

## Utilizzo dei dati di costo nelle valutazioni economiche: una revisione della letteratura

Franklin M, Lomas J, Walker S et al

*An educational review about using cost data for the purpose of cost-effectiveness analysis*

Pharmacoeconomics 2019; 37: 631-43

Negli ultimi 30 anni le tecniche di valutazione economica si sono sviluppate sempre di più. Il contributo dei ricercatori inglesi delle Università di Sheffield e di York ha l'obiettivo di sintetizzare i metodi e le evidenze esistenti su come identificare, stimare e analizzare i dati di costo. In particolare, la revisione pone l'accento su argomenti chiave, che devono essere opportunamente sviscerati prima di condurre una valutazione economica.

**Uso delle risorse, costi e fonti dei dati.** I dati sull'uso delle risorse dovrebbero rappresentare ciò che la popolazione 'consuma' (per esempio, il numero e il tipo di visite in ospedale, i farmaci prescritti). I dati di costo derivanti dall'utilizzo delle risorse devono essere facilmente accessibili e di buona qualità così da riflettere l'effettiva assistenza che le persone ricevono. I metodi di raccolta dei dati sono molteplici: cartelle cliniche, schemi prospettici realizzati dai ricercatori e schemi realizzati dal paziente. Nella maggior parte degli studi vengono utilizzati in contemporanea le cartelle cliniche e i diari compilati dai pazienti perché riescono a fornire il miglior dettaglio delle voci di costo e il loro utilizzo.

**Analisi interna e basata su modelli.** Gli studi controllati randomizzati (RCT) sono sempre stati considerati il gold standard per condurre studi di valutazione economica inducendo una percezione di 'affidabilità' pressoché totale per le prove che producono. Tuttavia, anche i RCT hanno i loro limiti. La valutazione economica richiede che i costi e gli esiti siano stimati per tutti i comparatori pertinenti su un orizzonte temporale appropriato. Inoltre, dovrebbero essere prese in considerazione tutte le prove disponibili e le potenziali fonti di eterogeneità in termini di efficacia e di costi. I RCT di solito considerano solo alcuni dei comparatori rilevanti in un breve lasso di tempo, spesso in un particolare gruppo di pazienti con limitata validità esterna dei risultati dello studio. In risposta a ciò, le tecniche basate su modelli decisionali (modelli di Markov, alberi decisionali) sono sempre più utilizzate, non in alternativa ai RCT, ma in maniera complementare, soprattutto per superare i limiti descritti. I modelli permettono di sintetizzare prove, confrontare tutti i comparatori pertinenti e stimare costi ed effetti su un orizzonte temporale appropriato. Una loro limitazione tuttavia è che gli input e gli output non sono sempre trasparenti e rappresentano versioni molto semplificate della realtà.

**Prospettiva dei costi.** Nelle valutazioni economiche è cruciale stabilire quali costi includere (o escludere), definire le priorità e conoscere i budget assegnati. Scegliere quali costi includere è anche una questione pragmatica: per esempio, i costi comuni a tutti gli interventi che si 'escludono' a vicenda potrebbero non essere rilevanti ai fini della decisione, poiché tali costi non inciderebbero sui costi incrementali finali. C'è inoltre un dibattito sull'opportunità di includere tutti i costi sanitari futuri o solo quelli relativi alle pa-

tologie correlate. Da un lato, il panel di studiosi statunitensi (Panel on Cost-Effectiveness in Health and Medicine) raccomanda di includere tutti i costi sanitari, dall'altro il National Institute for Health and Care Excellence (NICE) inglese afferma di dover considerare solo i relativi costi futuri. Infine, indipendentemente dalla prospettiva, la tipologia di costo da incorporare è particolarmente rilevante per quei programmi che comportano grandi investimenti: se si segue un approccio 'a breve termine', i fattori di produzione saranno fissi, ma se l'approccio è di lungo periodo, i fattori di produzione saranno variabili.

**Metodi statistici per la valutazione dei dati di costo e aggiustamento per le covariate.** I metodi di regressione sono generalmente utilizzati per valutare l'eterogeneità dei dati e il potenziale squilibrio casuale tra i bracci del trial al fine di fornire una stima obiettiva del costo medio (o del costo incrementale). In particolare, viene spesso realizzato un accorpamento per classi omogenee (cluster) utilizzando modelli multilivello per l'analisi. La randomizzazione è il metodo più comunemente utilizzato negli studi per controllare l'inclinazione sistematica tra gruppi spesso associati a bias di selezione; tuttavia, questo metodo non sempre determina un perfetto equilibrio tra i gruppi e vengono quindi fatti degli aggiustamenti in base alle covariate per migliorare la precisione dell'analisi. Si raccomanda tuttavia di presentare i risultati finali insieme alle analisi 'non aggiustate'.

**Incertezza sulle stime dei costi.** I costi e gli esiti di un trattamento non sono noti con certezza. Nelle valutazioni economiche l'incertezza viene di solito affrontata o con un'analisi di sensibilità deterministica, in cui singoli o gruppi di parametri vengono fatti variare per valutare singolarmente il loro impatto sui risultati, o con un'analisi di sensibilità probabilistica, che invece valuta l'incertezza congiunta. Un altro importante aspetto da non sottovalutare è il modo in cui i costi possono variare nel tempo, alterando il valore degli interventi e influenzando la decisione da implementare.

**Sconto e inflazione.** Sia i costi che gli esiti devono essere adeguati ai diversi periodi in cui si verificano, anche se l'attualizzazione viene generalmente applicata solo quando l'orizzonte temporale è superiore ad un anno. Lo sconto è una procedura matematica per adeguare i costi futuri al loro valore attuale. Il NICE utilizza un tasso del 3,5% per costi ed esiti, sebbene l'1,5% possa essere utilizzato per le analisi di sensibilità.

Nel condurre una valutazione di costo-efficacia si devono applicare metodi statistici ed econometrici in grado di controllare tutti i possibili confondenti, non solo per l'effetto sui costi ma anche ai fini della modellizzazione. In questa revisione si assume che i costi unitari rappresentino il vero valore monetario di una risorsa, ma questo non sempre accade perché alcune risorse sono potenzialmente più limitate di altre e i costi unitari non si adeguano automaticamente. C'è stata una tendenza a trascurare la natura 'complicata' dei dati di costo, con la conseguenza che potrebbero essere prodotte stime incoerenti se non si controlla in modo appropriato la natura dei costi e l'incertezza nella loro stima, con il rischio di fornire ai decisori informazioni non completamente accurate.

Letizia Orzella

Agenas, Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali