

# i Quaderni di PharmaStar

A cura del Dr. Roberto Ravasio

## GLOSSARIO DI FARMACOECONOMIA



## Perché i Quaderni

I "Quaderni" sono una serie di manuali di agevole lettura e di pratica consultazione dedicati principalmente all'aggiornamento sui vari aspetti della vita di un farmaco, dalla ricerca clinica, agli aspetti regolatori fino alla comunicazione scientifica. Per dare maggiore varietà alla collana, sono anche previsti Quaderni su tematiche legate alla comunicazione e all'organizzazione aziendale.

Si presentano come documenti disponibili come file in formato PDF, **scaricabili gratuitamente** dal sito [www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it) e con la possibilità di **condividerli facilmente con altre persone attraverso la posta elettronica**.

Scopo dei "Quaderni" è fornire un nuovo servizio informativo ai lettori di PharmaStar, il giornale on-line sui farmaci.

La **Redazione farà piacere se i lettori invieranno i Quaderni anche ad altre persone interessate**. Il passaparola è infatti il più efficace strumento di marketing e di comunicazione.

## MEDICALSTAR

**MedicalStar** è una casa editrice specializzata nell'informazione sulla salute che privilegia i moderni strumenti di comunicazione, la rete internet innanzitutto. Si rivolge al Medico, al Farmacista, alle Strutture sanitarie pubbliche e private, alle Aziende che operano nel mondo farmaceutico e alle Aziende che producono dispositivi medici e soluzioni tecnologiche per la salute.

La Società realizza progetti editoriali efficaci e su misura, tra cui Newsletter cartacee ed elettroniche, Report congressuali, CD ROM e siti internet dedicati a congressi medici, Siti web per progetti clinici, Lavori scientifici tradotti e commentati e molto altro ancora. Tra le realizzazioni si evidenzia **PharmaStar**, il **giornale on-line sui farmaci**, un nuovo strumento informativo composto da Sito internet ([www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it)) e da una Newsletter elettronica.

**MedicalStar** può aiutarvi a costruire un progetto informativo, culturale ed educativo dedicato alla medicina e rivolto al medico, al farmacista e a chi desidera essere aggiornato in tempo reale sulle novità in ambito medico e terapeutico.

**LA MEDICINA È LA NOSTRA PASSIONE.**

**ISCRIVITI**  
**A**  
[www.pharmastar.it](http://www.pharmastar.it)

## *Dr. Roberto Ravasio*

È socio fondatore di PHarmES Studi di Valutazione Economica s.a.s., in cui attualmente ricopre la carica di Direttore di Ricerca. Svolge la propria attività nell'ambito dell'Outcome Research, della valutazione Farmacoeconomia e dell'Health Technology Assessment, offrendo strumenti in grado di misurare e definire l'evidenza clinico-economica di una tecnologia sanitaria o di un percorso terapeutico.

In particolare si occupa di ricerca nella valutazione farmaco economica (studi originali di ricerca, modelli decisionali, modelli di Budget Impact, etc.), di comunicazione (pubblicazione di articoli su riviste specializzate, comunicazione a eventi scientifici) e di formazione (predisposizione del materiale scientifico per l'organizzazione di Convegni di Educazione Continua in Medicina per gli operatori della Sanità).

Dal 2003 è socio dell'Associazione Italiana di Economia Sanitaria (AIES). Per la casa editoriale Wolters Kluwer Health Italy Ltd. è Editorial Manager della rivista Pharmacoeconomics – Italian Research Articles ed Editor in Chief della rivista Giornale Italiano di Health Technology Assessment.

*E-mail: roberto.ravasio@pharmes.info*

**INVIA**  
**IL QUADERNO**  
**PER E-MAIL**  
**AI TUOI**  
**COLLEGHI**

### **PERCHÉ TI PUÒ ESSERE UTILE LEGGERE QUESTO QUADERNO**

Dato che oggigiorno è oramai riconosciuta l'importanza della farmacoeconomia nel fornire informazioni utili al processo decisionale, sia a livello regolatorio (nel momento in cui comitati nazionali o regionali decidono l'ammissibilità e il prezzo di rimborso di un nuovo principio attivo) sia a livello prescrittivo (nel momento in cui un medico o un farmacista ospedaliero decidono l'adozione del nuovo principio attivo nella pratica clinica o l'inserimento nel Prontuario dell'ospedale), il glossario di Farmacoeconomia intende rispondere all'esigenza conoscitiva da parte di chi per la prima volta si accosta a questa disciplina economica.

Il glossario, infatti, dovrebbe rappresentare uno strumento di conoscenza e di approfondimento finalizzato a rendere più agevole e comprensibile la lettura di articoli di farmacoeconomia nell'attività di formazione e informazione per il medico, per il farmacista e per l'operatore sanitario, ovvero per tutti gli operatori sanitari in generale.

Ci auguriamo che lo sforzo editoriale profuso in questa sede abbia messo a disposizione dei lettori un valido strumento finalizzato a una più facile comprensione dei principali e più ricorrenti termini utilizzati dal linguaggio farmacoeconomico.



**Accesso al mercato** = Un farmaco per poter essere immesso sul mercato deve ottenere un'autorizzazione basata su criteri di efficacia, tollerabilità, sicurezza e il prezzo di rimborso da parte del Servizio Sanitario Nazionale.

**Affidabilità** = Rappresenta la capacità di un strumento di misurazione (ad esempio di uno strumento nato per misurare la qualità della vita) di fornire risultati riproducibili nelle medesime condizioni sperimentali. Un strumento può così essere definito affidabile, se una serie di misurazioni ripetute sugli stessi individui, produce gli stessi risultati.

**Albero decisionale** = Schema grafico (Figura 1) in cui si parte da una decisione (es. trattamento A o B) e si rappresenta tutta la ramificazione delle conseguenze (es. outcome sanitari e costi) che possono successivamente presentarsi in un determinato arco temporale. In pratica, un albero decisionale si costruisce, partendo da sinistra verso destra, iniziando da una scelta clinica (nodo decisionale) riguardante una determinata categoria di pazienti.

Come risultato della scelta fatta, si produrranno conseguenze con probabilità di accadimento che vengono inserite nell'albero decisionale ai nodi degli eventi possibili (nodi probabilistici). A loro volta, tali conseguenze comporteranno altre scelte, e così via. La somma delle probabilità di tutta la possibile casistica di un evento è sempre uguale all'unità.

