

IL GOVERNO DELL'INNOVAZIONE FARMACEUTICA IN ITALIA: EVIDENZE NEL SETTORE ONCOLOGICO

Il tema degli strumenti di governance che le Regioni possono adottare per garantire da un lato il governo della spesa per l'assistenza farmaceutica — quindi sostenibilità ed equità d'accesso alle cure —, dall'altro l'innovazione e la sperimentazione di nuovi farmaci che migliorino esiti e qualità dell'offerta sanitaria è un punto cruciale per il conseguimento stesso della missione del sistema sanitario pubblico. In riferimento all'equità di accesso alle cure, il costo estremamente elevato delle nuove terapie rischia di introdurre delle sperequazioni sia in termini di confronto transfrontaliero, sia tra le Regioni, sia all'interno delle Regioni stesse. Nella misura in cui le Regioni italiane articolano diversamente il percorso di accesso al farmaco, è ben chiaro infatti come possano instaurarsi situazioni di grave iniquità, per le quali il diritto alla cura venga subordinato allo specifico modello di governance territoriale.

Complessivamente, quindi, le Regioni si sono progressivamente differenziate sia nella diversa applicazione degli strumenti nazionali di governance, sia nello sviluppo di specifici accorgimenti locali nel processo gestionale. Tra questi, la realizzazione di infrastrutture IT ad hoc, il coinvolgimento di nuovi o preesistenti attori, la configurazione di strumenti autorizzativi e di strumenti di governo clinico-terapeutico. Nel 2015 il Laboratorio Management e Sanità (Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa) ha pertanto intrapreso un progetto di ricerca (Il governo dell'innovazione farmaceutica in Italia), volto a predisporre una mappatura del panorama nazionale. Il progetto è stato supportato da una sponsorizza-

zione non condizionata da parte di MSD. L'obiettivo è stato quello di analizzare i modelli di governance dell'innovazione farmaceutica delle Regioni italiane, di prospettare le linee tendenziali di sviluppo, di rilevare le best practice e i modelli virtuosi a livello regionale, quindi favorirne la diffusione.

In particolare, considerata l'importanza del fenomeno sia dal punto di vista sanitario (incidenza, mortalità e prevalenza) che economico, lo studio si è focalizzato sulla gestione dei farmaci oncologici.

Un'attenta ricognizione del panorama nazionale e regionale si è ritenuta necessaria per rilevare le diverse soluzioni, gli attori coinvolti e gli strumenti adottati per la governance dell'innovazione farmaceutica. Questa si articola in un ventaglio di soluzioni, che includono la definizione di percorsi diagnostici, terapeutici e assistenziali (PDTA), la diffusione delle Reti Oncologiche, la selezione dei centri prescrittori e l'individuazione delle unità UFA centralizzate (Unità Farmaci Antitumorali), il ricorso all'Health Technology Assessment, il coinvolgimento di gruppi di lavoro di valutazione del farmaco in seno alle Commissioni Terapeutiche Regionali, l'adozione di strumenti informativi che leghino i dati di appropriatezza prescrittiva e di efficienza economica all'esito delle terapie, come emerge dalle interviste a Sabina Nuti, responsabile del Laboratorio Management e Sanità dell'Istituto di Management della Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa e Federico Vola, ricercatore presso lo stesso Istituto. Il report finale del progetto di ricerca può essere liberamente scaricato all'indirizzo meslab.sssuo.it/governancefarmaceutica

Soluzioni organizzative a confronto per centrare gli obiettivi strategici del Servizio Sanitario Nazionale

A colloquio con **Sabina Nuti**

Responsabile del Laboratorio Management e Sanità dell'Istituto di Management della Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa e Professore ordinario di Economia e Gestione delle Imprese presso la Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa

Il Laboratorio di Management e Sanità si è negli anni specializzato nell'elaborazione di un sistema molto sofisticato di valutazione delle performance dei Sistemi Sanitari Regionali. Cosa vi ha spinto ad approfondire i sistemi di governance dell'innovazione farmaceutica?

