

# UTILITÀ

## Introduzione

Questa parola chiave ha l'obiettivo di descrivere il concetto di utilità in ambito sanitario e i relativi metodi di misurazione nonché di esplorare i fattori, non necessariamente sanitari, che ne influenzano la valutazione.

Il termine utilità, in generale, è sempre stato impiegato quale sinonimo di 'preferenza' o 'valore': quanto migliore è il risultato ottenuto, tanto maggiore è l'utilità associata al risultato stesso. Preferenza è il termine che descrive il concetto in generale, le utilità e i valori sono tipi diversi di preferenze. Questo dipende da come si effettuano le misurazioni. Le preferenze possono essere cardinali o ordinali. Nel primo caso si può attribuire un valore, cioè si può quantificare il livello di utilità; questa non solo diventa una quantità misurabile, ma addirittura addizionabile. Ciò vuol dire che siamo in grado di attribuire un valore all'utilità di ciascun individuo ricollegabile al consumo di una certa quantità di beni e servizi e di sommare le utilità individuali per ottenere l'utilità della collettività nel suo complesso. Ogni individuo è in grado di assegnare un valore numerico esatto di utilità relativo a ciascun bene. Questa nozione di utilità fu oggetto di numerose critiche ed è grazie agli studi di Pareto che venne introdotto il concetto di utilità ordinale con il quale si stabilì che l'utilità non è né misurabile né quantificabile ma l'individuo è in grado di esprimere le proprie preferenze esplicitando semplicemente "l'ordine" dell'utilità. In altre parole, non è importante che un individuo sappia quantificare il livello di utilità che gli deriva dal consumo di un bene, ma è importante che sappia affermare con precisione se un bene è preferito ad un altro (cioè se l'utilità derivante dal consumo di un bene è maggiore o minore di quella derivante dal consumo di un altro bene).

## Misurazione dell'utilità

Gli economisti sanitari hanno a disposizione numerosi strumenti per misurare i benefici degli interventi sanitari, i cui valori sono importanti per determinare la corretta allocazione delle risorse in ambito sanitario. Ci sono due aspetti chiave nel processo di misurazione: il primo è il

modo in cui viene strutturata la domanda (e se in essa è chiaro se l'esito è certo o incerto), il secondo è il modo in cui al soggetto viene chiesto di rispondere (basandosi sull'introspezione o effettuando una scelta vera e propria). Si consideri, ad esempio, un soggetto a cui vengano sottoposte delle alternative per determinati outcome di salute, dove ciascun esito rappresenti per lui uno specifico percorso di vita dal momento in cui viene fatta la rilevazione fino alla morte, includendo uno o più stati di salute per periodi di tempo definiti. Descrivere in maniera esplicita ogni singolo stato di salute (e le condizioni che seguiranno) permetterà al soggetto di effettuare delle scelte, avendo a disposizione tutti gli elementi per decidere cosa è meglio per lui. Una domanda posta in condizioni di certezza richiede all'individuo il confronto fra due o più outcome, pesandoli, ordinandoli ed infine scegliendoli. Di contro, una domanda fatta in condizioni di incertezza (cioè dove almeno una delle due opzioni contiene incertezza nel risultato) implica che il soggetto non ha il controllo completo su quello che andrà a scegliere. In questo caso entra pertanto in gioco un altro fattore: la sua propensione al rischio. La nozione intuitiva è che se una persona, scegliendo fra più rischi alternativi, opta a favore di un rischio inferiore, viene considerata avversa al rischio, se è indifferente fra le alternative è detta neutrale al rischio, se invece propende per situazioni rischiose è definita favorevole al rischio. Matematicamente il concetto può essere reso operativo solo quando si misurano le preferenze su esiti che sono essi stessi definiti in una scala per intervalli. I metodi per la misurazione delle preferenze sono sostanzialmente due: la misurazione *diretta* che include le scale di valutazione (*rating scale*), le alternative temporali (*time trade off*) e il metodo delle scommesse (*standard gamble*) e la misurazione *indiretta*, realizzata attraverso sistemi multi-attributo di classificazione degli stati di salute con punteggi preattribuiti, che include il Quality of Well Being, l'Health Utility Index, l'EuroQol (EQ-5d) e lo Short Form 36 Health Survey Questionnaire.

