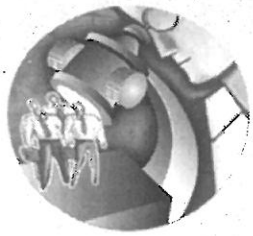


manager&evidence health

***Modelli a confronto*** *Come e dove diffondere le informazioni scientifiche*

# Sapere a gestione «doc»

*di* **Antonino Cartabellotta** *

***L'utilizzo delle conoscenze nei sistemi sanitari resta inadeguato: agli operatori mancano tempo, strumenti e competenze per sostenere la mole di «news»***

La straordinaria rivoluzione delle tecnologie informatiche in ambito sanitario è stata sostenuta, oltre che dalla crescita esponenziale del volume dell'informazione biomedica, dallo sviluppo di strumenti che hanno permesso la sua disseminazione in maniera più rapida, ampia ed efficiente.

Il trait d'union tra questi due fenomeni è rappresentato da internet che permette di scambiare simultaneamente e in maniera interattiva le informazioni scientifiche tra decisori, operatori sanitari e utenti di tutto il mondo.

Nonostante l'entità di tale rivoluzione, l'utilizzo delle informazioni scientifiche nei sistemi sanitari rimane inadeguato perché gli operatori sanitari mancano di tempo, strumenti e competenze per gestire adeguatamente tale sovraccarico d'informazioni.

Nella logica di una distribuzione strategica e controllata dell'informazione biomedica, Muir Gray (BMJ 1998; 317:832) ha proposto un modello innovativo, dove le organizzazioni sanitarie sono tenute a gestire le conoscenze scientifiche alla stessa maniera di altre risorse quali finanze, edilizia, personale ed energie. In altre parole, non è più sostenibile predisporre ingenti risorse umane ed economiche per diversi servizi - finanze, personale, energie - trascurando il management delle conoscenze scientifiche che rappresentano la risorsa più preziosa per i sistemi sanitari del XXI secolo.

Considerato che tali conoscenze devono essere sistematicamente ricercate, accuratamente valutate e rese disponibili nel formato idoneo a essere integrate nelle decisioni degli operatori sanitari, «ogni ospedale, team di assistenza primaria, servizio territoriale deve stabilire quali conoscenze utilizzare e come distribuirle all'interno dell'organizzazione».

Il prototipo di riferimento di management istituzionale delle conoscenze scientifiche è rappresentato - nel National health service inglese - dalla National electronic library for health, infrastruttura virtuale realizzata per organizzare e facilitare l'accesso alle migliori conoscenze scientifiche a tutti gli attori del sistema sanitario: decisori, clinici e utenti.

Questo sistema istituzionale di knowledge management prevede professionisti - chief knowledge officer (Cko) - capaci di governare le conoscenze scientifiche in base al livello e ai bisogni informativi dell'organizzazione sanitaria in cui opera. Il Cko rappresenta l'evoluzione del chief information officer (Cio) - la cui necessità nei moderni sistemi sanitari è in-

* *Gruppo italiano per la medicina basata sulle evidenze - GIMBE - Palermo*

vocata da oltre 10 anni - ma che non è riuscita a trovare una precisa identità, probabilmente per carenza di competenze cliniche. Il Cko descritto da Muir Gray - definito anche director of clinical effectiveness - ha invece un background clinico, integrato da adeguate competenze epidemiologiche e informatiche.

In quest'ottica è stato concepito il progetto collaborativo tra l'agenzia regionale sanitaria (Asr) Emilia Romagna e il Gimbea (Gruppo italiano per la medicina basata sulle evidenze) - un'iniziativa fortemente voluta dall'intuizione di Mario Zanetti, già direttore generale dell'Asr.

Il progetto, infatti, è nato con l'obiettivo d'introdurre nelle aziende sanitarie regionali un adeguato sistema di management delle conoscenze scientifiche. In tal senso, il gap esistente tra le competenze degli operatori sanitari e le esigenze del Ssn rende indispensabili adeguati progetti formativi.

Seguendo il modello di Muir Gray, secondo cui esiste una stretta sinergia tra la pratica individuale della evidence-based medicine (Ebm) e la promozione della evidence-based health care (Ebhc) nelle istituzioni, il progetto si è articolato in due livelli differenti, il cui fine era agire in maniera integrata sui professionisti e sulle aziende in cui questi operano.

