

# Big Data e Real World Evidence: *overview della situazione Italiana*

**Prof. FS Mennini**

Research Director, Economic Evaluation and HTA (EEHTA)  
CEIS, Università degli Studi di Roma «Tor Vergata»

Institute of Leadership and Management in Health, Kingston University, London, UK

Past President, ISPOR Italy Rome Chapter

# Cosa sono i Big Data

- Raccolta di dati estesa (in termini di volume, velocità e varietà)
- Big Data rappresenta l'interrelazione di dati provenienti potenzialmente da fonti eterogenee
- Si parla di Big Data quando si ha un insieme di dati talmente grande da richiedere strumenti non convenzionali per estrapolare, gestire e processare informazioni entro un tempo ragionevole.



analizzarli e scoprire associazioni, creare modelli e comprendere tendenze può infatti, in definitiva, migliorare l'assistenza, salvare vite umane e ridurre i costi.

# Cosa sono i Big Data




analizzarli e scoprire associazioni, creare modelli e comprendere tendenze può:

- migliorare l'assistenza,
- salvare vite umane
- ridurre i costi.
- si può monitorare l'andamento e la diffusione di una malattia per formulare previsioni e fissare interventi di **prevenzione** e **supporto**.
- analizzando le caratteristiche del paziente e i costi e gli esiti delle cure, è possibile **identificare il trattamento migliore** dal punto di vista economico e clinico.

# Big data e RWE

- La *task force* su *Real World Evidence* (RWE) dell'ISPOR ha sostenuto come i “***Real world data are essential for sound coverage, payment, and reimbursement decisions***”.
- La *task force* distingue tra:
  - *Randomized controlled trials* che rappresentano il gold standard per la dimostrazione dell'efficacia clinica ma che rimane circoscritta al setting del trial;
  - Registri osservazionali;
  - *Claims Databases*.

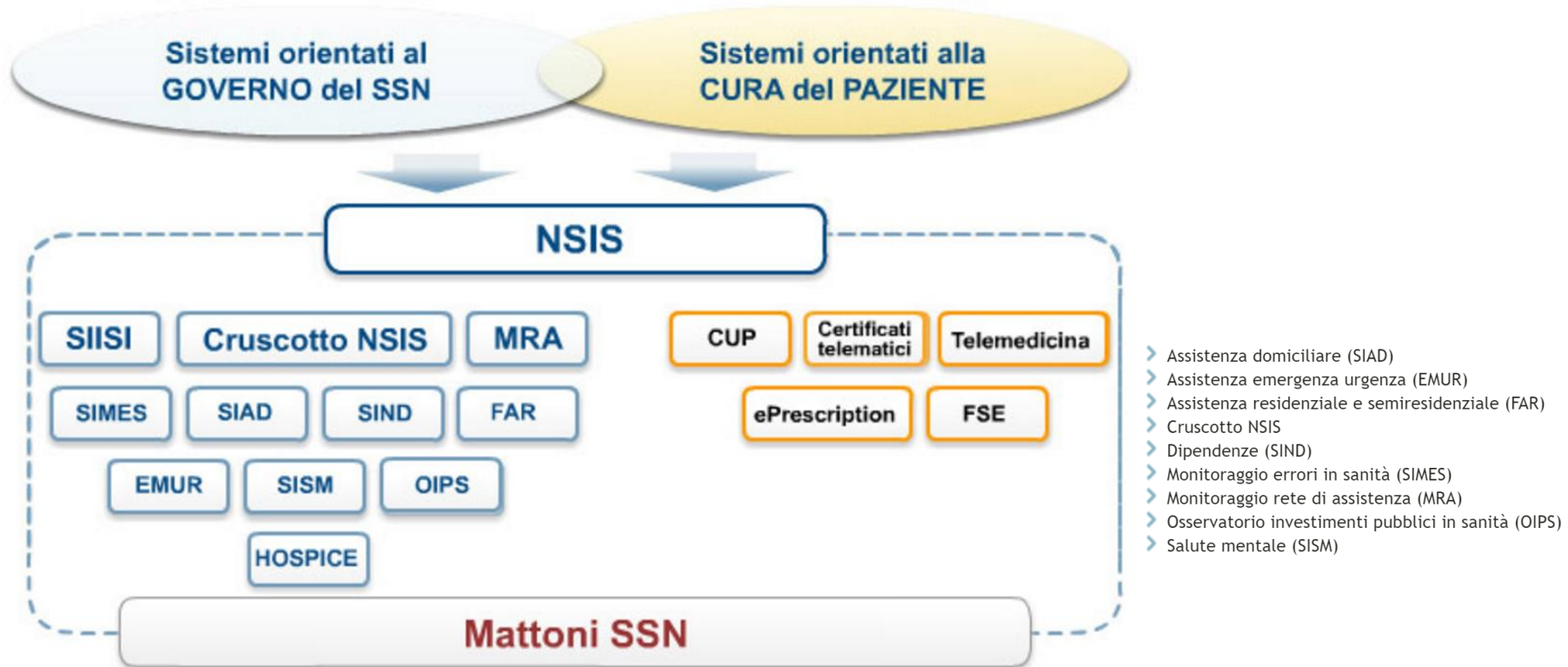
# Claims Databases (ISPOR task force)



