



DI EP Lazio

Department of Epidemiology
Lazio Regional Health
Service - Italy (ex ASL Roma E)



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL
ROMA 1



REGIONE
LAZIO



Comparative Effectiveness and Safety
of Drugs used in Rare Neuromuscular
and Neurodegenerative Diseases

Valutazione comparativa di efficacia e sicurezza del riluzolo nel trattamento della Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)

Silvia Cascini

CONVEGNO FINALE

**Roma, Complesso Monumentale Santo Spirito in Sassia, Sala Santo Spirito
7 giugno 2023, 9:00-17:00**

Introduzione

Il primo farmaco disease-modifying autorizzato per la SLA in Italia è il **riluzolo**.

Studi clinici hanno evidenziato l'efficacia del riluzolo verso placebo di incrementare la sopravvivenza e ritardare la necessità della ventilazione assistita.

Obiettivo

Valutare efficacia e sicurezza del
riluzolo nel migliorare esiti
cl clinicamente rilevanti nel primo anno
di utilizzo, rispetto al non-utilizzo

Metodi: Popolazione in studio

Casi incidenti di SLA
Wash out- 3anni

Nuovo uso di riluzolo
Wash out -3anni

Caratteristiche socio demografiche
giorno 0

Condizioni cliniche (principali complicanze;
comorbidity specifiche, Charlson index)
Giorni -730-0

Utilizzo farmaci
Giorni -365-0

PERIODO DI FOLLOW UP
Dal giorno 1 al verificarsi di uno dei
seguenti eventi:

- ESITO
- MORTE
- INTERRUZIONE DEL TRATTAMENTO,
- 365 giorni
- Fine dello studio (31/12/2020)

TEMPO

Entrata nella coorte
day 0

Popolazione in studio

LAZIO

N=359



UTILIZZO RILUZOLO	N	%
SI	210	58.5
NO	149	41.5

TOSCANA

N=339



UTILIZZO RILUZOLO	N	%
SI	281	82.9
NO	58	17.1

UMBRIA

N=67



UTILIZZO RILUZOLO	N	%
SI	51	76.1
NO	16	23.9

Soggetti affetti da SLA nel periodo 2016-2019, assistiti e residenti, età ≥18, incidenti per utilizzo di riluzolo nei tre anni precedenti

Descrizione popolazione in studio

LAZIO



Gli utilizzatori sono:

- Più giovani
- Meno compromessi clinicamente
- Più prescrizioni di farmaci psiconanalettici
- Minor utilizzo di anticoagulanti

UMBRIA



Gli utilizzatori sono:

- Meno compromessi clinicamente
- Più prescrizioni di farmaci per il controllo del dolore (51% vs 18%)

TOSCANA



Gli utilizzatori sono:

- Più prescrizioni di farmaci per tutte le categorie esaminate, eccetto farmaci contro il dolore

Famaci psicoananalettici (43% vs 7%, $p<0.001$)

Farmaci contro spasmi, fascicolazioen muscolare (70% vs 38%, $p<0.001$)

Farmaci contro depressione, ansia (51% vs 33%, $p=0.013$)

ANALISI AS TREATED (RGT 28 GG)

LAZIO

	Utilizzatori (210)			Non Utilizzatori (149)					
	Eventi	gg/persona	Tasso*	Eventi	gg/persona	Tasso*	HR*adj	95%CI	
Mortalità	12	30071	0.40	38	47298	0.80	0.83	0.39	1.76
Insufficienza respiratoria	30	26995	0.11	48	39651	1.21	1.05	0.61	1.80
Tracheostomia	7	29512	0.24	22	44122	0.50	0.46	0.17	1.25
PEG	12	28541	0.04	20	44150	0.45	1.72	0.73	4.04

UMBRIA

	Utilizzatori (51)			Non Utilizzatori (16)					
	Eventi	gg/persona	Tasso*	Eventi	gg/persona	Tasso*	HR*adj	95%CI	
Mortalità									
Mortalità	11	11890	0.93	8	4153	1.93	0.36	0.08	1.64
Insufficienza respiratoria	23	8879	2.59	8	2504	3.19	0.68	0.22	2.07
Tracheostomia	10	10990	0.91	5	2903	1.72	0.21	0.04	1.14
PEG	12	10512	1.14	3	3560	0.84	4.11	0.56	30.29

TOSCANA

	Utilizzatori (281)			Non Utilizzatori (58)						
	Eventi	gg/persona	Tasso*	Eventi	gg/persona	Tasso*	HR	95%CI	HR*adj	95%CI
Mortalità	71	79486	0.89	19	16103	1.18	0.78	0.47 1.30	0.92	0.53 1.59
Insufficienza respiratoria	98	68200	1.44	7	15181	0.46	3.15	1.47 6.79	3.13	1.43 6.84
Tracheostomia	34	75876	0.45	3	15607	0.19	2.39	0.73 7.80	2.45	0.72 8.36
PEG	36	75379	0.48	1	15740	0.06	7.73	1.06 56.35	5.89	0.79 43.77

1. ANALISI DI SENSIBILITÀ (LAZIO)

Soggetti con una sola prescrizione di riluzolo nel follow up eliminati

LAZIO (27 con 1 sola prescrizione)

	Utilizzatori (183)			Non Utilizzatori (149)			HR*adj	95%CI
	Eventi	gg/persona	Tasso*	Eventi	gg/persona	Tasso*		
Mortalità	8	28667	0.28	38	47298	0.80	0.52	0.22 1.24
Insufficienza respiratoria	25	25728	0.10	48	39651	1.21	0.89	0.50 1.57
Tracheostomia	5	28129	0.18	22	44122.00	0.50	0.33	0.10 1.03
PEG	12	27361	0.04	20	44150.00	0.45	1.76	0.75 4.13

2. ANALISI DI SENSIBILITÀ: (LAZIO)

Soggetti con una sola prescrizione di riluzolo classificati come non utilizzatori

	Utilizzatori (183)			Non Utilizzatori (176)			HR*adj	95%CI
	Eventi	gg/persona	Tasso*	Eventi	gg/persona	Tasso*		
Mortalità	12	28667	0.42	38	47298	0.80	0.52	0.22 1.24
Insufficienza respiratoria	30	26995	0.11	48	39651	1.21	1.04	0.61 1.79
Tracheostomia	7	29512	0.24	22	44122	0.50	0.47	0.17 1.28
PEG	12	28765	0.04	20	44150	0.45	1.72	0.73 4.03

Limiti

- Non abbiamo informazioni cliniche sull'inizio e sulla gravità della malattia
- Il confronto è tra utilizzatori/non utilizzatori: Difficoltà di rendere i due gruppi omogenei
- Rischio di indication bias
- Numerosità piccola, Impossibilità di analisi pooled

Punti di forza

- Studio multicentrico, 3 regioni
- Studio su un tema poco presente in letteratura, e pochi studi di popolazione

Conclusione

- Risultati in linea con la letteratura
- Sarebbe auspicabile ripetere lo studio con popolazione più ampie