

## 2014 MAGGIO - COSTI DELLE CURE: CHI DEVE PREOCCUPARSENE?

*Nell'ambito di sistemi sanitari caratterizzati da risorse finite, i benefici di una terapia per il singolo e per la società non dipendono soltanto dall'efficacia clinica e dalla sicurezza della cura proposta nel caso specifico, ma anche dalla sua sostenibilità economica. Chi deve occuparsi di stabilire se il costo di un test diagnostico o di un farmaco è adeguato ed eticamente accettabile? I medici possono continuare a recepire passivamente tagli di spesa e limitazioni prescrittive o devono iniziare a preoccuparsi attivamente del prezzo delle terapie, oltre che degli aspetti propriamente clinici?*

Meglio vendere la vacca per curare il figlio malato e togliere sostentamento all'intera famiglia o rinunciare alla terapia del singolo per il bene di molti? Soltanto un secolo fa, scelte di questo tipo non erano infrequenti nelle classi meno agiate e, forse, rese soltanto un po' meno gravose dalla consapevolezza che la medicina aveva possibilità molto limitate di modificare il decorso delle malattie più severe. Oggi che le armi a disposizione dei clinici si sono moltiplicate esponenzialmente e che il diritto di tutti a tutelare la propria salute è giustamente ritenuto inalienabile, ragionare di costi delle terapie e dell'eventualità di evitarle in taluni casi sulla base di ragionamenti di ordine più farmacoeconomico che clinico appare a molti eticamente inaccettabile. Ma è proprio così? O è vero il contrario? Dopo alcuni decenni di apparente prosperità, nei quali sembrava realmente possibile "dare tutto a tutti", oggi ci si trova di fronte all'evidenza che un sistema con risorse finite (e non particolarmente floride) non può rispondere a lungo termine alle crescenti richieste di salute della popolazione. A meno che queste richieste e la spesa per soddisfarle non siano analizzate e organizzate in modo razionale, sulla base di una disincantata valutazione, non soltanto dei benefici e dei rischi associati alle terapie, ma anche del prezzo che la società e/o il singolo devono pagare per ottenerle. Chi deve occuparsi di questa analisi e fornire linee di indirizzo per effettuare scelte cliniche costo-efficienti e sostenibili? Un organismo nazionale indipendente? Le società scientifiche delle diverse aree cliniche? Il singolo medico di fronte al paziente specifico? A porsi queste domande, richiamando l'attenzione dei professionisti sanitari e dell'opinione pubblica su un tema ampiamente (e forse anche volutamente) trascurato, è il recente articolo di Andrew Pollack "*Cost of treatment may influence doctors*" apparso sul *New York Times* (Pollack A. NYT, 17 aprile 2014).

### **I benefici delle terapie sono anche una questione di prezzo**

Nonostante sia ormai chiaro, al di là come al di qua dell'Oceano e indipendentemente dall'impostazione del sistema sanitario, che i costi delle terapie di nuova generazione siano nella maggior parte dei casi del tutto insostenibili, molti medici continuano a ritenere che le considerazioni di carattere economico esulino dai loro compiti. Compiti che, a loro avviso, sono e devono rimanere essenzialmente clinici e portare a offrire a ogni paziente l'intervento terapeutico più vantaggioso nel singolo caso. Ma che cos'è realmente "vantaggioso per il paziente" quando offrire molto (troppo) a uno implica necessariamente sottrarre molto (troppo) ad altri, depositari di un identico diritto di cura?

Anche a livello di singolo cittadino, poi, per valutare gli effettivi benefici derivanti da una terapia molto costosa bisogna considerare anche l'impatto economico della cura sul bilancio familiare, qualora non sia completamente rimborsata dallo Stato o da altre forme previdenziali. Già nel 2009, uno studio della Harvard Medical School (Himmelstein DU et al. Medical bankruptcy in the United States, 2007: results of a national study. *Am J Med*, 2009; 122(8):741-46) allertava rispetto alle severe ripercussioni della spesa sanitaria sui cittadini americani sempre meno tutelati da coperture assicurative adeguate, anche quando dotati di polizze fornite dal datore di lavoro, e dei sempre più frequenti casi di vera e

propria bancarotta per malattia (62% dei casi totali di bancarotta familiare nel 2007) o di spontanea rinuncia alle cure più onerose.

