

OUTCOMES RESEARCH

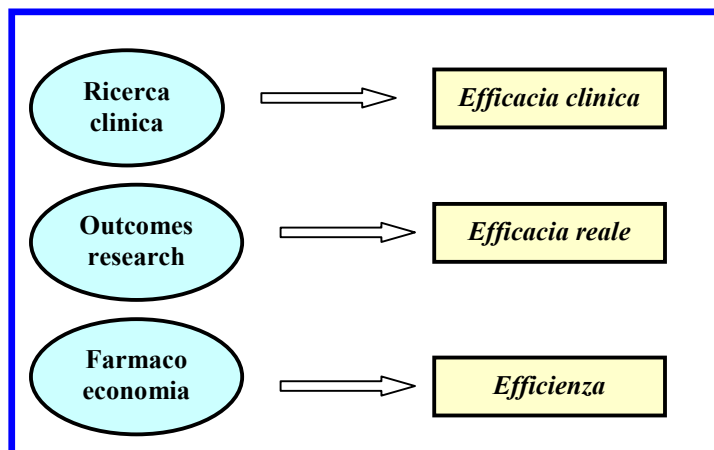
(sintesi dalla letteratura)

ricerca degli esiti degli interventi sanitari, in rapporto a:

- aspetti economici (sul modello della farmacoeconomia)
- aspetti clinici
- aspetti umanistici (valutazione del paziente).

L'outcomes research (O.R.) studia gli esiti soggettivi ed oggettivi, dedicando anche particolare attenzione a quegli effetti del trattamento che i pazienti percepiscono e giudicano come più importanti: ad esempio, una modificazione nella "capacità di funzionare" nella vita quotidiana, la soddisfazione o, nel caso di malattie croniche, la qualità della vita, oltre alla mortalità. Si tratta delle cosiddette "misure centrate sul paziente" o "*patient-oriented measures*".

Una caratteristica peculiare di questa disciplina è costituita dal fatto che essa studia l'*efficacia*



"reale" degli interventi sanitari, ovvero quando l'intervento ha superato le condizioni cliniche sperimentali (che, proprio per questo sono ideali) e viene applicato alla popolazione. Al contrario, come si osserva nella figura a lato, la ricerca clinica studia l'efficacia clinica e la farmacoeconomia l'efficienza.

In quest'ottica, l'O.R. diventa fondamentale per *valutare e migliorare la qualità dell'assistenza*.

Nell'O.R. vengono sfruttate le metodologie di diverse discipline, come, in particolare, l'epidemiologia, la ricerca clinica, la psicomètria, l'economia sanitaria e le analisi dei servizi

OUTCOMES MANAGEMENT

Rappresenta l'applicazione dell'outcomes research alla pratica. Attraverso una misurazione sistematica degli esiti ed una rivisitazione del trattamento che precede gli esiti, può essere determinata la terapia ottimale. Questo processo dovrebbe portare a raccomandazioni, seguite poi da una rivalutazione degli esiti e quindi dall'opportunità di migliorare continuamente l'erogazione dell'assistenza. (tratto da Epstein RS, Sherwood LM).

DISEASE MANAGEMENT O GESTIONE GLOBALE DELLA MALATTIA:

Approccio di popolazione sistematico ed esplicito per identificare persone a rischio, intervenire con programmi specifici di assistenza e misurare esiti clinici ed altri esiti. Si differenzia dall'outcomes management perché non richiede necessariamente l'outcome assessment (*tratto da Epstein RS, Sherwood LM*).

GLOSSARIO:

- **EFFICACIA TEORICA o EFFICACY:** i trattamenti sono teoricamente efficaci quando sono più benefici che dannosi per i pazienti che li utilizzano (*tratto da Beaglehole R, Bonita R, Kjellstrom T*).
- **EFFICACIA PRATICA o EFFECTIVENESS:** i trattamenti sono praticamente efficaci quando recano più beneficio che danno in pazienti ai quali sono offerti. (*tratto da Beaglehole R, Bonita R, Kjellstrom T*). Ad esempio, un farmaco che, in una sperimentazione clinica, ha dimostrato di avere una elevata efficacy, una volta immesso in commercio può dimostrare una effectiveness minore per motivi di ridotta compliance o legata ad eventuali comorbidità, etc...
- **EFFICIENZA:** è la misura del rapporto tra risultati ottenuti e ciò che si è speso in termini di denaro, risorse e tempo (*tratto da Beaglehole R, Bonita R, Kjellstrom T*).
- **FARMACOECONOMIA:** scienza che si occupa in modo specifico della valutazione delle implicazioni economiche di un programma terapeutico incentrato sull'uso di un farmaco. (*da Eandi M. et al.*).