Date le grandi dimensioni dei Claims Database, i ricercatori possono identificare più facilmente i risultati dei pazienti con eventi rari, valutare l'impatto economico di vari interventi e approfondire la possibile associazione tra gli interventi e gli esiti

# I Claims Databases in Italia

- Il patrimonio informativo derivante dal SSN viene oggi coordinato e monitorato dalla cabina di regia del Nuovo Sistema Informativo Sanitario (NSIS).



- Obiettivi principali del sistema informativo sono quindi il monitoraggio dello stato di salute della popolazione, dell'efficacia/efficienza del sistema sanitario, dell'appropriatezza dell'erogazione delle prestazioni in rapporto alla domanda di salute, della spesa sanitaria.

# Potenzialità dei sistemi informativi

- La disponibilità delle informazioni derivanti da tali sistemi informativi potrebbe consentire:
  - Analisi retrospettive longitudinali e *cross sectional* in grado di determinare stime di spesa sulla base di caratteristiche specifiche degli utilizzatori del SSN;
  - Analisi retrospettive per stime epidemiologiche e di *burden of diseases*;
  - Analisi di valutazione economiche basate sulle proxy di rimborso del SSN
  - ...molto altro



# Integrazione dei sistemi informativi

- Non solo SSN:
  - assistenza sociale
  - INPS
  - out of pocket
  - INAIL

Solo con l'integrazione dei dati e delle informazioni potremmo riuscire a programmare in maniera corretta e nell'ottica di una migliore assistenza per il paziente e di un reale corretto utilizzo delle risorse in termini di Costo Opportunità.

## Un esempio: Burden economico del diabete in Italia

Quanto costa oggi il diabete e quale peso economico è costretto a sostenere il nostro paese?