La situazione non è certo migliorata negli ultimi anni, come dimostrano, tra gli altri, uno studio condotto tra i pazienti oncologici residenti nello Stato di Washington, esposti a un rischio di bancarotta 2,65 volte superiore rispetto a chi era privo di neoplasie (Ramsey S et al. Washington State cancer patients found to be at greater risk for bankruptcy than people without a cancer diagnosis. *Health Aff (Millwood)*, 2013; 32(6):1143-52), e un'analisi canadese che ha rilevato un contributo significativo delle spese mediche nei casi di bancarotta registrati annualmente nel Paese (Himmelstein DU et al. Health issues and health care expenses in Canadian bankruptcies and insolvencies. *Int J Health Serv*, 2014;44(1):7-23).

In Italia, grazie all'esistenza del Servizio Sanitario Nazionale (SSN), la situazione è un po' meno drammatica (almeno per ora), ma si è comunque notevolmente deteriorata negli ultimi anni a fronte di continue revisioni al ribasso della spesa sanitaria pubblica e a una minore disponibilità economica da parte dei cittadini, che hanno ormai iniziato a rinunciare o, quanto meno a rinviare, controlli specialistici e cure non urgenti o comunque non compatibili con le finanze individuali. Per quanto poco entusiasmante, posta l'inevitabilità dei tagli e della razionalizzazione della spesa sanitaria, non sarebbe preferibile che la classe medica contribuisse fattivamente a definire i criteri e le modalità per un'allocazione delle risorse clinicamente corretta, eticamente accettabile ed economicamente sostenibile, in modo da continuare a consentire a tutti di accedere a cure adeguate e di qualità?

### **Società scientifiche, linee guida e considerazioni di costo efficienza**

Come fa notare Andrew Pollack sulle pagine del *New York Times*, ultimamente le società scientifiche, soprattutto negli ambiti clinici più segnatamente colpiti dall'incremento dei costi delle cure come l'oncologia, la cardiologia, l'infettivologia, la neurologia e l'immunologia/reumatologia, hanno iniziato a inserire nelle linee guida per la diagnosi e la gestione delle diverse patologie anche considerazioni di tipo farmacoeconomico che dovrebbero, almeno in una certa misura, indurre i medici a operare scelte cliniche maggiormente costo-efficienti o, perlomeno, a non disinteressarsi completamente del problema.

L'obiettivo, deve essere chiaro, non è risparmiare "sulla pelle" delle persone, ma evitare di spendere cifre irragionevoli per ottenere benefici minimi, che talvolta stentano addirittura a poter essere definiti tali, per esempio, perché accompagnati da effetti collaterali severi. Basti pensare a molte terapie oncologiche "innovative", in grado di aumentare la sopravvivenza di poche settimane o mesi, a fronte di una qualità di vita scadente e di un impegno economico considerevole. Terapie di questo tipo sono realmente vantaggiose rispetto a cure più datate e meno onerose? E il livello di beneficio apportato è accettabile a fronte della corrispondente sottrazione di risorse che avrebbero potuto essere meglio investite in altri contesti clinici caratterizzati da maggiori probabilità di esito favorevole? Un attento esame di costo-efficienza appare urgente e irrinunciabile: l'American Society of Clinical Oncology (ASCO), l'American Academy of Cardiology (ACC), l'American Heart Association (AHA) e un numero crescente di opinion leader afferenti a diverse istituzioni e aree cliniche concordano sul fatto che non si tratta soltanto di un'esigenza di sostenibilità economica, ma anche di ragionevolezza e giustizia sociale.

D'altro canto, a nessuno sfugge come il singolo medico possa avere non poche difficoltà a spiegare al paziente che ha di fronte perché nel suo caso sia preferibile evitare una terapia “innovativa”, magari promossa come “rivoluzionaria” dall'azienda che la produce e dai media, e continuare a mantenere la sua fiducia. Probabilmente, per arrivare a un uso realmente razionale delle risorse sanitarie non ci si potrà limitare a fornire linee di indirizzo e/o imporre tagli e tetti di spesa, ma si dovrà lavorare per costruire una cultura della tutela salute caratterizzata da maggiore obiettività e pragmatismo delle scelte cliniche, condivisa dai curanti e dai curati. Il che significa che tanto il medico quanto il paziente dovranno essere consapevoli dei costi sociali della terapia e sentirsi responsabilizzati nella scelta di interventi realmente efficaci, al giusto prezzo.

