

DIABETE: IL DIFFICILE TRADE-OFF TRA INNOVAZIONE E SOSTENIBILITÀ

Accesso alle cure e sostenibilità economica: un difficile trade-off che richiede equilibri difficili; equilibri che auspicabilmente dovrebbero scaturire da un confronto dialettico tra tutte le parti in gioco.

È in quest'ottica che si sviluppa il presente dossier: una riflessione animata dalle voci di tutti i protagonisti (società scientifiche, economisti sanitari, pazienti) di un'area terapeutica oggetto di grande dibattito alla luce di recenti misure di politica farmaceutica. Si parla di diabete e si dibatte sulla decisione adottata dall'AIFA di porre un tetto di spesa per le incretine con l'intento di razionalizzare la spesa farmaceutica relativa alla gestione della patologia. È una soluzione scientificamente e economicamente fondata e idonea a non ledere il diritto fondamentale del paziente di essere curato attraverso i trattamenti più appropriati disponibili?

Questi gli interrogativi che animano un dibattito – anticipato dall'intervista di apertura a due senatrici firmatarie di una interrogazione parlamentare sul tema – da cui emergono molti spunti di riflessione.

IL PUNTO DI VISTA DELLE SOCIETÀ SCIENTIFICHE

Il documento congiunto di SID-AMD a difesa dell'appropriatezza delle cure

A colloquio con Carlo B. Giorda¹ e Andrea Giaccari²

¹Direttore della Struttura Complessa Malattie Metaboliche e Diabetologia, ASL Torino 5 e Presidente dell'Associazione Medici Diabetologi; ²Professore Associato Diabetologia e Endocrinologia, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma e Coordinatore del Comitato editoriale della Società Italiana di Diabetologia

Professore, con il position statement congiunto SID-AMD sulla terapia incretinica, la comunità scientifica prende posizione su un tema oggetto di grande dibattito. Un in-

tervento necessario per rivendicare l'importanza e la necessità di una giusta attenzione alle evidenze scientifiche e alla pratica clinica nelle decisioni di politica sanitaria farmaceutica?

Giorda. Il position statement rappresenta un tentativo di convincere AIFA e Ministero che la terapia con incretine (con antagonisti del recettore del GLP1 o con gliptine) rappresenta una reale innovazione e, soprattutto, che si tratta di una terapia della quale, alla luce delle evidenze scientifiche sia nazionali sia internazionali disponibili, non si può fare a meno se si vuole realmente perseguire la qualità e l'appropriatezza delle cure.

Come Società Scientifica siamo perfettamente consci della situazione economica italiana e della necessità di individuare strategie di razionalizzazione della spesa e, proprio in quest'ottica, crediamo sia necessario riconoscere almeno a specifiche categorie di pazienti (per esempio, gli anziani, i soggetti a rischio di ipoglicemia, gli obesi) l'accesso alle cure più adeguate, ampliando la possibilità di prescrizione per questi farmaci.

Giaccari. Il position statement SID-AMD è un documento ufficiale delle due Società Scientifiche, che si rivolge alle Istituzioni; è un documento volutamente tecnico, che ha il fine di dimostrare scientificamente (a questo servono le Società Scientifiche) che il tetto di spesa per la terapia incretinica ha poco senso. Poiché si rivolge alle Istituzioni, ha un tono formale, scientificamente inattaccabile, ma forse carente dal punto di vista comunicazionale. Ciò che afferma, con forza e dati scientifici, è che il 'taglio lineare' operato con il tetto è privo di alcuna razionalizzazione di spesa. Guardi, le faccio alcuni esempi. È aumentato il prezzo dei carburanti, con importanti conseguenze economiche; chi ne risente di più, oltre ai comuni cittadini, sono le aziende di trasporti. Secondo lei un'azienda di trasporti riduce il numero di trasporti? No, perché ovviamente questo significherebbe riduzione del fatturato, involuzione e fallimento dell'azienda. Piuttosto, cercherà di razionalizzare, di contenere le spese magari reinvestendo per aumentare il margine su business alternativi. Le faccio un altro esempio, più vicino al mondo sanitario: non c'è manager sanitario che non sia convinto che una struttura ospedaliera efficiente debba avere un minimo di posti letto; anche qui, spesso, tagli lineari, -10% di posti letto a tutte le strutture, anche lasciando aperte (per ovvi motivi elettorali, se va bene) strutture chiaramente inefficienti.

