

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

**Prof. FS Mennini**

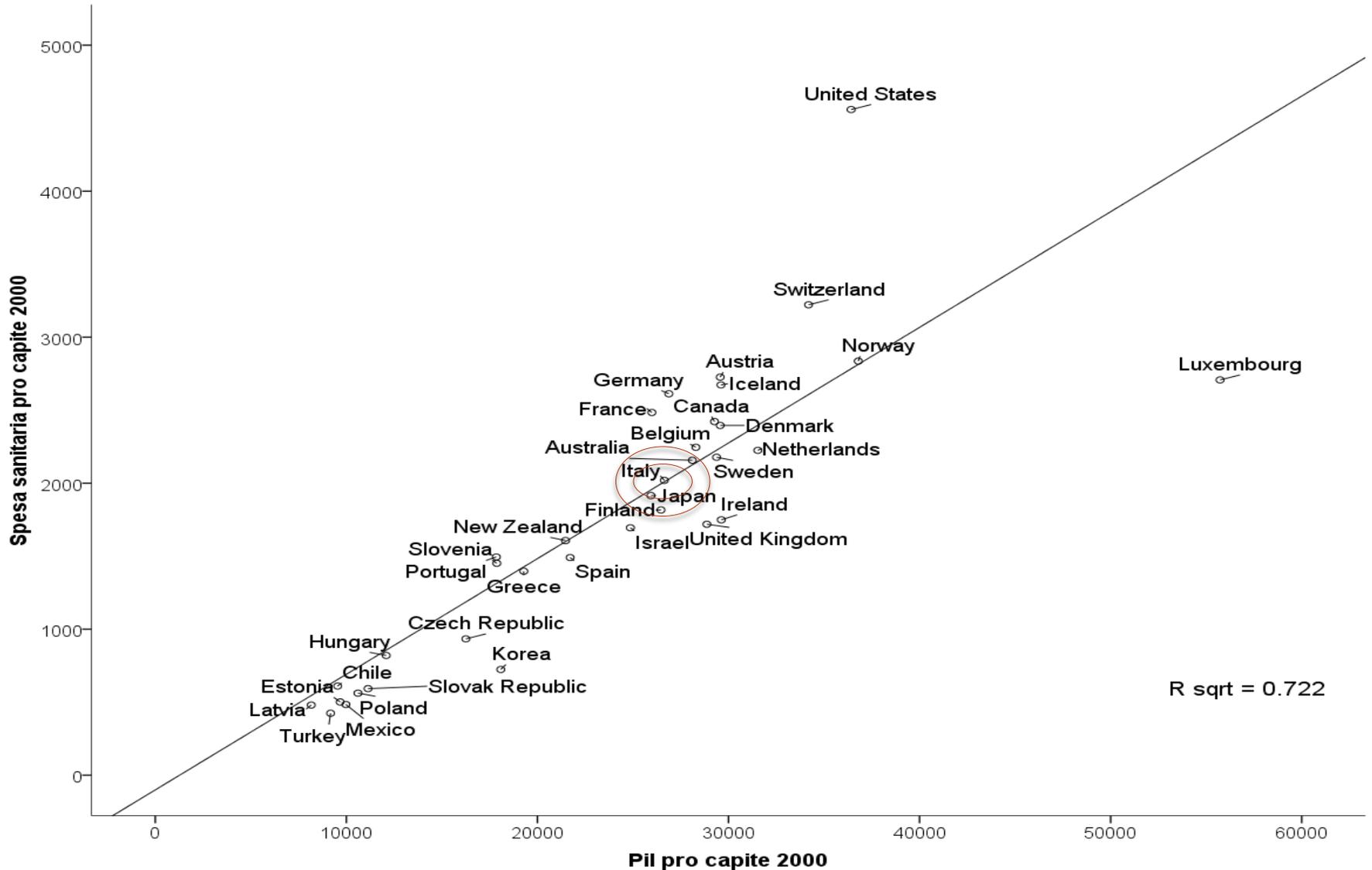
Research Director, Economic Evaluation and HTA (EEHTA)  
CEIS, Università degli Studi di Roma «Tor Vergata»