Sono ormai vari anni che il Laboratorio Management e Sanità (MeS) della Scuola Superiore Sant'Anna collabora stabilmente con un gruppo di 13 Regioni italiane, con la finalità di condividere, su base volontaria, un sistema di valutazione della performance sia dei sistemi sanitari regionali, sia delle istituzioni che vi operano. Nel corso di questi ultimi anni sono stati identificati, condivisi, calcolati e valutati qualche centinaio di indicatori con l'obiettivo di mettere a disposizione dei *policy maker*, dei professionisti sanitari, dei pazienti e del management aziendale evidenze quantitative a confronto, relative ai risultati conseguiti in termini di qualità delle cure, appropriatezza organizzativa, efficienza, soddisfazione dell'utenza e dei dipendenti, sostenibilità finanziaria del sistema sanitario stesso in tutte le sue componenti.

Il sistema appare di grande utilità per definire le priorità di intervento, programmare le attività e fissare gli obiettivi con modalità quantitative e anche per valorizzare il merito delle strutture che riescono a perseguire risultati superiori alla media. Pur avendo questo sistema di valutazione della performance in *benchmarking*

numerosi pregi ed abbia già permesso alle Regioni che lo hanno adottato di conseguire risultati interessanti in termini di massimizzazione del valore creato a favore della collettività e degli utenti per ogni euro speso, non può certamente ritenersi esaustivo, ma necessita di essere integrato con altri strumenti gestionali. In particolare, molti degli indicatori condivisi si propongono di essere segnaletici di ambiti meritevoli di attenzione — anche non direttamente riferibili ad una specifica unità organizzativa — ma significativi per la performance dell'intero sistema aziendale e/o regionale. Il cammino da percorrere quindi, perché gli indicatori sappiano rendere pienamente la loro utilità al sistema che li utilizza, deve prevedere due ulteriori step di lavoro. Da un lato deve dar luogo a un'analisi integrata dei diversi indicatori che singolarmente rischiano di non essere in grado di rappresentare la complessità della realtà a cui si riferiscono. Questa analisi integrata deve essere approfondita e discussa da tutti i professionisti sanitari che hanno voce in capitolo, seguendo, se possibile, il percorso assistenziale del paziente. Questo step di lavoro può comunque non essere sufficiente e aver bisogno di un'analisi di 'campo', di un 'carotaggio' organizzativo, ossia di un'analisi delle dinamiche, degli attori e delle modalità di lavoro e di azione che si celano dietro i numeri dell'indicatore.

La mappatura organizzativa dei processi e dei meccanismi di gestione rappresentano allora uno strumento essenziale per comprendere le determinanti di un risultato, da un lato, e dall'altro lo strumento stesso per impostare una programmazione concreta per ottenere il miglioramento della performance.

Un esempio di questo metodo di lavoro può essere rappresentato da quanto avviato in Regione Toscana, ma non solo, mediante le 'famiglie professionali', ossia mediante percorsi di condivisione dei dati e analisi delle determinanti dei risultati tra tutti i professionisti e il management coinvolti nei percorsi assistenziali, al fine di identificare le strategie di miglioramento da promuovere a livello regionale.

Quanto più l'ambito misurato dal sistema di valutazione si riferisce ad aspetti innovativi e quindi ancora poco noti, tanto più risulta difficile il processo di misurazione stesso ed importantissimo il lavoro di analisi organizzativa per comprendere le determinanti dei risultati.

È il caso degli indicatori relativi all'uso dei farmaci innovativi nel percorso oncologico. Ormai da qualche anno le Regioni stanno lavorando con il Laboratorio MeS per mettere a punto modalità adeguate per la misurazione di questa voce di spesa e delle sue ricadute in termini di esito per i pazienti oncologici. Ancora oggi gli indicatori condivisi sono stati definiti di 'osservazione' e non di valutazione perché ancora non sono perfettamente codificate e misurate in modo omogeneo sul territorio nazionale le modalità di consumo e di identificazione dei pazienti eligibili per tali farmaci. Le Regioni sono in affanno perché questa voce di costo è in continua crescita, così come le richieste dei pazienti, e il confronto sui risultati e sulle relative strategie adottate è cruciale. Per la prima volta, infatti, appare ineludibile affrontare seriamente il tema del-

le priorità per evitare il rischio, in assenza di strategie consapevoli, di aumentare invece che ridurre le disuguaglianze sociali.

