



manager&evidence health

Technology assessment // Check su efficacia, economicità e sicurezza clinica

Tecnologie sanitarie al test

Nato per ridurre l'impiego di interventi diagnostico-terapeutici inefficaci, dannosi o troppo costosi, il Ta è anche uno strumento valido per promuovere metodologie efficaci ma poco utilizzate

di **Antonino Cartabellotta** *
e **Gianni Rossi** **

I Sistemi sanitari odierni sono posti di fronte a tre problematiche di particolare rilevanza: le mutate condizioni demografiche, le crescenti aspettative degli utenti e l'ascesa delle tecnologie sanitarie in termini di numerosità, complessità e costi. Quest'ultimo aspetto richiede una continua valutazione dell'efficacia/sicurezza, delle risorse necessarie e dell'impatto sulla qualità di vita delle tecnologie sanitarie, un'attività scientifica multidisciplinare nota come technology assessment (Ta). Nonostante il Ta miri a informare le decisioni di politica sanitaria - a livello locale, regionale, nazionale e internazionale - in Italia questo strumento, a differenza di altri Paesi, è scarsamente preso in considerazione. Inoltre, a eccezione della Commissione unica del farmaco, il cui ruolo si limita a definire la rimborsabilità dei farmaci, non esiste nel nostro Paese alcun organismo istituzionale di Ta. Grazie alla metodologia utilizzata per sintetizzare le conoscenze, il Ta - come ha recentemente rilevato Eisemberg (vedi Il Sole 24Ore Sanità-Management 4/2000, pag. 8) - rappresenta strumento essenziale dell'evidence-based health care, poiché è in grado di supportare scientificamente

Come, dove e perché

Una valutazione "integrale" delle tecnologie sanitarie che comprende le caratteristiche tecniche, la sicurezza clinica, l'efficacia in condizioni ideali e reali, l'impatto economico, gli aspetti etici, politici, sociali e medico-legali.

È il technology assessment, strumento di misurazione della validità e della sicurezza delle tecnologie sanitarie.

Poco applicato in Italia, diversamente da quanto accade in altri Paesi, il Ta è però anche uno strumento determinante dell'evidence-based health care, dal momento che riesce a supportare scientificamente vari livelli decisionali di un Sistema sanitario.

Tre i tipi di approccio da applicare nella valutazione: "technology oriented", classico; "problem oriented", focalizzato sulla gestione di un'area assistenziale che prevede l'impiego di tecnologie differenti e "project oriented", relativo all'impiego di una tecnologia a livello istituzionale.

Quasi duemila report di Ta sono archiviati sotto forma di abstract strutturato nell'health technology assessment database, una banca dati a libero accesso mantenuta dal Centre for Review & Dissemination di York.

* Gimbe - Gruppo italiano per la medicina basata sulle evidenze

** Uo di Anestesia e rianimazione, azienda Usl di Imola



vari livelli decisionali di un sistema sanitario.

Classificazione delle tecnologie sanitarie

Le tecnologie sanitarie possono essere classificate in relazione a tre aspetti: tipologia, obiettivo e stadio di sviluppo.

Tipologia

Le tecnologie sanitarie rientrano in una delle seguenti categorie:

- Dispositivi, attrezzature, presidi: pacemaker, ecografo, guanti in lattice.
 - Interventi diagnostici: test di laboratorio (glicemia, marker tumorali, test genetici) e strumentali (radiografia del torace, Pet, densitometria ossea).
 - Interventi terapeutici: farmacologici (aspirina, calcio-antagonisti, eritropoietina), non farmacologici (psicoterapia, fisioterapia), chirurgici (colecistectomia laparoscopica, endarteriectomia carotidea, impianto di protesi d'anca, pancreas artificiale).
 - Sistemi di supporto: cartelle cliniche elettroniche, telemedicina, banca del sangue, laboratorio centralizzato.
 - Modalità organizzativo-gestionali: sistema di rimborso a prestazione (Drg), modalità di erogazione delle cure (day hospital, assistenza domiciliare integrata, stroke unit), linee guida e percorsi assistenziali, programmi di total quality management.
- Obiettivo**
- Ciascuna tecnologia sanitaria può essere impiegata per migliorare uno o più tra i seguenti aspetti assistenziali.
- Prevenzione: vaccinazioni, programmi di controllo delle infezioni ospedaliere, fluorazione dell'acqua potabile.