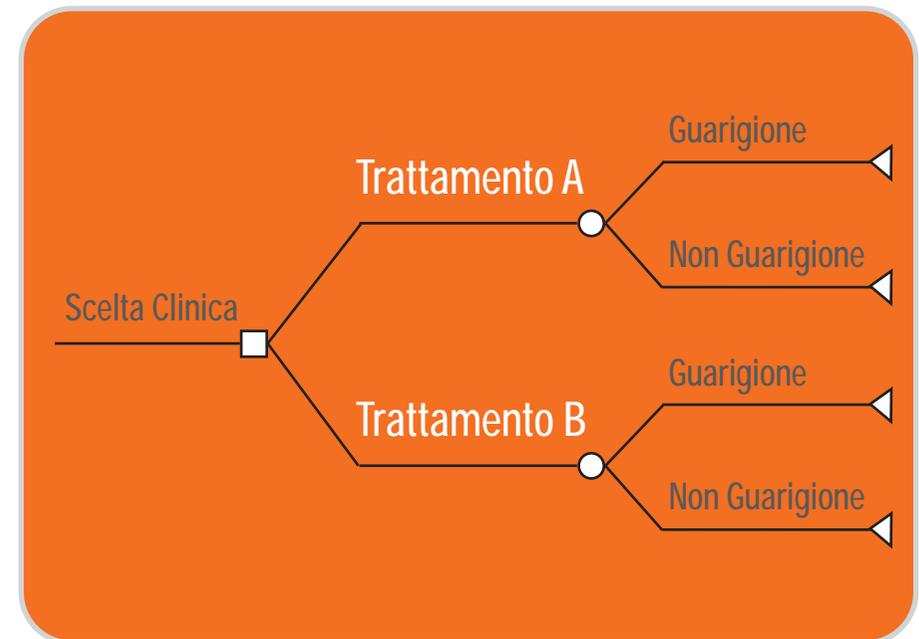


Figura 1 – Albero decisionale



**Analisi costo-benefico** = Tipo di analisi che misura in termini monetari i costi e i benefici relativi a un trattamento e calcola un guadagno/perdita netto monetario o più tipicamente un rapporto aritmetico tra benefici e costi. È adottabile qualsiasi alternativa in cui il beneficio risulti maggiore del costo. Il risultato così ottenuto può avere valore anche di per sé, visto che non è necessario confrontarlo con quello di altre alternative. Inoltre, con questo tipo di analisi possono essere confrontati anche trattamenti che non vengono utilizzati per la stessa indicazione. Si ricorda che i benefici sono stimati in termini monetari spesso sulla base delle preferenze espresse da un campione di popolazione. Di solito tali preferenze vengono valutate in base alla disponibilità a pagare, metodo in base al quale alle persone viene chiesta la cifra che essi sarebbero disposti a pagare per ottenere dei benefici associati al miglioramento dello stato di salute.

**Analisi costo-efficacia (incrementale)** = L'analisi di costo-efficacia incrementale mette in relazione l'aumento del costo con l'aumento dell'efficacia della terapia innovativa (più efficace e più costosa) rispetto al costo e all'efficacia del comparatore (meno efficace e meno costoso). Il risultato di questa valutazione è rappresentato dal calcolo di un costo incrementale per un'unità aggiuntiva di salute (*Incremental Cost-Effectiveness Ratio* – ICER). Se l'unità aggiuntiva di salute è misurata in anni di vita guadagnati, o in QALY, allora, l'ICER può essere successivamente confrontato con un valore-soglia (orientativamente pari a € 50.000), accettato a livello internazionale, per verificare se il costo aggiuntivo per un'unità in più di salute sia accettabile per gli Organi Decisori (es.: SSN) che devono “pagare” questa spesa aggiuntiva, al fine di mettere a disposizione dei pazienti un trattamento più efficace ma più costoso rispetto a uno già in commercio.

**Analisi costo-utilità** = L'analisi costo utilità è una particolare forma dell'analisi costo-efficacia, nella quale sono calcolati i costi per unità di utilità correlata alla salute degli individui. Le unità di misura di utilità maggiormente utilizzate sono i QALY. In questo tipo di analisi i costi addizionali di un trattamento sono confrontati con il guadagno di utilità (solitamente espressi in QALY) determinato dal trattamento stesso. Il rapporto costo/utilità può essere utilizzato per confrontare trattamenti sanitari alternativi che generano risultati differenti. Anche in questo caso, visto che l'unità aggiuntiva di salute è misurata in QALY (vedi “**Analisi costo-efficacia incrementale**”), il rapporto di costo-efficacia incrementale (*Incremental Cost-Effectiveness Ratio* – ICER) per QALY può essere successivamente confrontato con un valore-soglia (orientativamente pari a € 50.000), accettato a livello internazionale, per verificare se il costo aggiuntivo per un'unità in più di salute sia accettabile per gli Organi Decisori (es.: SSN) che devono “pagare” questa spesa aggiuntiva, al fine di mettere a disposizione dei pazienti un trattamento più efficace ma più costoso rispetto ad uno già in commercio.



**Analisi decisionale** = Rappresenta uno strumento quantitativo mirato a quantificare i rischi, i benefici, le utilità attese e i costi associati a opzioni terapeutiche alternative. Eseguire un'analisi decisionale significa strutturare una valutazione economica attraverso un albero decisionale (vedi "Albero decisionale").

**Analisi di minimizzazione dei costi** = L'analisi di minimizzazione dei costi è una tecnica che confronta i costi di trattamenti alternativi caratterizzati dall'aver un equivalente effetto terapeutico e la stessa sicurezza. Sulla base di questa ipotesi, di sostanziale uguaglianza clinica di risultati delle alternative confrontate, lo scopo dell'analisi è quello di individuare il programma meno costoso; ovvero se in una valutazione economica le alternative che vengono confrontate sono sostanzialmente simili nel raggiungimento del risultato terapeutico è sufficiente un semplice confronto dei loro costi al fine di stabilire l'alternativa più conveniente.

**Analisi di sensibilità** = Metodo per valutare la tenuta dei risultati al variare delle ipotesi previste in una valutazione economica. L'analisi di sensibilità prevede 3 fasi: 1) identificazione dei fattori incerti, 2) definizione dei range nel quale si ritiene che essi possano variare, 3) ricalcolo dei risultati dello studio lungo tali *range* (stime più conservative e meno conservative).

