

# ANALISI ECONOMICA DEI COSTI DELLA TERAPIA ENZIMATICA SOSTITUTIVA PER LA MALATTIA DI FABRY IN AMBIENTE DOMICILIARE

Mignani Renzo<sup>1</sup>, Tedone Fabio<sup>2</sup>, Lopatriello Stefania<sup>2</sup>, Cafiero Davide<sup>2</sup>

<sup>1</sup>UO Nefrologia e Dialisi, Ospedale Infermi, Rimini ASL Romagna, Italy, <sup>2</sup>Helaglobe srl, Firenze, Italy,

Congresso Sifo 2022, 27-30 Ottobre

## OBIETTIVI

- La malattia di Anderson-Fabry è una patologia causata da una mutazione genetica che non permette la corretta produzione dell'enzima alfa-galattosidasi A [1].
- La terapia enzimatica sostitutiva consiste nell'infusione endovenosa ospedaliera periodica dell'enzima che il corpo non riesce a produrre. Tali infusioni comportano tempi di viaggio e attesa che condizionano la vita dei pazienti e dei familiari.
- Il trattamento domiciliare migliora l'aderenza e la qualità di vita [2]. Tuttavia, richiede l'impiego di risorse diverse da quelle dei centri specializzati.
- Obiettivo del lavoro è confrontare i due scenari dal punto di vista economico.

## METODI

- È stato costruito un modello excel dei costi usando dati semi-strutturati.
- I costi unitari sono stati estrapolati dalla letteratura. I tempi e le procedure per il caso base sono stimati sull'operatività del centro specialistico di Rimini.
- L'analisi di sensibilità è stata eseguita modificando i costi fissi ambulatoriali, i costi e i tempi dell'operatore domiciliare, i costi dello specialista, il numero di risorse ambulatoriali impiegate e i tempi di infusione.

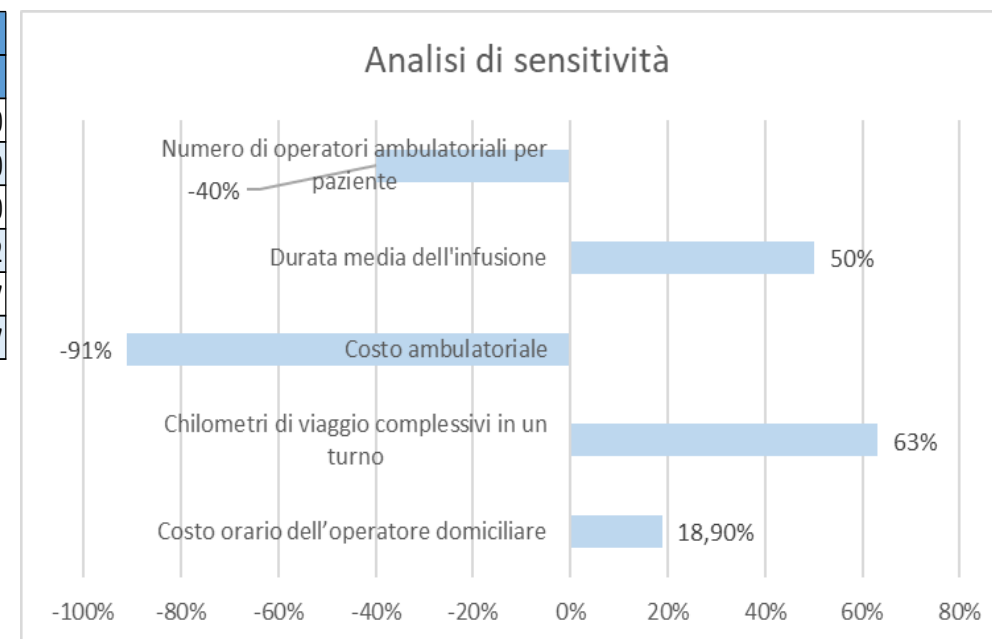
## RISULTATI

Parametri per il caso base		
Parametro	Unità di misura	Valore
Costo orario dell'operatore domiciliare	€/h	30
Chilometri di viaggio complessivi in un turno	Km	30
Costo ambulatoriale	€/day	150
Durata media dell'infusione	h	2
Numero di operatori ambulatoriali per paziente		0.667
Costo orario dello specialista	€/h	50.77

Il risparmio stimato per il caso base è di 272,13€ per paziente domiciliare.

Nel grafico è indicata la variazione percentuale di ogni parametro affinché il risparmio calcolato nel caso base si annulli.

Ogni aumento del 10% del costo dello specialista riduce dello 0,4% le variazioni percentuali nel grafico.



## CONCLUSIONI

- La terapia domiciliare migliora la qualità di vita del paziente con un potenziale risparmio, sotto determinate condizioni, per il SSN.
- Il modello sviluppato, generalizzabile per altri centri, offre ai decisori uno strumento per individuare i fattori che più di altri impattano sui costi per intervenire in modo mirato.

## BIBLIOGRAFIA

- [1] Hoffmann B. Fabry disease: recent advances in pathology, diagnosis, treatment and monitoring. Orphanet J Rare Dis. 2009
- [2] Concolino D, Amico L, Cappellini MD, et al. Home infusion program with enzyme replacement therapy for Fabry disease: The experience of a large Italian collaborative group. Mol Genet Metab Rep. 2017;12:85-91. Published 2017