



ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ'

Dipartimento del Farmaco

Qualità della Vita e Farmacoeconomia: outcomes necessari per una migliore valutazione di strategie terapeutiche in ambito sperimentale e nella pratica clinica



Contenuto

- ❖ Definizione generale di Qualità della Vita e definizione di Qualità della Vita correlata alla salute
- ❖ Concetti base per la misurazione della Qualità della Vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica
- ❖ Presentazione del questionario ISSQOL
- ❖ Concetti base per la misurazione della Qualità della Vita in farmacoeconomia



DEFINIZIONE GENERALE

La qualità della vita di una persona dipende da due principali dimensioni:

- 1) Le dimensioni correlate alla salute (health related quality of life: HRQoL)
- 2) Le dimensioni non correlate alla salute

Dimensioni più strettamente correlate alla salute:

- Benessere psicologico
- Benessere sociale
- Benessere di ruolo
- Stato di salute in generale
- Benessere fisico

Dimensioni *non strettamente* correlate alla salute:

- Personali-individuali
- Personali sociali
- Ambiente naturale
- Ambiente sociale



DEFINIZIONE GENERALE

Dimensioni HRQoL

- **Benessere fisico:** mobilità, capacità di eseguire alcune attività fisiche
- **Benessere psicologico:** stato cognitivo, ansia, depressione
- **Benessere sociale:** capacità di interazione sociale, comunicatività
- **Benessere di ruolo:** capacità lavorativa e produttiva, capacità di eseguire le normali attività domestiche
- **Stato di salute generale**

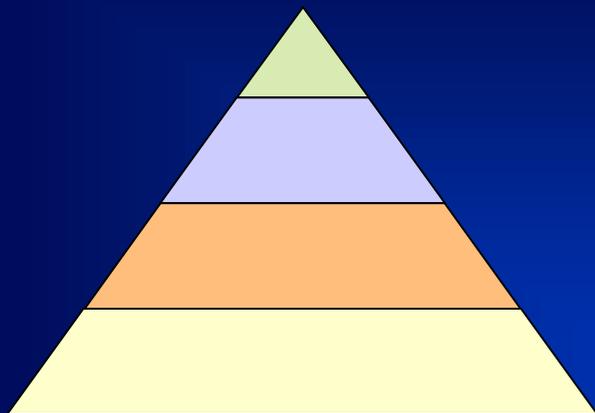


DEFINIZIONE GENERALE

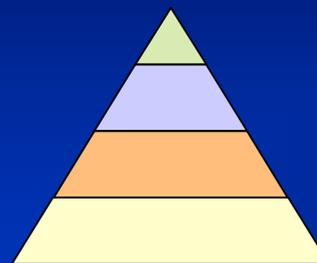
Dimensioni non HRQoL

- **Personalì-individuali (ad es. desideri, obiettivi, valori, convinzioni, personalità)**
- **Personalì sociali (ad es. famiglia, amici, reddito)**
- **Ambiente naturale (ad es. inquinamento, clima, aria, acqua)**
- **Ambiente sociale (cultura, scuola ed istruzione, servizi)**

Individui in buona salute

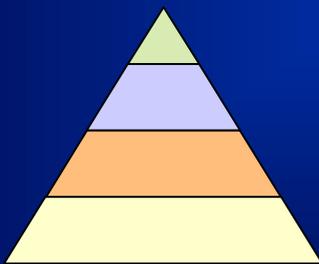


Dimensioni della qualità della vita
non correlate alla salute

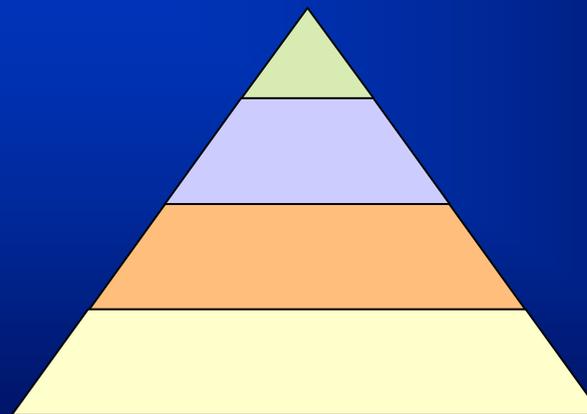


Dimensioni della qualità della
vita correlate alla salute

Individui con malattia cronica



Dimensioni della qualità della vita
non correlate alla salute



Dimensioni della qualità della
vita correlate alla salute

Qualità della vita correlata alla Salute: definizione

Il termine qualità della vita correlata alla salute si riferisce genericamente al benessere (emotivo, sociale e fisico) di un individuo ed alla sua capacità di adempiere ai compiti della vita quotidiana in maniera soddisfacente.

