

Gruppo di Lavoro SISMEC

SiPrEMAS: Sintesi delle Prove di Efficacia e Modellistica per l'Analisi decisionale in Sanità

Coordinatore: Gian Luca Di Tanna (Roma, Bologna)

Gruppo di Lavoro: Gianluca Baio (Milano, Londra), Nicola Bartolomeo (Bari), Caterina Conigliani (Roma), Alessio Farcomeni (Roma), Debora Formisano (Reggio Emilia), Dario Gregori (Torino), Francesca Petrucci (Chieti), Andrea Tancredi (Roma), Paolo Trerotoli (Bari), Anna Rita Vestri (Roma).

Premessa

Il sistema sanitario si trova di fronte alla crescente necessità di una efficace allocazione delle risorse in un contesto di informazioni disponibili in maggiori quantità e di migliore qualità ma al tempo stesso più complesse, e di una forte frammentazione per quanto riguarda gli studi scientifici che vengono condotti.

Al tempo stesso l'enfasi sui test di ipotesi, l'identificazione dei fattori di rischio e la non sempre accurata reportistica della variabilità dei risultati ottenuti rende difficile l'integrazione delle fonti informative essenziali per giungere a decisioni idonee.

Così come si è andato affermando il movimento dell'*Evidence Based Medicine*, ovvero sia l'esplicito utilizzo delle attuali e migliori prove di efficacia nel prendere decisioni sulla cura dei pazienti individuali, il processo decisionale in sanità (Medical Decision Making) è ormai riconosciuto come una disciplina basata sulle "evidenze" e al tempo stesso sulla modellistica (decisionale) per indirizzare le scelte di sistema in modo ottimale.

Il progresso tecnico-scientifico porta indubbiamente dei vantaggi, ma al tempo richiede una maggiore sorveglianza riguardo l'effettiva convenienza ad adottare (per tutta la popolazione o in particolari gruppi di pazienti) determinate tecnologie sanitarie quali farmaci, dispositivi medici, tecniche diagnostiche, procedure chirurgiche, altre tecnologie terapeutiche e attività di promozione della salute. La sfida dell'Health Technology Assessment (HTA) è quella di valutare le nuove e le correnti strategie in base a

- la probabilità che la tecnologia porti ad un significativo miglioramento di salute
- la probabilità che la tecnologia porti ad un significativo impatto su altre politiche sanitarie (ad es. diminuzione delle disuguaglianze)

- la probabilità che la tecnologia porti ad un significativo impatto sulle risorse (di tipo finanziario e non solo) del sistema sanitario

Questo processo di valutazione richiede una valutazione sistematica e indipendente delle rilevanti prove di efficacia delle tecnologie oggetto di studio e una valutazione economica ovverosia lo studio di costo efficacia della tecnologia stessa. La prima fase porta ad individuare i punti di forza e di debolezza della letteratura disponibile e a sintetizzare in modo analitico le informazioni selezionate. Appurata l'efficacia clinica della (nuova) tecnologia, questa sarà considerata costo efficace se i suoi benefici di salute sono più grandi del suo costo opportunità in termini di benefici associati ai programmi che andrebbero sostituiti per finanziare la nuova tecnologia. A tale scopo vengono impiegati modelli di analisi decisionale che prevedono la definizione dei percorsi terapeutici dei pazienti in un predeterminato orizzonte temporale ed integrano informazioni di costo e di beneficio. Componenti essenziali della modellistica sono la quantificazione dell'incertezza legata alla scelta di una particolare strategia rispetto ad un'altra e la possibilità di individuare quali dei parametri utilizzati nel modello hanno contribuito maggiormente a tale incertezza decisionale, obiettivo questo di fondamentale importanza nella processo di prioritizzazione degli obiettivi di ricerca.