- Screening: Pap test, mammografia, hemocult.
- Diagnosi: ecocardiografia, sierologia per la mononucleosi, indagini radiologiche, tomografia a emissione di positroni.
- Trattamento: bypass aorto-

coronarico, psicoterapia, morfina, beta-interferone.

- Riabilitazione: programmi di riabilitazione nei pazienti con stroke, dispositivi di assistenza nei disturbi del linguaggio severi, presidi per l'incontinen-

Tre approcci

Il Ta può essere condotto con tre approcci differenti che, oltre alla potenziale complementarità, possono in parte sovrapporsi.

Technology-oriented: è l'approccio classico del Ta con il fine di determinare l'impatto clinico-professionale, economico, scientifico e industriale di una tecnologia sanitaria in tutte le possibili applicazioni cliniche.

Problem-oriented: il Ta si focalizza sulla gestione di un'area assistenziale che prevede l'impiego di tecnologie differenti, sia complementari, sia alternative. A esempio, nella diagnosi della malattia di Alzheimer è necessario definire standard clinico-assistenziali che prevedono la combinazione di esame neurologico, tomografia assiale computerizza-

ta, risonanza magnetica nucleare e tomografia a emissione di positroni. In altre parole, l'approccio problem-oriented esamina l'impatto di tecnologie differenti nella stessa condizione assistenziale.

Project-oriented: riguarda l'impiego di una tecnologia a livello istituzionale, per cui le valutazioni technology e problem-oriented devono essere integrate con la realtà locale nei suoi aspetti economici, professionali e sociali. A esempio, un'Ao nel decidere se acquistare una Tac spirale deve prendere in considerazione: personale e risorse necessarie per l'installazione, il funzionamento e la manutenzione della tecnologia, status patrimoniale, potenziali utenti, fattori competitivi ecc.

L'apporto del Ta all'evidence-based health care

LIVELLO DECISIONALE	RUOLO DEL TECHNOLOGY ASSESSMENT
Agenzie regolatorie	Consentire l'immissione sul mercato di un farmaco o di altra tecnologia sanitaria
Finanziatori pubblici e privati	Determinare quali tecnologie includere nei "piani di salute", nelle coperture assicurative, nelle policy di rimborso, nei livelli essenziali di assistenza
Istituzioni di ricerca	Definire le priorità nei programmi di ricerca e sviluppo
Medici e pazienti	Informare, previa definizione di linee guida, sui reali benefici delle tecnologie sanitarie in particolari condizioni cliniche
Organizzazioni sanitarie	Valutare l'opportunità di acquisto e le modalità di gestione delle tecnologie sanitarie
Organismi centrali	Integrare nelle policy nazionali tecnologie a elevato impatto sulla salute pubblica: screening, vaccinazioni, programmi di protezione ambientale
Industria	Definire le opportunità di sviluppo e marketing delle tecnologie sanitarie



za urinaria.

Ovviamente, non tutte le tecnologie rientrano in singole categorie: infatti, numerosi test di laboratorio e strumentali possono essere impiegati sia per lo screening, sia per la diagnosi; inoltre, una stessa tecnologia può avere applicazioni diagnostico-terapeutiche (a esempio, nel corso di una colonscopia è possibile effettuare una polipectomia endoscopica).

Stadio di sviluppo

Le tecnologie sanitarie possono essere valutate in fasi differenti di "maturazione" e diffusione.

- **Futuribile:** dallo stadio concettuale sino alle fasi precoci dello sviluppo.

- **Sperimentale preliminare:** valutazione in vitro e/o su animali da laboratorio.

