

UTILIZZAZIONE DEGLI OUTCOME
DI EFFICACIA COME
STRUMENTO DI VALUTAZIONE
DEI TRATTAMENTI A LUNGO
TERMINE

Dott. Gaetano Interlandi, 2004

La valutazione e l'utilizzazione degli outcome nella pratica clinica riferita ai pazienti psichiatrici gravi è tematica complessa e dagli aspetti molteplici. In questa relazione farò riferimento agli studi epidemiologici, più importanti a mio avviso, sull'outcome, sussumendo come patologia paradigmatica delle psicosi gravi la Schizofrenia.

- Gli studi di **Outcome**, termine inglese che significa risultato o esito, riguardano la valutazione dell'esito degli interventi che i servizi sanitari effettuano.
- Nei Servizi di Salute Mentale bisogna distinguere **tre livelli di valutazione**:
 - a) quello del **trattamento** (la valutazione di uno specifico intervento, ad es. farmacologico);
 - b) quello del **programma** (la valutazione dell'effetto combinato di diversi tipi di intervento);
 - c) quello del **sistema** (la valutazione degli esiti dei vari progetti che un DSM realizza nei confronti dei pazienti di un'area geografica ben definita che sono oggetto della valutazione (Slade, 2002)).
- Negli ultimi anni l'attenzione dei ricercatori si è spostata dalle valutazioni quantitative di **processo** alla valutazioni qualitative di **esito**. Questo cambiamento ha interessato sia il livello individuale, gli studi sui pazienti, sia il livello locale, gli studi sui servizi. (Tansella e Thornicroft, 1998, 1999).
- In psichiatria tale cambiamento sta avvenendo in maniera più lento, soprattutto per quanto riguarda le ricerche valutative sui servizi dove le misure di processo (Quanti ricoveri? Quanti posti letto? Quante visite ambulatoriali? Quanti pazienti in trattamento?) hanno prevalso sulle misure di esito, peraltro ancora molto grossolane (Quanti i pazienti migliorati? Quanti i pazienti peggiorati, quanti i deceduti?).

- La valutazione dell'outcome nei Servizi di Salute Mentale è più difficile che in altri contesti e ciò perchè le variabili che possono interferire con gli esiti sono molteplici e spesso di difficile valutazione. Alcuni autori hanno recentemente proposto un sistema di valutazioni scientifiche degli interventi sanitari e socio assistenziali complessi, ritenendo che lo studio clinico controllato randomizzato (RCT) non sia, da solo, sufficiente (Campbell et al., 2000; Ruggeri e Dall'Agnola, 2000; etc.).

Panoramica storica degli studi di esito sulla schizofrenia in ambito internazionale e nazionale

Gli studi longitudinali di esito riguardanti la Schizofrenia sono stati recentemente così raggruppati da alcuni autori (Lasalvia, Ruggeri, 2003):

- Studi longitudinali retrospettivi di “Prima generazione” (Studio di M. Bleuler, 1974, di Huber, 1975, di Luc Ciompi, 1980, etc.);
- Studi longitudinali retrospettivi di “Seconda generazione” (Studio di Nyman e Jonsson, Vermont longitudinal study, NIMH Longitudinal study of chronic Schizophrenia, etc.);
- Studi longitudinali prospettici (Studio di Shepherd et al. (1989), the Scottish First Episode Schizophrenia Study (1988, 1989, 1992), etc.);
- Studi promossi dall’OMS:
International Pilot Study of Schizophrenia (IPSS) (1973);

- Determinants of Outcome of Severe Mental Disorders (DOSMeD), Sartorius et al, 1986; Jablensky et al., 1992;
- Reduction and Assessment of Psychiatric Disability (RAPyD), Jablensky et al, 1980;
- International Study of Schizophrenia (ISoS), Sartorius et al., 1996; etc.

Gli studi catamnesticici a lungo termine di “Prima generazione” sono stati effettuati in era pre-neurolettica e hanno avuto un ruolo rilevante in quanto hanno contribuito a sfatare il mito della ineluttabile evoluzione della schizofrenia verso il quadro grave della difettualità o demenza.

Gli studi longitudinali retrospettivi di “Seconda generazione”, effettuati in era post-neurolettica, pubblicati negli anni 80, sono stati condotti con criteri metodologici più rigorosi e hanno confermato l’eterogeneità del decorso e dell’esito dei pazienti schizofrenici.

