

## **Funziona?**

### **La statistica e la valutazione di efficacia.**

Marco Bonetti, Ph.D.

Bocconi Associate Professor di Statistica

Dipartimento di Scienze delle Decisioni

Ci sono molte situazioni nelle quali è utile sapere se un intervento è efficace nel raggiungere gli obiettivi per i quali viene proposto. Si pensi ad esempio ad una policy sociale od economica; un processo produttivo; un farmaco; una tecnica di accertamento dell'evasione fiscale; un nuovo prodotto; un metodo educativo. L'approccio ideale per tale valutazione consiste nell'effettuare una sperimentazione prima dell'implementazione su larga scala, compatibilmente con i vincoli economici e di tempo e con la natura stessa dell'intervento. (La valutazione di un intervento già implementato presenta questioni diverse).

La pianificazione, esecuzione ed analisi di esperimenti hanno una lunga tradizione nella statistica, ed un campo che ha dovuto affrontare la questione con particolare attenzione è lo studio di trattamenti terapeutici, soprattutto per esseri umani affetti da patologie gravi. In tale ambito sono infatti numerosi gli incentivi che spingono verso uno studio accurato delle procedure da utilizzare ed una loro attenta implementazione.

Innanzitutto, la pubblicazione dei risultati deve superare il vaglio attento di esperti con competenze sia mediche che statistiche. Inoltre, il premio economico legato ad esempio all'approvazione di un nuovo farmaco per la commercializzazione può essere enorme, e questo richiede un'evidenza empirica tale da convincere l'autorità competente del fatto che i benefici siano superiori ai costi: ad esempio, l'allungamento atteso della vita per un paziente oncologico deve essere tale da giustificare gli effetti collaterali, inclusa la non somministrazione di trattamenti alternativi per i quali si abbia dimostrazione di efficacia.

Gli incentivi di natura etica hanno un grande impatto, a partire dalla scelta del numero di pazienti da sottoporre alla sperimentazione: esso va determinato in modo da minimizzare l'esposizione di pazienti al trattamento sperimentale, che potrebbe risultare di efficacia inferiore. Questo, compatibilmente con la disponibilità economica e di pazienti, e con la possibilità di ottenere un risultato statisticamente attendibile in tempi ragionevoli, in modo da non privare la popolazione di pazienti esterna allo studio della possibilità di usufruire di un nuovo trattamento di efficacia superiore.

L'effetto di questi (ed altri) incentivi è la grande attenzione che viene prestata alla definizione del processo sperimentale, ed in particolare ad elementi quali: (i) la domanda cui si vuole dar risposta;

(ii) i motivi per i quali si vuole fare ciò che si sta proponendo di fare (cioè sulla base di quali ipotesi e conoscenze, emerse e validate da chi e come); (iii) la popolazione di riferimento; (iv) il modo nel quale si cercherà di rispondere alla domanda, sia dal punto di vista dell'esecuzione che dal punto di vista della misurazione dell'effetto e del metodo di analisi; (v) i metodi da utilizzare per il monitoraggio dell'efficacia e della sicurezza del trattamento, e la conseguente eventuale interruzione anticipata della sperimentazione; (vi) la gestione di situazioni di deterioramento dei dati; (vii) la pianificazione di eventuali analisi aggiuntive (per esempio su sottogruppi di individui) che saranno effettuate. Tutti questi aspetti sono studiati con estrema precisione, e descritti anticipatamente sul documento di progettazione dello studio, il protocollo, che impone quindi chiarezza di obiettivi e dei mezzi per raggiungerli. L'esperienza accumulata in questi esperimenti scientifici "ideali" può rivelarsi utile anche per lo studio di processi di valutazione in altri campi. È evidente che la valutazione debba essere desiderata. Ad esempio, può essere più conveniente non studiare ulteriormente un trattamento per verificare la possibile assenza di efficacia per alcuni gruppi di pazienti. Più in generale, vi possono essere dei casi nei quali può essere preferibile non conoscere l'efficacia di una policy già attuata (o anche solo proposta), in quanto la risposta implica automaticamente un giudizio ed una responsabilità per chi ha attuato l'intervento stesso. Misurare e valutare, tuttavia, può e dovrebbe servire soprattutto per attuare scelte più consapevoli e difendibili.

[4181 characters]