

Il significato di un titolo: Global & Regional Health Technology Assessment

Un modo semplice di intendere il significato di *Health Technology Assessment (HTA)* è quello di pensare a tale termine come all'insieme delle discipline che possono concorrere, ciascuna con le sue specificità, alla valutazione degli strumenti utilizzabili per la prevenzione e la cura delle patologie di cui soffre la specie umana e della successiva riabilitazione, ove necessaria. Fino ai primi decenni del secolo scorso tali strumenti non avevano subito profonde trasformazioni nel tempo; ma da allora essi hanno cominciato a evolvere sempre più rapidamente grazie ai continui progressi delle conoscenze di base sul funzionamento dell'organismo e sulle sue interazioni con l'ambiente - conoscenze che l'industria produttrice è stata, ed è, in grado di mettere a frutto attraverso l'innovazione. Con sempre maggiore frequenza nuove tecnologie si rendono disponibili e i produttori chiedono che esse vengano utilizzate in quanto migliori, cioè più efficaci, di quelle già in uso. È innanzitutto in questo momento che occorre valutare lo strumento e quali benefici esso può arrecare a chi è affetto dalla malattia che con quello si ritiene di poter curare. In altre parole occorre capire se la nuova tecnologia oltre che nuova è anche innovativa, cioè migliore di quelle esistenti.

Il mercato imperfetto delle tecnologie sanitarie

Fino a questo punto, cioè fino al momento in cui la nuova tecnologia si presenta e chiede di essere utilizzata, il processo di generazione di nuovi beni nel campo della tutela della salute non è molto diverso da quello di generazione delle novità in altri settori ad alto tasso di ricerca. Il processo che ha generato la novità si è avvalso dell'apporto di risorse umane e conoscenze scientifiche che hanno interagito grazie al supporto di capitali finanziari e organizzazione industriale. Tuttavia esiste una sostanziale differenza tra una nuova tecnologia sanitaria e, a titolo di esempio, un nuovo tipo di propulsione a motore, entrambi frutto di ricerca applicata e sperimentazione industriale; la differenza risiede nelle possibilità che hanno gli utilizzatori finali di tali beni di valutarli e di acquistarli.

Il mondo delle tecnologie sanitarie è un mondo particolare, non assimilabile a un mercato nel senso classico del termine. Secondo la teoria economica classica, in un regime di mercato concorrenziale opera il principio di efficienza che guida il comportamento dei singoli in modo che pur perseguendo ciascuno i propri interessi viene comunque raggiunto in modo automatico, tramite il sistema dei prezzi, un obiettivo di interesse pubblico, e cioè una situazione di allocazione efficiente delle risorse. È oggi evidente che queste situazioni sono in generale assai rare; quale più quale meno vari settori economici si discostano da situazioni di concorrenza perfetta, e non sono in grado di raggiungere quella situazione di efficienza nella quale si verifica l'uguaglianza tra costo marginale e beneficio marginale per tutti gli attori del mercato. Si parla allora di "fallimento del mercato" e il settore dei beni per la tutela della salute ne è un esempio riconosciuto. Vediamo rapidamente i due principali perché.

Si parla di ignoranza del consumatore, o più correttamente, di asimmetria delle informazioni tra paziente, che non ha le informazioni per effettuare scelte razionali, e medico, che sceglie per lui. In estrema sintesi, nell'ipotesi scolastica che sia il paziente (che non è in grado di giudicare e comparare prezzo e qualità dei beni offerti) a sostenere il costo delle prestazioni, il produttore può portare il prezzo al di sopra del livello di equilibrio senza con ciò subire la sanzione da parte del mercato, come avverrebbe invece in un sistema competitivo. È bensì vero che nella stragrande maggioranza dei casi non è il paziente a sopportare il costo di acquisto della nuova tecnologia. Nei sistemi sanitari moderni è infatti una terza entità - mutue, assicurazioni private, servizi sanitari pubblici - che sostiene tutto o buona parte dell'onere finanziario dell'acquisto. L'onere della copertura del rischio di malattia è trasferito dal singolo a un terzo pagante, identificabile spesso - come in Italia - nella collettività. Ma proprio la presenza di un terzo pagante è la seconda importante causa di fallimento del mercato, perché se il costo è a carico di un terzo, il paziente e chi sceglie per lui non hanno un particolare interesse a minimizzare il costo del trattamento né a preoccuparsi per le quantità delle prestazioni richieste. Ciò può portare a domandare e consumare quantità superiori di beni e servizi, compromettendo l'equilibrio tipico di un mercato concorrenziale nel quale l'acquisto avviene quando il valore attribuito al beneficio atteso è almeno pari al costo richiesto. Peraltro, pur in situazioni di mercato imperfetto, quale è quello dei beni e servizi per la salute, esiste concorrenza tra i produttori: ma essa non si basa sui prezzi bensì sull'innovazione. D'altra parte, gli alti investimenti in ricerca e sviluppo necessari per mantenere elevato il contenuto innovativo di prodotti e servizi possono generare barriere all'entrata di nuovi produttori consentendo in realtà la formazione e il mantenimento di forme di oligopolio se non di monopolio.