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

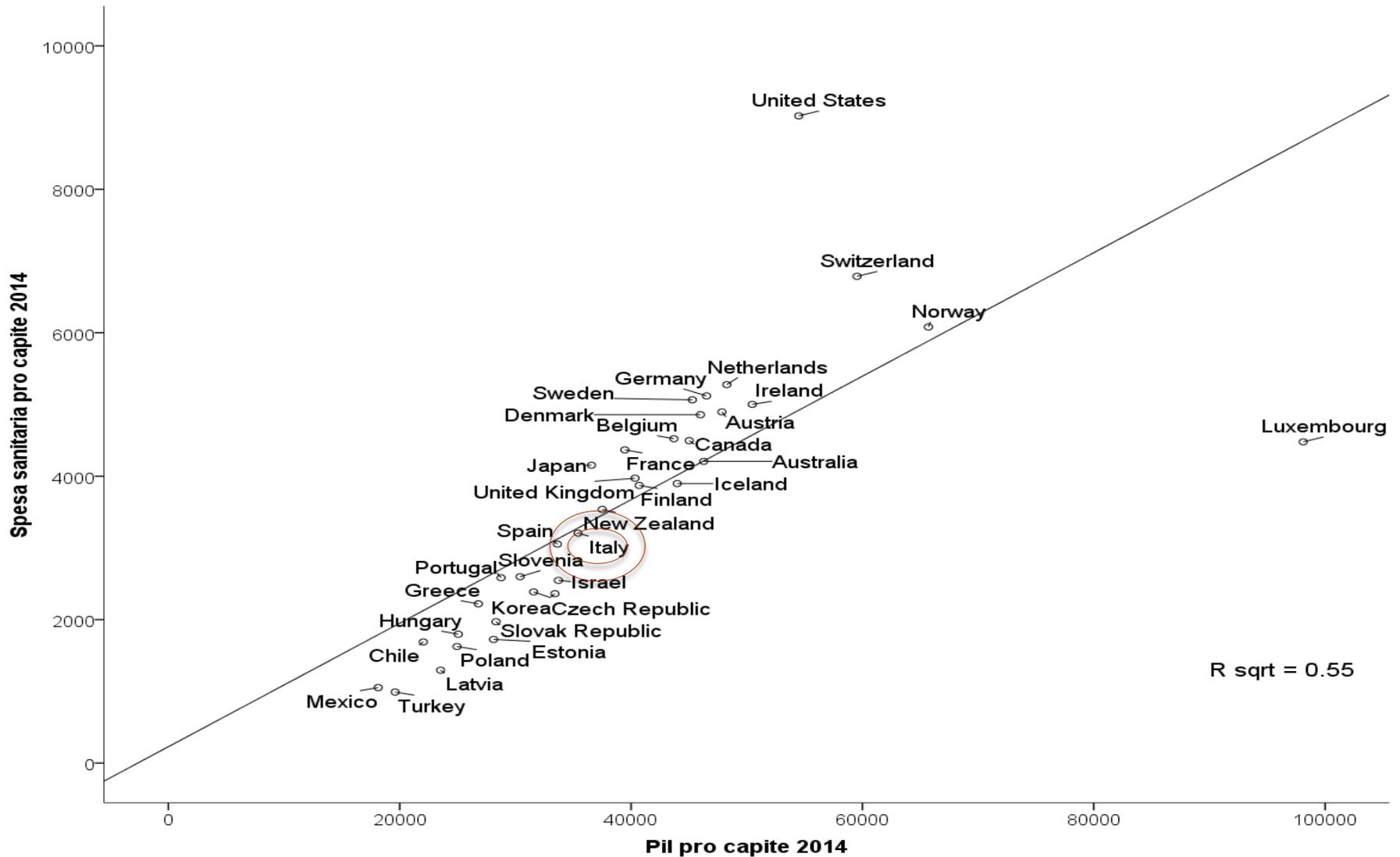
President Elect, SiHTA

Past President, ISPOR Italy Rome Chapter

# Spesa sanitaria pro-capite e PIL pro-capite OECD. Valori in dollari (PPP) - Anno 2000



# Spesa sanitaria pro-capite e PIL pro-capite OECD. Valori in dollari (PPP) - Anno 2014



■ dal concetto di COSTO della sanità verso quello ...

... di **Investimento per la salute** sta sempre più affermandosi nelle varie aree decisionali della società.

# VALORE

Il **valore** non è coincidente con il prezzo,

.....l'utilità marginale che l'acquirente può ottenere dall'acquisizione del bene.

Farmaco?

Coniugare il **valore “terapeutico” del farmaco con il suo valore economico e sociale**, un esercizio cui sono chiamati i decisori del settore sanitario, i medici, gli operatori sanitari ..... ma anche i pazienti, e tutti i decisori coinvolti (Min Economia, INPS, INAIL) .



