

Genova, 10 aprile 2019

L'Organizzazione per approccio  
multidisciplinare e reti alla base delle  
organizzazioni sanitarie moderne:  
efficacia ed efficientamento

Paolo Bruzzi - Genova

# Tesi

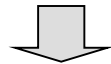
In qualsiasi sistema assistenziale esiste un **conflitto inevitabile** (e non mascherabile) tra i desideri e le esigenze del paziente e le scelte che il sistema stesso e' costretto a fare

Il disagio dell'operatore sanitario, nasce dal dover rispondere individualmente a questi due poli di interessi contrastanti

La rete assistenziale puo' gestire questi conflitti in modo piu' efficiente rispetto al singolo operatore

# Decisione Clinica Tradizionale: 'SCIENZA E COSCIENZA'

- **SCIENZA:** Opinione (indipendente) del medico
- **COSCIENZA:** Esclusivo interesse del paziente (stabilito dal medico)



**CONTRATTO TERAPEUTICO**

# Elementi cruciali del contratto terapeutico tradizionale

## Decisione

- Rapporto medico-paziente di tipo paternalistico (fiduciale e **individuale**)

## Coscienza

- Indipendenza del medico da condizionamenti esterni (finanziari, strutturali, etc.)

## Scienza

- **OPINIONE DEL MEDICO**

# CONSEGUENZE

- Comportamenti eterogenei tra medici
- Garanzie per il paziente?
- Valore della competenza del singolo medico
- Competenza ?
- **COSTI?**

# A PARTIRE DAGLI ANNI 80'



Decisione Clinica  
in  
'SCIENZA  
E  
COSCIENZA'

Evidence  
Based  
Medicine

# Evidence-based Medicine

Sforzo collettivo della comunità medica per rifondare la pratica della medicina su principi scientifici.

**Il suo aspetto qualificante è la valutazione critica e l'utilizzo di tutte le informazioni disponibili utilizzando criteri, sia qualitativi che quantitativi, espliciti e riproducibili**

(Revisione Sistemática)

# Breve Glossario EBM

- Efficacia
- Appropriatazza
- Efficienza
- “Evidence” (Prove di efficacia)



# Efficacia

Dizionario Google;

Capacità di produrre l'effetto e i risultati voluti o sperati

**DA CHI?**

# Efficacy vs Effectiveness

- **Efficacy** is the extent to which an intervention does more good than harm under ideal circumstances
- **Effectiveness** assesses whether an intervention does more good than harm when provided under usual circumstances of healthcare practice

Cochrane AL. Effectiveness and efficiency: random reflection on health services. London: Nuffield Provincial Hospitals Trust; 1972.

# Breve Glossario EBM

- Efficacia
  - Efficacy -> in condizioni ottimali
  - Effectiveness -> in condizioni routinarie

# Breve Glossario EBM

- Efficacia
- Appropriatazza -> Fare la cosa giusta al momento giusto -> RISPARMIO???



*DIPARTIMENTO DELLA PROGRAMMAZIONE E DELL'ORDINAMENTO  
DEL SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE*

*DIREZIONE GENERALE DELLA PROGRAMMAZIONE SANITARIA  
Ufficio III ex D.G.PROGS*

**Manuale di formazione  
per il governo clinico:  
Appropriatezza**

Il presente corso costituisce il secondo modulo del programma formativo predisposto dall'Ufficio III della Direzione generale della Programmazione sanitaria del Ministero della salute, in condivisione con Fnomceo e Ispasvi, predisposto sulla base di un documento prodotto dall'Agenzia Sanitaria e Sociale regionale della Regione Emilia-Romagna..

Il *buon funzionamento* dei sistemi sanitari tradotto in termini di efficacia, efficienza, equità e la loro tenuta, sempre più spesso, si rapporta alla capacità di determinare e identificare le cure necessarie, minimizzando fenomeni di inappropriatazza.

La responsabilità di tutelare il servizio sanitario nazionale, pone, infatti, la necessità di focalizzare alcune priorità tra cui la valutazione dell'efficacia, la riorganizzazione delle modalità e dei setting di erogazione delle cure, la realizzazione di meccanismi di integrazione e coordinamento ai vari livelli del sistema nonché la continua interazione con la collettività e la partecipazione attiva dei pazienti.

L'aumento dei costi sanitari, inoltre, contestualmente all'esigenza di promuovere qualità e sicurezza, colloca la valutazione dell'appropriatezza al centro delle politiche sanitarie nazionali, regionali e locali.

È ormai diffusa la cognizione che l'appropriatezza delle cure può essere misurata e costituire quindi la base per compiere le scelte migliori sia per il singolo paziente sia per la collettività.

Tuttavia il ricorso inappropriato ad alcune prestazioni, come l'utilizzo improprio dei ricoveri ospedalieri è ancora molto esteso e ciò, sommato ai differenti livelli di qualità dei servizi sanitari sul territorio nazionale, rappresenta un fattore di criticità da non sottovalutare ai fini della sostenibilità del sistema e della sua equità. Il ruolo dei professionisti che operano sul campo è fondamentale per raggiungere livelli sempre più elevati di appropriatezza clinica ed organizzativa e pertanto va promosso e sviluppato. In tal senso, il presente corso si pone come supporto agli operatori sanitari per approfondire le proprie conoscenze sul tema dell'appropriatezza clinica ed organizzativa.

## L'appropriatezza

comporta implicazioni dirette e indirette riguardanti

la procedura corretta sul paziente *giusto* al momento opportuno e nel *setting* più adatto

### Definizione RAND:

una procedura è appropriata se:

*il beneficio atteso (o) es. un aumento della aspettativa di vita, il sollievo dal dolore, la riduzione dell'ansia, il miglioramento della capacità funzionale) supera le eventuali conseguenze negative (ad es. mortalità, morbosità, ansia, dolore, tempo lavorativo perso) con un margine sufficientemente ampio, tale da ritenere che valga la pena effettuarla*

*“i risultati di un processo decisionale che assicura il massimo beneficio netto per la salute del paziente, nell'ambito delle risorse che la società rende disponibili”*

# NHS

*Una cura appropriata consiste nella selezione, sulla base degli interventi di cui è stata dimostrata l'efficacia per un determinato disturbo, dell'intervento con la maggiore probabilità di produrre gli esiti di salute attesi da quel singolo paziente. ... Devono essere disponibili le competenze tecniche e tutte le altre risorse necessarie alla realizzazione di una prestazione con uno standard sufficientemente elevato. .... Ai pazienti dovrebbero essere fornite adeguate informazioni sul range degli interventi di provata efficacia pratica. Le loro preferenze sono centrali nella scelta dell'intervento appropriato tra quelli conosciuti come efficaci.. L'appropriatezza degli interventi sanitari deve anche essere considerata all'interno dell'attuale contesto sociale e culturale e rispetto alla giustizia nell'allocazione delle risorse*



La tabella sottostante presenta le principali definizioni di appropriatezza proposte dalla letteratura internazionale

Studio/Fonte	Paese	Elementi chiave della definizione	Aspettativa
Woodward et al (1984)	USA	Effetti positivi attesi per il paziente	Paziente
Hopkins (1993)	UK	Maggiore probabilità di ottenere gli esiti di salute attesi al singolo paziente Accettabilità delle modalità dell'intervento da parte del paziente Scelta dell'intervento appropriato coinvolgendo il paziente e tenendo conto non solo degli esiti di salute ma anche dei rischi Deve tenere conto delle risorse disponibili, del contesto sociale e culturale	Paziente Sistema sanitario Società
Sharpe et al. (1996)	USA	Benefici clinici attesi per il paziente. Rapporto costi-benefici tale da consentire l'erogazione dei servizi in uno (specifico) contesto di risorse limitate.	Paziente Società
Zanetti et al. (1996)	Italia	Accettabilità e pertinenza rispetto a persone, circostanze e luogo, conoscenza	Paziente Sistema sanitario Società
Morosini (1999) Morosini, Ferraro (2001)	Italia	Benefici attesi superiori alle conseguenze negative. Deve tenere conto dei costi. Incrementa il processo decisionale, chiama in gioco il giudizio clinico Livello organizzativo di effettuazione dell'intervento più gradito dall'utente e/o meno costoso	Paziente Sistema sanitario
RAND (2000)	USA, WHO Europe	Benefici attesi superiori alle possibili conseguenze negative	Paziente
Berti et al. (2004)	Italia	Beneficio effettivo per il paziente in ragione delle condizioni cliniche Quantità di risorse impiegate Contesto organizzativo dell'intervento	Paziente Sistema sanitario
Vasselli et al. (2005)	Italia	Erogazione dell'intervento secondo il quadro clinico del paziente e anche variabili non strettamente cliniche (qualità di vita) Erogazione dell'intervento nel momento giusto e secondo il regime organizzativo adeguato Deve tenere conto del contesto culturale e organizzativo del paziente e dell'operatore; deve tenere conto delle risorse	Paziente Operatore Sistema sanitario Società
Cinotti et al. (2005)	Italia	Intervento efficace per il singolo paziente Rispetto delle preferenze individuali e dei valori culturali e sociali Livello organizzativo di assistenza più idoneo	Paziente Sistema sanitario Società
Kelley, Hurst (2006)	OECD	Rilevanza rispetto ai bisogni clinici	Paziente
Ministero salute (2006)	Italia	Intervento correlato al bisogno del paziente o della collettività Erogazione dell'intervento secondo modi e tempi adeguati Bilancio positivo tra benefici, rischi e costi	Paziente Collettività Sistema sanitario
Tonelli (2008)	Italia	Compendia in sé efficacia ed efficienza ed è al tempo stessa considerata accettabile da chi riceve e da chi eroga le cure.	Paziente Sistema sanitario

# Breve Glossario EBM

- Efficacia
- Appropriatazza -> Fare la cosa giusta al momento giusto -> ~~RISPARMIO???~~

Giusta per chi?