Infatti, a un primo livello (v. Il Sole 24 Ore-Sanità, n. 22/2000) destinato agli operatori sanitari delle aziende regionali motivati ad acquisire strumenti e competenze per praticare la Ebm, è seguito il corso avanzato in evidence-based health care, al quale hanno partecipato venti medici (uno per ciascuna azienda regionale) selezionati in base a motivazioni, competenze e disponibilità. I partecipanti sono equamente suddivisi tra clinici con responsabilità decisionali (dirigenti di II livello, direttori di dipartimento), e medici di direzione sanitaria o in staff alla direzione generale.

L'obiettivo del corso è la creazione di nuovi professionisti - idealmente i Cko - esperti di management (ricerca e approccio critico) delle informazioni scientifiche, di valutazione dell'efficacia degli interventi sanitari e del loro trasferimento nei diversi ambiti decisionali: clinico, organizzativo-gestionale e di salute pubblica. I partecipanti a questo progetto sperimentale, oltre a divenire potenziali formatori, saranno in grado di utilizzare gli strumenti e i metodi della Ebhc (vedi box) per trovare soluzioni a priorità assistenziali seguendo l'approccio evidence-based.

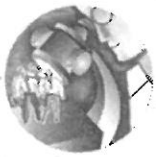
Il corso avanzato in Ebhc - che si concluderà nel dicembre 2000 - si è articolato in venti moduli di due giorni a cadenza quindicinale, comprensivi di applicazioni pratiche, quali la produzione di evidence-reports su aree assistenziali rilevanti.

Il corso si svolge in aula informatica e utilizza sia metodologie didattiche di documentata efficacia (apprendimento per problemi, lavoro a piccoli gruppi) sia tecnologie avanzate, tra cui l'organizzazione e la distribuzione del materiale didattico attraverso una biblioteca elettronica costantemente aggiornata.

## Il corso avanzato in Evidence-based Health Care

Questi gli obiettivi generali del corso avanzato in Evidence-based health care:

- utilizzare i moderni strumenti per la gestione delle informazioni scientifiche (banche dati biomediche, editoria elettronica, internet, software per l'archiviazione della bibliografia) con diversi scopi: "sorveglianza" della letteratura; utilizzo delle informazioni scientifiche per la risoluzione di problemi clinico-assistenziali e organizzativo-gestionali; creazione di sistemi aziendali di knowledge management;
- valutare criticamente le evidenze scientifiche: validità interna e applicabilità clinica di studi primari (osservazionali e sperimentali) e integrativi (revisioni sistematiche, linee guida, technology assessment reports, analisi economiche, analisi decisionali);
- analizzare il contesto locale, sia clinico sia organizzativo-gestionale;
- elaborare strategie per la produzione/adattamento, disseminazione, implementazione e valutazione d'impatto di linee guida e percorsi diagnostico-terapeutici;
- selezionare le strategie per determinare il cambiamento della pratica professionale;
- pianificare e condurre audit clinici che, confrontando la pratica clinica con standard evidence-based, consentano di definire i gap tra risultati della ricerca e assistenza erogata;
- acquisire le tecniche principali per raggiungere il consenso formale nelle aree grigie;
- promuovere la diffusione di interventi sanitari efficaci e dismettere qualunque tecnologia di efficacia non documentata o comunque obsoleta;
- migliorare le communication skills e le tecniche di gestione di gruppi.



# Come l'«evidenza» agisce sulla salute

In un sistema sanitario evidence-based le decisioni sulla salute delle popolazioni devono risultare dall'integrazione di tre elementi: la disponibilità di risorse; le determinanti socio-culturali (values); le evidenze scientifiche, da classificare in tre categorie: a) di efficacy, che dimostrano l'efficacia degli interventi sanitari in condizioni ideali; b) di effectiveness, che dimostrano l'efficacia degli interventi in condizioni reali; c) di efficiency, che informano sui benefici di un intervento in relazione alle risorse impiegate.

