Le seguenti tipologie di costo vengono considerate: costi diretti (sanitari e non sanitari), costi indiretti (perdita di produttività), costi intangibili (riduzione nella qualità di vita).
I soggetti vengono sottoposti ad ogni visita a due questionari sulla qualità di vita: EuroQol (EQ-5D).

Risultati preliminari dello studio COME

Di seguito presentiamo i dati relativi ai primi 356 pazienti arruolati, con un focus specifico sui soggetti con infezione da HCV e sequele: il 70% era di sesso maschile, con età compresa tra i 19-84 (mediana = 55) anni di età. Il 24,2% presenta un'infezione da HCV, il 23,6% cirrosi, il 21,3% infezione da HBV, il 20,2% ha subito un trapianto di fegato, il 2,8% è affetto da carcinoma epatico, il 2,0% presenta una sindroma NASH (steatoepatite non alcolica), l'1,4% una co-infezione HBV e HCV, il restante 4,5% altre malattie epatiche. Il costo medio mensile per paziente è pari a 403 euro. I pazienti trapiantati hanno mostrato i costi più elevati (781 euro/paziente-mese), seguiti dai pazienti con co-infezione HBV e HCV (627 euro/paziente/mese), HBV (398 euro/paziente/mese), e HCV (293 euro/paziente/mese). Sono state documentate in media 6,8 giornate di lavoro perdute per paziente per mese, con valori superiori per i pazienti trapiantati (14,4 giorni/paziente/mese) e quelli con cirrosi.
Quanto alla qualità di vita, complessivamente il 25% dei pazienti ha riportato problemi con la capacità di movimento, il 10,6% con la capacità di prendersi cura di se stessi, il 32,5% problemi nel compiere le attività abituali, il 39,0% dolore o fastidio, il 40,0% ansia o depressione. I profili dell'EQ-5D relativi ai pazienti con infezione da HCV, con cirrosi e trapiantati sono presentati nelle figure 1-3. Il valore medio della VAS dell'EQ-5D (scala 0-100) è stato pari a 70,5. I pazienti con co-infezione HCV e HBC hanno riportato i valori più bassi (54,0), seguiti da quelli con cirrosi (61,6), mentre i pazienti con qualità di vita migliore sono quelli con HCV (70,0) e HBV (77,0).
I risultati preliminari dello studio COME indicano che le malattie epatiche hanno un impatto rilevante sui costi sia sanitari sia sociali e sulla qualità di vita dei pazienti e che tale impatto è superiore al crescere della gravità della condizione di salute. ■

> **“I risultati dello studio COME indicano che le malattie epatiche hanno un forte impatto sia sui costi sanitari e sociali sia sulla qualità di vita dei pazienti”**

Epatologia e medicina basata sul valore aggiunto per il paziente

di **Mario Strazzabosco**
Dipartimento di Medicina Clinica, Università di Milano-Bicocca

La medicina moderna è una storia di straordinario successo e l'epatologia ne è parte. Negli ultimi quarant'anni l'epatologia si è trasformata da una disciplina prevalentemente diagnostica ad una sottospecialità ad elevata intensità terapeutica e procedurale. Nuovi farmaci antivirali ed antineoplastici, il trapianto di fegato, le nuove procedure per il trattamento delle neoplasie del fegato, delle malattie delle vie biliari e delle complicanze della cirrosi hanno trasformato la storia naturale delle epatopatie croniche e la prognosi degli epatopazienti. La scoperta di nuove terapie ha anche espanso il numero dei soggetti sottoponibili a trattamento. Questa frontiera si sposta ogni giorno: la disponibilità del trapianto di fegato ha completamente cambiato l'approccio e gli obiettivi terapeutici nel paziente con '*end-stage liver disease*'; nuovi farmaci sono ora disponibili per il paziente affetto da carcinoma epatocellulare precedentemente definito 'non-trattabile'. Un'ulteriore rivoluzione è alle porte per quanto riguarda il trattamento dell'epatite virale C.

L'aumento della spesa sanitaria

L''effetto avverso' del successo della medicina è stato il continuo aumento della spesa sanitaria. Questa viene considerata eccessiva sia nei sistemi pubblici sia in quelli privati. Le molteplici soluzioni tentate per contenere la spesa sanitaria sono state spesso caratterizzate da operazioni di spostamento dei costi e non hanno intaccato il problema. Anzi, si è creata una frattura tra la medicina praticata dai medici a letto del malato, la medicina pianificata dagli amministratori privati o pubblici, e la qualità percepita dai pazienti. I risultati migliorano, ma la loro percezione da parte del pubblico peggiora. La tachifilassi (o rapido adattamento) verso il progresso e il contestuale riallineamento delle aspettative è un fenomeno comune a tutte le attività umane. Il progredire

della medicina genera più salute, ma contestualmente aumenta le attese; presto le attese diventano bisogni e i bisogni, al contrario delle attese, devono essere soddisfatti. Questo circolo vizioso pone sotto tensione il quotidiano confronto con la sostenibilità della sanità.