# Breve Glossario EBM

- Efficacia
- Appropriatazza
  - **Clinica**
  - **Organizzativa?**

# Breve Glossario EBM

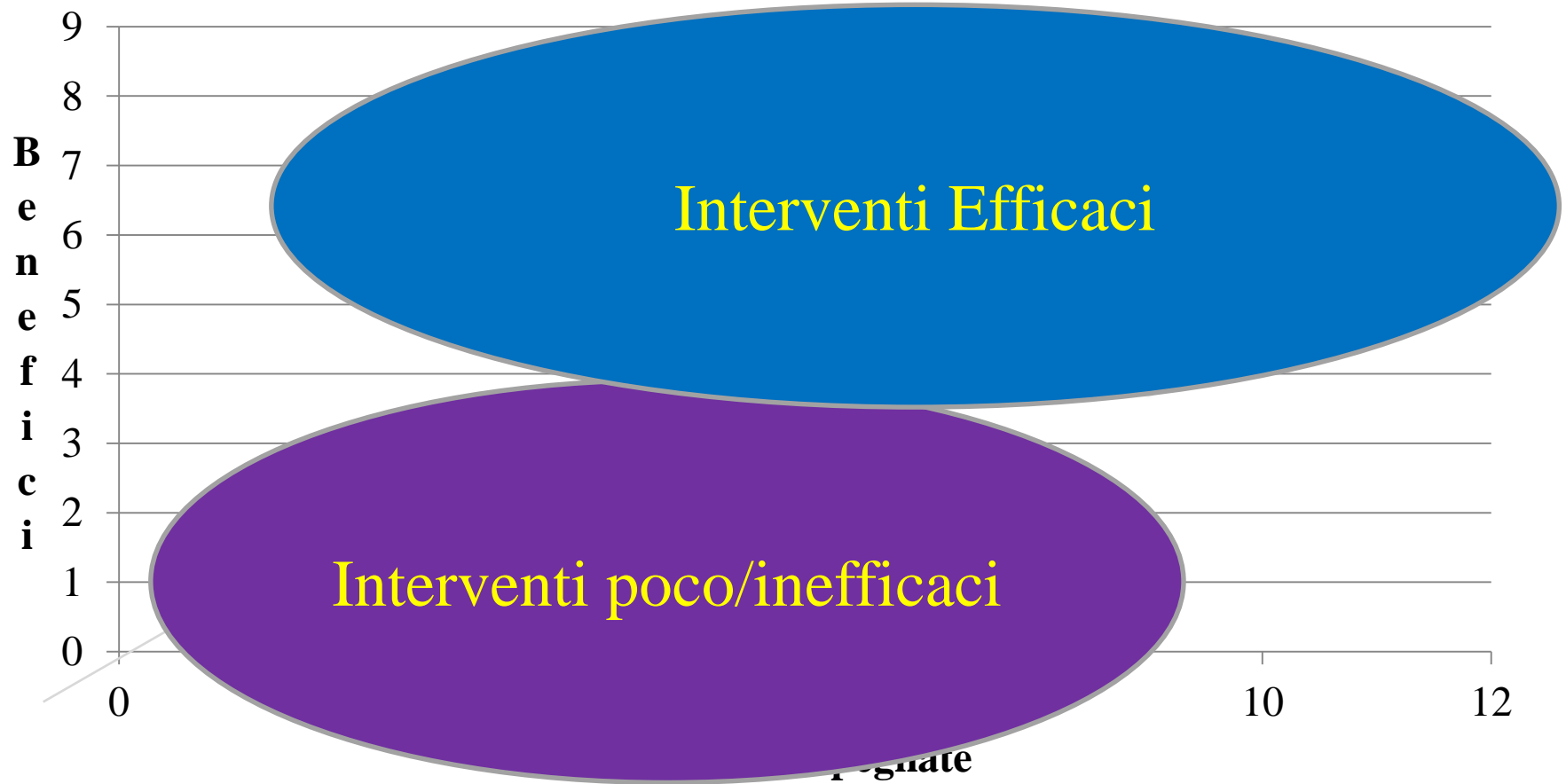
- Efficacia
- Appropriatazza
  - **Clinica**                      Prestazione -> Efficacy
  - **Organizzativa?**              Setting -> Costi-Benefici->  
Effectiveness

# Breve Glossario

- Efficacia
- Appropriatelyzza
- Efficienza

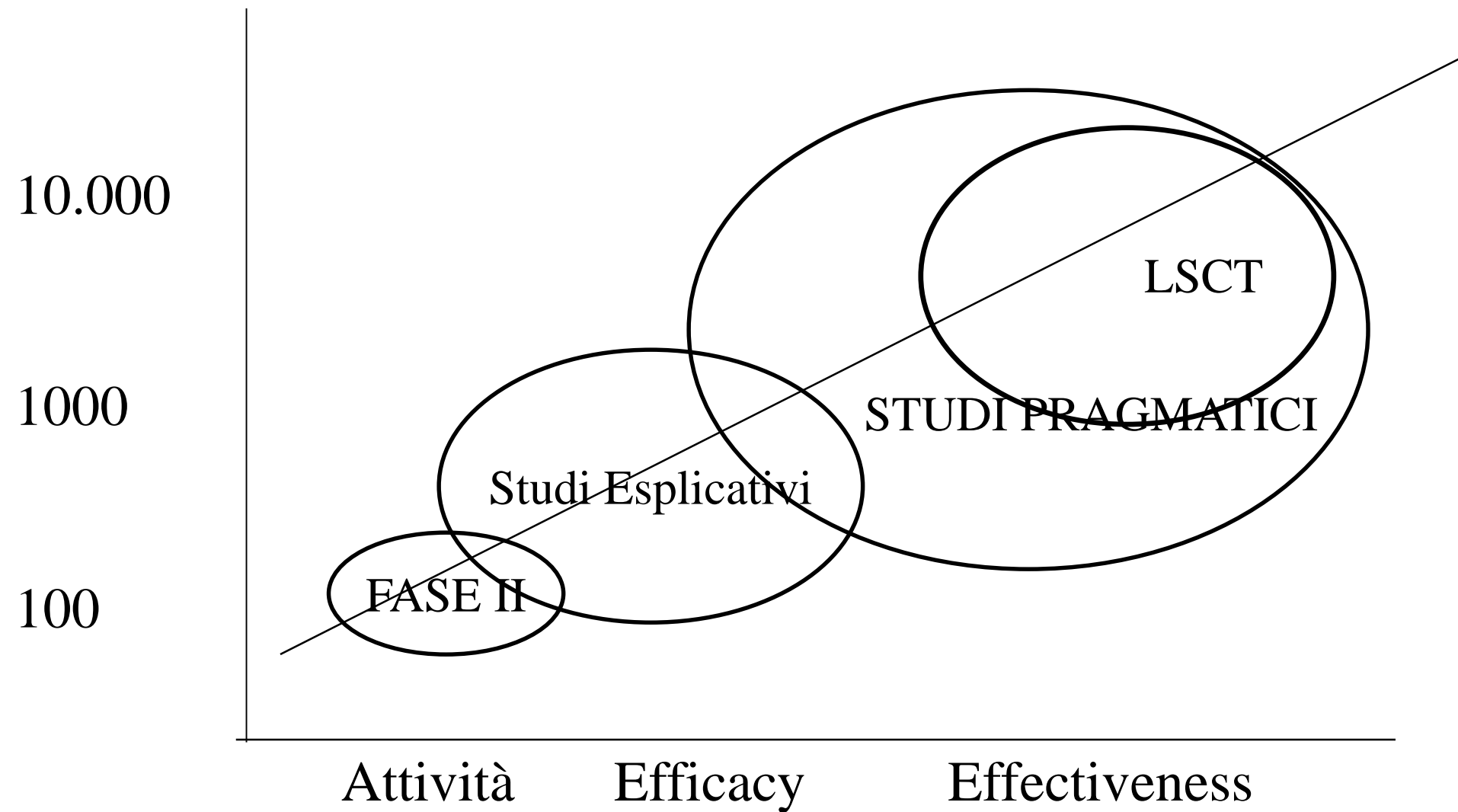
Rapporto tra risorse impegnate e risultati ottenuti

