

CAPITOLO 4

LA GOVERNANCE

Analisi dei costi sanitari diretti dei pazienti con malattia rara

Polistena B.¹, Carrieri C.¹, d'Angela D.¹, Spandonaro F.¹

4.1. Premessa

Come anticipato nel Capitolo 2, le analisi che seguono, in continuità con quelle pubblicate nel I Rapporto OSSFOR sono state possibili grazie alla collaborazione della Regione Campania, che così come Lombardia e Puglia negli anni precedenti, ha messo a disposizione i propri *database* amministrativi, utili a elaborare informazioni sull'assistenza prestata ai malati rari.

Nel presente capitolo si affronta il tema dell'assorbimento di risorse del Servizio Sanitario Regionale (SSR). Ricordiamo che l'analisi dei dati amministrativi dei SSR è limitata ai pazienti esenti; inoltre analizza esclusivamente l'impatto economico sul SSR dei residenti, senza considerare le risorse (ingenti) messe in gioco direttamente dai pazienti e dalle loro famiglie; infine, non è possibile rilevare né i cosiddetti costi indiretti (ovvero la perdita di produttività di questi pazienti) né i costi non sanitari pubblici, quali ad esempio le pensioni di invalidità.

L'analisi condotta adotta quindi la prospettiva del Servizio Sanitario, e specificatamente quello delle Regioni Campania, Lombardia e Puglia.

Ancora, appare essenziale premettere che le stime economiche prodotte non misurano direttamente i costi effettivi sostenuti: infatti i *database* amministrativi, in alcuni casi contengono la spesa effettivamente sostenuta dalle Regioni, ad esempio per voci quali farmaci e i servizi da strutture accreditate, mentre per altre sono state elaborate stime, ottenute attraverso l'impiego delle tariffe pubbliche (in primis per i ricoveri).

Di seguito, quindi, i termini costo, spesa e risorse sono usati (a volte in modo non perfettamente appropriato secondo i criteri dell'Economia) sempre con riferimento al criterio di valutazione sopra descritto.

Infine, si consideri che per effetto delle peculiarità Regionali (a partire dai diversi nomenclatori tariffari), nonché per il fatto che le indagini sono state condotte in 3 anni differenti e che gli universi di riferimento sono di diversa dimensione, i dati specifici delle Regioni analizzate non appaiono perfettamente confrontabili. L'analisi ha, quindi, l'obiettivo limitato di realizzare una prima stima dell'impatto economico sui SSR di un malato raro.

4.2. I costi

Con i caveat sopra esplicitati, la spesa media per malato raro (comprendente quella per i farmaci erogati dalle farmacie convenzionate e quelli del File F, quella per esami diagnostici, di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e *day hospital* (DH)) risulta ammontare a € 5.384,5 annui in Campania, € 5.003,1 in Lombardia e a € 4.216,9 in Puglia. Prendendo in considerazione l'intera popolazione "prevalente", ossia in possesso di esenzione per malattia rara, si stima una spesa complessiva per il SSR campano pari a € 89,8 mln. (0,9% della spesa sanitaria pubblica totale della Regione Campania al netto della mobilità interregionale), lombardo pari a € 222,9 mln. (1,2% della spesa sanitaria pubblica totale della Regione Lombardia al netto della mobilità interregionale) e a € 91,5 mln. per il SSR pugliese (1,3% della spesa sanitaria pubblica totale della Regione Puglia al netto della mobilità interregionale).

Al fine di garantire la confrontabilità dei dati tra le 3 Regioni, anche per la Regione Campania, il presente dato si riferisce all'elenco delle esenzioni per patologia rara presente nell'allegato 1 al DM 279/2001.

¹ Università degli studi di Roma "Tor Vergata", C.R.E.A. Sanità

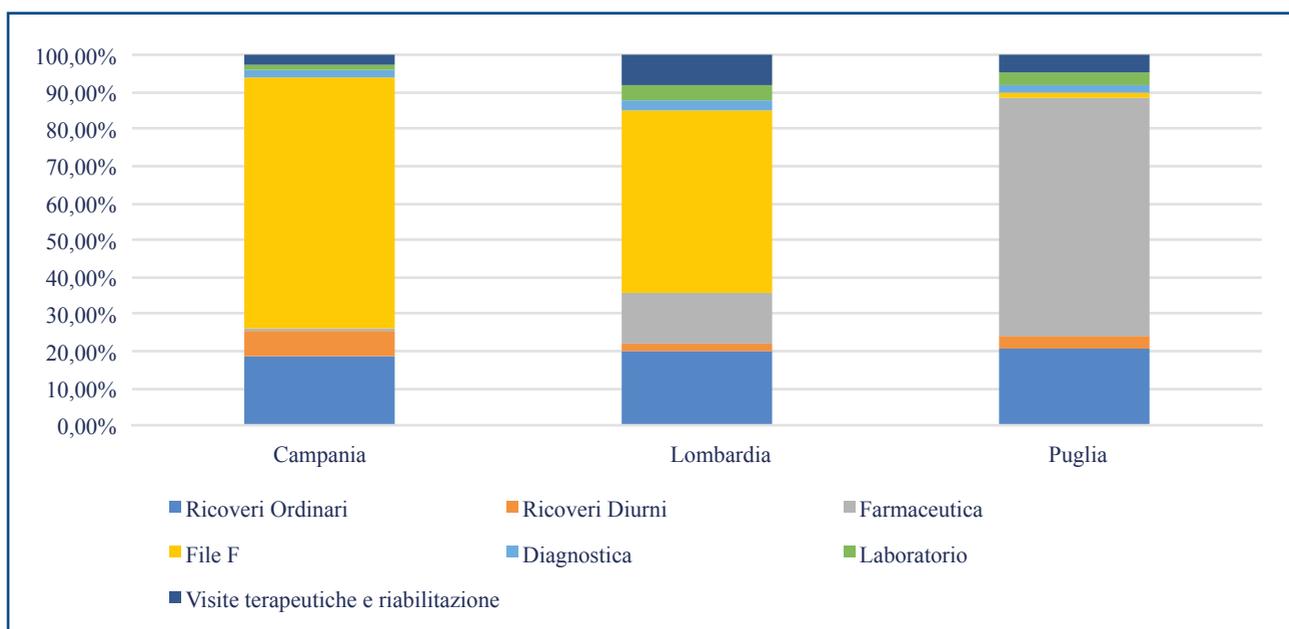
Si consideri che la maggior spesa pro-capite campana è attribuibile sia al fatto che il dato è più recente e include l'aggiornamento delle patologie esenti ai sensi del "nuovi LEA", sia al fatto che i fenomeni di sottostima descritti nel capitolo 2, possono comportare una selezione dei pazienti.

Peraltro l'onere complessivo si ritiene possa essere sottostimato per effetto di una presumibile incompletezza dei casi registrati nei database.

Nell'analisi della spesa per malati rari non è stato possibile includere quella relativa all'assistenza residenziale e domiciliare integrata, in quanto i database non permettono ancora un collegamento con le attività socio - sanitarie (RSA). È tuttavia possibile ipotizzare che la sottostima della spesa, derivante dalle voci non rilevate, nell'ottica del SSR sia presumibilmente di dimensioni contenute, in quanto larga parte dei costi per l'assistenza territoriale sono sostenuti direttamente dalle famiglie .

Non si è potuta altresì includere, per indisponibilità del dato, la spesa che i SSR hanno sostenuto, negli anni considerati, per protesi e ausili.

Figura 4.1.
Composizione della spesa media annua per MR - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania, Lombardia e Puglia ©OSSFOR

In tutte le Regioni considerate la quota maggiore di spesa è quella per farmaci: (68,6% in Campania, 63,1% in Lombardia e 65,4% in Puglia). Appare tuttavia evidente come sia presente un sistema di “gestione” dei farmaci differente: se in Campania ed in Lombardia la quota dominante dei farmaci per i malati rari viene erogata in File F (rispettivamente 67,9% e 48,9%), in Puglia tale quota appare invece residuale (1,3%).

Segue la spesa per ricoveri ordinari, pari al 18,6% di quella totale in Campania, al 20,2% in Lombardia e al 21,0% in Puglia, e quella per le visite che rappresentano rispettivamente il 2,5%, l'8,5% e il 5,0% della totale in Campania, Lombardia e Puglia.

Si noti che in Campania e Puglia la quota di spesa destinata alle prestazioni specialistiche è inferiore rispetto a quella della Lombardia, mentre quella destinata ai ricoveri diurni è superiore (6,7% in Campania, 1,7% in Lombardia e 3,4% in Puglia).

La spesa per gli esami di laboratorio assorbe rispettivamente l'1,6%, il 3,8% e il 3,1% della spesa media totale in Campania, Lombardia e in Puglia e, infine, quella per gli esami diagnostici l'1,6% di quella campana, il 2,8% di quella lombarda e il 2,0% di quella pugliese.

Sebbene l'impatto economico complessivo dei malati rari sul budget regionale sia limitato, la spesa media eccede la quota capitaria media di finanziamento: il finanziamento erogato alla popolazione campana è pari a € 1.739,4 nel 2016, lombarda a € 1.902,07 nel 2012, e quello per la popolazione pugliese a € 1.769,8 nel 2016. Evidentemente il dato di finanziamento esprime una media fra cittadini consumatori e non.

Analisi per ASL

La variabilità territoriale della spesa media per soggetto esente per MR è notevole. Nelle tre Regioni la differenza tra la ASL con spesa più elevata e quella con spesa minore è di oltre 1,6 volte.

Quindi non solo sul versante epidemiologico, ma anche su quello economico si riscontra come l'impatto sulle singole ASL sia fortemente diversificato; in altri termini, sebbene il *budget* per le MR sia in media complessivamente limitato (come sopra argomentato), le potenziali differenze a livello di singola ASL o di Distretto possono compromettere l'equilibrio di bilancio, giustificando l'opportunità di valutare attentamente se non sia necessario prevedere finanziamenti aggiuntivi ad hoc, onde evitare che si rischi alternativamente un risultato di bilancio negativo o una insufficiente assistenza ai malati.

Analisi per età

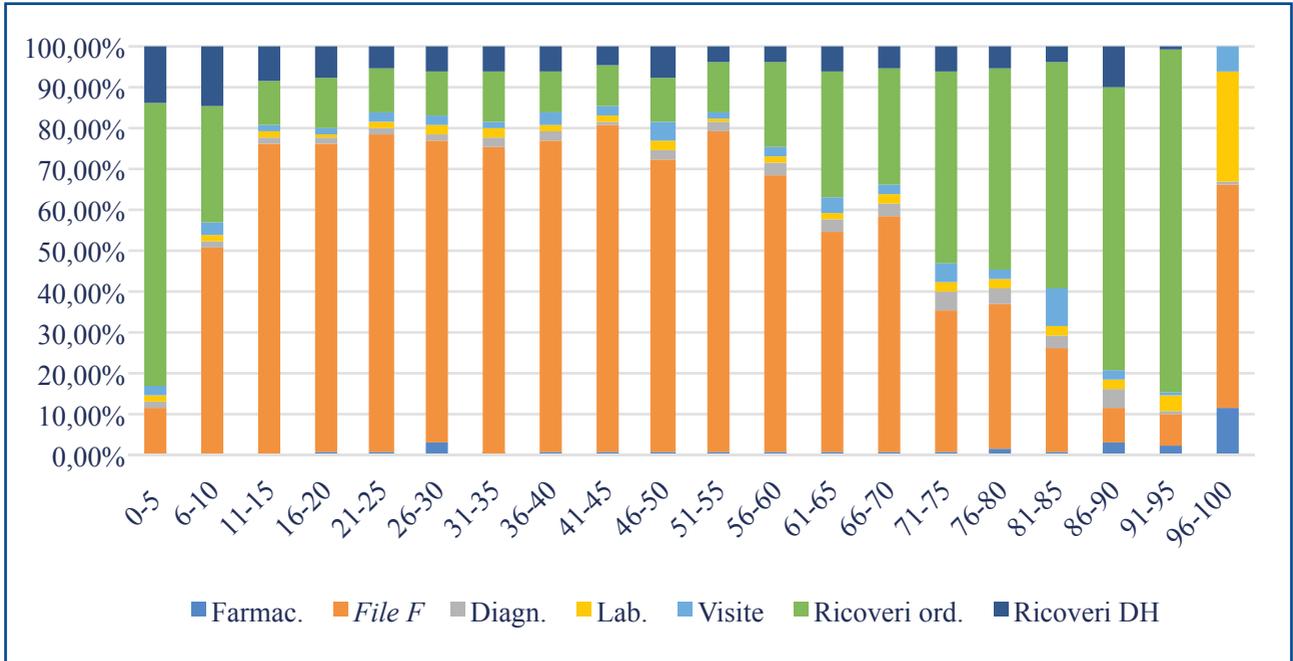
L'analisi della spesa media per classe di età ha palesato, in tutte le Regioni analizzate, come il dato pro-capite sia inferiore alla media, nella classe di età 16-20: classe nella quale, con molta probabilità, i pazienti che hanno ricevuto esenzione in età neonatale e hanno raggiunto la “stabilizzazione” delle cure; la spesa media è invece superiore alla media nella classe di età pre adolescenziale (11 - 14 anni), nella quale, come abbiamo avuto modo di sottolineare nel capitolo epidemiologico, si osserva un picco in termini di prevalenza: il dato presumibilmente è da correlare alla necessità di effettuare indagini necessarie per la definizione della diagnosi. Questo pare verosimile soprattutto nelle patologie ad insorgenza tardiva.