# Economic Burden

Eur J Health Econ  
DOI 10.1007/s10198-014-0660-y

ORIGINAL PAPER

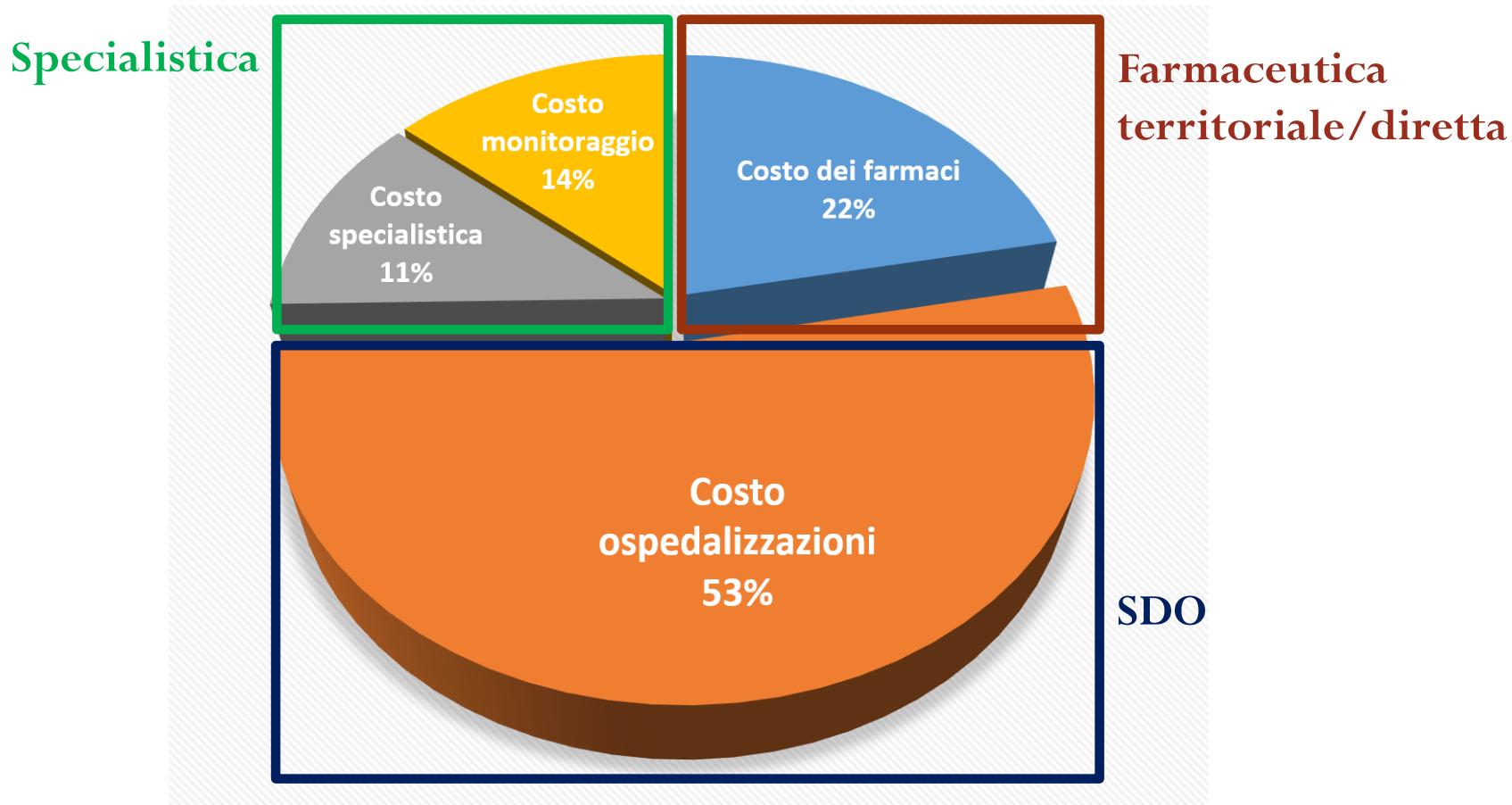
## **The direct and indirect cost of diabetes in Italy: a prevalence probabilistic approach**

**A. Marcellusi · R. Viti · A. Mecozzi ·  
F. S. Mennini**

- L'obiettivo di questa analisi era quello di reperire e sistematizzare le informazioni disponibili nella letteratura nazionale ed internazionale relativa al DM in riferimento all'epidemiologia ed ai dati di costo relativi alla malattia nello specifico contesto nazionale italiano.
- Inoltre, lo studio si prefiggeva come ulteriore obiettivo, quello di stimare la spesa annua sostenuta dal Sistema Sanitario Nazionale e dalla Società per il trattamento e la cura del diabete mellito di tipo I e II.

# Costi diretti sanitari

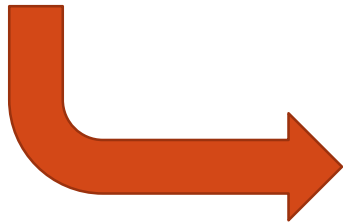
- Distribuzione dei costi diretti sanitari provenienti dalla letteratura



# Costi indiretti

- Stima dei costi indiretti derivate dalla letteratura

Voce di costo	N	Costi indiretti Miliardi
Assenza dal lavoro	620.670 (587,505–654,667)	€ 1,62
Pensionamento anticipato	567,750 (537,412–598,848)	€ 9,06
<b>Totale</b>	<b>1,188,418</b> <b>(1,124,917–1,253,515)</b>	<b>€ 10,68</b>



