

## Analisi costo-utilità (CUA)

### ASPETTI FONDAMENTALI

La CUA nasce per ovviare ai limiti della CEA, per analizzare i risultati dei possibili interventi di salute prendendo come riferimento la qualità in termini di salute guadagnata o di problemi di salute evitati. La CUA presenta numerosi elementi di somiglianza con la CEA, ma a differenza di questa in cui i risultati degli interventi sanitari sono espressi in unità di misura naturali (numero infezioni da parto cesareo), nella CUA i risultati sono espressi in termini di “utilità”.

Dal punto di vista dell'economia sanitaria l'utilità indica lo stato di benessere che l'individuo è in grado di ottenere dall'utilizzazione di un servizio sanitario.

La CUA considera l'inclusione di outcome multipli e la loro valutazione viene effettuata in base alla loro desiderabilità.

### QUANDO SI UTILIZZA?

La CUA si utilizza nel momento in cui la scelta di un determinato intervento deve essere fatta non solo in funzione dell'obiettivo quantitativo raggiunto ma anche dell'**obiettivo qualitativo** (misura dell'utilità). Ad esempio, nel confrontare programmi alternativi per il trattamento dei problemi di funzionalità renale, non ci si aspetta che i diversi programmi abbiano effetto sulla mortalità, piuttosto l'interesse si concentrerà su come i diversi programmi migliorano il benessere fisico (funzionalità renale), psichico (dolore, condizionamenti) e sociale (ritorno alla normalità nella vita sociale).

Altri casi in cui si preferisce impiegare la CUA sono quelli per i quali è importante **valutare il disagio connesso ad un intervento con i benefici a distanza di tempo** utilizzando una misura comune di tipo qualitativo (ad es., il miglioramento della qualità della vita nel lungo periodo rispetto alla riduzione di qualità della vita nel breve periodo per i pazienti oncologici, oppure la qualità della vita per i pazienti dializzati rispetto ai trapianti di rene).

Infine la CUA viene utilizzata per **confrontare programmi sanitari con effetti molto diversi**, per cui è necessario identificare un'unità di misura comune per effettuare il confronto.

### COSA VALUTA?

La CUA permette di confrontare programmi diversi con effetti diversi, facendo ricorso a misure di “utilità”. **Una soluzione proposta dagli economisti per**

**misurare l'utilità è il QALY**, che esprime gli anni di vita pesati con le preferenze che gli individui associano per un anno di vita vissuto in una particolare condizione di salute. Le preferenze, espresse su scale continue con valori da zero (morte) a uno (completo benessere), sono rilevate sulla base di metodologie standard (*rating scale*, *standard gamble*, *time trade-off*, questionari di preferenze associate alla qualità della vita).

Oltre ai QALY, che risultano tuttora essere le misure a più diffusa utilizzazione, sono state messe a punto altre misure, tra cui: *Health Utility Index*, *Quality of Well Being*, e *EuroQol*.

### QUALI SONO I DATI DA UTILIZZARE?

Tutte le considerazioni effettuate per la CEA riguardo i riferimenti alla letteratura scientifica, alle indagini *ad hoc* ed alle opinioni di esperti del settore valgono anche per la CUA.

I dati specifici per la CUA includono oltre ai dati di costo delle diverse alternative, anche le informazioni qualitative relative agli effetti oggetto della valutazione (tempo di vita "guadagnato" suddiviso in base agli outcome per ogni alternativa).

Per la misurazione dei QALY è necessario disporre dei pesi della qualità che rappresentano la qualità della vita riferita agli stati di salute oggetto dell'analisi. Nella tabella 5 è riportato un esempio tratto dalla letteratura di valori di preferenze espresse in relazione a stati di salute ben definiti. Il valore rappresenta la preferenza espressa per un anno di vita vissuta in tali condizioni: da notare che i valori variano da 1 (buona salute) a zero (morte), mentre in fondo alla tabella si notano dei valori inferiori a zero (la preferenza espressa per tali stati di salute è inferiore alla morte).

### I RISULTATI

Le valutazioni CUA che utilizzano i QALY possono confrontare il numero di QALY ottenibili da un uso alternativo delle risorse, oppure i costi necessari per raggiungere un determinato numero di QALY.

Nella tabella 6 sono riportati i risultati di uno studio dal quale sono rilevabili le misure di utilità di diversi interventi. Queste misure possono essere spiegate solo in relazione al contesto sociale, culturale e politico in cui sono state effettuate.