Analizzando l'andamento della spesa media annua pro-capite per età è anche possibile osservare come questa risulti più alta al momento del riconoscimento dell'esenzione, si riduca in età adulta per poi incrementarsi nuovamente in età anziana quando alla patologia rara si possono, evidentemente, affiancare altre problematiche di salute.

³ Senza essere esaustivi citiamo *Social economic burden and health-related quality of life in patients with rare diseases in Europe (BURQOL-RD)* promosso dalla Canary Foundation of Investigation and Health; *Costo sociale e socio-sanitario e bisogno assistenziale nelle malattie rare - Studio pilota promosso dall'Istituto degli affari sociali; Diaspro Rosso promosso da UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare Onlus.*

Figura 4.2.

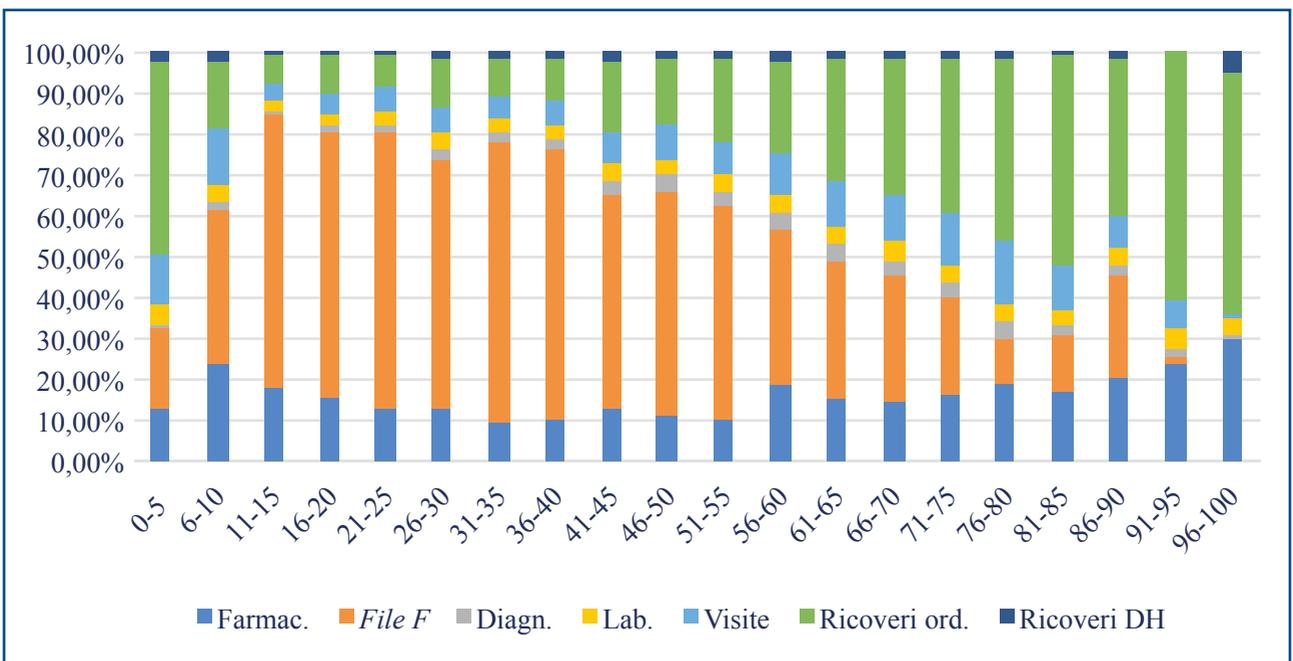
Composizione della spesa pro-capite media annua dei malati rari in Campania - Anno 2017 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

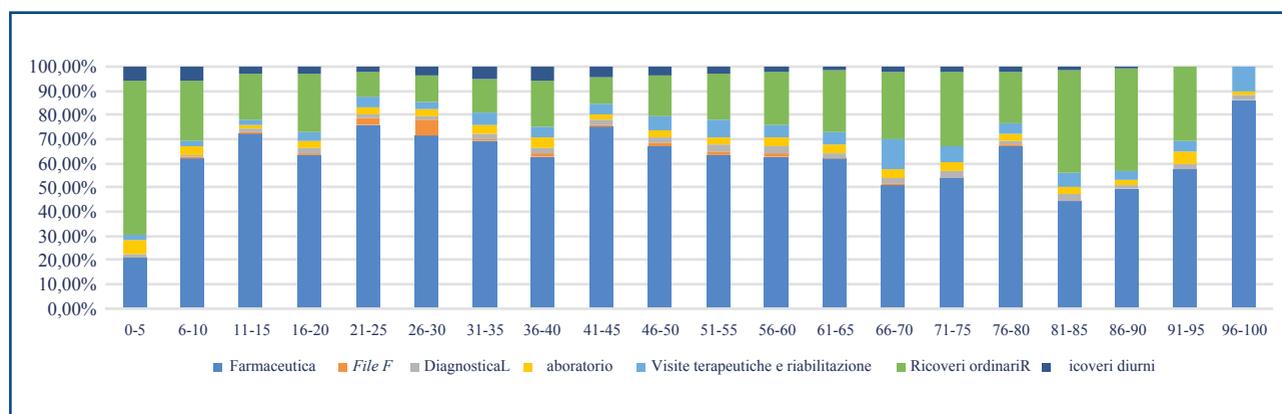
Figura 4.3.

Composizione della spesa pro-capite media annua dei malati rari in Lombardia - Anno 2012 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Lombardia ©OSSFOR

Figura 4.4.
Composizione della spesa pro-capite media annua dei malati rari in Puglia - Anno 2016 -
Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Puglia ©OSSFOR

L'analisi di genere

Notevoli differenze in termini di spesa emergono anche nell'analisi per genere: la spesa media di un malato raro di sesso maschile è pari a circa il doppio di quella di un malato raro di sesso femminile in tutte e tre le Regioni.

Tabella 4.1:
Composizione della spesa pro-capite media annua dei malati rari - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001

	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH
Campania							
Femmine	0,71%	53,57%	3,25%	2,76%	3,74%	25,69%	10,27%
Maschi	0,77%	74,40%	1,44%	1,10%	1,93%	15,41%	4,95%
Lombardia							
Femmine	18,09%	30,88%	4,42%	5,54%	11,53%	26,90%	2,64%
Maschi	11,69%	60,66%	1,68%	2,72%	6,44%	15,77%	1,03%
Puglia							
Femmine	49,13%	1,35%	3,31%	4,81%	7,29%	29,05%	5,06%
Maschi	72,67%	1,33%	1,30%	2,16%	3,73%	16,35%	2,47%

Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania, Lombardia e Puglia ©OSSFOR

Tale fenomeno, che ormai sembra rappresentare una regolarità nella analisi delle MR, potrebbe essere spiegato dalla maggiore disponibilità di trattamenti per malattie ad espressione fenotipica più severa nei maschi. Elementi che portano a tale considerazione sono legati al fatto che gran parte della differenza si concentra nella spesa farmaceutica, che assorbe oltre il 70% della spesa totale media annua di un malato raro maschio in tutte le Regioni.

Una analisi più approfondita per categoria diagnostica mostra come il dato della spesa farmaceutica sia condizionata dalla categoria Malattie del sangue e degli organi ematopoietici, con una spesa pro-capite per i maschi oltre 5 volte maggiore di quella per le femmine.

Tabella 4.2.

**Spesa pro-capite media annua dei malati rari in Campania, per genere. Valori in € - Anno 2017
- Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001**

MASCHI								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	5,47	1691,25	107,36	554,57	43,25	2394,25	164,25	4960,41
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	372,23	38595,72	68,86	95,39	133,19	724,89	1053,38	41043,67
Malattie del sistema circolatorio	18,97	2393,36	143,69	96,20	307,56	1797,98	446,61	5204,37
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	22,95	425,41	105,31	58,11	108,57	916,97	165,89	1803,21
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	13,20	144,31	178,26	145,56	51,08	1979,15	700,88	3212,45
Malattie dell'apparato digerente	20,27	185,78	139,87	42,06	325,18	2039,81	101,66	2854,64
Malattie dell'apparato genito-urinario	41,82	217,38	248,86	155,69	103,85	1983,64	357,31	3108,54
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	34,93	326,64	126,12	96,09	165,57	914,86	240,31	1904,51
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	45,66	9846,29	70,34	97,76	258,24	1423,96	778,95	12521,20
Malattie infettive e parassitarie	11,28	2,31	229,12	9,85	2,58	723,25	124,25	1102,64
Malformazioni congenite	13,60	1144,21	92,88	102,95	108,11	1381,45	214,20	3057,40
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	0	0	0	0	0	0	0	0
Tumori	7,47	94,15	168,55	53,57	92,37	752,21	225,59	1393,92
Media	54,62	5247,75	101,70	77,27	135,98	1087,29	349,04	7053,65
FEMMINE								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	0,00	0,00	67,38	19,58	94,26	0,00	905,25	1086,46
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	32,30	5209,65	93,70	144,76	89,42	553,94	1210,04	7333,80
Malattie del sistema circolatorio	43,73	2039,10	155,99	172,92	183,80	2008,40	457,64	5061,58
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	24,29	352,87	125,75	85,96	141,81	854,42	145,93	1731,03
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	82,29	1114,31	137,54	183,62	53,60	1950,01	351,75	3873,11
Malattie dell'apparato digerente	15,46	374,37	101,29	75,85	60,55	1769,08	140,31	2536,91
Malattie dell'apparato genito-urinario	39,96	332,50	194,60	138,72	389,74	1095,57	296,24	2487,33
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	20,30	548,50	85,47	60,24	45,54	907,51	152,11	1819,66
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	29,16	6641,80	84,47	93,58	99,06	829,03	643,63	8420,73
Malattie infettive e parassitarie	42,22	0,00	0,00	0,00	0,00	1362,15	837,60	2241,97
Malformazioni congenite	21,07	522,50	98,54	92,66	162,49	985,26	231,94	2114,47
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	0	0	0	0	0	0	0	0
Tumori	5,84	180,92	181,35	79,68	86,43	739,01	236,67	1509,89
Media	25,28	1897,04	115,22	97,86	132,55	909,63	363,81	3541,40

Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

Tabella 4.3.

Spesa pro-capite media annua dei malati rari in Lombardia, per genere. Valori in € - Anno 2012 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001

MASCHI								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	1.865,69	0,31	144,23	277,69	3.354,69	725,00	0,00	6.367,62
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	1.606,74	16.715,48	127,86	267,73	387,13	878,45	60,96	20.044,35
Malattie del sistema circolatorio	921,22	326,12	171,06	267,97	937,85	1.743,12	126,47	4.493,81
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	465,64	771,64	76,97	117,43	367,37	1.465,31	83,69	3.348,05
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	696,37	744,09	158,37	221,99	470,44	1.433,58	68,07	3.792,91
Malattie dell'apparato digerente	655,26	489,88	145,77	167,82	276,51	1.077,84	49,93	2.863,01
Malattie dell'apparato genito-urinario	803,80	88,51	411,47	200,10	509,83	1.451,23	126,32	3.591,26
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	563,16	86,14	102,45	149,55	355,85	1.000,05	46,94	2.304,13
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	941,40	4.933,33	112,47	234,38	457,97	812,57	56,46	7.548,58
Malattie infettive e parassitarie	355,63	483,75	131,81	165,33	222,38	954,71	10,04	2.323,65
Malformazioni congenite	503,53	105,24	103,89	129,10	495,15	961,48	62,88	2.361,26
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	5.246,00	0,00	679,50	176,25	555,50	1.287,50	0,00	7.944,75
Tumori	214,34	119,05	214,48	132,44	307,80	521,60	110,76	1.620,47
Media	801,86	4.159,50	115,38	186,35	441,48	1.081,40	70,60	6.856,57
FEMMINE								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	1.578,80	14,00	170,00	390,67	3.642,93	5.690,00	51,00	11.537,40
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	634,22	2.362,84	157,29	216,60	398,55	702,91	85,00	4.557,41
Malattie del sistema circolatorio	929,23	498,26	218,00	270,73	606,38	1.432,84	76,29	4.031,74
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	510,75	847,46	115,80	141,69	371,05	1.500,76	109,85	3.597,34
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	494,24	493,12	187,36	218,35	391,47	734,36	84,58	2.603,48
Malattie dell'apparato digerente	618,30	729,03	152,44	156,22	254,37	868,75	122,75	2.901,87
Malattie dell'apparato genito-urinario	461,51	86,46	180,77	150,35	291,91	774,68	584,27	2.529,96
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	510,85	62,28	126,73	178,12	320,32	1.078,26	45,92	2.322,49
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	830,26	2.531,73	129,62	211,75	407,40	719,00	64,36	4.894,12
Malattie infettive e parassitarie	496,59	1.851,17	142,79	149,69	862,38	482,03	0,00	3.984,66
Malformazioni congenite	804,24	105,43	141,12	171,27	463,65	981,55	66,26	2.733,52
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	1.868,25	0,00	0,00	353,50	475,75	1.663,00	0,00	4.360,50
Tumori	220,87	181,19	273,46	161,06	288,97	877,80	291,14	2.294,48
Media	640,39	1.092,83	156,52	196,07	408,12	952,02	93,37	3.539,33