In realtà anche queste informazioni sarebbero derivabili dai database INPS

# Come passare dai modelli basati sulla letteratura agli studi real world evidence?

## Quali pazienti? E come trovare un campione adeguato?

### **ECONOMIC ASPECTS IN THE MANAGEMENT OF DIABETES IN ITALY**

A. Marcellusi, R. Viti, G. Aimaretti, S. De Cosmo, G. Tonolo, V. Provenzano, P. Sciattella, FS Mennini

---

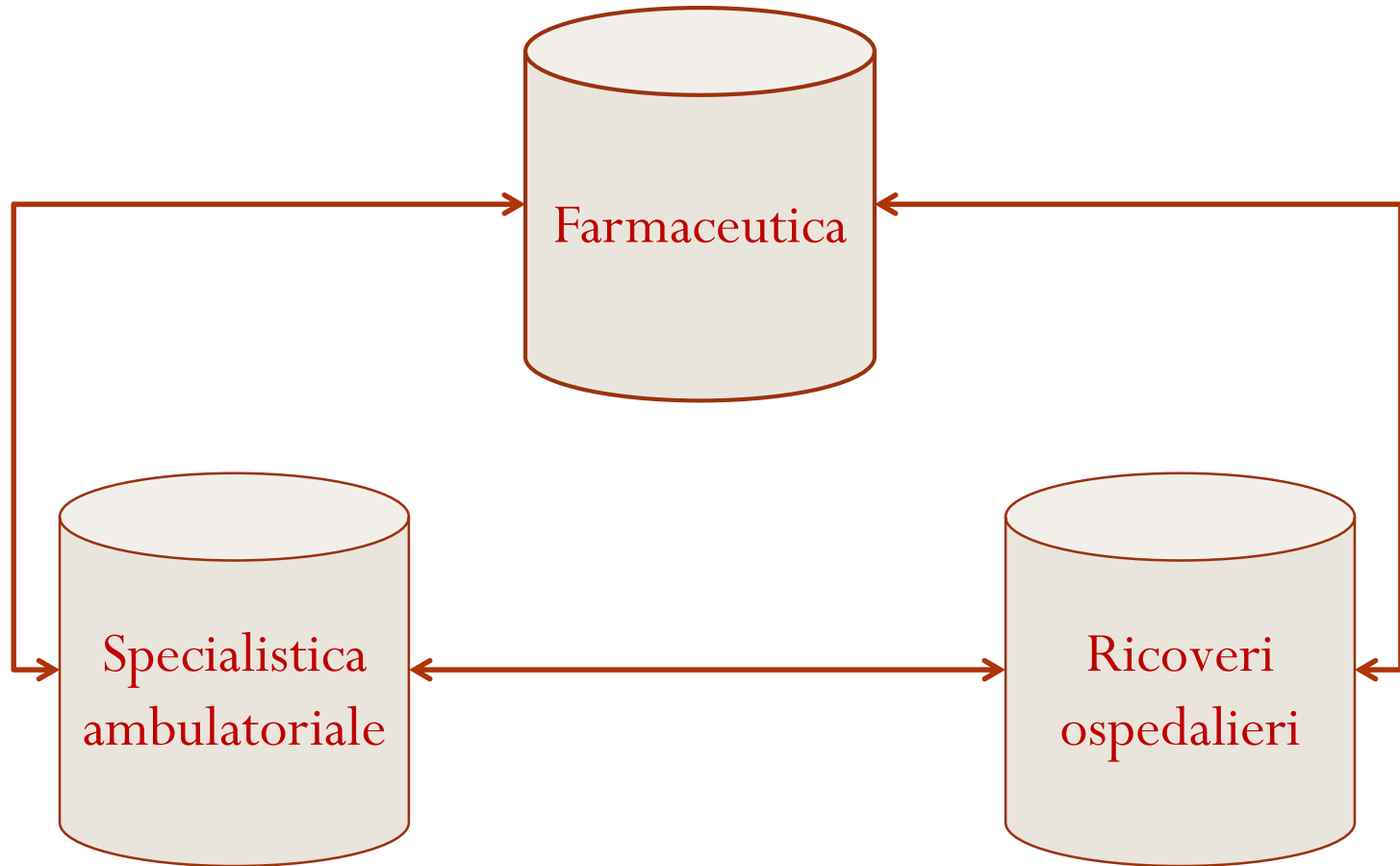
# Economic Aspects in the Management of Diabetes in Italy

*Marcellusi A, Viti R, Sciattella P, Aimaretti G, Tonolo G, De Cosmo S, Provenzano V,  
Mennini FS*