Mi permetta anche di aggiungere che, così come è organizzato, il tetto economico determina una specie di 'arrembaggio terapeutico'. Chi è già in terapia o conosce un medico che prescrive questa classe può usufruirne; gli altri, se arrivano a tetto raggiunto o "non conoscono nessuno", restano fuori. Le pare corretto?

Il documento fa esplicito riferimento a linee guida nazionali e internazionali che appaiono in controtendenza rispetto alle decisioni assunte dall'ente regolatore. Ci spiega meglio questo punto?

Giorda. Ciò che appare davvero singolare è che è proprio il NICE, istituto spesso citato e preso a modello dall'Agenzia Italiana del Farmaco come esempio di rigore assoluto, a fornire evidenze chiare a supporto dell'impiego dei farmaci incretinici e ad evidenziarne, alla luce di accurate analisi di HTA, i benefici sia in termini di salute che economici. Sia le linee guida nazionali che internazionali raccomandano un utilizzo più frequente e precoce delle incretine, in considerazione del profilo favorevole in termini di sicurezza ed efficacia; nonostante ciò gli enti regolatori italiani ne hanno fortemente limitato il loro utilizzo.

Giacconi. È proprio una questione di razionalizzazione delle risorse e di farmacoeconomia. È chiaro che la terapia incretinica, a breve, costa di più ed è più facile da tagliare. Ma è anche chiaro che la terapia incretinica ha l'importante vantaggio della sostanziale assenza di effetti collaterali (almeno per le gliptine) e

soprattutto l'assenza di ipoglicemie. Ci sono modelli matematici di farmacoeconomia che hanno chiaramente dimostrato come, a medio-lungo termine, l'uso delle gliptine comporti vantaggi economici. Ma sono vantaggi economici solo a medio-lungo termine, quando probabilmente l'attuale classe politica e dirigenziale avrà altri incarichi. Mi permette un altro esempio? Abbiamo la necessità di costruire un ospedale, dobbiamo progettarlo, fare un piano di investimento, vedere le infrastrutture necessarie che dovranno circondarlo; probabilmente vedremo i risultati dopo anni. Meglio allora un bell'ospedale da campo, una struttura provvisoria in prefabbricati, poi si vedrà. Le sembra un'ipotesi assurda? Faccia un giro per il centro de L'Aquila. Almeno, bisogna ammetterlo, sono scelte fra loro coerenti.

La terapia incretinica (con agonisti del recettore del GLP-1 e con gliptine) rappresenta, come si legge nel documento, una terapia assolutamente innovativa, in grado di fornire benefici differenziali — quando opportunamente somministrata in modo appropriato — rispetto alle terapie tradizionali. In che cosa esattamente consistono questi vantaggi differenziali?

Giorda. Ritengo che i principali vantaggi differenziali siano collegati alla significativa riduzione o addirittura all'azzeramento di importanti effetti collaterali (per esempio, il rischio di ipoglicemia, di aumento di peso). Un aspetto che ritengo essenziale per le positive ricadute che ha sulla qualità di vita del paziente.

Giacconi. Se prescritta da sola, o in combinazione con la metformina, l'assenza totale del rischio di ipoglicemie. A totale parità di efficacia. Non è un vantaggio da poco. Il principale rischio che si corre con le terapie tradizionali con gli altri secretagoghi (sulfoniluree e repaglinide) è proprio il rischio di ipoglicemia. Se vogliamo, questa è proprio la principale 'arte' del diabetologo: saper prescrivere la sulfonilurea giusta alla dose corretta, per poter raggiungere l'obiettivo prescelto di efficacia senza far correre al paziente il rischio di ipoglicemia; ma non sempre ci si riesce. E se il paziente ha la sfortuna di incorrere in una ipoglicemia, con ogni probabilità si autoridurrà la dose dei farmaci, perdendo la compliance, con importanti conseguenze sul rischio di complicanze croniche e cardiovascolari. Vi sono anche altri vantaggi, come una modesta perdita di peso, la possibilità di utilizzo in pazienti con insufficienza renale cronica; ma il più facile e diretto vantaggio è l'assenza di ipoglicemie.

Oltre al beneficio in termini di salute, nel documento si parla — citando i dati dello studio ARNO — anche di benefici economici se l'attenzione si sposta dal costo del farmaco in senso stretto al costo della gestione della pa-



tologia nel suo complesso. In che cosa esattamente consistono questi benefici?