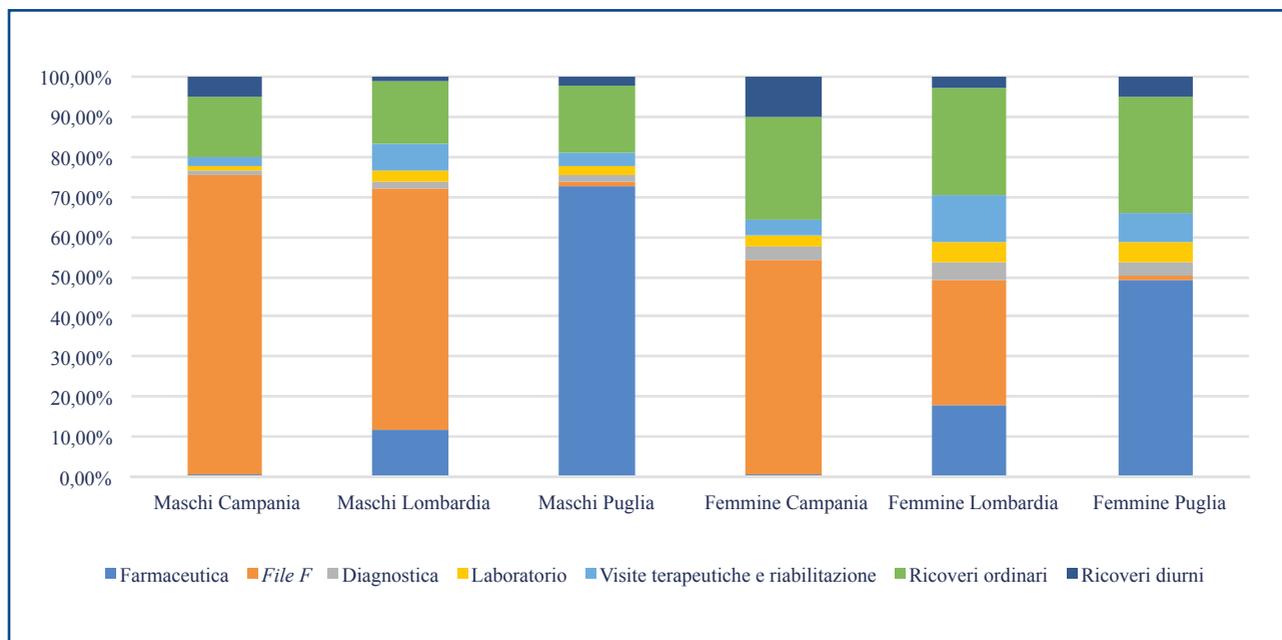
Tabella 4.4. Spesa pro-capite media annua dei malati rari in Puglia, per genere. Valori in € - Anno 2016 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001

MASCHI								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	87,10	0,00	11,98	12,14	42,64	313,93	48,55	516,34
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	14.359,28	253,56	62,01	142,28	240,81	623,42	322,12	16.003,47
Malattie del sistema circolatorio	946,57	12,65	64,37	196,03	706,74	887,86	103,83	2.918,05
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	1.192,44	13,53	65,69	91,06	224,34	981,93	75,25	2.644,24
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	2.727,89	104,87	102,28	224,85	274,75	1.941,02	109,61	5.485,26
Malattie dell'apparato digerente	1.340,72	76,59	100,70	91,78	107,63	1.379,44	60,76	3.157,61
Malattie dell'apparato genito-urinario	1.892,87	0,00	421,64	120,21	153,03	553,89	94,87	3.236,52
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	820,08	35,33	55,19	89,18	144,22	1.201,64	67,56	2.413,21
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	2.485,40	65,04	74,76	148,20	206,32	880,65	104,03	3.964,40
Malattie infettive e parassitarie	405,69	0,00	52,26	40,04	53,38	2.080,89	114,04	2.746,29
Malformazioni congenite	605,74	5,15	82,50	116,57	107,78	1.014,28	87,27	2.019,29
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	732,12	0,00	0,00	0,00	21,69	0,00	0,00	753,81
Tumori	480,23	2,01	145,72	125,66	173,06	1.627,16	189,64	2.743,48
Media	4.151,84	75,79	74,00	123,41	213,10	933,93	140,84	5.712,91
FEMMINE								
	Farmac.	File F	Diagn.	Lab.	Visite	Ricoveri ord	Ricoveri DH	Totale
Alcune condizioni morbose di origine perinatale	30,79	0,00	6,79	9,98	41,31	123,06	0,00	211,93
Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	2.205,98	65,27	88,69	142,18	243,71	508,49	261,13	3.515,45
Malattie del sistema circolatorio	1.222,89	189,75	122,73	191,88	571,77	1.308,99	78,02	3.686,03
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	870,53	3,67	86,50	111,68	225,81	1.015,34	73,26	2.386,81
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	1.607,25	42,06	109,96	175,81	173,75	851,26	232,46	3.192,55
Malattie dell'apparato digerente	701,39	0,17	143,73	107,21	121,30	1.297,04	70,61	2.441,45
Malattie dell'apparato genito-urinario	676,49	0,00	129,55	141,17	238,28	817,12	67,38	2.069,99
Malattie della pelle e del tessuto sottocutaneo	1.538,64	28,79	86,06	102,66	175,08	718,92	61,78	2.711,95
Malattie delle ghiandole endocrine, della nutrizione, del metabolismo e disturbi immunitari	2.068,62	52,37	75,30	158,62	161,14	636,25	85,21	3.237,50
Malattie infettive e parassitarie	461,25	0,00	104,78	104,53	132,77	122,14	0,00	925,48
Malformazioni congenite	633,81	1,43	96,12	121,41	175,79	1.115,82	130,23	2.274,61
Sintomi, segni e stati morbosi mal definiti	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00	0,00
Tumori	469,41	68,24	207,25	155,94	140,25	1.075,61	172,42	2.289,12
Media	1.422,92	39,01	95,96	139,33	211,00	841,44	146,41	2.896,07

Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Puglia ©OSSFOR

Figura 4.5.

Composizione della spesa pro-capite media annua per tipo di prestazione e genere - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania, Lombardia e Puglia ©OSSFOR

Complessivamente, per i maschi si spendono oltre il 60% del totale delle risorse nelle tre realtà prese in analisi (68,7% in Campania, 60,5% in Lombardia e 63,5% in Puglia); per le femmine, pur essendo un numero maggiore in Lombardia e Campania, meno del 40% (il 31,3% del totale delle risorse assorbite dai malati rari in Campania, il 39,5% in Lombardia e il 36,5% in Puglia).

Analisi per categoria diagnostica

Passando all'analisi della spesa per singola categoria diagnostica, si osserva come in Campania si rilevi un differenziale di 18,7 volte tra la categoria diagnostica di maggiore assorbimento (Malattie del sangue e degli organi ematopoietici) e quella a minor assorbimento di risorse in termini di spesa media pro-capite (paziente con malattie infettive e parassitarie).

In Lombardia, invece, si rileva un differenziale di circa 6,2 volte tra la categoria diagnostica di maggiore assorbimento (Malattie del sangue e degli organi ematopoietici) e quella a minor assorbimento di risorse in termini di spesa media pro-capite (paziente con tumore raro).

In Puglia, infine, il differenziale massimo che si riscontra tra la categoria diagnostica a maggior assorbimento (Malattie del sangue e degli organi ematopoietici) e quella a minor assorbimento (Alcune condizioni morbose di origine perinatale), supera le 22 volte.

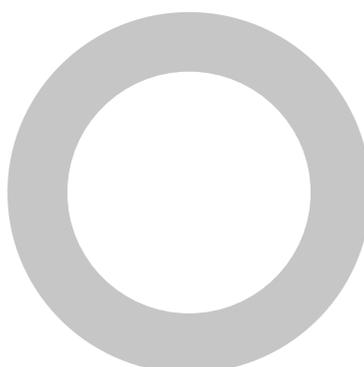
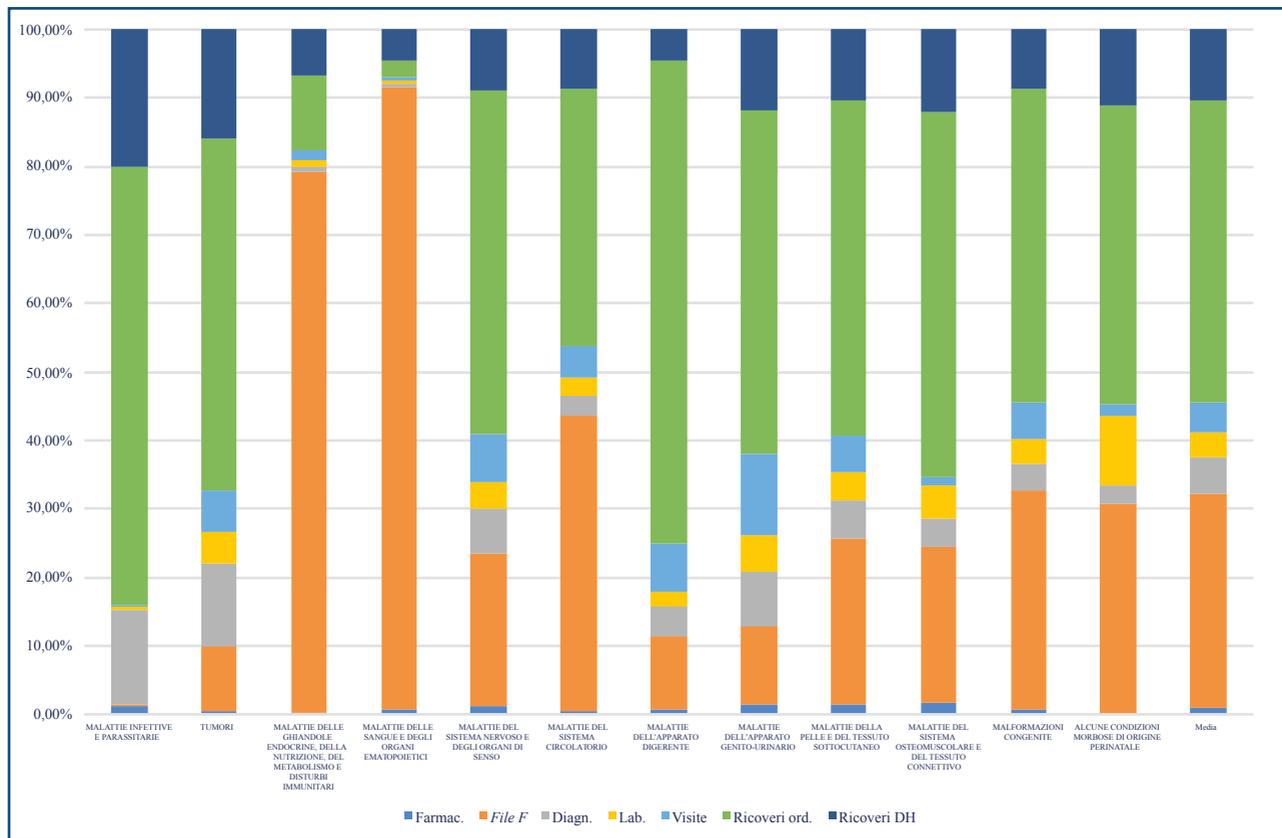


Figura 4.6.

