

Medicina a taglia unica Ma va bene per tutti?

di Peter J. Pitts

"Taglia unica - va bene per tutti": raramente è davvero così. Dai vestiti alle scarpe ai cappelli, poche persone trovano che i capi di vestiario così etichettati gli stiano bene. Ma perché, allora, dovremmo affidare la salute del nostro corpo - fra le nostre ricchezze più importanti - ad una mentalità a "taglia unica"?

Per nostra sfortuna, è esattamente ciò che promuove l'influente movimento noto come "evidence-based medicine"¹ (EBM). Suona bene, vero? Naturalmente, tutti noi vorremmo che la nostra sanità fosse fondata sul metodo scientifico, e sull'evidenza dei risultati che ha conseguito. Ma questa formula è fuorviante. In realtà, la "medicina basata sulle prove di efficacia" spesso ignora la prova più critica di tutte: l'individuo-paziente.

L'idea dietro l'EBM - ovvero fornire ai medici delle prove certe da utilizzare nelle decisioni mediche per i singoli pazienti - è una buona idea. Sfortunatamente, la concezione di "medicina basata sulle prove di efficacia di efficacia" è oggi talmente distorta da burocrati statali e dagli HMO² da comportare l'imposizione dall'altro di restrizioni "a taglia unica" sui pazienti e sui loro dottori.

Il modello EBM si fonda principalmente sui risultati di prove cliniche a cam-

pione. Queste prove sono fondamentali per dimostrare l'efficacia di nuovi trattamenti, ma i loro risultati sono basati sulla media di ampie fasce di popolazione e raramente, se non mai, ci diranno quale cura sia migliore per quale paziente. È per questo motivo che mantenere aperta la possibilità, per un medico, di combinare i risultati delle ricerche con la sua esperienza e la conoscenza del paziente per prendere la decisione ottimale riguardo alle cure da prestare è di importanza critica.

La medicina basata sulle prove di efficacia, così com'è nella sua attuale, distorta formulazione, enfatizza un solo aspetto della realtà clinica su tutti gli altri. Questo modello, che si è profilato a partire dagli anni settanta, è oggi giorno viziato e superato.

È creato a partire, principalmente, da uno sguardo retrospettivo sugli studi clinici e sulla comparazione testa a testa fra medicine e procedure mediche. L'EBM può anche comprendere una certa attenzione alla scienza. Ma, nella pratica, questa è piuttosto limitata. Tutti questi studi sono infatti basati su campioni di popolazione, hanno rigidi criteri di esclusione e non sono in grado di integrare nei loro risultati informa-

1: Medicina basata sulle prove di efficacia.

2: Un'HMO è una rete sanitaria, pubblica o privata, composta da medici (generalisti, specialisti, terapeuti, ecc.) riuniti in uno studio di gruppo (HMO = Health Maintenance Organization), che offre, negli Stati Uniti o in Svizzera, servizi di copertura medico-assistenziale a pagamento.

Peter J. Pitts è presidente del Center for Medicine in the Public Interest, è visiting fellow del Centre for the New Europe. È stato commissario associato della Food & Drug Administration americana.

zioni differenti, o innovazioni. Al giorno d'oggi, una medicina basata sulle prove è una medicina basata meramente sui costi.

Il risultato è decisamente, e palesemente, modesto: si ottiene di eliminare "qualsiasi variazione nella pratica a ciò che si è appurato che ha funzionato" nel passato.

"Variazione nella pratica" è infatti qualsiasi trattamento differente da quello che la norma dell'EBM prescrive. Il falso mito della medicina basata sulle prove di efficacia è fondato sul fatto che le variazioni nella pratica siano negative e che una medicina "a taglia unica" vada bene. L'EBM presuppone che tutte le persone rispondano esattamente nella stessa maniera a tutte le cure. Ma questo è semplicemente falso. Le malattie variano a seconda degli individui, e la scelta delle cure deve essere condotta in base alla diagnostica, e non a semplici linee guida. Ecco perché la medicina basata sulle prove di efficacia è una medicina basata sui costi piuttosto che sui pazienti. Le malattie variano a seconda degli individui e la scelta del trattamento deve essere condotta in base alla diagnostica ed al giudizio del medico, e non a semplici linee guida.