Giorda. Proprio considerando la significativa riduzione o addirittura l'annullamento degli effetti collaterali che si possono ottenere impiegando questi farmaci, si può arrivare a calcolare senza dubbio una riduzione complessiva dei costi di gestione della patologia diabetica conseguente al loro impiego. Si discute tanto dei prezzi del farmaco in senso stretto ma in un'ottica più lungimirante di programmazione sanitaria; credo sia necessario e opportuno prendere in considerazione la patologia nel suo complesso e i costi collegati alla sua appropriata gestione.

Giacconi. È presto detto. Immagini un farmaco capace di normalizzare, nella gran parte dei casi, la glicemia ed il classico parametro di monitoraggio del diabete, l'emoglobina glicata. Senza bisogno di adeguamenti di dose, precauzioni, istruzioni particolari per il paziente, effetti collaterali. In altre parole, un farmaco capace di esplicare la sua azione senza bisogno di frequenti visite e controlli con analisi.

Quanto permetterebbe di risparmiare in termini economici e di risorse umane? E quanti di questi risparmi economici e di risorse umane potrebbero avvantaggiare i pazienti più complessi? Questa classe di farmaci esiste, è la terapia incretinica, con le gliptine in particolare. Lo studio ARNO ha semplicemente documentato, con numeri e prove scientifiche, questa facilmente prevedibile osservazione.

Quali sono le ragioni del divario molto forte tra Italia e altri paesi omologhi europei nell'impiego di categorie di farmaci innovativi per la gestione del diabete, documentato nel position statement?

Giorda. La differenza che lei cita è, direi, enorme. In Italia le incretine sono prescritte da 6 a 10 volte in meno. Differenze che difficilmente possono essere ricondotte a caratteristiche epidemiologiche della popolazione. Le uniche spiegazioni plausibili sono le limitazioni alle prescrizioni. In Italia la prescrizione è limitata agli specialisti e soggetta a 'macchinosi sistemi', come il piano terapeutico via web che rappresenta certamente un deterrente alla prescrizione, allungando significativamente i tempi di prescrizione per paziente. In estrema sintesi, direi che non si riesce a intravedere nessun'altra ragione che obiettivi di risparmio di breve periodo perseguiti nell'area terapeutica del diabete in modo assolutamente più incisivo che in altre aree terapeutiche, richiedendo addirittura una contrazione della spesa ovvero, detto in altro modo, chiedendo di togliere pazienti già trattati dalla terapia.

Giacconi. Questa è una domanda cui è davvero difficile rispondere. Cosa c'è di diverso in Italia rispetto al resto d'Europa?

Molte cose. Abbiamo il vantaggio di avere la migliore organizzazione di assistenza diabetologica d'Europa, grazie ad una vecchia legge promulgata da un premier diabetico che, sulla sua pelle, sapeva quanto fosse importante riuscire a controllare bene questa malattia. Questa sensibilità si è persa, il diabete viene spesso visto (ed in parte è vero) come una malattia dovuta alla società moderna, ai consumi ed agli stili di vita attuali. Ma anziché colpire questi ultimi (come viene proposto o talvolta già avviene in molte nazioni d'Europa, con tasse specifiche sul 'junk food', il cibo spazzatura) in Italia si preferisce tagliare più facilmente le cure. Con i già citati e troppo spesso utilizzati tagli lineari su tutto.

Proprio in questi giorni è girata una bozza di documento della Conferenza Stato Regioni dove si propone, sostanzialmente, l'abolizione delle diabetologie e la riduzione della disponibilità dei presidi per diabetici. Come se gli stessi si divertissero a bucarsi le dita 5-6 volte al giorno per sprecare risorse pubbliche. Le pare razionale? Eppure è così. Anche in questo caso SID e AMD, unite con i pazienti in Diabete Italia, protestano e protesteranno. Speriamo bene.

Per chiudere, quali le specifiche richieste delle Società Scientifiche?

Giorda. Come Società Scientifica, abbiamo sia richieste specifiche che offerte.

Sul lato delle richieste chiediamo un incontro con l'AIFA per poterci confrontare costruttivamente sui diversi punti evidenziati nel position statement, frutto di un lavoro di revisione e analisi scientifica che crediamo meriti di essere discusso approfonditamente.

Lo abbiamo chiesto anche in Senato nell'audizione in cui le Società Scientifiche sono state invitate a esprimere il proprio punto di vista nell'ambito dell'interrogazione parlamentare relativa al tetto sui farmaci incretinici.