Questa definizione è in linea con la definizione di Salute dell'OMS (1948):

La salute è lo stato di completo benessere fisico, psicologico e sociale e non solamente l'assenza di malattia



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Perché abbiamo bisogno di misurare la HRQoL?

- Indipendentemente dalla terapia, può fornire utili informazioni dell'impatto della malattia sullo stato di benessere complessivo del paziente
- Il successo terapeutico di un farmaco potrà certamente essere valutabile in termini di risoluzione o miglioramento clinico della patologia trattata, ma il beneficio più rilevante sarà espresso dalla recuperata abilità da parte dell'individuo ad agire normalmente nel quotidiano e dal ripristino del proprio senso di benessere



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Perché abbiamo bisogno di misurare la HRQoL?

- Contribuisce a valutare l'efficacia di una strategia terapeutica nei trials randomizzati e controllati. In questi studi, la misurazione della qualità di vita inserisce un nuovo end-point nella valutazione dell'efficacia dei trattamenti, e può essere molto utile nel decidere quale, tra due terapie di pari efficacia, risulti più efficace per il paziente
- Può avere un ruolo fondamentale nell'ambito delle valutazioni di costo-efficacia di un intervento farmacologico, fornendo utili informazioni sull'allocazione razionale delle risorse in campo sanitario



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Come si misura la qualità della vita:
scopi degli strumenti per la misurazione della HRQoL

➤ **DICRIMINATIVI**

➤ **PREDITTIVI**

➤ **VALUTATIVI**



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Scopo discriminativo

- Lo strumento è in grado di distinguere diversi livelli di qualità della vita all'interno di individui e gruppi
- Non c'è nessun gold-standard di riferimento

Esempio: pazienti HIV+ sottoposti a terapia HAART con buona e cattiva qualità della vita

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Scopo predittivo

- Lo strumento è in grado di distinguere diversi livelli di qualità della vita tra individui e gruppi noti
- Esiste un gold-standard di riferimento

Esempio: diversi livelli di qualità della vita secondo lo stadio clinico dei pazienti HIV+ (asintomatico, sintomatico, AIDS)



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Scopo valutativo

- Lo strumento è in grado di catturare il cambiamento nel tempo che si verifica in un paziente o in un gruppo di pazienti durante il decorso della malattia o della terapia

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Categoria degli strumenti

- Strumenti generici
- Strumenti specifici

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Strumenti generici:

misurano tutti gli aspetti generali della HRQoL

Vantaggi:

versatilità di uso:

- possono essere applicati a popolazioni con diverse caratteristiche
- possono essere applicati a diverse patologie
- permettono di confrontare diverse realtà all'interno di un programma sanitario

Svantaggi:

- non sono adatti per essere applicati a realtà più specifiche (specifica popolazione, specifica patologia)



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ **Strumenti specifici:**

misurano gli aspetti della HRQoL che sono specifici per una determinata area di interesse

Vantaggi:

- misurano aspetti specifici di una malattia, di una popolazione di pazienti, di uno specifico problema

Svantaggi:

- non sono versatili

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Fasi di sviluppo di un questionario per la valutazione della HRQoL

➤ OBIETTIVI DELLO STRUMENTO

➤ GENERAZIONE DEGLI ITEM

➤ DEFINIZIONE DELLE SCALE/DIMENSIONI

➤ STESURA DEL QUESTIONARIO

➤ ANALISI DI VALIDAZIONE

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Obiettivi dello strumento

La prima fase del lavoro è quella che definisce che cosa lo strumento vuole misurare

I criteri che dovranno essere stabiliti sono i seguenti:

- La popolazione target (*specificare i criteri di inclusione della popolazione,*
- Lo scopo principale dello strumento (*discriminativo, predittivo, valutativo,*
- La scelta delle scale da misurare

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Metodi utilizzati per la generazione degli item

- Interviste libere
- Focus-group
- Rassegna della letteratura
- Discussione con gli esperti del campo
- Revisioni questionari già validati

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Definizione delle scale

La scala è un insieme di item che rappresentano lo stesso concetto (omogenee per aree di contenuto)

