

# Dati regionali e loro ruolo nella pianificazione, nella programmazione e nel controllo a livello regionale

Irene Marzona<sup>1</sup>, Paolo Stella<sup>2</sup>, Gianluca Trifirò<sup>3</sup>, Giovanni Corrao<sup>4</sup>

<sup>1</sup>Dephaforum Srl, Project Management, Milano - Italy

<sup>2</sup>Regione Puglia, Sezione Farmaci, Dispositivi Medici e Assistenza Integrativa, Bari - Italy

<sup>3</sup>Università degli Studi di Verona, Dipartimento di Diagnostica e Sanità Pubblica, Verona - Italy

<sup>4</sup>Assessorato Welfare, Regione Lombardia, Milano - Italy

## Regional administrative data and their role in planning, programming and controlling at regional level

Regional administrative data may help public administrations in organizing their information, identifying problems, defining solutions and verifying results of the actions taken.

The objective of this work is to present the discussion output of the working group (GDL) “The use of regional pharmaceutical data to facilitate health planning and outcome monitoring” which was held during the Regional Pharmaceutical Policy Forum of 2023.

The GDL focused on identifying a model for planning, programming and monitoring health resources based on the data-driven approach and on the use of already existing regional administrative data, defining some gaps and developing proposals to implement this strategy. In particular, were highlighted the needs to adopt a broader perspective that considers healthcare costs as a whole (and not, specifically, oriented towards the governance of pharmaceutical assistance), to create ad-hoc training courses focused on the use of real-world data, and, similarly to some European Countries, to move towards an open access policy (accessible data) that can be useful to improve citizens' health protection services, in compliance with the GDPR.

**Keywords:** Real-world data, Real-world evidence, Regression analysis, Regulatory affairs

## Introduzione

Il Sistema Sanitario Nazionale basa il suo funzionamento sulla raccolta di una grandissima quantità di dati al fine di poter erogare e rimborsare correttamente le prestazioni necessarie all'assistenza.

Un “*data-driven approach*”:

- fa fruttare il tesoro dei *Big data* utilizzando i dati in modo efficace nel processo decisionale. La gestione dei dati (*data management*) non viene considerata come un fattore meramente tecnico, ma come un pilastro strategico dell'attività. Un approccio data-driven consente di farsi guidare dai numeri e basarsi sui dati, per prendere decisioni informate, definite su fatti oggettivi e non su sensazioni personali;
- consente di pianificare decisioni strategiche basate sull'analisi e sull'interpretazione dei dati a disposizione dell'amministrazione regionale, con lo scopo di definire

degli obiettivi operativi di gestione. Gli stessi dati possono poi essere utilizzati nel tempo per monitorare il raggiungimento degli obiettivi strategici, individuare eventuali elementi di criticità associati e adottare le azioni correttive necessarie;

- può essere attuato, una volta individuato l'obiettivo informativo al quale si vuole rispondere, definendo in primo luogo la tipologia di dati necessari per l'analisi, successivamente il modello di aggregazione/analisi e infine gli indicatori o target oggetto di controllo dei risultati conseguiti. Inoltre, è necessario individuare a priori un set di informazioni di ritorno che siano utilizzate per la pianificazione di azioni correttive.

Nonostante il potenziale informativo che possono assicurare e la relativamente facile reperibilità degli stessi, l'utilizzo dei dati amministrativi non è tuttora sistematicamente implementato allo scopo di migliorare la programmazione sanitaria e di razionalizzare quindi le risorse.

## Obiettivo

L'obiettivo del presente lavoro è quello di presentare il risultato della discussione del Gruppo di Lavoro (GDL) “L'impiego dei dati farmaceutici regionali per favorire la programmazione sanitaria e il monitoraggio degli esiti” che si

**Received:** January 18, 2024

**Accepted:** March 30, 2024

**Published online:** April 25, 2024

## Indirizzo per la corrispondenza:

Irene Marzona

email: [i.marzona@dephaforum.it](mailto:i.marzona@dephaforum.it)



è tenuta nel corso della prima edizione del Forum Politiche Farmaceutiche Regionali (Roma, 30 e 31 marzo 2023).