Per avere un assaggio dei problemi in cui incorre lo schema attuale dell'EBM, si consideri il modello australiano, che permette ai pazienti di ottenere solo le cure che i burocrati governativi hanno proclamato "economicamente efficienti". Leggiamo un recente studio di IMS Consulting. Considerando i fatti che ne risultano, bisogna essere spaventati, davvero spaventati, dalle implicazioni di questo modello. Lo studio di IMS analizza i casi di due malattie, l'osteoporosi e il morbo di Alzheimer, in cui agli australiani viene regolarmente negato l'accesso a medicine disponibili per i pazienti Americani. Secondo questo studio:

- se negli Stati Uniti fosse adottato il modello australiano di medicina basata sui costi (anche detto "basata sulle prove di efficacia"), nel 2007 ad approssimativamente 9,1 milioni di pazienti affetti da osteoporosi sarebbe negato l'accesso ad una serie di cure. In Australia, ad esempio, le medicine più

recenti per l'osteoporosi non sono fra i farmaci rimborsabili e possono essere erogate solo qualora il paziente abbia subito una frattura.

- L'IMS stima che, se si utilizzasse lo stesso sistema australiano, le ripercussioni interesserebbero ben 1.6 milioni di pazienti affetti da Alzheimer. Le linee guida australiane sono identiche per l'Aricept (donepezile), l'Exelon (rivastigmina), ed il Razadyne (galantamina) e sono fortemente restrittive se paragonate a quelle degli Stati Uniti. L'Australia inoltre limita la fornitura di medicinali per l'Alzheimer a 6 mesi, a meno che il paziente non mostri "significativi miglioramenti". Negli Stati Uniti la decisione se continuare il trattamento medico è basata sulla soddisfazione del paziente (e di chi si prende cura di lui) - la quale include il mantenimento dello stato mentale corrente e della prevenzione del declino mentale - il che è ben diverso dal richiedere "significativi miglioramenti".

I prontuari³ (negli Stati Uniti sia pubblici che privati) e i sistemi di sanità (come quelli di Australia, Unione Europea, Canada e ovunque ancora) troppo restrittivi, che negano il farmaco giusto per il paziente giusto al momento giusto, ma prevedono poi il pagamento di procedure mediche più costose ed invasive, dimostrano di avere le priorità invertite.

Sono sistemi che sotto molti punti di vista operano in senso contrario alle intenzioni - e non ultimo per il fatto che il "risparmio" è del tutto transitorio.

Consideriamo i fatti. Uno studio longitudinale condotto dalla dottoressa Susan Horn ed altri studiosi, esamina la relazione fra le strategie di contenimento dei costi dell'HMO, l'utilizzo ed il costo totale della sanità per un certo numero di malattie mediche (non psichiatriche). Questo studio dimostra che più alte sono le restrizioni di formulario e più alto sarà il costo totale del trattamento - poiché ciò che provoca l'incremento dei costi era la combinazione fra le restrizioni di formulario ed il diverso utilizzo dei servizi sanitari.

³: Si intende con questi una lista di medicine coperte dal servizio sanitario nazionale.

Una maniera più cruda di esporre la questione sarebbe quella di affermare che il termine "efficiente", così come è stato definito non ha nulla a che vedere con la cura del paziente. "Efficiente" è una parola che rimanda ad un ragionamento sui costi e mette in secondo piano tutte le considerazioni legate al paziente. Benvenuti nel mondo della sanità valutata tecnicamente, nota anche come medicina basata sulle prove, o come uso razionale della medicina.

La filosofia alla base e l'applicazione della medicina basata sulle prove di efficacia consistono nell'eliminare le possibili variazioni pratiche. Ma, dal momento che sono basate su campioni di popolazione, le analisi EBM e le linee guida che ne derivano sono così viziate che, in genere, eliminano circa il 60 per cento delle variazioni che in realtà esistono fra gli individui. Gli sforzi per sviluppare degli approcci predittivi alla sanità, usando valutazioni retrospettive, costruite a partire da studi basati su campioni di popolazione, sono sorpassati, pericolosamente sorpassati, in un'era in cui i nuovi prodotti medici usano l'integrazione di complesse variabili biologiche sia nello screening dei pazienti che nello sviluppo dei farmaci.

La medicina basata sulle prove, nonostante sia una nobile impresa, usa gli strumenti ed i concetti dello scorso secolo, mentre una nuova gamma di strumenti è necessaria per valutare le soluzioni mediche, con nuovi obiettivi ed in costante evoluzione, di questo secolo.

Il trionfo della medicina moderna consiste nel fatto che questa può essere adattata esattamente alle esigenze di un singolo paziente. È un grandissimo passo in avanti, rispetto all'approccio estensivo dell'EBM, che vede solo attraverso l'ampia lente degli studi basati su campioni di popolazione, e lascia fuori dal suo campo visivo il singolo paziente.