Un approccio che il recente caso Avastin (Roche)/Lucentis (Novartis) dimostra essere ancora lontano (ma forse ora un po' più prossimo) se si considera che sono serviti alcuni anni per veder denunciato il paradosso di avere due farmaci caratterizzati da proprietà cliniche sovrapponibili, ma venduti a prezzi enormemente differenti per la cura della medesima patologia (la degenerazione maculare senile), e di cui soltanto il più caro (Lucentis) ufficialmente utilizzabile poiché dotato di specifica autorizzazione, ma di fatto somministrabile soltanto a una minoranza di pazienti a causa del costo spropositato. Condotta per tempo, un'analisi di costo-efficienza anche rudimentale avrebbe immediatamente evidenziato l'insensatezza delle disposizioni e (almeno in linea di principio) preservato da una consistente perdita di risorse.

Un composto che proprio in questi mesi sta, da un lato, entusiasmando e, dall'altro, mettendo in difficoltà il mondo dell'infettivologia è Sovaldi (sofosbuvir – Gilead Sciences), farmaco orale che, somministrato in associazione a ribavirina, risulta più efficace e sicuro delle opzioni di cura finora esistenti per il trattamento dell'epatite C. In questo caso, la carica innovativa non si discute: il problema è il costo non propriamente abbordabile, pari a circa 84.000 \$ per un ciclo di cura di 12 settimane negli Stati Uniti (i dati del primo trimestre di vendita negli USA lo indicano già come farmaco record per ricavi: pari a 2,27 miliardi di dollari). L'European Medicine Agency (EMA) ha approvato sofosbuvir il 18 gennaio scorso e ora bisognerà vedere come saranno gestiti dall'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) prezzo di vendita e rimborsabilità del trattamento ai pazienti italiani (nell'incontro di aprile tra agenzia regolatoria e Gilead Sciences è stata decisa l'autorizzazione nazionale accelerata che dovrebbe rendere disponibile sofosbuvir sul territorio nazionale entro l'estate). Il costo di 12 settimane di terapia nell'area euro al momento varia da 37 mila a 55 mila euro, e raddoppia in caso di cicli protratti per 24 settimane. Evidentemente, affinché questa terapia, sicuramente utile sul piano clinico, possa dirsi realmente “vantaggiosa”, la spesa associata al suo impiego dovrà essere sostenibile e l'accessibilità da parte dei pazienti ragionevolmente ampia, ma non universale (per esempio, prevedendo di riservarla ai pazienti più compromessi e a quelli che non possono assumere o non rispondono alle strategie terapeutiche consolidate).

In oncologia, un esempio di spesa non sempre giustificata viene, invece, da palonosetron, farmaco antiemetico utilizzato per prevenire la nausea e il vomito indotti da chemioterapia. Dal 2011, le linee guida statunitensi lo raccomandano come farmaco di scelta in talune categorie di pazienti, senza occuparsi di considerazioni relative al suo costo, decisamente superiore a quello di altre molecole più collaudate dall'azione analoga, ancorché meno potenti. Forse gli oncologi e i decisori politici dovrebbero chiedersi se il prezzo (elevato) che si paga per il vantaggio ottenuto sia adeguato ed etico, soprattutto considerando che si tratta di un intervento non propriamente terapeutico, ma di supporto.

## **La ricetta Choosing Wisely: risparmiare evitando il superfluo**

I medici possono svolgere un ruolo di primo piano nel contenimento della spesa sanitaria senza privare i pazienti di terapie necessarie, ma anzi evitandogli trattamenti superflui e potenzialmente dannosi, anche attraverso la valutazione critica degli interventi da praticare in considerazione delle caratteristiche individuali, dell'età e delle specificità del quadro clinico globale. In questa operazione, i clinici sono supportati e confortati dalla campagna *Choosing Wisely* ([www.choosingwisely.org](http://www.choosingwisely.org)), nell'ambito della quale le principali società scientifiche delle diverse aree cliniche hanno individuato elenchi dei principali test diagnostici e interventi preventivi o terapeutici ormai entrati nella pratica clinica comune, ma in realtà evitabili, con riduzione della spesa per i sistemi sanitari e dei rischi per il benessere dei pazienti.