# Efficienza



# Breve Glossario EBM

- Efficacia
- Appropriatazza
- Efficienza
- “Evidence” (Prove di efficacia)





10.000  
1000  
100

Attività      Efficacy      Effectiveness

FASE II

Studi di fase III

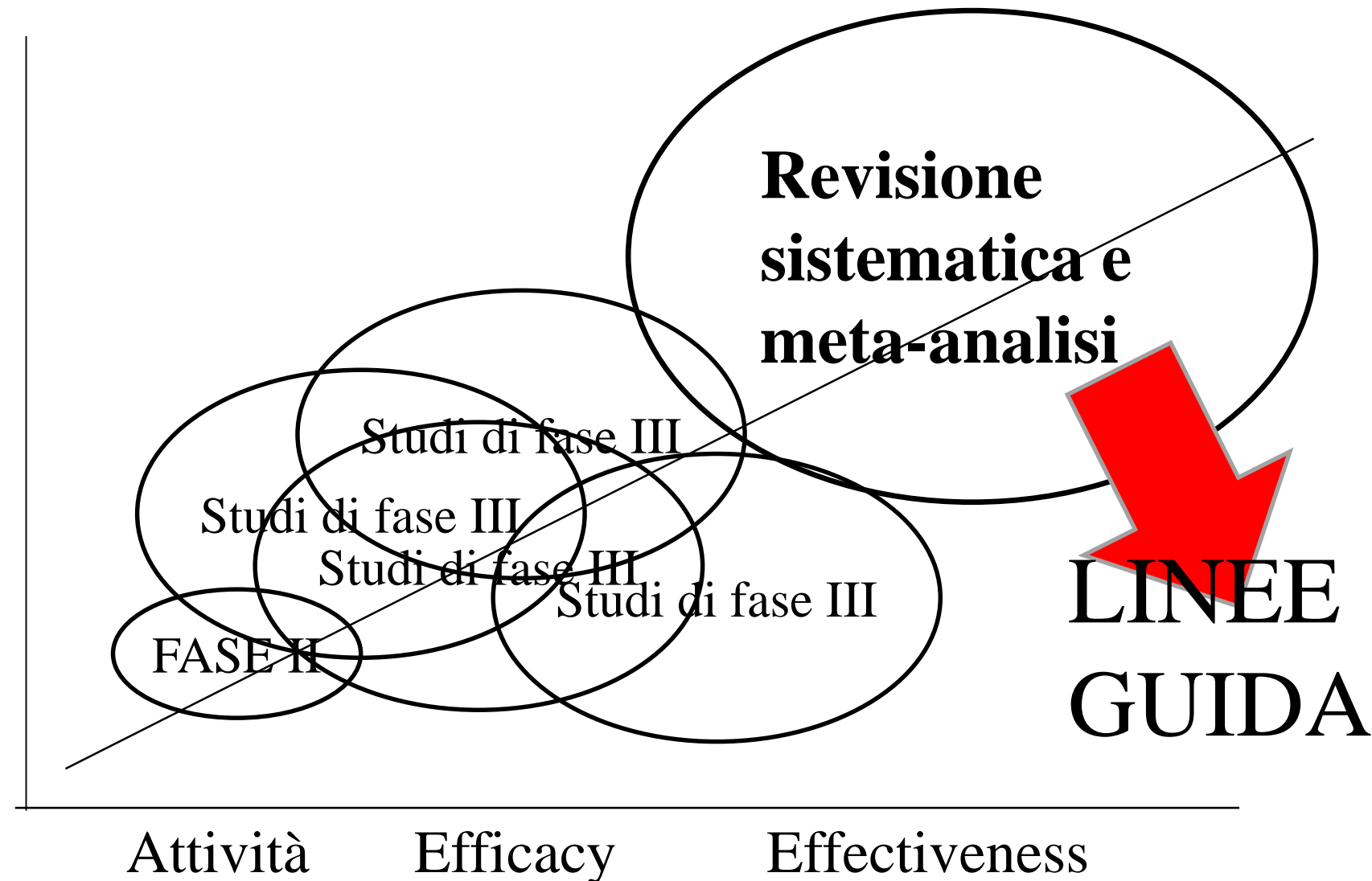
Studi di fase III

Studi di fase III

Studi di fase III

**Revisione  
sistematica e  
meta-analisi**

**LINEE  
GUIDA**



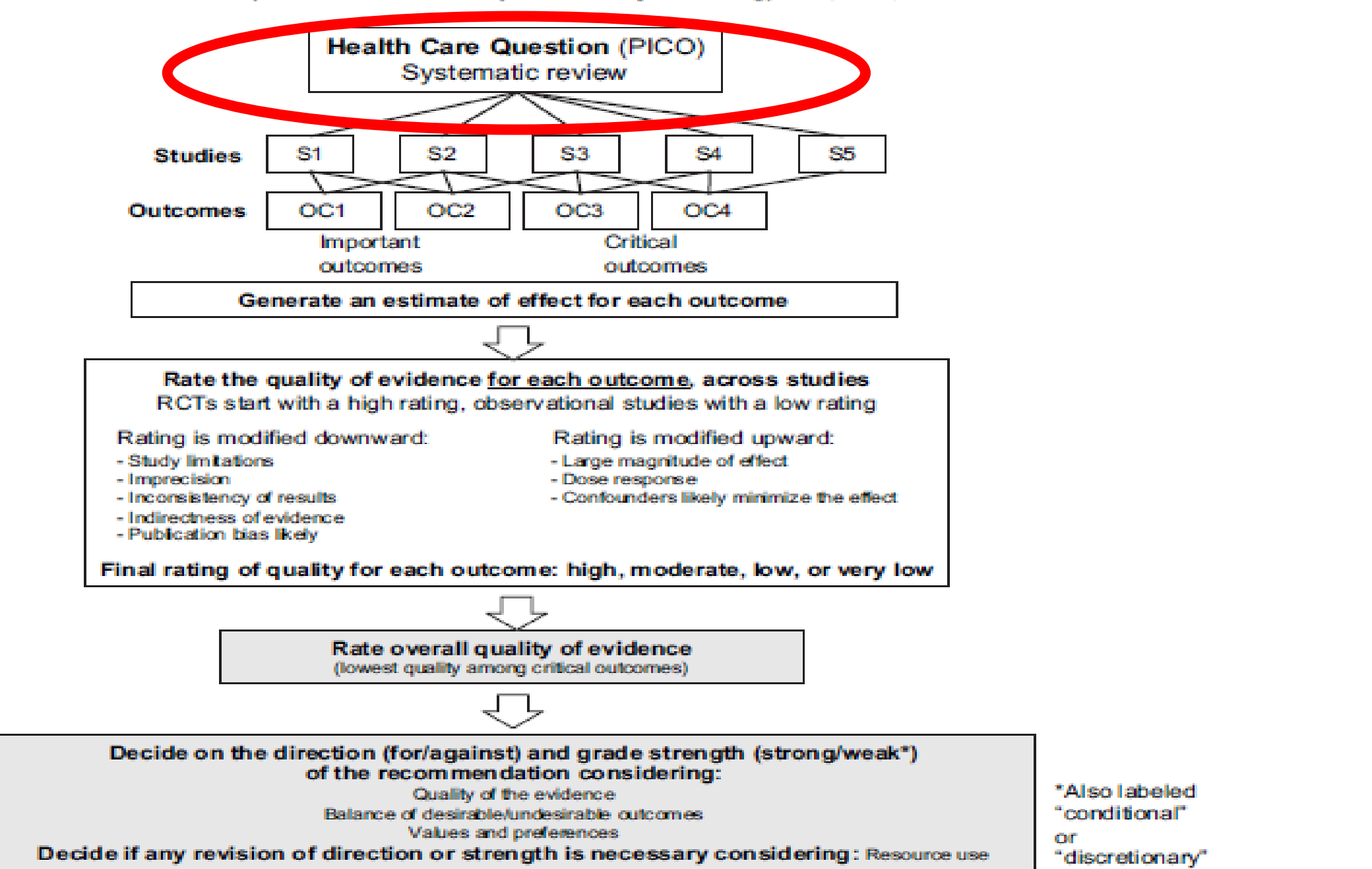
# Raccomandazioni Cliniche

## Il metodo **GRADE**

(Grading of Recommendations Assessment,  
Development and Evaluation;)

The (GRADE ) approach = a system for rating quality of evidence and strength of recommendations: Explicit, Comprehensive, Transparent, Pragmatic:

it is increasingly being adopted by organisations worldwide



Diagrammatic view of GRADE's process for developing recommendations. *Abbreviation:* RCT, randomized controlled trials.