Mandato e obiettivi specifici

Il gruppo di lavoro che si intende formare ha come obiettivo primario quello di creare un terreno di confronto comune dove si possano condividere i metodi di integrazione di fonti eterogenee di "evidenze" e di modellistica decisionale e le esperienze fin qui maturate. In particolare se da un lato le problematiche da affrontare in analisi decisionale sono di tipo clinico, economico, epidemiologico e statistico, lo statistico sanitario è chiamato (oltre che ad interagire con le diverse professionalità dei team di HTA) alla sintesi quantitativa delle fonti, alla scelta della tecnica decisionale, alla costruzione del modello, alle analisi e al delicato compito di tradurre tale processo in risultati chiari di immediata comprensione per i decisori.

In particolare l'attività del primo biennio sarà rivolta a

- ✓ creare un forum di discussione tra statistici (e non) che si occupano di sintesi delle prove di efficacia e di modellistica decisionale
- ✓ organizzare un censimento degli operatori che si occupano di tali temi al fine di un concreto coinvolgimento con le attività del gruppo. Questo può essere

un ottimo punto di partenza per un collegamento tra enti che svolgono ricerca in questo campo: ospedali, ASL, osservatori epidemiologici/agenzie sanitarie regionali e/o nazionali, università, industrie ed enti regolatori

- ✓ condivisione dei metodi già acquisiti
- ✓ monitoraggio della letteratura specializzata allo scopo di individuare nuovi spunti metodologici e diffonderli all'interno del gruppo (eventualmente tramite un apposito spazio web dedicato)
- ✓ attività di aggiornamento e approfondimento "interno" mediante l'organizzazione di workshop e seminari dedicati
- ✓ attività di formazione per "esterni" in corsi di perfezionamento specifici e master
- ✓ stesura di eventuali pubblicazioni nazionali per rendere alcuni temi più facilmente accessibili
- ✓ attivare un processo di interazione per una collaborazione intersocietaria che coinvolga società quali AIES (Associazione Italiana Economia Sanitaria), AIRO (Associazione Italiana Ricerca Operativa), Network Italiano di Health Technology Assessment (NI-HTA), AIE (Associazione Italiana di Epidemiologia) e SIQuAS (Società Italiana per la Qualità dell'Assistenza Sanitaria)
- ✓ collaborare con l'attività della rivista SISMEC BioMedical Statistics and Clinical Epidemiology (ad es.: sviluppo di un numero speciale dedicato a questo tipo di problematiche)

I temi di maggiore interesse (che potranno essere approfonditi da sottogruppi formati ad-hoc) saranno:

- metodi delle revisioni sistematiche e valutazione di qualità delle fonti informative
- le metodologie di integrazione delle "evidenze" (meta analisi) circa i profili di efficacia di interventi terapeutici e di accuratezza diagnostica (con e senza approccio Bayesiano)
- tecniche per la valutazione dell'eterogeneità (meta regressione, analisi di sottogruppo,...)
- modellistica decisionale: alberi, modelli markoviani, system dynamics, event history analysis
- l'incertezza nella modellistica di costo efficacia: approccio due stadi vs integrato
- analisi di sensibilità: deterministica vs probabilistica

- valutazione del valore atteso dell'informazione
- elicitazione delle distribuzioni a priori ed integrazione di opinioni di esperti e prove desunte dalla letteratura
- rappresentazione dei risultati
- criteri di valutazione dei modelli utilizzati
- integrazione delle metodologie di analisi causale da dati osservazionali all'interno di modelli decisionali.

Risultati attesi

Il gruppo di lavoro si propone di arrivare nell'arco della sua esistenza (fissata fino al Settembre 2009) alla stesura di alcuni elaborati scientifici. Il principale obiettivo può essere individuato in un *position paper* (la cui naturale collocazione è la rivista BMSCE della Sismec) che racchiuda, oltre all'inquadramento del problema oggetto del gruppo di lavoro, alcune riflessioni originali. Inoltre, qualora si presentasse l'occasione, è possibile immaginare alcuni lavori applicati, nei quali i concetti identificati dal gruppo di lavoro sono considerati in pratica mediante opportune analisi di dati. Infine, un ulteriore outcome atteso può essere rappresentato dalla organizzazione di workshops dedicati agli aspetti teorici e pratici sviluppati dal gruppo di lavoro, utilizzando le diverse competenze dei vari membri.