## Costo Opportunità

Necessario valutare i maggiori costi che il sistema sanitario e quello economico nel complesso sosterebbero in assenza dei farmaci efficaci correntemente disponibili.

La spesa sanitaria pubblica si attesterebbe su valori superiori o inferiori?

Quale impatto sul PIL?

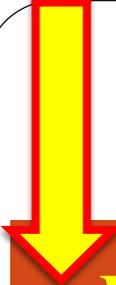
Quale impatto in termini di costi per *informal care*?

---



**Sostenibilità,  
Disponibilità a Pagare  
e Costo Opportunità**

---



**E' un cambio di prospettiva radicale: non più un orizzonte temporale limitato.**

.....impone lo sviluppo di nuovi strumenti statistici per la valutazione degli effetti dei trattamenti, strumenti finalizzati a descrivere la distribuzione dei benefici in termini di sopravvivenza e non solo il loro valore mediano e la riduzione “media” del tasso di mortalità (HR).....

**Ma anche strumenti di Valutazione Economica e Finanziaria**

Occorrono regole e strumenti chiari che definiscano e tutelino l'innovazione.

*Governance.*

**Come fare?**

**Abbandono Silos Budget (Micro e Macro)**

**Big Data**

**BIM**

**HTA**

I Paesi EU stanno utilizzando una varietà di strumenti per affrontare l'incertezza derivante dalla mancanza di informazioni sull'impatto del bilancio, sull'efficacia dei costi, sull'utilizzo nella vita reale e sull'accesso.

Nonostante il numero non trascurabile di accordi attuati, **sono disponibili poche informazioni sull'impatto (costi diretti ed indiretti)** di questi regimi e sulla loro conformità ai loro obiettivi.

Ancora, **la scarsa quantità di informazioni disponibili** nel pubblico dominio ostacola l'apprendimento tra paesi e la capacità dei pazienti di impegnarsi nel processo.

# 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.

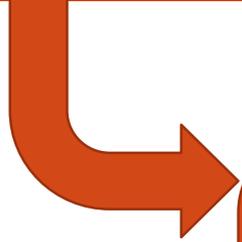
# Big data e RWE

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*.

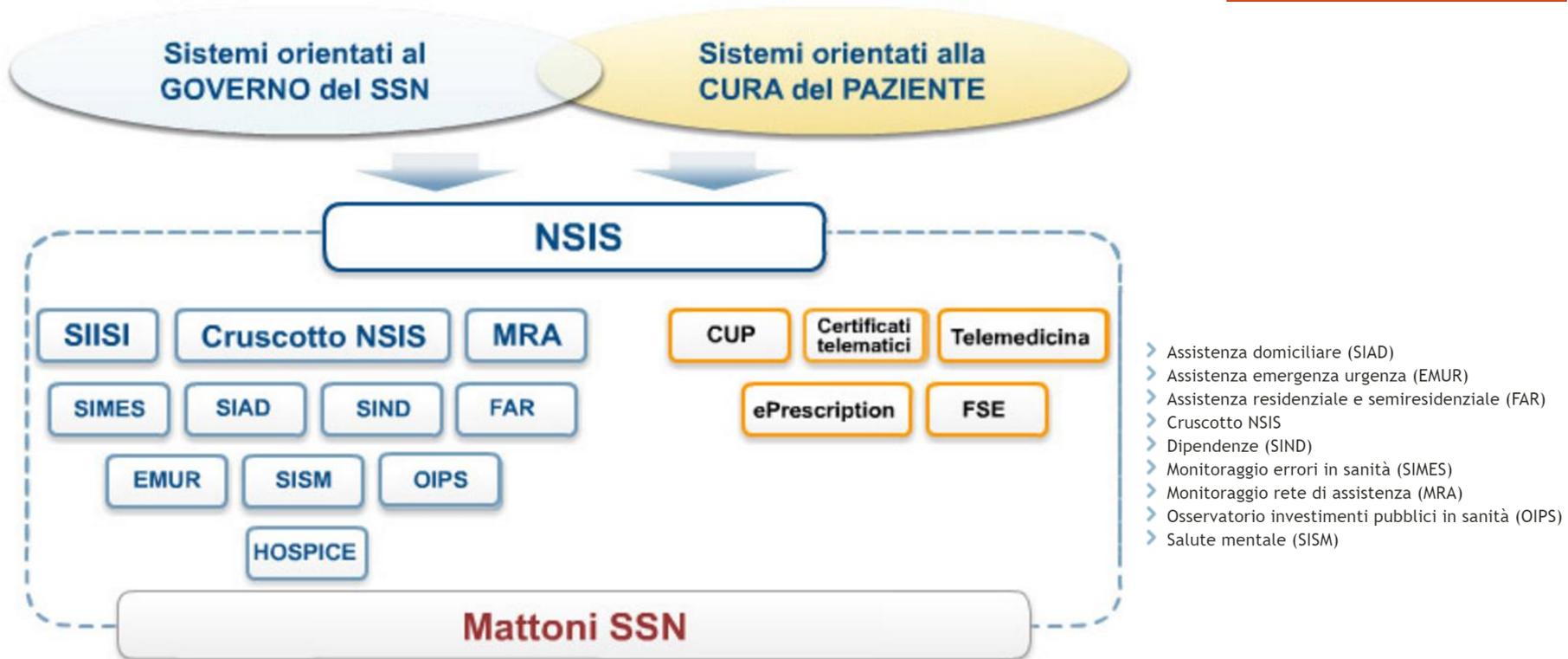
# Claims Databases (ISPOR task force)