Gli item che dovranno appartenere ad una scala saranno scelti in base ai seguenti criteri:

- Coerenza con la scala di appartenenza
- Coerenza con scale già validate
- Esperienza clinica/personale
- Strategie empiriche: descrittiva delle risposte mancanti, correlazione tra gli item, analisi fattoriale

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Definizione delle scale

L'obiettivo dello strumento è quello di ottenere un bilancio tra lunghezza della scala e sua affidabilità e validità, scegliendo tra risposte a quesito unico o a quesiti multipli

Vantaggi/Svantaggi

- Le misure a quesito unico sono più pratiche delle misure a quesiti multipli ma perdono eccessivamente in precisione di misura
- Le misure a quesiti multipli con un numero elevato di quesiti, pur garantendo una migliore affidabilità dei risultati, risultano poco pratiche da somministrare
- Le misure a quesiti multipli con un numero non elevati di quesiti, che soddisfano gli standard psicometrici minimi, forniscono un giusto compromesso

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Definizione delle scale

La precisione della misura di una scala dipende anche dal tipo di opzioni di risposte scelte

Opzioni di risposta:

- Scelta si/no
- Scala analogica visuale (VAS)
- Scala Likert

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

▪ Scelta si/no

- La scelta del quesito SI/NO e' utile per motivi di praticità, ma perde in precisione dei risultati
- E' poco sensibile nel cogliere la gradualità delle risposte, non è adatta per scopi valutativi
- E' adatta per le interviste telefoniche

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

▪ Scala analogica visuale

La VAS è una scala che misura la salute percepita dal paziente, è una misura continua che varia tra 0 e 100. Il punteggio 100 corrisponde al migliore stato di salute possibile, il punteggio 0 a quello peggiore

Esempio di scala analogica:

In generale, direbbe che la Sua salute è:

(metta una crocetta, nel punto della scala che meglio indica il Suo stato di salute attuale)



Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

▪ Caratteristiche della scala analogica visuale

- E' precisa e sensibile ai cambiamenti
- Le modalità di compilazione e di codifica possono tuttavia risultare di difficile interpretazione

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

▪ Scala Likert

Definizione:

- Un insieme di domande ciascuna delle quali prevede una risposta graduata attraverso non meno di 5 alternative
(*es. scala di frequenza:*
Spesso, Frequentemente, A volte, Quasi mai, Mai)
- Ad ogni alternativa viene attribuito un punteggio numerico convenzionale (ad es., 1, 2, 3, 4, 5)
- I rispondenti sono classificati in base al punteggio totale ottenuto attraverso tutte le domande che compongono la scala

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

▪ Caratteristiche della scala Likert

- La Scala Likert rappresenta un giusto compromesso tra la parsimonia della scala SI/NO e l'eshaustività della VAS
- Se le alternative di risposta sono ≥ 5 la scala Likert risulta più robusta (la distanza tra gli intervalli è considerata equivalente)

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Definizione delle scale

Specificazione del tempo

Ai pazienti viene chiesto di valutare retrospettivamente il proprio stato di salute, è quindi importante definire quanto indietro nel tempo il paziente deve andare con la mente per raccogliere le sue impressioni e fornire una valutazione

➤ Regola:

- Non c'è nessuna regola fissa per specificare l'intervallo di tempo
- In genere si considerano 2-4 settimane

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Stesura del questionario

Pre-test:obiettivi

- Controllo del vocabolario e della chiarezza delle domande
- Esame dei quesiti problematici
- Valutazione delle istruzioni per la compilazione
- Chiusura di eventuali domande aperte
- Verifica dell'utilità dello strumento
- Definizione delle scale ed il loro contenuto
- Prima verifica degli assunti psicometrici del questionario

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Stesura del questionario

Pre-test: modalità d'uso

- Nella stesura del questionario sono necessarie più edizioni di pre-test
- Il pre-test è un processo iterativo in cui ogni prova viene utilizzata per modificare gli aspetti critici emersi nella prova precedente, fino a raggiungere risultati soddisfacenti
- Il campione utilizzato nel pre-test non è un campione casuale, le unità sono selezionate con cura cercando di ottenere la massima rappresentanza delle variabili oggetti di studio
- La numerosità campionaria non è elevata (100-500 unità campionarie)

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Analisi di validazione

Lo scopo dell'analisi di validazione è quello della verifica degli assunti psicometrici del questionario

Caratteristiche:

