emerse durante il percorso di assessment, ma ponderata in base a valori e ad altri fattori inerenti il contesto ove la tecnologia andrebbe eventualmente implementata. Cerbo ha ritenuto opportuno concentrare l'attenzione dei partecipanti sull'oggetto della cosiddetta *policy question*, che è alla base della motivazione a intraprendere un percorso di HTA.

Gli orientamenti di base sono tre.

- **Valutazioni orientate alla tecnologia:** destinate a determinare le caratteristiche e gli impatti di tecnologie particolari. Per esempio, un'agenzia governativa può essere interessata a valutare l'impatto clinico, economico, sociale, professionale o industriale di uno screening dei tumori in una popolazione o di altri interventi particolari;
- **Valutazioni problem-oriented:** si concentrano su soluzioni o strategie per la gestione di un problema particolare per il quale possono essere utilizzate tecnologie alternative complementari. Per esempio, i medici e i produttori interessati al percorso diagnostico della demenza possono sollecitare lo sviluppo di linee guida cliniche, che coinvolgano una combinazione o un utilizzo sequenziale di più tecnologie (esame neurologico, diagnostica per immagini, etc., utilizzando diverse modalità).
- **Valutazioni project-oriented:** si concentrano sulla dotazione locale o l'utilizzo di una tecnologia in una particolare istituzione, programma o altro progetto. È il caso di un

Il processo dell'HTA



ospedale che debba decidere se acquistare o meno l'apparecchiatura di risonanza magnetica, tenendo in considerazione strutture, personale e altre risorse necessarie per la sua installazione e il suo funzionamento, la situazione finanziaria dell'Azienda, il mercato locale potenziale per i servizi di risonanza magnetica, i fattori competitivi, etc.

Ogni valutazione dovrà basarsi su una serie di criteri/dimensioni strettamente connessi l'uno con l'altro: dalla sicurezza all'efficienza, dall'economicità all'etica, fino alla trasferibilità – come abbiamo detto – nel setting di destinazione. La tempestività della valutazione è un aspetto emerso più volte sia nel corso delle relazioni sia durante il confronto con i partecipanti. Come sappiamo, l'HTA prevede un'attività di 'previsione' e monitoraggio delle tecno-

logie emergenti (Horizon Scanning), che dovrebbe – in linea solo teorica – mettere il sistema sanitario nella condizione di filtrare la domanda di assessment/appraisal che inevitabilmente emerge sia dai produttori sia dagli utilizzatori delle tecnologie in ambito assistenziale. È molto difficile essere 'puntuali', anche perché la domanda – di salute/benessere e di commercializzazione quanto più precoce – è davvero molto intensa. Pensiamo, per esempio, ai nuovi farmaci antitumorali che, anche quando non efficaci nella totalità dei malati, possono garantire in molti pazienti una sopravvivenza più prolungata. Anche per far fronte a problematiche di questo tipo, l'organizzazione delle strutture deputate all'HTA deve essere flessibile e disponibile ad una costante vigilanza non solo precedente all'introduzione sul mercato, ma anche successivamente, come attività di rivalutazione.

LA REDAZIONE DEL RAPPORTO DI HTA

Tom Jefferson, tra i fondatori della sezione "Vaccini" della Cochrane Collaboration, ha spiegato come, dall'Horizon Scanning e dalla definizione delle priorità, si passi alla redazione del rapporto di HTA, la cui base è costituita dalle revisioni sistematiche. È un processo articolato al cui centro è la produzione di questi studi che si caratterizzano per la necessità di essere "comprensivi" e per l'esigenza di dover scegliere, escludendo le ricerche di qualità scadente. Le revisioni sistematiche prendono in considerazione tutte le sperimentazioni condotte sull'argomento che si intende studiare; secondo criteri definiti a monte viene fatta una valutazione dei metodi seguiti dagli autori dei trial, decidendone l'inclusione o l'esclusione dalla revisione stessa. Per questo lavoro di screening della letteratura scientifica, si può dire che lo svolgimento delle *systematic reviews* è un passaggio che – valutando la clinica – vigila sulla qualità della ricerca.

Proprio la specifica competenza di Jefferson ha fatto sì che l'attenzione dei partecipanti si sia dovuta concentrare su una 'esercitazione' svolta su una delle più recenti revisioni dell'area Vaccini della Cochrane, dedicata all'efficacia delle misure 'di barriera' nella prevenzione del contagio in caso di malattie respiratorie da virus influenzale – e su alcune delle valutazioni condotte nelle ultime stagioni dall'AgeNaS. Per

dare concretamente un'idea dell'importanza del controllo del valore metodologico delle ricerche su cui basare le revisioni sistematiche, Jefferson ha portato ad esempio il caso della valutazione delle protesi ortopediche. In assenza di dati confrontabili e affidabili, i revisori hanno dovuto affidarsi soprattutto – se non esclusivamente – al Registro degli impianti effettuati nella Regione Emilia-Romagna e a una indagine realizzata ad hoc. Ebbene, dei 39 modelli inizialmente suscettibili di valutazione, al termine dello screening ne restavano solo 10.

