

### Principi e metodi

L'innovazione tecnologica ha portato la Sanità a notevoli passi avanti durante gli ultimi 30 anni: l'avanzare delle biotecnologie, dei biomateriali, delle tecniche chirurgiche e delle tecnologie hardware e software ha sensibilmente incrementato lo sviluppo della medicina e conseguentemente i risultati in termini di capacità diagnostica e di efficacia terapeutica. Va evidenziato, tuttavia, che la proliferazione delle tecnologie in ambito sanitario è stata, purtroppo, anche accompagnata da un consistente incremento dei costi e, per tale motivo, un numero sempre maggiore di soggetti (gli specialisti, la classe dirigente sanitaria, i pazienti, ma anche i decisori e i fornitori di prodotti e tecnologie mediche) richiede sempre di più informazioni per supportare decisioni sullo sviluppo, l'adozione, l'acquisizione e l'utilizzo di nuove tecnologie o di significativi cambiamenti di tecnologie già in uso. Il technology assessment (TA) in ambito sanitario risponde a questa pressante esigenza.

### Definizioni

Una tecnologia sanitaria è l'applicazione pratica di una conoscenza allo scopo di prevenire, diagnosticare, curare una malattia. Quindi tale termine non è riferito unicamente a dispositivi e apparecchiature, ma abbraccia anche le procedure cliniche, i programmi di prevenzione, i trattamenti farmacologici e i sistemi organizzativo-gestionali.

In particolare, il termine 'assessment' (valutazione) nel campo delle tecnologie mediche viene usato per definire un processo di analisi multidisciplinare inerente una determinata tecnologia, le caratteristiche della quale includono l'efficacia, la sicurezza, le indicazioni di utilizzo, i costi, la relazione esistente fra i costi e l'efficacia, e coinvolgono pertanto non solo il campo esclusivamente clinico, ma anche quello sociale, economico ed etico.

Più in dettaglio, il TA riguarda i seguenti aspetti:

- **performance:** la sensibilità e la specificità di alcuni test diagnostici, la conformità con le specifiche di fabbricazione, di affidabilità, di semplicità di utilizzo e di manutenzione;
- **sicurezza clinica:** il giudizio sull'accettabilità di un rischio associato all'uso di una tecnologia in una particolare situazione;
- **efficacia:** il beneficio che si ottiene sia utilizzando una

tecnologia in relazione ad un preciso problema in 'condizioni ideali' (efficacia clinica) sia in condizioni generali di routine (efficacia nella pratica);

- **economicità:** riguarda, a livello microeconomico, i costi, le tariffe e le modalità di rimborso; a livello macroeconomico si riferisce, invece, alle conseguenze che nuove tecnologie possono avere sui costi della Sanità a livello nazionale o agli effetti che una tecnologia può avere sull'allocazione di risorse tra differenti programmi sanitari o tra diversi settori della Sanità;
- **impatti sociali, legali, etici, politici:** molte tecnologie sollevano questioni sociali, legali, etiche e politiche. Un esempio possono essere i test genetici, i trattamenti contro l'infertilità, il trapianto di organi, la somministrazione di procedure il cui utilizzo è controverso (ad esempio, l'elettroshock).

La valutazione richiede pertanto un approccio multidisciplinare poiché spazia in numerosi campi includendo anche valutazioni critiche e misure dell'effettivo miglioramento della qualità della vita dei pazienti. Il TA prevede quindi l'identificazione delle tecnologie che necessitano di una valutazione, la raccolta delle evidenze già esistenti e l'analisi dei dati, la sintesi delle informazioni e la distribuzione dei risultati ottenuti nonché la diffusione e la disseminazione dei conseguenti suggerimenti e raccomandazioni. Questo processo conduce ad un approccio critico delle decisioni di politica sanitaria, realizzato sulla base delle evidenze. Tradizionalmente, infatti, il processo di health technology assessment (HTA) rappresenta pertanto il 'ponte' tra il mondo tecnico-scientifico e quello dei decisori.