**Analisi incrementale** = È l'analisi dei costi addizionali (incrementali) e degli esiti clinici addizionali (incrementali) – ad esempio una più lunga sopravvivenza – generati da un trattamento innovativo (più efficace e solitamente più costoso) rispetto allo standard terapeutico. Il confronto tra le due alternative è ottenuto dividendo la differenza tra i rispettivi costi addizionali per la analoga differenza negli *outcome*.

$$\frac{\text{Costi trattamento innovativo} - \text{Costi trattamento standard}}{\text{Efficacia trattamento innovativo} - \text{Efficacia trattamento standard}}$$

INVIA  
IL QUADERNO  
PER E-MAIL  
AI TUOI  
COLLEGHI



**Anni di vita corretti per la qualità (Quality Adjusted Life Year - QALY)** = Una misura del miglioramento della salute usata nell'analisi di costo-utilità. I QALY misurano l'*outcome* sanitario in termini di guadagno di salute, associando un dato valore di utilità a ogni particolare stato di salute e moltiplicando tale valore per la durata della permanenza in quello stato (solitamente espresso in anni). Se per esempio, un trattamento farmacologico prolunga la vita di un paziente di 5 anni e l'utilità associata a questo particolare stato di salute è pari a 0,5 (calcolato su una scala in cui 0 rappresenta lo stato di morte e 1 lo stato di perfetta salute) il numero di QALY è dato dal prodotto degli anni di sopravvivenza (5 anni) per l'utilità associata (0,5):  $5 \times 0,5 = 2,5$  QALY.

**Attualizzazione** = Strumento per equiparare la diversa distribuzione temporale dei costi e delle conseguenze quantificati in un'analisi economica, quando essi non si manifestano nello stesso istante, ma sono variamente distribuiti nel corso di un arco di tempo considerato. In tal caso il loro confronto può avvenire solo riportandoli allo stesso momento temporale, mediante il procedimento matematico-finanziario detto appunto di attualizzazione.

**Bias** = È un errore sistematico che può avvenire nelle diverse fasi di uno studio clinico o farmacoeconomico (disegno, analisi effettuate, prospettiva d'analisi utilizzata, informazioni raccolte, etc.). Tale errore può determinare una distorsione dei risultati della ricerca condotta. Ad esempio in uno studio clinico, se i pazienti più gravi non migliorano ed escono dallo studio, mentre quelli con gravità lieve o moderata migliorano e rimangono nello studio, allora i risultati contengono un bias che traduce in una più alta efficacia, non corrispondente alla realtà clinica.

**Bootstrapping** = Il grado di incertezza dei risultati di una valutazione farmacoeconomica può essere valutato tramite l'utilizzo dell'analisi di sensibilità (vedi "Analisi di sensibilità") o tramite l'applicazione di test statistici. Il bootstrapping è un test statistico non parametrico che viene solitamente utilizzato quando i dati (esempio i costi) hanno una distribuzione asimmetrica e/o quando la dimensione del campione oggetto di indagine è ridotta.

**Budget Impact (modello di )** = È un'analisi volta a valutare se l'inserimento in prontuario di un nuovo farmaco sarà compatibile con i vincoli di bilancio del settore sanitario. Il modello di Budget Impact dovrebbe accertare: **I**) la stima del volume di prescrizioni del nuovo farmaco, in ciascuno dei primi anni (almeno due) dal lancio, **II**) gli effetti di sostituzione di altri farmaci già sul mercato, **III**) gli effetti di creazione di nuova domanda, **IV**) le conseguenze sull'utilizzo delle altre risorse sanitarie (ospedalizzazioni, visite, etc.), **V**) gli effetti a lungo termine (ad esempio la ridotta incidenza dell'ictus risultante da un trattamento ipertensivo efficace), sia pure considerati a parte; e infine, **VI**) un'analisi di sensibilità va condotta sulle principali variabili, in particolare sul tasso di diffusione della nuova terapia.



**Capitale umano (metodo del)** = Esso rappresenta uno strumento di calcolo dei costi indiretti di una malattia, basato sul valore economico per la Società della vita lavorativa di un individuo in salute di una data età, ovvero sulla stima del reddito da lui prodotto. Per stimare tale reddito (con riferimento al contesto italiano) si possono utilizzare, ad esempio, i dati pubblicati dagli annuari ISTAT.

**Classificazione ATC** = La classificazione Anatomica Terapeutica Chimica (ATC) è un sistema di classificazione dei farmaci curato dal *Nordic Council on Medicine* e dal *WHO/OMS Collaborating Centre for Drug Statistics Methodology di Uppsala* (Svezia). Nel sistema ATC i farmaci sono suddivisi in diversi gruppi in rapporto all'organo bersaglio, al meccanismo di azione e alle caratteristiche chimiche e terapeutiche. Ciascun gruppo principale è suddiviso in 5 livelli gerarchici.

$$\frac{\text{RDD}}{\text{DDD}} = \frac{\text{RDD}}{\text{PDD}} \times \frac{\text{PDD}}{\text{DDD}}$$

Appropriatezza      Compliance del paziente      Compliance del medico

**Compliance** = È da intendersi come l'appropriatezza terapeutica, e più in particolare come la combinazione della compliance del medico e del paziente (vedi oltre, alle voci "compliance del medico" e "compliance del paziente").

**Compliance del medico (prescrittore)** = È intesa come appropriatezza prescrittiva, cioè l'attenersi del prescrittore a eventuali linee guida o altre indicazioni di corretto dosaggio. Tale compliance è riferita al dosaggio giornaliero prescritto, essa può essere valutata tramite la PDD (*Prescribed Daily Dose*) surrogata (vedi oltre alla voce "Dose Giornaliera Prescritta").

$$\text{Compliance del medico} = \frac{\text{PDD}}{\text{DDD}}$$



**Compliance del paziente =** Descrive l'aderenza al dosaggio prescritto al paziente dal medico curante, può essere valutata tramite la RDD (*Received Daily Dose*) [vedi oltre alla voce "Dose Giornaliera Ricevuta"].

$$\text{Compliance del paziente} = \frac{\text{PDD}}{\text{DDD}}$$

**Costi diretti (sanitari e non sanitari) =** I costi diretti si suddividono in costi diretti sanitari e costi diretti non sanitari. I costi diretti sanitari comprendono tutti i costi sostenuti dal SSN (Servizio Sanitario Nazionale), da terzi paganti (es.:assicurazioni private), dai pazienti e dalle loro famiglie in quanto sostenuti per le risorse impiegate nella prevenzione, nella diagnosi, nella terapia e riabilitazione (es. farmaci, materiali sanitari, esami strumentali e di laboratorio, ospedalizzazioni, ecc.). I costi diretti non sanitari sono quelli sostenuti dal paziente e dai suoi familiari per altre risorse, come i costi relativi ai trasporti per accedere all'assistenza sanitaria.

**Costi indiretti =** Rappresentano quei costi per il sistema economico che derivano dalla minore o mancata produttività dei pazienti e/o dei loro familiari che li assistono (per assenza parziale o totale dal lavoro a causa della patologia).

