



Bollettino N. 5, 12 Luglio 2022

In questo numero:

Introduzione del beneficio clinico nel procurement dei dispositivi medici: aggiornamento 2022.....	1
--	---

**INTRODUZIONE DEL BENEFICIO CLINICO NEL PROCUREMENT DEI
DISPOSITIVI MEDICI: AGGIORNAMENTO 2022**

a cura del Settore Politiche del Farmaco e dei Dispositivi

Introduzione

Nell'Agosto 2019, la Regione Toscana ha approvato una delibera regionale (N°1093/2019) [1] riguardante l'incorporazione del beneficio clinico nelle gare regionali per l'acquisizione dei dispositivi medici (DM). La delibera riflette un'esigenza consolidatasi in misura via via maggiore negli ultimi anni e sostenuta in modo pressoché unanime dalla comunità scientifica internazionale, dall'accademia, da numerosi documenti ministeriali, da molte società scientifiche oltre che da diverse industrie del settore dei DM. I dispositivi più adatti per l'incorporazione del beneficio clinico sono quelli a media ed alta complessità.

Dopo la pubblicazione della Delibera 1093/2019, sono state intraprese su questa tematica ulteriori iniziative regionali (molte delle quali afferenti ad ESTAR). Il loro scopo, in generale, è stato quello di definire le modalità operative che, nel procurement dei DM, consentono di mettere in pratica questo criterio del beneficio clinico. Da un lato, le iniziative sono state numerose, ma d'altro lato vi è stata un'inevitabile frammentarietà di quanto proposto. Di conseguenza, appare oggi utile fornire una sintesi che inquadri in un contesto complessivo le proposte sviluppate finora.

Criterio del beneficio clinico applicato alle gare sui dispositivi medici: tre principali modalità di attuazione

Vi è un ampio consenso nel riconoscere le gare/procedure competitive sui DM come la sede più appropriata per mettere in pratica l'applicazione del criterio del beneficio clinico. Va inoltre tenuto presente che, oltre che nelle gare, il beneficio trova applicazione anche in un secondo ambito che consiste nella gestione extra-gara dei DM innovativi per la quale la Regione Toscana ha recentemente emanato una delibera regionale (N° 737/2022) la quale non viene comunque discussa nel presente documento.

Dunque, nelle gare regionali, si possono distinguere tre principali modalità che consentono di mettere in pratica il criterio del beneficio clinico (vedasi Tabella 1).

Modalità 1: Beneficio 0-70: valutazione narrativa del beneficio clinico con inserimento di bibliografie

La modalità che viene qui identificata con il termine “Beneficio 0-70” intende indicare che questa modalità viene impiegata per la determinazione dei punteggi di qualità, i quali -nella grande maggioranza dei casi- si collocano su una scala che va da 0 a 70.

Questa modalità comprende due percorsi entrambi caratterizzati dalla possibilità di poter essere applicati a tutti i lotti di gara e dalla semplicità operativa. I due percorsi sono i seguenti:

1a) inserimento di bibliografie cliniche in ogni lotto di gara: tale inserimento ha lo scopo di documentare che, come previsto dalla delibera 1093/2019 [1], la definizione di un lotto è guidata da una valutazione clinica dei risultati assistenziali generati dai DM che partecipano al lotto di gara. Le bibliografie possono essere preferibilmente associate ciascuna ad un singolo lotto di gara, come previsto dalla 1093/2019, oppure -in seconda battuta- possono avere una pertinenza complessiva e quindi porsi in riferimento per tutti i lotti previsti dal capitolato tecnico.

1b) inserimento in ogni lotto di gara di due criteri di qualità: si suggerisce un primo criterio che misura la qualità metodologica delle evidenze riguardanti l'efficacia e la sicurezza ed un secondo criterio che invece misura quantitativamente il risultato clinico. Il punteggio complessivo, su scala 0-70, attribuito a questi due criteri dovrebbe essere commisurato al peso che si intende attribuire al beneficio in ogni specifica gara. A titolo esemplificativo si può proporre che il punteggio complessivo dei criteri 1 e 2 non debba essere inferiore a 35 punti (50%) rispetto ai 70 punti in totale. Oppure, nei casi in cui il beneficio gioca un ruolo meno importante, si può proporre che il punteggio complessivo dei criteri 1 e 2 non debba essere inferiore a 20 punti (29%) rispetto ai 70 punti in totale. Una prima applicazione di questo percorso è stata realizzata nella gara regionale sugli emostatici e sigillanti [3].