In base alla "gerarchia delle evidenze", il gold-standard per la valutazione dell'efficacia degli interventi sanitari è rappresentato dai trials clinici controllati e randomizzati (RCTs), disegnati prevalentemente per dimostrare l'efficacy degli interventi sanitari. Infatti, i cosiddetti explanatory RCTs sono spesso condotti su popolazioni estremamente selezionate e omogenee, escludendo i pazienti "complessi" (quelli con comorbilità, gli anziani, le donne); inoltre, le competenze e le motivazioni di chi conduce e partecipa a questi trials - oltre che gli standard organizzativo-assistenziali - sono ideali rispetto alla realtà.

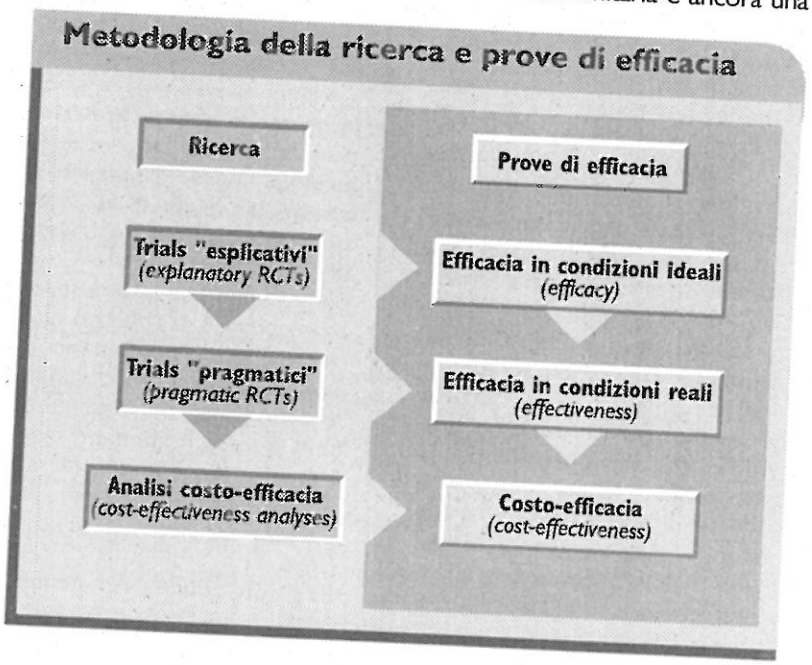
Inoltre, nonostante l'ingente numero di RCTs pubblicati, esistono numerose e ampie zone grigie, dove esiste grande incertezza sull'efficacy di molti interventi sanitari. Questo non deve sorprendere più di tanto, se si pensa che l'agenda della ricerca è dettata in prevalenza dall'industria farmaceutica e tecnologica.

Anche se i RCTs di efficacy costituiscono il fondamento dell'evidence-based health care, l'efficacia reale degli interventi sanitari è influenzata da svariati fattori: grado di accuratezza diagnostica della patologia d'interesse, l'aderenza dei clinici ai risultati del RCTs, compliance dei pazienti, diffusione delle tecnologie, equità nella distribuzione dei servizi sanitari, ecc.

**I trials clinici controllati e randomizzati sono il «gold standard» per valutare l'azione delle politiche sanitarie**

Per dimostrare che un intervento efficacy funzioni in condizioni assistenziali reali, è necessario pianificare e condurre i cosiddetti pragmatic RCTs, o trials di popolazione. In questo tipo di sperimentazione i criteri di selezione dei pazienti sono molto ampi, per ottenere un campione quanto più simile alla realtà; inoltre, sono previsti regimi terapeutici più flessibili e i pazienti possono anche rifiutare l'intervento offerto. Purtroppo, questi RCTs costituiscono ancora "merce rara" nel panorama della ricerca, anche perché la loro pianificazione dovrebbe essere stimolata dalle istituzioni.

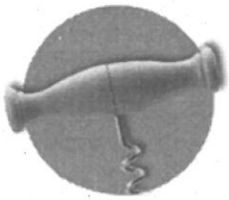
In una fase successiva, le analisi economiche - in particolare la cost-effectiveness analysis - informano i decisori del "guadagno" in termini di salute che si può ottenere impiegando una certa quantità di risorse. Purtroppo, l'economia sanitaria è ancora una