Nuove metodologie per risolvere il problema

È evidente che la soluzione del problema richiede nuove 'metodologie'. Un famoso aforisma attribuito ad Albert Einstein sottolinea come un problema non possa essere risolto utilizzando la stessa mentalità che lo ha generato! Una proposta che ha suscitato interesse è stata quella suggerita da Michael Porter.

Dopo aver analizzato a fondo alcuni seri problemi del sistema sanitario americano, Porter ha proposto di orientare le scelte di politica sanitaria sul 'valore aggiunto per il paziente'[1]. Per Porter il 'valore' ha al numeratore l'esito clinico (*outcome*) e al denominatore il costo totale. Il numeratore è specifico per ogni condizione e dipende dalle conoscenze clinico-scientifche del momento. Il denominatore è invece dato dal costo totale, misurato *sull'intero ciclo delle cure*, non sul singolo intervento. Per aumentare il valore può rendersi necessario spendere di più per alcuni interventi sanitari iniziali in modo da evitarne altri (è il caso del trattamento dell'epatite cronica C, in cui l'ottenimento di una risposta virologica sostenuta riduce il rischio di sviluppare scompenso epatico o epatocarcinoma). D'altro canto l'arrivo di farmaci o procedure innovative potrebbe risultare in importanti miglioramenti degli esiti, tali da aumentare il valore anche a fronte di un aumento dei costi (vedasi il caso del trapianto di fegato).

Se il valore per il paziente aumenta, tutti ne ottengono un beneficio e la sostenibilità economica della sanità migliora. Pertanto, la competizione orientata sul miglioramento del valore per il paziente diviene virtuosa e rappresenta una forza di continuo miglioramento.

Purtroppo nella sanità si è spesso promossa una forma di competizione denominata '*zero sum competition*', che, essendo basata principalmente sul razionamento delle risorse, sulla riduzione del personale e dei costi legati a singole procedure, non aggiunge nulla in termini di aumento del valore e di progresso.

> **“Il punto nodale è disegnare indicatori clinici di risultato delle cure (outcome) che siano scientificamente validi e facilmente utilizzabili nella pratica quotidiana”**

La tesi della *value-based medicine*

La tesi fondamentale sostenuta dalla '*value-based medicine*' è che per migliorare la qualità delle cure, mantenendone la sostenibilità economica, è necessario ridefinire la natura della competizione in sanità, allineandola al concetto di massimizzazione del valore per il paziente. Questo significa ottenere, per ogni condizione clinica, il miglior rapporto possible tra risultato ottimale delle cure (ossia il ripristino del massimo stato di salute possibile) e la spesa sostenuta per generare quel risultato. Se si accettano questi principi, e la tesi che 'le cure efficaci conducono a spese minori quando misurate sull'intero processo di cura', le implicazioni pratiche portano a una ridefinizione dell'organizzazione della *governance* della sanità, che ha validità non solo in sistemi sanitari privati, ma anche in quelli pubblici. Infatti anche nei sistemi sanitari pubblici, ponendo l'ottenimento dei migliori risultati clinici sul terreno della competizione per le risorse, si dà origine ad un circolo virtuoso. La decisione di impiegare determinati trattamenti invece di altri sarà infatti basata principalmente sulla loro possibilità di raggiungere gli esiti migliori per il paziente. Il raggiungimento di questi esiti può essere considerato indicatore sia della qualità delle cure sia dell'economicità del sistema.

Gli indicatori di qualità delle cure

Il punto nodale per applicare questa filosofia è pertanto quello di disegnare indicatori clinici di risultato delle cure (indicatori di *outcome*) che siano scientificamente validi e facilmente utilizzabili nella pratica quotidiana. Si potrà così cominciare a confrontare i centri su base scientificamente oggettiva, orientando le risorse su quelli in grado di fornire i risultati clinici migliori. Questi centri fungeranno a loro volta da punti di riferimento (*benchmarking*) per gli altri centri.