In che modo questo tipo di ricerca completa quella in cui siete ormai un punto di riferimento nazionale?

Questo lavoro di ricerca, svolto dal team del Laboratorio MeS in collaborazione con l'Unità Metodologica e Statistica per la Ricerca sui Sistemi Sanitari del Dipartimento di Scienze Biomediche e Neuromotorie dell'Università di Bologna, si è proposto come obiettivo di analizzare come si affronta il processo decisionale e di spesa dei farmaci innovativi nel percorso oncologico a livello locale. Il lavoro ha previsto lo svolgimento di un'attenta mappatura delle strategie e modalità organizzative adottate dalle Regioni che hanno aderito al progetto, in parte aderenti al *network* della valutazione e in parte no ma pur interessate al tema.

I risultati del progetto non sono esaustivi e conclusivi del tema ma certamente permettono di avere una panoramica chiara dello stato dell'arte dei meccanismi di *governance* di questa spesa nella maggior parte delle Regioni italiane e identifica possibili percorsi virtuosi per garantire una sanità aperta alle innovazioni terapeutiche ma anche sostenibile ed equa.

Come hanno risposto le Regioni alla vostra richiesta di collaborazione su un tema così delicato?

La maggior parte delle Regioni coinvolte ha aderito subito al nostro invito alla partecipazione, altre cammin facendo. Pur essendo i meccanismi di *governance* regionale dei farmaci innovativi un argomento delicato, non può essere considerato un tema 'top secret', ma anzi avrebbe bisogno della massima trasparenza, in modo da rassicurare i cittadini sulla correttezza delle scelte fatte. Il confronto tra le diverse realtà regionali deve essere il punto di partenza per attivare un percorso serio a livello nazionale, che valorizzi le *best practice* e permetta di evitare disuguaglianze e problematiche di equità.

Quale è, a suo avviso, il valore aggiunto di una ricerca di questo tipo e quali le implicazioni possibili in termini di politiche d'intervento?

Questo tipo di ricerca si propone di supportare in primo luogo le tecnostutture regionali nelle loro scelte di allocazione e gestione delle risorse a disposizione per migliorare la salute dei cittadini. Questo tipo di confronto deve e può superare il colore politico della singola amministrazione regionale e facilitare la valorizzazione e lo scambio delle idee vincenti, ossia quelle soluzioni organizzative che consentono di centrare i tre obiettivi strategici del sistema sanitario nazionale: qualità delle cure, equità e sostenibilità. ■ ML

Il governo dell'innovazione farmaceutica: strumenti di indagine e coinvolgimento dei professionisti sanitari

A colloquio con **Federico Vola**

Laboratorio Management e Sanità dell'Istituto di Management, Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa

In quante fasi si è articolato il progetto "Il governo dell'innovazione farmaceutica in Italia: dallo stato dell'arte ad un modello di gestione equa e sostenibile dei farmaci innovativi e ad alto costo" e quale metodologia è stata utilizzata per procedere alla rilevazione dei dati?

Il progetto è stato complessivamente strutturato in tre fasi, che si sono articolate nel corso degli ultimi 18 mesi.

La prima fase ha previsto l'inquadramento dell'area di ricerca (inquadramento normativo, autorizzativo ed organizzativo del settore oncologico; revisione della letteratura sul tema dei nuovi farmaci oncologici; analisi delle loro caratteristiche peculiari, approfondendo sia la situazione attuale, sia quella tendenziale), il disegno e la validazione di un questionario semistrutturato per la rilevazione dei dati e la somministrazione dello stesso. Le interviste, condotte dai ricercatori del Laboratorio Management e Sanità della Scuola Superiore Sant'Anna di Pisa e dell'Unità Metodologica e Statistica per la ricerca sui Sistemi Sanitari dell'Università di Bologna, sono state registrate (previo consenso degli interessati) e il testo prodotto è stato validato dagli intervistati. La loro finalità è stata quella di mappare il processo di autorizzazione, di introduzione e di utilizzo dei nuovi farmaci oncologici, innovativi e ad alto costo, evidenziando eventuali peculiarità dei singoli sistemi regionali.