La differenza tra questi due percorsi (1a) e (1b) sta nel fatto che il primo serve a supportare la definizione di ogni singolo lotto, mentre il secondo è finalizzato a valutare i dispositivi che partecipano ad un certo lotto di gara. Inoltre, entrambi adottano un approccio narrativo e non sono previsti percorsi automatici per il calcolo dei punteggi.

Modalità 2: Prezzo value-based per la stima delle basi d'asta

Il concetto di prezzo basato sul valore (ossia “value-based pricing” o “value-based price”, VBP, secondo la dizione anglosassone) viene dibattuto oramai da molti anni nella letteratura scientifica. Fino ad oggi, l'applicazione del VBP si è focalizzata quasi esclusivamente sui farmaci, ed in particolare ha riguardato il settore dei farmaci innovativi.

Definire il VBP di un DM significa eseguire una serie di calcoli che, per quel DM, definiscono una proporzionalità tra l'entità del beneficio prodotto e il valore di prezzo massimo che può essere riconosciuto al DM.

Dato che la teoria del VBP è già stata dettagliatamente presentata nel Bollettino N. 3 del 4 Maggio 2022 [4], in questo documento ci limitiamo a riportare la formula finale per il calcolo del VBP. Tale formula è la seguente:

$$valuebasedprice_A = soglia_{WTP} \times guadagno_{QALYs} + costo_B - altricosti_A$$

dove A è il trattamento nuovo del quale vogliamo calcolare il prezzo, B è il comparator o standard di cura, WTP (willingness to pay) è la soglia di disponibilità a pagare che nei paesi occidentali si attesta orientativamente attorno a 60mila euro/QALY guadagnato e i QALYs sono i quality-adjusted life years (anni di vita aggiustati per la qualità della vita). Il parametro $guadagno_{QALYs}$ è definito come la differenza tra i QALYs ottenuti con A ed i QALYs ottenuti con B.

Quando esiste in letteratura un'analisi economica specifica per il DM preso in esame, il calcolo del VBP non comporta alcuna difficoltà. Quando invece tale analisi non esiste, il metodo del VBP risulta inapplicabile a meno che non si proceda ad eseguire ex novo un'analisi economica originale (operazione complessa da realizzare). Una stima preliminare su quanto spesso un'analisi economica sia disponibile per un DM di recente introduzione indica valori di circa il 20% (vedasi referenze indicate nella Tabella 1).

La definizione tramite VBP della base d'asta di alcuni lotti di gara ha l'obiettivo di non pagare il DM vincitore del lotto di gara al di sopra del controvalore economico del beneficio prodotto dal DM stesso. Infatti, i valori di base d'asta dei lotti sono, da sempre, stabiliti del tutto empiricamente e quindi tendono a riprodurre le scelte storiche del passato senza valutare se tali scelte riflettano un sovra-pagamento del DM (in rapporto al valore del suo beneficio) oppure un pagamento corretto o magari un sotto-pagamento.

Un'altra applicazione del VBP può riguardare l'acquisto di un DM innovativo. Tale applicazione consente di definire il prezzo massimo che la Regione Toscana è disposta a pagare per l'acquisto di questa tipologia di dispositivi identificati tramite la recente delibera regionale sopra citata [2].

Va infine sottolineato che il metodo qui descritto per la stima del prezzo value-based è un metodo che può risultare affetto da alcune approssimazioni. Ad esempio, quando lo studio di costo-efficacia preso come riferimento è stato condotto in un Paese estero, le varie voci di spesa sanitaria possono -in alcuni casi- essere accettate come tali (a parte la conversione da una valuta all'altra), ma in altri casi ciò può risultare non raccomandabile, ad esempio quando il mero trasferimento da un paese all'altro di questi valori di costi sanitari è inopportuno perché i rispettivi sistemi sanitari differiscono considerevolmente (ad es. Italia vs USA).

