

Value based Healthcare: le soluzioni operative per il rilancio e la crescita del Servizio Sanitario Nazionale

Rapporto dello High-level Health Policy Workshop – 11 maggio 2017 (Roma)

Value based Healthcare: operative solutions for the revitalization and growth of the Italian National Health Service

Report of the High-level Health Policy Workshop – May 11th 2017 (Rome)

Autori: Pasquale Cacciatore*, Leuconoe Grazia Sisti*, Emanuela Maria Frisicale*^o, Andrea Barbara*, Paolo Parente*^o, Carlo Favaretti*^o, Andrea Silenzi*^o

Abstract

This report collects the contents of the High-level Health Policy Workshop, organized by VIHTALI (Value in Health Technology Assessment & Academy for Leadership and Innovation), the spin-off of the Università Cattolica del Sacro Cuore, that promotes innovation and research for the application of Value based Healthcare in the health sector through action research projects based on the methodology of systems, networks and optimal care pathways; the meeting involved different stakeholders and key opinion leaders working in the National Health Service to define the operational strategies of the VBHC and outline its physiognomy in relation to the re-launch of the Italian NHS.

Introduzione

Trattamenti eccessivi o insufficienti, condizioni diagnosticate in eccesso o difetto, costi e budget non controllati, errori nella pratica medica ed incentivi distribuiti in modo inefficace; sono solo alcuni dei problemi nella sanità moderna dei Paesi occidentali, a cui è possibile approcciarsi attraverso i concetti, le pratiche e gli strumenti di un'assistenza basata sul valore (Value Based Health Care, VBHC). Delineata per la prima volta da Michael Porter nel 2010, la VBH è una

cornice concettuale innovativa innovativo per ristrutturare i sistemi sanitari nel rispetto dell'obiettivo di valore per i pazienti. Nell'ottica del nostro Servizio Sanitario Nazionale, i principi della VBHC possono offrire importanti spunti ed opportunità operative per promuoverne rilancio e crescita, portandolo al di fuori di quella "tempesta perfetta" che lo ha investito nel recente periodo. Questo report raccoglie i contenuti dello High-level Health Policy Workshop, organizzato da V.I.H.T.A.L.I. (Value in Health Technology Assessment & Academy for Leadership and Innovation), lo spin-off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore che promuove innovazione e ricerca per l'applicazione della VBH nel settore sanitario tramite progetti di ricerca d'azione basati sulle metodologie di sistemi, reti e ottimali percorsi di cura; i lavori hanno coinvolto i vari stakeholder e professionisti che operano nel Servizio Sanitario Nazionale per definire le strategie operative della VBH e delinearne la fisionomia in rapporto al rilancio del SSN italiano.

1. Governance e leadership per rilancio e crescita del SSN

Punti chiave:

- Ottenere esiti di salute (outcome) positivi in modo sostenibile e superare le disuguaglianze ingiustificate di salute sono due dei principali obiettivi di ogni sistema sanitario che abbracci la sfida dell'assistenza sanitaria basata sul valore (Value Based Healthcare).
- Per raggiungere questi traguardi è necessario definire il valore in sanità e gli strumenti per quantificarlo e misurarlo.
- È possibile individuare un quadro comune che aiuti tutti i professionisti a preservare il bene salute, attualizzato nel buon funzionamento del Servizio Sanitario Nazionale.

*Istituto di Sanità Pubblica – Sezione di Igiene, Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

^o V.I.H.T.A.L.I. spin off dell'Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma

Corresponding author:

Andrea Silenzi
andrea.silenzi@unicatt.it

Oggi più che mai è necessario affrontare le criticità del Sistema Salute nella prospettiva dell'azione e non dell'analisi fine a se stessa. Si rischia infatti di passare dall'analisi alla paralisi, e ciò è quanto da evitare alle soglie della "tempesta perfetta", ovvero quell'insieme di criticità e pericoli che minacciano di far naufragare il nostro Servizio Sanitario Nazionale. Per sfide complesse, se non addirittura drammatiche talvolta, servono soluzioni concrete basate su dei punti fermi quali le prove di efficacia, la medicina basata sulle prove di efficacia, l'universalità, l'equità e l'uguaglianza nell'accesso alle cure. Ovvero preservare il bene salute, supportando in ogni modo possibile il "bene SSN". Un impegno che naturalmente avoca a sé tutte le sfide epidemiologiche e demografiche di questo presente:

- la sfida dell'anzianità: siamo il Paese più vecchio del mondo e continueremo a invecchiare (transizione demografica);
- la sfida della natalità: dagli anni 70 ad oggi si è ridotto il numero di figli ed è aumentato il numero di persone anziane, in un contesto in cui il debito pubblico e la disoccupazione sono aumentati.
- la sfida della cronicità: è aumentato il trend delle patologie, specialmente quelle croniche (transizione epidemiologica), che coinvolgono oggi circa il 40% della popolazione (23,6 milioni di italiani) e producono disabilità e non autosufficienza;
- la sfida delle disuguaglianze: disparità strutturali che hanno portato alla precipitazione dell'aspettativa di vita delle regioni del centro-sud Italia per via di assenza di prevenzione, diagnosi tardiva, qualità assistenziale estremamente variabile, flussi lavorativi non razionali. Fattori a cui prestare attenzione, perché potrebbero impattare anche nel nord Italia.