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.

# 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.

## 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

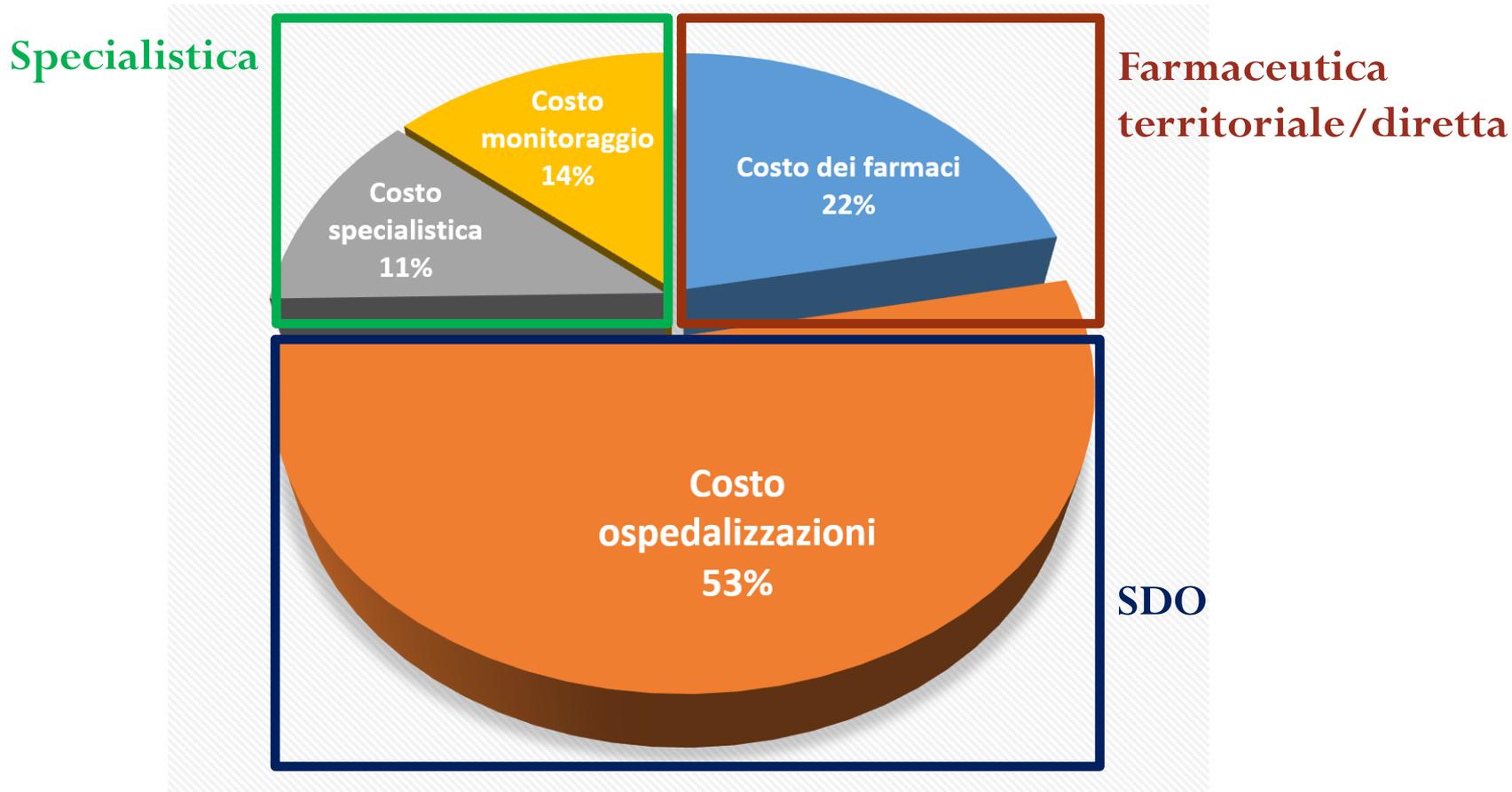
## **The direct and indirect cost of diabetes in Italy: a prevalence probabilistic approach**