# Evidence Based Medicine: cosa molti credono che sia

- Trials randomizzati
  - di grosse dimensioni
  - (in doppio cieco)
- Revisioni Sistematiche ->Meta-analisi
- Grade -> Linee Guida
- Protocolli, Indicazioni, Prontuari  
=COOKBOOK MEDICINE

# Evidence Based Medicine

## Cosa e' realmente

The integration of best research evidence with  
clinical expertise and patient values

Sackett DL et al

# Evidence Based Medicine

- The integration
- of best research evidence
- with clinical expertise
- and patient values

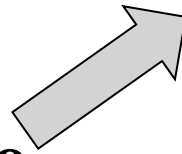
# Evidenze rilevanti per il caso clinico sul quale si deve decidere?

- RCT in pazienti simili
- RCT in pazienti diversi (es. più giovani)
- RCT in patologie diverse ma simili
- Studi di tossicità in pazienti con altre patologie
- Trials non controllati
- Case Reports → Expertise
- Studi osservazionali

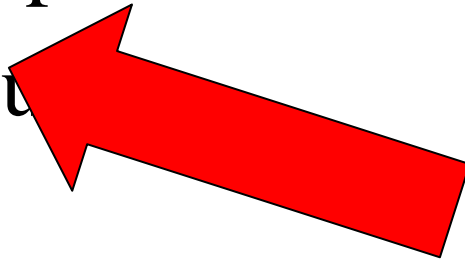
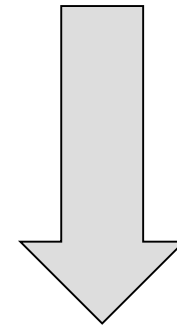
Disponibili in ogni possibile  
combinazione

# Evidence Based Medicine

The integration of  
**best research evidence**  
with clinical expertise  
and patient values

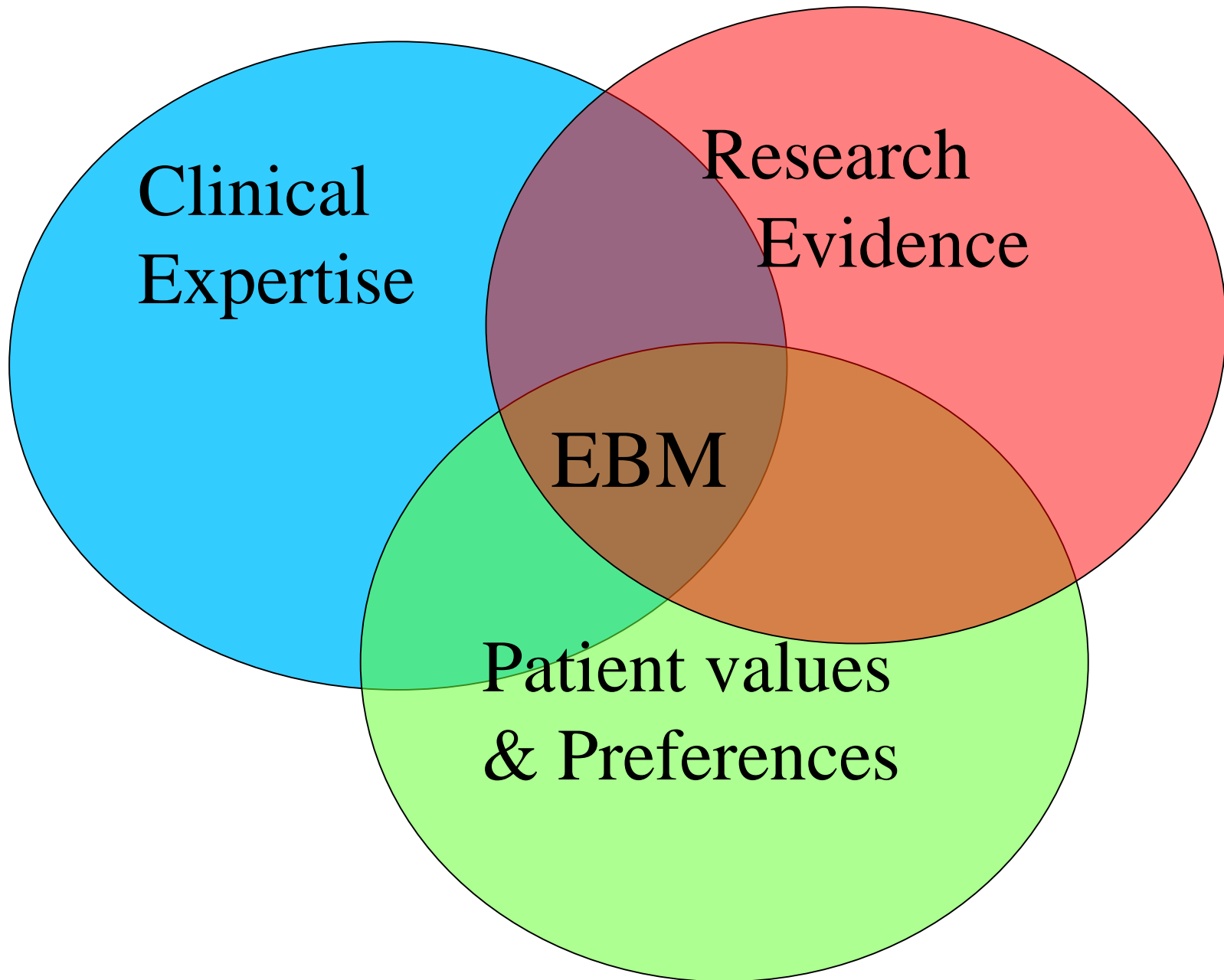


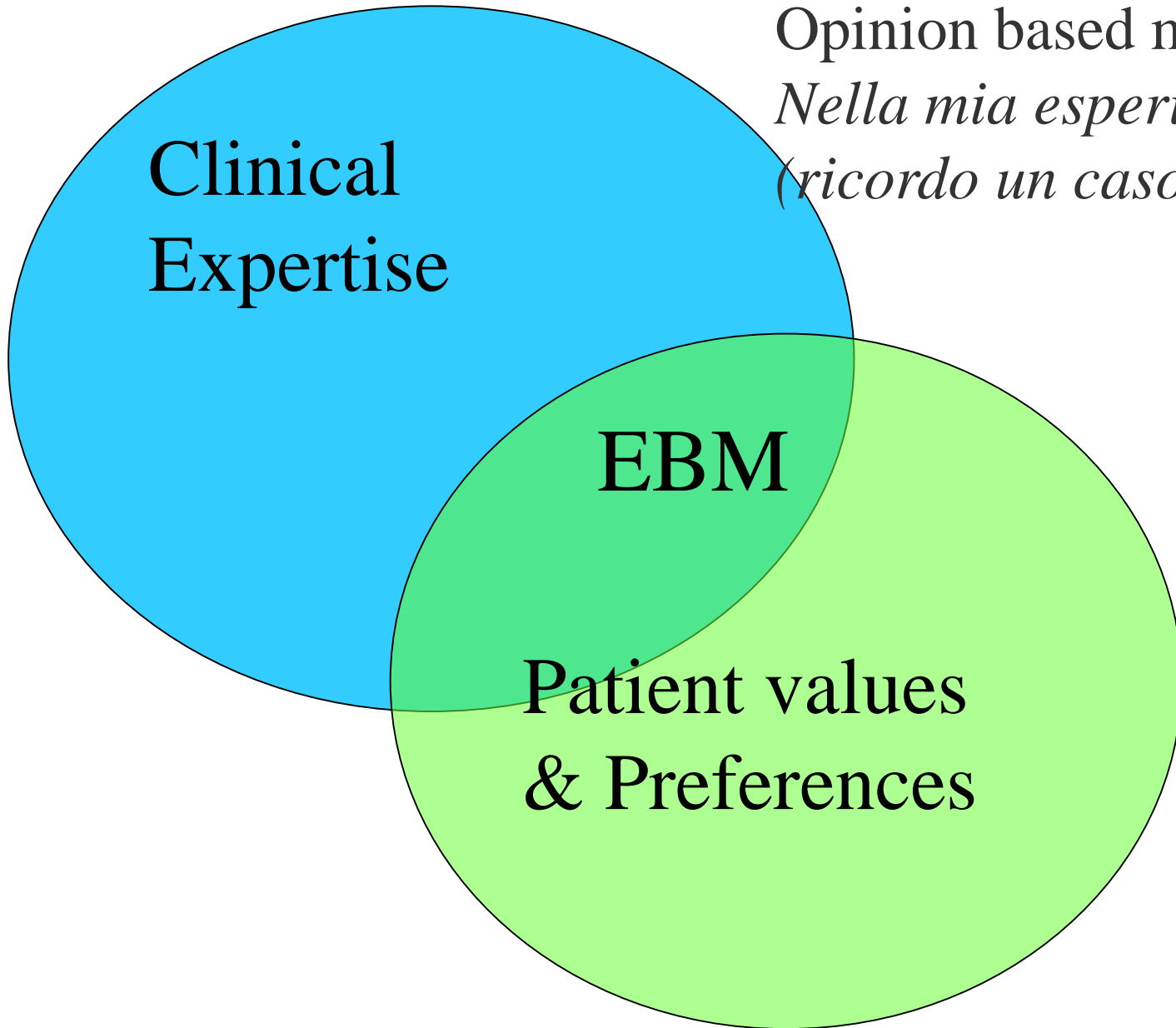
Valutazione critica delle  
evidenze (tutte)