Modalità 3: L'approccio del net monetary benefit

Nel panorama nazionale, il metodo del net monetary benefit (NMB) rappresenta un'esperienza del tutto originale svolta da ESTAR. L'argomento ha una sua innegabile complessità poiché questo metodo consiste nell'applicazione dei principi generali del procurement value-based con relativi modelli di calcolo che sono da molti anni ben standardizzati in ambito scientifico. Da questo punto di vista, il metodo del NMB si qualifica per la sua valenza "formativa" perché esso obbliga i vari stakeholder a familiarizzare con i concetti di beneficio clinico e di controvalore economico del beneficio clinico.

In breve, il NMB realizza un automatismo del calcolo dei punteggi di gara, perché i risultati clinici che ogni dispositivo dimostra nei rispettivi studi clinici vengono convertiti, tramite calcoli matematici ben standardizzati, nel punteggio di gara attribuito ad ogni DM; ciò vale sia per il punteggio prezzo su scala 0-30 che per il punteggio qualità su scala 0-70. Infatti, un aspetto importante del metodo NMB è costituito dalla taratura molto accurata (e inevitabilmente piuttosto complessa) dei due citati punteggi. Ciò consente ad un DM più costoso di superare nella graduatoria di gara un DM meno costoso a condizione che i vantaggi clinici del primo DM, una volta monetizzati, risultino superiori rispetto all'aumento di prezzo che il primo comporta rispetto al secondo.

Riassumendo, il principale vantaggio dell'applicazione del NMB è che questo metodo riconosce al merito clinico maggiore il diritto di richiedere legittimamente un prezzo maggiore. L'altro vantaggio è rappresentato dalla marcatissima oggettivizzazione dei risultati della gara, che infatti vengono ricondotti a documentati benefici clinici.

Oltre che in pubblicazioni scientifiche in lingua inglese, il metodo del NMB è stato descritto inizialmente nel Numero 19 di E3M, datato Dicembre 2017 (non inserito nella Tabella 1). L'argomento è molto vasto, anche perché a coloro che applicano il NMB si richiede una indispensabile familiarità con i principi generali del procurement value-based. Due ulteriori numeri di E3M sono stati dedicati al tema del NMB: il Numero 32 nel Dicembre 2020 (anche questo non riportato nella Tabella 1) e il Numero 37 nel Giugno 2021 (vedasi Tabella 1). Infine, nell'Ottobre 2021, la Regione Toscana ha emanato una Delibera di Giunta 1038/2021 [2] (vedasi Tabella 1) sia per descrivere che per promuovere l'utilizzo del NMB.

Conclusioni

Questo documento si è proposto l'obiettivo di schematizzare i percorsi operativi per l'introduzione del beneficio nel procurement dei DM descrivendo le tre principali modalità operative, riassunte nella Tabella 1.

Le due principali chiavi di lettura dei contenuti della Tabella 1 sono le seguenti:

- 1) Il grado di applicabilità (seconda colonna della Tabella 1);
- 2) Il grado di complessità metodologica (quarta colonna della Tabella 1).

Esaminando le tre modalità secondo queste due chiavi di lettura, va sottolineato che la Modalità 1 ha un elevato grado di applicabilità che infatti può raggiungere addirittura il 100% dei casi. Assai meno frequente, invece, è l'applicabilità della Modalità 2 e, meno ancora, quella della Modalità 3. Quindi, passando dalla Modalità 1 alla 3, il grado di applicabilità diminuisce drasticamente, e invece il grado di complessità metodologica aumenta, altrettanto drasticamente.

In termini pratici il suggerimento operativo può essere riassunto come segue:

- a) Applicare la Modalità 1 a tutti i lotti della gara;
- b) Applicare le Modalità 2 e 3 al limitato numero di lotti che, nella gara considerata, risultano essere adatti a tali due modalità, rispettivamente. Riguardo a una gara tipica che include qualche decina di lotti, questo suggerimento operativo si traduce nell'applicare la Modalità 2 a due o tre lotti e la Modalità 3 anch'essa a due o tre lotti.