L'obiettivo del Forum è stato quello di discutere il ruolo atteso delle Regioni nel governo dell'assistenza farmaceutica, attraverso le politiche regionali adottate, e come le stesse possano essere migliorate per poter consentire un accesso rapido, appropriato ed equo sul territorio ai farmaci rimborsati dal SSN (Servizio Sanitario Nazionale) e un governo complessivo della spesa.

Il Forum è stato organizzato da Dephaforum e coordinato da Giovanna Scroccaro (Regione Veneto) e Massimo Medaglia (Dephaforum). Hanno partecipato soggetti istituzionali (AIFA, Agenzia Italiana del Farmaco, e referenti dei Servizi Farmaceutici Regionali), farmacisti ospedalieri e dei servizi farmaceutici territoriali, rappresentanti di farmacie di comunità, referenti di imprese farmaceutiche, rappresentanti di associazioni di pazienti e di tutela dei diritti dei cittadini ed esperti nel campo di economia, politica e legislazione sanitaria.

## Metodologia

Il presente articolo riporta le conclusioni e le proposte del GDL succitato. Il Seminario è stato così organizzato: nel corso della prima mattinata di lavori sono stati forniti alcuni spunti di riflessione sulla tematica nell'abito di una specifica relazione. Nel pomeriggio e nel corso della mattinata seguente, il Gruppo di Lavoro costituito da 29 professionisti (tra cui clinici, Responsabili di Servizi Farmaceutici Regionali, esperti in farmacoepidemiologia e statistica, giuristi con particolare specializzazione nel trattamento dei dati e rappresentanti delle aziende farmaceutiche) si è riunito e, sulla base degli spunti di riflessione, ha elaborato una serie di raccomandazioni e proposte che sono state approvate dall'intero GDL presente.

## Risultati

Il GDL si è focalizzato sull'identificazione di un modello di pianificazione, programmazione e monitoraggio delle risorse sanitarie basato sull'approccio *data-driven* e sull'utilizzo di dati amministrativi regionali già esistenti. È stata sottolineata la necessità di adottare una prospettiva più ampia, che consideri la spesa sanitaria nel suo complesso (e non, specificamente, orientata al governo dell'assistenza farmaceutica).

Nello specifico, in merito al potenziale informativo dei dati amministrativi, è stato confermato l'uso di tali dati per valutare il profilo di sicurezza (*safety*), efficacia (*effectiveness*) e costo-efficacia (*cost-effectiveness*) dei trattamenti farmacologici nella pratica corrente. È stato, per esempio, ricordato uno studio pilota effettuato sui dati amministrativi dell'Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano Isontina, esteso successivamente a Regione Lombardia e Regione Sicilia, in cui si è dimostrato che l'uso dei nuovi farmaci antidiabetici orali (al posto delle sulfaniluree), in pazienti con diabete non più controllato con metformina, comporta, a fronte di un incremento della spesa farmaceutica, una sensibile riduzione delle ospedalizzazioni per eventi cardiovascolari maggiori (1).

Grazie all'utilizzo dei dati sanitari sarebbe possibile anche:

- stimare la numerosità della popolazione *target* di un nuovo farmaco lanciato sul mercato, se è possibile individuare tale popolazione attraverso un algoritmo basato su codice esenzioni ed eventuali prestazioni traccianti;
- valutare l'appropriatezza prescrittiva/aderenza a un trattamento in uso.

In Italia esiste una comunità scientifica molto attiva in merito all'utilizzo dei dati *real-world* e di banche dati amministrative in particolare, al fine di condurre analisi su uso e profilo beneficio-rischio e costo-efficacia dei farmaci (2).

## Il modello e le fonti dei dati

In merito al *data-driven approach*, il GDL ha individuato alcune aree di investimento, le fonti dei dati potenziali, le barriere e le possibili soluzioni e alcuni esempi di *best practice* a livello nazionale e internazionale.

