

Il Prontuario Terapeutico Ospedaliero: strumento decisionale nella cornice del governo clinico

Maria Grazia Allegretti¹, Enrico Baldantoni², Giovanni Maria Guarrera³, Carlo Favaretti⁴

¹Servizio di Farmacia Ospedaliera, ²Direzione Sanitaria, ³Servizio Garanzia di Qualità, ⁴Direttore Generale Azienda Provinciale per i Servizi Sanitari, Provincia Autonoma di Trento

Riassunto: Il Prontuario Terapeutico Ospedaliero (PTO) non è una semplice lista di farmaci, come spesso viene ancora considerato, ma ha il duplice scopo di promuovere l'uso appropriato dei farmaci e di assicurare al contempo il controllo dei loro costi. Ne consegue la necessità di rendere il PTO uno strumento condiviso e validato tramite l'utilizzo di criteri espliciti (Health Technology Assessment e la medicina basata sulle prove di efficacia) sintetizzabili in una griglia che consenta di scegliere, tra le molte opzioni proposte, solamente le innovazioni terapeutiche documentate sulla base di precisi risultati clinici e farmaco-economici, attraverso la valutazione comparativa con farmaci già noti e di uso consolidato. Prima dell'utilizzo della griglia, la scelta sulla possibilità di introduzione o meno del farmaco nel PTO era maggiormente *opinion based* nonché soggetta a tentativi di "pressione" da parte del proponente, mentre l'utilizzo sistematico di criteri espliciti si è dimostrato, nella nostra esperienza, un utile strumento di confronto tecnico-scientifico multidisciplinare che ha avuto un riscontro favorevole anche da parte dei clinici.

Parole chiave: Prontuario Terapeutico Ospedaliero, Health Technology Assessment, farmaci, appropriatezza d'uso.

Introduzione

Il Prontuario Terapeutico Ospedaliero (PTO) non è una semplice lista di farmaci, come spesso viene ancora considerato, ma ha il duplice scopo di promuovere l'uso appropriato dei farmaci e di assicurare al contempo il controllo dei loro costi¹.

Infatti, la spesa farmaceutica a carico del SSN che è in continua crescita e non evidenzia alcuna tendenza a inversioni di rotta è uno dei principali driver dei costi sostenuti dalle Aziende Sanitarie per produrre i loro servizi². Si tratta di un fattore molto dinamico, fortemente condizionato sia da modalità diverse di utilizzo dei farmaci già conosciuti con l'espansione di trattamenti cronici a fasce di popolazione fino ad oggi non ancora trattate o sottotrattate, sia dall'introduzione sul mercato di nuove molecole sempre più costose di quelle che si pongono di sostituire³.

Abstract: *The Hospital Formulary: decision making in the framework of the clinical governance.*

Expenditure on drugs has been growing steadily over recent years nationwide, becoming one of the key cost drivers. At local level, the Therapeutic Committee (TC) could be seen not only as a cost containment managerial tool, but as a strategy to improve the source, accuracy and balance of information available to physicians about pharmaceuticals, with the potential of limiting inappropriate prescribing.

A framework assembling the following data, information and criteria has been designed by the TC: generic name of the drug, anatomical therapeutic chemical classification, pharmaco-economic elements, prescribing indications approved, cheaper drugs available for the same indications, results of the main RCTs with study design, data analysis, primary, secondary and substitute endpoints, outcomes including adverse effects. The addition of a new drug to the formulary used to be, in our experience, somehow a battlefield often open to opinion based "pressures". From this point of view, the TC model can be considered a technology based on explicit criteria whose main aim is to help the process of decision with the aid of more transparent and accountable elements.

Key words: Hospital Formulary, Health Technology Assessment, drugs, appropriate prescribing.

Sotto questo profilo riveste notevole importanza promuovere un utilizzo critico del PTO come strumento decisionale e non solo come modalità "costrittiva" finalizzata al taglio dei costi e all'efficienza tecnica e visto, conseguentemente, dai medici come un'indebita limitazione alla loro libertà di prescrizione o, più semplicemente, come un elenco di farmaci disponibili in ospedale. Il PTO ha la potenzialità di diventare uno strumento di lavoro flessibile, utile a indirizzare i comportamenti professionali verso un utilizzo razionale dei farmaci all'interno della cornice più ampia del governo clinico, cioè dell'insieme delle regole, dei processi e dei comportamenti che influenzano il modo nel quale viene erogata l'assistenza sanitaria in un contesto che possa favorire l'eccellenza⁴.