Tra le conclusioni più recentemente pubblicate in letteratura dai panel *Choosing Wisely*, ci sono per esempio, quelle relative ai trattamenti da evitare negli over75: 1) non prescrivere inibitori della colinesterasi per trattare una demenza senza valutazione periodica dei benefici cognitivi percepiti e degli effetti avversi gastrointestinali; 2) non raccomandare screening per il tumore al seno, del colon-retto o della prostata (Psa) senza considerare l'aspettativa di vita e i rischi del test, della sovradiagnosi e del sovratrattamento; 3) non prescrivere stimolanti dell'appetito o integratori ad alto contenuto calorico per il trattamento di anoressia o cachessia negli anziani; 4) non prescrivere un farmaco senza aver condotto una revisione del regime farmacologico globale; 5) evitare restrizioni fisiche per gestire i disturbi comportamentali di soggetti ospedalizzati con delirio (American Geriatrics Society Identifies Another Five Things That Healthcare Providers and Patients Should Question. *J Am Geriatr Soc*, 2014; doi: 10.1111/jgs.12770).

In ematologia, secondo l'American Society of Hematology (ASH), le cinque pratiche da bandire comprendono l'eccessiva e ingiustificata trasfusione di globuli rossi, l'esecuzione di test per la valutazione della trombofilia in adulti con fattori di rischio trombotico transitori, l'impiego di filtri per la vena cava inferiore a eccezione di casi specifici, la somministrazione di plasma o concentrati complessi della protrombina come antidoto per antagonisti della vitamina K in circostanze di non-emergenza, il monitoraggio troppo assiduo con TAC/PET dopo trattamento con intento curativo del linfoma non-Hodgkin (Hicks LK et al. The ASH Choosing Wisely@campaign: five hematologic tests and treatments to question. *Hematology Am Soc Hematol Educ Program*, 2013; 2013:9-14).

In neurologia, l'American Academy of Neurology (AAN) ha individuato tra le principali attività inappropriate l'esecuzione di EEG in pazienti con cefalea, l'imaging carotideo dopo episodi di sincope semplice non associati ad altri sintomi neurologici, la somministrazione di oppioidi contro il mal di testa se non come ultima opzione di cura, la prescrizione di interferone- $\beta$  o glatiramer acetato in pazienti con disabilità derivante da sclerosi multipla progressiva non remittente, l'indicazione all'endoarterectomia carotidea in caso di stenosi asintomatica, a meno che il rischio di complicanze operatorie sia basso (<3%) (Langer-Gould AM et al. The American Academy of Neurology's Top Five Choosing Wisely recommendations. *Neurology*, 2013; 81(11):1004-11).

In base alle raccomandazioni dell'American College of Cardiology (ACC), invece, i pazienti cardiologici trarrebbero soltanto benefici da un impiego più rarefatto e oculato dell'imaging cardiologico avanzato o sotto sforzo in assenza di sintomi specifici o di significativi marker di rischio

sia nel contesto della valutazione iniziale sia per il follow up annuale di pazienti asintomatici e nell'ambito delle indagini pre-operatorie in soggetti da sottoporre a interventi chirurgici non cardiologici. Inoltre, andrebbero evitate l'ecocardiografia di routine per il monitoraggio di patologie valvolari congenite lievi e non sintomatiche e l'applicazione di stent in corrispondenza di lesioni non significative durante la rivascolarizzazione percutanea dopo un infarto miocardico con innalzamento del tratto ST non complicato ed emodinamicamente stabile ([http://www.cardiosource.org/en/News-Media/Publications/Cardiology-Magazine/Archival-News-Articles/Choosing-Wisely-Update.aspx?w\\_nav=Search&WT.oss=choosing%20wisely&WT.oss\\_r=27&](http://www.cardiosource.org/en/News-Media/Publications/Cardiology-Magazine/Archival-News-Articles/Choosing-Wisely-Update.aspx?w_nav=Search&WT.oss=choosing%20wisely&WT.oss_r=27&))