Gli studi longitudinali prospettici sono apparsi nella seconda metà degli anni 80 con una metodologia molto rigorosa; si tratta di studi di esito a breve e medio termine, con un follow-up della durata media di 5-10 anni.

Tra gli studi promossi dall’OMS, l’IPSS, a cui hanno partecipato nove centri situati sia in paesi industrializzati che in via di sviluppo, reclutando 1200 pazienti, ha avuto il merito di aver dimostrato da una parte che la schizofrenia è un disturbo a diffusione ubiquitaria, che presenta caratteristiche cliniche sovrapponibili nei diversi contesti geografici e sociali e dall’altra parte che il decorso e l’esito è influenzato da fattori culturali e sociali.

Studi di esito sulla schizofrenia condotti in Italia

I primi studi di esito riguardanti la Schizofrenia in Italia sono stati pubblicati negli anni '80 con l'obiettivo prioritario di documentare l'influenza che il nuovo modello di assistenza territoriale aveva avuto sugli utenti.

- Patterns assistenziali e outcome psicosociali in pazienti schizofrenici. Studio prospettivo triennale, Starace et al., 1988;
- Follow-up a 14 anni in un campione di pazienti schizofrenici del DSM di Trieste, Dell'Acqua et al., 1999;
- Service utilisation, social support and psychiatric status in a cohort of patients with schizophrenic psychoses. A 7 year follow-up study, Faccincani et al., 1990;
- Psychopathology and social performance in a cohort of patients with schizophrenic psychoses. A seven –year follow-up study, Mignolli et al., 1991;
- Decorso clinico e disabilità sociale nella schizofrenia. Risultati di uno studio catamnestico, Carpinello et al, 1995;

Dagli studi di esito fatti in Italia, prima citati, emergono alcuni dati importanti riguardo alla situazione specifica dell'assistenza territoriale realizzata in Italia a partire dal 1978.

Nel primo studio, che ha coinvolto i centri di Trieste, Verona, Arezzo, Napoli, Cetraro e Cagliari. E' stata reclutata una coorte di 141 pazienti schizofrenici, valutati ogni 6 mesi nel corso di tre anni ed è stato rilevato un decremento dei livelli di psicopatologia e di disabilità inversamente correlato al numero di contatti ambulatoriali e di visite domiciliari ricevute, cioè l'esito clinico e sociale dei pazienti era tanto più favorevole quanto più interventi ambulatoriali e domiciliari questi ultimi avevano ricevuto.

La coorte reclutata al centro di Trieste, rivalutata a distanza di 14 anni, aveva presentato i seguenti dati:

Il 71% del campione non aveva subito alcun ricovero nei 2 anni precedenti il follow-up, il 18% aveva subito un ricovero e soltanto l'1% più di un ricovero. Riguardo al decorso il 23% non aveva presentato sintomi di tipo psicotico negli ultimi due anni, il 18% aveva presentato un decorso episodico, un ulteriore 23% un decorso non precisamente caratterizzabile.

Il 60% dei pazienti presentava soddisfacenti condizioni di adattamento sociale e l'82% appariva in grado di vivere autonomamente nella comunità.

Tali dati sono in buona parte in accordo con i risultati dello studio di Verona Sud dove è emerso il ruolo fondamentale del livello di supporto sociale per l'esito psicosociale. E' emerso, infatti, che il livello di sintomatologia e di disabilità è strettamente correlato al supporto sociale: più elevato è il supporto sociale avuto dai pazienti, minore è il livello di gravità sintomatologica e di compromissione del funzionamento.

Valutazione sintetica dei dati emersi dagli studi di esito sulla schizofrenia

Dai numerosi studi di esito emergono le seguenti caratteristiche della schizofrenia:

- Presenta un'ampia eterogeneità prognostica, sia a breve che a lungo termine;
- Presenta un'esito favorevole con una più o meno restitutio ad integrum in circa il 25% dei casi;
- Presenta un buon adattamento sociale con una vita di relazione sufficientemente adeguata in circa il 50% dei casi;
- Presenta un esito sfavorevole in circa il 20% dei casi.
- L'evoluzione della malattia appare un processo complesso e non unitario in cui il decorso e l'esito risultano influenzati da numerose variabili sia di tipo sociodemografico che di tipo clinico.

