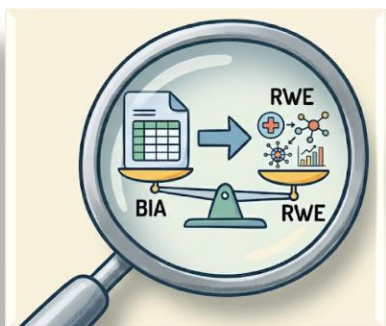


FORIERO



La validazione post-marketing delle analisi di Budget Impact: il ruolo della Real World Evidence

Le analisi di Budget Impact (BIA) sono strumenti di supporto alle decisioni per la pianificazione finanziaria sanitaria all'interno di uno specifico contesto o di un sistema e costituiscono, insieme con le analisi costo efficacia (CEA), una valutazione economica importante in ambito di Health Technology Assessment (HTA). Lo scopo di una BIA è quello di fornire un “modello” valido che consenta ai vari stakeholders dei servizi sanitari (es. coloro che gestiscono e pianificano i budget in ambito regolatorio nazionale, regionale o aziendale) di comprendere la relazione tra le caratteristiche del contesto di riferimento con le possibili conseguenze economiche sul budget (a breve e/o medio termine), secondariamente all'introduzione di una nuova tecnologia sanitaria.

Principi metodologici rigorosi sulla BIA sono forniti dalle pubblicazioni della Task Force dell'International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) (Mauskopf, 2007; Sullivan 2014), a supporto della creazione di analisi credibili rispetto all'impatto sul budget di un nuovo prodotto. Le componenti fondamentali individuate nella progettazione di un'analisi di BI sono riassunte in **Tabella 1**.

Tabella 1. Struttura di una Budget Impact Analysis

- ✓ **Caratteristiche del sistema sanitario**
- ✓ **Prospettiva**
- ✓ **Utilizzo e costo della nuova tecnologia e dei trattamenti esistenti**
 - Popolazione eleggibile
 - Terapie già in commercio per la stessa indicazione d'uso
 - Introduzione della nuova tecnologia e market share
 - Costi delle terapie (attuali e nuove)
- ✓ **Impatto sui costi**
 - Costi correlati alla patologia
- ✓ **Orizzonte temporale a breve-medio termine** (solitamente da 1 a massimo 5 anni, coerentemente con i cicli di pianificazione del budget)
- ✓ **Scelta della metodologia di analisi:** semplici fogli di calcolo per l'elaborazione dei costi nel tempo. Solo in caso di oggettiva impossibilità di catturare la complessità della patologia è possibile prendere in considerazione modelli più complessi (es. modello di Markov, modello di sopravvivenza partizionata, ecc.)
- ✓ **Analisi di sensibilità e scenari**
- ✓ **Validazione**

Fonte: riadattato da Sullivan et al, 2014

Pur definendo con chiarezza le buone pratiche metodologiche per la realizzazione di una BIA, le raccomandazioni ISPOR si concentrano prevalentemente su una validazione di tipo ex-ante: il documento richiede infatti che la validazione del modello includa almeno la determinazione della "face validity" (concordata con i decisori chiave) e la verifica dell'implementazione dei calcoli.

Al contrario, le linee guida non si soffermano invece sulla necessità di validazioni sistematiche ex-post delle stime. Pur aprendo alla possibilità di raccogliere dati di utilizzo nel post-marketing a fini di ricerca (per operare un confronto tra le stime teoriche e i risultati reali), gli stessi autori precisano che tale ricerca non risulterebbe rilevante per le decisioni già prese nel contesto regolatorio; la sua utilità risiederebbe unicamente nel rafforzare la fiducia nel modello per le analisi future, qualora i risultati reali si dimostrassero simili a quelli previsti.

Anche la letteratura scientifica sulla validazione delle BIA appare ad oggi piuttosto limitata; le evidenze emerse da alcuni degli studi disponibili mettono in luce alcune criticità nella capacità predittiva dei modelli, i quali sembrano faticare a riflettere le dinamiche del mondo reale. Alcune distorsioni sono state attribuite alla mancata considerazione in fase analitica della riduzione dei prezzi nel tempo e all'ingresso dei prodotti biosimilari (Faleiros et al., 2021), che ha comportato una sovrastima di spesa di oltre il 400% rispetto al dato reale. Al contrario, in uno studio condotto in Bulgaria (Kostadinov et al, 2025) le proiezioni effettuate avevano sistematicamente sottostimato l'uptake dei farmaci, registrando invece volumi reali di consumo che superavano le previsioni, trainati soprattutto da aree terapeutiche ad alta innovazione come oncologia e immunologia. Questi dati si inseriscono in un quadro già critico delineato dalla letteratura metodologica. Una revisione sistematica (van de Vooren et al, 2014) ha ad esempio evidenziato un'elevata eterogeneità nei metodi (es. diversi orizzonti temporali considerati, differenze nelle tipologie di costi inclusi o nella definizione della popolazione target, limitate o assenti analisi di sensibilità, ecc.) e una scarsa trasparenza (es. descrizioni incomplete delle fonti dati, frequente utilizzo di assunzioni non validate, ecc.) nelle BIA pubblicate in Europa, fattori che possono contribuire a risultati poco robusti oltre che rendere difficile confrontare i risultati tra studi diversi.