Bibliografia

1. Delibera n.1093 del 27-08-2019. Raccomandazioni per la stesura dei capitolati di gara per l'acquisizione di dispositivi medici. url: <http://www301.regione.toscana.it/bancadati/atti/DettaglioAttiG.xml?codprat=2019DG0000001303>
2. Delibera n.737 del 27-06-2022. Criteri per la definizione di innovatività per i dispositivi medici di classe IIb, III ed impiantabili attivi. url: <http://www301.regione.toscana.it/bancadati/atti/DettaglioAttiG.xml?codprat=2022DG0000000858>
3. Determinazione dirigenziale numero 1451 del 2021. Indizione di procedura aperta per l'affidamento quadriennale, tramite convenzione, della fornitura di collanti chirurgici ed emostatici (dispositivi medici, appartenenti alla CND H900101 colle e alla CND M0405 dispositivi emostatici) occorrenti alle aziende sanitarie e ospedaliero-universitarie della regione toscana – CUI 2020-032-0002. url: http://albo-pretorio.estar.toscana.it/albo_estar/portaldati/albo_files/15908_Determinazione_Pubb_1451_2021.pdf
4. Bollettino n.3, 4 maggio 2022. Determinazione retrospettiva del prezzo value-based per 5 dispositivi medici di alta tecnologia approvati dalla Commissione regionale HTA. url: <https://www.regione.toscana.it/documents/10180/15019798/Bollettino+3+del+4+maggio+2022.pdf/b1d58f0e-55ed-ff50-f3b9-26a4e98eceb8?t=1651831880765>

Tabella 1. Gare sui dispositivi medici: tre principali modalità per attuare il criterio del beneficio clinico.

Modalità di incorporazione del beneficio clinico	Applicabilità	Termine sintetico per identificare la modalità	Grado di complessità metodologica	Documenti di riferimento	Link*
1a) Inserimento di bibliografie cliniche	Tutti i lotti	Beneficio 0-70	Basso	Delibera regionale N°1093, Agosto 2019	Link1
1b) Inserimento in ogni lotto di gara di due criteri di qualità	Tutti i lotti	Beneficio 0-70	Modesto	E3M N°39, Agosto 2021	Link2
2) Calcolo con metodo di costo-efficacia del prezzo value-based (VBP)	Circa il 10%-20% dei lotti	Prezzo value-based per la stima delle basi d'asta	Medio-alto	Documento regionale (Bollettino N° 3, Maggio 2022)	Link3
3) Calcolo automatico dei punteggi prezzo e qualità attraverso il metodo del Net Monetary Benefit (NMB)	Pochissimi lotti	NMB	Alto	Delibera regionale N° 1038, Ottobre 2021	Link4
				E3M N°37, Giugno 2021	Link5

*I 5 link riportati in forma analitica sono i seguenti:

-Link 1: <http://www301.regione.toscana.it/bancadati/atti/DettaglioAttiG.xml?codprat=2019DG00000001303>

-Link 2: <https://www.estar.toscana.it/wp-content/uploads/2021/11/Numero-33-Gennaio-2021-Procurement-dei-dispositivi-medici-definizione-dei-criteri-di-qualita-e-attribuzione-del-punteggio-qualita-su-scala-0-70.pdf>

-Link 3: <https://www.estar.toscana.it/wp-content/uploads/2021/11/Numero-39-Agosto-2021-Standardizzazione-del-criterio-di-qualita-basato-sul-beneficio-clinico-nelle-gare-di-dispositivi-medici-appartenenti-alle-classi-di-rischio-IIb-III-e-impiantabili-attivi.pdf>

-Link 4: <https://www.regione.toscana.it/documents/10180/15019798/Bollettino+3+del+4+maggio+2022.pdf/b1d58f0e-55ed-ff50-f3b9-26a4e98eceb8?t=1651831880765>

-Link 5: <http://www301.regione.toscana.it/bancadati/atti/DettaglioAttiG.xml?codprat=2021DG00000001353>

-Link 6: <https://www.estar.toscana.it/wp-content/uploads/2021/11/Numero-37-Giugno-2021-Applicazione-del-Net-Monetary-Benefit-alla-gara-degli-stent-carotidei.pdf>

Abbreviazioni: E3M, ESTAR 3 minuti.