**Costi intangibili =** Costi di natura non monetaria associati al dolore o alla sofferenza causati dalla malattia.

**Costi fissi =** Sono i costi che non variano per piccole variazioni della quantità di prestazione sanitaria erogata (es. costo affitto struttura ospedaliera/ambulatoriale, costo macchinari per diagnostica, ecc.). Si tratta di costi che variano piuttosto con il tempo (per l'effetto inflazionistico), oppure per salti nell'ordine di grandezza della produzione.



**Costi frizionali (metodo del)** = È una tecnica di valutazione economica utilizzata per la stima dei costi indiretti legati alla mancata produttività, che si differenzia dal metodo del capitale umano. Con il metodo del costo frizionale i costi legati alla perdita di produttività sono calcolati dall'inizio della malattia (di lungo periodo) o dal decesso paziente fino a quando tale posizione lavorativa non viene nuovamente ricoperta da un'altra persona.

**Costi variabili** = Rappresentano i costi che variano direttamente al variare della quantità prodotta di un certo bene (es. farmaci, esami diagnostici o di laboratorio, etc.); ovvero se aumentano o diminuiscono le quantità prodotte di un certo bene aumenteranno o diminuiranno anche i costi legati alla produzione dello stesso bene.

**Costo della malattia (studio di)** = Tipo di studio che identifica e valuta i costi diretti e a volte anche quelli indiretti e intangibili di una particolare malattia o fattore di rischio (per esempio fumo o consumo di alcool).

**Costo incrementale** = Differenza tra costo di un nuovo trattamento e costo del comparatore.

**Costo marginale** = Il costo aggiuntivo necessario per produrre un'unità aggiuntiva di prodotto. Ad esempio se con € 10.000 produco 10 confezioni del farmaco A e con € 12.000 produco 11 confezioni dello stesso farmaco A, il costo incrementale per produrre l'undicesima confezione sarà pari a € 2.000, ottenuto dalla differenza tra il costo per produrre 11 e 10 confezioni ( $€ 12.000 - € 10.000$ ).

**Costo medio** = Esso rappresenta il rapporto tra i costi totali e il numero di unità prodotte. Ad esempio i costi totali di un trattamento di una coorte di pazienti divisi per il numero di pazienti trattati.



**Costo-opportunità** = Il costo/beneficio dell'utilizzo delle risorse disponibili derivante dalla scelta di produrre, consumare o scambiare un determinato bene o servizio rispetto ad altri. Supponiamo ad esempio, che un ospedale decida di investire le sue risorse nel costruire una palestra per il tempo libero dei suoi dipendenti. Il costo opportunità di questa decisione sarebbe stato, ad esempio, il valore dei benefici (gli interessi nel caso specifico) che avrebbe ottenuto se la decisione alternativa fosse stata quella di depositare i soldi in banca.



**CRO (Clinical Research Organization)** = Solitamente sono società private indipendenti che conducono studi (clinici) dietro contratto con aziende farmaceutiche o agenzie sanitarie governative.

**Disegno dello studio di farmacoeconomia** = Solitamente esso indica le modalità di raccolta e di analisi dei dati finalizzati alla valutazione economica oggetto dello studio.

**Disegno dello studio clinico** = La prima grossa distinzione è tra i disegni sperimentali e quelli non sperimentali. Gli studi sperimentali controllano in via diretta in una coorte o in un gruppo di pazienti selezionati i risultati di un programma (trattamento farmacologico, procedura diagnostica, etc.). A questa prima categoria appartengono tre tipi di studi: i) piggy-back, ii) naturalistico, e iii) osservazionale di coorte. Gli studi non sperimentali fanno riferimento a simulazioni che, in via indiretta, permettono il raggiungimento dei risultati prefissi. Di questa seconda categoria fanno parte gli studi i) retrospettivi e ii) i modelli.

**Disponibilità a pagare** = Il massimo ammontare monetario a cui un individuo è disposto a rinunciare per assicurarsi che un certo trattamento sanitario venga intrapreso.



**Dose Giornaliera Definita (Defined Daily Dose) =** Essa rappresenta l'ipotetica dose media giornaliera di un farmaco impiegato nel trattamento di un adulto (di 70 kg), con riferimento all'indicazione terapeutica principale. Il sistema delle DDD è stato sviluppato in Norvegia nei primi anni settanta e viene oggi adottato dall'Organizzazione Mondiale della Sanità (WHO) come strumento di supporto alla farmacoutilizzazione e soprattutto per confrontare i consumi del mercato farmaceutico.

**Dose Giornaliera Prescritta (Prescribed Daily Dose) =** È un indicatore della **intention to treat** del prescrittore. Nella PDD surrogata si ipotizza che il dosaggio giornaliero che il medico intende prescrivere sia quello dell'unità posologica presente nella confezione del farmaco prescritto. La PDD allora corrisponde alla media statistica ponderata dei pesi delle unità posologiche prescritte di quel farmaco, in un dato periodo.

**Dose Giornaliera Ricevuta (Received Daily Dose) =** Rappresenta la dose media giornaliera ricevuta da (somministrata a) un paziente in un certo periodo di tempo. La RDD è calcolata dividendo la quantità totale di principio attivo somministrata nel periodo di riferimento per il numero di giorni che costituiscono il periodo (ad esempio 365 giorni se la quantità totale è relativa a un trattamento che copre l'intero anno). La RDD di un certo principio attivo è stimata con la media delle RDD ricevute dai pazienti appartenenti ad un determinato contesto/campione.

**Diagnosis Related Groups (DRG) =** I raggruppamenti omogenei di diagnosi (DRG) definiscono un sistema di classificazione per gruppi di pazienti ospedalieri che si basa sulla diagnosi clinica principale e sulla tipologia di risorse ospedaliere impiegate.

È il sistema attraverso il quale gli ospedali (pubblici e privati accreditati) vengono rimborsati per le prestazioni erogate (ricoveri).

**Drug utilization (studio di) =** Viene definito, secondo la *World Health Organization* (WHO), come lo strumento che analizza la commercializzazione, la distribuzione e soprattutto la prescrizione e l'uso dei farmaci in una Società, con particolare attenzione alle conseguenze mediche, sociali ed economiche.

**Effetto placebo =** Con tale termine si descrive il caso in cui la somministrazione di sostanze prive di alcun principio attivo possano indurre qualche effetto (positivo o negativo) terapeutico su di un paziente.



**Efficacia clinica (efficacy)** = Corrisponde all'effetto di un trattamento valutato in condizioni ideali, sperimentali, come negli studi clinici controllati e randomizzati.