### Quando è necessario un processo HTA

Lo scopo dell'HTA è assistere e consigliare chi ha il potere decisionale in ambito sanitario nella definizione delle scelte di politica sanitaria. La scelta può essere realizzata a tutti i livelli (figura 1):

- **micro** (pratica sanitaria basata sulle evidenze), che coinvolge il medico e/o l'operatore sanitario: un medico può richiedere la valutazione di un test per decidere se tale prestazione debba essere introdotta nelle routine di laboratorio;

- **meso** (gestione basata sulle evidenze), che coinvolge l'ospedale: il medico responsabile può avvalersi di un processo di TA per decidere se acquistare una determinata tecnologia per l'ospedale o se mandare i pazienti ad altri centri per il trattamento;
- **macro** (politica sanitaria basata sulle evidenze), che coinvolge le autorità sanitarie: decidere se procedere con determinati programmi sanitari (programmi di screening o vaccinazioni) o mettere al corrente le autorità sanitarie sull'innovazione tecnologica, la ricerca e lo stato dell'arte.

Come è evidenziato nella figura, la produzione delle evidenze e la presenza di banche dati rappresentano il punto di partenza per la realizzazione di un processo di valutazione, seguiti poi dalla sintesi delle informazioni rilevanti. Una volta realizzato il TA, anche alla luce dei possibili fattori sociali, etici e politici, il report è rivolto ai vari livelli organizzativi (micro, meso e macro); l'eventuale cambiamento, indotto dall'HTA, comporta, infine, anche una valutazione della qualità dei servizi sanitari offerti. Il processo di valutazione può quindi risultare utile nel supporto decisionale quando:

- una tecnologia è piuttosto complessa ed è caratterizzata da numerose incertezze;
- un trattamento o un test diagnostico è innovativo o controverso;
- una tecnologia consolidata è coinvolta in notevoli cambiamenti di utilizzo e di risultati;
- una tecnologia ha costi elevati.

Il processo di TA può essere condotto in un qualunque momento del ciclo di vita (sviluppo e diffusione) di una tecnologia. Gli stadi possono essere:

- concettuale: nei primi tempi dello sviluppo;
- sperimentale: quando si è alle prime fasi di test e di valutazioni con l'utilizzo di animali o modelli;
- investigativo: si sta procedendo con le prime valutazioni cliniche (esseri umani);
- stabile: la tecnologia in esame è uno standard il cui uso è diffuso;
- obsoleto: la tecnologia è superata da una nuova o ne è stata provata l'inefficacia.

Spesso queste fasi non sono sempre ben definite e le tecnologie non seguono necessariamente un'evoluzione lineare attraverso tali stadi: una tecnologia può essere stabile per una

determinata applicazione e nella fase investigativa per altre. Inoltre, dal momento che la tecnologia in campo biomedico è in costante evoluzione, il processo di valutazione dovrà a sua volta prevedere un approccio dinamico. Infine, il processo di TA, una volta iniziato, deve essere un'attività continua, cioè condotta prima dell'introduzione della tecnologia e durante il suo intero ciclo di vita.

### Come si conduce uno studio di HTA

Un processo di HTA completo comporta la realizzazione di nove passaggi.

#### 1. Identificazione e scelta delle priorità per la tecnologia oggetto di studio

Uno degli aspetti più importanti di una valutazione è specificare chiaramente la domanda (*policy question*) a cui si vuole dare una risposta, il che implica l'identificazione di un problema rilevante per i decisori in ambito sanitario. Il problema di assessment deve riconoscere la relazione tra nuove tecnologie e tecnologie già esistenti. Per esempio, se una nuova apparecchiatura diagnostica può fornire un maggiore numero di informazioni, potrebbe però non influenzare un trattamento o non portare ad un effettivo miglioramento dei risultati in termini di outcome. Il team incaricato della valutazione deve avere ben presente lo scopo dell'assessment e chi utilizzerà i risultati.