ALCUNI ESEMPI DI OUTCOMES MISURATI DALL'O.R.

- per quanto riguarda gli **ASPETTI CLINICI**, si possono ottenere diversi tipi di dati, come dati **mortalità**, dati su **misure fisiologiche e metaboliche**, dati inerenti **eventi clinici**

Nell'ambito degli outcomes clinici sopra citati, occorre poi distinguere tra outcomes **pesanti o hard** (ad esempio la mortalità) e outcomes **surrogati**. Si parla di "**outcomes surrogati o intermedi**" per indicare quei markers fisiologici o biochimici che possono essere misurati in modo relativamente semplice e veloce ed utilizzati come predittivi di outcomes clinici importanti (*tratto da CRD Report Number 4 January 1996*).

per quanto riguarda gli **ASPETTI UMANISTICI**, si possono valutare ad esempio i seguenti outcomes:

la qualità della vita: può essere misurata attraverso

- *misure di utilità* (cioè strumenti che misurano le preferenze),
- *profili dello stato di salute generale*, come, ad esempio, i questionari SF36 (Short Form 36), SIP (Sickness Impact Profile), NHP (Nottingham Health Profile)
- *strumenti specifici per patologia* (ad es. QLMI, questionario di valutazione della qualità della vita dopo infarto miocardico, il questionario EORT sviluppato dalla European Organization of Research on Treatment of Cancer per la malattia neoplastica)

la soddisfazione

lo stato funzionale, che può essere misurata, ad esempio, con l'*indice di Karnofsky*.

In letteratura si possono rinvenire molteplici studi che hanno misurato questo tipo di outcomes. A titolo esemplificativo, si riportano due studi:

- Salkeld G, Cameron ID et al. hanno condotto un'indagine sulla *qualità della vita correlata alla paura di cadere e alla frattura dell'anca in donne anziane*, utilizzando misure di utilità. È emerso che l'80% del campione intervistato preferirebbe morire piuttosto che subire una frattura dell'anca comportante la perdita dell'autonomia. La qualità della vita quindi è influenzata in modo fortemente negativo da qualsiasi perdita della capacità di vivere autonomamente. In particolare, si è osservato che, attribuendo alla morte il valore 0 e alla vita quello di 1, una brutta frattura del femore (che necessita di ricovero in struttura assistenziale) ha ottenuto il punteggio medio di 0,005, una frattura meno grave (che non comporta perdita di autosufficienza) 0,31, mentre la paura di cadere 0,67.
- Borrás JM, Sánchez-Hernández A et al. hanno realizzato un trial randomizzato controllato per valutare *la tossicità, la compliance al trattamento, la qualità della vita* (misurata con il questionario EORTC QOL-C30 e l'indice di Karnofsky) *e la soddisfazione* (rilevata tramite un questionario che tiene conto della soddisfazione generale relativamente all'assistenza sanitaria ricevuta, alla disponibilità dei medici, alla continuità dell'assistenza e alle qualità personali delle infermiere ed alla comunicazione con medici ed infermiere) *in pazienti con cancro del colon-retto in terapia domiciliare vs. in regime di ricovero*. Non sono state osservate differenze tra i due gruppi in termini di qualità della vita sia nel periodo pre- che post-trattamento, mentre il grado di soddisfazione dei paziente era maggiore in chi aveva ricevuto la terapia al domicilio, soprattutto per quanto riguarda le informazioni ricevute e l'assistenza infermieristica.

➤ per quanto riguarda gli **ASPETTI ECONOMICI**, si possono utilizzare le seguenti tecniche di valutazione:

- ***l'analisi di minimizzazione dei costi***: confrontando farmaci di pari efficacia, questa tecnica analizza i rispettivi costi, stabilendo quale trattamento è il meno costoso;
- ***l'analisi costi-efficacia (ACE)***: è utile quando i trattamenti sono di diversa efficacia, in quanto confronta i risultati ottenibili (misurati con riferimento ad una specifica variabile, comune a tutte le alternative indagate) ed i relativi costi;
- ***l'analisi costi-utilità (ACU)***: misura i benefici in termini di utilità assegnata dai singoli individui alle diverse condizioni di salute, utilizzando spesso il Qaly (Quality Adjusted Life Year; è una variabile che tiene conto della qualità della vita associata ai diversi tipi di sopravvivenza), e calcola il costo per unità di risultato (ad es. costo per Qaly)
- ***l'analisi costi-benefici (ACB)***: valuta, non solo i costi, ma anche i benefici in termini monetari, per cui permette di confrontare interventi non omogenei per risultato finale.