In un difficile contesto storico in cui diviene sempre più difficile continuare ad assicurare una valida copertura sociale, è necessario agire nella direzione dell'educazione e della formazione, della programmazione, della pratica basata sulle prove d'efficacia, delle nuove tecnologie e della multiprofessionalità, della proattività, della personalizzazione e dell'assistenza integrata; concettualizzare il cambiamento necessario, riorganizzare i sistemi di cura, ridefinire i meccanismi di pagamento e rimborso delle prestazioni sanitarie e, soprattutto, efficientare il sistema salute, migliorandone le infrastrutture informative a supporto anche al fine di accelerare i processi. Questo naturalmente avrebbe senso solo laddove si ottenga abbassare i costi, identificare gli sprechi, aumentare il valore e migliorare la qualità dell'assistenza.

Se si dovesse sintetizzare il senso di quanto esposto, ci sarebbe solo da esplorare il paradigma della triplice declinazione del valore, con lo sguardo rivolto costantemente alla tenuta del SSN. Soluzioni, proposte, azioni per ottenere outcome di salute positivi in modo sostenibile e superare le disuguaglianze si salute e le variazioni ingiustificate dell'assistenza sanitaria (*unwarranted variation*): ecco i due prin-

cipali obiettivi di ogni sistema sanitario che abbracci la sfida della Value Based Healthcare. Questo framework centrato sul valore definisce e rende affrontabili tutta la serie di sfide descritte.

Ma cosa si intende per valore in sanità? Come è possibile quantificarlo e misurarlo in modo tangibile? Questa è la chiave di lettura dei prossimi paragrafi.

2. Verso il Value based Pricing: come misurare il valore dell'innovazione in sanità

Punti chiave:

- Le nuove sfide della medicina richiedono maggiore attenzione alla definizione di innovazione e valore in sanità.
- Gli attori del processo assistenziale, incluse le agenzie regolatorie, devono abbracciare le sfide per garantire la continua sostenibilità e diritto alla cura.
- La spesa sanitaria farmaceutica continuerà a crescere nei prossimi anni: è necessario individuare strategie per analizzare la sostenibilità ed il valore aggiunti delle nuove terapie, attraverso nuovi modelli di governance del farmaco che tengano in considerazione anche l'aspetto etico-sociale.
- Un ruolo chiave per questi obiettivi può essere svolto da attori come VIHTALI, che realizzano l'autentica terza missione dell'università, guidando i decisori attraverso i risultati di formazione e ricerca.

Al fine di caratterizzare e definire standard ed obiettivi di una sanità di valore, è necessario far interagire sinergicamente i concetti di sostenibilità, innovazione ed accesso alle cure, sviluppando strategie e strumenti che permettano di misurare questi elementi in funzione del valore; in tal contesto assumono così un ruolo chiave le interazioni fra le agenzie regolatorie (come AIFA), i farmacologi, l'industria biomedica, gli attori di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA), etc.

Il preciso momento storico in cui la sanità vive offre oggi interrogativi nuovi e la possibilità di un approccio culturale diverso, capace di affrontare le sfide della medicina in rapida evoluzione, non per ultima grazie alla sempre maggior affermazione della medicina personalizzata (*targeted medicine*). Lo scenario sanitario moderno pone gli attori del processo assistenziale, non ultime le agenzie regolatorie, ad abbracciare le nuove sfide: invecchiamento generale della popolazione, aumento delle comorbidità, maggiore attenzione ed informazioni dei pazienti, disomogeneità regionali, vincoli di spesa assistenziale. Tra queste, in ambito farmaceutico, vi è la necessità di continuare a tutelare il diritto alla salute (garantito anche attraverso l'erogazione del farmaco), in un contesto caratterizzato anche dalla commercializzazione di prodotti ad alto costo. L'equilibrio economico della spesa sanitaria diviene così obiettivo fondamentale, facendo da collante tra le garanzie di accessibilità e quelle di soste-

nibilità, declinata sotto più aspetti. Non per ultimo, infatti, vi è quello etico-sociale: la definizione del giusto prezzo per un nuovo farmaco implica una questione morale che inevitabilmente accresce la consapevolezza e modella il comportamento degli attori del processo assistenziale, dal paziente al mondo dell'industria e delle agenzie regolatorie. Nei nuovi modelli di definizione del prezzo assume così un ruolo di rilievo la valutazione degli esiti (*outcome*) e del valore generato per la salute collettiva, a fronte di un sistema tradizionale fondato sui volumi di vendita e sulla monetizzazione degli investimenti in ricerca e sviluppo. La spesa farmaceutica in Italia è cresciuta negli ultimi decenni; nei primi 9 mesi del 2016, la spesa totale nazionale (pubblica e privata) ha quasi raggiunto i 30 miliardi di euro, di cui il 77,4% rimborsati dal SSN^[1]; si stima inoltre che il costo medio delle terapie annuo raggiungerà i 70-100 mila euro nel 2020. I farmaci antineoplastici ed immunomodulatori costituiscono oggi la seconda fonte di impatto sulla spesa totale; in dieci anni, infatti, la spesa media per una terapia tumorale è cresciuta di quasi dodici volte^[2].