**Efficacia nella pratica clinica reale (effectiveness)** = Il risultato terapeutico conseguito su un insieme di pazienti trattati secondo la prassi clinica ordinaria, risultato che di solito differisce dall'efficacia (*efficacy*) verificata nei *Controlled Clinical Trials*. I fattori che possono influenzare la differenza dell'efficacia nella pratica clinica reale di un particolare trattamento rispetto alla sua efficacia ottenuta in condizioni sperimentali possono essere dovuti ad esempio alla riduzione o all'assenza del livello di compliance, alla presenza di comorbidità o di trattamenti concomitanti.

INVIA  
IL QUADERNO  
PER E-MAIL  
AI TUOI  
COLLEGHI

**Efficienza allocativa (ottimo Pareto)** = Un'allocatione di risorse tale per cui nessun'altra alternativa nella distribuzione delle risorse (disponibili) potrebbe migliorare il benessere di un soggetto senza ridurre quello di un'altro.

**Epidemiologia** = Studia la frequenza statistica, la distribuzione e i fattori determinanti le malattie nella popolazione.

**Evidence Based Medicine (EBM)** = La medicina basata sull'evidenza (EBM) costituisce un approccio attraverso il quale prendere decisioni in ambito sanitario utilizzando le evidenze scientifiche disponibili al momento.





**Farmaci da banco (Over The Counter preparations – OTC)** = Sono tutti quei farmaci che possono essere acquistati senza necessità di una prescrizione del medico.

**Farmacoeconomia** = È l'insieme dei metodi applicati alla valutazione economica dei trattamenti farmacologici. Essa può essere definita come uno strumento che consente di operare delle scelte utilizzando dei criteri espliciti e razionali.

**Farmacoepidemiologia** = Applicazione dei principi dell'epidemiologia allo studio degli effetti e dell'uso dei farmaci nelle popolazioni.

**ICD-9/ICD-10** = L'*International Classification of Diseases* (ICD), nelle versioni 9 o 10, rappresenta la classificazione internazionale delle malattie, ovvero un sistema di codifica ampiamente utilizzato per indicizzare le diagnosi mediche, per consentire la sistematica registrazione, l'analisi, l'interpretazione e il confronto dei dati riguardanti morbilità e mortalità, raccolti in aree geografiche differenti in tempi diversi.

**Incidenza** = L'incidenza è una variabile epidemiologica corrispondente al numero dei nuovi casi di malattia (ovvero il numero di individui che si sono ammalati) in una popolazione, in un dato intervallo temporale.

**Intervallo di Confidenza** = Descrive un intervallo di valori probabili per un dato parametro oggetto di stima statistica.

**League tables** = Si tratta di "classifiche" potenzialmente utilizzabili nell'ambito dei processi decisionali finalizzati all'aumento dell'efficienza allocativa di un sistema sanitario. In testa alla classifica vengono poste le tecnologie più efficienti (a più basso rapporto di costo-efficacia incrementale) e poi via via le altre. Quando c'è un nuovo progetto da valutare, si vede come esso si colloca rispetto alla classifica confrontando il suo ICER (vedi "**Analisi costo-efficacia incrementale**") con quelli di quest'ultima.



**Linee Guida (Guidelines)** = Possono essere applicate in ambito sia clinico sia farmaco-economico. Nella clinica solitamente determinano gli standard di trattamento per una specifica patologia, mentre nella farmaco-economia indicano le metodologie appropriate per svolgere correttamente una valutazione economica in campo sanitario.

**Metanalisi** = Un processo sistematico per trovare, valutare e combinare i risultati di una serie di dati provenienti da diversi studi scientifici.

**Misura dello stato di salute** = Un singolo strumento che viene utilizzato per misurare differenti aspetti della qualità della vita; i punteggi individuali possono essere aggregati in un indice (vedi “**Questionario per la valutazione della qualità della vita (Short Form-36 e altri)**” e “**Questionario per la valutazione della utilità (EuroQol-5D e altri)**”)

**Misure di utilità della qualità della vita collegata alla salute** = Un singolo punteggio complessivo basato sulla convenzionale scala di utilità: piena salute = 1 e morte = 0.

**Modello (studio)** = Questo tipo di studio non ricorre alla misurazione diretta dell'efficacia, ma, attraverso una simulazione degli eventi, cerca di quantificarla appunto con un modello.

Nella maggior parte dei casi si ricorre a questo tipo di studio quando l'analisi clinica richiederebbe in prospettiva un orizzonte temporale troppo lungo. Ci sono diverse tecniche che vengono utilizzate, ma quella più diffusa è l'analisi decisionale.

In generale, comunque, il vantaggio della creazione di un modello è quello di fornire un elevato numero di scenari possibili per consentire di prendere decisioni in condizioni di incertezza. Infatti esso permette di simulare un alto numero di situazioni diverse, agendo di volta in volta sui valori di efficacia, sulle probabilità di accadimento degli effetti collaterali, etc.

**Modello di Markov** = Simulazione di eventi ricorrenti nel tempo che può essere incorporata nell'analisi decisionale.



**Naturalistico (studio)** = Esso mostra un livello di controllo clinico interno inferiore; soprattutto il protocollo viene da subito disegnato con lo scopo di raggiungere un obiettivo economico (farmacoeconomico). L'affidabilità clinica di questo tipo di studio aumenta – coeteris paribus – all'aumentare della numerosità del campione. A vantaggio dello studio naturalistico rimane però una maggiore capacità di descrivere la reale pratica medica e l'effettiva efficacia. In relazione a ciò sembra ovvio poter affermare che lo studio naturalistico permette di raggiungere dei valori di outcome e dei costi di trattamento maggiormente rappresentativi della realtà.

**Number Needed to Treat (NNT)** = L'NNT rappresenta il numero di pazienti che devono essere trattati con una specifica terapia (farmaco, procedura diagnostica, etc.) per evitare un esito negativo. Algebricamente l'NNT è il reciproco della riduzione del rischio assoluto. Consideriamo due gruppi di pazienti affetti da BPCO, uno di controllo e uno sperimentale, i rispettivi tassi di incidenza in caso di riacutizzazione sono definiti dai seguenti rapporti:



$ER_t$  = (numero di riacutizzazioni) / (numero di soggetti anno) in ogni gruppo sperimentale, e

$ER_c$  = (numero di riacutizzazioni) / (numero di soggetti anno) nel gruppo di controllo.

La riduzione relativa del rischio (RRR) di riacutizzazione del gruppo sperimentale rispetto al gruppo di controllo viene definita da seguente rapporto:

$$RRR = (ER_c - ER_t) / ER_c.$$

La riduzione assoluta del rischio (ARR), ovvero il numero medio di eventi evitati per paziente trattato viene definita dal seguente rapporto:

$$ARR = ER_c - ER_t = ER_c * RRR.$$

Infine il Number Needed to Treat necessario per evitare una riacutizzazione è dato il reciproco della riduzione del rischio assoluto:

$$NNT = 1 / ARR$$



**OCSE (Organizzazione per la cooperazione e lo sviluppo economico)** = Un'organizzazione internazionale, che produce statistiche relative, tra l'altro, ai sistemi sanitari dei Paesi che ne fanno parte e promuove ricerche e dibattiti sui problemi economici.