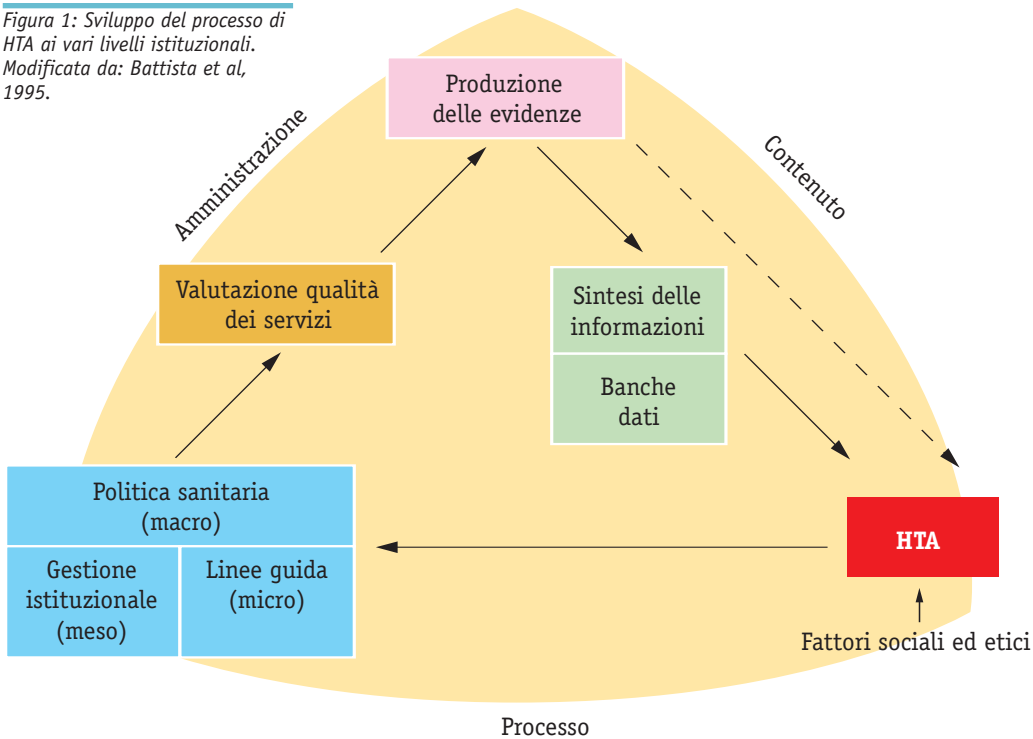
#### 2. Valutazione della tecnologia in termini di 'bisogno', 'efficacia', 'appropriatezza', 'efficienza', 'equità', 'sicurezza'

Tale passaggio, identificato in letteratura come *research question*, rappresenta una specificazione, in termini empirici, della *policy question*: significa, in altre parole, inquadrare il problema oggetto di studio sulla base dell'evidenza scientifica, di ben definiti strumenti e misure dell'efficacia. Una volta identificata la tecnologia, infatti, è necessario analizzarla in tutti i suoi aspetti ovvero rispondere a quesiti che riguardano il bisogno, l'efficacia, l'appropriatezza e la sicurezza.

#### 3. Raccolta delle prove

Uno dei compiti più importanti all'interno di un processo di TA è la raccolta delle prove relative ad una particolare tecnologia prima di procedere ad una qualunque sintesi, sia essa qualitativa o quantitativa. Spesso la ricerca si deve spingere oltre le materie prettamente mediche e allargarsi al campo più scientifico in generale. Diviene così necessario consultare più

Figura 1: Sviluppo del processo di HTA ai vari livelli istituzionali. Modificata da: Battista et al, 1995.



poiché la valutazione della tecnologia deve confrontarsi con numerosi punti di vista. L'HTA si trova quindi a dover coniugare l'evidenza scientifica con contesti di natura sanitaria e sociale quali l'epidemiologia, l'analisi dell'efficacia, gli aspetti sociologici, organizzativi, economici, etici e politico/legali.