Specularmente, offriamo disponibilità alla collaborazione per riuscire a trovare definizioni e strumenti utili a perseguire condivisibili obiettivi di razionalizzazione della spesa nel rispetto, però, di irrinunciabili obiettivi di appropriatezza prescrittiva.

Infine, crediamo che sia importante passare dall'attuale sistema di monitoraggio ad un sistema che sfrutti la rete delle cartelle cliniche della diabetologia e della medicina generale, in modo da avere, in tempo reale, un panorama dell'impiego di questi farmaci.

Giacconi. Parlare, dialogare, confrontarsi per programmare. Far capire che è possibile razionalizzare le spese; ottenere migliore assistenza con costi minori degli attuali. Il nostro non è un governo di tecnici? Sul diabete i tecnici sono le Società Scientifiche. ■ ML

IL PUNTO DI VISTA DELL'ECONOMISTA

Le evidenze degli *Annali AMD*

Antonio Nicolucci

Dipartimento di Farmacologia Clinica e Epidemiologia,
Consorzio Mario Negri Sud, Santa Maria Imbaro (CH)

Introduzione

Da diversi anni gli *Annali AMD* offrono uno spaccato estremamente interessante e rappresentativo dell'assistenza diabetologica specialistica. Grazie al coinvolgimento di 250 servizi di diabetologia che forniscono i dati delle proprie cartelle cliniche informatizzate, è infatti possibile valutare anno dopo anno, a partire dal 2004, l'evolversi della qualità dell'assistenza fornita a oltre 450.000 persone con diabete di tipo 1 e di tipo 2¹⁻³. Gli *Annali AMD* forniscono importanti spunti di riflessione riguardo agli approcci terapeutici utilizzati ed ai risultati ottenuti in termini di controllo metabolico e dei fattori di rischio cardiovascolare. Fra le tante possibili chiavi di lettura derivanti da una tale enorme mole di dati, sembra particolarmente interessante, alla luce dei dibattiti in corso, soffermarsi su due aspetti principali: la necessità di intensificazione terapeutica (o, in altri termini, il problema dell'inerzia terapeutica) e l'appropriatezza nell'uso dei farmaci. Questi due aspetti sono in realtà fra di loro strettamente correlati, in quanto spesso un uso appropriato dei farmaci coincide con l'assenza di inerzia terapeutica.

La necessità di intensificazione terapeutica

Sebbene sia stato documentato un trend di miglioramento nel corso degli anni, permane elevata la percentuale di soggetti con diabete di tipo 2 (T2DM) che presentano un insoddisfacente controllo metabolico. Dagli *Annali 2011* (raccolta dati del 2009) si evince ad esempio come poco più del 40% dei pazienti con T2DM presenti valori di HbA_{1c} inferiori o uguali al 7,0%, mentre il 15% dei pazienti mostra valori fra 8,1 e 9,0% e circa il 13% valori superiori al 9%. Il quadro sembra particolarmente preoccupante fra le persone più giovani (<55 anni), delle quali oltre una su tre presenta valori di emoglobina glicata sopra all'8,0% e una su cinque valori al di sopra del 9,0%. Mentre il raggiungimento di target terapeutici non troppo 'aggressivi' (valori di HbA_{1c} fra 7,0 e 8,0%) potrebbe essere giustificato in alcune categorie di pazienti (anziani fragili, con pluripatologie o soggetti con diabete di lunga durata e con pregresso evento cardiovascolare), valori superiori a 8,0% suggeriscono la necessità di una intensificazione terapeutica. Questa sembra particolarmente necessaria fra i più giovani,



con più lunga aspettativa di vita e quindi più suscettibili agli effetti deleteri di una prolungata esposizione a elevati valori glicemici. Il concetto di 'memoria metabolica', recentemente evidenziato in diversi studi, supporta inoltre la necessità di interventi intensivi soprattutto nelle fasi iniziali della malattia, al fine di raggiungere tempestivamente e mantenere nel tempo valori di HbA_{1c} inferiori al 7%^{4,5}. Anche in questo caso, i dati degli *Annali* documentano il persistere di un atteggiamento poco proattivo: fra le persone con T2DM diagnosticato da meno di due anni, meno di una su due presenta valori inferiori o uguali al 7,0%, mentre una su quattro presenta valori superiori all'8%.