Esistono vari tipi di indicatori di qualità delle cure. Gli indicatori di volume e struttura (numero di pazienti in terapia intensiva, turnover di ricoveri, lunghezza della degenza, ricavi/spese, etc),

rimangono confinati al momento dell'erogazione delle cure e non consentono quindi la misurazione del reale valore delle cure fornite. Gli indicatori di processo, invece, permettono di misurare aspetti legati alla modalità di erogazione delle cure a partire da linee guida condivise e protocolli comuni, ma non corrispondono necessariamente ad una buona qualità degli esiti clinici.

Gli indicatori di esito delle cure

Gli indicatori di esito (*outcome*) misurano invece l'effetto delle cure e possono essere classificati in due categorie: gli indicatori finali, come ad esempio la sopravvivenza, la remissione di malattia, il grado di funzionalità e il recupero dello stato originale di salute, e gli indicatori intermedi (o surrogati), che permettono di predire la risposta al trattamento. Gli indicatori intermedi sono usati quando non è possibile rilevare gli indicatori finali, ad esempio quando non è possibile osservare i pazienti per un periodo sufficientemente lungo. Ne consegue che, sebbene gli indicatori finali siano lo strumento ideale per la misurazione degli esiti delle cure, può essere più efficiente o addirittura necessario misurare indicatori intermedi che siano di rilevanza clinica e affidabilità sufficiente a predire gli esiti finali. La cosa essenziale è che gli indicatori siano appropriati e specifici per ogni particolare tipo di condizione e che non riguardino solo il singolo intervento o singoli episodi clinici (per esempio, misurando il controllo endoscopico del sanguinamento da rottura di varici esofagee), ma piuttosto tutto il ciclo di cure (per esempio, valutando l'incidenza di risanguinamento nel tempo e la sopravvivenza). Gli indicatori devono essere valutati per ogni singolo paziente durante l'intero ciclo di cure, comprendendo i diversi accessi alle cure sanitarie (degenza, ambulatorio, day-hospital). Ad oggi non esistono indicatori clinici di esito delle cure dalle caratteristiche sopramenzionate per pazienti affetti da malattie del fegato.

"Ad oggi non esistono indicatori clinici di esito appropriati e specifici, che riguardino tutto il ciclo di cura per pazienti affetti da malattie di fegato"

Il dibattito sulla definizione della qualità delle cure

Il crescente dibattito sulla qualità delle cure ha spinto gli stessi medici, attraverso le società scientifiche, ad assumere una partecipazione attiva nella definizione della qualità e nello sviluppo di provvedimenti rilevanti e quantificabili nella pratica clinica.

L'apporto dell'American Gastroenterology Association

Nel 2005 il consiglio direttivo dell'American Gastroenterological Association (AGA) ha convocato una commissione di esperti (*task force*) nel tentativo di quantificare il contributo fornito dai gastroenterologi nella corretta definizione della qualità nella pratica clinica e poter migliorare la salute di pazienti con malattie del tratto gastrointestinale. Il lavoro della *task force* si è concentrato sulla definizione di diversi parametri in grado di certificare la qualità dei centri specializzati nel trattamento di queste patologie. Dalla discussione è nato un report[2] contenente delle raccomandazioni generali sugli standard nazionali in termini di sicurezza, sull'individuazione di requisiti minimi di efficienza per i diversi centri e sull'esigenza di controllo dell'effettiva virtù delle cure mediche erogate, attraverso la creazione di un Centro per la qualità indipendente e competente. In particolare, si è raccomandata la creazione di database per la registrazione di dati utili per l'ideazione di indicatori di qualità. L'ultima parte del documento è incentrata proprio sull'identificazione degli indicatori di qualità chiave nel trattamento delle malattie digestive: esistono oltre 110 indicatori di qualità delle cure in gastroenterologia, la maggior parte dei quali è indirizzata verso 6 categorie (screening del cancro colon-rettale, corretta esecuzione delle procedure endoscopiche, gestione dell'epatite C, dell'infezione da *Helicobacter pylori*, del morbo di Crohn e della malattia da reflusso gastroesofageo). Tuttavia questi indicatori si basano unicamente sull'implementazione della diffusione e dell'aderenza a linee guida internazionali basate sull'evidenza, e sulla corretta misurazione del processo di cura.