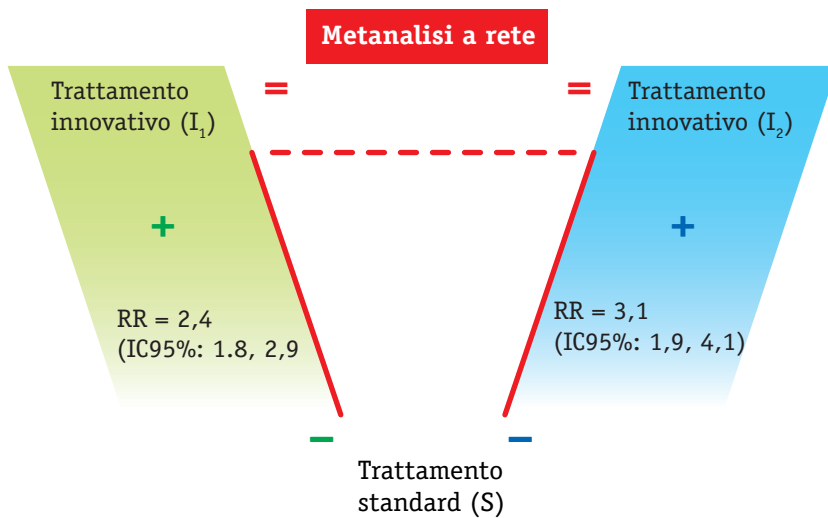
IL PERCORSO DELLA RICERCA DELLE EVIDENZE

Chiara Bassi, documentalista del Centro per la Valutazione dell'Efficacia dei Servizi Sanitari di Modena, ha avuto il compito di illustrare il percorso per la ricerca delle evidenze su cui basare le revisioni. Le fonti comunemente più usate sono le banche dati come Medline, Embase e la Cochrane Library, che raccoglie revisioni sistematiche; questi database possono garantire il recupero di documentazione di studi sperimentali primari (quindi frutto di ricerche originali) e di letteratura secondaria. È opportuno prestare attenzione a evitare il cosiddetto bias di lingua (il reperimento di letteratura solo in lingua inglese). A questo scopo può essere utile effettuare una ricerca anche con Scholar, adatto al reperimento di letteratura accademica, e con Google, al fine di controllare l'esistenza di letteratura grigia (non pubblicata ufficialmente), per esempio, all'interno di siti di produttori di farmaci o di apparecchiature elettromedicali. Anche i registri di malattia, farmaci o dispositivi sono uno degli strumenti più importanti per la ricerca sugli esiti. La loro utilità è stata dimostrata, in particolare, nel campo dei dispositivi impiantabili e, tra questi, di quelli ortopedici o degli stent cardiovascolari (vedi, per esempio, i progetti dell'AgeNaS nel settore della valutazione dei device in ortopedia). I registri possono essere utilizzati per valutare l'efficacia dei diversi modelli impiantati tenendo conto della pratica clinica reale. In considerazione del fatto che questi dispositivi vengono generalmente immessi sul mercato subito dopo l'acquisizione del marchio CE, con un limitato bagaglio di evidenze di efficacia (intesa come *effectiveness*) e

Indagine sulla valutazione delle protesi ortopediche
nella Regione Emilia-Romagna: modelli suscettibili di valutazione



Metanalisi a rete. Modificata da Fadda et al, BMJ 2011



Confronto diretto basato su uno studio reale: —
 Confronto indiretto basato sull'analisi a rete: - - -

valutazioni costo-efficacia, l'utilizzo dei registri in questo settore può costituire un prezioso strumento per la valutazione comparativa delle performance dei diversi modelli, nonché della loro frequenza d'uso. Nel nostro Paese è anche significativa l'esperienza dell'Agenzia Italiana del Farmaco che ha promosso e coordinato registri per farmaci sottoposti a monitoraggio sia in ambito oncologico sia cardiovascolare.

IL COINVOLGIMENTO DEI CLINICI

I registri sono uno strumento capace di coinvolgere efficacemente i clinici. La tensione verso la partecipazione sembra essere molto diffusa ed è probabilmente per questo che da parte del personale sanitario emerge una forte richiesta di maggiore coinvolgimento, portando attività 'HTA-like' più vicine al setting clinico. Questa possibilità è stata discussa da Marco Marchetti, Direttore dell'Unità di Valutazione delle Tecnologie, Università Cattolica del Sacro Cuore Policlinico Universitario 'Agostino Gemelli'. Marchetti ha spiegato opportunità e limiti della cosiddetta 'hospital-based HTA' e della metodologia indicata come 'Mini-HTA'; percorsi valutativi talvolta semplificati, che intenderebbero dare una più tempestiva risposta ai bisogni informativi dei decisori clinici e amministrativi.