**BMJ Open diabetes research and care.**

**Article** · October 2016

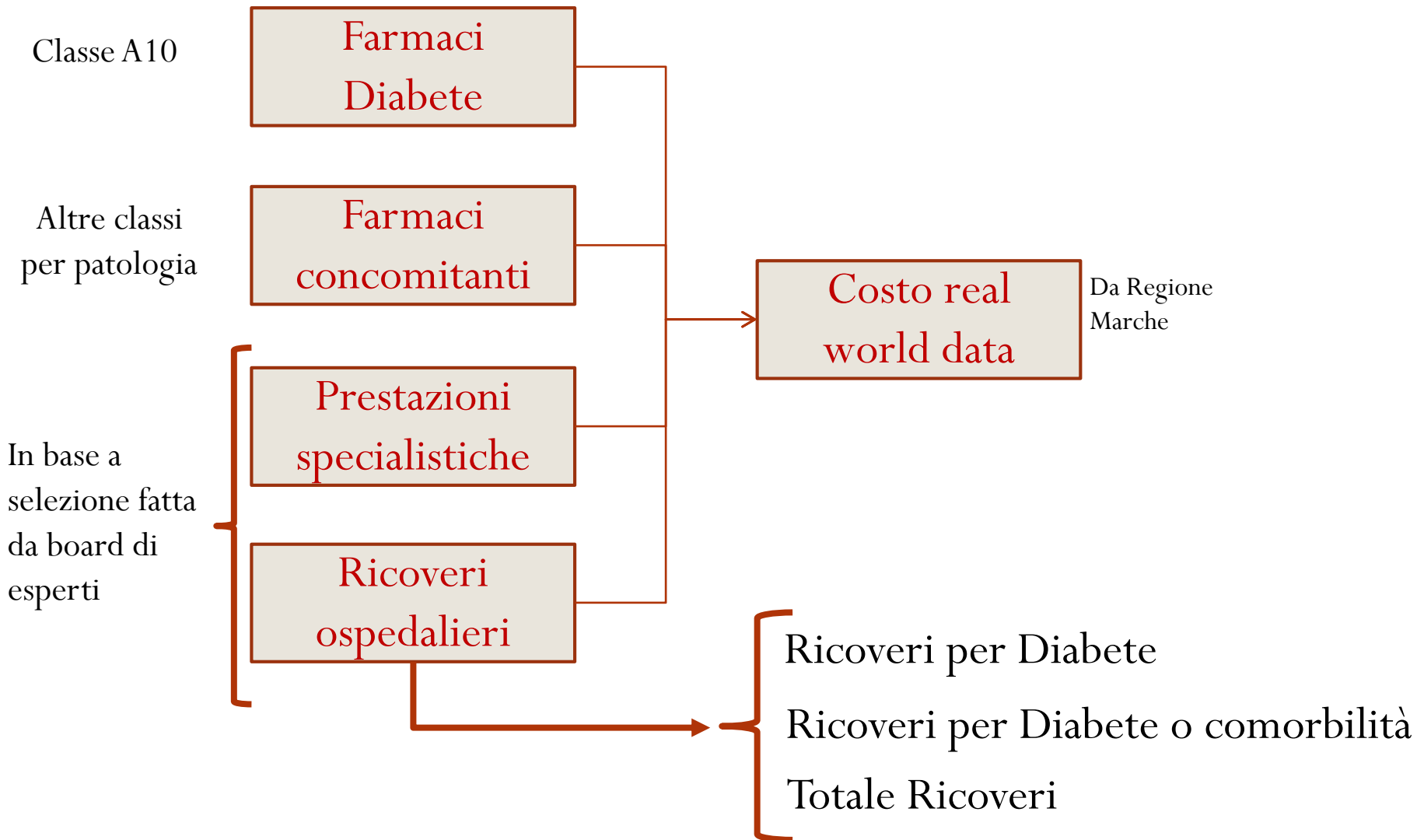
DOI: 10.1136/bmjdr-2016-000197



**Codice identificativo anonimo**



# Stima dei costi diretti sanitari



# Alcuni risultati modello Col basato su RWE

# Quanti pazienti? Quali comorbidità?

- Una media 85.909 pazienti gestiti in regione Marche ogni anno tra il 2008-2011 (5,5% della popolazione residente)

Distribuzione dei pazienti diabetici con almeno una comorbidità

	Pazienti	% su tot paz
Diabete	10.079	13,3%
Diabete+cardiache	35.001	34,9%
Diabete+neuropatiche	47.230	42,3%
Diabete+renali	9.513	9,1%
Diabete+retinopatie	849	0,4%
<b>Totale pazienti</b>	<b>85.909</b>	<b>100%</b>