Con riferimento al primo aspetto, è stata sottolineata la necessità di investire:

- in attività di *horizon scanning* dei bisogni (insoddisfatti) e degli investimenti necessari;
- nell'identificazione e nella quantificazione dei bisogni di salute, considerando i dati epidemiologici;
- nella misurazione del *gap* tra *real-life practice* e *best practice*, valutandone l'impatto dal punto di vista clinico ed economico;
- nella misurazione dell'impatto delle innovazioni, oltre che sui costi emergenti anche su quelli cessanti e sugli esiti, in aree non esclusivamente farmaceutiche.

Le fonti dei dati che, a oggi, sono disponibili e possono essere utilizzate, previa la necessità di rafforzarne l'interconnessione e l'interoperabilità, per raggiungere gli obiettivi di cui *supra* constano di dati amministrativi (database anagrafici, esenzioni, flussi farmaceutici, prestazioni ambulatoriali, Schede di Dimissione Ospedaliera, registri di mortalità), registri e sistemi di sorveglianza (p. es., registri Aifa, registri patologie, database MMG) e dati non strutturati sia biologici che clinici (provenienti da cartelle cliniche, immagini diagnostiche, dati di laboratorio/sequenze biomolecolari).

Tali dati potrebbero essere integrati con informazioni provenienti da altre fonti informative, tra cui il Fascicolo Sanitario Elettronico (FSE) 2.0, flussi informativi socio-previdenziali, dati sugli stili di vita provenienti da strumenti digitali (p. es., *smartphone*) e dati strutturali, organizzativi e di attività delle aziende sanitarie (personale, volumi di attività, ecc.).

## Le barriere che impediscono un completo utilizzo dell'approccio *data-driven* e le relative proposte del Gruppo di Lavoro

### *La focalizzazione delle Regioni sul controllo della spesa e, in particolare, della spesa farmaceutica*

Il GDL ha sottolineato che è necessario superare la logica dei *silos*, prevedendo anche una modifica della normativa



vigente, ancorata alla logica dei tetti di spesa. Il superamento della logica dei *silos* non dovrebbe limitarsi alla sanità, ma alla spesa pubblica nel suo complesso, considerando l'effetto dell'investimento in sanità su altri comparti (p. es., previdenza e sociale), e al sistema economico (perdita di produttività collegata alla malattia).

Tale istanza è da tempo discussa e risulta, a parere di molti operatori del panorama sanitario, importante per le notevoli ricadute che potrebbe avere sul sistema di assistenza pubblico nel suo complesso. Tuttavia non ha ancora trovato attuazione presso i tavoli istituzionali preposti.

Un esempio di investimento che supera, almeno informalmente, la logica dei *silos* è costituito dai notevoli investimenti che il sistema pubblico ha riconosciuto per le terapie innovative dell'epatite C: in questo caso, pur non modificando i tetti di spesa, il decisore pubblico ha accettato un rilevante investimento finanziario dedicato a questi farmaci, a fronte di indubbi vantaggi sia in termini di qualità della vita (e anche di sopravvivenza) che in termini economici in altri settori del welfare.

### **La limitata interoperabilità tra banche dati e la scarsa attitudine a sviluppare un approccio di rete**

Rispetto al tema della gestione delle reti di fonti informative, il GDL ha citato due recenti esperienze che possono rappresentare esempi di *"Data Sharing Federation"*, nati dalla crescente necessità di avere a disposizione rapidamente dati e, se possibile, evidenze *real-world* su patologie in cui le evidenze sperimentali sono limitate e dall'esigenza di immettere con urgenza sul mercato soluzioni terapeutiche:

- AIFA ha programmato il finanziamento tramite i fondi di farmacovigilanza diretti del coordinamento di tre reti di ricerca per la generazione di dati *real-world* su alcune aree specifiche quali: farmaci per malattie rare, immunosoppressori nelle malattie croniche, vaccini e farmaci per Covid-19; tali progettualità sono da intendersi come il consolidamento e l'estensione di altre precedentemente finanziate, sempre con gli stessi fondi che hanno permesso la creazione di reti di dati di 16 Regioni come nel progetto VALORE, che aveva lo scopo di garantire una sorveglianza *postmarketing* dei farmaci biologici nelle malattie infiammatorie croniche (3);
- a livello europeo è stato creato nel 2022 un *network* finalizzato alla federazione di differenti tipologie di banche dati europee (DARWIN, *Data Analysis and Real-World Interrogation Network*, EU (4)), con l'obiettivo di creare una rete di interazione tra soggetti che raccolgono dati *real-world* e le *agenzie regolatorie* per rispondere a quesiti di interesse regolatorio sia da parte di EMA che dei singoli Paesi membri.

Sulla scorta delle esperienze positive riportate, il GDL auspica che il decisore pubblico, per esempio tramite il Dipartimento della Programmazione del Ministero della Salute, si faccia carico di stimolare un'ampia collaborazione strutturata tra tutti gli stakeholder che possono generare fonti di dati interoperabili (ASL, AIFA, ISS, Regioni), affinché tali dati possano costituire una base comune interrogabile su quesiti rilevanti per la salute pubblica.

### **La carenza di cultura e competenze sull'uso di dati *real-world* e sulla loro traduzione in evidenze**

È stata poi evidenziata la necessità di prevedere ed erogare programmi di formazione su dati ed evidenze *real-world* non solo di tipo tecnico (come valutare un Protocollo di studio *real-world*, come elaborare i dati) ma anche culturale sull'utilità che queste informazioni possono rivestire per l'attività di pianificazione, programmazione e monitoraggio/controllo (come definire un quesito coerente con gli obiettivi che si vogliono raggiungere, quali sono le fonti informative più appropriate, come leggere i limiti di uno studio basato su dati *real-world*, ecc.), anche con il coinvolgimento delle associazioni dei pazienti. Il GDL ha poi suggerito che le Regioni istituiscano un Comitato Etico Regionale per gli studi osservazionali retrospettivi con dati secondari realizzati a livello regionale, composto da esperti con la formazione necessaria per la valutazione di tali studi, in quanto i singoli Comitati Etici Territoriali spesso hanno poca competenza in tal senso e ne rallentano la realizzazione.

A questo proposito è stato anche sottolineato come il coinvolgimento della popolazione, con messaggi informativi ad hoc, potrebbe aiutare a mitigare la "diffidenza" nei confronti dell'utilizzo dei dati sanitari che, se opportunamente anonimizzati, potrebbero offrire importanti informazioni per la salute di tutti i cittadini.

### **La difficoltà di conciliare la tutela della privacy con la tutela della salute e la proprietà del dato**

Il GDL ha auspicato che, analogamente ad alcuni Paesi europei, anche l'Italia si orienti verso una politica di *open access* (dati accessibili) per le analisi, che può essere utile per il miglioramento dei servizi di tutela della salute dei cittadini, sempre nel rispetto del GDPR. A questo proposito è stato ricordato che:

- esiste una differenza tra proprietà/titolarietà di dati grezzi che attengono alla sfera personale dei soggetti (per i quali esiste una regolamentazione che ne tuteli la *privacy*) e la proprietà intellettuale dei dati secondari, aggregati e già elaborati per ottenere delle informazioni, i quali potrebbero costituire oggetto di una politica di *open access*;
- è stato redatto un Protocollo di Intesa tra AGENAS (Agenzia Nazionale per i Servizi Sanitari Regionali), AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco), ISS (Istituto Superiore di Sanità) e ISTAT (Istituto Nazionale di Statistica), INMP (Istituto Nazionale per la promozione della salute delle popolazioni migranti e il contrasto delle malattie della povertà), CNR (Consiglio Nazionale delle Ricerche), INAIL (Istituto Nazionale Assicurazione Infortuni sul Lavoro) INPS (Istituto Nazionale per la Previdenza Sociale) e Conferenza delle Regioni e delle Province Autonome per la promozione delle migliori pratiche per l'uso etico e rigoroso dei dati sanitari in Italia ai fini della ricerca. Tale Protocollo va anche nella direzione di iniziative di collaborazione tra soggetti che "operano e trattano" dati sulla salute (*"Alleanza per la ricerca con dati sanitari"*) (cfr. *supra*).