Le istanze dell'innovazione pongono dunque dinanzi a stimolanti sfide nel futuro: tra queste, ad esempio, le nuove terapie per l'epatite C, i nuovi antiretrovirali, i trattamenti innovativi per Alzheimer, la terapia genica, etc. Allo stesso modo, esse fanno emergere il paradosso intrinseco nell'industria che innova: se, infatti, la tecnologia e l'innovazione comportano per le industrie un abbattimento sequenziale delle spese, in ambito farmaceutico innovare comporta un sensibile aumento dei costi. In tale prospettiva è dunque necessario analizzare la sostenibilità dell'innovazione per una sanità di **valore**, ripudiando l'approccio assolutistico e declinando gli obiettivi in funzione delle garanzie che il SSN può offrire nel miglioramento della salute dei cittadini. Nei prossimi anni, infatti, la spesa per l'innovazione farmaceutica continuerà a crescere, e sarà determinante il ruolo assunto dalle agenzie regolatorie nel riconoscimento dell'effettiva innovatività e nella creazione di un setting trasparente nelle dinamiche di formulazione del prezzo, al fine di accelerare l'accesso a nuove terapie di significativo impatto per la salute degli assistiti e allo stesso tempo garantire la sostenibilità del sistema sanitario nazionale. La recente normativa finanziaria (legge di bilancio 2017) ha istituito fondi per farmaci innovativi ed oncologici, dando mandato all'Agenzia italiana del farmaco per l'individuazione degli elementi da includere in tale categoria. Ad oggi, la spesa per i farmaci innovativi costituisce il 43% della spesa totale farmaceutica in Italia, cresciuta dal 2010 del 25% nel nostro Paese (a fronte di una media europea del 12%). Il ruolo dell'agenzia regolatoria diviene così riconoscere l'innovatività, ed in tal senso il termine può essere legato ai concetti di valore terapeutico aggiunto, di bisogno terapeutico, senza trascurare ovviamente i metodi di assessment della qualità delle prove e robustezza degli studi (ad esempio, *GRADE*).

Innovatività non può però essere scissa dalla valutazione degli esiti, poiché attraverso la rapida individuazione dei ri-

sultati positivi in termini di salute di un nuovo farmaco può essere accelerato il processo di approvazione dello stesso. La definizione chiara di innovazione può inoltre favorire lo sviluppo di procedure e canali di accesso alla stessa uniformi e trasparenti, così come la condivisione degli strumenti che permettono di valutare il farmaco potenzialmente innovativo (dalla prospettiva economica, medica, e così via), anche a seguito della commercializzazione (l'autorizzazione condizionale – *conditional approval* – normato dalla legislazione farmaceutica europea). Tra questi ultimi, ad esempio, è notevole sottolineare come l'Italia rappresenti in ambito europeo il Paese che più ricorre ai *Managed Entry Agreements* (MEA), accordi che permettono un accesso accelerato al farmaco dopo l'approvazione, garantendo la raccolta dei dati d'uso clinico ed ottimizzando allo stesso tempo l'allocazione delle risorse^[3]. L'impegno futuro per le agenzie regolatorie e gli attori del sistema farmaceutico sarà continuare a garantire la sostenibilità del sistema (oggi, il prezzo dei farmaci in Italia è uno dei più bassi in Europa, e l'Italia è uno dei leader mondiali per salute con spesa più bassa rispetto agli altri Paesi). Come per i cambiamenti climatici, l'innovazione-non innovazione (inadeguata) e le terapie non sostenibili sono diventati argomenti di interesse globale, richiedendo un approccio basato su politiche internazionali di cooperazione che siano in grado di coinvolgere vecchi e nuovi protagonisti (si pensi, ad esempio, al sempre maggior rilievo degli innovatori dirompenti nell'assistenza sanitaria – *healthcare disruptors*). In un sistema che ancora fa fatica ad accelerare i processi di accesso al farmaco (nel 2016, la tempistica media italiana dall'autorizzazione alla vendita di un farmaco era di 14,5 mesi, contro i 3,5 della Germania), è fondamentale promuovere per il futuro una nuova governance del farmaco, modulata sul nuovo scenario di multicronicità e di rilevanza degli outcome di salute a medio e lungo termine, affinché ogni paziente possa ricevere la terapia mirata in un'ottica di appropriatezza, responsabilità sociale, etica e sostenibilità economica del sistema ("la salute costa, ma la malattia costa ancor di più": farmaci come strumenti di efficienza del welfare).

Adattarsi al cambiamento e promuovere un cambio culturale (nuovi modelli) è la sfida degli attori farmaceutici per il futuro, affinché si offra una risposta sempre più concreta ai bisogni dei pazienti in uno scenario di sanità di valore. In direzione di questi obiettivi assumono così un ruolo chiave gli interpreti – come VIHTALI – della terza missione dell'Università, ovvero l'integrazione dei risultati di formazione e ricerca nella diretta applicazione mirata al cambiamento nella società. La capacità di traslare i contenuti accademici di livello nel mondo dell'industria e dei decisori assume così un rilevante ruolo per promuovere in modo continuo, attraverso modelli ed algoritmi decisionali coerenti, un approccio solido all'innovazione ed alla sanità di valore che tenga in considerazione tutti gli elementi che concorrono alla definizione del valore del farmaco sulla base dei benefici clinico/economici e delle istanze etico-morali.

3. I nuovi LEA e il disinvestimento dalla “assistenza di scarso valore” (low value care) nel SSN

Punti chiave:

- Definire il concetto di valore è utile a tutti i professionisti e stakeholder per promuovere pratiche basate sull'evidenza.
- Norme adeguate e disinvestimento mirato sono strategie che aiutano ad affrontare la problematica di sprechi e cattiva gestione della spesa sanitaria.
- Un processo decisionale basato sulle prove d'efficacia, supportato da leadership, competenza e conoscenza e l'investimento nella ricerca comparativa indipendente possono promuovere il cambiamento promuovendo l'ottica del valore in sanità.

Per affrontare in modo rigoroso la discussione sull'assistenza di scarso valore, è necessario innanzitutto partire dalla definizione stessa di “value” affinché non vi siano incomprensioni tra i vari attori del sistema.