**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

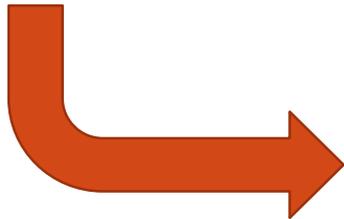
- Distribuzione dei costi diretti sanitari provenienti dalla letteratura



# 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

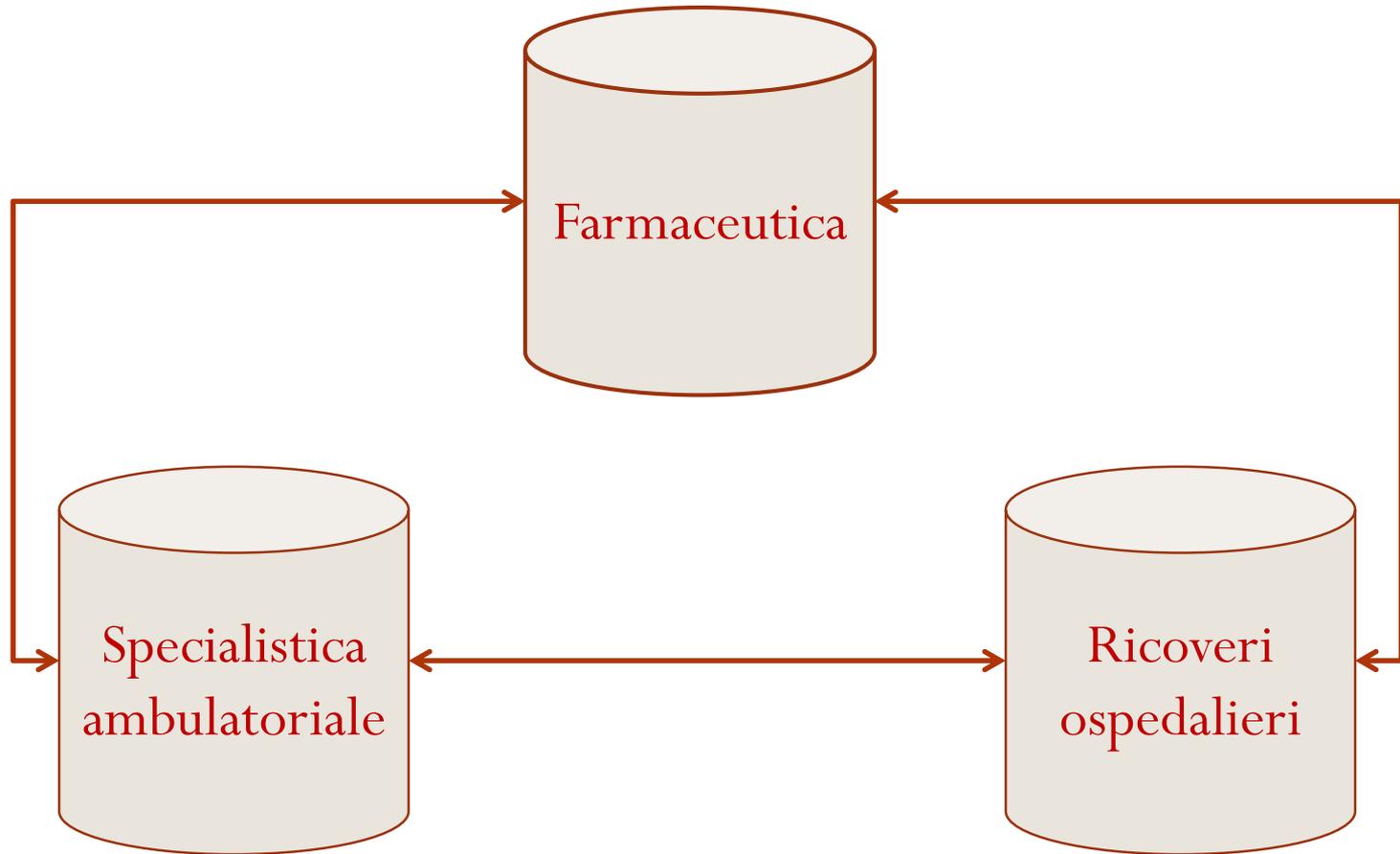
*Marcellusi A, Viti R, Sciattella P, Aimaretti G, Tonolo G, De Cosmo S, Provenzano V,  
Mennini FS*