Il ruolo degli organismi regolatori

Un mercato imperfetto, cioè privo di meccanismi che svolgano il ruolo di equilibratori tra domanda e offerta, è il motivo dell'elevato livello di regolazione cui è soggetto il settore dei beni sanitari, e del farmaceutico in particolare. Infatti, sia dal lato della domanda che da quello dell'offerta esistono leggi e norme amministrative il cui scopo è di controllare la politica delle imprese e più in generale orientare l'attività di chi - oltre ai produttori - opera in sanità (medici, farmacisti, personale di ospedali, di aziende sanitarie locali, delle amministrazioni regionali e centrali etc.). Ciò consente all'Operatore Pubblico di svolgere un ruolo cruciale nel complesso iter che - attraverso numerose tappe, ciascuna delle quali comporta delle decisioni - consente a una nuova tecnologia di raggiungere il decisore finale, cioè il clinico che si trova al letto del paziente. Una breve e sintetica esemplificazione, riferita a una nuova tecnologia farmacologica, consente di rendersi conto di ciò. Il produttore che abbia sviluppato la nuova tecnologia, dopo averla sperimentata - rispettando protocolli e procedure - sull'uomo con esito ritenuto

favorevole, prima di poterla immettere sul mercato deve richiedere l'autorizzazione alla Agenzia Regolatoria Europea (EMA), che ne valuta sicurezza d'uso ed efficacia e, in caso di esito favorevole, ne autorizza l'immissione in commercio. Il produttore deve poi negoziare in via amministrativa il prezzo di vendita con l'Agenzia regolatoria italiana (AIFA), che determina se la fruizione della tecnologia in discorso è a carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN). Il produttore potrebbe poi dovere affrontare ulteriori negoziazioni/procedure con le Amministrazioni Regionali e le Aziende Sanitarie Locali. Solo a questo punto il clinico al letto del paziente potrà prescrivere la nuova tecnologia. L'Operatore Pubblico è quindi potenzialmente in grado di controllare l'offerta generale - i "listini" dei produttori - ed è anche il principale finanziatore della domanda. L'obiettivo che l'Operatore Pubblico - inteso sia come regolatore che come erogatore/finanziatore di prestazione - deve realizzare è quello di fare sì che il SSN migliori l'efficienza allocativa delle risorse - finanziarie, di personale, organizzative etc. - che gli sono state assegnate dalla collettività, tramite le decisioni del Parlamento. In altre parole, che il SSN produca la maggior quantità di salute ottenibile impiegando le risorse di cui dispone.

Un compito immane che i responsabili del SSN devono cercare di realizzare attraverso le tante decisioni quotidianamente prese nelle varie sedi - dal letto del paziente alla Farmacia Ospedaliera alle Commissioni di AIFA. Ma anche un compito che richiede che ogni decisione sia basata sulle migliori informazioni e conoscenze disponibili circa i risultati, in termini di salute, che possono essere raggiunti impiegando in modo corretto le tecnologie sanitarie - in particolare, ma non solo, quelle nuove. Un compito al cui raggiungimento contribuiscono anche altri attori, oltre ai produttori delle nuove tecnologie e ai vari decisori del SSN. Questi altri attori sono tutti i produttori di conoscenze e di informazioni rilevanti al fine di valutare il contenuto innovativo e la compatibilità economica delle nuove tecnologie. Senza pretesa di esaurire l'elenco e senza ordine di importanza si possono citare gli esperti accademici che operano nei Dipartimenti Universitari - clinici, epidemiologi, statistici, economisti, aziendalisti, esperti di organizzazione, di ingegneria e di etica etc. - le Associazioni Scientifiche, le Organizzazioni di pazienti, i Centri di Ricerca pubblici e privati e altro ancora. I decisori, se vogliono che le loro decisioni siano in grado di migliorare l'efficienza allocativa del sistema, devono poter disporre di una grande quantità di conoscenze, un patrimonio informativo alla cui formazione possono contribuire tutti gli attori sopra ricordati; molti dei quali sono anche degli stakeholder, cioè effettivamente portatori/detentori di interessi rispetto a quelle decisioni stesse.