**Rating scale.** Al soggetto vengono descritti tutti gli stati di salute possibili e viene chiesto di collocare su una scala simile ad un termometro lo stato di salute migliore (1) e peggiore (0), che può anche non coincidere con la morte. È necessario

poi collocare nella scala gli altri stati di salute, in modo che la distanza fra i diversi posizionamenti sulla scala sia proporzionale alle differenze di preferenza.

**Time trade off.** Il soggetto deve esprimere una preferenza tra 2 alternative (alternativa 1: restare in uno stato di salute A per un tempo pari a T anni, seguito da decesso; alternativa 2: trovarsi in uno stato di perfetta salute per un tempo X ( $X < T$ ), seguito da decesso). Il tempo X viene fatto variare sino a che l'individuo si dichiara indifferente rispetto alle due alternative.

**Standard gamble.** Il soggetto intervistato deve esprimere una preferenza tra 2 alternative (alternativa 1: restare in uno stato di salute A per un tempo pari a T anni; alternativa 2: essere sottoposto a un'ipotetica terapia che comporti il ritorno ad uno stato di buona salute per T anni con una probabilità P, oppure morte immediata ( $1-P$ )). La probabilità P viene fatta variare fino a che l'individuo si dichiara indifferente rispetto alle alternative. Maggiore è il rischio di morte che l'individuo è disposto a correre con l'alternativa 2, meno desiderabile considera lo stato in cui si trova.

**Quality of well being.** È un questionario generale sulla qualità della vita che misura lo stato generale e il benessere rilevato nei tre giorni precedenti in quattro aree: attività fisica, attività sociali, mobilità e complessi di sintomi/problemi. Consiste complessivamente di 71 elementi.

**Health Utility Index.** È una scala di valutazione utilizzata per misurare lo stato di salute generale e la qualità della vita correlata alla salute. I questionari HUI sono progettati per mappare su due sistemi di classificazione, HUI-2 e HUI-3, in grado di misurare rispettivamente 24.000 e 972.000 stati di salute unici. Le classificazioni HUI misurano una serie di domini di salute con esempi che includono sensazioni, mobilità, dolore, cognizione, ambizione ed emozione.

**EuroQol.** Riporta cinque attributi (capacità di movimento, cura della persona, attività abituali, dolore o fastidio, ansia e depressione) articolati in tre livelli per ogni attributo (nessun problema, qualche problema, problemi rilevanti). In questo modo si definiscono 243 stati di salute a cui sono stati aggiunti lo stato di incoscienza e la morte.

## COME IMPLEMENTARE L'ASSISTENZA SANITARIA BASATA SULL'EVIDENZA

Di Trisha Greenhalgh, *Professor of Primary Care Health Sciences, Nuffield Department of Primary Care Health Sciences, Medical Sciences Division, University of Oxford, UK*

Presentazione di Roberto Grilli, *Direttore Struttura Governo Clinico, Azienda USL-IRCCS Reggio Emilia*

Il panorama attuale della scienza dell'implementazione può apparire complesso e un po' disorientante. "Come implementare l'assistenza sanitaria basata sull'evidenza" demistifica il processo di implementazione spiegando come applicare con successo l'assistenza sanitaria basata sull'evidenza per garantire una pratica sicura ed efficace, e facendo chiarezza sul ruolo dell'impatto della ricerca e su come evitare gli sprechi nel settore.

Scritto con uno stile accattivante e concreto, il volume include framework, strumenti e tecniche per l'implementazione e il cambiamento comportamentale necessario, analizzando in modo approfondito i temi fondamentali con un focus particolare su gruppi e team, organizzazioni, pazienti, tecnologia, policy, reti e sistemi.

Una lettura essenziale per gli studenti, i clinici e i ricercatori che si occupano di medicina e assistenza sanitaria basate sull'evidenza, di scienza dell'implementazione, ma anche per chi lavora nella sanità pubblica, nella costruzione di policy pubbliche e nel management.