In questo ambito sono presenti numerose aggregazioni di professionisti che stanno elaborando proposte operative in tal senso, che verranno poste all'attenzione dei decisori.

In conclusione, partendo da un approccio focalizzato sull'utilità dei dati amministrativi a supporto della programmazione sanitaria regionale, il GDL ha poi fatto una riflessione di più ampio respiro. I dati amministrativi raccolti a scopo sanitario costituiscono un'opportunità per tutto il sistema di assistenza pubblica: se opportunamente anonimizzati, linkati e trattati, tali dati possono offrire informazioni integrative utili per la programmazione e la valutazione delle ricadute degli interventi sanitari.

## Acknowledgements

Gli Autori desiderano ringraziare tutti i partecipanti al Gruppo di Lavoro per il loro contributo:

V. Acciai (Ipsen), M. Altini (Regione Emilia Romagna), G. Alquati (Gilead), F. Attanasio (Regione Toscana), S. Baldanzi (Grünenthal), S. Beghin (Menarini), G. Brunitto (Regione Piemonte), F. Crescente (Daiichi-Sankyo), R. Fernandez-Baca (Seagen), G. Ghelfi (Pierre Fabre), M. Macilotti (Università degli Studi di Trento), S. Marangoni (Almirall), W. Marrocco (FIMMG), A. Messori (Regione Toscana), C. Nicora (Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori), S. Palcic (Azienda Sanitaria Universitaria Giuliano-Isontina), L. Patregnani (Regione Marche), T. Perrone (Italfarmaco), L. Poggi (Regione Piemonte), P. Ponzi (Bayer), N. Porrello (Roche), R. Rondena (Novartis), S. Sansone (Servier), G. Traversini (Biogen), S. Zito (AIFA).

Si ringraziano inoltre per il contributo alla realizzazione del Forum: M. Medaglia, G. Scroccaro e C. Jommi.

## Disclosures

**Conflict of interest:** IM, PS and GC, declare no conflict of interest; GT participated to advisory boards on topics not related to this paper and sponsored by Eli Lilly; Sanofi; Amgen; Novo Nordisk; Sobi; Gilead; Celgene; Daiichi Sankyo; he acted as scientific coordinator of the academic spin-off INSPIRE for observational studies/systematic reviews on rare diseases funded by PTC Pharmaceuticals, Kiowa Kirin, Novo Nordisk, Shonogi and Shire and on topics not related to this paper.

**Financial support:** This study received no grant from any funding agency in the public, commercial, or not-for-profit sectors.

## Bibliografia

1. Palcic S, Nappi C, Sangiorgi D et al. Il sole 24ore. Sanità24. L'approccio della Asu GI per la valutazione del value-for-money delle terapie ipoglicemizzanti. I dati sanitari a supporto del processo decisionale. 12/4/2021. [Online](#) (Accessed January 2024)
2. Trifirò G, Gini R, Barone-Adesi F, et al. The Role of European Healthcare Databases for Post-Marketing Drug Effectiveness, Safety and Value Evaluation: Where Does Italy Stand? *Drug Saf.* 2019;42(3):347-363. [CrossRef PubMed](#)
3. Trifirò G, Isgro V, Ingrassiotta Y, et al; VALORE Project Collaborators. Large-Scale Postmarketing Surveillance of Biological Drugs for Immune-Mediated Inflammatory Diseases Through an Italian Distributed Multi-Database Healthcare Network: the VALORE Project. *BioDrugs.* 2021;35(6):749-764. [CrossRef PubMed](#)
4. European Medicines Agency (EMA). Data Analysis and Real World Interrogation Network (DARWIN EU). [Online](#) (Accessed March 2024)