- Le nuove ricerche di esito riguardanti la schizofrenia sono orientate nella direzione di un approccio multidimensionale e multiassiale che integri la valutazione della dimensione clinica e di funzionamento sociale con una serie di altre variabili di cui è emersa la notevole importanza nel condizionare il decorso e l'esito (la qualità della vita, i bisogni di cura, le esperienze soggettive dei pazienti, etc.);
- Dalla letteratura emerge che i pazienti colpiti da schizofrenia possiedono una qualità della vita peggiore rispetto alla popolazione generale, e ciò può essere attribuito alle precarie condizioni economiche, alla mancanza di un'occupazione stabile e di una rete sociale di supporto. I pazienti che vivono in ambienti che favoriscono una maggiore autonomia (supporto, lavoro, integrazione sociale) hanno una qualità della vita migliore rispetto ai pazienti ospedalizzati o ricoverati in strutture con alto grado di protezione (24 ore su 24 ore).
- Riguardo ai bisogni di cura, i pazienti schizofrenici presentano un elevato numero di bisogni sia di natura clinica che sociale. I bisogni di tipo sociale nella maggior parte dei casi tendono a restare insoddisfatti.

(Lasalvia, Ruggeri, 2003)

Metodi utilizzati nella valutazione clinica

- Studi clinici controllati randomizzati (SCCR);
- Studi clinici controllati non randomizzati (SCCNR) e gli studi quasi –sperimentali;
- Studi naturalistici di esito condotti in situazioni di routine, che utilizzano misure di outcome standardizzate e di provata validità(Pratica clinica strutturata-PCS;
- Le osservazioni condotte nella pratica clinica non strutturata (PCNS).

(Tansella M., 2000)

Bisogna distinguere l'efficacia teorica (**efficacy**) dall'efficacia nella pratica (**effectiveness**).

La prima valuta la capacità di un intervento sanitario di produrre il risultato atteso a livello sperimentale, mentre la seconda valuta la capacità di un intervento sanitario di produrre il risultato atteso nella realtà quotidiana dei servizi. L'efficacy è effettuata attraverso studi clinici controllati per stabilire l'efficacia terapeutica di determinati farmaci, ***l'effectiveness si avvale in genere di studi di esito*** che valutano contemporaneamente il risultato di più variabili (terapie, interventi psicosociali, etc.), e si avvale della metodologia utilizzata negli studi naturalistici di esito.

Modello multidimensionale e multiassiale

Gli studi di outcome o di esito in ambito psichiatrico sono insoddisfacenti sia dal punto di vista quantitativo che qualitativo. Non esiste, infatti, un modello di misurazione condiviso e i pochi studi di valutazione dell'efficacia degli interventi sono caratterizzati da riduttivismo e semplicismo rispetto alla complessità e molteplicità delle variabili in gioco. La maggioranza dei ricercatori nell'ultimo decennio però è concorde sull'utilizzo del modello multidimensionale per la valutazione degli esiti dei trattamenti di pazienti con patologie psichiatriche gravi, disabilitanti e di lunga durata.

(Attkinson et al., 1992; Ruggeri e Tansella, 1994; Mechanic, 1996; Srebnik et al., 1997; etc.)

Dimensioni considerate negli studi di valutazione di esito:

- Psicopatologia;
- Abilità sociali;
- Qualità della vita (fisica, psicologica, sociale);
- Soddisfazione nei confronti del Servizio;
- Bisogni di cura;
- Carico familiare.

Oltre alla multidimensionalità alcuni autori hanno considerato nelle loro ricerche di esito anche la valutazione multiassiale, che tiene cioè conto nell'analisi dei risultati anche del punto di vista di tutti quelli che sono coinvolti e partecipano al processo di cura:

- Staff curante;
- Paziente;
- Famiglia;
- Rete sociale.

L'approccio multiassiale appare fondamentale nel contesto territoriale dove quotidianamente avviene un'interazione molto stretta tra operatori, pazienti e familiari. (Attkinsson et al., 1992; Ruggeri e Tansella, 1995; Ruggeri, 1996).