(da Il medico e il mangement)

In questo tipo di analisi economica, bisogna tenere presente che esistono tre tipi di costi:

costi diretti, ovvero le risorse spese per trattare la patologia (ad es. esami diagnostici, farmaci, ricovero ospedaliero)

costi indiretti, conseguenti all'assenza dall'attività lavorativa da parte del paziente e dei suoi familiari, in conseguenza della patologia

costi intangibili, attinenti le conseguenze psicologiche causate dalla malattia.

Si riportano alcuni studi a titolo esemplificativo:

- Gray A, Raikou M et al. hanno svolto un'indagine di costo-efficacia sul *controllo intensivo della glicemia in pazienti con diabete di tipo 2 vs. l'approccio convenzionale*. Gli esiti sono stati misurati principalmente in termini di costo per anni di vita liberi da evento guadagnati durante il periodo di durata dello studio. L'indagine ha permesso di osservare che il controllo intensivo aumenta in modo significativo i costi del trattamento, ma riduce notevolmente i costi delle complicazioni, aumentando anche il tempo libero da queste ultime.
- Mitton CR, Rose MS et al. hanno effettuato un'analisi di costo-utilità sull'utilizzo dei pacemakers nel trattamento della sincope vasovagale. Come misura principale di outcomes è stato utilizzato il costo per Qaly. Questo ha consentito di osservare che questo tipo di intervento ha un buon rapporto costo-utilità.

Bibliografia:

1. "An introduction to outcomes research", versione italiana a cura di F. Arpinelli, G. De Carli, P. Rozzini; UTET periodici.
2. Apolone G, Ballatori E, Mosconi P, Roila F "Misurare la qualità della vita in oncologia. Aspetti di metodo ed applicativi". Il Pensiero Scientifico Editore, 1997.
3. Apolone G, Mosconi P, Ware Jr JE "Questionario sullo stato di salute SF-36" ed. Guerini e associati.
4. Beaglehole R, Bonita R, Kjellstrom T "Epidemiologia di base", edizione italiana a cura di Aggazzotti G. Editoriale Fernando Folini.
5. Borras JM, Sanchez-Hernandez A, Navarro M, Martinez M, Mendez E, Ponton JLL, Espinas JA, Germa JR "Compliance, satisfaction, and quality of life of patients with colorectal cancer receiving home chemotherapy or outpatient treatment: a controlled trial", BMJ 2001; 322: 826 (7 April).
6. Eandi M. et al. "Farmacoeconomia e terapia antibiotica". ABE, Milano 1993.
7. Epstein RS, Sherwood LM "From Outcomes Research to Disease Management: A Guide for the Perplexed"; Annals of Internal Medicine 1996, vol. 124, n° 9, pp.832-837.
8. Hillers TK, Guyatt GH, Oldridge N et al. "Quality of life after myocardial infarction". J Clin Epidemiol 1994; 47: 1287-96)
9. <http://www.ahcpr.gov>
10. <http://www.york.ac.uk/inst/crd/r4gloss.htm>
11. Il medico e il management. Le nuove competenze del medico clinico supplemento n.3 1997; Forum Trends in Experimental and Clinical Medicine. "La valutazione farmacoeconomica".
12. Labbrozzi D "Misure di salute e di vita. Metodi e strumenti di valutazione dello stato di salute e della qualità della vita". Il Pensiero Scientifico Editore, 1995.
13. Mitton CR, Rose MS, Koshman ML, Sheldon RS "Cost-utility analysis of pacemakers for treatment of vasovagal syncope" Am J Cardiol 1999 Dec 1; 84 (11): 1356-9, A8.
14. Salkeld G, Cameron ID, Cumming RG, Easter S, Szymuor J, Kurrle SE, Quine S "Quality of life related to fear of falling and hip fracture in older women: a time trade off study", BMJ 2000; 320:341-346 (5 February)