**BMJ Open diabetes research and care.**

**Article** · October 2016

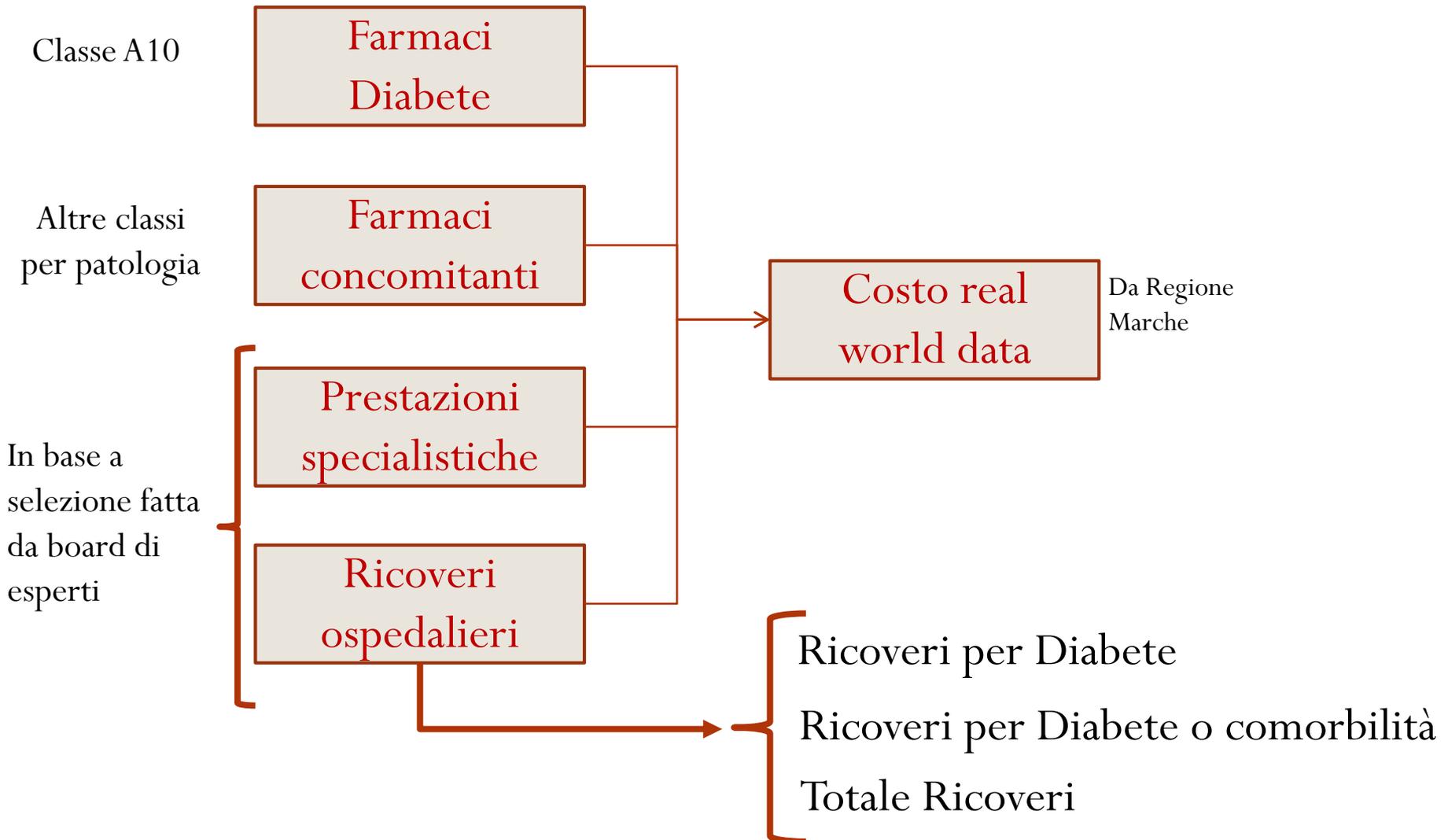
DOI: 10.1136/bmjdr-2016-000197