Un elemento da considerare nel valutare gli esiti è quello del **carico familiare**, sia **soggettivo** (quanto incide l'assistenza continuativa e ravvicinata sul benessere psicofisico dei familiari in termini di ansia, depressione, preoccupazione, paura, senso di colpa, aggressività, etc.) che **oggettivo** (lavoro, restrizioni varie, aggravio di spese).

Valutazioni soggettive

Vari autori (Strauss, 1992; Sternai, 1995; Schwartz et al., 1997) considerano importante ai fini della valutazione degli esiti la rilevazione sistematica delle esperienze soggettive (vissuti) degli utenti dei servizi di salute mentale. Il considerare le persone come soggetti che hanno, in parte, un'influenza sulla propria malattia permette di vedere i processi psicologici lungo un continuum in cui tra normalità e patologia non c'è una reale frattura.

Sono gli stessi pazienti a rivelarci l'illusorietà del tentativo di farli rientrare in categorie diagnostiche rigide ed arbitrariamente definite (Strauss, 1992).

Il rischio che si corre nella valutazione degli esiti in psichiatria è quello di una misurazione e quantificazione che ignori la complessità, la profondità e la ricchezza del mondo del paziente (Van Praag, 1992)

Il considerare anche il punto di vista dell'utente, secondo la prospettiva del modello multidimensionale e multiassiale, sta diventando sempre più centrale in psichiatria allo scopo di indagare ambiti diversi che vanno, poi correlati tra di loro al fine di comprendere meglio tale complessità e di poter individuare i migliori predittori di esito.

Al fine di rendere **oggettivabile** l'opinione degli utenti sono stati proposti e utilizzati diversi strumenti:

- L'intervista semistrutturata (Ricketts e Kirschbaur, 1994; Sternai, 1995);
- Questionari autocompilati (Mester e Gonen, 1992);
- Questionari a scelta multipla autosomministrati (Gater et al., 1994; Priebe e Gruyters, 1995; etc.)

Recentemente, sull'onda dell'importanza che gli studi di valutazione dell'esito hanno sia per i servizi ma anche per gli amministratori se fatti di routine (Ellwood, 1988), si sta progressivamente affermando in psichiatria la consapevolezza di poter utilizzare nella pratica clinica routinaria altre metodologie di valutazione dell'esito, oltre a quelle dell'epidemiologia classica, che tengano conto di due aspetti:

- Pianificare le valutazioni in modo da raccogliere informazioni di effettiva rilevanza clinica;
- Fare in modo che queste informazioni rilevanti abbiano una ricaduta sulla pratica clinica.

L'attenzione si è spostata dal “**Driven Outcome Assessment**” (DOA), valutazione fatta da valutatori esterni che hanno effettuato un training, al “**Routine Outcome Assessment**” (ROA), valutazione fatta dagli stessi operatori del servizio, dove l'elemento chiave è rappresentato dalla fattibilità nella pratica clinica di routine.

Il cambiamento di prospettiva, dal DOA al ROA viene considerato da alcuni autori come un <<**nuovo paradigma**>> (Eisen e Dickey, 1996), destinato a determinare cambiamenti significativi in ambito psichiatrico; l'idea cruciale è rappresentata dal fatto che tutti i clinici possono effettuare valutazioni di esito con i propri pazienti nella pratica clinica giornaliera.

I criteri essenziali da soddisfare a tal fine sono due:

- Semplicità degli strumenti da somministrare;
- Gli strumenti devono indagare contenuti significativamente rilevanti sul piano clinico.

A tal fine ci sono due possibilità:

- la messa a punto di strumenti che abbiano queste caratteristiche (Wing et al., 1998);
- La selezione degli strumenti che già si utilizzano nell'ambito della ricerca che abbiano queste caratteristiche o da adattare.

Il progetto outcome di verona sud

- Si tratta di uno studio epidemiologico di routine outcome assesment (ROA), cioè uno studio naturalistico longitudinale condotto dagli stessi operatori del servizio territoriale nella pratica clinica routinaria con lo scopo di valutare l'esito del trattamento erogato agli utenti;
- E' uno studio multidimensionale (valuta diverse variabili correlate all'esito quali, variabili sociali, sulla qualità della vita , sull'interazione con il servizio, etc..) e multiassiale (valuta tutte le persone coinvolte nel processo di cura, clinici, pazienti, familiari). Il gruppo di Verona ha elaborato la VSSS-54, una scala costituita da 54 item-32 nella versione breve- che valuta la soddisfazione dei pazienti e dei familiari nei confronti del servizio.
- Lo studio è tuttora in corso, ma dai risultati conseguiti conferma che una valutazione routinaria dell'esito è fattibile e fornisce un contributo utile alla valutazione e pianificazione del servizio.

