

DSRWE Utilizzo di dati sanitari e Real World Evidence

I dati amministrativi sanitari per generare real-world evidence e rispondere ai bisogni dei pazienti con malattie rare

Irene Dell'Anno⁽¹⁾ - Letizia Dondi⁽¹⁾ - Giulia Ronconi⁽¹⁾ - Leonardo Dondi⁽¹⁾ - Silvia Calabria⁽¹⁾ - Immacolata Esposito⁽²⁾ - Alice Addesi⁽²⁾ - Aldo Pietro Maggioni⁽³⁾ - Nello Martini⁽¹⁾

Fondazione ReS (Ricerca e Salute), Research and Health Foundation, Roma, Italia⁽¹⁾ - Drugs & Health Srl, Regulatory Affairs, Roma, Italia⁽²⁾ - ANMCO, Research Center Heart Care Foundation, Firenze, Italia⁽³⁾

AREA TEMATICA: Utilizzo di dati sanitari e Real World Evidence

I dati amministrativi sanitari per generare real-world evidence e rispondere ai bisogni dei pazienti con malattie rare

Irene Dell'Anno (1), Letizia Dondi (1), Giulia Ronconi (1), Leonardo Dondi (1), Silvia Calabria (1), Immacolata Esposito (2), Alice Addesi (2), Aldo Pietro Maggioni (1, 3), Nello Martini (1), Carlo Piccinni (1)

1. Fondazione ReS (Ricerca e Salute), Roma
2. Drugs and Health Srl, Roma
3. ANMCO Research Center Heart Care Foundation, Firenze

Corresponding author:

Silvia Calabria,

Via dei Due Macelli, 48, 00187 Roma

327 523 70 55

calabria@fondazioneres.it

Caratteri (spazi esclusi): 3258/3500

Background

Le malattie rare (MR; <50 casi/100.000 abitanti in Europa) sono condizioni patologiche in costante aumento, così come il loro impatto socioeconomico, la mortalità, il tasso di disabilità e la perdita di qualità della vita. Gli studi clinici su un farmaco specifico (“orfano”), sono di difficile esecuzione per le prevalenze non adeguate e l’eterogeneità delle MR. Infatti, soltanto per un 5% delle MR conosciute è stato autorizzato un farmaco orfano, il cui accesso, tuttavia, è spesso disomogeneo, limitato a specifiche forme di una stessa MR e non sempre in grado di modificare la storia naturale della malattia. Per rispondere rapidamente ai bisogni dei pazienti con MR, esistono diverse modalità di approvazione accelerata basate sui soli risultati degli studi clinici di fase I o II. Le informazioni

Limite 3500 caratteri, spazi e punteggiatura esclusa

disponibili, pertanto, sono spesso carenti di evidenze su efficacia e sicurezza e su numero e caratteristiche dei potenziali candidati alle terapie. Grazie a un'esperienza decennale, la Fondazione Ricerca e Salute (ReS) conduce analisi di database amministrativi sanitari (farmaceutica territoriale, ospedalizzazioni, prestazioni specialistiche ambulatoriali ed esenzioni), per lo studio di target population anche per le MR.

Azioni

L'analisi dei dati amministrativi sanitari italiani, una fonte di real-world data (RWD), può descrivere l'epidemiologia, la storia naturale della patologia e il consumo di risorse sanitarie dei pazienti con MR, oltre a essere impiegata per la definizione dell'impatto di un nuovo farmaco orfano sul Servizio Sanitario Nazionale (SSN). La real-world evidence (RWE) è un valido supporto, a integrazione dei risultati degli studi clinici, nel pre-marketing, poiché fornisce la numerosità di target population a un farmaco orfano (informazione ancora oggi carente in fase di registrazione), e nel post marketing, poiché permette di valutare i requisiti di sicurezza, efficacia, appropriatezza del percorso e sostenibilità delle risorse sanitarie ed economiche del SSN nel medio-lungo termine. Nel caso delle MR, l'ampia numerosità e l'eterogeneità del campione di partenza offrono i maggiori vantaggi, non solo ai fini dell'individuazione della target population, ma anche della descrizione dei pazienti nella loro complessità (per es. presenza e trattamento di condizioni correlate e non correlate alla MR). Ciò permette di valutare in modo più completo il posizionamento nel percorso di cura del nuovo farmaco orfano, o di una nuova indicazione di un farmaco già disponibile. Inoltre, la RWE generata dai database amministrativi sanitari può suggerire aree di ricerca su cui investire per rispondere a specifici bisogni inascolti che non verrebbero alla luce in contesti controllati, come registri di patologia o studi clinici. La Fondazione ReS, a oggi, grazie a specifici algoritmi estrattivi e la collaborazione con esperti di RWD e clinici ha analizzato target population riferibili a 85 patologie, di cui 19 sono MR, come polineuropatia da amiloidosi ereditaria da transtiretina, distrofia muscolare di Duchenne e malattia di Berger. Tali analisi consentono di definire prevalenza e incidenza della MR, descrivere le caratteristiche demografiche e cliniche (comorbidità) dei pazienti, l'approccio terapeutico e assistenziale (in regime SSN) prima dell'arrivo di un nuovo farmaco e calcolare i costi sanitari diretti sostenuti dal SSN, per poterne stimare il successivo impatto.

Conclusioni

Nell'ambito delle MR e dei farmaci orfani, i dati amministrativi sanitari consentono di generare RWE a supporto dei processi regolatori, della presa in carico e dei percorsi di cura e diagnostico terapeutico assistenziali a garanzia della salute del paziente, dell'equità di accesso alle cure nel territorio nazionale e della sostenibilità del sistema sanitario italiano.