La seconda fase del progetto ha avuto come obiettivo principale la mappatura dei modelli di *governance* regionale attraverso l'analisi delle interviste e successivamente la divulgazione sul territorio nazionale delle evidenze del progetto di ricerca, quale contributo al dibattito pubblico e scientifico sul tema dell'innovazione nel settore farmaceutico.

Poiché dall'analisi dei diversi modelli regionali di *governance* dei farmaci innovativi oncologici è emersa la stretta interdipendenza con i modelli organizzativi per l'erogazione delle cure ai pazienti con tumore, e in particolare con la presenza di reti cliniche oncologiche, è stato condotto un approfondimento sia su alcuni casi studio internazionali sia sullo stato dell'arte delle reti cliniche oncologiche in Italia (fase 3).

Come è stato costruito e validato il questionario per la realizzazione delle interviste ai responsabili dei settori farmaceutici delle Regioni e ad alcuni professionisti del settore oncologico pubblico?

Il disegno del questionario ha previsto la costituzione di un tavolo di lavoro inter-regionale multidisciplinare, per la realizzazione di un prototipo¹. Questo è stato sottoposto ad una valutazione di *face-validity* attraverso la somministrazione ai responsabili del servizio di Farmacia Clinica di due diverse Aziende Ospedaliere. Questo passaggio ha permesso la valutazione dell'attinenza e della comprensibilità delle domande, oltre a quella dei tempi di somministrazione del questionario.

La versione finale prevede 44 domande principali, suddivise in quattro sezioni:

- assetto organizzativo-regionale,
- gestione operativa,
- gestione dei Registri AIFA,

QUESTIONARIO/INTERVISTE SEMI STRUTTURATE

Sezioni del questionario

1. Inquadramento generale
2. Assetto organizzativo
3. Gestione operativa
4. Meccanismi generali di governo farmaceutico



Argomenti

- Prontuari Terapeutici (Regionale/Provinciali)
- Commissione Terapeutica Regionale
- Centri prescrittori
- Modalità di acquisto dei farmaci
- Preparazione e dispensazione dei farmaci
- Rete Oncologica
- PDTA oncologici regionali/provinciali
- Erogazione dei farmaci ai cittadini non residenti
- Gestione dei farmaci CNN
- Sistemi informativi
- Gestione dei Registri AIFA
- *Budgeting* (Finanziamenti e valutazione di performance per i farmaci oncologici)

- meccanismi generali di *governance* del settore farmaceutico e oncologico.

Dalla mappatura delle Regioni che avete effettuato emergono dei modelli di riferimento per la governance dell'innovazione farmaceutica?

Per quanto il lavoro di ricerca poggi su evidenze prettamente qualitative e si appunti su un fenomeno – i diversi assetti regionali di *governance* dell'innovazione farmaceutica – estremamente complesso e sfaccettato, permette nondimeno di tratteggiare alcuni modelli di riferimento.

Da una parte emerge infatti un modello piuttosto definito – quello della Regione Veneto – che ha risolutamente imboccato la strada della *clinical governance*, articolata attraverso la produzione di raccomandazioni prescrittive, emanate dalla Commissione regionale. Il coinvolgimento da parte di questa Commissione di un gruppo multidisciplinare rappresenta, da una parte, un'apertura rispetto al coinvolgimento della galassia degli *stakeholder* (ad esclusione delle aziende farmaceutiche), dall'altra testimonia una forte impronta regionale e una consapevole assunzione di responsabilità da parte del settore farmaceutico veneto, per quanto in collaborazione con la Rete oncologica regionale. Se il caso del Veneto è paradigmatico, quello delle altre Regioni che hanno partecipato al progetto di ricerca è senza dubbio più sfumato. Si posizionano lungo un *continuum* sia per quanto concerne il grado di coinvolgimento dei professionisti clinici nella definizione della *governance* dell'innovazione farmaceutica, sia per quanto riguarda la propensione verso il ricorso a strumenti di *governance* clinica, oppure a strumenti più propriamente autorizzativi (i prontuari terapeutici regionali, ad esempio). Fanno principalmente leva su questi ultimi Sicilia e Marche, ad esempio, mentre altre Regioni/Province – Toscana, Bolzano e Trento, ad esempio – affiancano a questi la definizione di PDTA regionali e di strumenti di *accountability*.