Definito da Michael Porter come il ritorno in termini di salute delle risorse investite in sanità, il valore risulta dal rapporto tra rilevanti outcome di salute per il paziente (esiti favorevoli- effetti avversi) e costi sostenuti dal sistema, e può essere stimato sia a livello di intero percorso assistenziale, sia a livello di singola prestazione sanitaria (farmaco, test diagnostico, intervento chirurgico, etc)^[4]. Il concetto di outcome include esclusivamente esiti rilevanti per il paziente: riduzione della mortalità e delle complicanze, miglioramento della prognosi di malattia, riduzione dei sintomi e del dolore, miglioramento della qualità di vita e della funzionalità, riduzione degli effetti avversi. Da sottolineare, tuttavia, come oggi i produttori di farmaci e tecnologie sanitarie estendano i “criteri di inclusione” del numeratore, considerando outcome non strettamente correlati alla salute del paziente.

Capito il significato di valore, o valore nella sua accezione più ampia, è facile intuire gli sprechi generati dall'assistenza di scarso valore o di valore negativo: “gli sprechi sono generati da attività che consumano risorse senza generare value” (Taiichi Ohno, Toyota). La Fondazione GIMBE, che due anni fa ha lanciato una campagna sulla sostenibilità del nostro Servizio Sanitario Nazionale, ha individuato 6 categorie di sprechi, che erodono oltre il 20% della spesa sanitaria:

- sovra-utilizzo;
- sotto-utilizzo;
- frodi e abusi;
- acquisti a costi eccessivi;
- complessità amministrative;
- inadeguato coordinamento assistenziale.

I dati sono indicativi: oltre 2 euro su 10 euro di spesa

sanitaria vengono sprecati, per un totale di circa 25 miliardi di euro sui 112,5 miliardi di spesa sanitaria pubblica nel 2015 da poter riallocare. Proiezioni che sono state confermate dal *Lancet* con la serie di pubblicazioni “*Right Care*” e dal rapporto OECD “*Tackling Wasteful Spending on Health*”^[5].

In un contesto di sprechi, dunque, è fondamentale focalizzarsi sulle strategie che permettano di arginare il fenomeno; tra queste, particolare valore assume il disinvestimento in sanità, ovvero il “recupero (parziale o completo) di risorse in ambito sanitario da qualunque pratica, procedura, tecnologia o farmaco che rispetto al costo determina un guadagno di salute minimo o nullo, consumando risorse che possono essere riallocate” (Elshaug et al).

Sovrautilizzo e sottoutilizzo sono due facce della stessa medaglia dell'appropriatezza; possono convivere nella stessa regione, nella stessa organizzazione sanitaria, nello stesso percorso assistenziale, nello stesso paziente, e sono influenzati dagli stessi determinanti. Bisogna riallocare, quindi, il denaro pubblico dall'assistenza di scarso o negativo valore (determinata da interventi sanitari inefficaci, rischiosi, inappropriati e sovrautilizzati) all'assistenza di alto valore fatta di interventi sanitari efficaci, sicuri e appropriati ma attualmente sottoutilizzati per garantire sostenibilità del SSN. Sul piano metodologico, tutto ciò si traduce nel percorso di individuazione di criteri etici, economici, organizzativi per l'aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA). Per garantire la sostenibilità del Servizio Sanitario, infatti, il denaro pubblico deve finanziare solo interventi efficaci, appropriati e definiti di alto valore.

Analizzando le criticità dei nuovi LEA, si evidenzia subito come il DPCM del 2017 non espliciti la metodologia che guida l'inserimento di specifiche prestazione nei livelli essenziali, finendo per inglobare spesso metodologie sdoganate e non supportate da prove di efficacia solo per un'elevata domanda sociale e/o professionale, sopprimendo anzi i fondamentali e ineccepibili principi di politiche decisionali basate sulle prove di efficacia previsti dal precedente DPCM del 2001, di cui però il DPCM in oggetto è integralmente sostitutivo. Risulta, inoltre, paradossale che la Commissione nazionale per l'aggiornamento dei LEA e la promozione dell'appropriatezza nel SSN sia stata nominata dopo la pubblicazione dello schema di DPCM sui “nuovi LEA”, con il compito di effettuare una manutenzione di elenchi di prestazioni espansi oltre ogni limite per ottenere il consenso di tutte le categorie professionali e dei cittadini-pazienti, sottovalutando la disponibilità di un'adeguata copertura finanziaria. In assenza di un metodo rigoroso ed esplicito per favorire un adeguato trasferimento delle migliori evidenze nella definizione e aggiornamento dei LEA, vengono incluse tra i livelli essenziali prestazioni di valore scarso addirittura negativo (profilo rischio-beneficio sfavorevole) e rimangono escluse prestazioni dall'elevato valore.

Viene dunque ribadita la necessità di individuare esplicitamente e rendere noti i criteri (etici, economici, organizza-

tivi e scientifici) che presiedono alle scelte modificative, di inserimento, delisting o esclusione dai LEA.

Tale criticità rischia di compromettere la sostenibilità dei nuovi LEA. Per fare qualche esempio: attualmente i Livelli Essenziali di Assistenza includono l'adroterapia per il trattamento dei tumori pediatrici, in assenza di prove di efficacia^[6]; allo stesso tempo, essi escludono la telemedicina per il monitoraggio domiciliare dei pazienti con scompenso cardiaco (oltre che con altre patologie croniche), nonostante le robuste prove di efficacia a supporto e il fatto che tale prestazione sia esplicitamente prevista dal Piano Nazionale della Cronicità, già approvato dalla Conferenza Stato-Regioni, dimostrando l'incongruenza di differenti provvedimenti legislativi^[7].

Vi sono quindi, all'interno dei LEA, prestazioni ad elevato valore, a scarso valore ma anche a valore negativo, come ad esempio la chirurgia oncologica in unità operative con volumi sotto-soglia o la presenza di punti nascita con attività inferiore ai 500 parti/anno. Si passa quindi dal carattere indispensabile di alcuni interventi a quello addirittura rischioso di altri. Alcune prestazioni differiscono inoltre per value in funzione delle tempistiche di erogazione e delle condizioni del paziente (è il caso della RM nella lombalgia, che da "indispensabile" nei pazienti con lombalgia con *red flags* diviene addirittura "futile" se mancano i *red flags*).