**Osservazionale di coorte (studio)** = Esso viene prevalentemente usato per fini epidemiologici. Questi studi sono caratterizzati dalla presenza di un elevato numero di soggetti. Dato che nella maggior parte dei casi questi studi non vengono condotti con obiettivi conoscitivi di natura economica, di solito non risultano essere molto idonei a rilevare adeguatamente i dati riguardanti i consumi di risorse, necessitando, pertanto, di indagini aggiuntive. Nonostante questa carenza di informazioni grazie all'alto numero di pazienti e al lungo periodo di osservazione gli studi di coorte consentono di analizzare popolazioni rappresentative dell'universo intero.

**Outcome** = Corrisponde ai risultati degli interventi sanitari. Le misure di outcome possono essere degli *endpoint* intermedi (o surrogati), come la riduzione di mmHg di pressione arteriosa o i giorni liberi di un episodio di asma, o possono essere *endpoint* finali, come gli anni di vita guadagnati o i QALY.

**Parità di potere di acquisto (Purchasing Power Parity)** = Tassi di conversione delle valute che rendono uguale il potere d'acquisto delle stese verso uno stesso paniere di beni e servizi. Si tratta di un'alternativa rispetto ai tradizionali tassi di cambio valutati.

**Piggy-Back (studio)** = Questo tipo di studio, sulla base dei risultati di una sperimentazione clinica controllata, utilizza ed elabora una parte dei dati di consumo delle risorse che vengono utilizzate dai pazienti reclutati nello studio. Di solito il protocollo originario non viene modificato in funzione dell'analisi economica fatta eccezione che per due casi: i) quando è necessaria un'estensione nella sua durata originaria per includere anche il periodo di *follow-up*; ii) oppure quando, in presenza di pazienti che escono dallo studio per inefficacia del trattamento o per effetti collaterali, è necessario valutare il costo dell'insuccesso.

A fronte di una alta validità e accettabilità clinica interna lo studio *piggy-back* porta però a dei risultati deboli dal punto di vista economico, perché scarsamente applicabili alla reale pratica medica e di conseguenza poco esplicativi del livello di efficacia epidemiologica e del definitivo livello di assorbimento delle risorse.

INVIA  
IL QUADERNO  
PER E-MAIL  
AI TUOI  
COLLEGHI



**Prevalenza =** È una variabile epidemiologica, corrispondente al numero di persone affette da una particolare malattia in una popolazione in un dato momento o in un dato periodo di tempo.

$$\frac{\text{N° dei pazienti affetti dalla malattia}}{\text{Popolazione totale di riferimento}}$$

**Probabilità di accadimento =** Probabilità con cui un evento si verifica nella popolazione. È un valore definito nell'intervallo 0-1.

**Profilo di salute =** Una misura dello stato di salute che produce punteggi relativi a diverse dimensioni della salute (per esempio benessere fisico, capacità di svolgere il proprio ruolo, salute mentale) usando lo stesso metro di valutazione.

**Prospettiva di analisi =** Il punto di vista scelto per l'analisi, cioè il soggetto a cui vengono riportati costi e benefici oggetto della valutazione (per esempio società, governo, sistema sanitario, pagatore).

**Qualità della vita (Quality of Life) =** Una realtà ad ampio spettro, multidimensionale, modificabile con programmi sanitari e corrispondente alla percezione che il soggetto ha della propria condizione di salute.

Generalmente usata come sinonimo di qualità della vita collegata alla salute (*Health Related – Quality of Life*)

**Qualità della vita collegata alla salute (HR-QoL) =** Vedi "Qualità della vita".



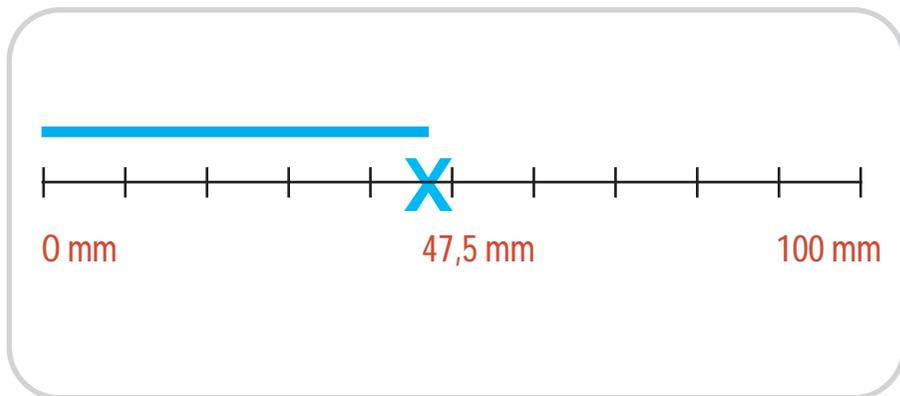
**Questionario per la valutazione della qualità della vita (Short Form-36 e altri)** = I questionari generici per la valutazione della qualità della vita sono strumenti di misurazione della qualità della vita correlata alla salute e possono essere utilizzati per una vasta gamma di malattie, con diversi gradi di gravità, o per differenti tipi di trattamento. Gli strumenti generici non si riferiscono ad una specifica malattia ma possono essere impiegati per tutte le tipologie di disturbi, così come possono essere applicati anche a soggetti sani. Uno di questi è lo Short Form 36 (SF-36).

**Questionario per la valutazione della utilità (EuroQol-5D e altri)** = I questionari generici per la valutazione dell'utilità sono strumenti di misurazione dell'utilità correlata a degli stati di salute e possono essere utilizzati per una vasta gamma di malattie, con diversi gradi di gravità, o per differenti tipi di trattamento. Gli strumenti generici non si riferiscono ad una specifica malattia ma possono essere impiegati per tutte le tipologie di disturbi, così come possono essere applicati anche a soggetti sani. Uno di questi è l'EuroQol (EQ-5D).

**Randomizzazione** = È il processo tramite il quale i pazienti sono distribuiti in maniera casuale nei gruppi di trattamento e di controllo degli studi clinici. Lo scopo della randomizzazione è quello di ottenere gruppi di pazienti omogenei all'inizio della sperimentazione, nel senso che né il giudizio personale né i pregiudizi dello sperimentatore possano influenzare la distribuzione dei pazienti nei diversi gruppi sperimentali.