[www.pensiero.it](http://www.pensiero.it)  
numero verde 800-259620

s p a z i

Trisha  
Greenhalgh



COME  
IMPLEMENTARE  
L'ASSISTENZA  
SANITARIA  
BASATA  
SULL'EVIDENZA

Il Pensiero Scientifico Editore



**Short Form 36.** Riporta 36 domande che permettono di assemblare 8 differenti scale. Le domande si riferiscono a 8 domini di salute: attività fisica (10 domande), limitazioni di ruolo dovute alla salute fisica (4 domande), limitazioni di ruolo dovute allo stato emotivo (3 domande), dolore fisico (2 domande), percezione dello stato di salute generale (5 domande), vitalità (4 domande), attività sociali (2 domande), salute mentale (5 domande) e una singola domanda sul cambiamento nello stato di salute.

### Pazienti vs popolazione generale: chi definisce le preferenze?

In base ai metodi di cui sopra, gli economisti sanitari utilizzano i QALYs (Quality Adjusted Life Years - anni di vita aggiustati per la qualità), uno strumento ormai consolidato in grado di combinare la qualità della vita (riduzione della morbilità) e la sopravvivenza (riduzione della mortalità) in un'unica misura. Le preferenze in genere vengono stimate tramite indagini rivolte alla popolazione generale (è il caso del Regno Unito e della Svezia) anche se nel corso degli anni sono state sollevate molte obiezioni in merito, poiché spesso le preferenze espresse dai pazienti (come invece avviene in Olanda) generano risultati molto discordanti rispetto a quelli ottenuti sulla popolazione generale. Questo perché le persone con un certo stato di salute o di disabilità sperimentano giornalmente cosa significhi vivere quello stato e non ne sono solo 'idealmente informati'. Il dibattito è ancora aperto e sono d'obbligo alcune riflessioni. Gli intervistati non arrivano a un colloquio con una serie completa di preferenze coerenti in mente. Le preferenze si definiscono, almeno in parte, durante il processo di misurazione. Questo comporta difficoltà oggettive nella misurazione stessa e, a volte, persino un'inversione delle preferenze o incongruenze nei risultati finali. I pazienti sono persone che stanno attualmente sperimentando determinati problemi di salute e li valutano con la loro esperienza diretta. Le preferenze della popolazione generale comportano quindi una descrizione della salute più limitata rispetto a quella del singolo. Un campione di "popolazione generale" dovrebbe essere composto da pazienti e non pazienti (che magari in futuro potrebbero trovarsi a sperimentare proprio quello stato di salute). In questo modo si stimola l'individuo ad effettuare delle scelte che riguardano l'intera comunità, informandola correttamente sulle decisioni di allocazione delle risorse.

