



**DIEP Lazio**

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



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL  
ROMA 1



REGIONE  
LAZIO



**C**omparative **E**ffectiveness and **S**afety  
of Drugs used in **R**are Neuromuscular  
and Neurodegenerative Diseases

# Valutazione comparativa di efficacia e sicurezza della piridostigmina nel trattamento della Miastenia Gravis (MG)

Silvia Cascini

**CONVEGNO FINALE**

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

# Introduzione

I trattamenti per la MG prevedono l'utilizzo di farmaci sintomatici, terapia immunosoppressiva a lungo termine, terapie immunomodulatrici a breve durata d'azione, farmaci biologici, timentomia.

La terapia sintomatica si basa sull'utilizzo di anticolinesterasici e la **piridostigmina** è il più utilizzato

# Obiettivo

Valutare efficacia e sicurezza della piridostigmina nel migliorare esiti clinicamente rilevanti nel primo anno di utilizzo, rispetto al non-utilizzo

# Metodi: Popolazione in studio



# Popolazione in studio

## LAZIO

N=426

UTILIZZO DI PIRIDOGSTIMINA	N	%
SI	112	26.86
No	305	73.14

## UMBRIA

N=101

UTILIZZO DI PIRIDOSTIGMINA	N	%
SI	33	32.67
No	68	67.33

## TOSCANA

N=317

UTILIZZO DI PIRIDOSTIGMINA	N	%
SI	86	28.76
No	213	71.24

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

# Descrizione popolazione in studio

LAZIO



## ***Gli utilizzatori sono:***

- Più anziani
- Più compromessi clinicamente
- Maggior utilizzo di corticosteroidi

UMBRIA



## ***Gli utilizzatori sono:***

- Più compromessi clinicamente

TOSCANA



## ***Gli utilizzatori sono:***

- Maggiore prevalenza di maschi
- Più compromessi clinicamente
- Maggior utilizzo di corticosteroidi

# ANALISI AS TREATED (RGT 14 GG)

## LAZIO

	Utilizzatori(121)			Non Utilizzatori (305)			HR	95%CI	HR*adj	95%CI
	N° decessi	gg/persona	Tasso	N° decessi	gg/persona	Tasso				
<b>Mortalità</b>										
Renewal: 14 days	5	23594	0.21	22	106904	0.21	0.98	0.37 2.61	1.04	0.31 3.48
Renewal: 7 days	4	21785	0.18	22	106904	0.21	0.86	0.30 2.52	0.79	0.22 2.91
Renewal: 28 days	6	26470	0.28	22	106904	0.21	1.04	0.41 2.58	0.96	0.31 3.00

## Altri esiti in studio:

- Insufficienza respiratoria
- PEG
- Tracheostomia
- Ammissione reparto terapia intensiva
- Ventilazione non invasiva

## Limiti

- 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