- L'analisi è condotta su un numero elevato di unità statistiche scelte in modo casuale
- L'analisi non serve a modificare ulteriormente il questionario ma a raccogliere informazioni sul raggiungimento degli standard psicometrici di validità

Concetti base per la misurazione della qualità della vita correlata alla salute in ambito sperimentale e nella pratica clinica

❖ Analisi di validazione

La teoria psicometrica afferma che uno strumento debba essere attendibile e valido

Attendibilità: è il grado in cui l'applicazione dello strumento ripetuta in tempi diversi e nelle stesse condizioni riproduce gli stessi risultati

Validità: è il grado in cui lo strumento misura effettivamente la caratteristica che pretende misurare

Un'ulteriore proprietà dello strumento è la sua Responsività, definita come attitudine a percepire il cambiamento delle condizioni del paziente in relazione al progredire della malattia e alla terapia

QUESTIONARIO ISSQoL
per la valutazione della qualità della vita nelle
Persone con infezione da HIV



Presentazione questionario ISSQoL

❖ Gruppo di lavoro ISSQoL

- **COMPETENZE TRASVERSALI: RICERCATORI, MEDICI, PERSONE CON INFEZIONE DA HIV**
- **PARTECIPAZIONE DI PERSONE HIV+ IN TUTTE LE FASI DEL PROGETTO**

Presentazione questionario ISSQoL

Raffaella Bucciardini

⇒ ISS

Rita Murri

⇒ UCSC, Roma

Mauro Guarinieri

⇒ I-CAB

Fabrizio Starace

⇒ Ospedale D. Cotugno, Napoli

Michela Martini

⇒ OIM

Annamaria Vatrella

⇒ LILA

Loredana Cafaro

⇒ Ospedale D. Cotugno, Napoli

Massimo Fantoni

⇒ UCSC, Roma

Roberta Grisetti

⇒ Ospedale L. Sacco, Milano

Antonella d'Arminio Monforte

⇒ Ospedale L. Sacco, Milano

Vincenzo Fragola

⇒ ISS

Romano Arcieri

⇒ ISS

Cosmo Del Borgo

⇒ IRCCS, L. Spallanzani

Andrea Tramarin

⇒ Ospedale S. Bortolo, Vicenza

Maurizio Massella

⇒ ISS

Daniela Lorenzetti

⇒ U.O. AIDS ASL



Presentazione questionario ISSQoL

❖ Perché un nuovo questionario?

NECESSITA' DI ELABORARE UNO STRUMENTO SULLA BASE
DELLE NUOVE NECESSITA' DELLE PERSONE HIV+ NELL'ERA
HAART (Highly Active Antiretroviral Therapy)

Presentazione questionario ISSQoL

❖ Perché un nuovo questionario?

- ❖ *cambiamento dell'infezione verso una condizione di cronicità/aumentata sopravvivenza*

Con conseguente:

- *normale attività quotidiana*
- *maggior attenzione per la vita sessuale*
- *vita sociale più intensa*
- *pianificazione a lungo termine*
- *maggior desiderio di maternità/paternità*
- *necessità di interazione tra paziente e staff medico*

Presentazione questionario ISSQoL

❖ Perché un nuovo questionario?

B. Necessità di assumere la terapia per lungo tempo

Con conseguente insorgenza di effetti collaterali a lungo termine:

- *Lipodistrofia*
- *Tossicità a lungo termine*

Presentazione questionario ISSQoL

❖ Caratteristiche del questionario

- SPECIFICO (per la popolazione HIV+)
- DISCRIMINATIVO / PREDITTIVO
- STRUTTURATO PER DIMENSIONI
- UTILIZZABILE SIA NELLA PRATICA CLINICA CHE NELLA RICERCA
- AUTOCOMPILABILE



Presentazione questionario ISSQoL

❖ Fasi di lavoro/elaborazione del questionario

PRIMA FASE (2001/2002)

STESURA PRIMA VERSIONE QUESTIONARIO

*(revisione letteratura e questionari già esistenti,
pre-test)*

SECONDA FASE (2003/2004)

VERSIONE DEFINITIVA QUESTIONARIO ISSQoL

(analisi di validazione)



Presentazione questionario ISSQoL

❖ Analisi di validazione/risultati

ISSQoL: struttura definitiva del questionario

A) 15 SCALE (62 item):

- 9 "core domains" → aree che misurano la HRQoL
- 6 "additional important areas" →
 - a) aree che influiscono sul miglioramento/peggioramento della HRQoL
 - b) aree che riflettono un miglioramento/peggioramento della HRQoL