### LIMITI

Il limite di questa applicazione è rappresentato dalla **difficoltà di trovare scale di utilità** (preferenze associate ad ogni condizione di salute e risultati in termini di tempo guadagnato dall'implementazione dei diversi programmi) **capaci**

TABELLA 5. VALORI DI UTILITÀ PER DIFFERENTI STATI DI SALUTE

| Stato di salute  | Utilità   |
|--|-----------|
| Buona salute   | 1,00      |
| Vita vissuta con i sintomi da menopausa                              | 0,99      |
| Effetti collaterali trattamento ipertensione                         | 0,95-0,99 |
| Angina lieve   | 0,90      |
| Trapianto di rene  | 0,84      |
| Angina moderata  | 0,70      |
| Alcune limitazioni fisiche e di ruolo sociale con dolore occasionale | 0,67      |
| Dialisi ospedaliera (paziente in dialisi)                            | 0,59      |
| Dialisi ospedaliera (popolazione generale)                           | 0,56      |
| Angina grave   | 0,50      |
| Ansia, depressione e solitudine per la maggior parte del tempo       | 0,45      |
| Cieco o sordo o muto   | 0,39      |
| Costretto in un letto di ospedale                                    | 0,33      |
| Aiuto meccanico per camminare e disabilità nell'apprendimento        | 0,31      |
| Morto  | 0,00      |
| Paraplegico, cieco e depresso  | < 0,00    |
| Costretto a letto con forte dolore                                   | < 0,00    |
| Incosciente  | < 0,00    |

Modificata da Torrance, 1987

TABELLA 6. COSTI PER QALY PRODOTTO

| Trattamento                                     | Costo per QALY prodotto<br>(in sterline 1990) |
|---|---|
| Emodialisi ospedaliera per insufficienza renale | 19000   |
| By-pass coronarico, angina moderata             | 16400   |
| Trattamento farmacologico per colesterolo       | 13500   |
| Trapianto di cuore                              | 6700  |
| Trapianto di rene                               | 4000  |
| By-pass coronarico angina grave                 | 1090  |
| Protesi d'anca                                  | 1030  |
| Dieta ipocolesterolemizzante                    | 176   |

Modificata da Ovreteit, 1998

**di stimolare un consenso effettivo e diffuso per le diverse applicazioni.** Non sono del tutto chiari in letteratura (Drummond et al, 2000) alcuni problemi di costruzione e validazione dei QALY con riferimento ai meccanismi di attribuzione delle preferenze (tipo di malattia, età, professione). Inoltre, i QALY rispondono ad una caratteristica additiva, per cui 2 QALY guadagnati da quattro persone vengono valutati in misura sfavorevole se confrontati con 4 QALY guadagnati da una persona. Le implicazioni etiche di questo tipo di approccio suggeriscono cautela nell'impiego della CUA.

#### ESEMPIO DI APPLICAZIONE

L'esempio di applicazione della CUA è sviluppato a partire da una pubblicazione (Cavallo, Sassi, Geraci, 1995) che analizza il rapporto costo-utilità collegato al dimensionamento dei posti letto della terapia intensiva di un grande ospedale universitario. Lo studio confronta costi e risultati del trattamento di pazienti con ictus cerebrale ricoverati in terapia intensiva e in altri reparti affini, valutando la sopravvivenza ed il cambiamento della qualità della vita conseguente ai trattamenti.

Nella struttura ospedaliera si verifica un numero di richieste di ricovero in terapia intensiva superiore rispetto alla disponibilità di posti letto e si desidera verificare la possibilità che pazienti affetti da ictus cerebrale possano essere trattati in maniera adeguata anche in reparti differenti, qualora le condizioni del paziente lo consentano, riservando i posti di cure intensive ad altre richieste provenienti da pazienti più gravi.

Un anestesista che lavora nel reparto di rianimazione si rende conto che vi è una disponibilità di letti inferiore alle effettive richieste di ricovero. Secondo l'anestesista tale situazione è dovuta, almeno in parte, all'uso improprio dei letti disponibili.

Difficilmente un paziente in gravi condizioni viene trasferito in un reparto di terapia non intensiva, tuttavia, l'accettazione di pazienti non viene effettuata in modo del tutto "razionale". Infatti, a seconda degli orari, della disponibilità dei posti letto, della richiesta dei parenti, i pazienti ricoverati per sospetto di ictus cerebrale vengono ricoverati in reparti diversi senza considerare la differenza in termini di efficacia dei trattamenti, di qualità della vita futura, di costo-utilizzazione delle diverse tipologie di ricovero, di costo-opportunità (esclusione di pazienti che potrebbero beneficiare maggiormente dei trattamenti intensivi).