Composizione della spesa pro-capite media annua per tipo di prestazione e categoria diagnostica in Campania. - Anno 2017 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

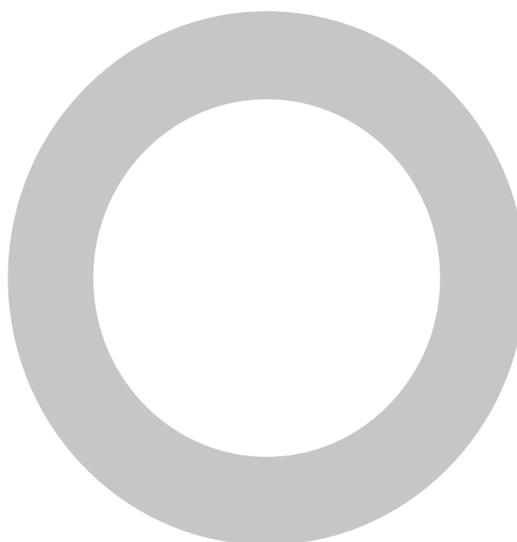
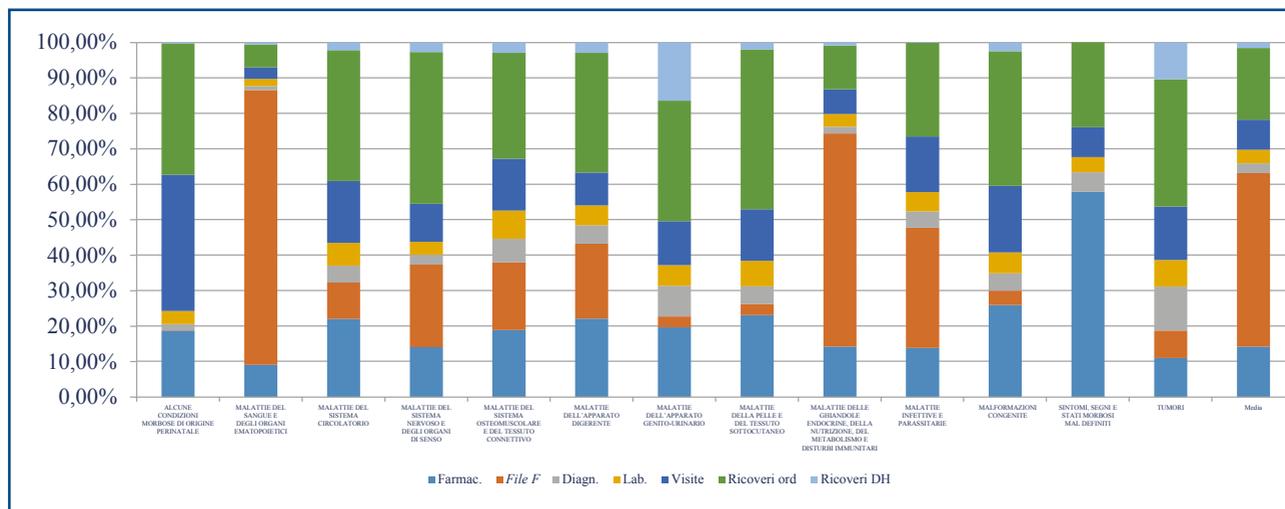


Figura 4.7.

Composizione della spesa pro-capite media annua per tipo di prestazione e categoria diagnostica in Lombardia



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Lombardia ©OSSFOR

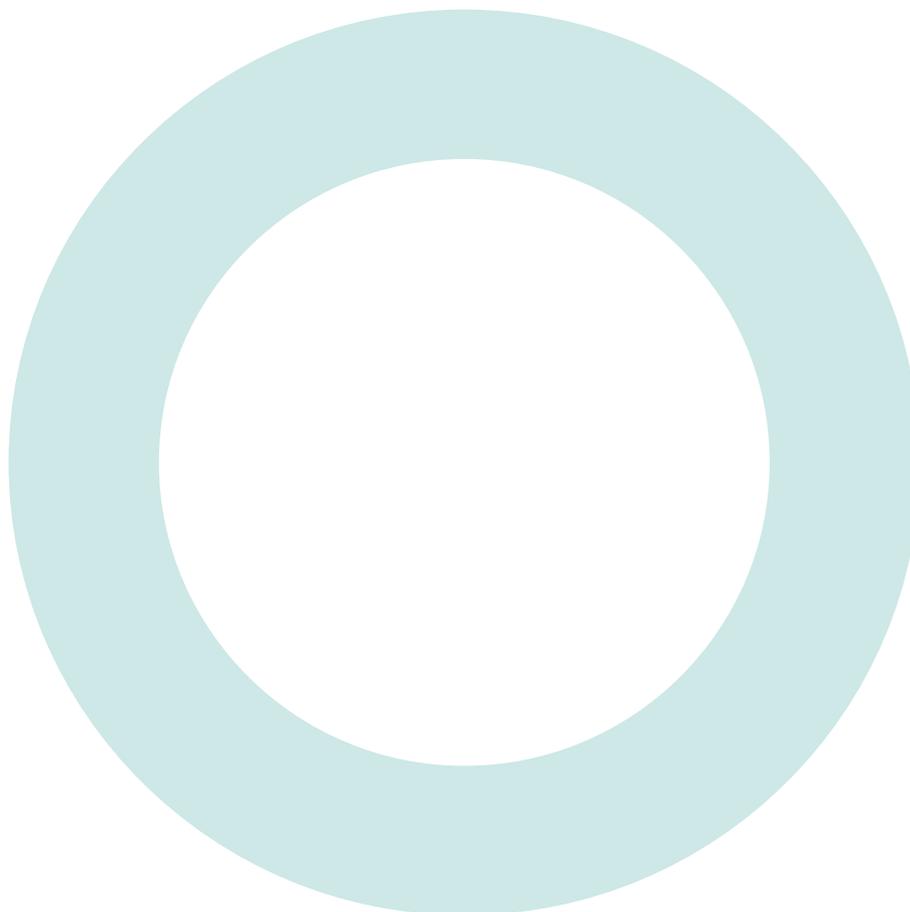
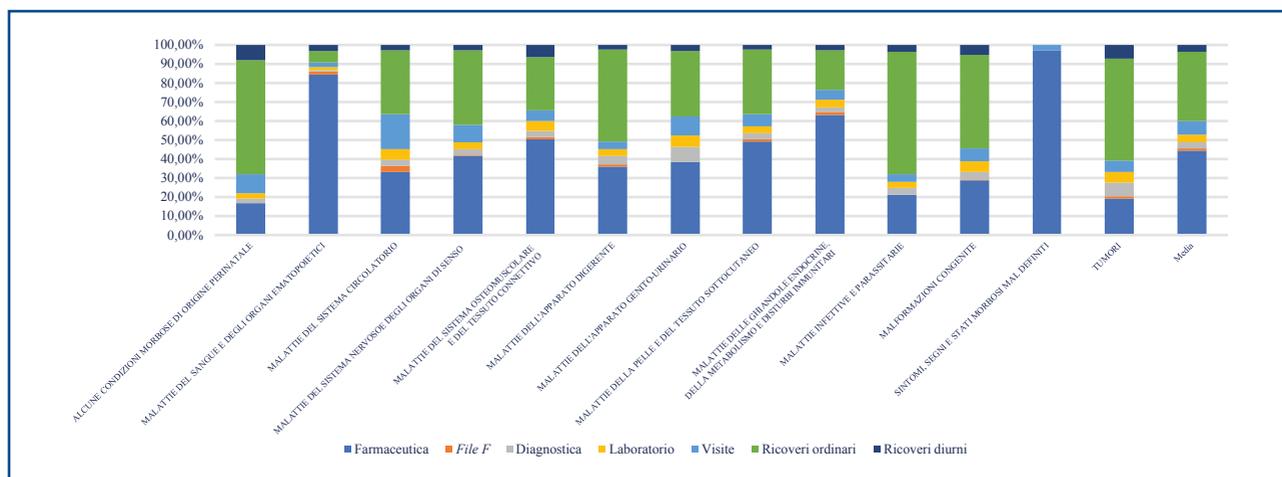


Figura 4.8.

Composizione della spesa pro-capite media annua per tipo di prestazione e categoria diagnostica in Puglia - Anno 2016 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Puglia ©OSSFOR

Analisi per classi di prevalenza

La spesa per la classe degli ultra rari è inferiore a quella media di € 1.116,4 e pari a € 4.499,8 : la spesa è imputabile per il 53,3% ai farmaci, per il 38,2% ai ricoveri, per il 3,3% a visite terapeutiche e riabilitazione, per il 2,6% alla diagnostica e sempre per il 2,6% al laboratorio.

In Lombardia alle condizioni ultra rare (ricordiamo quelle con una prevalenza minore dello 0,002%) è associata la spesa pro-capite più elevata (€ 6.953,6). La spesa in questa classe è per il 71,3% imputabile ai farmaci, per il 15,9% ai ricoveri ordinari, per il 7,0% alle visite ambulatoriali, per l'1,9% alla diagnostica e, infine, per l'1,0% ai ricoveri diurni.

Nella stessa classe di prevalenza, la spesa pro-capite dei malati rari pugliesi è inferiore a quella media, e pari a € 3.653,3: si compone per il 47,7% di spesa per i farmaci, per il 34,6% per ricoveri ordinari, per il 7,6% per le visite, per il 4,1% per gli esami di laboratorio, per il 2,4% per gli esami diagnostici e per il 3,7% per i ricoveri diurni.

In Campania la spesa pro-capite più elevata è associata alla classe di prevalenza compresa tra 0,002% e 0,005% (€ 7.592,6). La spesa in questa classe è imputabile per l'80,3% alla spesa farmaceutica, il 4,8% alla spesa per ricoveri (ordinari e DH), per il 2,5% alle visite terapeutiche e riabilitazione, all'1,3% alla diagnostica e l'1,0% alle analisi di laboratorio. La spesa per pazienti con condizioni rare con prevalenza compresa tra 0,002% e 0,005% è pari, in Lombardia, a circa la metà di quella dei pazienti ultra rari (€ 3.845,3), di cui il 31,1% per ricoveri ordinari, oltre il 44% per farmaci, il 12,5% per visite specialistiche, il 4,9% per le analisi di laboratorio, il 4,1% per la diagnostica e, infine, il 2,3% per i ricoveri diurni.

Anche in Puglia la spesa media pro-capite per la classe di prevalenza compresa tra 0,002% e 0,005% è inferiore a quella registrata per i malati ultra rari e pari a € 2.861,2: di cui il 34,4% per ricoveri ordinari, oltre il 46,3% per farmaci, l'8,4% per visite specialistiche, il 4,8% per le analisi di laboratorio, il 3,1% per la diagnostica ed il 3,0% per ricoveri diurni.

In Campania la spesa media per i pazienti con condizione rara compresa nelle fasce di prevalenza 0,005-0,010% è pari a € 3.181,9 di cui il 36,6% è spesa per farmaci, il 53,7% è spesa per ricoveri, il 4,0% è spesa per visite e riabilitazione, il 3,1% è spesa per diagnostica e il 2,6% spesa per analisi di laboratorio.

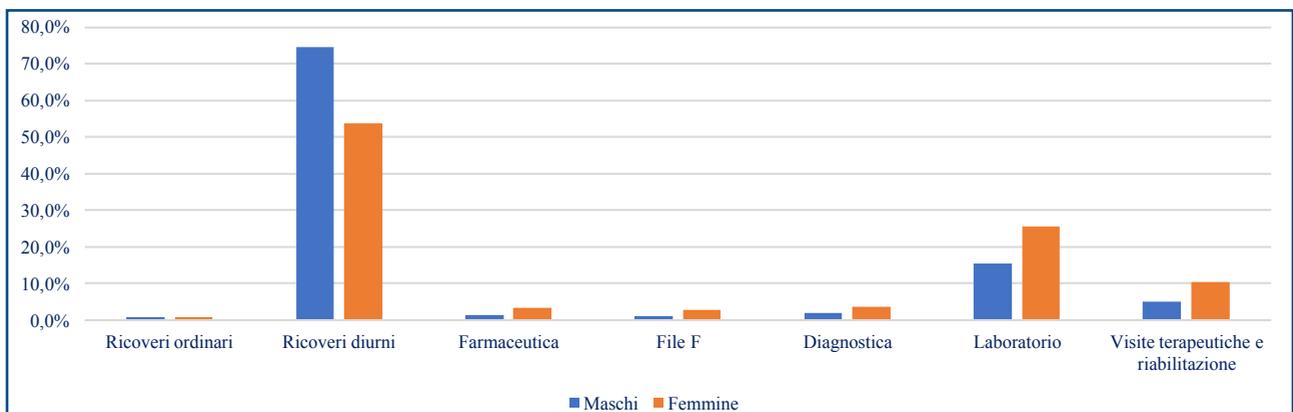
La spesa per la classe di prevalenza dei malati rari > 0,01% è invece pari a € 5.616,2 pro-capite: 74,0% per farmaci, 20,8% per ricoveri, 2,0% per visite di diagnostica e riabilitazione, 1,3% per diagnostica e 1,9% per analisi di laboratorio.

In Lombardia, la spesa media per i pazienti con condizione rara compresa nelle fasce di prevalenza 0,005-0,010% e per quella > 0,01%, è piuttosto omogenea e rispettivamente pari a € 4.779,7 e € 4.934,8 (circa 1,4 volte inferiore rispetto a quella dei pazienti con patologia ultra rara). La distribuzione della spesa all'interno delle ultime due fasce di prevalenza è però difforme: nella fascia di prevalenza 0,005-0,010% registriamo il 32,9% per i ricoveri ordinari, il 26,8% per il File F, il 21,1% per l'altra farmaceutica, il 10,3% per le visite specialistiche, il 4,2% per le analisi di laboratorio, il 2,5% per la diagnostica, e il 2,2% per i ricoveri diurni, mentre nella fascia di prevalenza >0,01% il 60,8% è per il File F, il 12,2% per l'altra farmaceutica, il 12,1% per ricoveri ordinari, il 6,8% per le visite, il 3,7% per le analisi di laboratorio, il 2,9% per la diagnostica e l'1,6% per ricoveri diurni.