Una analisi più approfondita dei profili terapeutici fornisce ulteriori dettagli. Fra i soggetti in trattamento con soli ipoglicemizzanti orali in monoterapia, circa il 15% presenta valori di HbA_{1c} >8,0%, a prescindere dal farmaco utilizzato. La percentuale sale a oltre il 20% fra i pazienti in trattamento con due ipoglicemizzanti orali e raggiunge il 30% nel caso di tripla combinazione. Fra i pazienti in trattamento con diversi schemi di terapia combinata iporali + insulina, fra il 45% e il 60% presentano valori di HbA_{1c} >8,0%. Anche fra i soggetti in terapia con sola insulina una quota tutt'altro che trascurabile (40-45%) continua a presentare valori di HbA_{1c} >8,0%.

Una lettura speculare può essere fatta a partire dai valori di HbA_{1c}. Infatti, fra le persone con valori di emoglobina glicata fra 8,1% e 9,0%, il 53% è in terapia con soli ipoglicemizzanti orali, mentre fra i pazienti con HbA_{1c} superiore a 9,0% circa il 43% non è trattato con insulina. Tale dato è ulteriormente enfatizzato dal riscontro di una enorme variabilità fra i centri riguardo l'attitudine al trattamento con insulina. A parità di età, sesso e durata del diabete, la percentuale di pazienti di età <75 anni non trattati con insulina nonostante valori di HbA_{1c} >9,0% oscilla fra pochi punti percentuali a quasi il 30%.

L'appropriatezza terapeutica

Parallelamente al problema dell'inerzia clinica si pone quello dell'appropriatezza delle scelte terapeutiche. In tal senso, un esempio paradigmatico è rappresentato dalla scelta dei farmaci nelle persone con riduzione della funzionalità renale, espressa come riduzione del filtrato glomerulare (GFR) al di sotto di 60 ml/min, e nelle persone anziane. Nella popolazione degli *Annali AMD*, una persona su 5 (21,5%) presentava una riduzione significativa del GFR e la percentuale saliva al 40% fra gli ultrasessantacinquenni. In questi soggetti, l'uso di farmaci secretagoghi può accrescere notevolmente il rischio di ipoglicemie^{6,7}. Nonostante ciò, circa un paziente su tre con GFR <60 ml/min è risultato in trattamento con sulfaniluree in tutte le fasce di età. A prescindere dal livello di GFR, nelle persone di età ≥ 75 anni trattate con un'associazione fra insulina e ipoglicemizzanti orali, lo schema terapeutico più frequente era rappresentato da metformina + sulfaniluree + insulina, adottato nel 40% dei casi.

Complessivamente, fra le persone di età superiore ai 74 anni (età media 80 anni), il 36% è risultato in terapia con le sulfaniluree e una quota addizionale del 13% è risultata in terapia con glinidi, nonostante questi farmaci non siano stati testati negli anziani e, da scheda tecnica, non siano considerati raccomandati in questa popolazione. Fra i soggetti più anziani in terapia combinata insulina + ipoglicemizzanti, uno su 5 è risultato trattato con insulina + glinidi.

Conclusioni

La produzione di dati e la loro diffusione fra i centri partecipanti agli *Annali* ha certamente rappresentato un importante stimolo al miglioramento della qualità dell'assistenza diabetologica negli ultimi anni³. Nonostante questi progressi, i margini di crescita rimangono ancora molto ampi e gli sforzi andranno concentrati soprattutto fra i pazienti con diagnosi recente e fra i più giovani, senza tuttavia trascurare le altre categorie di pazienti che certamente possono beneficiare di un trattamento più intensivo. Da questo punto di vista, un uso appropriato di farmaci con un elevato profilo di sicurezza può sicuramente aiutare a superare alcuni degli ostacoli più frequenti all'intensificazione terapeutica, vale a dire il rischio di ipoglicemie e l'aumento del peso corporeo^{8,9}.

Una maggiore attenzione deve essere inoltre rivolta all'appropriatezza prescrittiva soprattutto fra i soggetti più anziani, che rappresentano, e rappresenteranno sempre di più in futuro, una quota sostanziale delle persone con T2DM. In presenza di fragilità, sia essa legata all'età o alle condizioni cliniche, le scelte terapeutiche dovranno privilegiare sempre di più gli aspetti di sicurezza, anche a costo di pagare un prezzo in termini di raggiungimento dei target terapeutici desiderati. Questi aspetti vanno enfatizzati soprattutto alla luce dei grandi trial più recenti¹⁰⁻¹²,

che hanno messo seriamente in discussione la necessità di perseguire un controllo metabolico intensivo nelle popolazioni vulnerabili, evidenziando di converso tutti i rischi di morbilità e mortalità associati alle ipoglicemie. La disponibilità di un ampio ventaglio di opzioni terapeutiche, associata al concetto di 'terapia e obiettivi terapeutici personalizzati'¹³⁻¹⁵, potranno sicuramente rappresentare un importante progresso nella cura del diabete, con inevitabili ripercussioni positive sugli aspetti clinici, sociali ed economici della patologia.