scienza allo stato embrionale: a esempio molti economisti conducono paradossalmente analisi costo/efficacia di interventi sanitari la cui efficacia non è ancora dimostrata! Inoltre, David Massel (BMJ 1999;319:384) sottolinea con forza la distinzione tra efficienza politica ed efficienza pragmatica, per la quale non esistono risorse sufficienti per tutte le tecnologie sanitarie, anche se di efficacia (e magari di costo/efficacia) documentata. Massel riporta un esempio paradigmatico di efficienza politica: il Canadian blood service investirà ogni anno l'equivalente di oltre 26 mld di lire per lo screening degli emodonatori con i test di amplificazione genica per l'Hcv e l'Hiv. Le stime prevedono che questa tecnologia consentirà di identificare - rispetto alle correnti modalità di screening - 5-7 casi addizionali/anno di donatori infetti da Hcv e un caso addizionale di donatore Hiv-positivo ogni 2-3 anni. Questo, in termini di risorse, corrisponde a impiegare 1,7-2,4 mld per ciascun caso di infezione da Hcv e 23,2-34,6 mld per ogni caso di infezione da Hiv!

In definitiva, considerato che dopo 50 anni la metodologia dei RCTs ha ormai raggiunto standard sufficienti per la valutazione della efficacy, un sistema sanitario evidence-based non può limitarsi a utilizzare le "migliori evidenze disponibili" per programmare l'assistenza, ma deve impegnarsi a finanziare la ricerca sui servizi sanitari e i programmi di ricerca e sviluppo, sia per far luce sulle aree grigie di estremo interesse per la sanità pubblica sia per produrre le evidenze di effectiveness e di efficiency che gli consentiranno di programmare con adeguate basi scientifiche quello che Massel ha definito evidence-based budgeting.

## il tappabuchi



# Bisogno/ 2

di **Spartaco Autistico**

*Nella metrica dei sistemi sanitari si identificano, di norma, 5 dimensioni: il bisogno, il bisogno percepito, la domanda, l'uso, l'offerta.*

*Il bisogno tout court non è mai percepito come tale da chi ne è portatore e, quindi, non innesca comportamenti significativi tesi a soddisfarlo. Il bisogno può essere rilevato solamente da un esperto e può essere percepito da chi ne è portatore.*

*Il bisogno, che sia o meno percepito, risulta largamente insoddisfatto, dal momento che essendo non manifesto o non orientato, è particolarmente arduo rilevarne l'esistenza. Peraltro, si riscontra spesso che bisogni non motivati si generano in modo automatico risultando così indotti.*

*Il bisogno percepito si trasforma in domanda quando la persona che lo avverte è anche informata della possibilità di trovare un luogo in cui soddisfarlo e decide di avvalersi di tale possibilità.*

*Come si può ben vedere sono la conoscenza e la capacità di decidere che permettono di avviare i meccanismi destinati a risolvere i problemi di salute e in tutto questo il comportamento attivo e consapevole del paziente, piuttosto che l'intervento dell'esperto, gioca un ruolo decisivo.*

*La soddisfazione della domanda può essere inappropriata, se essa si verifica in assenza di un bisogno percepito che ne giustifichi l'espressione. La domanda può essere non soddisfatta se la sua espressione non è seguita dall'erogazione dell'appropriata e opportuna prestazione.*

*L'uso dei servizi è determinato dall'interazione tra la domanda e l'offerta e per esso possono essere fatte le medesime considerazioni circa la sua appropriatezza o la sua inappropriatezza.*

*L'offerta è costituita dal complesso dei fattori produttivi opportunamente organizzati per assicurare l'erogazione delle prestazioni sanitarie.*

*L'entità dell'offerta da rendere disponibile può essere definita sulla base del bisogno (!) o sulla base della domanda.*

*Su questa alternativa si è concentrata l'attenzione dei responsabili delle decisioni di pianificazione sanitaria.*

*L'orientamento attuale è di pianificare sulla domanda e, ovviamente, il fattore che viene percepito come maggiormente condizionante è costituito dalla necessità, largamente insoddisfatta, di contare su una popolazione adeguatamente informata, affinché tra entità della domanda stessa ed entità dell'offerta resa disponibile vi sia un livello ottimale di congruenza.*

# Linee guida? La banca dati dà una mano

National guideline clearinghouse (Ngc) è un progetto nato nel 1998 dalla collaborazione di tre istituzioni americane: l'Agency for health care research and quality, l'American medical association e l'American association for health plans. Il registro federale invitava società scientifiche e agenzie a sottomettere le proprie linee guida nella Ngc attraverso un modello predefinito, che aiutasse a svolgere una valutazione critica.