Tutti esempi, insomma, che evidenziano come sia fondamentale procedere alla riallocazione in sanità, da prestazioni inappropriate di valore scarso negativo a prestazioni di valore più elevato, per garantire la sostenibilità del SSN. La sfida più ardua per i professionisti che contribuiranno alla futura riorganizzazione ed al continuo aggiornamento dei LEA riguarderà l'inderogabile necessità di standardizzare e rendere espliciti i metodi per integrare le migliori evidenze scientifiche per formulare le annuali proposte di aggiornamento delle prestazioni incluse, al fine di:

- garantire servizi e prestazioni sanitarie ad elevato value;
- escludere prestazioni di scarso valore;
- impedire l'erogazione di prestazioni dal value negativo.

Per le tante prestazioni di cui non esistano ancora prove di efficacia, bisognerà investire in ricerca comparativa indipendente, anche con i fondi del SSN, per produrre robuste evidenze per informare l'aggiornamento dei LEA, utilizzare al meglio il denaro pubblico ed evitare così lo spreco di risorse, ancora inferiori all'atteso (si prenda ad esempio la comparazione dei DEF 2015 e 2017 per la spesa sanitaria del 2019: vi è una riduzione di previsione di spesa di circa 4 miliardi di €). Per raggiungere tali obiettivi, occorre un coinvolgimento di tutti i professionisti sanitari e dei vari attori politici; leadership, conoscenza e competenza sono i pilastri per promuovere un processo decisionale basato sulle prove di efficacia, che sia autentica leva del cambiamento promuovendo l'ottica della salute in tutte le politiche.

4. Valorizzare la "real-world evidence" e integrare i database nazionali per misurare gli outcomes e gestire "insieme" la spesa socio-sanitaria

Punti chiave:

- L'applicazione operativa dei *Big Data* e dei *Real World Data* rappresenta una grande opportunità, ma è necessario potenziare le competenze professionali per poterli gestire, in termini di management, di security e in termini di analisi.
- In tale scenario focalizzarsi sui *Big Data*, realtà sempre più presente ma ancora poco gestibile, appare attualmente in gran parte secondario rispetto ad un più prioritario focus su alimentare la cultura del data management delle informazioni di cui disponiamo, che spesso sottoutilizziamo o non valorizziamo sufficientemente per mancanza di integrazione tra i vari stakeholder e mancanza di linguaggio condiviso tra le varie realtà.
- Un grande passo avanti è stato fatto nelle realtà sanitarie aziendali in termini di gestione dei dati, ma una reale integrazione e ricerca non può prescindere da un accesso e da una disponibilità ai dati inter-istituzionale.

I *real-world data* (RWD) ed i *Big Data* sono una realtà non più virtuale, ma sempre più concreta nello scenario dei servizi sanitari moderni. Se adeguatamente orientati alla misurazione degli outcome, i *real-world data* possono guidare efficacemente la strutturazione di validi algoritmi ispirati al valore, votati a migliorare l'appropriatezza ed il valore dell'assistenza. Tuttavia, seppur non si possa non guardare con entusiasmo alle enormi potenzialità che i *real-world data* ed i *Big Data* rappresentano, bisogna considerare gli attuali limiti nel loro corrente utilizzo operativo.

Prima di addentrarsi nel potenziale risiedente nei *Big Data* e nei *real-world data*, occorre fare una distinzione semantica tra i due termini. Con *real-world data* si intendono tutte le informazioni che non sono normalmente registrate nei trials clinici. Possono essere ottenuti da diverse fonti, tra cui: pazienti, dati ospedalieri, flussi informativi amministrativi e sociali. I *Big Data* possono essere considerati, a tutti gli effetti, *real world data*, ma non tutti i *real world data* sono *Big Data*. La differenza principale risiede nella dimensionalità delle informazioni raccolte, nei *Big Data* per una singola persona si dispone di una quantità enorme di informazioni, raccolte con altissima frequenza, ogni giorno, secondo per secondo, come è possibile, per esempio, tramite i *wearable devices*. Nel 2001 Doug Laney conìò le "3 V" che ben descrivono i *Big Data*: volume, velocità, varietà al quale sono state poi aggiunte altre caratteristiche: variabilità, veridicità e complessità.

Focalizzandosi sui volumi, i volumi di informazione veicolati dai *Big Data* sono decisamente enormi, e continueranno ad aumentare, ma solo una piccola parte di queste informazioni è realmente utile e meritevole di essere analizza-

ta in ambito sanitario. In ambito sanitario disponiamo di una enorme quantità di *Big Data*, basti pensare ai dati rappresentati dalle registrazioni mediche elettroniche. Tuttavia, solo una piccola parte di queste informazioni (stimabile tra il 40 e il 60%) è effettivamente rilevante per la pratica clinica, la maggior parte delle informazioni registrate può in realtà essere considerata del tutto ricreazionale, accessoria, priva di utilità reale, almeno al momento attuale.

La maggior parte degli attuali sistemi sanitari, sommersa da ben altro tipo di problematiche, tra cui in primis aspetti regolatori ed operativi, potrebbe infatti, senza alcuna fatica, fare a meno dei *Big Data* e focalizzarsi invece sulla sottoutilizzazione delle informazioni archiviate nei database tradizionali. Utilizzare questi database in maniera efficace ed efficiente appare dunque un obiettivo prioritario rispetto alla focalizzazione sui *Big Data*. Una volta provveduto a soddisfare le necessità basilari delle strutture ed a promuovere la diffusione capillare ed uniforme delle applicazioni innovative, allora sarà il momento più opportuno per riflettere sulle soluzioni operative per sfruttare a pieno il potenziale dei *Big Data*.