In Puglia, invece, i pazienti inclusi nella fascia di prevalenza 0,005-0,010%, registrano una spesa media pro-capite pari a € 3.727,6 di cui il 47,2% per farmaci, il 36,7% per ricoveri ordinari, il 5,8% per visite, il 4,2% per ricoveri diurni, il 3,3% per analisi di laboratorio e il 2,8% per diagnostica.

Infine, i pazienti inclusi nella fascia di prevalenza > 0,01% fanno registrare una spesa media pro-capite pari a € 5.099,7: si tratta per il 78,9% di spesa farmaceutica, per il 10,4% di spesa per ricoveri, per il 3,5% di spesa per visite, per il 3,2% di spesa per ricoveri diurni, per il 2,5% di spesa per esami di laboratorio e, infine, per l'1,5% di spesa per esami diagnostici.

Figura 4.9.
Distribuzione della spesa media annua per soggetto esente per fascia di prevalenza in Campania - Anno 2017 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

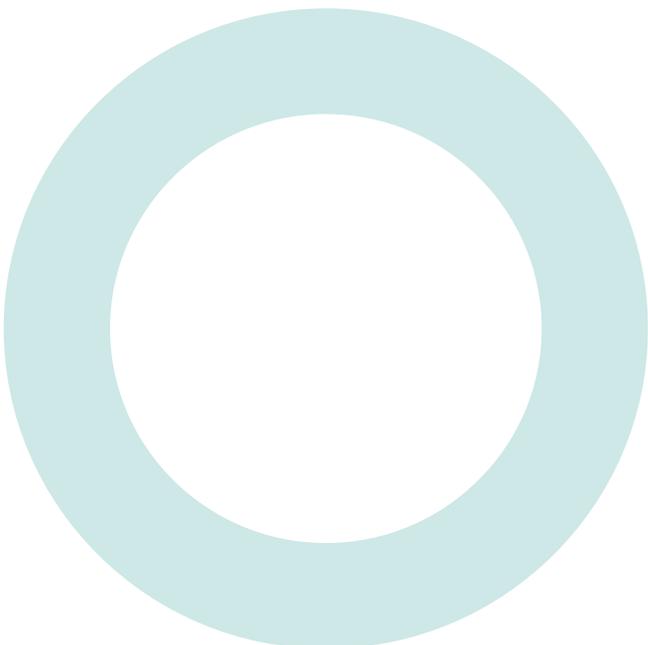
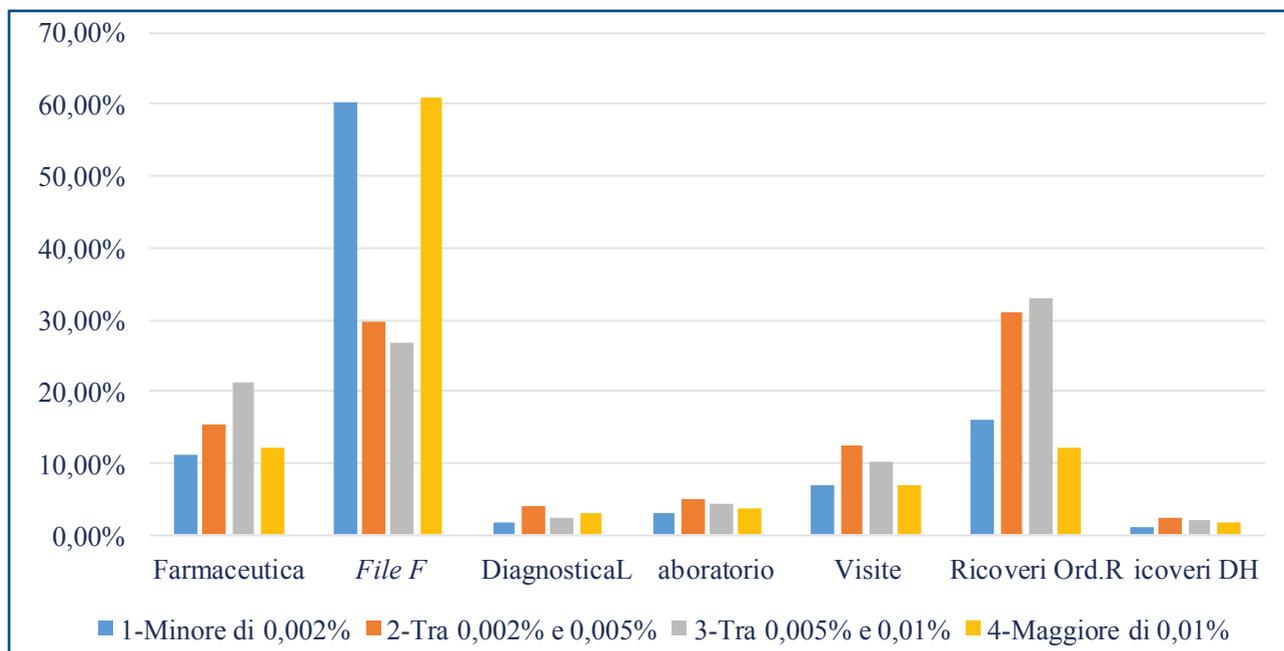
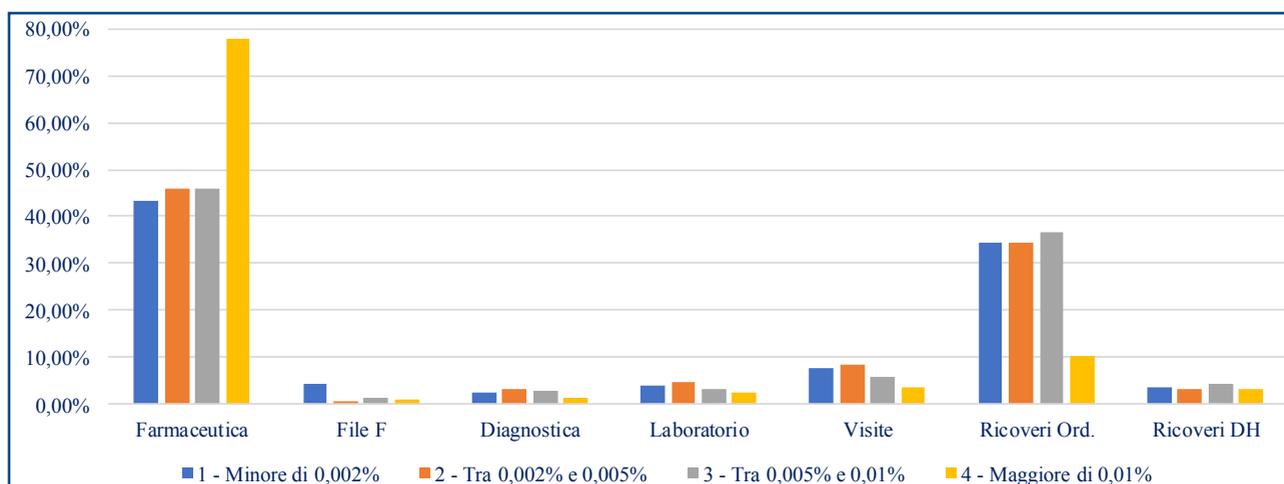


Figura 4.10.
Distribuzione della spesa media annua pro-capite per fascia di prevalenza in Lombardia - Anno 2012 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Lombardia ©OSSFOR

Figura 4.11.
Distribuzione della spesa media annua pro-capite per fascia di prevalenza in Puglia - Anno 2016 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Puglia ©OSSFOR

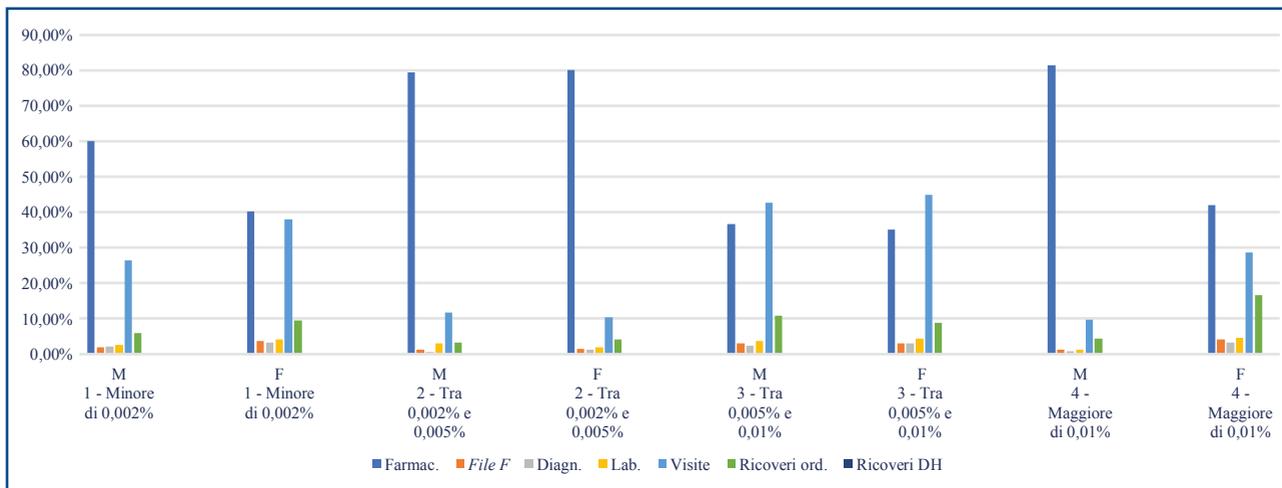
Quanto precede non sembra avere regolarità facilmente intelleggibili, fatto che può essere imputato ai numeri limitati di pazienti e quindi ad una forte variabilità del dato; sarebbe auspicabile poter seguire nel tempo l'evoluzione dei costi per analizzarne le reali determinanti. Anche per patologie afferenti alla stessa fascia di prevalenza, si osservano differenze rilevanti in termini di genere; in particolare in Campania per le condizioni ultra rare, la spesa pro-capite associata ai pazienti maschi è mediamente superiore del 61,4% rispetto a quella media femminile; nella fascia di prevalenza 0,002% e 0,005% la spesa per i maschi è maggiore del 75,9% rispetto a quella delle femmine, in quella tra 0,005%-0,01% del 9,6% e infine in quella >0,01% la differenza arriva al 183,3%.

In Lombardia, per le condizioni ultra rare, la spesa pro-capite associata ai pazienti maschi è mediamente superiore del 58% rispetto a quella media delle femmine; nella fascia di prevalenza 0,005%-0,01% la spesa per i maschi è maggiore del 29% rispetto a quella media per le femmine; nella fascia >0,01% la differenza arriva al 253%, mentre nella classe 0,002%-0,005% la spesa è pressoché omogenea (si realizza addirittura un'inversione, sebbene non significativa, e la spesa media per le femmine risulta maggiore dell'1% rispetto a quella sostenuta per i maschi).

In Puglia si osserva un andamento piuttosto simile: per le condizioni ultra rare, la spesa media pro-capite per i pazienti maschi è mediamente superiore dell'8% rispetto a quella media per le femmine; nella fascia di prevalenza, invece, 0,005%-0,01% la spesa per i maschi è maggiore del 26,3% rispetto a quella media per le femmine; nella fascia >0,01% la differenza arriva al 221,0%, mentre nella fascia 0,002%-0,005% la spesa è più alta per le femmine rispetto ai maschi del 6,7%.

In termini di distribuzione della spesa per fascia di prevalenza e per genere, le maggiori differenze si osservano nella fascia di prevalenza >0,01%; in effetti, in tale fascia, per i maschi viene sostenuta una spesa relativa ai farmaci oltre 10 volte superiore a quella sostenuta per le femmine.