Sfortunatamente, l'attuale e mal interpretato modello EBM gode di un crescente supporto fra gli HMO e i burocrati governativi. Perché? Perché posa un velo di pseudo-scienza sulla brutale forma di controllo a "taglia unica - va bene per tutti" del sistema sanitario. Un controllo basato sulla negazione ai pazienti

dell'accesso a cure efficaci. Questo ci sembra un comportamento decisamente miope, che si muove nella direzione opposta rispetto ai modelli scientifici ed ai trattamenti sanitari emergenti.

La medicina basata sulle prove di efficacia può offrire un risparmio transitorio, di breve termine, ma lo stesso paziente che prende oggi il medicinale più economico a disposizione, potrà benissimo essere quel paziente che costerà - al contribuente, ai decisori politici, alla sorella, al coniuge - tanti quattrini di più, quando egli finirà all'ospedale a causa di una malattia cardiovascolare mal curata.

Le ripercussioni della scelta dei risultati a breve termine a discapito di quelli a lungo termine, della medicina basata sui costi piuttosto che di quella incentrata sul paziente sono pericolose sia per le finanze pubbliche che per la salute di tutti. Come ha detto Mark McClellan, il principale artefice della politica sanitaria americana, "Cercare una grandiosa soluzione per ogni cosa non porterà a nessun risultato". Dobbiamo andare avanti, guardando oltre.

Oggi, lo studio dei genomi ci sta conducendo in una nuova era di medicina personalizzata in cui gli uomini potrebbero essere sottoposti ad una quantità di analisi diagnostiche molecolari, per ridurre gli effetti collaterali, incrementare l'efficacia, migliorare i risultati e persino prevenire varie forme di cancro, la depressione, l'ipertensione, l'Alzheimer e i disordini immunitari. Questa è la medicina basata sulle prove di efficacia del ventunesimo secolo - incentrata sul paziente ed economicamente efficiente. La medicina e le politiche basate sulle prove devono sapersi adattare a questa scienza emergente.

Oggi, e ancor di più nel futuro, i risultati dei test clinici potranno essere monitorati più precisamente e i computer potranno controllare centinaia di variabili per aiutare medici e ricercatori ad identificare quali cure contribuiscono maggiormente alla guarigione. Questa è la medicina basata sulle prove di efficacia del ventunesimo secolo - incentrata sul paziente ed economicamente efficiente.

Il trionfo della medicina moderna è che questa può essere adattata esattamente alle esigenze di un singolo paziente

Noi abbiamo bisogno di un nuovo approccio al concetto di "evidenza", per schiudere una nuova era della medicina. Noi dobbiamo sviluppare nuovi studi, strumenti, formule che offrano ai decisori politici, in tutto il mondo, a chi investe e paga (pubblico o privato che sia) e a chi lavora nel mondo della salute la capacità di valutare, supportare ed usare nuovi medicinali e nuove tecniche mediche per migliorare il benessere del paziente in un sistema incentrato sul paziente ed economicamente efficiente.

Noi dobbiamo fornire la prova, davvero cruciale, della medicina del Ventunesimo secolo al processo di decisione degli amministratori e al dibattito intellettuale e politico - e dobbiamo farlo in una maniera coordinata, rigorosa, attraverso una visione politica il cui approccio, basato sulle prove, sia in grado di:

1. Riconoscere il valore dell'innovazione medica

Abbiamo bisogno di studi che valutino l'efficacia economica della diagnostica molecolare e delle nuove medicine in termini di un più rapido accesso a dei medicinali critici (e che spesso possono salvare una vita). Non soltanto il loro "costo" contro quello di scelte terapeutiche alternative.

Bisognerebbe sviluppare politiche tese a favorire l'adozione di nuovi medicinali, diagnosi molecolari e nuove tecnologie di informazione sanitaria come una parte importante della soluzione alla sfida della salute. Dobbiamo riconoscere ed affrontare il fatto che uno dei più grandi fallimenti dei nostri sistemi sanitari - così com'è dimostrato dalla medicina basata sulle prove di efficacia - è l'impossibilità di garantire che i pazienti ricevano e utilizzino le terapie più efficaci.

Tutto ciò ha bisogno di politiche che considerino l'impatto economico sull'intero sistema sanitario, invece che limitarsi agli effetti sui bilanci. Sempre di più, i fatti dimostrano che una maggiore spesa in farmaci riduce costi in altri ambiti del sistema.