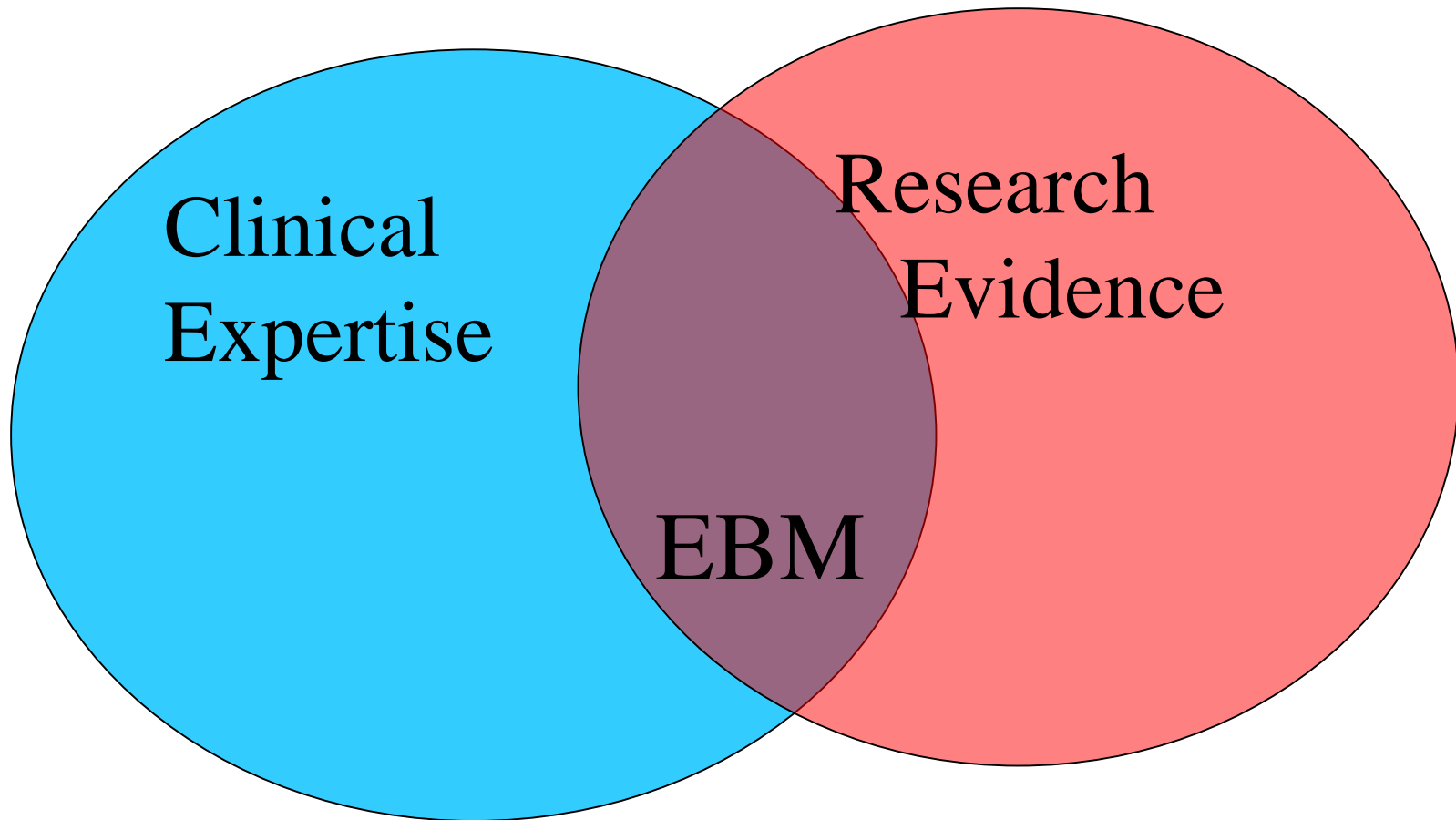
Interpretazione







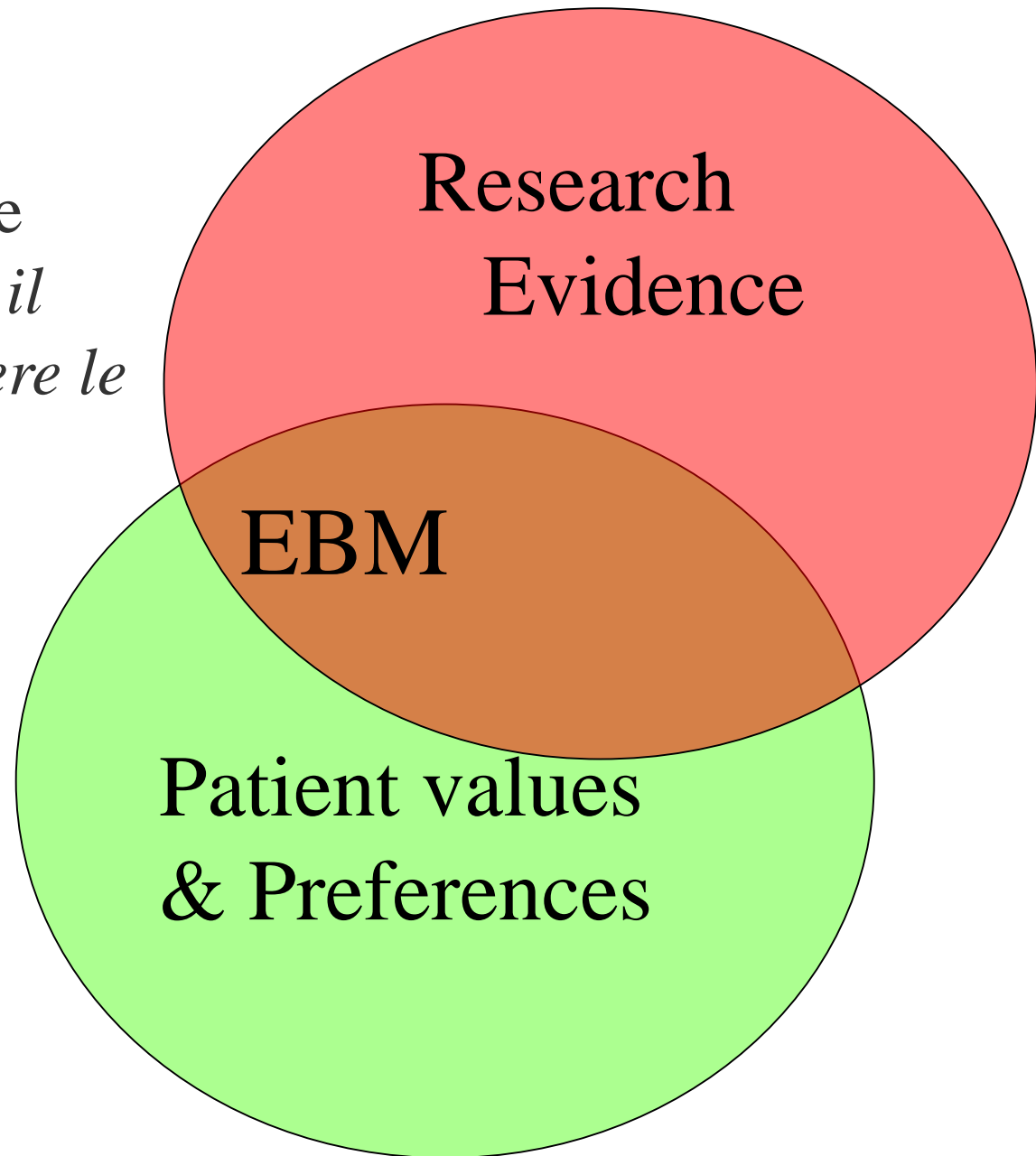
Opinion based medicine  
*Nella mia esperienza...*  
*(ricordo un caso...)*