Figura 4.12.
Composizione della spesa media annua pro-capite per fascia di prevalenza e genere in Campania - Anno 2017 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

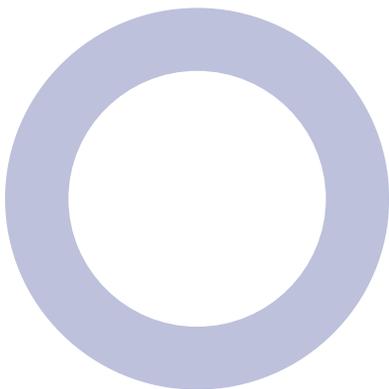
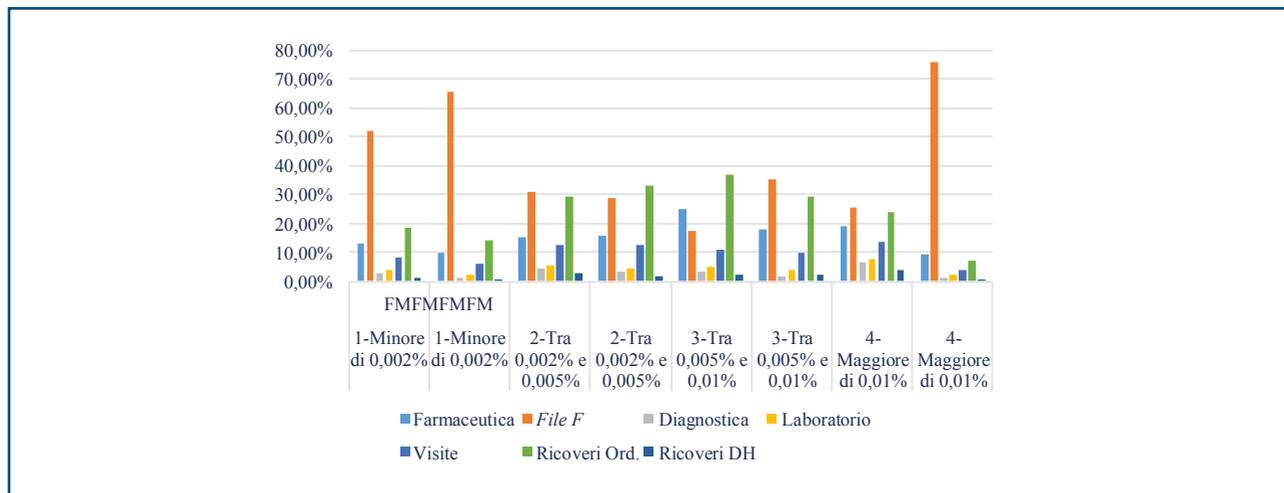


Figura 4.13.
Composizione della spesa media annua pro-capite per fascia di prevalenza e genere in Lombardia - Anno 2012 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Lombardia ©OSSFOR

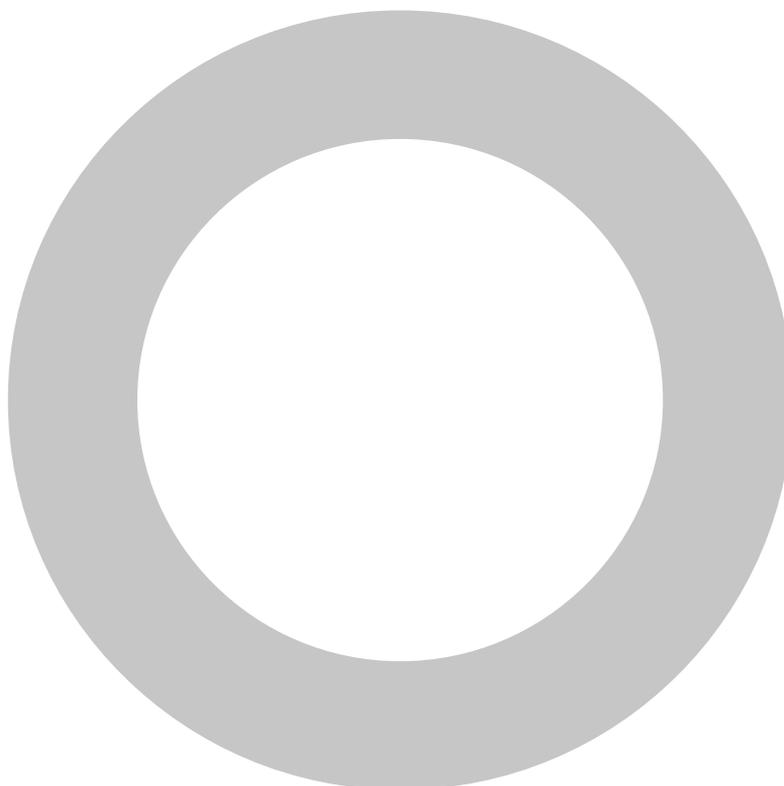
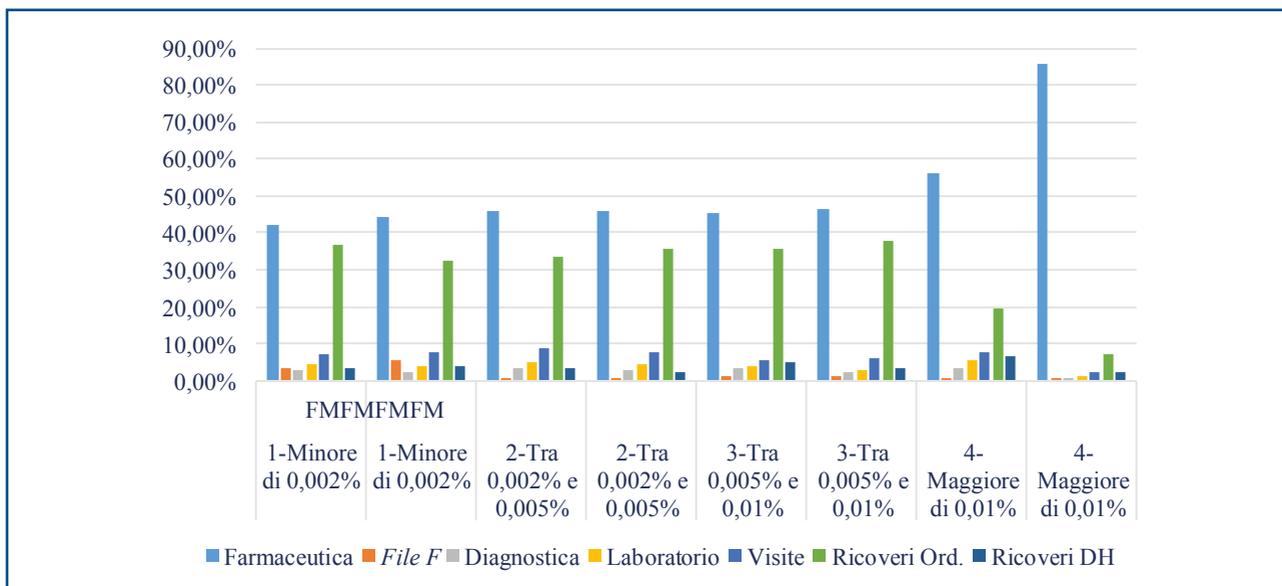


Figura 4.14.

Composizione della spesa media annua pro-capite per fascia di prevalenza e genere in Puglia - Anno 2016 - Esenzioni allegato 1 al DM 279/2001



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Puglia ©OSSFOR

4.3. I costi dei MR secondo i nuovi LEA

In questo paragrafo si analizzeranno i dati di spesa relativi al complesso delle esenzioni per MR nella Regione Campania (unica della quale si dispone del dato) come definite dal Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri del 12.1.2017, ovvero comprensiva anche della spesa per le esenzioni introdotte dai nuovi LEA

La spesa media per malato raro, comprendente quella per i farmaci erogati dalle farmacie convenzionate e quelli del File F, quella per esami diagnostici, di laboratorio, visite, ricoveri ordinari e *day hospital (DH)* in Campania risulta ammontare a € 5.469,2; con i *caveat* relativi alla presumibile sottostima dei casi registrati nei database della Regione Campania, l'onere per il SSR sarebbe equivalente a € 97,3 mln. pari allo 0,9% della spesa regionale.

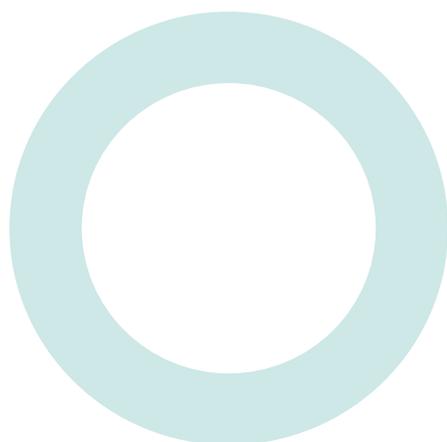
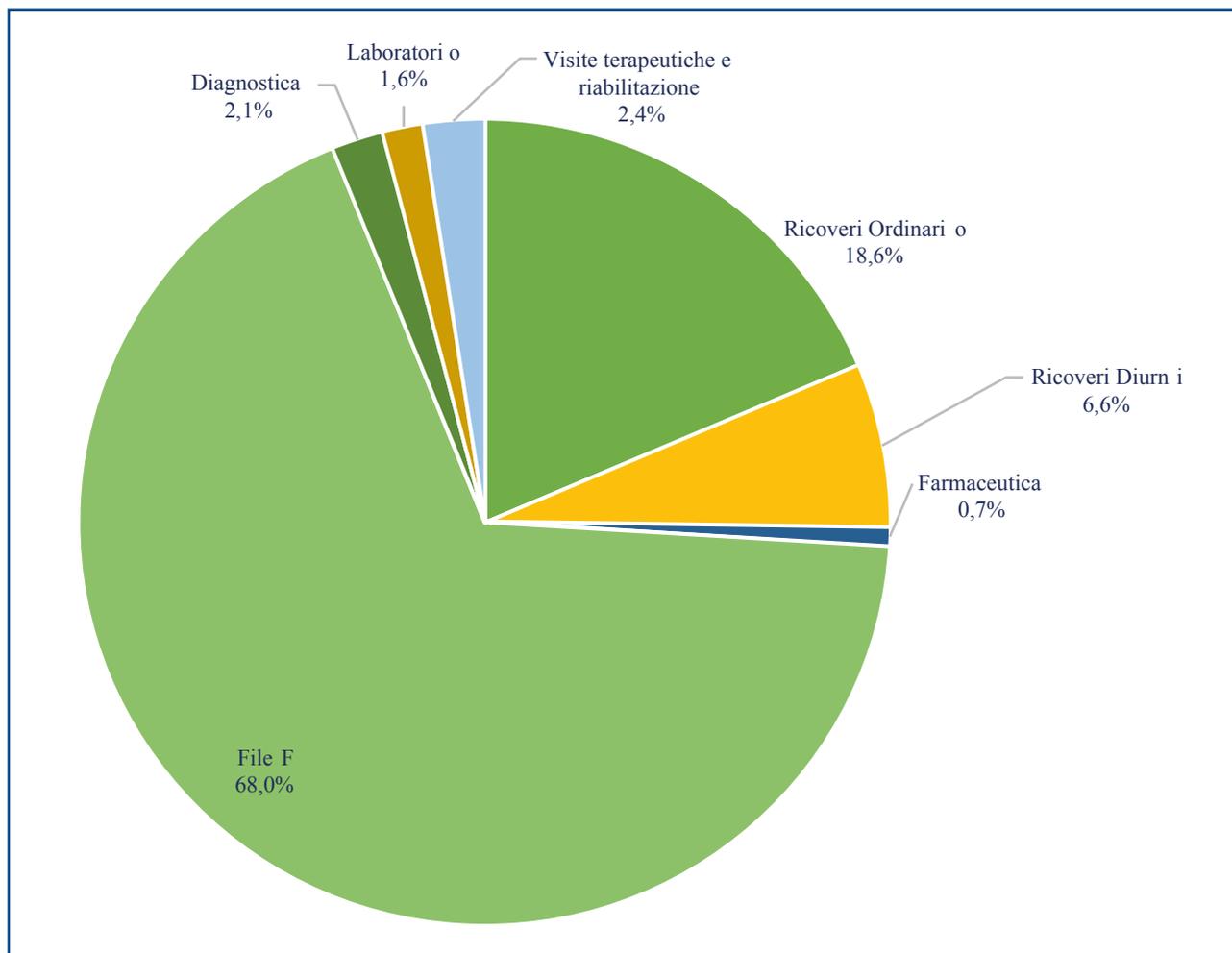


Figura 4.15.
Composizione della spesa per i malati rari - Campania - Anno 2017 - esenzioni DPCM 12 gennaio 2017