Riflettere su soluzioni operative per l'utilizzo e la valorizzazione dei *Big Data* è mandatorio e fondamentale; vi sono infatti due notevoli barriere al loro diffuso uso in sanità: la mancanza di expertise tecnica nel management dei dati e la mancanza di una robusta sicurezza e policy condivisa in termini di privacy.

Non in ultima analisi bisogna considerare che i *Big Data* hanno una struttura essenziale, minimale, ma sono dati grezzi, di non facile interpretazione. Focalizzandosi sulla raccolta dei dati, i *Big Data* sono senza dubbio molto "economici" – il device invia i dati continuamente con minima energia impiegata nella raccolta – ma i dati raccolti sono non strutturati, difficili da interpretare correttamente. Al contrario, i database relazionali, quelli correntemente utilizzati, sono costosi ma più semplicemente fruibili.

Negli ultimi anni importanti passi avanti sono stati compiuti dalle strutture sanitarie italiane in ambito di gestione ed analisi dei dati. A differenza di vent'anni fa, infatti, ormai quasi tutte le istituzioni hanno imparato a gestire i database che hanno a disposizione e che alimentano quotidianamente.

Il passo successivo, più che mai necessario ed urgente, deve essere rappresentato da una accessibile fruibilità del dato, dalla strutturazione di un linguaggio comune tra sistemi che normalizzi i dati e favorisca la coerenza nel registrare le informazioni per favorire il confronto ed il potenziamento della interconnessione tra strutture e tra istituzioni. Questa prospettiva può esitare per esempio in un *repository* clinico con trasversalità di consultazione e compilazione tra i diversi operatori e in una strutturata coordinazione tra chi eroga e chi ha la prospettiva di sistema.

Questa potrebbe essere la chiave di volta, per esempio, per importanti linee di ricerca che analizzino l'associazione tra caratteristiche socio-economiche e dati sanitari, per la

strutturazione di una rete ad alta integrazione tra l'asse territoriale ed ospedaliero e per una miglior gestione di reti di integrazione tra diversi *stakeholder* territoriali come sta avvenendo in alcuni progetti pilota in Francia.

Altre importanti opportunità risiedono nella strutturazione di piani personalizzati di cura, nella individuazione di indicatori di valutazione dell'assistenza e dunque di migliori algoritmi, value based, per l'allocazione delle risorse.

Anche in Italia sono in essere promettenti progetti di integrazione tra le diverse istituzioni. In Regione Lazio, per esempio, è in itinere un progetto che consenta e faciliti il merge dei dati rilevati dall'Istituto Nazionale della Previdenza Sociale (INPS) con i dati di una coorte di residenti nella Capitale, seguiti dal 2001. Ragionevolmente questo studio "incrociato" potrà offrire importanti riflessioni sullo studio dell'associazione tra malattie muscolo-scheletriche e situazione occupazionale.

La crescente attenzione delle nostre realtà verso il patrimonio informativo dei dati registrati, proiettati verso i promettenti utilizzi dei *Big Data* è ben testimoniata dall'incoraggiante attenzione che le strutture sanitarie italiane ripongono investendo nel management dei dati e nelle data policies, al fine di valorizzare adeguatamente il dato raccolto definendo precise regole e criteri per la valorizzazione dello stesso.

Lungi dal demonizzare il futuro, i *Big Data* forniscono informazioni sul paziente che possono essere fruttuosamente integrate con i dati provenienti dalle realtà assistenziali o dalle aziende farmaceutiche e l'utilizzo dei *Big Data* è fortemente promettente nell'ambito dell'analisi predittiva, prescrittiva e della genomica. Una categoria di dati che, integrati ai dati sanitari, possono avere un ruolo nell'analisi predittiva sono i dati socio-economici, aspetti fortemente studiati in alcuni Paesi del Nord Europa, in relazione soprattutto alle patologie croniche.

Un esempio di come i fattori socio-economici influenzino la salute in maniera determinante e possano essere oggetto di importanti analisi predittive può essere rappresentato dall'associazione di un paziente da poco dimesso dall'ospedale con il codice postale di residenza. Qualora, per mezzo dei *Big Data*, si possa evincere che i soggetti residenti in tale area non sono tendenzialmente dotati di una vettura, si può ragionevolmente ipotizzare che alta è la possibilità che i soggetti ivi residenti e recentemente dimessi, presentino non poche difficoltà a presentarsi ad incontri di follow-up in uno studio medico distante più di qualche isolato. A tal proposito, alcuni sistemi sanitari hanno studiato che è più economico inviare un taxi a prelevare il paziente per l'appuntamento di follow-up che rischiare che il paziente non si presenti con probabile conseguente rischio di riammissione ospedaliera.

Passando all'ambito prescrittivo, utilizzare con massimo vantaggio i dati storici di pazienti con determinate condizioni può condurre a formulare algoritmi predittivi che predicano con elevata fedeltà il decorso di un paziente affetto dalla stessa condizione. Predetto con accuratezza il più che pro-

babile futuro percorso del paziente, si possono dunque avere gli strumenti per mettere in atto un'analisi prescrittiva ed intervenire per interrompere il percorso infausto del paziente, ponendolo sulla "giusta strada" di prevenzione, terapia idonea e follow-up.