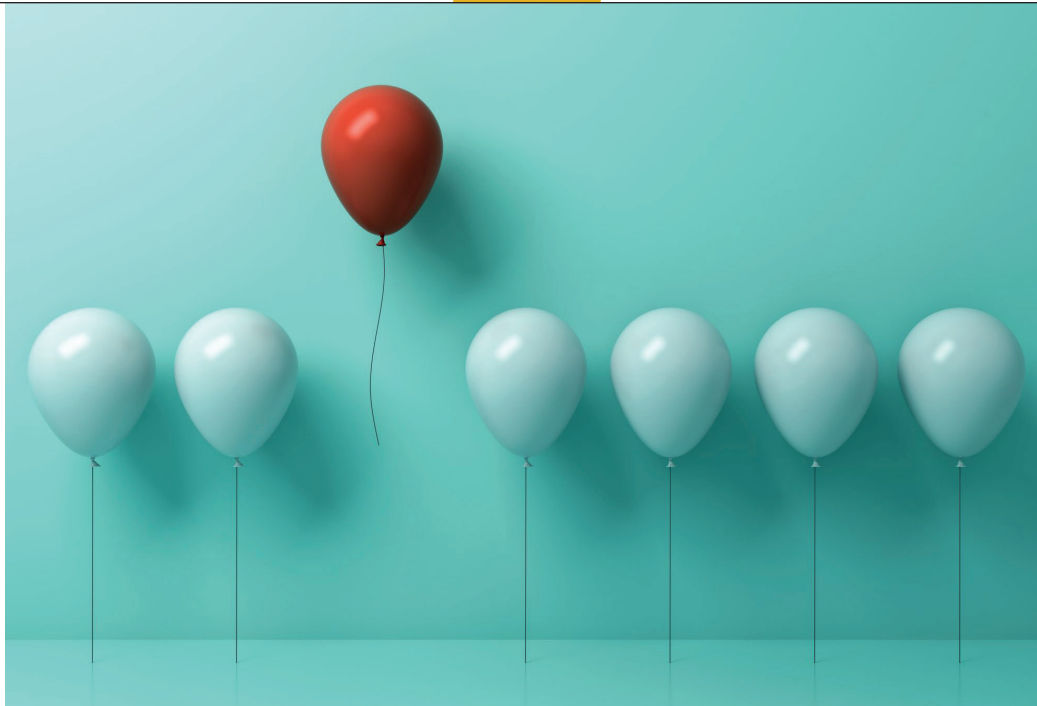
Ad oggi, la controversia tra la prospettiva del paziente e quella della società non è stata completamente risolta. Il suggerimento da parte di tanti ricercatori è quello di utilizzare la prospettiva del paziente (cioè le sue preferenze) quando si prendono decisioni terapeutiche per il singolo individuo (ad esempio, durante i trial clinici) e utilizzare la prospettiva della società (cioè le preferenze sociali medie) quando si effettuano allocazioni di risorse per programmi sanitari (decisioni politiche). Nella misura in cui queste differiscono, la prospettiva sociale limita le scelte di trattamento a disposizione del paziente per l'uso nel processo decisionale. La popolazione generale può essere informata sulle opinioni di coloro che hanno sperimentato determinati stati di salute che sono oggetto di valutazione, che è coerente con l'idea di fornire al pubblico maggiori informazioni sulla dimensione e la natura dell'adattamento sperimentato dai pazienti nel tempo. La soluzione migliore potrebbe essere quella di includere nelle analisi entrambe le prospettive. Storicamente, gli svantaggi delle preferenze dei pazienti e i vantaggi delle preferenze pubbliche generali sembrano essere stati enfatizzati, con conseguente consenso pratico per utilizzare misure generiche di qualità della vita che hanno preferenze pubbliche generali ad esso collegate. Tuttavia, sembra difficile affermare che le preferenze dei pazienti, che sono discutibilmente meglio informati in merito alla perdita di qualità della vita correlata alla salute, non portino informazioni importanti per il processo decisionale della società. Le preferenze pubbliche forniscono una standardizzazione affidabile e sistematica per il calcolo dei QALY e possono rappresentare la valutazione ex-ante della probabilità (o difficoltà) di un processo di adattamento, ma non prevedono in modo adeguato l'esperienza di una disabilità fisica e mentale. E allora la domanda è: esiste un'altra tecnica di misurazione che possiamo adottare? Il processo di misurazione è già di per sé estremamente complicato (e viene in qualche modo semplificato dai QALYs), ma è necessario tenere presente che quello che i responsabili delle decisioni cercano è un valore, un numero che li aiuterà ad allocare le risorse in maniera efficiente. Riflettendo sulle diverse argomentazioni avanzate in letteratura, sembra che sia le preferenze pubbliche che quelle dei pazienti contengano informazioni sulla qualità della vita correlata alla salute potenzialmente rilevanti per il processo decisionale della società. Di conseguenza, né le preferenze pubbliche né quelle dei pazienti, da sole, possono tracciare la strada più appropriata per la valutazione degli interventi sanitari. Ci

si può chiedere se le due posizioni siano necessariamente mutuamente esclusive. Ad oggi, il dibattito sembra incentrato su quale delle due prospettive sia più appropriata. Non è chiaro, tuttavia, perché una tale dicotomia sia necessaria o, di fatto, utile. Per la valutazione degli interventi sanitari può essere importante riconoscere che, mentre la prospettiva di alcuni stati di salute può sembrare indesiderabile per il pubblico in generale, può risultare invece più accettabile una volta sperimentata da pazienti reali.