Il significato di un titolo: Global & Regional Health Technology Assessment

Val pena ricordare che gli interessi di cui i vari attori sono portatori non sempre sono coincidenti e soprattutto sono di diverso peso. E se l'Operatore Pubblico svolge un ruolo riconosciuto istituzionalmente gli altri attori possono interagire con il decisore fornendogli conoscenze e informazioni rilevanti, al fine di influire sull'iter delle stesse procedure decisorie. Questo confronto genera nel tempo un notevole accumulo di conoscenze in vari campi, grazie agli studi promossi nell'ambito di singole discipline, in particolare medicina, epidemiologia ed economia. In medicina, grazie allo sviluppo di metodologie basate sulla documentazione statistica dei risultati, gli studi clinici costituiscono oggi la condi-

zione necessaria, anche se non sufficiente, a una decisione sulla immissione in commercio di una nuova tecnologia farmacologica. Non sufficiente in quanto occorrono anche evidenze circa la convenienza economica e la sostenibilità finanziaria della sua somministrazione a carico del SSN. A soddisfare questa seconda necessità provvedono le valutazioni farmaco-economiche che, grazie allo sviluppo di idonee metodologie e all'utilizzo di modelli di simulazione, forniscono conoscenze sulla convenienza (*cost-effectiveness*) e, grazie al contributo degli studi epidemiologici, anche sulla sostenibilità (*budget impact*) della tecnologia in esame, quantomeno *ex ante*, cioè nelle previsioni della sua fase iniziale di utilizzo. In Italia non sono invece ancora disponibili le informazioni necessarie per delle valutazioni *ex post*, cioè dopo alcuni anni di utilizzo; si tratta di valutazioni che richiedono la disponibilità di dati *real life*, cioè derivati dalla osservazione della pratica clinica, grazie alla creazione e gestione di idonei contenitori (*database*) dedicati al monitoraggio di quanto avviene nella realtà delle cure. Nonostante questo limite, cui si sta cercando di porre rimedio, è stato accumulato un ingente patrimonio di conoscenze, disponibile a livello ormai internazionale per chi fa ricerca applicata finalizzata alla valutazione delle nuove tecnologie sanitarie.

Si tratta di una ricerca purtroppo ancora caratterizzata da una forte settorialità disciplinare, in un ambito che dovrebbe invece essere caratterizzato dalla interdisciplinarietà dei contributi e soprattutto dalla loro integrazione; dando così luogo a una ricerca finalizzata al raggiungimento della sintesi dei risultati prodotti da discipline diverse al fine di mettere i decisori davvero in grado di fare il loro mestiere. La capacità di trovare sintesi equilibrate e complete dei vari contributi di ricerca dovrebbe appunto essere l'elemento caratterizzante dell'HTA: una nuova disciplina formata da altre discipline, una disciplina relativamente ancora agli inizi, che riuscirà a dimostrare il suo valore nella misura in cui riuscirà a mettere a punto le necessarie metodologie per portare a unità le conoscenze esistenti mettendole a disposizione di coloro che operano come decisori nei vari livelli e contesti del SSN.

L'attuale situazione di crisi economico-finanziaria in cui da anni si trova il nostro Paese, potrebbe, paradossalmente, dare impulso agli studi di HTA. I vincoli sui conti pubblici hanno determinato la sostanziale stasi della spesa sanitaria pubblica, che ha smesso di crescere (creando condizioni di reale scarsità di risorse) anche per l'impossibilità di finanziare nuove tecnologie in assenza di chiare dimostrazioni della loro efficacia, convenienza economica e sostenibilità finanziaria. Sotto questo aspetto, l'HTA sarebbe uno dei pochi strumenti in grado di migliorare la *performance* del nostro sistema sanitario, anche grazie a decisioni oculate di disinvestimento.

Operare per offrire un terreno di confronto, anche metodologico, a coloro che fanno ricerca in questo campo - ivi compresi i Centri di ricerca del SSN, a livello centrale (come Agenas) e territoriale - e per mettere a disposizione dei decisori le migliori evidenze scientifiche, consentendo ai vari stakeholder di contribuire in modo trasparente al processo decisorio. Questi sono gli obiettivi originali rispetto al panorama letterario esistente che intende perseguire GRHTA (*Global & Regional Health Technology Assessment*), la nostra nuova iniziativa editoriale che inizia con questo numero il suo cammino e invita tutti gli interessati a contribuire al loro raggiungimento.

Carlo Lucioni
Editor in Chief