B) 1 SEZIONE relativa ai SINTOMI



Presentazione questionario ISSQoL

Aree che misurano la HRQoL:

Soddisfazione nella QdV (3)
Benessere fisico (6)
Benessere di ruolo (2)
Funzione sociale (2)
Depressione e ansia (7)
Energia e vitalità (4)
Disagio legato alla malattia (4)
Funzione cognitiva (4)
Vita sessuale (5)

Aree importanti aree:

Supporto sociale (4)
Rapporto con l'equipe curante (9)
Impatto del trattamento (3)
Cambiamenti nell'aspetto fisico (4)
Progettualità (2)
Maternità/Paternità (3)



Presentazione questionario ISSQoL

SEGNI E SINTOMI AUTORIPORTATI

- Dolore (*dove?:*)
- Febbre (>37 °C)
- Stanchezza o spossatezza
- Mancanza d'appetito
- Perdita di peso
- Difficoltà ad inghiottire
- Alterazione dei sapori
- Nausea
- Vomito
- Diarrea
- Confusione mentale
- Disturbi del sonno
- Disturbi della vista
- Difficoltà di respirazione
- Tosse
- Prurito
- Caduta dei capelli
- Formicolii intorno alla bocca
- Vertigini o disturbi dell'equilibrio
- Sudorazioni
- Reazioni allergiche
- Stitichezza (costipazione)
- Gonfiore alle mani o piedi
- Diminuzione dell'interesse sessuale
- Difficoltà a raggiungere l'orgasmo
- Per gli uomini: Difficoltà nell'erezione
- Per le donne: Problemi di lubrificaz. vaginale
- Per le donne: Disturbi del ciclo mestruale
- Unghie incarnite
- Bruciore/gonfiore di stomaco
- Accumulo anomalo di grasso
- Perdita anomala di grasso



Presentazione questionario ISSQoL

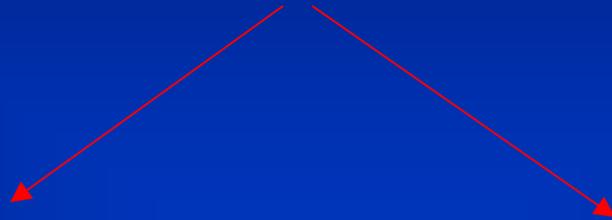
❖ Ulteriori analisi psicometriche

- *Analisi di responsività (capacità dello strumento di percepire il cambiamento delle condizioni di vita del paziente, in relazione al progredire della malattia e alla terapia)*
- *Analisi di validazione dei sintomi (verifica di attendibilità e di validità dei sintomi autoriportati/ comparazione tra i sintomi autoriportati ed i sintomi medico-riportati)*

**CONCETTI BASE PER LA MISURAZIONE
DELLA QUALITA'
IN FARMACOECONOMIA**



QUALITA' DELLA VITA CORRELATA ALLA SALUTE SECONDO I DUE APPROCCI



Descrittivo del proprio stato di salute



Misure descrittive del benessere di una persona in più domini. Utilizzo per monitorare la salute di una popolazione
Ex ISSQoL

Valutativo del proprio stato di salute



Misure di preferenza/utilità
Approccio e utilizzo nelle valutazioni farmaecoeconomiche

Misure descrittive del proprio stato di salute

- Sono misure che descrivono il benessere di una persona in più domini, fornendo misure disaggregate di qualità di vita
- Ogni dominio deve essere interpretato individualmente: i punteggi di ciascuna dimensione non sono tra loro confrontabili (uno stesso punteggio non necessariamente deve essere interpretato nello stesso modo)

→ Queste misure sono utilizzate per monitorare e descrivere il proprio stato di salute fornendo dei profili di salute. Non sono adatte per valutazioni farmacoeconomiche

Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

❖ Definizione di utilità

- L' utilità è un indicatore che esprime la "preferenza" per un determinato livello di qualità della vita
- L'utilità non è sinonimo di qualità di vita ma esprime la desiderabilità/preferenza di un certo stato di salute, in quanto dotato di un determinato livello di qualità della vita
- L'utilità è espressa con un singolo punteggio su una scala da 1 (perfetta salute o miglior stato possibile di salute) a 0 (morte o peggiore stato di salute)