La Ngc, tecnologicamente molto avanzata e semplice da utilizzare, rappresenta la banca dati di riferimento per le evidence-based guidelines.

La ricerca delle linee guida può avvenire mediante due modalità: "sfogliare" (browse) i contenuti, scegliendo una delle tre directory fornite (la condizione patologica, gli interventi o l'organizzazione che ha prodotto la Lg); eseguire una ricerca diretta dell'argomento desiderato, grazie alla presenza di due interfacce, una standard e l'altra avanzata.

- La visualizzazione delle Lg può avvenire attraverso tre modalità: riassunto breve (sintesi delle raccomandazioni cliniche); riassunto esteso (aggiunge al precedente numerose informazioni metodologiche che consentono una valutazione critica delle Lg); il link al testo integrale - se disponibile on line - o all'organizzazione che ha elaborato la Lg per la richiesta di copie.
- L'utente può conservare le Lg in un archivio personale e confrontarle attraverso la funzione guideline comparison che permette di ottenere una tabulazione comparativa di raccomandazioni cliniche e aspetti metodologici.
- Per un certo numero di Lg che coprono argomenti simili, la Ngc fornisce un confronto diretto che illustra anche le aree di accordo/disaccordo.
- I limiti rilevati nell'utilizzo della National guideline clearinghouse sono i seguenti: considerato il numero di Lg archiviate, anche se cospicuo, esso è comunque parziale, e in caso di insuccesso la ricerca deve essere estesa ad altre banche dati; la modalità search, in particolare quella avanzata, fornisce talvolta risultati incompleti; la banca dati ha un focus prevalentemente statunitense.

**I casi allo specchio/ The evidence for...**

## *L'assunzione precoce di steroidi in caso di crisi asmatica acuta*

L'attacco asmatico acuto è una frequente condizione nei dipartimenti d'emergenza (De): circa il 10-20% dei pazienti necessita di ospedalizzazione e il 10-20% di quelli rinviati al proprio domicilio ritorna entro due settimane per un nuovo attacco. Il trattamento in emergenza di questi pazienti è basato prevalentemente sulla somministrazione di beta-2-agonisti, mentre non è ancora risolto il dibattito sull'utilizzo degli steroidi.

A tal fine Rowe e coll (*) hanno condotto una revisione sistematica (Rs) che ha incluso 12 studi clinici controllati e randomizzati (863 pazienti) che arruolavano pazienti che si presentavano al De con attacco asmatico acuto e venivano - entro un'ora dall'arrivo - randomizzati al trattamento steroideo, oppure al placebo. L'end point principale era la riduzione delle ospedalizzazioni. La somministrazione di steroidi sistemici, entro un'ora dall'arrivo del paziente nel De, riduce consistentemente il numero di ospedalizzazioni: in particolare, il numero di pazienti necessario da trattare (Nnt) è 8 (limiti di confidenza al 95% da 5 a 21), ossia viene evitata un'ospedalizzazione per 8 pazienti trattati. Non sono stati documentati effetti collaterali rilevanti nel gruppo dei soggetti trattati con steroidi. Nonostante i limiti dell'analisi dei sottogruppi, quest'effetto sembra essere maggiore nei pazienti con asma severa (Nnt 5, con limiti di confidenza al 95% da 5 a 8) e in quelli che non ricevono correntemente terapia steroidea. Per il considerevole impatto sull'assistenza sanitaria, tale intervento terapeutico - semplice, economico e sicuro - dovrebbe rappresentare una priorità per tutte le organizzazioni sanitarie.

(*) Rowe BH, Spooner C, Ducharme FM, Bretzlaff JA, Bota GW. *Early emergency department treatment of acute asthma with systemic corticosteroids* (Cochrane Review). In: The Cochrane Library, Issue 2, 2000. Oxford: Update Software.