- **Sperimentale clinica:** valutazione, sull'uomo, della potenziale efficacia clinica.

- **Efficacia definita:** la tecnologia è considerata l'approccio standard per la gestione di una determinata condizione clinica.

- **Obsolescenza:** la tecnologia è stata abbandonata (sostituita da nuove tecnologie e/o in seguito a evidenze di inefficacia o rischio).

I diversi stadi non sono perfettamente delineati e, spesso, le tecnologie non maturano attraverso una sequenza lineare. A esempio, una tecnologia può essere di documentata efficacia per alcune condizioni cliniche e sperimentale per altre; analogamente una tecnologia già consegnata alla storia della medicina può rientrare sul mercato per applicazioni diverse.

Da questo punto di vista, un problema rilevante per i siste-

Errori di valutazione

Ecco la lista delle tecnologie sanitarie precocemente introdotte nella pratica clinica, per poi essere spesso abbandonate per evidenze di inefficacia o rischio:

- lobectomia temporale nell'epilessia
- dietilstilbestrolo per migliorare gli esiti della gravidanza
- monitoraggio elettronico fetale durante il parto
- episiotomia di routine
- bypass extra-intracranico per la prevenzione dello stroke ischemico
- "bolla" gastrica artificiale nei soggetti con obesità severa
- "congelamento" dello stomaco nei pazienti con ulcera peptica

mi sanitari è la precoce diffusione d'interventi diagnostico-terapeutici in uno stadio preliminare di valutazione, senza adeguate evidenze di efficacia/rischio. In fasi successive, queste tecnologie vengono spesso abbandonate perché rigorose valutazioni ne dimostrano l'inutilità e/o rischi per i pazienti.

D'altra parte, se il Ta nasce per ridurre l'utilizzo di tecnologie inefficaci, dannose o troppo costose in relazione ai benefici, la progressiva maturazione dei concetti di efficacia e appropriatezza lo rendono strumento di riferimento anche per identificare e promuovere tecnologie di efficacia documentata, ma poco utilizzate per varie ragioni, spesso concomitanti:

- inadeguata disseminazione dell'informazione scientifica;
- mancato rimborso/copertura da parte dei Sistemi sa-

- idralazina nello scompenso cardiaco

- legatura dell'arteria mammaria interna nella malattia coronarica

- chinidina per ridurre le recidive nella fibrillazione atriale parossistica

- plasmateresi nella nefropatia lupica

- talidomide per la sedazione di donne gravide

- ibopamina e altri cardiocinetici nello scompenso cardiaco

- lidocaina e altri antiaritmici nel post-infarto

- anastomosi porta-cava nell'emorragia da varici esofagee;

- corticosteroidi nello shock settico.

nitari;

- insufficiente disponibilità (trapianti d'organo);

- stime distorte sul rischio di trattamenti efficaci (trattamento del dolore neoplastico, anti-coagulanti nella fibrillazione atriale);

- compliance potenzialmente bassa (polifarmacoterapia nell'Hiv/Aids);

- conflitti professionali;

- inerzia clinica;

- distorsione della percezione sociale;

- paura di essere "etichettati" (depressione).

Caratteristiche e impatto delle tecnologie sanitarie

Il Ta è valutazione "integrale" delle tecnologie sanitarie che comprende le caratteristiche tecniche, la sicurezza clinica, l'efficacia (in condizioni ideali e reali), l'impatto economico, gli aspetti etici, sociali, politici e medico-legali.



Caratteristiche tecniche

Includono performance tecnica, conformità con standard specifici (Iso 9000), composizione, modalità di produzione, grado di tolleranza, affidabilità, facilità d'utilizzo, norme di manutenzione ecc.

A questo proposito, uno dei maggiori elementi di "confusione" è identificare la precisione tecnica - a esempio di una metodica di imaging - con la sua efficacia clinica: se il margine di errore tecnico può essere infinitesimale, quello diagnostico può risultare molto elevato, a causa dell'imprevedibile variabilità degli organismi biologici e delle relazioni (non di tipo causa-effetto) tra malattia, danno anatomico e imaging. Analogamente, il principio fisiopatologico di un farmaco costituisce solo uno dei presupposti per la pianificazione di una sperimentazione clinica, ma non rappresenta elemento sufficiente per giudicare la sua efficacia terapeutica.