### Altri fattori che possono influenzare le scelte individuali

Esistono anche altri fattori (non necessariamente legati alla salute) che possono influenzare le preferenze – e quindi le scelte – degli individui. Diversi studi hanno dimostrato che una serie di fattori non sanitari, dalla situazione familiare al desiderio di evitare di essere un peso, sono importanti nel valutare la salute. È emerso infatti che la disponibilità a concedere anni di vita in cambio di una migliore qualità della stessa dipenda dalle preferenze, sottolineando che le stesse preferenze rispecchiano anche valori culturali e sociali. Gli individui effettuano delle scelte in base al loro genere (uomini e donne che vivono lo stesso stato di salute possono esprimere preferenze molto diverse), al valore che attribuiscono al fattore tempo e alla loro attitudine al rischio. Un individuo che ha un orientamento temporale a lungo termine sarà molto meno propenso a cedere anni di vita in cambio di una migliore qualità e avrà quindi un valore dell'utilità più elevato di una persona che invece ha una forte propensione a vivere il presente ('qui e adesso'). Sono proprio le società nel loro complesso che vivono le esperienze in maniera significativamente differente. Anche l'attitudine al rischio è una questione sociale: gli Stati Uniti così come la Gran Bretagna sono considerati Paesi con una forte propensione al rischio a differenza di Giappone e Italia, che sono invece caratterizzati da un alto tasso di avversione all'incertezza. Qual è l'influenza di questi fattori sulle analisi economiche? Nel lavoro di Mahlich e colleghi sono state condotte delle simulazioni per l'introduzione di due farmaci ipotetici: l'ICER calcolato per il Giappone è risultato doppio rispetto a quello del Regno Unito, il 37% in più rispetto a quello degli Stati Uniti. Il Giappone sta ora introducendo un sistema HTA che è modellato sul sistema del Regno Unito, utilizzando come base l'analisi costo-utilità. Le implicazioni

di questi risultati per la valutazione della tecnologia sanitaria (HTA) sono piuttosto significative. Se si applica il valore soglia, gli stessi farmaci verrebbero venduti a prezzi inferiori in Giappone rispetto al Regno Unito, a causa delle differenze nei valori di utilità (determinati da diversi tassi di preferenza temporale). Mentre secondo alcuni la preferenza temporale è determinata solo dal livello culturale, secondo altri potrebbero esserci ulteriori fattori da considerare. Nella letteratura economica, la preferenza temporale è legata al livello di sviluppo economico di un Paese. L'analisi dei dati delle serie temporali, ad esempio, mostra che per Taiwan e Giappone il tasso di preferenza temporale è diminuito fino a un certo punto durante la ripresa economica, con un'ulteriore flessione quando le popolazioni sono diventate più edoniste. Inoltre, i singoli fattori potrebbero svolgere un ruolo cruciale in quanto vi è una variabilità consistente nelle preferenze, anche all'interno dello stesso Paese. Un basso livello di istruzione, ad esempio, ha una forte correlazione con una preferenza temporale elevata che a sua volta contribuisce a comportamenti non salutari, come ad esempio il fumo. Viceversa, le persone con un orizzonte a lungo termine hanno maggiori probabilità di accedere all'istruzione superiore e adottare uno stile di vita più sano. La relazione tra orientamento a lungo termine, funzione cognitiva e salute – insieme ad altri risultati – è stata documentata in diversi studi. Golsteyn e colleghi, ad esempio, hanno chiesto a 13.606 bambini svedesi di 13 anni di scegliere fra due alternative: ricevere \$140 ora o \$1400 in 5 anni. Lo studio ha tracciato i risultati a lungo termine di questi bambini in materia di istruzione, decisioni sulla fertilità, indicatori di salute, successo nel mercato del lavoro e livello di reddito. Gli autori hanno osservato che i bambini con un breve orizzonte temporale hanno un rendimento peggiore a scuola e di conseguenza, diventati adulti, guadagnano meno, sono in genere disoccupati e ricorrono all'assistenza sociale più spesso degli altri. Inoltre, lo studio ha anche riportato che i bambini con un breve orizzonte temporale presentano un rischio di morte maggiore in giovane età, una maggiore esposizione all'obesità, ad incorrere in gravidanze indesiderate e ad essere coinvolti in crimini mentre sono ancora adolescenti. Mentre è difficile tenere separati i driver culturali e individuali delle preferenze temporali, si ritiene che i fattori culturali modifichino le preferenze e dovrebbero essere considerati un fattore rilevante negli studi di economia sanitaria. Questo significa che le valutazioni dei programmi sanitari forniscono un valore differente a seconda dei contesti culturali in cui sono inserite.