Ne consegue la necessità di rendere il PTO uno strumento condiviso e validato tramite l'utilizzo di criteri espliciti che consentano di scegliere, tra le molte opzioni proposte, solamente le innovazioni terapeutiche documentate sulla base di precisi risultati clinici e farmaco-economici attraverso la valutazione comparativa con farmaci già noti e di uso consolidato.

*Comunicazione presentata al XXV Congresso SIFO, Roma, 3-6 novembre 2004.

Materiali e Metodi

Un elemento di particolare significatività è la modalità adottata dalla Commissione Aziendale per il Prontuario Terapeutico Ospedaliero dell'Azienda Provinciale per i Servizi Sanitari della Provincia Autonoma di Trento (APSS) per la definizione dei criteri di introduzione di un nuovo farmaco.

È stata predisposta una griglia a cura della Segreteria Scientifica della Commissione (che è di pertinenza della Struttura Complessa di Farmacia Ospedaliera) nella quale, accanto a informazioni sui costi, vengono elencati i principali studi scientifici disponibili, mettendo in evidenza il disegno dello studio e la sua potenza, gli end point considerati (primari, secondari e surrogati) e i risultati sia in termini di significatività statistica che di effetti sul lungo termine, nonché i dati relativi alla tollerabilità.

La commissione dispone di un percorso strutturato secondo i principi del Technology Assessment e dell'Evidence Based Medicine per decidere l'introduzione o meno del farmaco in PTO sulla base di elementi oggettivi (Tabella 1) che consentano di valutare sia l'appropriatezza dell'uso, in termini di efficacia e tollerabilità, sia l'efficienza allocativa.

Tabella 1. Elementi della griglia di analisi.

- PRINCIPIO ATTIVO
- SPECIALITÀ MEDICINALE
- CLASSIFICAZIONE ATC
- PRESENTAZIONE IN COMMERCIO (forme farmaceutiche)
- INDICAZIONI TERAPEUTICHE approvate dall'AIC
- MOTIVAZIONE DELLA RICHIESTA
- STUDI CLINICI A SUPPORTO (elenco degli studi e fonte bibliografica)
 - Titolo dello studio
 - Tipo di studio (Es.: randomizzato doppio cieco, ecc.)
 - ♦ Numero di soggetti inclusi (trattati e controllo)
 - ♦ End point principali e/o secondari
 - ♦ End point clinicamente rilevanti ovvero surrogati, ovvero combinati
 - ♦ Risultati: significatività delle differenze rispetto al controllo
 - ♦ Risultati: misure di efficacia adottate
- PRINCIPI ATTIVI CLINICAMENTE SOVRAPPONIBILI PRESENTI IN PTO (con l'evidenziazione delle indicazioni terapeutiche approvate dall'AIC e con la comparazione economica del costo terapia/die/sett./ciclo)
- COMMENTO

Sulla base degli elementi della griglia sopra descritti, lo scenario delle possibili decisioni è il seguente:

- 1) il farmaco non è introdotto in PTO;
- 2) il farmaco viene introdotto in PTO senza restrizioni d'uso;

3) il farmaco viene introdotto in PTO con restrizioni d'uso che possono essere le seguenti:

- a) il farmaco viene introdotto in PTO con limitazioni dei prescrittori (per es., rosigitazione e pioglitazione ad uso esclusivo dei centri antidiabetici, caspofungin e voriconazolo prescrizione solo per infettivologi o rianimatori e comunque come farmaco di seconda scelta – quindi da ordinare alla Farmacia con richiesta motivata – per la cura di infezioni fungine sistemiche);
- b) il farmaco viene introdotto in PTO sulla base di un protocollo terapeutico o di linee-guida sul suo uso (per es., gestione del dolore, profilassi antibiotica);
- c) il farmaco viene introdotto in PTO con un piano di monitoraggio per un periodo ben definito (per es., 6 mesi/1 anno) e successivamente la Commissione per il PTO valuta i dati forniti dal monitoraggio.

Risultati

Nell'ultimo anno sono stati proposti ed esaminati dalla commissione aziendale per PTO, con l'istruttoria sintetizzata nella griglia, 37 principi attivi. Di questi, 7 sono stati introdotti senza restrizioni d'uso, 9 con limitazioni d'uso per le indicazioni terapeutiche, 3 come trattamenti di seconda scelta, 2 con limitazioni per i prescrittori, 16 non sono stati approvati per mancanza di prove di documentata efficacia e/o per mancanza di sicurezza nell'impiego e la scelta non era economicamente sostenibile (Tabella 2).