### 5. Interpretazione delle prove e dei dati

L'interpretazione delle prove implica un processo di classificazione degli studi al fine di conferire a ciascuno di essi un peso e la conseguente

risorse e fonti di dati in modo da incrementare la possibilità di raccogliere prove adeguate. Fonti utili per raccogliere dati e prove possono essere:

- computer database su letteratura pubblicata;
- computer database su dati clinici e amministrativi;
- report e monografie di natura istituzionale e non istituzionale;
- inventari speciali;
- riviste specializzate.

Generare delle prove per un processo di assessment può dover coinvolgere la raccolta di nuovi dati. Metodi per generare nuovi dati sugli effetti di una nuova tecnologia medica sono rappresentati dai seguenti studi epidemiologici:

- sperimentazioni cliniche controllate e randomizzate;
- sperimentazioni cliniche controllate non randomizzate con controlli contemporanei;
- sperimentazioni cliniche controllate non randomizzate con controlli storici;
- studi di coorte;
- studi caso controllo;
- studi di prevalenza (cross-sectional).

### 4. Analisi del contesto

L'analisi del contesto è un punto cruciale nel processo di HTA

opportunità di includerli o meno nella sintesi. Per molti soggetti, in un technology assessment, un risultato definitivo che indichi che una tecnologia è migliore di un'altra non esiste. Spesso è necessario combinare i risultati di svariati studi e considerare più ampi contesti sociali ed economici. I metodi usati per combinare o sintetizzare i vari dati sono i seguenti:

- revisioni non quantitative della letteratura consistenti in riassunti della letteratura esistente selezionata e adeguatamente valutata;
- metanalisi consistenti in un gruppo di tecniche statistiche in grado di combinare i dati di studi multipli allo scopo di ottenere risultati e stime quantitative.

### 6. Risultati e raccomandazioni

Con il termine 'risultati' si fa riferimento alle conclusioni cui si è giunti al termine dello studio, con 'raccomandazioni' si intendono invece i suggerimenti, i consigli che emergono dai risultati e che possono essere formulati come strategie di Sanità pubblica oppure come linee guida clinico-organizzative o direttive pratiche.

### 7. Diffusione e disseminazione dei risultati ottenuti

La 'diffusione' è un atto che si riferisce alla mera trasmissione dei rapporti di HTA che vengono prodotti e che, come già

evidenziato, posso essere indirizzati ai tre livelli macro, meso e micro. La ‘disseminazione’ è invece un’attività più specifica, poiché è volta a predisporre negli utilizzatori finali il possibile cambiamento nella pratica. Le strategie di disseminazione posso essere molteplici, come, ad esempio, la pubblicazione in riviste di interesse internazionale, conferenze, corsi specifici e tutti i mezzi di comunicazione di massa.

### 8. Implementazione dei risultati nella pratica

L’implementazione è la fase più delicata di un processo di HTA, perché comporta dei cambiamenti nella pratica a tutti i livelli istituzionali: si tratta di adottare strategie di implementazione che portino alla modifica di fattori di contesto organizzativi, amministrativi e anche culturali. La letteratura, inoltre, evidenzia come il trasferimento nella pratica dei risultati delle ricerche scientifiche sia estremamente lento e assolutamente non prevedibile.

### 9. Monitoraggio dell’impatto ottenuto dalla valutazione

Alcuni degli effetti che un report di technology assessment può scatenare sono:

- acquisizione o adozione di una nuova tecnologia;
- cambiamento della frequenza d’uso – in termini riduttivi o di incremento – di una tecnologia;
- nuova allocazione di risorse nell’ambito sanitario regionale o nazionale;

- modificazione della pianificazione di marketing di una determinata tecnologia.

Nella figura 2 è riportata una dimostrazione pratica del processo di HTA, in cui vengono mostrati alcuni dei numerosi passaggi evidenziati sopra. L’esempio in questione riguarda la valutazione dell’efficacia della tecnologia (ma potrebbe riguardare l’appropriatezza, l’eticità o l’efficienza); il metodo considera la revisione sistematica dell’evidenza disponibile e non contempla, nel caso specifico, la possibilità di effettuare una valutazione economica (ipotesi peraltro proposta al momento della valutazione dell’impatto).