Il dubbio che l'utilizzazione dei posti di terapia intensiva per i casi di sospetto ictus cerebrale sia non del tutto appropriata porta il nostro anestesista a consultare la letteratura scientifica sia medica sia economica sull'argomento. L'anestesista decide di effettuare uno studio che tenga conto degli effetti che la terapia intensiva produce sulla quantità e sulla qualità della vita dei pazienti affetti da ictus cerebrale: il modello di analisi che consente questo tipo di valutazione è la CUA. L'identificazione della casistica da esaminare viene effettuata prendendo in considerazione i casi di ictus emorragico (ICD9 – 431-2) negli ultimi 6 mesi. I pazienti con diagnosi principale di ictus emorragico vengono ricoverati alternativamente in terapia intensiva o nel reparto di medicina generale. Pertanto, la rilevazione delle informazioni viene effettuata consultando i registri del reparto di cure intensive e di medicina generale. I risultati, a sei mesi di distanza, sono quelli espressi nella tabella 7.

TABELLA 7. DISTRIBUZIONE DEI CASI DI ICTUS EMORRAGICO RICOVERATI NEI DUE REPARTI NEI SEI MESI DI OSSERVAZIONE

|                              | Terapia intensiva | Medicina generale |
|------------------------------|-------------------|-------------------|
| Pazienti ricoverati          | 27                | 18                |
| Morti durante ricovero       | 15                | 10                |
| Vivi al follow-up semestrale | 6                 | 5                 |

Come metodologia per misurare i risultati del trattamento vengono scelti i tassi di mortalità e sopravvivenza pesati per la qualità della vita rilevata al follow-up semestrale e confrontata con la qualità della vita prima del ricovero.

Dopo aver vagliato le diverse misure di qualità della vita, il nostro anestesista decide di utilizzare la Scala di disabilità-distress, che riportiamo nella tabella 8.

TABELLA 8. SCALA DI DISABILITÀ – DISTRESS

|            |                               | Distress     |            |                 |             |
|------------|-------------------------------|--------------|------------|-----------------|-------------|
| Disabilità |                               | Nessuna<br>A | Lieve<br>B | Intermedia<br>C | Severa<br>D |
|            |                               |              |            |                 |             |
| I          | Nessuna                       | 1,000        | 0,995      | 0,990           | 0,960       |
| II         | Leggera disabilità sociale    | 0,990        | 0,986      | 0,973           | 0,932       |
| III        | Grave disabilità sociale      | 0,980        | 0,972      | 0,956           | 0,912       |
| IV         | Gravi limiti al comportamento | 0,964        | 0,956      | 0,942           | 0,870       |
| V          | Impossibile lavoro o scuola   | 0,946        | 0,935      | 0,900           | 0,700       |
| VI         | Fermo in poltrona             | 0,875        | 0,845      | 0,680           | 0,000       |
| VII        | Fermo a letto                 | 0,677        | 0,564      | —               | -1,486      |
| VIII       | Inconscio                     | -1,028       | *          | *               | *           |

Modificata da Rosser e Kind, 1972; \* Non applicabile.

Secondo questa scala i pazienti sono valutati sulla base di quattro livelli di distress (reazione psicologica individuale alla malattia) e otto livelli di disabilità (disfunzioni obiettive e limitazioni fisiologiche dovute alla malattia). La qualità di vita dei pazienti viene misurata in base ad un questionario che consente di identificare la combinazione disabilità-distress.

A causa della variabilità della severità della malattia, si decide di stratificare la casistica facendo ricorso alla SAPS (Simplified Acute Physiology Scale) (tabella 9).

**TABELLA 9. GRUPPI DI PAZIENTI SUDDIVISI PER LIVELLO DI SAPS**

| Gruppo   | Indicatori                                   | Terapia intensiva | Medicina generale |
|----------|--|-------------------|-------------------|
| Gruppo 1 | Pazienti                                     | 8                 | 12                |
|          | Decessi (%)                                  | 62,5              | 62,0              |
|          | Differenza qualità della vita pre/post ictus | - 0,048           | - 0,210           |
|          | Valore medio di SAPS                         | 8,37              | 6,16              |
| Gruppo 2 | Pazienti                                     | 9                 | 6                 |
|          | Decessi (%)                                  | 77,7              | 100               |
|          | Differenza qualità della vita pre/post ictus | - 0,022           | Nil               |
|          | Valore medio di SAPS                         | 14,10             | 12,50             |
| Gruppo 3 | Pazienti                                     | 10                | Nil               |
|          | Decessi (%)                                  | 90,0              | Nil               |
|          | Differenza qualità della vita pre/post ictus | - 0,010           | Nil               |
|          | Valore medio di SAPS                         | 19,10             | Nil               |

I questionari somministrati ai pazienti vengono classificati in base a tre livelli:

- SAPS < 10 per pazienti non gravemente malati;
- SAPS tra 10 e 15 per pazienti gravi;
- SAPS > 15 per pazienti molto gravi.