(Ruggeri et al, 2000)

Prima di concludere farò un breve riferimento a due studi internazionali di esito, lo studio Mecca (Priebe et al., 2002) e lo studio Epsilon (Becker et al., 1999).

- Questi studi sono stati condotti e organizzati al fine di colmare la lacuna dei precedenti studi longitudinali di esito che avevano focalizzato l'attenzione principalmente sugli aspetti clinici del disturbo, trascurando una valutazione sistematica degli aspetti sociali, le correlazioni degli esiti clinici e sociali con le caratteristiche dell'assistenza erogata dai servizi di salute mentale e tralasciando le indagini relative alla percezione soggettiva dei pazienti.

- Lo studio Mecca è un trial controllato e randomizzato a cluster, che si realizza nei servizi di salute mentale della comunità, che segue lo stesso protocollo in tutti i gruppi di ricerca in 6 paesi europei (Regno Unito, Germania, Svezia, Svizzera, Spagna e Paesi Bassi).
- Nel gruppo sperimentale la qualità soggettiva di vita, la soddisfazione per il trattamento e il desiderio di differenti o ulteriori aiuti sono valutati in incontri tra l'operatore chiave e i pazienti ogni due mesi con l'intenzione di rivedere il rapporto terapeutico e le decisioni del trattamento.
- Il trial valuta l'ipotesi che l'intervento sperimentale, comparato alle migliori pratiche terapeutiche usuali, porterà a migliori esiti in termini di qualità della vita e di altri indicatori in pazienti con disturbi psicotici nel periodo di un anno.

(S. Priebe et al., 2002)

Lo studio Epsilon (European Psychiatric Services: Input Linked to Outcomes and Needs)

- E' uno studio multicentrico riguardante un ampio campione di pazienti schizofrenici in carico ai servizi di salute mentale dei cinque paesi europei partecipanti e indaga alcune importanti variabili psicosociali di esito: bisogni di cura, qualità della vita, soddisfazione nei confronti dei servizi e carico familiare; valuta, inoltre, le correlazioni di tali variabili con le risorse impiegate, le caratteristiche organizzative e i pattern di utilizzazione dei servizi di salute mentale. (Thornicroft et al., 2000)
- E' uno studio multidimensionale e multiassiale in quanto oltre a valutare i classici indicatori clinici della psicopatologia e del funzionamento globale, valuta aspetti più soggettivi dell'esperienza sia dei pazienti che dei familiari

Considerazioni finali

- Il D.Lgs 502/92 e il D.Lgs 517/93 prevedono << in via ordinaria il metodo della verifica e revisione della qualità e quantità delle prestazioni >> e l'uso <<di indicatori di efficienza e di qualità>> (art. 10);
- Il PON 1998-2000 prevede la <<diffusione della cultura della valutazione, anche attraverso l'uso di indicatori, specie di processo e di risultato>> e il Miglioramento Continuo di Qualità viene considerato uno dei cardini dell'organizzazione dei Dipartimenti di Salute Mentale
- Nei servizi territoriali la formazione di una cultura valutativa, soprattutto nei confronti dell'esito degli interventi, con l'utilizzazione della metodologia dei ROA si è dimostrata fattibile ed è auspicabile che possa rientrare nella pratica clinica abituale.

- “ Sarà importante, per il futuro, documentare il beneficio per i pazienti dei programmi di monitoraggio e di valutazione dei servizi, vale a dire la misura in cui i risultati scientifici si traducono in pratiche nuove e più efficaci. Ad esempio, se saranno confermati i dati che suggeriscono che il migliore predittore della qualità della vita sia il numero di bisogni non soddisfatti, non la diagnosi, né la gravità della psicopatologia, dovremo riorganizzare molti servizi di salute mentale, dentro e fuori del nostro Paese, perché essi siano in grado di rispondere ai bisogni dei pazienti ***prima di e oltre che*** fare diagnosi corrette e trattare i loro sintomi.” (M.Tansella, 2003)