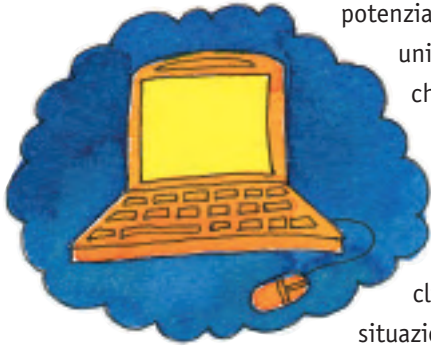
#### Gli attori dell’HTA

Come desumibile dalla sua natura multidimensionale, il processo di valutazione deve necessariamente coinvolgere numerosi e differenti attori, tutti ugualmente importanti. Innanzitutto, il processo di HTA si basa principalmente, come visto, sulla ricerca e verifica delle evidenze scientifiche: ciò comporta la partecipazione dei ricercatori e degli esperti nell’ambito di indagini, ma anche degli operatori sanitari e dei decisori, che, senza la disponibilità delle migliori prove di efficacia, non sono messi nelle condizioni necessarie per decidere se adottare o meno una nuova tecnologia.

Accanto agli aspetti prettamente clinici, ne vanno anche evidenziati altri come, ad esempio, quelli sociali, culturali ed etici, che coinvolgono principalmente i cittadini/utenti/pazienti del servizio sanitario pubblico, nonché il servizio stesso. Per quanto concerne i fattori socioculturali, i cittadini sono oggi sempre più sensibili all’aspetto della partecipazione alle scelte in Sanità (si veda la parola chiave ‘Empowerment’ in CARE 2, 2005). Si tratta, pertanto, di conciliare, nell’effettuazione delle scelte, le garanzie di evidenza scientifica con la partecipazione attiva del loro destinatario effettivo o

Figura 2. Health Technology Assessment: dalla teoria alla pratica. Modificata da: Granados, 1999.

Policy question (1996)	Il laser transmiocardico dovrebbe essere ammesso alla rimborsabilità (SSN) per la cura delle patologie coronariche acute?
Research question	È efficace?
Metodo	Revisione sistematica dell’evidenza scientifica
Risultati	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Pochi studi disponibili (nessun RCT)</li> <li>• Scarsa qualità dell’evidenza</li> <li>• Efficacia clinica non riconosciuta</li> </ul>
Raccomandazioni	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Non ammesso alla rimborsabilità</li> <li>• Necessità di maggiori ricerche</li> </ul>
Impatto (1998)	Stanziamento di fondi per l’analisi economica e per l’efficacia



potenziale: è, infatti, ormai universalmente riconosciuto che quando il cittadino partecipa al processo decisionale la sua soddisfazione è maggiore e gli esiti clinici migliorano. Quale situazione emblematica di

questo 'circolo virtuoso' può essere assunto il 'bilancio sociale' (vedi parola chiave in CARE 3, 2005), inteso come strumento volto essenzialmente alla trasparenza nella trasmissione/condivisione delle informazioni.

Qualunque scelta determina, in effetti, un potenziale conflitto tra 'valori morali', poiché implica una situazione in cui: (a) può non esistere, in assoluto, una soluzione 'giusta' o 'sbagliata' o (b) più di una alternativa può risultare appropriata. Sempre sotto l'aspetto etico, non si può non accennare all'aspetto relativo alla natura della committenza: la correttezza nello svolgimento del processo di HTA potrebbe infatti essere condizionata dagli interessi 'particolari' del committente, in particolare laddove questi sia un soggetto privato: tale tematica richiederebbe uno specifico approfondimento. Infine, tra gli attori coinvolti nell'HTA vanno inclusi anche gli esperti in valutazione economica: non si può negare infatti che tale aspetto, pur rappresentando solo una parte del processo di HTA, continui a rivestire un ruolo determinante nel processo decisionale. Ciò malgrado, è necessario sfatare 'il mito' che assegna all'economia un ruolo di finalità piuttosto che di vincolo: le risorse vanno infatti allocate in maniera efficiente e nel rispetto dell'efficacia clinica indipendentemente dalla loro natura limitata: ciò conferma ulteriormente l'opportunità di avvalersi di esperti nel settore.