Riguardo la genomica, uno dei problemi attuali non è rappresentato dal costo o dalla disponibilità dei test, sempre più bassi e diffusi, ma dallo stoccaggio del numero immane di informazioni che la genomica offre. Il vantaggio dell'utilizzo dei *Big Data* nella genomica è infatti fortemente legato alla grande quantità dei dati che possono essere analizzati nel genoma umano. Le sequenze genomiche sono files enormi e l'analisi del genoma genera ancora un numero maggiore di dati. Analizzarli con i *Big Data* è operativamente semplice; al contrario, caricare una sequenza genetica in un database relazionale (quelli correntemente utilizzati) richiederebbe, ad esempio, archivi separati solo per gestire la sequenza stessa.

I *Big Data* ben si prestano a tali importanti applicazioni, sebbene – è da sottolineare – ancora "futuristiche"; del resto, la tecnologia dei *Big Data* è ancora relativamente recente e quando i tools, le skills e la sicurezza raggiungeranno il loro potenziale, i sistemi sanitari potranno allora usufruirne con il massimo vantaggio.

Come i *Big Data* possono in definitiva creare valore? Aiutando a ripensare al modello di erogazione delle cure e dell'offerta, non andando a "foraggiare" indistintamente tutte le attività e prestazioni ma promuovendo l'investimento su quelle che, più di altre, producono valore.

5. La formazione e la cultura dei professionisti nell'era del valore

Punti chiave:

- La formazione dei professionisti sanitari è fondamentale per fornire ai cittadini assistenza sanitaria adeguata e di valore.
- La formazione deve essere multidisciplinare, interprofessionale, continua, indirizzata alla gestione del cambiamento ed incentrata sulle soft skill necessarie ad assumere ruoli di leadership all'interno del Sistema.
- Affinché il paziente sia davvero considerato al centro del Sistema Salute, si pone la necessità di sviluppare negli operatori sanitari una professionalità che abbia come caratteristica peculiare la relazione tra i professionisti e i pazienti, tra i professionisti e i caregiver e tra i professionisti con la rete di supporto al paziente.
- La misurazione degli esiti di salute (riferibili anche alla prospettiva del paziente) e la misurazione dei costi sono fondamentali in un sistema di assistenza basata sul valore. Gli esiti sono riferibili alla condizione presentata dal paziente e non a singole specialità; devono essere standardizzati tra diversi setting assistenziali in quanto riguardano l'intero ciclo di assistenza.

- Per fare in modo che il sistema renda conto socialmente (sia accountable) e abbia come obiettivo il miglioramento della salute sia riferita al singolo individuo (medicina personalizzata) che alla popolazione (medicina di popolazione), è necessaria una trasformazione dei servizi sanitari e del sistema educativo dei professionisti sanitari.

La necessità di fornire ai cittadini un'assistenza basata sul valore non può prescindere dal considerare fondamentale all'interno di un Sistema Sanitario il professionista ben formato, con un proprio bagaglio culturale e delle competenze che vadano ad integrarsi a quelle di altri professionisti, affinché il paziente venga posto sempre al centro e si riducano gli sprechi. Da questa premessa si evince come sia necessario lavorare sulla formazione e sulla cultura dei professionisti in modo sistematico, attraverso adeguata formazione che permetta di operare adeguatamente nei sistemi sanitari moderni. La Commissione sull'istruzione degli operatori sanitari nel XXI secolo descrive come il sistema educativo e quello sanitario siano in osmosi perfetta: il primo rifornisce il secondo di professionisti sanitari e, quando uno dei due sistemi vacilla, non tutte le potenzialità vengono sfruttate.

Si desume come il professionista perfetto sia quello che presenta un'alta specializzazione biomedica, una conoscenza base delle scienze biopsicosociali, per un inquadramento socio-psicologico del paziente, una comprensione generale delle scienze epidemiologiche e di sanità pubblica, una comprensione delle nuove tecnologie dell'informazione, ma anche una padronanza di *soft skill* quali comunicazione, capacità di pianificazione e gestione del tempo (programmazione), di collaborazione multidisciplinare e di soluzione dei problemi (*problem solving*). Ciò che dovrebbero fare i professionisti della salute nell'era del valore consiste nella mobilitazione e nella condivisione delle conoscenze, così da poter migliorare il sistema, orientandolo ad un approccio di popolazione. Per far ciò sono necessarie riforme sia in ambito educativo che istituzionale. L'apprendimento dovrà essere di tipo trasformativo e trans-professionale.¹⁸¹ L'apprendimento trasformativo presuppone lo sviluppo dell'attitudine alla leadership e ha come obiettivo quello di creare i protagonisti del cambiamento che agiscono all'interno del sistema portandolo all'evoluzione dei suoi paradigmi. L'apprendimento trasformativo rappresenta il livello più alto di tre livelli. Gli altri due livelli sono rappresentati dall'apprendimento informativo, relativo all'acquisizione di conoscenze e competenze necessario a creare degli esperti, e dall'apprendimento formativo, che ha lo scopo di produrre professionisti che agiscano riferendosi a dei valori ben stabiliti. L'apprendimento trans-professionale si attualizza quando studenti di due o più professioni diverse sono coinvolti in programmi educativi comuni che presuppongono l'interazione tra i discenti e la definizione dei propri ruoli all'interno di *équipe* multidisciplinari e multiprofessionali.

Altra caratteristica che un medico deve avere è l'imprenditorialità, per poter passare dal controllo delle risorse alla sistematica rendicontazione sociale (*accountability*) delle stesse. Sarà necessario, pertanto, integrare le capacità dei manager (pianificare, organizzare, implementare, monitorare e valutare) con quelle dei leader (osservare, focalizzarsi su una strategia, allineare e mobilitare gli *stakeholder* ed ispirarli) affinché si migliorino le condizioni lavorative, ed in toto il sistema, il quale sarà recettivo a rispondere al cambiamento fornendo sempre più interventi sanitari di qualità e migliorando complessivamente gli outcome di salute della popolazione di riferimento. Tali modifiche del sistema formativo in sanità concorrono a raggiungere gli obiettivi di un'assistenza sanitaria basata sul valore.