BIBLIOGRAFIA

1. Cimino A, Fava D, Giorda C et al: AMD Annali 2011. Indicatori di qualità dell'assistenza diabetologica in Italia. Torino, Kino 2011. Accessibile al seguente indirizzo: http://www.infodiabetes.it/pages/annali_amd/
2. Rossi MC, Nicolucci A, Arcangeli A et al: Baseline quality-of-care data from a quality-improvement program implemented by a network of diabetes outpatient clinics. *Diabetes Care* 2008; 3: 2166-2168.
3. Nicolucci A, Rossi MC, Arcangeli A et al: AMD-Annals Study Group. Four-year impact of a continuous quality improvement effort implemented by a network of diabetes outpatient clinics: the AMD-Annals initiative. *Diabet Med* 2010; 27: 1041-1048.
4. Ceriello A: Hypothesis: the 'metabolic memory', the new challenge of diabetes. *Diabetes Res Clin Pract* 2009; 86 (Suppl 1): S2-S6.
5. Dailey G: Early and intensive therapy for management of hyperglycemia and cardiovascular risk factors in patients with type 2 diabetes. *Clin Ther* 2011; 33: 665-678.
6. Holstein A, Hammer C, Hahn M et al: Severe sulfonylurea-induced hypoglycemia: a problem of uncritical prescription and deficiencies of diabetes care in geriatric patients. *Expert Opin Drug Saf* 2010; 9: 675-681.
7. Greco D, Pisciotto M, Gambina F, Maggio F: Severe hypoglycaemia leading to hospital admission in type 2 diabetic patients aged 80 years or older. *Exp Clin Endocrinol Diabetes* 2010; 118: 215-219.
8. Grant R, Adams AS, Trinacty CM et al: Relationship between patient medication adherence and subsequent clinical inertia in type 2 diabetes glycemic management. *Diabetes Care* 2007; 30: 807-812.
9. Hermansen K, Mortensen LS: Bodyweight changes associated with antihyperglycaemic agents in type 2 diabetes mellitus. *Drug Saf* 2007; 30: 1127-1142.
10. Action to Control Cardiovascular Risk in Diabetes Study Group, Gerstein HC, Miller ME et al: Effects of intensive glucose lowering in type 2 diabetes. *NEJM* 2008; 358: 2545-2559.
11. ADVANCE Collaborative Group, Patel A, MacMahon S et al: Intensive blood glucose control and vascular outcomes in patients with type 2 diabetes. *NEJM* 2008; 358: 2560-2572.
12. Duckworth W, Abraira C, Moritz T et al: VADT Investigators. Glucose control and vascular complications in veterans with type 2 diabetes. *NEJM* 2009; 360: 129-139.
13. Ceriello A, Gallo M, Armentano V et al: Personalizing treatment in type 2 diabetes: a self-monitoring of blood glucose inclusive innovative approach. *Diabetes Technol Ther* 2012; Jan 4 [Epub ahead of print].
14. Prato SD, LaSalle J, Matthaie S et al: Tailoring treatment to the individual in type 2 diabetes practical guidance from the Global Partnership for Effective Diabetes Management. *Int J Clin Pract* 2010; 64: 295-304.
15. Ismail-Beigi F, Moghissi E, Tiktin M et al: Individualizing glycemic targets in type 2 diabetes mellitus: implications of recent clinical trials. *Ann Intern Med* 2011; 154: 554-559.

IL PUNTO DI VISTA DEI PAZIENTI

Qualità e accessibilità delle cure: la realtà italiana

A colloquio con **Teresa Petrangolini**¹, **Vera Buondonno**² e **Raffaele Scalpone**³

¹Segretario Generale di Cittadinanzattiva; ²Presidente della FAND - Associazione Nazionale Diabetici; ³Presidente dell'Associazione Italiana per la Difesa degli Interessi dei Diabetici

Accesso ai farmaci innovativi, appropriatezza delle cure e salute del paziente. Dove siamo in Italia, rispetto a questi tre imperativi, in termini generali e con riferimento specifico alla patologia diabetica?