Moltiplicando la ridotta attesa di vita post-ictus per il valore di qualità derivata dalla scala utilizzata, si ottiene una misura di utilità definita QALE (Quality Adjusted Life Expectancy). Non vengono presi in considerazione i QALY in quanto le aspettative di vita dei pazienti sono diverse ed i campioni sono troppo esigui per effettuare una standardizzazione delle variabili (tabella 10). Per portare avanti l'analisi si decide di adottare il punto di vista della società e, poiché le due alternative non modificano i costi indiretti per le famiglie o per

la società si prendono in considerazione solamente i costi diretti. Questi sono rilevati grazie all'impiego della contabilità analitica per centro di costo sviluppata all'interno dell'ospedale (tabella 11).

**TABELLA 10. MEDIA DELLA RIDUZIONE IN QALE**

| Gruppi SAPS | Pazienti      | Terapia intensiva | Medicina generale |
|-------------|---------------|-------------------|-------------------|
| < 10        | Morto         | - 34,47           | - 17,66           |
|             | Sopravvissuto | - 1,26            | - 0,96            |
| 10 – 15     | Morto         | - 22,56           | - 11,99           |
|             | Sopravvissuto | - 1,28            | Nil               |
| > 15        | Morto         | - 32,59           | Nil               |
|             | Sopravvissuto | - 0,01            | Nil               |

**TABELLA 11. COSTI DIRETTI DEI PAZIENTI CON ICTUS CEREBRALE EMORRAGICO (ESPRESSI IN EURO)**

|                         | Terapia intensiva | Medicina generale |
|-------------------------|-------------------|-------------------|
| Terapia                 | 29487             | 2667              |
| Personale               | 101295            | 9903              |
| Attrezzature principali | 7832              | 180               |
| Generali                | 63059             | 94969             |
| Totali                  | 201673            | 107719            |



C'è una notevole differenza fra i costi dei ricoveri nei due reparti. A questo livello di analisi si evidenzia che, nella prima classe di SAPS, i pazienti potrebbero essere trasferiti dalla terapia intensiva in medicina generale con minimi effetti in termini di mortalità (che anzi risulta leggermente migliore nel reparto di medicina) e sull'aspettativa di vita futura, ma con effetti considerevoli in termini di riduzione dei costi (costi per paziente terapia intensiva > medicina generale) e di aumento della relativa disponibilità di posti letto.

Le difficoltà dell'analisi sono dovute alla mancanza di valori in letteratura relativi all'aspettativa di vita dei pazienti colpiti da ictus cerebrale emorragico e alle preferenze espresse per le condizioni di vita seguenti l'ictus emorragico. L'esempio di CUA, così come spesso accade nella realtà, non porta a risultati apprezzabili per mancanza dei dati o impossibilità a rilevarli (nel caso in esame non è possibile effettuare un trial randomizzato in quanto i pazienti

devono, per legge oltre che per evidenti ragioni etiche, essere indirizzati verso la struttura di cura più idonea).

Lo studio del nostro anestesista continua con la costruzione di un modello e la simulazione con pazienti aventi le stesse caratteristiche cliniche sia per la terapia intensiva sia per la medicina generale: ora è possibile calcolare i QALY e dare un risultato maggiormente significativo.

I risultati della simulazione mostrano che i pazienti del primo gruppo (SAPS <10) beneficiano maggiormente del ricovero in medicina generale ed hanno un costo per QALY più basso rispetto al corrispondente in terapia intensiva. Nel secondo gruppo (SAPS fra 10 e 15) i pazienti beneficiano di un numero di QALY più alto, e di un prezzo per QALY più basso; nella terza classe (SAPS > 15) per i casi in cui non si vede alternativa alla terapia intensiva, i pazienti, anche in termini di QALY, beneficiano in maniera molto più consistente del ricovero in terapia intensiva.