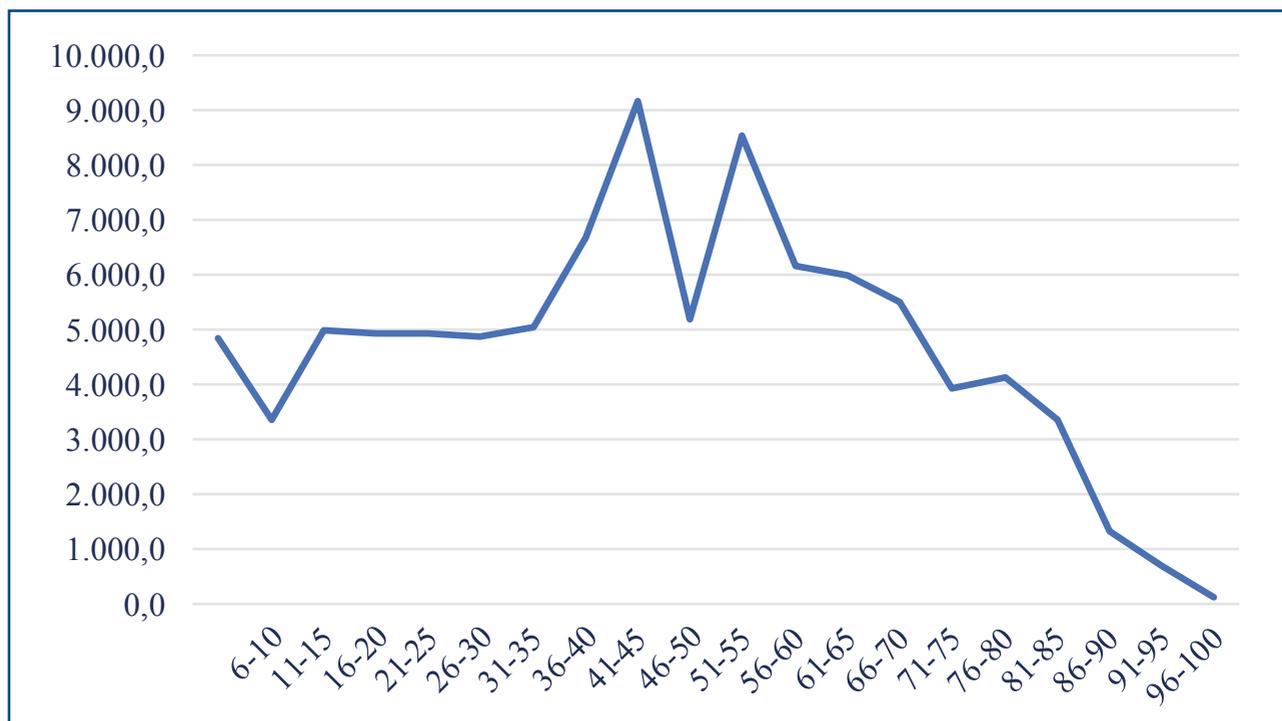
Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

La spesa dominante è quella per farmaci pari al 68,7% della spesa complessiva, segue la spesa per ricoveri ordinari pari al 18,6% della spesa complessiva, quella per ricoveri diurni (6,6% della spesa dei MR); la spesa per visite terapeutiche e riabilitazione rappresenta il 2,4% della spesa complessiva mentre quella per diagnostica e laboratorio rispettivamente il 2,1% e 1,6%.

La spesa media pro-capite risulta più alta tra i 41 e i 45 anni e tra i 51-55 anni mentre risulta nettamente più bassa tra i 6 e i 10 anni, età in cui le patologie che si manifestano in tenera età tendono a stabilizzarsi.

Figura 4.16.

Spesa pro-capite per età - Campania - Anno 2017 - esenzioni DPCM 12 gennaio 2017



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

Nell'aggregato complessivo dei malati rari si confermano le differenze di genere: i maschi assorbono il 67,8% del totale spesa dei malati rari contro il 32,2% delle femmine. Nello specifico la spesa pro-capite media dei maschi è 1,9 volte quella delle femmine.

Il 75,2% della spesa dei MR di genere maschile viene assorbita dalla spesa farmaceutica mentre tale voce di spesa assorbe solo il 55,0% nel genere femminile.

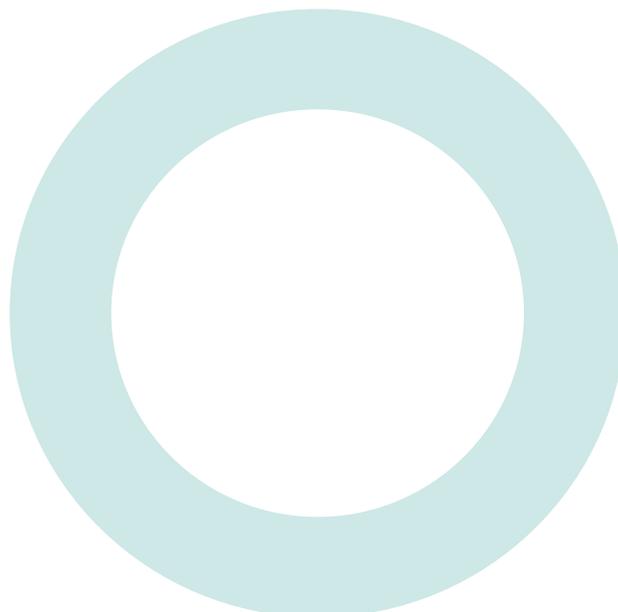
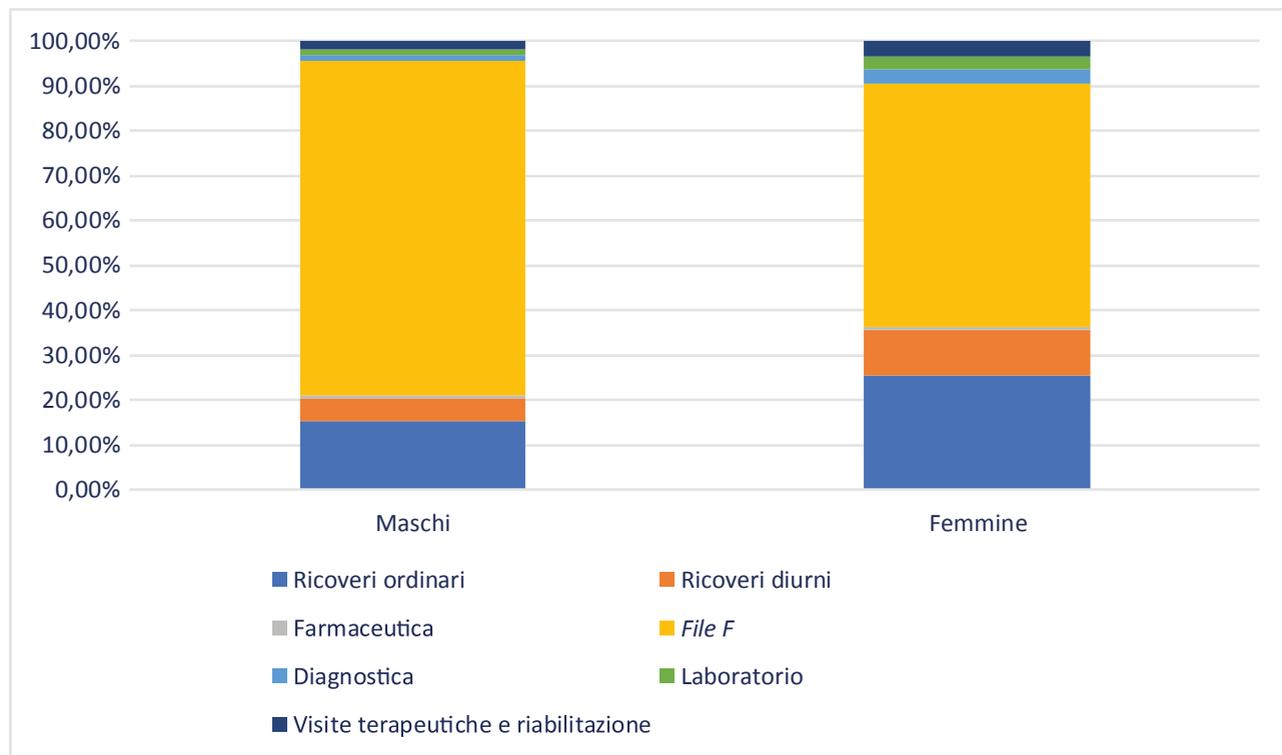


Figura 4.17.
Spesa pro-capite per genere - Campania - Anno 2017 - esenzioni DPCM 12 gennaio 2017



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

Ancora in Campania per il nuovo aggregato dei malati rari si rileva un differenziale di 19,2 volte tra la categoria diagnostica di maggiore assorbimento (Malattie del sangue e degli organi ematopoietici) e quella a minor assorbimento di risorse in termini di spesa media pro-capite (paziente con tumori rari).

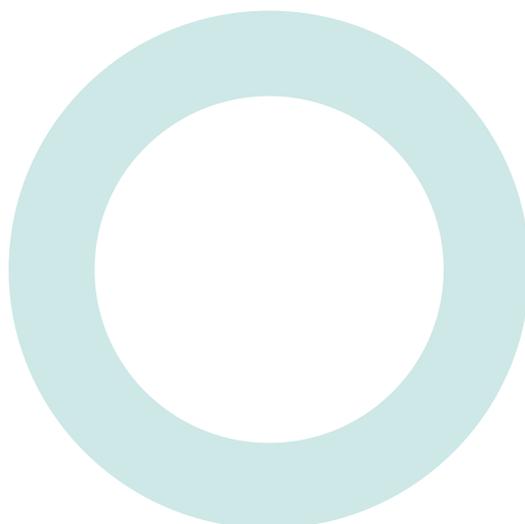
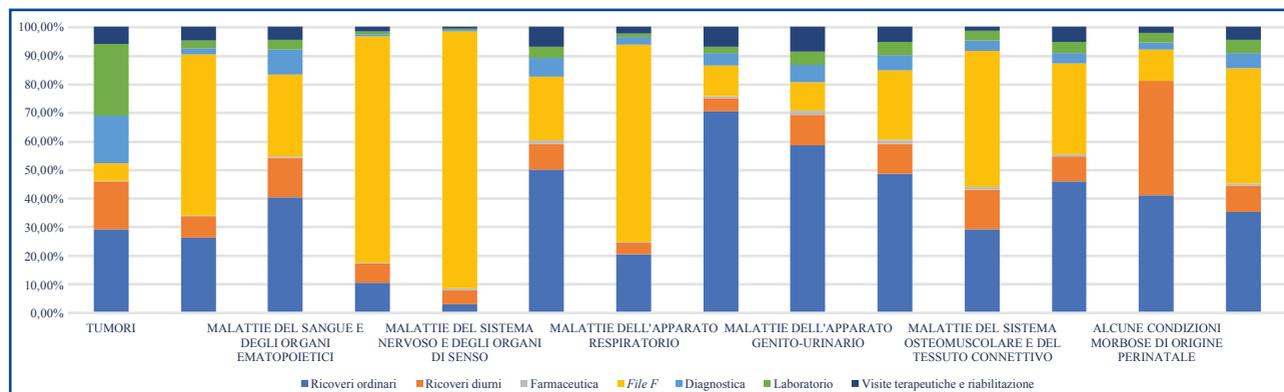


Figura 4.18.
Composizione della spesa pro-capite per categoria diagnostica - Campania - Anno 2017 - esenzioni DPCM 12 gennaio 2017

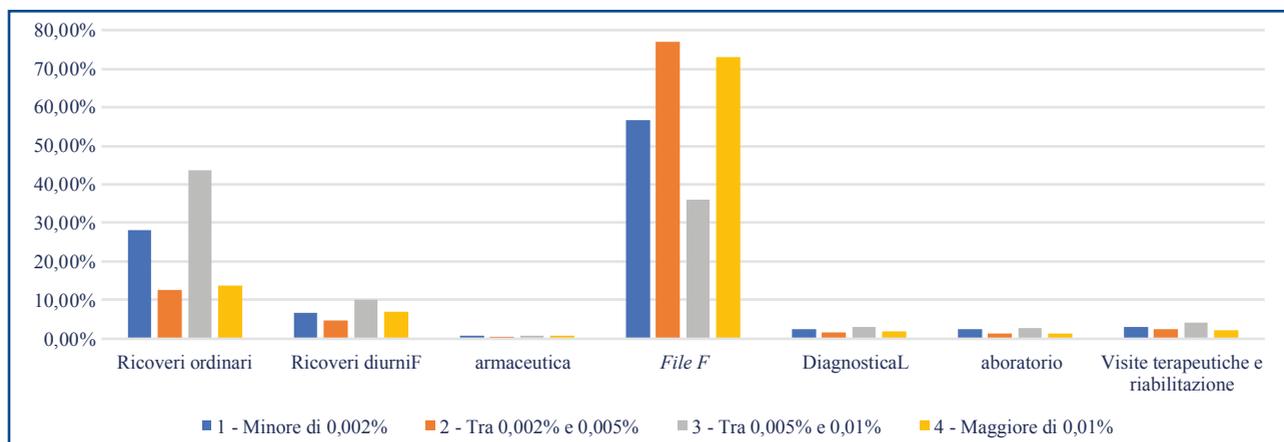


Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

Dall'analisi per classe di prevalenza si conferma come questa incida notevolmente sulla spesa media.

La classe che assorbe in media maggiori risorse (€ 7.207,9) è quella tra 0,002% e 0,005%, segue la classe >0,01% con una spesa media pro-capite pari a € 5.616,2, quella degli ultra rari (€ 4.890,8) mentre la classe che in media assorbe meno risorse è quella tra 0,005% e 0,01% con una spesa media pari a €3.181,9 pro-capite.