Sicurezza clinica

È una stima dell'accettabilità del rischio (probabilità di eventi avversi e loro severità) associato con l'uso di una tecnologia in certi pazienti, a un certo livello di training e/o in specifici setting assistenziali.

A esempio, evidenze di buona qualità documentano, nei pazienti con infarto del miocardio, una maggiore efficacia dell'angioplastica primaria rispetto alla terapia trombolitica. Tuttavia, l'utilizzo routinario di questa tecnologia è accettabile solo nelle istituzioni dove il livello di training degli operatori è molto elevato; in altre condizioni i benefici vengono annullati dai rischi indotti dalla procedura interventistica. Per tali ragioni, la maggior parte

Tecnologie da promuovere

Queste le tecnologie sanitarie di documentata efficacia ma spesso sottoutilizzate per ragioni concomitanti:

- *Ace-inibitori nello scompenso cardiaco*
- *Ace-inibitori nel diabete insulino-dipendente per prevenire il deterioramento della funzione renale*
- *beta-bloccanti cardioselettivi nello scompenso cardiaco*
- *eradicazione dell'Helicobacter pylori nell'ulcera peptica*
- *beta-bloccanti nel post-infarto*
- *statine nella profilassi secondaria della cardiopatia ischemica*
- *impianto cocleare nella sordità severa*
- *screening per il carcinoma colon-rettale*
- *corticosteroidi per via inalatoria nell'asma*

toria nell'asma

- *corticosteroidi nelle gravide a rischio di parto pretermine*
- *diagnosi e trattamento della depressione*
- *screening della retinopatia diabetica*
- *vaccinazione per l'epatite B nei bambini*
- *diagnosi e trattamento dell'incontinenza urinaria*
- *reidratazione orale nei bambini disidratati*
- *eparine a basso peso molecolare per la prevenzione della malattia tromboembolica in soggetti a rischio*
- *trapianti d'organo*
- *adeguata terapia del dolore (in particolare nel paziente neoplastico)*
- *polifarmacoterapia con inibitori della proteasi nell'Hiv/Aids*
- *vaccinazione pneumococcica nei pazienti a rischio.*

delle linee guida internazionali raccomanda la trombolisi come intervento di prima scelta e limita l'angioplastica primaria solo ai centri con operatori particolarmente esperti.

Efficacia in condizioni ideali (efficacy) e reali (effectiveness)

Gli anglosassoni tendono, giustamente, a mantenere distinti due termini che nella nostra lingua assumono unitariamente il significato di "efficacia", intesa come l'entità e la precisione degli effetti che una tecnologia sanitaria determina sulla salute. L'opportunità di mantenere separato il concetto di efficacy da quello di effectiveness deriva dal fatto che una tecnologia che funziona in condizioni ideali, e/o in pazienti accuratamente selezionati, e/o in setting altamente specia-

lizzati, e/o sotto la supervisione dei produttori, non sempre funziona in condizioni assistenziali reali.

L'efficacia di una tecnologia viene misurata in relazione alla sua capacità - documentata da adeguate evidenze epidemiologiche - di modificare gli esiti assistenziali (health outcomes) che, secondo Epstein, possono essere classificati in tre categorie - clinici, economici e umanistici - ciascuna delle quali deve essere presa in considerazione in un'ottica integrata dell'assistenza sanitaria. Idealmente, l'impiego di una tecnologia sanitaria dovrebbe migliorare gli esiti in tutte le categorie, ma questa condizione riguarda un numero molto limitato di interventi diagnostico-terapeuti-



ci. A esempio, nei pazienti con scompenso cardiaco di grado lieve-moderato i betabloccanti cardioselettivi riducono la mortalità (esito clinico), il numero delle ospedalizzazioni (esito economico), e migliorano la qualità di vita dei pazienti (esito umanistico).