## Fonte dei dati – Sistemi informativi



**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>

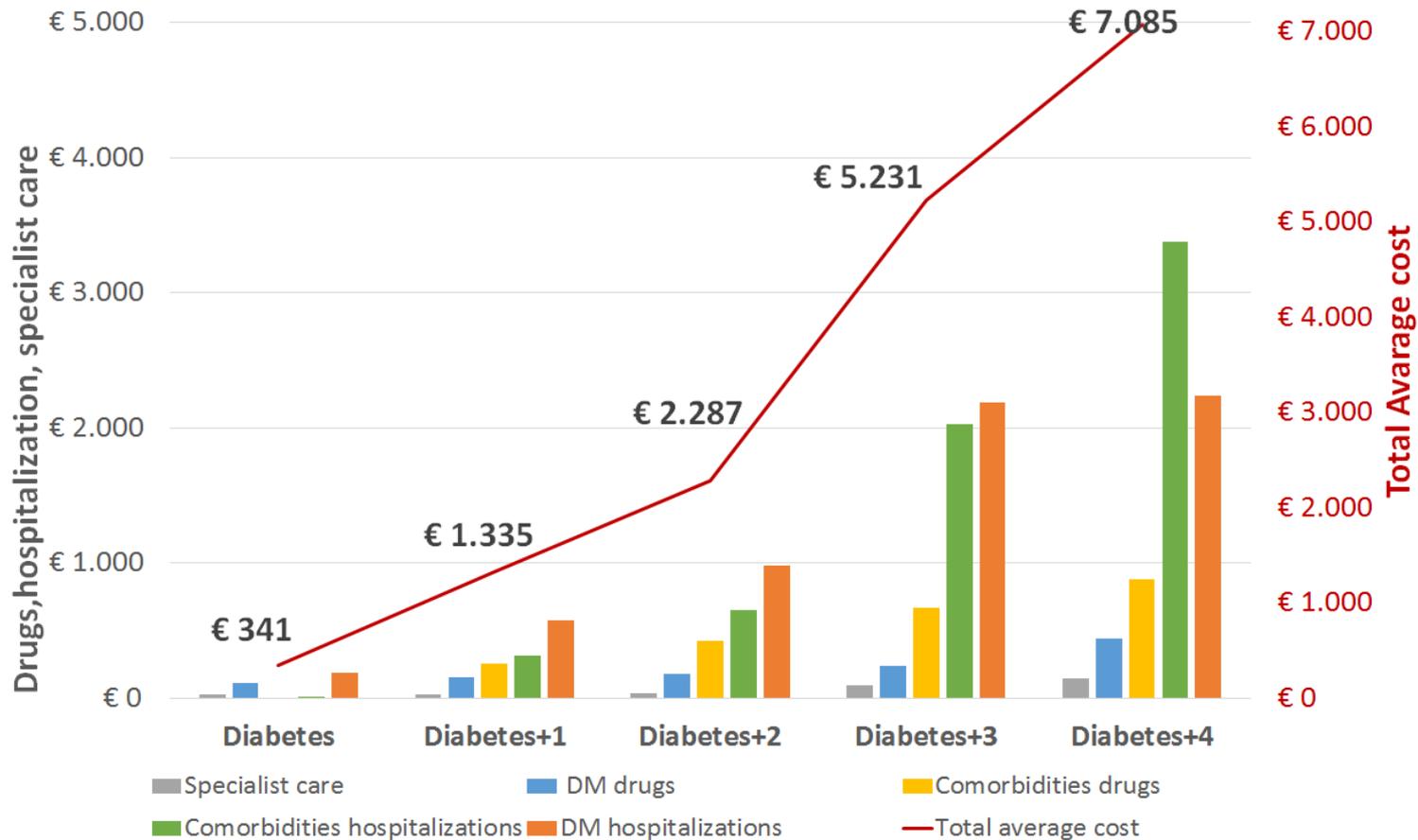
# Chi sono?