**Rapporto di costo-efficacia Incrementale (Incremental Cost-effectiveness Ratio – ICER)**  
= È il rapporto tra costo addizionale e risultato addizionale (*outcome*), associato al trattamento allo studio, posto a confronto con una terapia alternativa.





**Rating Scale** = È un metodo per misurare il valore dell'utilità associato a ogni specifico stato di malattia. Il metodo *Rating Scale* (scale graduate), è uno dei più semplici e può essere adottato nel maggior numero di situazioni. Per ogni condizione di salute viene richiesto al paziente di attribuire un punteggio che va da 0 a 100. Un esempio di scala graduata molto usata è la *Visual Analogue Scale* (VAS). Con questa scala viene chiesto al paziente di indicare su di un segmento dalla lunghezza definita (es.: 0 mm – 100 mm) un tratto corrispondente alla propria condizione di salute o alla preferenza per uno stato di salute. In seguito i tratti di segmento così determinati verranno ricondotti a dei valori compresi fra 0 e 1 (Figura 2).

Figura 2 – Esempio di VAS

**Retrospettivo (studio)** = Esso si sviluppa attraverso due fasi. La prima fase è caratterizzata dalla raccolta dei dati sia di consumo di risorse sanitarie che di efficacia, disponibili o attraverso la letteratura o eventualmente dalle banche dati. La seconda fase è rappresentata dalla valorizzazione dei costi da attribuire alle risorse suddette. Il principale vantaggio di questa tipologia di studi, quando utilizzano la letteratura, è quella di fondarsi su evidenze cliniche pubblicate (frequente è infatti l'utilizzo della meta-analisi), mentre il principale limite è quello, a volte, di fornire una stima poco accurata delle risorse da attribuire ai singoli trattamenti (ad esempio infatti può capitare di trovare la lista degli effetti collaterali, ma non i trattamenti completi ad essi associati).

**Rischio assoluto** = In epidemiologia il rischio assoluto (RA) rappresenta la probabilità che si manifesti un dato evento in uno specifico gruppo. Con riferimento alla tabella sotto esposta esso rappresenta quindi la probabilità di un evento nel gruppo degli esposti [ $A / (A + B)$ ] o dei non esposti [ $C / (C + D)$ ].

Fattori di rischio	Presente	Assente	Totale a rischio
Esposti	A	B	A + B
Non esposti	C	D	C + D
Totale	A + C	B + D	A + B + C + D



**Rischio assoluto (riduzione del)** = In epidemiologia la riduzione del rischio assoluto rappresenta la differenza tra due rischi assoluti. Con riferimento alla tabella sotto esposta esso rappresenta quindi la differenza di rischio tra esposti e non esposti  $\{[A / (A + B)] - [C / (C + D)]\}$ .

Fattori di rischio	Presente	Assente	Totale a rischio
Esposti	A	B	A + B
Non esposti	C	D	C + D
Totale	A + C	B + D	A + B + C + D

**Rischio relativo** = In epidemiologia il rischio relativo (RR) rappresenta il rapporto tra due rischi assoluti. Con riferimento alla tabella sotto esposta esso rappresenta quindi il rapporto tra il rischio assoluto degli esposti e il rischio assoluto dei non esposti  $\{[A / (A + B)] / [C / (C + D)]\}$ .

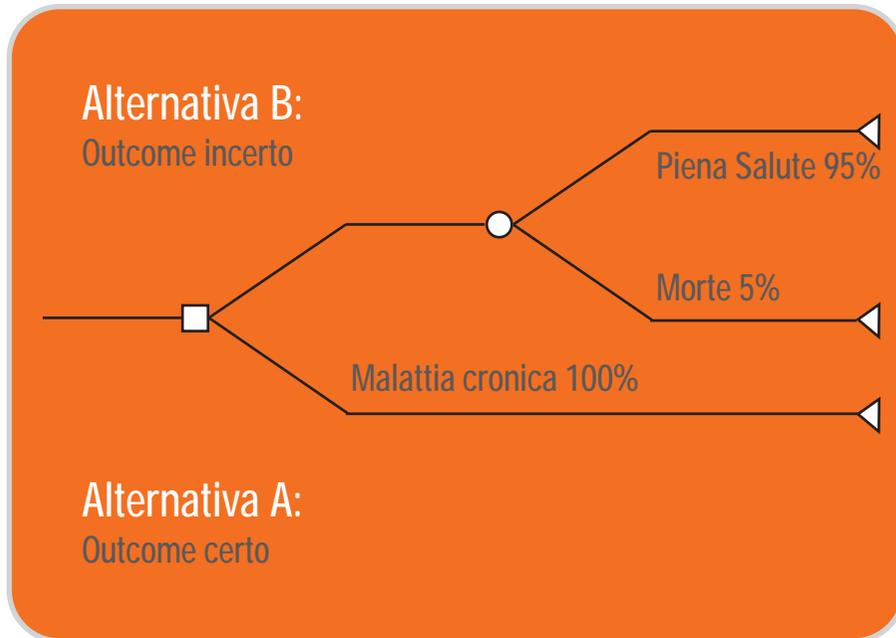
Fattori di rischio	Presente	Assente	Totale a rischio
Esposti	A	B	A + B
Non esposti	C	D	C + D
Totale	A + C	B + D	A + B + C + D

**Rischio relativo (riduzione del)** = In epidemiologia la riduzione del rischio relativo rappresenta la differenza tra due rischi relativi.

**Significatività Statistica** = È una misura di quanto sia probabile che una differenza osservata sia effettiva piuttosto che si sia verificata soltanto per caso. Un valore di  $p < 0,05$  significa che un certo risultato potrebbe aversi casualmente in meno di un caso su 20 e che, quindi, il risultato ottenuto è da considerarsi statisticamente significativo.



**Scala di utilità** = Un intervallo o una scala di misura, delimitata da due opposti stati di salute o risultati e i loro punteggi, in base ai quali vengono misurati i diversi gradi di utilità. Spesso definiti come piena salute = 1 e morte = 0.



**Standard Gamble** = È un metodo per misurare il valore dell'utilità associato a ogni specifico stato di malattia. Lo *Standard Gamble*, si collega alle problematiche delle scelte prese in condizioni di incertezza. Con questo metodo soggetti non ammalati scelgono fra uno specifico stato patologico cronico (alternativa A) e la completa guarigione o la morte (alternativa B). Le probabilità fra le due alternative vengono fatte variare fino al punto in cui al soggetto risultano indifferenti entrambi le alternative.

Vediamo un esempio di *standard gamble*.