Il Physician Consortium for Performance Improvement

Il dibattito è poi proseguito trovando sempre più spazio nella letteratura medica recente, coinvolgendo anche l'epatologia. In particolare, la stessa

AGA ha istituito nel 2007 un 'Physician Consortium for Performance Improvement', chiamato a costruire una serie di indicatori misurabili per la valutazione dei centri specializzati nel trattamento dell'epatite C. Sono stati individuati 9 indicatori di qualità delle cure, derivati da linee guida basate sull'evidenza e dalle raccomandazioni degli stessi esperti[3]. L'istituzione di questi indicatori del processo di erogazione di cure ha poi permesso una valutazione preliminare della qualità dell'assistenza sanitaria che ricevono i pazienti con virus dell'epatite C, grazie all'analisi del database di ricerca dell'assicurazione sanitaria americana Medicare, ovvero il piano assicurativo per le persone con più di 65 anni. L'analisi in oltre 10.000 pazienti di 7 dei 9 indicatori inizialmente individuati (la conferma della viremia positiva per l'epatite C, la vaccinazione antiepatite A ed antiepatite B, la prescrizione della terapia antivirale, il test per il genotipo virale e di carica virale prima del trattamento, ed il test per la carica virale dopo 12 settimane di terapia) ha dimostrato come solamente il 18,5% dei pazienti ricevesse tutte le cure riassunte dai parametri individuati dagli esperti[4].

> "L'Associazione Italiana per lo Studio del Fegato (AISF) ha definito una prima bozza sulla metodologia per la generazione di indicatori di esito delle cure per le principali malattie epatiche"

La revisione delle linee guida da parte di undici esperti

Utilizzando le medesime premesse epidemiologiche, un secondo importante contributo nel campo delle malattie del fegato, in particolare della cirrosi epatica e delle sue complicazioni, è stato portato dallo sviluppo di 8 indicatori da parte di 11 esperti,[5] generati a partire dalle linee guida esistenti e dalla revisione sistematica della letteratura medica. Anche in questo caso, come nel precedente, il lavoro si è concentrato sulla necessità di fornire uno strumento utile e facilmente traducibile nella pratica quotidiana, alla maniera di una *checklist*, per i medici epatologi (per esempio: "esecuzione di un'ecografia addominale ogni 6 mesi", "appropriato trattamento delle emorragie da varici esofagee"), piuttosto che mettere in luce indicatori di esito clinico finale che potessero realmente riflettere le caratteristiche di qualità dei diversi centri epatologici.
Sebbene la revisione delle linee guida effettuata da questi gruppi di esperti abbia rappresentato un primo passo importante nella valutazione e nel miglioramento della qualità dell'assistenza sanitaria basata sull'evidenza, questa non costituisce di per sé un indice di assistenza sanitaria di qualità, ma più semplicemente un corretto processo di diagnosi e cura. Rimane ancora da testare l'ipotesi secondo cui una stretta aderenza alle linee guida possa condurre ad un effettivo miglioramento dello stato di salute per il paziente.

Il ruolo dell'Associazione Italiana per lo Studio del Fegato e della Fondazione Amici dell'Epatologia

Partendo da questi presupposti, semplici nella loro concezione, ma potenzialmente rivoluzionari nella loro applicazione, nel 2007 l'Associazione Italiana per lo Studio del Fegato (AISF), in collaborazione con FADE (Fondazione Amici Dell'Epatologia), ha definito una prima bozza sulla metodologia per la generazione di indicatori di esito delle cure per le principali malattie epatiche.
Sulla base di questi risultati preliminari, FADE ed il Dipartimento di Medicina Clinica dell'Università di Milano Bicocca hanno avviato uno studio che ha lo scopo di definire e testare indicatori di *outcome* nelle malattie epatiche. Lo studio è sponsorizzato dal Ministero della Salute e dalla Regione Lombardia, e si prevede che i risultati saranno disponibili nel corso del 2012. Questo progetto si propone di offrire uno strumento utilizzabile nelle scelte di programmazione sanitaria e di allocazione della spesa in modo da generare un fattore di competizione virtuosa nel sistema. Per aver maggiori informazioni sullo studio, il lettore può consultare il sito www.assofade.org. ■

BIBLIOGRAFIA

1. Porter M, What is value in health care?, NEJM 2010; 363:2477-2481.
2. AGA task force on quality in practice: a national overview and implications for GI practice. Gastroenterology 2005; 129: 361-369.
3. Centers for Medicare & Medicaid Services. Overview: physician quality reporting initiative, https://www.cms.gov/PQRS/
4. Kanwal F et al, Quality of care in patients with chronic hepatitis C virus infection: a cohort study. Ann Intern Med 2010; 153: 231-239.
5. Kanwal F et al, An explicit quality indicator set for measurement of quality of care in patients with cirrhosis. Clin Gastroenterol Hepatol 2010; 8: 709-717.