Nella maggior parte dei casi, invece, le tecnologie hanno effetti diversi sulle tre categorie di esiti: a esempio, numerosi regimi di chemioterapia possono determinare un considerevole miglioramento di esiti clinici (riduzione della mortalità e/o delle recidive di neoplasia), ma - oltre a impegnare un considerevole uso di risorse - la qualità di vita dei pazienti trattati è spesso inferiore a quella dei non trattati.

Impatto economico

L'impiego di tecnologie sanitarie può avere un impatto sia micro, sia macroeconomico. Il primo riguarda gli aspetti economici legati alla tecnologia individuale e le relazioni tra risorse impegnate e "guadagno" ottenuto in termini di salute: le analisi di costo/efficacia, costo/utilità e costo/beneficio, integrate nei report di Ta, possono fornire a riguardo adeguate evidenze.

L'impatto macroeconomico valuta, invece, gli effetti della tecnologia sul Fondo sanitario nazionale, sull'allocazione delle risorse tra differenti programmi per il miglioramento della salute, sulle policy di tipo regolatorio (esenzioni, note Cuf), sulle riforme sanitarie relative alle innovazioni tecnologiche. Ovviamente, se per l'impatto microeconomico i report internazionali di Ta possono fornire utili indicazioni, l'assenza in Italia di un'organizzazione istituzionale di Ta

rende molto difficile valutare l'impatto macroeconomico, che dipende dalle peculiarità e dalle normative vigenti nel nostro Paese.

Aspetti etici, sociali, politici, medico-legali

Numerose tecnologie sanitarie - test genetici, fecondazione assistita, "pillola del giorno dopo", trapianti d'organo, sistemi di supporto alla vita in condizioni estreme - sollevano problematiche etiche non indifferenti, generando aspri dibattiti sociali e politici.

Una valutazione multidisciplinare della tecnologia sanitaria - quale un report ufficiale di Ta - può rappresentare la base scientifica di tali dibattiti - anche ai fini di una tutela medico-legale dei professionisti - specie per le tecnologie mol-

to costose, dall'efficacia dubbia, o non accessibili dai cittadini in maniera equa.

L'attività internazionale di technology assessment

Esistono numerose agenzie internazionali che svolgono attività di Ta, in maniera indipendente o sotto l'egida dell'International network of agencies for health technology assessment (Inahta), che dal 1993 coordina l'attività internazionale di Ta.

Tutte le agenzie che aderiscono all'Inahta - ben 34, con sede in Europa, Usa, Canada, Australia, Nuova Zelanda - sono organizzazioni no-profit connesse con istituzioni regionali o nazionali e finanziate per almeno il 50% con fondi istituzionali. ●

I due significati del termine "efficacia"

	Efficacy	Effectiveness
Popolazione	Omogenea	Eterogenea
Pazienti	Esclusi quelli "complessi" (patologie multiple, polifarmacia ecc.)	Sono tutti inclusi
Procedura	Standardizzata	Spesso variabile
Condizioni	Ideali	Pratica assistenziale quotidiana
Operatori sanitari	Con particolare esperienza	Tutti

Categorie di esiti assistenziali

Clinici
Mortalità (totale o causa-specifica) Eventi clinici (infarto del miocardio, stroke, fratture osteoporotiche) Misure fisiologico-metaboliche (colesterolemia, pressione arteriosa, densità ossea)
Economici
Costi diretti (ricoveri, visite ambulatoriali, test diagnostici, farmaci, altri trattamenti) Costi indiretti (giornate lavorative perse, restrizione dell'attività quotidiana) Intangibili (grado di sofferenza, stress psicologici, "effetto etichetta")
Umanistici
Sintomi (Aua symptoms score) Qualità di vita (questionario SF-36, Nottingham Health Profile) Stato funzionale (Karnofsky) Soddisfazione del paziente (Group Health Association of America Survey)