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

❖ Tecniche di misurazione dell'utilità

Metodi diretti

- Rating scale
- Time trade-off
- Standard gamble

Metodi non diretti (la misurazione è resa più semplice tramite l'utilizzo di sistemi multi attributo basati su classificazione di stati di salute multidimensionali e con preferenze già incorporate nello strumento misurate in precedenza in via campionaria)

- EuroQOL
- The Quality of Well-Being Scale
- Health Utility Index



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ Rating scale

Si chiede all'intervistato di ordinare gli stati di salute dal meno preferito al più preferito su una scala compresa tra 0 e 1 in modo tale che la distanza tra ogni coppia di stati di salute corrisponda alla differenza di preferenza tra i due stati di salute considerati

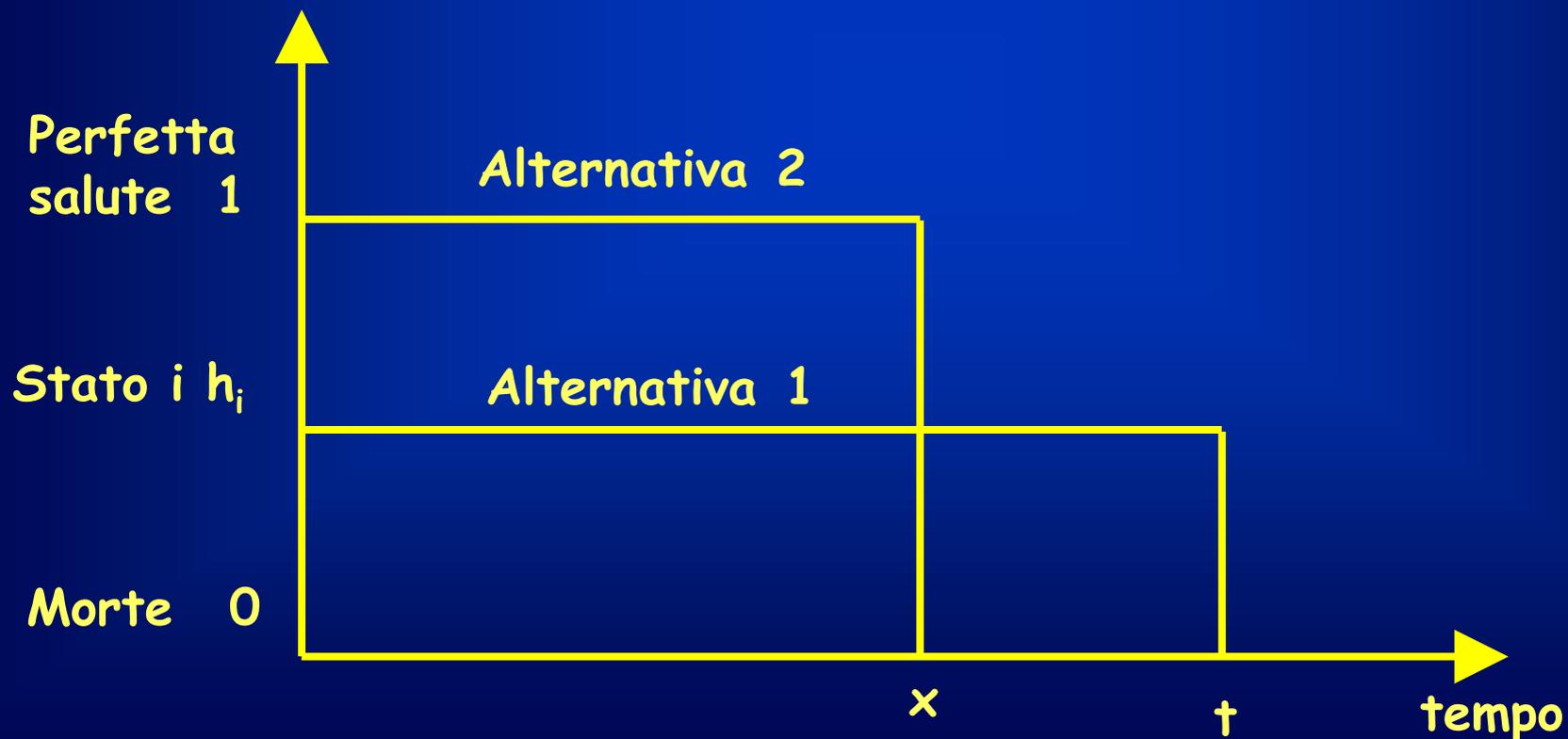
- Metodo semplice e veloce
- Metodo soggetto a errori di misurazione:
 - a) distorsione di fine scala (gli intervistati evitano di adoperare le estremità della scala)
 - b) distorsione di spaziatura (gli intervistati tendono a distribuire egualmente sulla scala gli stati di salute)