Grazie alla vostra analisi avete potuto misurare anche il livello di coinvolgimento dei professionisti sanitari nel processo di governance regionale? A quali risultati siete giunti sotto questo aspetto?

La letteratura in ambito manageriale dimostra che in contesti caratterizzati dal ricorso a risorse umane ad elevata professionalità e specializzazione – quali quello sanitario – il coinvolgimento dei professionisti nei processi di *governance* è una condizione fondamentale affinché quest'ultima sia realmente efficace. Per questo motivo abbiamo ritenuto necessario effettuare un carotaggio supplementare, che ci aiutasse ad investigare il ruolo delle reti cliniche oncologiche nella *governance* dell'innovazione farmaceutica in ambito oncologico.

È stato pertanto condotto un approfondimento sia su alcuni casi

studio internazionali sia sullo stato dell'arte delle reti cliniche oncologiche in Italia. Per questi scopi è stata condotta una revisione della letteratura accademica, della *letteratura grigia* e un'intervista semistrutturata a un *key-informant*. Ha dato la sua disponibilità il professor Gianni Amunni, Direttore Generale dell'Istituto per lo Studio e la Prevenzione Oncologia di Firenze (ISPO), Direttore operativo dell'Istituto Toscano Tumori, con funzioni di coordinamento dell'attività oncologica della Regione Toscana, capofila del Programma CCM 2013 – Azioni centrali "Definire strumenti a supporto della implementazione delle reti regionali", insieme con l'Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali².

Quello che emerge è la frammentazione del panorama italiano: gli esempi di reti consolidate sono quelli di Piemonte, Toscana, Lombardia, Trentino, Umbria e Veneto; se Emilia-Romagna, Friuli Venezia Giulia, Liguria, Alto Adige e, con qualche difficoltà aggiuntiva, Lazio e Sicilia sono Regioni in cui si sta lavorando con interessanti prospettive di realizzazione di una rete, nelle restanti, ad oggi, non emergono con chiarezza dati su una prospettiva di istituzione di rete oncologica.

Questa esperienza insegna che le reti nascono dalla spinta di un forte "*commitment* politico" e si basano su figure professionali chiave che devono essere capaci di coinvolgere e tenere insieme tutti i professionisti. I due elementi cardine su cui si innesta ogni rete sono pertanto un forte investimento da parte dei *policy-maker*, da una parte, e un grande entusiasmo e ottime capacità comunicative da parte dei professionisti chiave coinvolti, dall'altra. In prospettiva futura, le reti oncologiche, anche quelle più avanzate, hanno necessità di uno scatto evolutivo, se si vuole evitare l'implosione dei sistemi e soprattutto la caduta di tensione e di entusiasmo dimostrato fino a questo momento dai professionisti. Questa fase di transizione ha necessità di rispondere ad alcune esigenze sempre più emergenti:

- deve essere definito lo stato giuridico della rete oncologica;
- deve crescere l'offerta di infrastrutture e di *service* in grado di dimostrare nei fatti il valore aggiunto di una rete (riferimenti per la tipizzazione biomolecolare, registri tumori dialoganti con il clinico, sistema strutturato di *second opinion*, innovazione tecnologica);
- deve essere rafforzato e ristrutturato il rapporto con i Medici di Medicina Generale, nell'ottica non solo della reciproca informazione ma anche della comune assunzione di responsabilità nell'ambito del percorso oncologico;
- devono essere ridisegnati e valorizzati interventi di *partnership* pubblico/privato;
- deve infine essere definito un coordinamento nazionale delle reti: "la rete delle reti". ■ ML

¹La versione integrale del questionario può essere scaricata all'indirizzo www.meslab.sssup.it/governancefarmaceutica.

²I casi di studio sono consultabili on-line, all'indirizzo <http://www.meslab.sssup.it/governancefarmaceutica/>