- 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

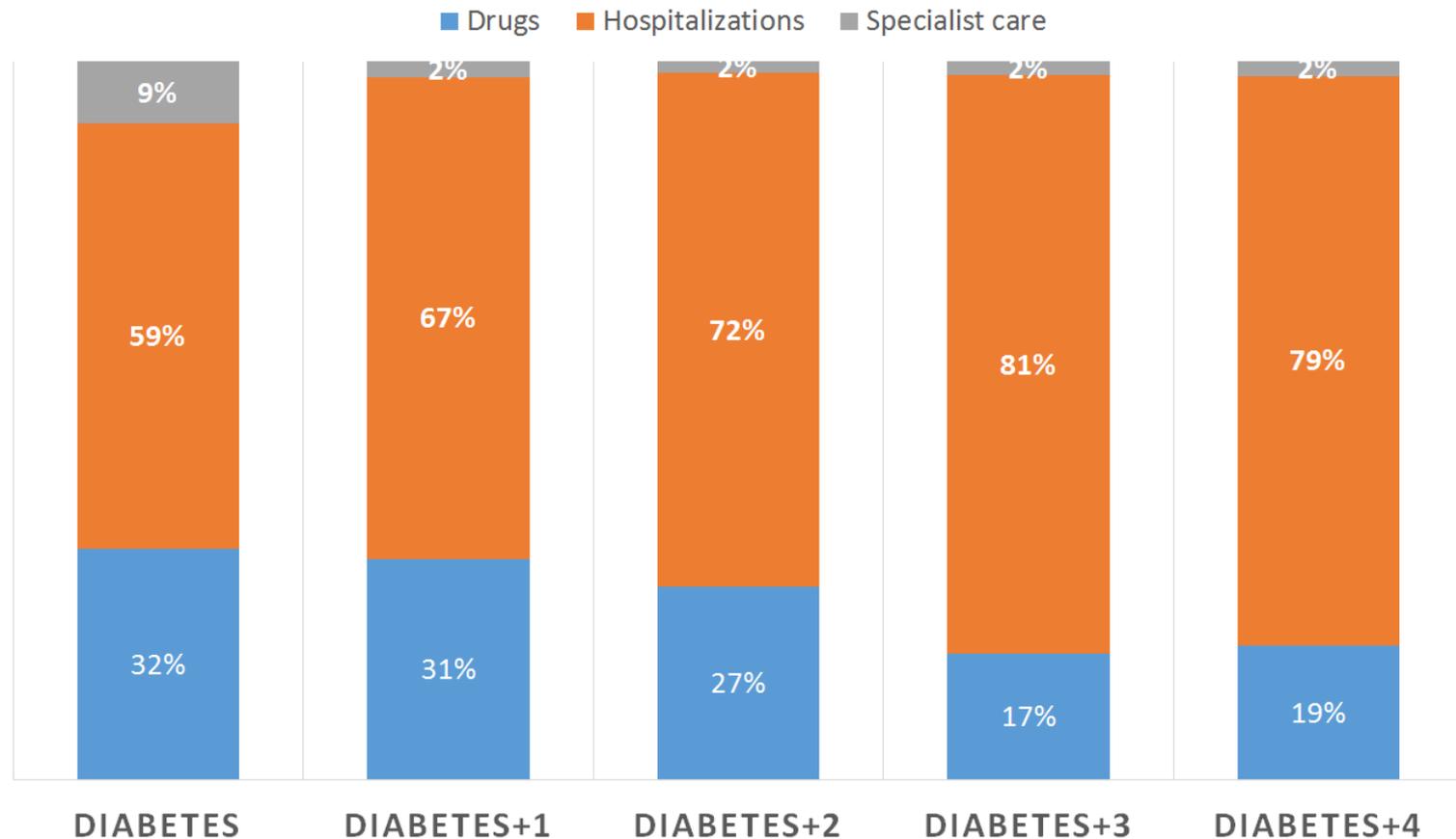
# Quanto costano?

- 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>

**78%**

<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>

**80%**

E a livello nazionale cosa accade...

**3.483.860** pazienti presenti in Italia che comportano

€ 8.075.734.762

per totale interventi sanitari

€ 6.911.752.853

per diabete e comorbidità

85% del totale  
prestazioni

€ 3.690.483.816  
per la cura del solo  
diabete

46% del totale  
prestazioni

# 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;

## 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 Elect, SiHTA

Past President, ISPOR Italy Rome Chapter

# GRAZIE PER L'ATTENZIONE

f.mennini@uniroma2.it

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