Petrangolini. Qualche anno fa Cittadinanzattiva ha effettuato un'indagine sui servizi dedicati alle persone con diabete. La ricognizione aveva il titolo significativo di 'Linea D', proprio ad indicare quali linee siano operative in Italia per garantire al paziente diabetico qualità ed accesso alle cure. Era il 2007, ma dati raccolti poi nel 2011 con l'uscita del Rapporto dell'Osservatorio sul federalismo di Cittadinanzattiva non smentiscono gli esiti di quell'indagine. I risultati principali hanno evidenziato come la prevenzione, essenziale nel diabete, sia ancora carente. Molto basso è il livello di attenzione per i rischi legati alla gravidanza nel soggetto diabetico, per i problemi dentali, per la depressione e così via. Molte liste di attesa sono troppo lunghe, soprattutto in una visione integrata rispetto alla quale numerosi sono i controlli periodici da eseguire in base ai rischi. Ultimamente si segnalano difformità di trattamento da Regione a Regione per i farmaci, soprattutto per quelli innovativi, per i numeri di 'striscette', per l'integrazione tra i servizi. Si tratta di una realtà in evoluzione, non ancora aperta all'innovazione. I Centri Antidiabete sono sicuramente meglio organizzati internamente rispetto al passato, ma sono poco aperti rispetto alla realtà esterna, alle nuove esigenze e alla necessaria integrazione con il medico di medicina generale.

Buondonno. Malgrado le linee guida nazionali ed internazionali raccomandino l'uso di questi farmaci, in Italia si va controcorrente. Dato che c'è un tetto di spesa, l'accesso al farmaco è difficile e in molti casi la terapia viene sospesa. Eppure queste molecole riducono il peso corporeo, hanno un rischio praticamente assente di ipoglicemia, migliorano il profilo di rischio cardiovascolare ed hanno pochissimi effetti collaterali.

Scalpone. Credo sia necessario un impegno condiviso per acce-

lerare i tempi di accesso alle terapie più appropriate, cercando soprattutto di snellire procedure e complicazioni burocratiche.

Il tetto di spesa sulla farmaceutica e/o su specifiche classi di farmaci, come nel caso delle incretine, è considerato dai cittadini come uno strumento di razionalizzazione o di razionamento?

Petrangolini. Strumenti di questo tipo non vengono vissuti bene dai cittadini soprattutto perché le uniche spiegazioni che ricevono sono di tipo economico. Ed è forse la verità. Ormai nell'analisi delle politiche sanitarie prevale sempre di più l'aspetto quantitativo rispetto a quello qualitativo. Prova ne è l'ultimo studio del Ministero della Salute sui LEA, uscito il 16 febbraio scorso. Si sa quanto si spende per la prevenzione o per l'assistenza ospedaliera, ma non si sa nulla sugli effetti ossia su quelli che chiamiamo gli *outcome*. Un lavoro interessante in tal senso lo sta facendo Agenas sia sugli esiti sia sul grado di accoglienza e di umanizzazione, progetto al quale sta collaborando anche Cittadinanzattiva. È ancora un inizio, ma è un lavoro condotto in un'ottica non solo economica. Per parlare del punto di vista dei



cittadini è interessante ricordare i risultati dell'ultimo *Rapporto Pit Salute* sull'accesso ai farmaci: al primo posto nelle segnalazioni c'è l'irreperibilità (il 13,5% nel 2010, un po' meno dell'anno prima). Tra le varie tipologie di irreperibilità c'è l'accesso a farmaci innovativi, già autorizzati all'estero ma non in Italia, o difficoltà a reperire farmaci orfani. Aumentano le segnalazioni relative alle difficoltà di accesso ai farmaci della fascia A per l'aumento di spesa dovuto ai ticket e alla corresponsione della differenza di prezzo tra la quota rimborsata dal SSN e il costo del farmaco che abitualmente si utilizza. Ci sono poi gli alti costi per accedere ai farmaci di fascia C, che spesso sono 'di accompagnamento' al farmaco principale e le difficoltà ad accedere ai farmaci ospedalieri.

Buondonno. L'obiettivo del contenimento della spesa sanitaria non può andare a discapito dell'innovazione farmaceutica e non può ledere il diritto alla salute. Non dimentichiamo che il 50% dei costi relativi al diabete è legato alla gestione delle complicanze, che è possibile evitare o ritardare con una terapia adeguata e una buona compliance da parte del paziente.