A fronte di tali perplessità riguardo alle stime delle BIA, il **confronto sistematico con i dati del real-world** (es. dai flussi amministrativi ospedalieri) permetterebbe in maniera oggettiva di misurare l'aderenza (o mancata aderenza) tra spese previste e osservate (Hung et al., 2019) e, laddove necessario, di valutarne l'affidabilità e la capacità previsionale. A questo scopo potrebbero essere valutati parametri quali:

Adozione accelerata della nuova tecnologia dovuta a nuove indicazioni approvate (estensioni terapeutiche) o all'uso in popolazioni più ampie di quelle inizialmente previste (fenomeno osservato soprattutto in oncologia e immunologia)

Uptake reale: l'effettivo utilizzo del farmaco spesso supera le stime teoriche per via della maggiore confidenza clinica o della mancanza delle barriere all'accesso ipotizzate invece nei modelli previsionali;

Definizione più accurata della popolazione eleggibile, affidata di solito ad interviste con esperti le cui stime spesso si rivelano errate;

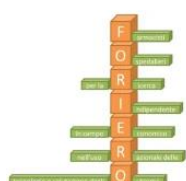
Impatto sui costi: la possibilità di calcolare l'aderenza (come Proportion of Days Covered (PDC) o il Medication Possession Ratio (MPR)) o la persistenza (Time to treatment discontinuation (TTD)) utilizzando i flussi amministrativi fornisce dei dati reali di spesa farmaceutica che tengono conto anche delle criticità nella continuità terapeutica (scarsa aderenza o interruzioni dei trattamenti) e aiutano a comprendere i possibili legami tra la ridotta aderenza e l'aumento dei costi legati alle complicanze (es. ospedalizzazioni) oltre che fornire delle indicazioni aggiuntive per una migliore allocazione delle risorse;

Analisi dei sottogruppi: la real world evidence (RWE) consente di validare l'impatto del farmaco anche su sottogruppi specifici di pazienti (es. per gravità o comorbidità), che potrebbero rappresentare dei driver di spesa inizialmente non previsti.

È interessante notare come il ruolo della RWE non dovrebbe limitarsi alla sola fase retrospettiva. Lo stesso documento ISPOR, infatti, riconosce l'importanza di questi dati già nella fase iniziale di popolamento del modello. Tra gli esempi di fonti di dati suggerite per alimentare le analisi di budget impact, il report inserisce esplicitamente i dati di utilizzo e di costo della vita reale, derivanti da registri o database. Pertanto, la RWE non rappresenta unicamente lo strumento per eccellenza per la validazione ex-post, ma costituisce, idealmente, la fonte prioritaria anche per le proiezioni ex-ante. Cogliere questa continuità del dato reale, dalla progettazione teorica del modello fino alla misurazione oggettiva della sua accuratezza sul campo, pone le basi metodologiche essenziali per la transizione verso i processi di “living HTA” (come proposto da Kostadinov et al, 2025), ovvero la trasformazione della BIA da un documento statico e teorico di market access ad uno strumento di governance attiva e dinamica.

Bibliografia

- Faleiros DR, et al. *Budget impact analysis of medicines: estimated values versus real-world evidence and the implications*. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*. 2022 Mar;22(2):271-281.
- Hung A, et al. *Validating a Budget Impact Model Using Payer Insight and Claims Data: A Framework and Case Study*. *J Manag Care Spec Pharm*. 2019 Aug;25(8):913-921.
- Kostadinov K, et al. *Accuracy of Budget Impact Projections in Bulgarian Health Technology Assessment: A Five-Year Validation Study (2020-2025)*. *Healthcare (Basel)*. 2025 Nov 20;13(22):2990.
- Mauskopf J, et al. *Principles of Good Practice for Budget Impact Analysis: Report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices—Budget Impact Analysis*. *Value in Health*. 2007;10(5):336–347.
- Sullivan SD, et al. *Budget Impact Analysis—Principles of Good Practice: Report of the ISPOR 2012 Budget Impact Analysis Good Practice II Task Force*. *Value Health*. 2014;17(1):5-14.
- van de Vooren K, et al. *A critical systematic review of budget impact analyses on drugs in the EU countries*. *Appl Health Econ Health Policy*. 2014 Feb;12(1):33-40.



🔔 **Vuoi approfondire?**

📧 **Scrivici per ricevere il nostro commento tecnico completo o per partecipare a momenti di formazione sul tema RWD/RWE.**

✉ **Contatti:** forierofarma@gmail.com

📧 **Iscriviti alla newsletter** <https://foriero.net>

💬 **Seguici su** [Linkedin](#)