## Conclusioni

Il termine utilità è sempre stato utilizzato come sinonimo di preferenza o di valore. Le vere differenze nel significato sono cominciate quando sono stati sviluppati approcci metodologici per definire in modo più preciso questo concetto ed in particolare quando sono stati fatti tentativi per misurarlo. Ad oggi, la definizione di utilità è ampiamente condivisa così come le metodologie di misurazione. Rimangono tuttavia alcune questioni aperte sulla scelta dei soggetti da intervistare per rilevare le preferenze. Il campione maggiormente rappresentativo potrebbero essere quello di pazienti (con un rischio di sovrastima della gravità di alcuni stati) oppure della popolazione generale (con un rischio di impossibilità di percepire le reali caratteristiche della patologia su cui si è chiamati a esprimere un giudizio) oppure del personale sanitario (pur avendo questa categoria una conoscenza tecnico-scientifica della malattia, vi può essere un rischio di sottostima della gravità di alcuni sintomi). Gli approcci maggiormente utilizzati negli studi prevedono che le misurazioni indirette vengano effettuate sulla popolazione generale mentre le misurazioni dirette siano realizzate sui pazienti durante i trial clinici. Infine, una volta definita la tecnica di misurazione e i destinatari per la rilevazione delle preferenze, è necessario tenere in considerazione tutti gli aspetti che influiscono su una valutazione economica e che possono essere sanitari ma anche di tipo sociale e culturale.

Alcuni studi hanno infatti dimostrato che i fattori non sanitari sono in grado di influenzare le preferenze. La conclusione che si può trarre è che un approccio di efficacia economica valido per tutti non esiste; sarebbe forse più che appropriato un approccio decisionale che tenga conto del contesto e che includa criteri multipli (valori, obiettivi culturali e specifici per Paese) che vanno oltre il puro rapporto costo-utilità.

**Letizia Orzella**

*Agenas, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali*

## BIBLIOGRAFIA

- Drummond MF, O'Brien BJ, Stoddart GL, Torrance GW. Methods for the economics evaluation of health care programmes. Second edition, Oxford University Press 1997.
- Golsteyn B, Grönqvist H, Lindahl L. Adolescent time preferences predict lifetime outcomes. *Econ J* 2014; 124: F739-61.
- Kahneman D, Higgins E. A different approach to health state valuation. *Value Health* 2009; 12 (supplement 1): \$16-\$17.
- Karimi M, Brazier J, Paisley. How do individuals value health states? A qualitative investigation. *Soc Sci Med*, 2017; 172: 80-88.
- Mahlich J, Dilokthornsakul P, Srumsiri R, Chaiyakunapruk N. Cultural beliefs, utility values, and health technology assessment, *Cost Eff Resour Alloc*. 2018; 16: 19.
- Torrance GW. Utility measurement in healthcare: the things I never got to, *pharmacoeconomics* 2006; 24(11): 1069-1078.
- Versteegh MM, Brouwer WBF. Patient and general public preferences for health states: a call to reconsider current guidelines. *Soc Sci Med* 2016; 165: 66-74.
- Weinstein MC, Torrance GW, McGuire A. QALYs: the basics. *Value Health* 2009; 12 (supplement 1): \$5-\$9.