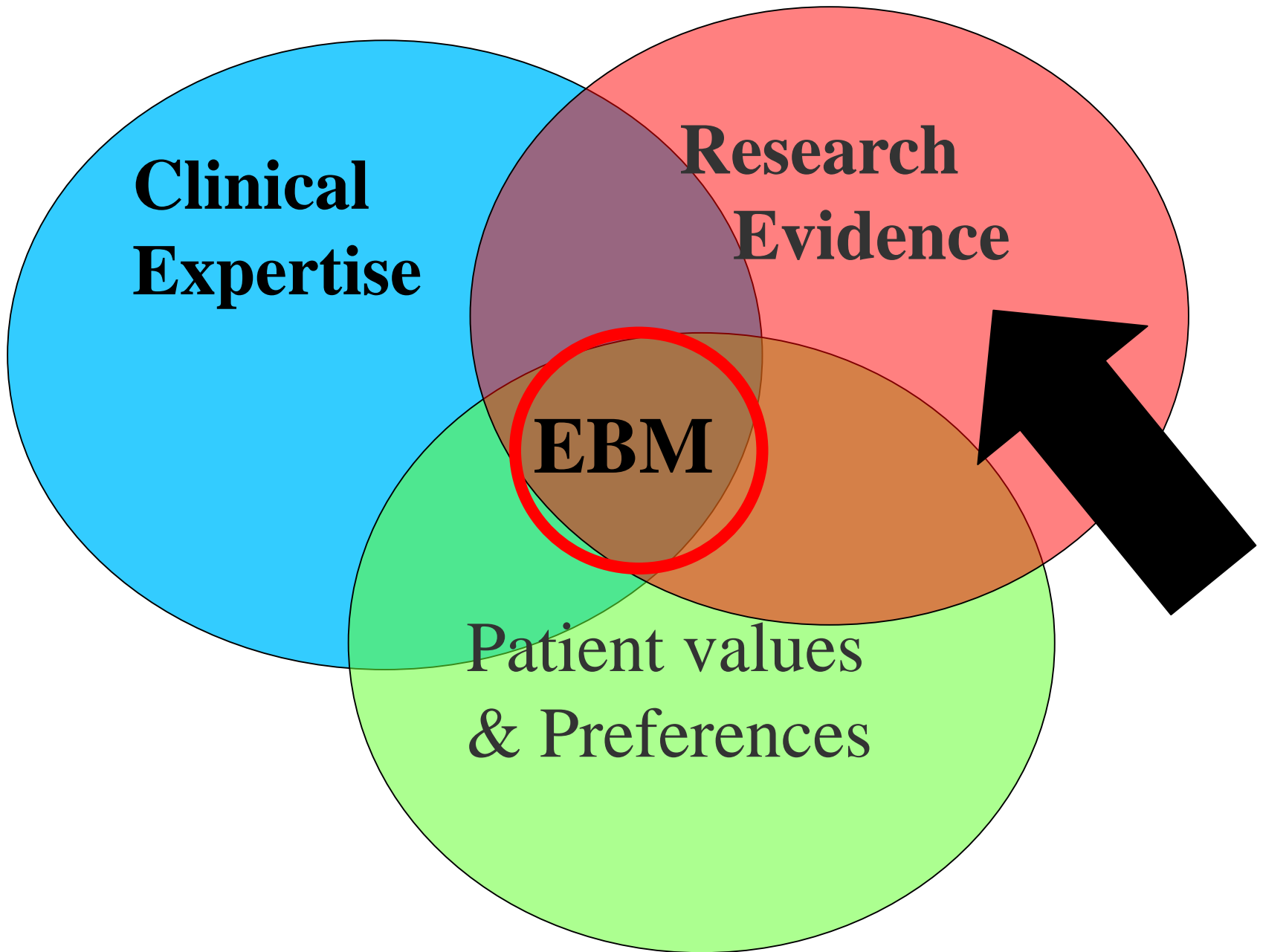


Medicina paternalistica

*Lei non si preoccupi, ci pensiamo noi*

Cookbook Medicine  
*Chiunque puo' fare il  
medico, basta leggere le  
linee guida*





**Clinical  
Expertise**

**Research  
Evidence**

**EBM**

**Patient values  
& Preferences**

# Problema

Nell'oncologia moderna

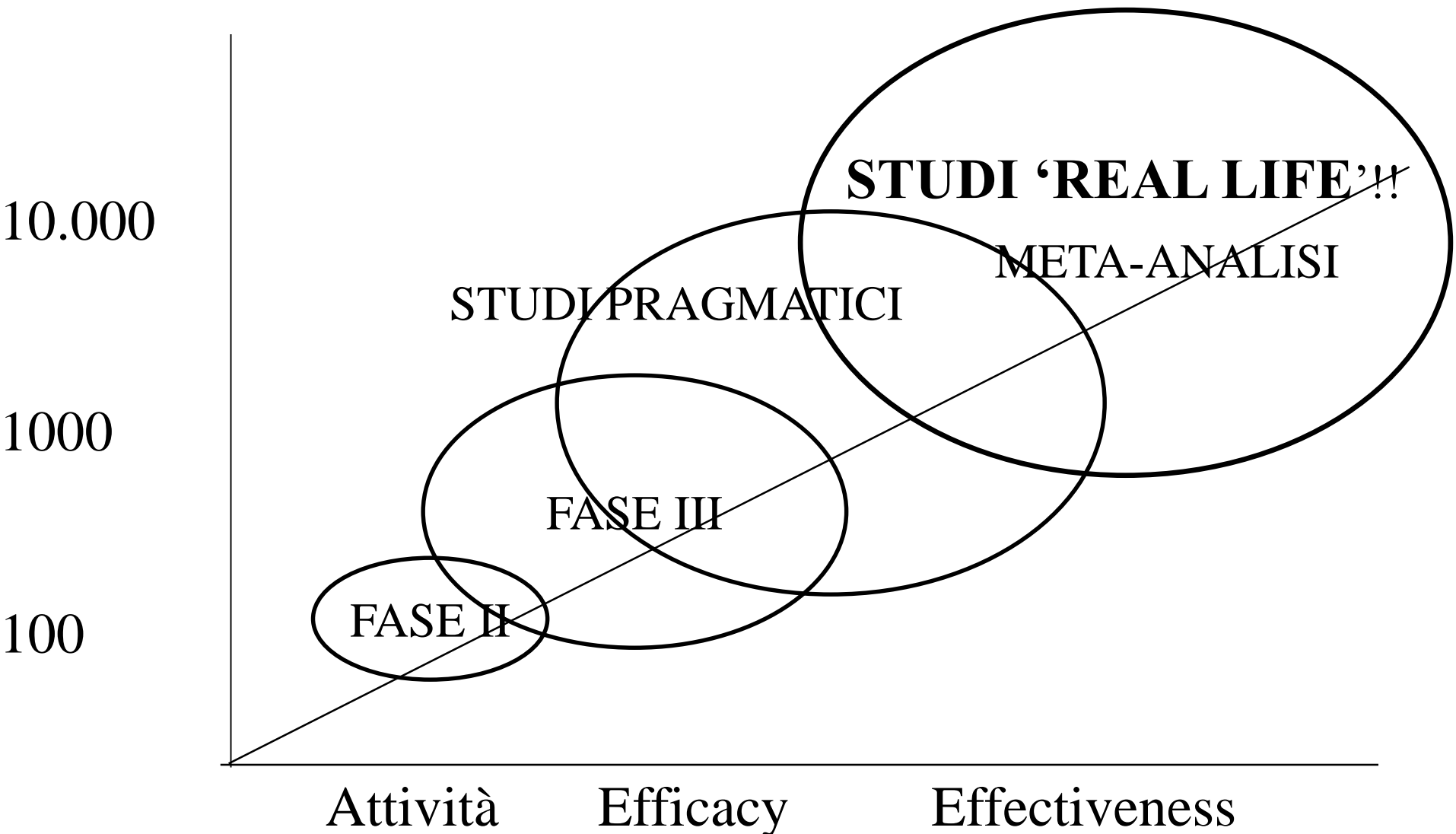
1 farmaco -> 1 condizione -> 1 trial-> Registraz.