Figura 4.19.
Composizione della spesa pro-capite per classi di prevalenza - Campania - Anno 2017 - esenzioni DPCM 12 gennaio 2017



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

Nello specifico le classi con spesa media più elevata hanno una maggiore incidenza della spesa farmaceutica: 77,4% nella classe 0,002% e 0,005% e 74,4% nella classe > di 0,01%. Nella classe dei pazienti ultra rari la spesa farmaceutica incide per il 57,4% sulla spesa media della classe e in quella 0,005% e 0,01% solo per il 36,6%.

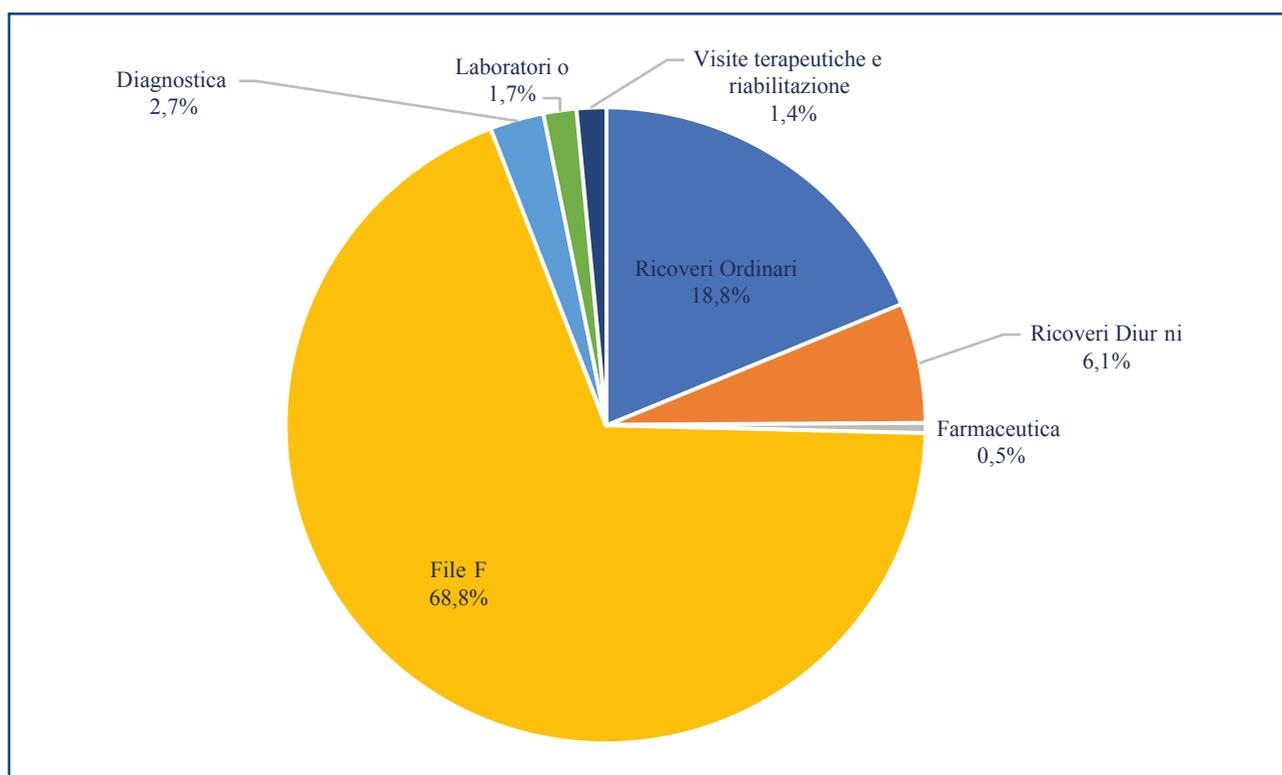
4.4. Identikit dei nuovi malati rari

Come anticipato nel Capitolo 2, in Campania sono stati riconosciuti 1.141 soggetti portatori delle “nuove esenzioni” per MR, pari al 6,4% del totale dei pazienti esenti per MR.

Questi soggetti assorbono una spesa pari a € 7,5 mln. pari al 7,7% del totale spesa dei MR totali (inclusi quelli riconosciuti con i nuovi LEA) e allo 0,1% della spesa regionale.

La spesa media pro-capite dei nuovi MR è pari a € 6.749,1 valore maggiore di € 1.280,0 rispetto alla media dei soggetti con MR.

Figura 4.20.
Composizione della spesa per i nuovi MR - Anno 2017 - Nuovi LEA

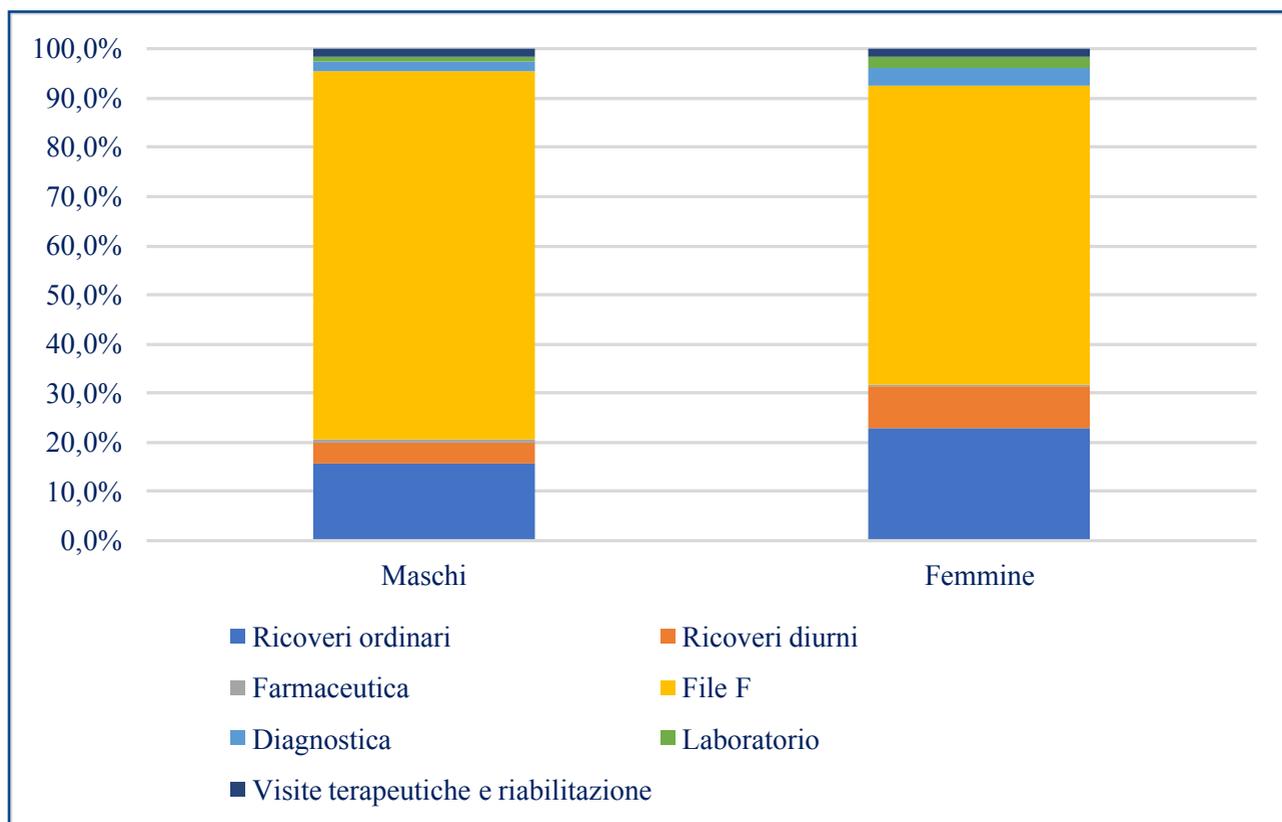


Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

La spesa dei nuovi MR continua ad essere maggiormente concentrata sul genere maschile: il 56,3% del totale spesa dei nuovi esenti contro il 43,7% di quello femminile. Nello specifico la spesa pro-capite è pari a € 8.294,6 per i maschi e a € 5.441,4 per le femmine.

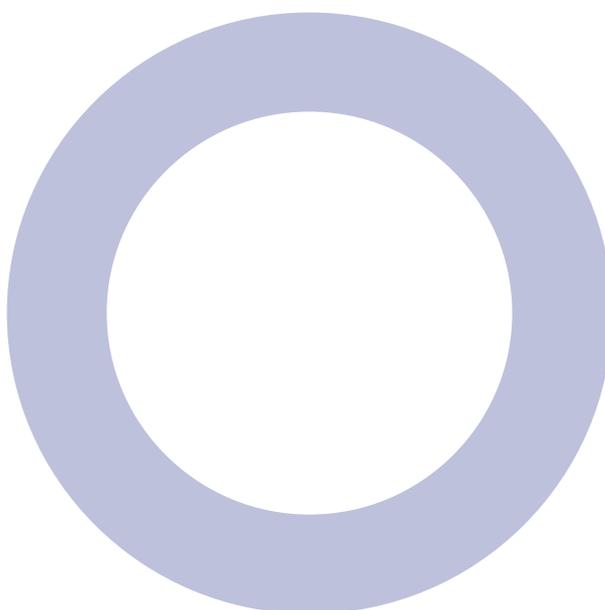
La voce che assorbe maggiori costi è, sia per i maschi che per le femmine, la farmaceutica: 75,4% per i maschi e 61,4% per le femmine.

Figura 4.21.
Composizione della spesa per i nuovi MR - Anno 2017 - Nuovi LEA



Fonte: elaborazione su dati amministrativi Regione Campania ©OSSFOR

I nuovi malati rari, come anticipato si concentrano nelle prime due fasce di prevalenza: il costo pro-capite è pari a € 7.727,6 per i nuovi pazienti ultra rari e a € 5.343,1 per i nuovi pazienti rari appartenenti alla classe di prevalenza tra 0,002% e 0,005%. La spesa dei pazienti ultra rari recentemente riconosciuti eccede quindi quella della media dei pazienti ultra rari del 58,0%, ovvero di € 2.836,8.



4.5. Conclusioni

Dalle analisi sopra presentate emerge che la spesa media annua (comprendente farmaceutica convenzionata e in File F, diagnostica, laboratorio, visite, ricoveri ordinari e DH) per malato raro, nei campioni analizzati, è compresa tra € 4.216,9 e € 5.384,5.

Pur con i caveat più volte espressi nel capitolo, derivanti dai limiti dell'analisi e dalle differenze nelle basi dati e nell'organizzazione delle tre Regioni, si possono riscontrare alcune importanti regolarità e alcune differenze che necessiteranno, nel futuro, maggiori approfondimenti.

Fra le regolarità, osserviamo che le voci predominanti di costo sono, come era lecito aspettarsi, quelle per l'assistenza farmaceutica (oltre il 60% del costo totale) e per i ricoveri (circa il 20% del costo totale).

La spesa media annua pro-capite dei malati rari è più alta al momento della certificazione dell'esenzione, si riduce in età adulta per poi incrementarsi nuovamente in età anziana, quando alla patologia rara si affiancano, presumibilmente, altre problematiche di salute.

Guardando, poi, alle differenze di genere è emerso come le risorse assorbite dal genere maschile siano decisamente maggiori rispetto a quelle assorbite da quello femminile (oltre il 60% del totale risorse per malati rari è attribuibile al genere maschile).

La variabilità della spesa media per soggetto esente per malattia rara è notevole anche a livello di singole Aziende Sanitarie con un differenziale superiore alle 2 volte.

La categoria dei pazienti con condizioni ultra rare, oltre a distinguersi da un punto di vista epidemiologico, in Lombardia sembra farlo anche dal punto di vista economico, risultando una spesa media significativamente superiore alla media. Questa evidenza non trova conferma nelle Regioni Campania e Puglia, dove la spesa media pro-capite dei pazienti con condizioni ultra rare è invece inferiore alla media dei pazienti: sarà interessante replicare le analisi nel futuro per comprendere se tale risultato sia frutto del caso (trattandosi di patologie rare e quindi piccoli numeri, le differenze nelle analisi per sottogruppi sono caratterizzate da elevata variabilità) o abbia determinanti spiegabili.

Il dato sulle patologie ultra rare è peraltro verosimilmente sottostimato: bisogna infatti considerare come alcune malattie ultra rare siano codificate all'interno di gruppi e non sia possibile effettuare una analisi puntuale disponendo dei soli dati amministrativi.

Il riconoscimento di nuove esenzioni ha portato ad un lieve incremento della spesa media pro-capite di € 75,9 pro-capite. La spesa rimane comunque concentrata sul genere maschile e nelle età della certificazione delle esenzioni.

Guardando nello specifico i "nuovi casi" emerge come questi assorbano il 7,7% del totale della spesa dei malati rari, e che la loro spesa media pro-capite è maggiore del 23,4% ovvero di € 1.280,0 rispetto alla media dei soggetti con MR. Analogamente per il campione di nuovi malati ultra rari la spesa eccede quella della media dei malati ultra rari.