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

Time trade off

Si basa sulla scelta tra riduzione di sopravvivenza nello stato di salute attuale in cambio di un incremento della qualità di vita



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

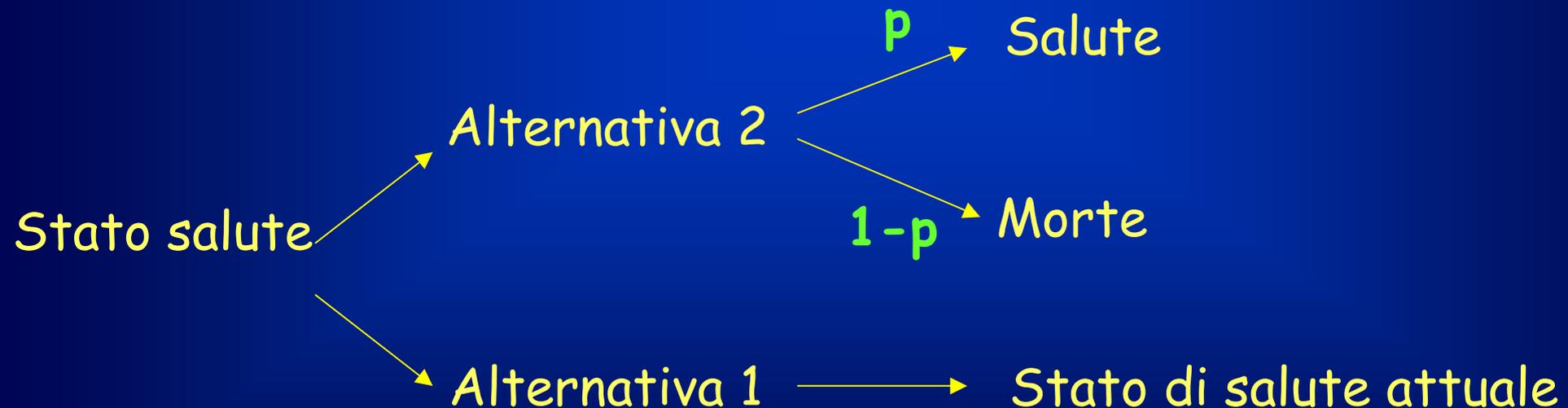
■ Time trade off

- Il valore di preferenza richiesto per lo stato i di salute è $h_i = x/t$
- rappresenta il valore che il paziente attribuisce al proprio stato di salute, maggiore è la disponibilità a rinunciare (in termini di anni di vita da dovere ancor vivere nell'attuale stato di salute) minore è il valore dato all'attuale qualità di vita

Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ Standard gamble

Si basa sull'accettazione del rischio



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ Standard gamble

- Il valore di preferenza richiesto per lo stato i di salute è $h_i = p$
- i pazienti scelgono fra uno specifico stato patologico e la scommessa di ottenere una completa guarigione o la morte. Le probabilità fra le due alternative variano fino a che il paziente è indifferente ad entrambe le opzioni. Il valore di p che viene determinato è il peso che esprime la preferenza per lo stato di salute attuale



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ EuroQoL

- L'EuroQOL è uno strumento standard per descrivere e valutare la HRQoL nella generalità delle patologie
- Prende in considerazione soltanto le dimensioni che rappresentano misure generiche dello stato di salute:
 - A. Capacità di movimento
 - B. Cura della persona
 - C. Attività abituali
 - D. Dolore e fastidio
 - E. Ansia o depressione

Ad ogni dimensione sono associati 3 diversi livelli di risposta



By placing a tick () in one box in each group below, please indicate which statements best describe your own health state today

Mobility

- I have no problems in walking about
- I have some problems in walking about
- I am confined to bed

Self-Care

- I have no problems with self-care
- I have some problems washing or dressing myself
- I am unable to wash or dress myself

Usual Activities (e.g. work, study, housework, family or leisure activities)

- I have no problems with performing my usual activities
- I have some problems with performing my usual activities
- I am unable to perform my usual activities

Pain/Discomfort

- I have no pain or discomfort
- I have moderate pain or discomfort
- I have extreme pain or discomfort