Tutto ciò significa anche che dobbiamo riconoscere i limiti di decisioni univoche e centralizzate, basate su medie di campione sul valore dell'innovazione.

La politica sanitaria dovrebbe riflettere l'eterogeneità degli effetti delle cure - ovvero, il fatto che i pazienti non sono medie ma possono rispondere in maniera differente ai farmaci e che i modi per usare e valutare l'innovazione possono variare con il tempo.

2. Supportare l'idea che il medico ed il paziente testino i miglioramenti tecnologici

Vi sono crescenti potenzialità per la rapida comunicazione di informazioni e prove mediche, nonché una crescente enfasi sul ruolo del consumatore nel processo decisionale nella sanità. Questo schiude la possibilità che l'EBM assuma un significato nuovo e migliore dell'attuale - cioè una EBM che offra informazioni utili, accurate ed equilibrate a medici, pazienti e consumatori nel processo decisionale.

Sempre di più, i fatti dimostrano che una maggiore spesa in farmaci riduce costi in altri ambiti del sistema

3. Rifletta la scienza emergente della medicina personalizzata

Vi è un crescente corpus di prove che supportano il fatto che prontuari gerarchizzati e restrittivi scoraggino l'opportuno ricorso a medicinali pensati per prevenire o ritardare l'insorgere di malattie croniche.

Nell'era della medicina personalizzata, l'obiettivo dovrebbe essere (ad esempio) quello di identificare le persone a rischio di sindrome metabolica e prescrivergli una medicina che protegga efficacemente i loro cuori e ritardi il diabete - piuttosto che prescrivergli il farmaco "meno costoso".

Bisogna comparare i risultati di formulari preventivi e personalizzati con l'approccio gerarchico per dimostrare l'impatto in termini di salute e di costo sanitario totale. Dobbiamo valutare l'impatto della restrittività sulla mortalità, sull'aggravarsi delle malattie, e sui costi sociali (disabilità, malattie di lungo termine, benefici nel benessere).

Chi si occupa di queste scelte politiche dovrebbe lavorare a stretto contatto con le più importanti compagnie bioinformatiche e con gli addetti alla sanità per sviluppare un approccio consapevole dello stato dell'arte, sia per documentare che per migliorare il benessere del paziente, permettendoci di dimostrare che gli approcci "a posteriori" e

la totale fiducia nei test clinici a campione sono spesso gravati da imperfezioni e superati.

Ci dovrebbe essere una collaborazione, fra stati, fra differenti sistemi sanitari, ospedali e piani sanitari per sviluppare programmi efficaci che potrebbero essere messi in atto per migliorare sia i risultati che i processi, ovvero le strategie migliori per raggiungere i risultati - risultati incentrati sui pazienti e economicamente efficienti.

Una società che sta invecchiando rapidamente necessita di una nuova sanità, capace di rispondere alle esigenze del Ventunesimo secolo. L'uguaglianza nella cura deve oggi unirsi alla qualità della cura. Abbiamo bisogno di un nuovo approccio. La comunità medica deve lavorare unita per sviluppare dei nuovi programmi, economicamente efficienti e che considerino la moderna scienza dei genomi e lo *screening* individuale. Perché le politiche "a taglia unica" sono pericolosamente datate, in un'epoca in cui la medicina può essere incentrata sul paziente.

Come disse John Adams, *"i fatti sono ostinati, e qualsiasi possano essere i nostri desideri, le nostre aspirazioni, o i dettami delle nostre passioni, non possono alterare lo stato dei fatti e le loro prove"*.



L'ISTITUTO BRUNO LEONI

L'Istituto Bruno Leoni (IBL), intitolato al grande giurista e filosofo torinese, nasce con l'ambizione di stimolare il dibattito pubblico, in Italia, promuovendo in modo puntuale e rigoroso un punto di vista autenticamente liberale. L'IBL intende studiare, promuovere e diffondere gli ideali del mercato, della proprietà privata, e della libertà di scambio. Attraverso la pubblicazione di libri (sia di taglio accademico, sia divulgativi), l'organizzazione di convegni, la diffusione di articoli sulla stampa nazionale e internazionale, l'elaborazione di brevi studi e briefing papers, l'IBL mira ad orientare il processo decisionale, ad informare al meglio la pubblica opinione, a crescere una nuova generazione di intellettuali e studiosi sensibili alle ragioni della libertà.