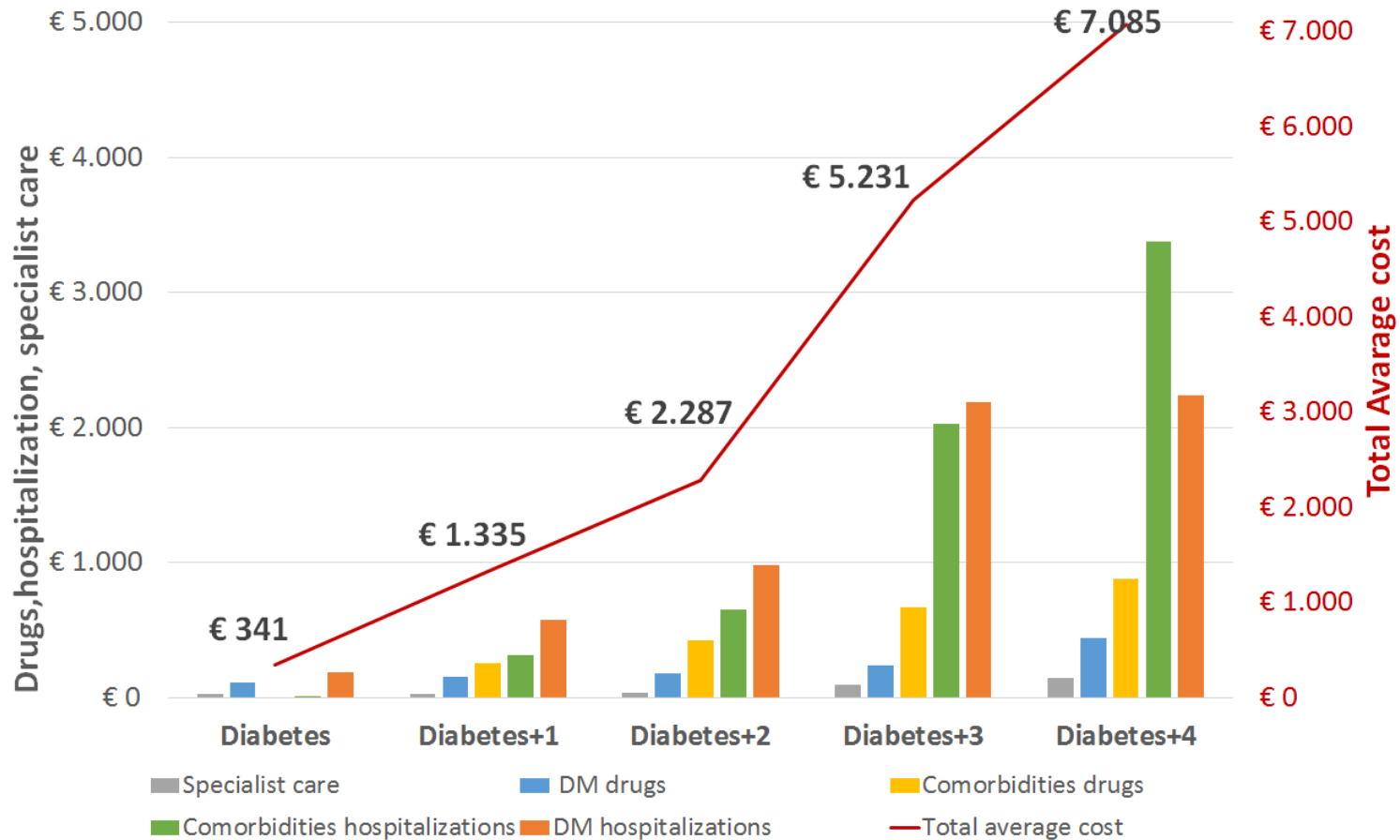
# Chi sono?

- Statistiche descrittive del campione

	<b>Media 2008-2011</b>	<b>%</b>	<b>Età media</b>	<b>% donne</b>
<b>Diabete</b>	35.947	23,5	74	55
<b>Diabete+1</b>	51.875	33,9	66	48
<b>Diabete+2</b>	54.121	35,3	65	51
<b>Diabete+3</b>	10.863	7,1	67	46
<b>Diabete+4</b>	350	0,2	70	27
<b>Totale</b>	86.155	100	62	41