Scalpone. Credo che l'imperativo di ogni intervento debba essere l'appropriatezza delle cure. Qualsiasi tipo di strumento regolatorio, pertanto, va valutato considerando se riesce a perseguire questo obiettivo. Nel caso del diabete i pazienti chiedono sicuramente maggiore appropriatezza e uguaglianza di accesso.

Con riferimento specifico all'area diabetica e al dibattito in corso sul tema delle incretine, quali sono le richieste specifiche che i cittadini fanno alle istituzioni nell'area della patologia diabetica?

Petrangolini. Molte più informazioni. I cittadini affetti da diabete, che sono 3 milioni di persone, sono generalmente in grado di comprendere e farsi un'opinione. Se si trovano di fronte ad un diniego, vogliono sapere il perché. Spesso invece le trattative sul prezzo e sulla disponibilità dei farmaci, sia a livello nazionale sia regionale, riguardano i *payer*, vale a dire AIFA e Regioni, e i produttori, vale a dire le case farmaceutiche. Credo che soprattutto di fronte alle innovazioni debba pesare anche il punto di vista dei cittadini. A livello europeo si parla ormai di *patients' evidence* nell'ambito dei processi di Health Technology Assessment, vale a dire del peso che su certe decisioni deve avere l'esperienza del paziente rispetto ai benefici della cura.

Nel caso del diabete, tutto ciò è quanto mai evidente in quanto si tratta di una patologia a forte impatto sociale e che tocca la vita di una grande quantità di persone per un lungo tempo. Come si fa ad escluderle e a confinare il ruolo delle associazioni che le rappresentano ad una semplice funzione di *advocacy* e di *lobbying*?

Buondonno. È necessario garantire ai diabetici di tipo 2 l'accesso alle terapie più adatte, e quindi la disponibilità dei farmaci incretinici e di quelli innovativi. Molti pazienti con diabete di tipo 2 non riescono a mantenere nel tempo un buon compenso glicemico, perché la terapia che usano perde di efficacia. È invece necessario fornire un trattamento tempestivo e personalizzato. Se il paziente può seguire una terapia che lo fa stare bene, le ripercussioni sulla qualità della vita e sull'autostima non possono che essere positive.

Scalpone. Il monitoraggio AIFA dei farmaci incretinomimetici per il diabete ha rappresentato, per le associazioni di volontariato, un fatto che non ha certo trovato il favore del paziente, traducendosi in un aumento della burocrazia prescrittiva da parte del diabetologo e poi del medico di medicina generale e in un allungamento dei tempi di accesso al farmaco per il paziente. Ad oggi la nostra associazione ritiene importante non continuare con un monitoraggio teso ad evidenziare la componente puramente economica, ma promuovere un sistema serio di valutazione degli *outcome* di salute ottenuti in questi anni grazie all'impiego dei farmaci incretinici nel lungo termine. Ugualmente un tetto di spesa stabilito senza alcun legame con le evidenze degli *outcome* clinici già ottenuti e ottenibili con l'impiego di questa categoria di farmaci non appare condivisibile.

Per chiudere, in termini più generali i cittadini credono sia urgente un impegno istituzionale a sostegno dell'innovazione e dell'accesso alle cure, pur nel rispetto di irrinunciabili obiettivi di sostenibilità?

Petrangolini. Si può discutere di tutto, dai costi eccessivi dell'innovazione all'uso 'sprecone' di certi farmaci in alcune Regioni. Sta di fatto che per rendere sostenibile il sistema ci sono molte altre aree da colpire, dagli appalti truccati alla moltiplicazione degli incarichi, dal clientelismo all'eccessivo uso degli esami in chiave di medicina difensiva. La spesa farmaceutica sembra uno dei punti dell'agenda della sostenibilità e, in questo momento, non il più problematico.

Buondonno. È necessario collaborare per elaborare delle linee guida sull'uso di questi farmaci, magari costituendo un osservatorio sull'appropriatezza prescrittiva. Quindi gli enti preposti hanno il compito di collocare adeguatamente queste molecole nei programmi sanitari.

Scalpone. L'impegno istituzionale nazionale, ma soprattutto regionale, a sostegno del paziente diabetico dovrebbe andare nella direzione di una maggiore garanzia sia dell'appropriatezza delle cure sia dell'uguaglianza di accesso alle stesse, elementi entrambi imprescindibili per la sostenibilità del sistema. ■ ML