### Considerazioni e prospettive

Abbiamo cercato di presentare l'HTA come un processo sistemico e multidisciplinare indispensabile per la corretta istruzione delle dinamiche decisionali e garante della ottimizzazione delle soluzioni perseguite, oltre che della trasparenza di tali dinamiche nei confronti di tutti gli attori coinvolti. Come si può facilmente evincere, l'HTA può rappresentare un potente strumento di collegamento tra l'ambito 'tecnico-scientifico' e quello 'decisionale', posto che quest'ultimo ne garantisca i presupposti per la sua attuazione e, soprattutto, che si abitui a richiederne l'effettuazione.

Nella seconda parte della parola chiave, cercheremo di rappresentare la diversa diffusione dell'HTA nel mondo (Italia compresa), caratterizzandone lo stato di sviluppo nei Paesi che vi stanno maggiormente improntando la gestione dei propri sistemi sanitari.

**Letizia Orzella, Maurizio Marceca**

### BIBLIOGRAFIA

- Battista RN, Hodge MJ, Vineis P. Medicine, practice and guidelines: the uneasy juncture of science and art. *J Clin Epidemiol* 1995; 7: 875-880.
- Bero LA, Grilli R, Grimshaw JM et al: Closing the gap between research and practice: an overview of systematic reviews of intervention to promote the implementation of research findings. *BMJ* 1998; 317: 465-468.
- Chantler C: Health technology assessment: a clinical perspective. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 87-91.
- Chinitz D: Health technology assessment in four countries: response from political science. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 55-60.
- Eccles MP, Grimshaw JM, Walker A et al: Changing behaviour of health care professionals: the use of theory in promoting the uptake of research findings. *J Clin Epidemiol* 2005; 58: 107-112.
- Garber AM: To use technology better. *Health Aff* 2006; 25 (2): W51-W53.
- Granados A: Health technology assessment and clinical decision making: which is the best evidence? *Int J Technol Assess Health Care* 1999; 15: 585-614.
- Grilli R: Linee guida. *CARE* 2003; 1: 27-30.
- Grimshaw JM, Thomas RE, MacLennan G et al. Effectiveness and efficiency of guidelines dissemination and implementation strategies. *Health Technol Assess* 2004; 8 (6): iii-iv, 1-72.
- Grimshaw JM, Eccles MP: Is evidence-based implementation of evidence-based care possible? *Med J Aust* 2004; 180: S50-S51.
- Hensall C, Oortwijn W, Stevens A: Priority setting for health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 1997; 13: 144-185.
- Holland WW: Health technology assessment and public health: a commentary. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 77-80.
- Liberati A, Sheldon T, Banta D: Methodological guidance for the conduct of health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 1997; 13: 186-219.
- Loiudice M, Dramis M. Il bilancio sociale. *CARE* 2005; 3: 23-25.
- Lothgren M, Ratcliff M: Pharmaceutical industry's perspective on health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 97-101.
- Oliver A, Mossialos E, Robinson R: Health technology assessment and its influence on health care priority setting. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 1-10.
- Poletti P: Empowerment del cittadino utente. *CARE* 2005; 2: 24-27.
- Ridley DB, Grabowsky HG, Moe JL: Developing drugs for developing countries. *Health Aff* 2006; 25, 2: 313-324.
- Royle J, Oliver S: Consumer involvement in the health technology assessment program. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20, 4: 493-497.
- Rutten F: Health technology assessment and policy from the economic perspective. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 67-70.
- ten Have H: Ethical perspective on health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 71-76.