Ciò che imprescindibile in un sistema di *Value-based Health Care (VBHC)* è inoltre la misurazione di outcome, ai fini di poter fornire servizi sanitari improntati sul valore. Prima di procedere alla misura degli outcome, occorre però definire quali elementi andare a misurare, raccogliere i dati relativi, analizzarli e infine rendicontarli. A tal proposito, si riportano i principali secondo i quali deve avvenire la misurazione degli outcome:

- valutazione in merito ad una specifica condizione medica e non intorno a specialità, procedure o tecnologie;
- copertura dell'intero di ciclo di assistenza necessario per quella data condizione;
- attenzione alla prospettiva del paziente, quindi outcome di salute oggettivi ma anche soggettivi;
- attenzione alle condizioni iniziali del paziente e ai fattori di rischio per poter tenere in considerazione la variabilità fisiologica tra soggetto e soggetto;
- standardizzazione degli outcome tra diversi setting organizzativi così da permettere una valutazione continua tesa al miglioramento del Sistema.

Nell'ottica della VBHC, alla misurazione degli esiti va affiancata la misurazione dei costi. È necessario valutare quali sono le fasi del processo e le variazioni che non contribuiscono a migliorare i risultati di salute. Sulla base di ciò ridisegnare i processi, per ridurre gli sprechi economici e di tempo, ottimizzandoli all'interno di un ciclo di assistenza. Successivamente, vanno attenzionate le risorse interne al Sistema come i professionisti, facendo in modo di ridurre lo spreco da sottoutilizzo di risorse grazie ad strategie organizzative che mirano a tenere il paziente sempre al centro nel Sistema Salute.

Sintetizzando quanto detto, la creazione di servizi sanitari basati sul valore presuppone: una riorganizzazione dell'assistenza sulle condizioni del paziente, favorendo l'integrazione delle specialità e dei professionisti ed abolendo l'organizzazione in silos; la misurazione di outcome e costi per ogni paziente; la definizione di modelli di rimborso per l'erogazione basati sul valore e specifici per la

condizione come i cosiddetti *bundled-payments*; la creazione di percorsi assistenziali attraverso diversi setting assistenziali; la condivisione delle *best-practice* nell'ottica di produrre e guidare l'eccellenza; la creazione di piattaforme telematiche in grado di registrare tutti i dati raccolti e permetterne un loro utilizzo a fini di monitoraggio e valutativi.

Quanto detto induce a definire i due ambiti per una sanità di valore: la medicina personalizzata e l'approccio di popolazione. In entrambi gli ambiti, sia il paziente che la popolazione vengono posti al centro di un sistema sanitario basato sul valore. Gli attori operanti all'interno di un sistema di assistenza dovranno, pertanto: coinvolgere nel processo decisionale i pazienti in modo attivo; garantire l'*accountability* dei servizi erogati coinvolgendo in prima persona i fornitori di servizi; condividere la progettazione e la gestione dei percorsi ai fini dell'ottenimento di miglior outcome di salute; effettuare analisi di spesa per capire il valore degli interventi erogati alla luce degli outcome di salute ottenuti; rivolgersi a tutte le popolazioni incrementando le reti di servizi diretti alla popolazione governando anche le nuove tecnologie; infine, dovranno saper identificare i cambiamenti non necessari e quelli necessari al fine di ridurre gli sprechi ed erogare interventi di maggior valore.

Per approfondimenti:

- Berwick DM, Nolan TW, Whittington J. The triple aim: care, health, and cost. *Health Aff* 2008; 27:759-769.
- Kaplan RS, Porter ME. How to solve the cost crisis in health care. *Harv Bus Rev* 2011; 89:46-52.
- Muir Gray JA. Evidence-based healthcare: how to make health policy and management decisions. London: Churchill Livingstone, 53, 1997.
- Muir Gray JA, Ricciardi W. Per una sanità di valore. Iniziative Sanitarie, Collana SIMM n. 1, Roma, 2008.
- Muir Gray JA. How to get better value healthcare. Oxford Press, Oxford, 2011.
- Porter ME, Teisberg EO. Redefining health care: creating value-based competition on results. Harvard Business Press, Harvard 2006.
- Porter ME. What is value in health care? *New Engl J Med* 2010; 363:2477-2481.
- Ricciardi W, Atella V, Cricelli C, Serra F. La tempesta perfetta: il possibile naufragio del Servizio sanitario nazionale: come evitarlo? Vita e pensiero, Milano, 2015.

Bibliografia

1. Osservatorio nazionale sull'impiego dei medicinali. L'uso dei farmaci in Italia – Rapporto nazionale gennaio – settembre 2016, 2016.
2. Osservatorio sulla condizione assistenziale dei malati oncologici. 8° rapporto sulla condizione assistenziale dei malati oncologici, 2016.
3. EmiNet. Managed entry agreements for pharmaceuticals: the European experience, 2013.
4. Porter ME. What is value in health care? *New Engl J Med* 2010; 363(26):2477-2481.

5. OECD. Tackling wasteful spending on health. OECD Publishing, Paris, 2017.
6. Leroy R, et al. Hadron therapy in children—an update of the scientific evidence for 15 paediatric cancers. Health Technology Assessment (HTA) Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE), 2015.
7. Totten AM, et al. Telehealth: mapping the evidence for patient outcomes from systematic reviews, 2016.
8. Frenk J, et al. Health professionals for a new century: transforming education to strengthen health systems in an interdependent world. *Lancet* 2010; 376:1923-1958.