Anxiety/Depression

- I am not anxious or depressed
- I am moderately anxious or depressed
- I am extremely anxious or depressed

Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ EuroQoL: strumento descrittivo della HRQoL

- Le 5 dimensioni, per un totale di 15 voci, generano 243 ($3 \times 3 \times 3 \times 3 \times 3$) possibili stati di salute
- Il punteggio 11111 significa il peggior stato di salute; il punteggio 33333 significa il miglior stato di salute

Per esempio il punteggio 21123 significa:

- A. Livello 2. Ho qualche difficoltà a camminare
- B. Livello 1. Non ho alcuna difficoltà nel prendermi cura di me stesso/a
- C. Livello 1. Non ho difficoltà nello svolgimento delle attività abituali
- D. Livello 2. Provo dolore o fastidio moderati
- E. Livello 3. Sono estremamente ansioso/a o depresso/a



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

- EuroQoL: strumento valutativo della HRQoL
- L'obiettivo è di assegnare un valore che esprime la preferenza per ognuno dei 243 stati di salute
- Il time trade-off è stato il metodo utilizzato per il calcolo delle preferenze
- Attualmente le preferenze dette anche (tariffe) sono state calcolate in due paesi europei UK e Spagna

Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

▪ EuroQoL: strumento valutativo della HRQoL

Metodologia utilizzata per il calcolo dell'utilità

- Scelta di un campione rappresentativo della popolazione
- Scelta di 42 stati di salute ai quali sono stati attribuiti direttamente dalla popolazione campionata i valori di preferenza (tramite il time trade-off)
- Costruzione di un modello di regressione per ottenere i valori di preferenza per tutti i 243 stati di salute (utilizzando i valori di preferenza direttamente osservate)



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

❖ Introduzione al concetto di QALYs

- QALYs (quality adjusted life years)=
punteggio di utilità ponderato con gli anni di sopravvivenza
- Il vantaggio nell'utilizzo dei QALYS è che permette di
catturare contemporaneamente sia la riduzione della
morbidità (in termini di qualità di vita) che la riduzione
della mortalità

Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

❖ Introduzione al concetto di QALYs

Come si calcola un QALY?

- Un QALY è un singolo indice ottenuto moltiplicando il punteggio di utilità per il numero di anni trascorsi in quel determinato stato di salute (*riflette le valutazioni degli individui e non degli specialisti*)
- Un QALY valuta:
 - 1 anno di vita in piena salute come 1 QALY
 - 1 anno di vita non in piena salute come meno di 1 QALY
 - l'essere morto come zero QALY

Esempio: 10 anni in uno stato di salute con valore dell'utilità pari a 0,5 avranno come risultato 5 QALYs (vale a dire l'equivalente di 5 anni in perfetta salute)



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

❖ Analisi costo - utilità'

Che cosa misura l'analisi costo-utilità'?

- La CUA e' una tecnica che confronta i costi di due alternative (interventi sanitari, strategie terapeutiche) con gli esiti espressi come differenze in termini di QALYs
(durata della vita ponderata per stato di salute)

Il rapporto costi/utilità può essere impiegato:

- *per confrontare i vantaggi di diverse strategie terapeutiche (es. tr1 verso tr2);*
- *per confrontare procedure di intervento in ambito sanitario con risultati diversi, e sono quindi utili nell'allocazione delle risorse sanitarie*



Misure di utilità/preferenza della HRQoL nelle valutazioni farmacoeconomiche

- ❖ Quando si utilizza l'analisi costo-utilità?
 - Quando la qualità della vita è il risultato importante: *ad esempio per il trattamento del dolore, in cui il miglioramento della qualità di vita rappresenta il fattore centrale dell'outcome*
 - Quando la qualità della vita e' un risultato importante: *esempio: confronto di strategie terapeutiche dove la qualità della vita fa parte di un ampio range di outcome di interesse*
 - *per confrontare procedure di intervento in ambito sanitario con risultati diversi, e sono quindi utili nell'allocazione delle risorse sanitarie*

HRQoL: i passi successivi?

- Utilizzo sistematico della misurazione della qualità della vita come end-point complementare nella valutazione dell'impatto di una malattia e dell'efficacia delle relative terapie
- Utilizzo sistematico della misurazione della qualità della vita come indicatore di utilità nell'ambito delle valutazioni di costo-utilità dei farmaci (utilizzabili dalle Autorità regolatorie)