LA TRACCIABILITÀ DEL PERCORSO DI ADOZIONE DELLE NUOVE TECNOLOGIE

In linea con la relazione di Marchetti, anche Andrea Messori, vice presidente della Società Italiana di Farmacia Ospedaliera, ha spiegato quanto siano frequenti nella pratica quotidiana le richieste di approvvigionamento di nuovi farmaci, dispositivi e apparecchiature. Quelle che Messori ha scherzosamente chiamato "le pezze d'appoggio" su cui basare le decisioni sono di tipo e 'peso' diverso: si va dal "niente" alle "20 righe di giustificazione" fino ad una revisione compiuta e rigorosa. Quest'ultima purtroppo assai più rara di quel "documento decoroso", di cui ci si deve quasi sempre accontentare.

Messori ha sottolineato quanto sia importante la preparazione di documentazione non solo per l'assunzione di decisioni basate su prove, ma per una sorta di 'tracciabilità' del percorso di adozione delle innovazioni nel servizio sanitario.

Mancando prove derivanti da confronti diretti — tra farmaci o dispositivi — è sempre più frequente ricorrere alla cosiddetta 'metanalisi a rete' (vedi figura in alto a sinistra), che riesce a comparare prodotti differenti incrociando i risultati di sperimentazioni parallele.

CONCLUSIONI

Dall'insieme di queste relazioni — compresa l'esposizione molto didattica di Simona Paone, dell'AgeNaS, sui diversi tipi di analisi economiche utilizzabili a supporto dell'HTA — è uscita riconfermata l'importanza delle regole. Servono sia per la valutazione sia per la comunicazione dei suoi risultati. Il rispetto delle regole è anche la condizione che rende confrontabili diversi studi valutativi.

Può accadere che proprio un rispetto attento delle procedure e l'esecuzione diligente dei diversi step della valutazione renda quest'ultima poco tempestiva rispetto alle esigenze dei *decision maker* locali.

Non si può però non tenere conto del fatto che l'HTA è un'attività di ricerca applicata e che i tempi della ricerca sono più dilatati rispetto a quelli della pratica assistenziale. ■

HTA: una complessità che spaventa



A colloquio con **Tom Jefferson**
Scientific Editor PLoS ONE
Reviewer, Cochrane Acute Respiratory
Infections Group

L'HTA valuta la sanità e la sanità è complessa. Ma la complessità dell'HTA spaventa. Perché?

È vero, l'HTA è un'attività molto complessa e multidisciplinare, che necessita di continui aggiornamenti e che spesso è svolta con dati di qualità carente o addirittura assente. Spaventa perché è laboriosa, richiede tanto tempo ed è potenzialmente molto pericolosa, in quanto un documento di scarsa qualità o indirizzato a priori in una certa maniera può portare nel migliore dei casi ad uno sperpero di risorse e nel peggiore a danni fisici o morali a persone o a sistemi pubblici.

MiniHTA o Comparative Effectiveness Research sono cosa diversa dal percorso della produzione di documenti di HTA. A suo parere, possono essere considerate attività HTA-like comunque utili alla valutazione nel suo complesso?

A mio parere sì, tutto quello che favorisce la cultura della valutazione critica di ciò che avviene in sanità è positivo, se questa valutazione critica è costruttiva e non distruttiva. Anche se sono veramente molto pochi i MiniHTA che ho visto pubblicati, in certi contesti possono essere utili per fornire un indirizzo preliminare dei decisori, dei clinici, dei pazienti verso alcune tecnologie.

Sembra che i decisori a livello aziendale sentano un'urgenza di disporre di documentazione HTA. Piuttosto che produrre reportistica poco rigorosa, non sarebbe più utile uno strategico governo della domanda di prestazioni?

Prima di tutto sono assolutamente d'accordo nel dire che il governo della domanda è essenziale, ma va accompagnato anche dall'investimento in persone che abbiano la capacità di compiere parti del percorso HTA o addirittura tutto il percorso HTA in gruppi dedicati a questo. Ricordo che per realizzare una produzione di HTA i paesi anglosassoni hanno investito e continuano a investire da decenni. Servono investimenti sia culturali, che vadano quindi a incidere e cambiare il comportamento delle persone, sia sulla formazione dei professionisti, per far sì che siano in grado di far fronte a quello che è necessario per il governo dell'innovazione e il governo delle tecnologie che già esistono nel SSN. ■ ML

HTA a braccetto dell'Evidence-Based Medicine



A colloquio con **Andrea Messori**
Laboratorio di Farmacoeconomia,
Università Ospedale di Careggi, Firenze

Può spiegarci perché lei vede l'HTA strettamente legato all'Evidence-Based Medicine?