Ad un soggetto non ammalato viene chiesto di scegliere tra il trascorrere il resto della propria vita con una data patologia cronica (alternativa A, certa) oppure di vivere in perfetta salute per il resto della propria vita ma con un rischio di morire immediatamente (alternativa B, incerta) [Figura 3].

All'inizio attribuendo un alto valore alla sopravvivenza in perfetta salute il soggetto si assumerà con relativa tranquillità il bassissimo rischio di morte immediata. Riproponendo più volte il quesito e diminuendo ogni volta il valore della sopravvivenza si arriverà ad un punto in cui per il soggetto sarà indifferente scegliere fra le due alternative. Risulta abbastanza evidente che se lo stato cronico della malattia non è molto grave il soggetto sceglierà la seconda alternativa solo in presenza di una bassa probabilità di morte. Contrariamente se la patologia cronica genera un forte stato di disutilità, maggiore, in questo caso, sarà il rischio di morte che il soggetto intenderà assumersi. Il valore della probabilità di perfetta salute sarà il valore dell'utilità attribuito alla condizione di malattia cronica di cui si voleva appunto conoscere la preferibilità.

Figura 3 – Esempio di Standard Gamble

**Studio clinico (clinical trial)** = Gli studi clinici vengono fatti per verificare, in condizioni controllate, la sicurezza e l'efficacia di un trattamento sperimentale. Sono un importante pre-requisito per ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio di un farmaco.



**Tasso di sconto** = Coefficiente utilizzato per convertire i futuri costi e benefici in valori attuali equivalenti. Secondo la stima proposta della Commissione del Dipartimento della Sanità Pubblica degli Stati Uniti, un valore pari al 3% dovrebbe essere il più adeguato tasso di sconto reale da utilizzare nelle valutazioni economiche.

In Italia, in base a quanto indicato dalla Commissione del Dipartimento della Sanità Pubblica degli Stati Uniti e dal *National Institute for Health and Clinical Excellence* del Regno Unito (NICE) viene utilizzato un tasso di sconto del 3% o del 3,5%.

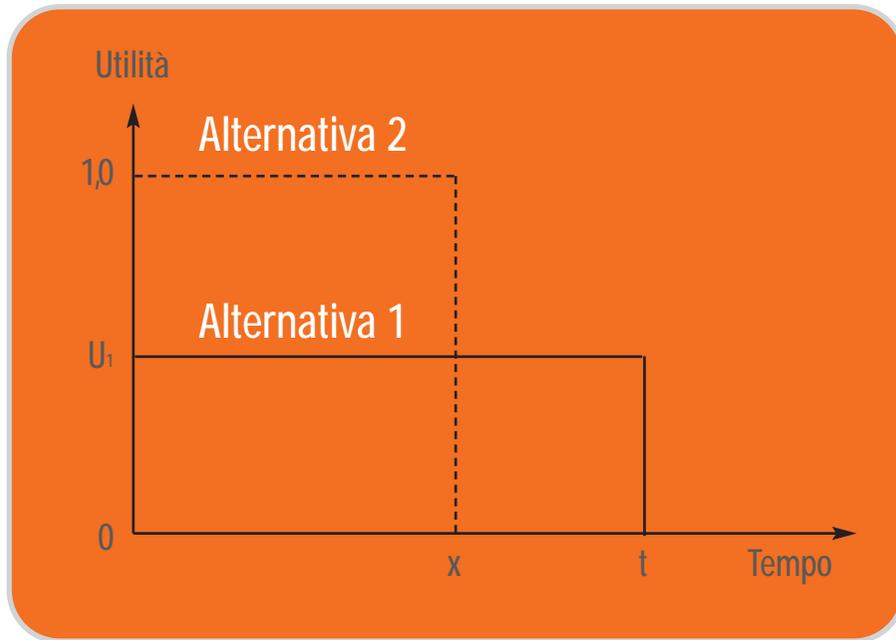
**Tecniche di valutazione economica** = Il confronto tra costi e l'*outcome* associati a due o più trattamenti alternativi è solitamente effettuato mediante l'utilizzo di particolari tecniche di valutazione economica quali: l'analisi di costo-efficacia (incrementale), l'analisi di costo-beneficio, l'analisi costo-utilità e l'analisi di minimizzazione dei costi.

**Test statistico** = Sono test impiegati per analizzare i dati raccolti in studi clinici ed economici, al fine di determinare la significatività statistica

**Time Trade-Off** = È un metodo per misurare il valore dell'utilità associato a ogni specifico stato di malattia. Con il metodo del *Time Trade-Off* il soggetto non ammalato è messo di fronte a due alternative; può scegliere di rimanere nella condizione di malattia cronica indicata con "T" per la durata della vita restante, oppure di vivere per una durata minore indicata con "X", però in perfetta salute.



INVIA  
IL QUADERNO  
PER E-MAIL  
AI TUOI  
COLLEGHI



Nella Figura 4 la salute è riportata sull'asse delle ordinate ed ha un valore che varia da 0 a 1, mentre la variabile tempo viene riportata sull'ascisse e si indica con "T" la durata della vita restante e con "X" la durata della vita in perfetta salute. Inizialmente la durata di "X" viene collocata a dei valori molto prossimi a quelli di "T" per poi essere progressivamente allontanata, fin ad arrivare al punto in cui per il soggetto le due alternative risulteranno indifferenti. Il valore dell'utilità è dato dal rapporto di "X" su "T". Più lo stato di malattia cronica viene ritenuto debilitante più saranno gli anni di vita che il soggetto sarà disposto a perdere per ricevere in cambio degli anni di perfetta salute.

Figura 4 – Esempio di time trade-off

**Utilità** = Con tale concetto si esprime la desiderabilità, soggettivamente manifestata, di un certo stato di salute in quanto dotato di un determinato livello di qualità della vita.

**Validità** = è un criterio di qualità necessario per tutti gli strumenti di misura (scale, questionari, etc.). Essa descrive la capacità di uno strumento di misurare in modo accurato e preciso ciò per cui è stato predisposto.

**Valore soglia** = In un'accezione di particolare rilevanza, si tratta di valori basati su ICER di trattamenti approvati da Organismi Regolatori (OR), che siano già entrati o no nell'uso, a fronte dei quali valutare la convenienza del nuovo trattamento.

**Valutazione economica** = Essa include una serie di metodologie sviluppate per determinare i benefici e i costi di strategie sanitarie/terapeutiche alternative al fine di guidare i processi decisionali.

PHarmES

SEGUICI SU



ISCRIVITI ALLA NEWSLETTER



REDAZIONE@PHARMASTAR.IT

**PHARMASTAR**<sup>★</sup>  
il Giornale on-line sui Farmaci  
[WWW.PHARMASTAR.IT](http://WWW.PHARMASTAR.IT)