Trials accademici sotto finanziati

Diffusione dell'informazione (rifiuto random)

**Cosa meta-analizzo?**

**Come tratto i pazienti esclusi dai trials?**



# Cosa sono i dati “real life”?

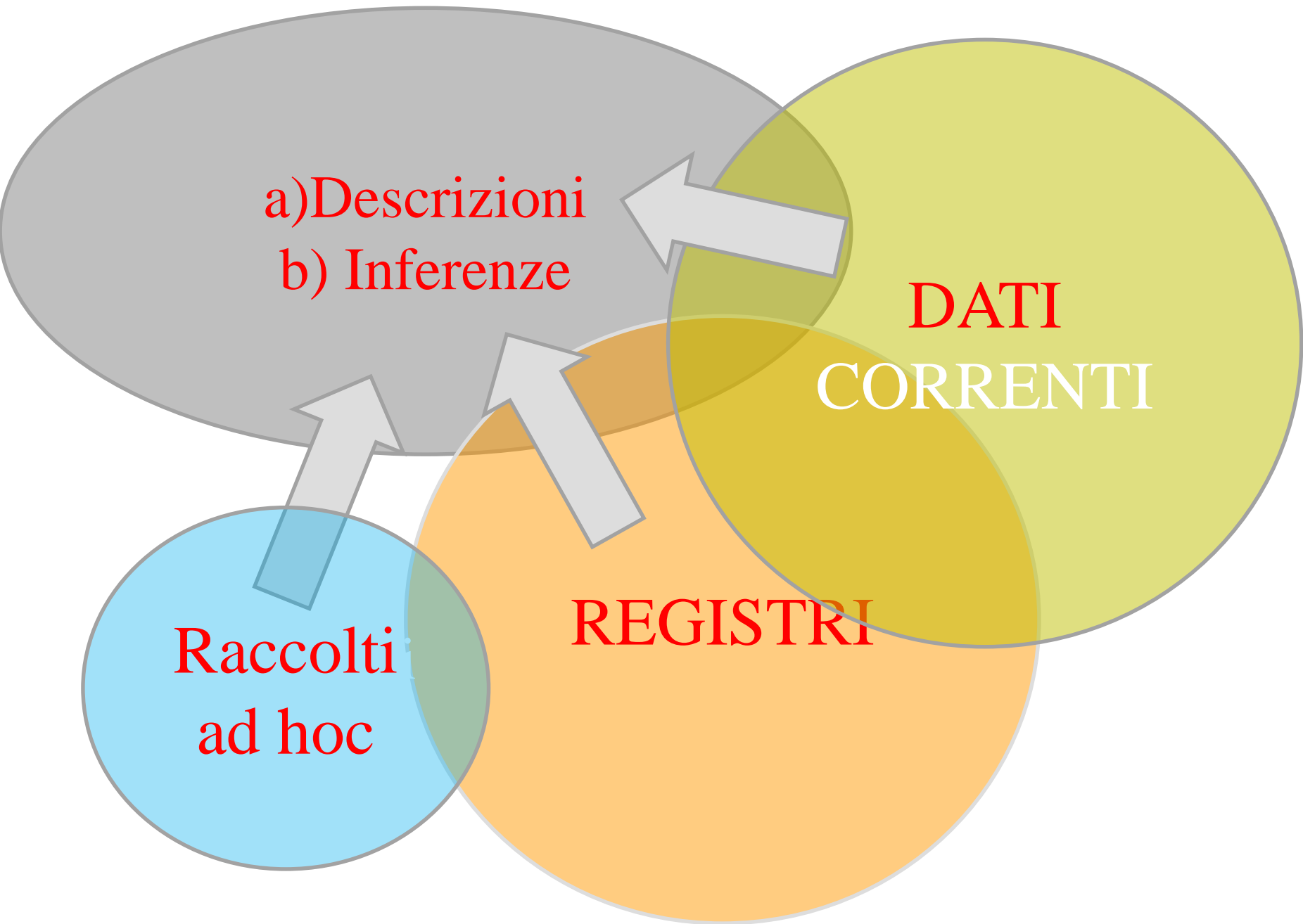
Data used for decision-making that are not collected in conventional randomized clinical trials”

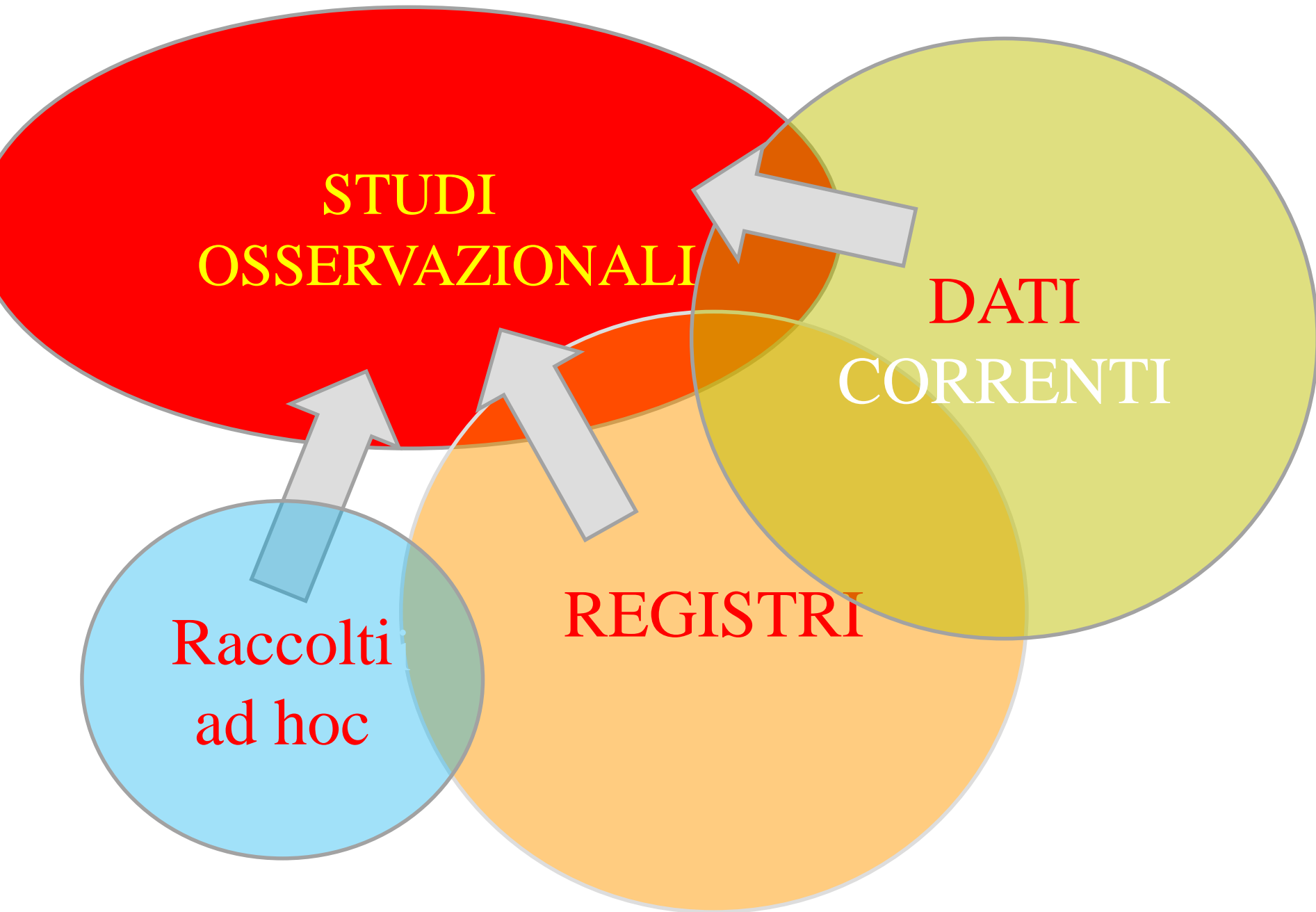
International Society of Pharmacoeconomics and Outcomes  
Research



# Sources of Real-World Data

- ~~Pragmatic clinical trials~~
- Prospective observational studies and patient registries
- Administrative claims data
- Patient surveys
- Electronic health records/medical chart reviews
- Government- or third-party-sponsored systematic surveys that assess public health, resource consumption, practice patterns, and clinical trends





# Studi Osservazionali: Scopi (possibili)

Acquisire (ulteriori) informazioni su

- (*Efficacia*)
- Tossicità/ Effetti avversi
- Modalità di utilizzo
- Comportamenti

# Studi Osservazionali

## **PROBLEMI METODOLOGICI**

Dipendono interamente dallo scopo dello studio!