Nel campo dell'HTA un problema da affrontare è quello della scarsità di persone che effettivamente se ne occupano e ci lavorano. Vogliamo quindi cogliere l'opportunità rappresentata dal fatto che l'EBM ha ormai raccolto una schiera numerosa di esperti che lavorano da tempo in questo campo e producono anche valutazioni, per far crescere l'HTA gettando un ponte verso questa popolazione di esperti. In questo senso l'EBM viene prima e l'HTA cerca di cogliere l'occasione offerta dall'EBM.

Nella valutazione delle tecnologie, lei vorrebbe fosse privilegiata l'efficacia: perché?

Anche questa è una ragione che si lega alla scelta di fare una strada assieme ai medici ospedalieri. Negli ospedali, che costituiscono il campo per eccellenza di applicazione dell'HTA, siamo pochi come farmacisti o ingegneri. La numerosità dei medici è invece preponderante e quindi è importante per noi creare questa interrelazione con la platea dei medici per tracciare una strada condivisa con i diretti interessati nella valutazione delle tecnologie.

Nella valutazione dei farmaci è essenziale il confronto di efficacia; quali metodologie vengono in aiuto quando mancano confronti diretti?

Quella che serve è una metodologia molto recente e molto giovane. Nell'ultimo decennio si è affermata la metanalisi come valutazione di un primo intervento contro un intervento di riferimento e quindi questo confronto a due termini, ossia binario, è diventato una metodologia accettata e praticata da moltissime persone.

Adesso si pone la necessità di mettere a confronto tre *competitor*, in alcuni casi quattro, in altri casi cinque. In queste situazioni serve una metodologia nuova, che faccia la combinazione di tutti i confronti possibili. In questo campo si è da poco sviluppata la cosiddetta metanalisi a rete che corrisponde a queste necessità. ■ ML

HTA: l'importanza del lavoro di squadra



A colloquio con **Marco Marchetti**

Direttore Unità di Valutazione delle Tecnologie,
Policlinico Gemelli, Roma

Introdurre una nuova tecnologia in un'organizzazione sanitaria richiede il superamento di abitudini, resistenze, scetticismi. Quanto conta coinvolgere il personale sanitario e quali strategie suggerirebbe per riuscire a costruire 'una squadra'?

Nel momento in cui si decide l'introduzione di una nuova tecnologia, il coinvolgimento del personale è fondamentale per ottenere un effetto finale su tutta l'organizzazione. Dovendo esprimere quanto conti in una scala da 1 a 100, direi 100.

La strategia da adottare è innanzitutto quella di portarlo 'a bordo' e di mostrare che le strategie che si mettono in atto non vogliono arginare o limitare dei desideri, ma supportare gli operatori stessi nella scelta delle tecnologie, nei limiti delle risorse disponibili. Portare gli operatori dentro i meccanismi di scelta e di decisione e non farli calare dall'alto: questa è la strada da seguire.

Una struttura accademica ha il vantaggio di poter formare il personale per far crescere l'attenzione per l'innovazione. Qual è l'esperienza del Policlinico Gemelli?

Abbiamo impiegato i primi tre anni di attività della nostra Unità di Valutazione delle Tecnologie per fare cultura e per cercare di far entrare i nostri clinici e il nostro personale nei meccanismi di valutazione delle tecnologie. Abbiamo creato delle commissioni e dei board per condividere con loro gli strumenti e i metodi. In questo modo abbiamo ottenuto una crescita non solo della conoscenza del processo di valutazione, ma anche e soprattutto della consapevolezza di quanto sia importante fare scelte appropriate nella decisione prima e nella gestione poi delle tecnologie. Credo che il segreto sia quindi quello di pianificare il coinvolgimento degli operatori sanitari e trasferire loro degli elementi conoscitivi e culturali. Senza cultura e senza strategie di comunicazione l'impatto di questi meccanismi rischia di essere quasi nullo.

In una situazione di competizione tra strutture sanitarie, possono esistere dei condizionamenti indotti dal 'mercato' nel decidere dell'adozione di una tecnologia?

Assolutamente sì. Soprattutto per quelle tecnologie che sono molto sotto i riflettori, avendo avuto una cassa di risonanza sui mezzi di comunicazione, sui giornali e sulle televisioni, può succedere che la domanda che viene dai cittadini stessi spinga di fatto alcune strutture a preferire l'adozione di una tecnologia rispetto a un'altra. Purtroppo l'informazione che viene trasmessa ai cittadini non sempre è esaustiva e quindi questo fa sì che a volte certe scelte non rispondano a logiche di razionalizzazione, di efficienza e soprattutto di efficacia e di appropriatezza della prestazione. ■ ML

L'HTA a livello organizzativo

