



Agenzia sanitaria e sociale regionale

L'appropriatezza d'uso dei farmaci specialistici nell'ambito dell'innovazione

Susanna Trombetti
Area Governo clinico

1: appropriatezza

Introdotta nell'uso corrente in sanità alla fine degli anni '90

Piano Sanitario 1998-2000 e Dlgs 229/99  LEA
appropriati per:

- le specifiche esigenze di salute del cittadino
- le modalità di erogazione delle prestazioni

Il termine si è consolidato nell'uso per definire un attributo della **qualità delle cure**, secondo 2 dimensioni:

▪ clinica

è riferita al ruolo decisionale del clinico, che deve coniugare le evidenze di "**efficacia nella pratica**" (effectiveness) di un intervento con le caratteristiche e le preferenze dei **pazienti** (es: uso vs non uso; uso corretto vs uso scorretto)

▪ organizzativa

è riferita al **migliore uso possibile delle risorse** nell'erogazione dei servizi e delle procedure (prestazioni, farmaci, devices) al fine di ottimizzare il **rapporto costo-beneficio**, in termini di salute e di spesa (es: dayH/surg vs RO; tempestività di erogazione dei servizi)





1: appropriatezza

In sintesi:

PER IL PROFESSIONISTA

- l'appropriatezza è risultante del delicato equilibrio tra autonomia e responsabilità nella gestione dei problemi complessi (innovazione)

PER IL SERVIZIO SANITARIO

- "l'appropriatezza della prestazione sanitaria in quanto tale non è disgiunta e delle modalità con le quali è resa nel contesto strutturale e organizzativo in cui è inserita"

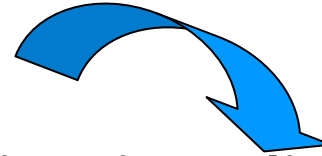
mod, da Balduzzi. FSK: Rapporto sanità 2004, ed. il Mulino

PER IL GOVERNO CLINICO (livello MESO:regionale/aziendale)

- i criteri di appropriatezza richiedono una condivisione preliminare ed un monitoraggio della loro applicazione

2: innovazione

In campo tecnologico



NUOVO non è sinonimo di **INNOVATIVO**

Spesso nuova tecnologia (**farmaco, device, protesi, strumentazione diagnostica...**) arriva sul mercato:

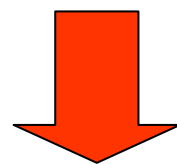
1. con una valutazione incompleta del profilo rischio/beneficio (efficacia e sicurezza)
2. con una collocazione non chiara rispetto alla tecnologia precedente (additiva vs. sostitutiva)
3. senza una valutazione degli effetti sulla pratica clinica e sull'organizzazione dei servizi (valutazione d'impatto/analisi costo-efficacia)



2: innovazione

tecnologia di **nuova introduzione** nel mercato, in grado di determinare il **miglioramento** di un processo attraverso il raggiungimento di un (*potenziale?*) **beneficio** per gli utilizzatori ed un impatto tangibile a livello di società

Dalla ricerca sperimentale



alla ricerca di trasferimento
e di governo dell'innovazione





VALUTAZIONE della nuova tecnologia

- **HTA** (Health Technology Assessment): metodologia a **carattere retrospettivo**, analisi delle evidenze scientifiche su dati di efficacia/sicurezza e dati di costo
- **Ricerca "di trasferimento"**: finalizzata a produrre precocemente informazioni sugli **effetti dell'impatto** dell'introduzione della nuova tecnologia

Innovazione (farmacologica)

- per la salute pubblica, rappresenta un **obiettivo importante** al fine del miglioramento di qualità dei servizi
- interessa tutti gli **stakeholders** ma con aspettative ed obiettivi diversi



- spesso arriva sul mercato ancora incompleta quanto a informazioni sull'effettivo profilo di **costo-efficacia**
- necessita di **valutazione ex ante** e **monitoraggio ex post**





Innovazione (farmacologica)

Il valore attribuito ad un farmaco “innovativo” non deve essere considerato un attributo fisso, bensì da valutare in base a:

- possibilità di migliorare la qualità della gestione del paziente ed i suoi esiti di salute (outcome primari)
- carenza di validi trattamenti pre-esistenti, eventualmente in sottogruppi di pazienti (per controindicazioni o resistenza alla terapia)
- elevato effetto terapeutico

Innovazione vs utilità (usefulness)



Table 1 Classes of innovation in order of probability of clinical usefulness

Class of innovation	Likely form of innovation	Examples	
		Successful	Failed
To treat a condition with no existing effective treatment	New target or novel pharmacological mechanism	Sildenafil for erectile impotence	Interferon beta for multiple sclerosis*
To improve treatment of a condition that does not have a consistently satisfactory treatment	New target or novel pharmacological mechanism	Proton pump inhibitors for peptic ulcer disease	Mibefradil for angina pectoris
To make treatment safer	New target or novel pharmacological mechanism	Rifampicin (in place of streptomycin)	Ximelagatran as an anticoagulant
	More selective action	COX 2 inhibitors (gastrointestinal adverse effects)	COX 2 inhibitors (myocardial infarction)
	Pharmacological or pharmaceutical changes that allow the drug to reach the site of therapeutic action but not the site of the adverse effect	Non-sedating histamine H ₁ receptor antagonists	Indometacin
To make treatment more convenient	Pharmaceutical reformulation	Depot intramuscular phenothiazines	Intranasal insulin*

*Failed because of **inefficacy or cost ineffectiveness**.
Failed because of **adverse effects or interactions**.

Appropriatezza d'uso dei farmaci innovativi

SU COSA LAVORARE:

- indicazioni cliniche condivise
- definizione dei percorsi diagnostico-terapeutici e assistenziali
- requisiti e competenze necessarie alla gestione dei farmaci
- network multiprofessionali e multidisciplinari
- database clinici per il monitoraggio



Le raccomandazioni per i farmaci innovativi

Strumenti decisionali per :

- ridurre i margini di **inappropriatezza prescrittiva**, favorire l'**omogeneità** di comportamento clinico, facilitare l'**integrazione tra clinici e medici di organizzazione** per la scelta dei modelli organizzativi e dei percorsi di monitoraggio (indicatori, audit)
- facilitare la **collaborazione** tra servizi regionali, aziende sanitarie e professionisti nell'assunzione di decisioni rilevanti per l'**assistenza e l'allocazione delle risorse**