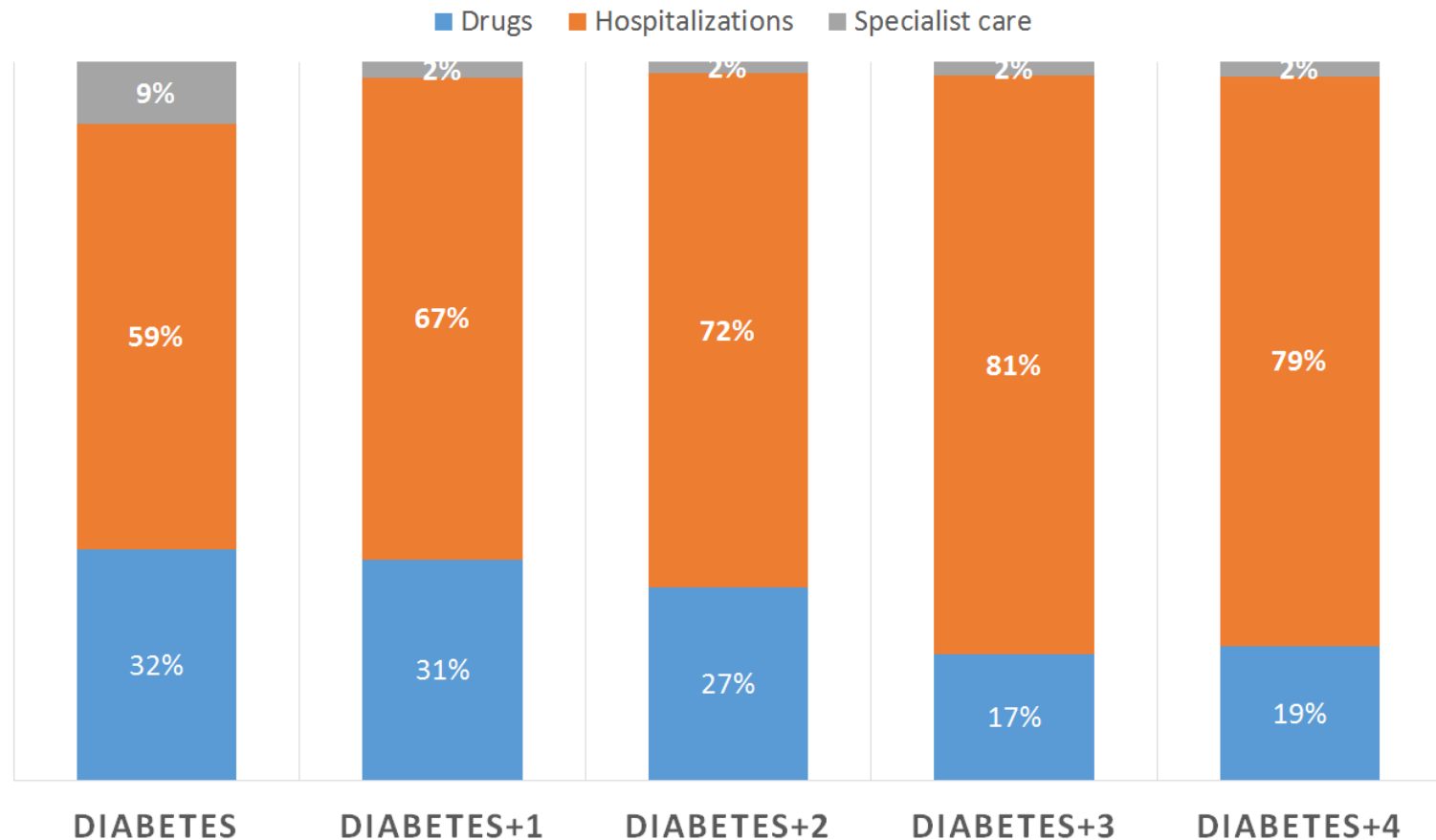
# Quanto costano?