## I casi allo specchio/ The gray zone...

### *L'uso della Tac spirale per la diagnosi di embolia polmonare*

L'embolia polmonare (Ep) presenta notevoli difficoltà diagnostiche: infatti, l'esame clinico non è specifico, la scintigrafia ventilatoria-perfusoria è spesso non conclusiva e l'angiografia polmonare è invasiva, costosa, spesso non praticabile e determina complicanze cardiopolmonari nel 3-4% dei pazienti. Le potenzialità della Tac spirale, quale test non invasivo per la diagnosi di Ep, sono state suggerite dai promettenti risultati preliminari di Remy-Jardin che nel 1992 riportava una sensibilità del 100% e una specificità del 96%. Studi successivi hanno confermato questi ottimistici risultati determinando la diffusione della (costosa) indagine. Infatti, come spesso accade, l'eccessivo entusiasmo precede adeguate dimostrazioni di efficacia delle nuove tecnologie, determinandone una precoce e, spesso, inadeguata diffusione.
Recentemente due revisioni sistematiche (*) hanno suggerito che la Tac spirale non è una tecnologia diagnostica adeguatamente valutata per la diagnosi di Ep. Infatti: nessuno degli studi inclusi nelle Rs soddisfa tutti i criteri di qualità per la valutazione della sensibilità/specificità dei test diagnostici, anzi la maggior parte è gravata da importanti errori metodologici; non è possibile effettuare una stima quantitativa di sensibilità (range 53-100%) e specificità (range 81-100%) del test, a causa dell'estrema eterogeneità degli studi; la performance del test è accettabile nelle Ep dei rami centrali dell'arteria polmonare, mentre in quelle di rami segmentari e/o lobari l'indagine spesso non è conclusiva o fornisce risultati errati; la notevole,variabilità tra osservatori è uno dei suoi limiti principali: la Tac spirale sembra essere una tecnologia eccessivamente dipendente dall'osservatore.

(*) Rathbun SW, Raskob GE, Whitsett TL. *Sensitivity and specificity of helical computed tomography in the diagnosis of pulmonary embolism: a systematic review.* Ann Intern Med 2000;132:227:232. Mullins D, Becker DM, Hagspiel KD, Philbrick JT. *The role of spiral volumetric computed tomography in the diagnosis of pulmonary embolism.* Arch Intern Med 2000;160:293-298

## I casi allo specchio/ The evidence against...

### *Cancro polmonare «non a piccole cellule» e radioterapia Port*

Circa l'80% dei carcinomi polmonari è di tipo «non a piccole cellule» (Nsclc).
Se la chirurgia è il trattamento di scelta, la sopravvivenza a 5 anni nei pazienti con malattia completamente resecata non supera però il 40%. Pertanto, nel tentativo di ridurre le recidive locali e di aumentare la sopravvivenza, viene utilizzata come opzione terapeutica aggiuntiva la radioterapia adiuvante post-operatoria (Port).
Considerato che i singoli studi controllati e randomizzati (RCTs), oltre a fornire risultati contraddittori, non avevano sufficiente potenza statistica, il British medical research council cancer trials office, ha promosso una revisione sistematica (Rs) su dati da pazienti individuali, pubblicata su Lancet (1) e inserita nella Cochrane Library. In essa sono stati inclusi 9 RCTs nei quali pazienti con Nsclc (2.128) venivano randomizzati alla resezione chirurgica oppure alla resezione + Port. L'end point principale era la sopravvivenza. A un follow up mediano di 3,9 anni, nei pazienti sottoposti a Port il rischio relativo di morte è incrementato del 21%, rispetto ai pazienti sottoposti alla sola resezione chirurgica. Questo equivale a un aumento del rischio assoluto del 7% a 2 anni (limiti di confidenza al 95% dal 3 all'11%) e corrisponde a un number needed to harm di 14 (limiti di confidenza al 95% da 9 a 33%).
Ogni 14 pazienti sottoposti alla Port, rispetto alla sola resezione chirurgica, si verifica un decesso aggiuntivo. Tale aumento di mortalità è particolarmente evidente nei pazienti con stadio I/II, N0-N1, mentre per quelli in stadio III, N2 non esiste chiara evidenza di rischio. In definitiva, la Port aumenta la mortalità nei pazienti con Nsclc in stadio I e II che dovrebbero essere sottoposti solo a resezione chirurgica.

(1) Port Meta-analysis Trialists Group. *Postoperative radiotherapy in non-small cell lung cancer: systematic review and meta-analysis of individual patient data from nine randomised controlled trials.* The Lancet 1998;352:257-63.