Anche tenendo conto soltanto delle indicazioni *Choosing Wisely* (<http://www.choosingwisely.org/doctor-patient-lists>) in modo sistematico il potenziale risparmio sanitario potrebbe essere sostanziale, diventando evidentemente massimo laddove la reale opportunità di ciascun intervento diagnostico o terapeutico, anche in rapporto al suo costo, fosse più razionalmente ponderata da ciascun medico per ogni singolo paziente. D'altro canto, se è auspicabile una maggiore sensibilità dei professionisti sanitari rispetto a questioni di contenimento della spesa (anche al di là delle misure imposte per legge), non si può pensare che il singolo medico possa farsi carico della responsabilità della valutazione di costo-efficienza e delle sue ripercussioni cliniche. Oltre al tempo, al bagaglio informativo e alle competenze farmaco-economiche richieste per attuare un'analisi di costo-efficienza personalizzata, a ostacolare l'introduzione di questo approccio nella pratica clinica quotidiana contribuiscono i timori di ritorsione da parte dei pazienti in caso di presunti errori diagnostici o terapeutici che avrebbero, forse, potuto essere evitati prescrivendo un esame in più o somministrando un farmaco più costoso. Non è un ostacolo di poco conto, se si considera la sempre maggiore difficoltà per i medici di ottenere coperture assicurative adeguate e il crescente numero di azioni legali mosse da pazienti sempre più esigenti e sempre meno disposti ad accettare, anche in caso di terapie ben pianificate e ben condotte, esiti non favorevoli dalle terapie, peraltro sempre possibili visto che la medicina non è una scienza esatta.

### **La sostenibilità chiede un impegno globale concertato**

Razionalizzare la spesa sanitaria a beneficio del singolo e della società appare un processo complesso nel quale tutti gli attori del sistema hanno un ruolo non delegabile: le istituzioni devono offrire un'architettura normativa chiara per l'allocazione delle risorse in relazione alla rilevanza dei bisogni; le agenzie regolatorie devono approvare e contrattare i prezzi di test diagnostici, farmaci e dispositivi medici in relazione non solo al loro effettivo valore clinico ma anche alla effettiva sostenibilità; le società scientifiche devono individuare gli standard di cura caratterizzati non soltanto dal miglior rapporto rischio/beneficio, ma anche dalla maggiore costo-efficienza (idealmente, di concerto con le agenzie regolatorie e le aziende produttrici per assicurarne la massima accessibilità); i medici devono valutare se l'appropriatezza e la costo-efficienza degli interventi proposti da linee guida e PDTA rimangono validi nel singolo caso clinico da trattare; i pazienti devono essere consapevoli del costo delle diverse opzioni terapeutiche a loro disposizione, oltre che dei benefici e dei rischi associati, e partecipare attivamente alla scelta clinica. Premesse irrinunciabili affinché un simile meccanismo funzioni sono evidentemente la piena trasparenza di tutte le informazioni cliniche ed economiche e dei percorsi decisionali nei diversi passaggi, l'educazione dei cittadini a un'idea di "medicina sociale" e una relazione medico-paziente caratterizzata da un elevato grado di fiducia, ancorché di stampo non-paternalistico. Un'utopia?

**Tipo di studio:** Analisi critica

**Fonte:** Andrew Pollack. Cost of treatment may influence doctors. *New York Times*, 17 aprile 2014.

**Copyright** 2010-2015 Regione Lombardia. Tutti i diritti sono riservati.

Il presente contenuto è di proprietà di Regione Lombardia. L'utilizzo da parte di terzi è vincolato al rispetto della licenza Creative Commons "Attribuisci e Condividi allo stesso modo 2.5" disponibile all'indirizzo: <http://creativecommons.org/licenses/by-sa/3.0/deed.it> cioè con esclusione di modifica, commercializzazione o distribuzione non autorizzata.

In particolare ne è proibita la diffusione senza l'esplicito consenso scritto di Regione Lombardia.