# Studi Osservazionali: Scopi (possibili)

Acquisire (ulteriori) informazioni su

- *Efficacia*
- *Tossicità/ Effetti avversi*
- **Modalità' di utilizzo e Comportamenti**
  - Appropriata prescrizione (uso off-label, tipologia pz)
  - Tipo prescrizioni (dosi, tempi, durata, associazioni)
  - Compliance (in specifiche condizioni di utilizzo, gruppi particolari di pazienti, a lungo termine)
  - Altre

# Studi Osservazionali: Scopi (possibili)

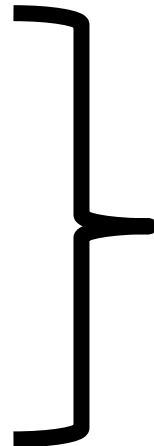
Acquisire (ulteriori) informazioni su

- *Efficacia*
- *Tossicità/ Effetti avversi*

- Modalità' di utilizzazione

- Comportamenti

Informazioni su  
popolazione non  
selezionata (es-regionale)



**Appropriatezza**

# Studi Osservazionali: Scopi (possibili)

Acquisire (ulteriori) informazioni su

- *Efficacia*
- *Tossicità/ Effetti avversi*
- **Modalità' di utilizzo**
- **Comportamenti**

Pochi studi di  
qualità  
accettabile



# Obiettivi di studi osservazionali

## Valutare

- Epidemiologia descrittiva
- Determinanti epidemiologici
- Esiti della malattia

Bisogni

- Efficienza/Costi dei processi
- Appropriatezza degli interventi
- *(Efficacia degli interventi?)*

Quality of Care

# I CONCLUSIONE

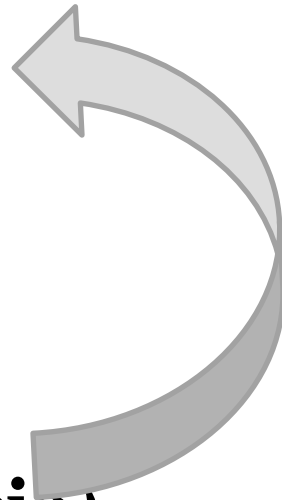
- La rete assistenziale non deve rappresentare soltanto una modalita' organizzativa dell'assistenza
- Deve essere un intervento complessivo con adeguati sensori (studi osservazionali) per monitorare l'appropriatezza dei comportamenti
- Il prototipo di riferimento e' quello dello screening oncologico

# Screening Oncologico

Dimostrazione di efficacia -> Trial

Pianificazione dell'intervento -> tutti i servizi coinvolti a monte e a valle della diagnosi

Monitoraggio epidemiologico -> indicatori di appropriatezza e di efficienza (non di efficacia)



# Breve Glossario

- Efficacia
- Appropriatazza
- Efficienza
- Evidence (Prove di efficacia)
- **Estimandi**

Scopo, Endpoint primario, Indicatore  
Riassuntivo, Analisi Statistica  
Nuova Impostazione

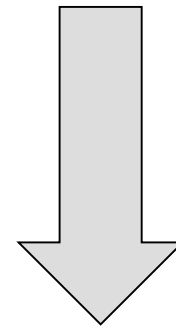
**Quale e' l'informazione che lo studio si  
propone in realta' di ottenere?**

**Teoria degli "Estimands"**

# Evidence Based Medicine

The integration of  
**best research evidence**  
with clinical expertise  
and patient values

= RCT, Revisione  
Sistematica di RCT



**Prove di “Efficacia”**

# Efficacia

Definizione (Dizionario Sabatini Colletti):

**Capacita' di produrre l'effetto voluto**

*Precisazioni necessarie in Medicina*

a) ...di produrre **Statisticamente** *l'effetto...*

b) ... *l'effetto voluto* **da chi?**

# Da chi? = Stakeholders

- Prospettiva
- Beneficio ricercato
- Scienziato
  - Attivita' (effetto biologico)
- Pharma
  - Fatturato
- Medico
  - Risposta Clinica
- Ospedale
  - Costi/Efficienza
- Paziente
  - ?
- Amministratore Sanitario
  - ?



Efficacia

Prospettive

Paziente: *Efficacy*

Amministratore Sanitario: *Effectiveness*

# Definizioni Standard

**Effectiveness** assesses whether an intervention does more good than harm when provided under usual circumstances of healthcare practice

Amministratore Sanitario: Nella situazione che governo (strutture/competenze, popolazione, geografia, etc.) qual'e' la scelta che produce i maggiori benefici complessivi?

# Definizioni Standard

**Efficacy** is the extent to which an intervention does more good than harm under ideal circumstances

Paziente:

- Qual'è la migliore cura per il mio caso (in base alle mie preferenze)?
- (*Dove/come la posso ottenere?*)

# Nuovo Concetto: Estimand

- Definizione:

The estimand is the quantity of interest whose true value you want to know

Esempio:

- Estimand: Effetto del trattamento sulla sopravvivenza
- Estimator: Differenza nella sopravvivenza mediana
- Estimate: Differenza nella median OS nello studio X

# Nota Bene

1 estimand, vari stimatori:

Estimand: Effetto del trattamento sulla sopravvivenza

Stimatori:

- Differenza nella sopravvivenza mediana
- HR
- Sopravvivenza a 5 anni nei rispondenti
- Sopravvivenza a 5 anni nei compliers
- Etc.

# Cancer trials: Due tipi di estimands

- Policy Outcome: Conseguenze dell'introduzione del nuovo trattamento nel protocollo terapeutico adottato in un certo contesto (SSN, SSR, Ospedale, etc.)
- Treatment effect: Risultato atteso nel paziente che si sottopone al trattamento

# Policy Outcome

Conseguenze dell'introduzione del nuovo  
trattamento =

Efficacy media

+ Errori diagnostici/staging

+ Errori terapeutici

+ Problemi organizzativi

+ Non-compliance

+ Drop out x tossicità, etc.



RCT,  
Effectiveness

# Policy Outcome

## Trial

- Popolazione non selezionata
- Piano statistico predeterminato
- **Intention to Treat**
- Endpoints duri (OS, Qaly)
- Indicatori riassuntivi di facile impiego (median OS, % survivors at x, (HR))



# Cancer trials: Due tipi di estimands

- *Policy Outcome: Conseguenze dell'introduzione del nuovo trattamento nel protocollo terapeutico adottato in un certo contesto (SSN, SSR, Ospedale, etc.)*
- **Treatment effect: Risultato atteso nel paziente che si sottopone al trattamento**

Il paziente vuole sapere cosa gli puo' succedere se segue un certo trattamento

non una **media** degli effetti in pazienti che

- sono piu'/meno idonei
- seguono/non seguono il trattamento
- rispondono/non rispondono
- cambiano/non cambiano terapia per tossicita'

Il paziente vuole sapere cosa gli puo' succedere se segue un certo trattamento

- Nel Centro piu' qualificato per somministrarlo
- Se si rivela idoneo a riceverlo
- **Se segue il protocollo terapeutico fino in fondo**
- **Se risponde alla terapia**
- Se...
- Se....

# Effetti attesi sul paziente

- Analisi per protocol
- Analisi per sottogruppi
- Effetto nei compliers
- Studio degli endpoints surrogati
- Effetto condizionato all'ottenimento di un risultato intermedio (es. OS nei rispondenti)
- Analisi per ospedale (chirurgo, radioterapista., etc.)

# Attenzione

- La teoria degli estimands nasce per stimare il reale beneficio dei trattamenti
- Non deve essere utilizzata per presentarlo in modo amplificato e distorto

# Soluzione

1. Analisi primaria (test di ipotesi, registrazione del farmaco, contrattazione prezzo):  
Valutazioni di policy outcome
2. Analisi secondarie (decisioni cliniche):  
Valutazioni dell'effetto sul paziente

# Problema

- Esiste una dialettica ineludibile all'interno dell'assistenza sanitaria, tra
  - le esigenze del sistema, a risorse limitate, che deve massimizzarne l'utilità
  - le esigenze del singolo, che è interessato a massimizzare la sua utilità personale (piccola probabilità di grossi benefici?)
- Chi ha il compito di rappresentare il paziente in questo processo di mediazione tra interessi contrastanti? (es. Dove mi opero?)

# Possibile soluzione

- L'operatore sanitario, spesso lasciato solo a fronteggiare questi due universi, deve rispondere alle esigenze dell'amministrazione o a quelle del paziente?
- E' in una posizione di debolezza (e frustrazione)
- La rete assistenziale, puo' diventare il punto di mediazione tra questi due universi molto meglio del singolo operatore



# Rete Assistenziale (Oncologica)

- Promuove la qualità definendo protocolli EvBased ma promuove anche flessibilità ( discussione di casi, etc.)
- Favorisce la crescita culturale di tutti gli operatori riducendone l'isolamento
- Riduce il gap tra efficacy ed effectiveness con il monitoraggio intensivo di indicatori di performance
- Definisce e promuove percorsi assistenziali integrati e permette una piena multidisciplinarietà rimuovendo difficoltà economiche e concorrenze tra aziende
- Protegge gli operatori nelle interazioni con il paziente

# Requisiti di una Rete assistenziale

- POLO di ECCELLENZA (assicura le migliori cure possibili)
- Si propone ed e' percepito dal paziente come un'organizzazione al suo servizio e non come una assemblea di operatori autoprotezionistica
- Ha in atto meccanismi di automonitoraggio continuo con feedback automatico e pubblicazione dei risultati
- Il risparmio di risorse non e' un obiettivo primario ma una conseguenza
- **Non e' una struttura autogestita democraticamente ma ha una forte guida tecnica, oltre che politica**