- Costo medio anno per paziente e numero di comorbidità



# Cosa costa di più?

- Peso percentuale per voce di costo associato al diabete ed alle comorbidità



# Chi sono? (Assunzione Italia)

- Stima pazienti e costi

<i>Distribuzione per Comorbidità</i>	<i>Media</i>	<i>MIN</i>	<i>MAX</i>
Diabete	462.083	401.282	532.611
Diabete + 1 comorbidità	1.217.456	1.057.265	1.403.278
Diabete + 2 comorbidità	1.472.809	1.279.018	1.697.606
Diabete + 3 comorbidità	317.288	275.539	365.716
Diabete + 4 comorbidità	14.224	12.352	16.395
<b>Totale</b>	<b>3.483.860</b>	<b>3.025.457</b>	<b>4.015.607</b>
<b>78%</b>			
<i>Costi diretti per pz</i>	<i>Media</i>	<i>MIN</i>	<i>MAX</i>
Diabete	€ 201.755.010	€ 175.208.298	€ 232.549.196
Diabete + 1 comorbidità	€ 1.897.386.718	€ 1.647.730.571	€ 2.186.987.849
Diabete + 2 comorbidità	€ 3.981.951.250	€ 3.458.010.296	€ 4.589.722.756
Diabete + 3 comorbidità	€ 1.886.907.236	€ 1.638.629.968	€ 2.174.908.867
Diabete + 4 comorbidità	€ 107.734.548	€ 93.558.949	€ 124.178.242
<b>Totale</b>	<b>€ 8.075.734.762</b>	<b>€ 7.013.138.082</b>	<b>€ 9.308.346.909</b>
<b>80%</b>			

# Corretta Gestione del Paziente

è stata costruita una analisi di scenario in grado di modificare i parametri epidemiologici e di costo del modello di COI in modo da identificare i potenziali risparmi associati ad una corretta gestione paziente.

## Parametri analisi di scenario ottimizzazione gestione del paziente diabetico

Parametro controllo	Complicanze	Ospedalizzazioni	Specialistica (ottimali-rilevate)	Farmaceutica
Emoglobina glicata (HbA1c)	-10%	-10%	+1.6 (3-1.4)	+10%
Microalbuminuria	-10%	-10%	+0.75 (1.25-0.6)	+10%
Colesterolo	-10% cardio	-	+0.3 (1-0.7)	-
Pressione arteriosa	-	-10% cardio e renali	+2 (3-1)	+10% cardio



# Corretta Gestione del Paziente - ITALIA

## Variazione costi totali paziente con Diabete analisi di scenario (Caso-base variazione 10%)

Pazienti	Caso base	HbA1c	HbA1c + Microalbuminuria	... + Colesterolo	... + Pressione Arteriosa
Diabete	€ 201.755.010	€ 233.912.373	€ 257.637.514	€ 268.546.186	€ 267.696.724
Diabete + 1 comorbidità	€ 1.897.386.718	€ 1.811.417.981	€ 1.709.339.010	€ 1.887.560.901	€ 2.259.769.357
Diabete + 2 comorbidità	€ 3.981.951.250	€ 3.792.013.451	€ 3.577.963.346	€ 3.322.538.682	€ 3.043.119.214
Diabete + 3 comorbidità	€ 1.886.907.236	€ 1.794.778.287	€ 1.691.320.380	€ 1.525.496.473	€ 1.429.848.279
Diabete + 4 comorbidità	€ 107.734.548	€ 103.780.581	€ 98.723.807	€ 89.047.633	€ 698.325.948
<b>Totale</b>	€ 8.075.734.762	€ 7.735.902.672	€ 7.334.984.058	€ 7.093.189.876	€ 7.698.759.522
<b>Differenza totale rispetto caso-base</b>		<b>-€ 339.832.090</b>	<b>-€ 740.750.704</b>	<b>-€ 982.544.886</b>	<b>-€ 376.975.239</b>

# Potenzialità attraverso integrazione RWE

**Nel caso del diabete, attraverso l'integrazione di informazioni di carattere clinico e di laboratorio, gli scenari sulla corretta gestione dei pazienti potrebbero venire monitorati al fine di ottenere variabili di *outcome* basate su RWE;**

# Potenzialità attraverso integrazione RWE

Più in generale, la possibilità di utilizzare dati clinici permette:

- effettuare stime verosimili dei dati di occorrenza degli eventi;
- stratificare i pazienti sulla base di caratteristiche di gravità della patologia (gruppi di confronto **omogenei**);
- raggiungimento dei target di efficacia ed efficienza dei farmaci e/o dei dispositivi.

## **Economic Evaluation and HTA (EEHTA)**

Prof. Francesco Saverio Mennini

Research Director, Economic Evaluation and HTA (EEHTA)  
CEIS Università degli Studi di Roma «Tor Vergata»

Institute of Leadership and Management in Health, Kingston University, London, UK

President, ISPOR Italy Rome Chapter

# GRAZIE PER L'ATTENZIONE

f.mennini@uniroma2.it

Web: <http://www.ceistorvergata.it/area.asp?a=626>