Nel corso del 2005 saranno valutati i dati di ricaduta di questa nuova modalità per la definizione dei criteri di introduzione di un nuovo farmaco in PTO adottata nel corso del 2004 sulla spesa farmaceutica ospedaliera.

Tabella 2. Riepilogo delle decisioni assunte dalla Commissione per il PTO nel 2004.

Principi attivi esaminati	37
Introdotti senza restrizione d'uso	7 (18,9%)
Introdotti con limitazione d'uso per le indicazioni terapeutiche	9 (24,3%)
Introdotti con limitazione d'uso come trattamento seconda scelta	3 (8,1%)
Introdotti con limitazione d'uso per i prescrittori (centri specializzati)	2 (5,4%)
Non introdotti (mancanza di evidenze scientifiche/sicurezza d'uso)	16 (43,2%)

Discussione e considerazioni conclusive

I recenti processi tecnologici stanno modificando in maniera sostanziale le pratiche terapeutiche con costi sempre più elevati che talvolta pongono anche problemi relativi alla sostenibilità delle cure. Di conseguenza, le modalità di analisi e valutazione relativa all'appropriatezza necessitano di revisione per essere adeguate alle nuove strategie terapeutiche.

La Commissione per il PTO utilizza una modalità strutturata per valutare in modo critico e tendenzialmente obiettivo le richieste relative all'introduzione di nuovi farmaci effettuate dai clinici.

La Commissione decide l'introduzione del nuovo farmaco basandosi sulla sintesi di informazioni offerta dalla griglia che ben si presta poi alla possibilità di sviluppo in un punteggio pesato sulla base della caratura dei singoli criteri.

La novità sostanziale consiste nel fatto che, prima dell'utilizzo della griglia, la scelta sulla possibilità di introduzione o meno del farmaco nel PTO era maggiormente *opinion based* nonché soggetta a tentativi di "pressione" da parte del proponente, mentre l'utilizzo sistematico di criteri espliciti (griglia) e in particolare quelli della medicina basata sulle prove di efficacia si è dimostrato, nella nostra esperienza, un utile strumento di confronto tecnico-scientifico multidisciplinare, che ha avuto un riscontro favorevole anche da parte dei clinici.

Questa modalità per la valutazione sistematica dei farmaci si è dimostrata anche uno strumento di formazione attiva all'uso appropriato dei farmaci, perché ha stimolato il confronto con i clinici anche sul monitoraggio dell'utilizzo e la valutazione degli effetti. Il tutto può essere ricondotto a una azione sistemica di miglioramento continuo della qualità dell'assistenza che, partendo da elementi concreti, richiama l'attenzione non solo sulla dimensione dei costi, ma anche su quella dell'efficacia e della sicurezza di utilizzo dei farmaci^{1,5}. Il PTO si presta anche a una considerazione più ampia relativa alle difficoltà da superare quando ci si sforza di introdurre elementi di razionalità, pianificazione e visione di sistema

nell'ambito della complessa erogazione dei servizi sanitari. I richiami alla prudenza sono sia di derivazione tecnica, relativamente alla validità e applicabilità degli strumenti di misura e di controllo, sia di tipo culturale, relativi alla gestione del cambiamento. L'unica strada percorribile è quella che passa attraverso il confronto, con l'inevitabile dialettica conseguente, e la condivisione di criteri e di strumenti per la valutazione. Nonostante questi limiti, la valutazione è un obiettivo condivisibile, che deve essere perseguito in modo incrementale, attraverso un approccio cauto ma determinato. A corollario della descrizione del processo valutativo per l'introduzione di nuovi farmaci nel PTO, appare opportuno ricordare le sagge parole di Scriven⁶: "La vita pratica non può procedere senza valutazione e neppure quella intellettuale e quella morale, ed esse non sono costruite sulla sabbia. Il vero problema è come fare bene una valutazione, non come evitarla".

Bibliografia

1. Documento Programmatico SIFO 2004-2008.
2. Eandi M. L'incremento della spesa farmaceutica. *Farmacoeconomia e percorsi terapeutici* 2004; 3: 131-2.
3. Otto M, Paruzzolo S. La crescita della spesa farmaceutica: le motivazioni e la valutazione delle diverse componenti. *Mecosan* 2004; 13: 9-21.
4. Grilli R. *Governo clinico*. *Care* 2003; 4: 19-20.
5. Berwick D. Continuous improvement as an ideal in health care. *N Engl J Med* 1989; 320: 53-6.
6. Scriven M. *Evaluation Thesaurus*. Sage Editore, 1991.