



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

Valutazione comparativa di efficacia e sicurezza dei farmaci utilizzati nelle patologie rare neuromuscolari neurodegenerative

L'ADERENZA AL RILUZOLO
Sabrina Giometto, Università di Pisa

CONVEGNO FINALE

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

Introduzione

Nei farmaci cronici, l'aderenza alla terapia è necessaria per ottenere i benefici attesi. In particolare, una maggiore aderenza al trattamento con riluzolo sembra prolungare il tempo libero da tracheostomia e la sopravvivenza.

Alcuni recenti studi osservazionali hanno valutato l'aderenza al riluzolo riportando singoli valori sull'intero di periodo di osservazione, non indagando i pattern d'uso.

Domanda di ricerca

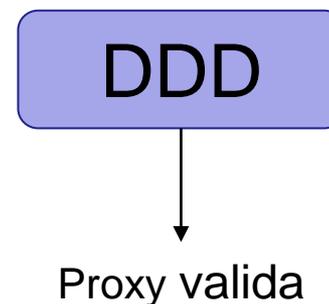
I pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica in Toscana, Lazio e Umbria che ricevono il riluzolo, sono aderenti alla terapia nel primo anno di trattamento?

Metodi: aderenza e traiettorie

Calcolo aderenza:

MPR modificato (mensile) → 12 valori aderenza

1° erogazione 2° erogazione

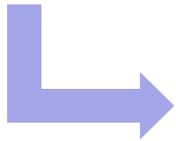


Individuazione delle traiettorie → Metodo a 3 passi:

- 1) Calcolo di 24 misure statistiche riassuntive
- 2) PCA
- 3) Analisi dei gruppi

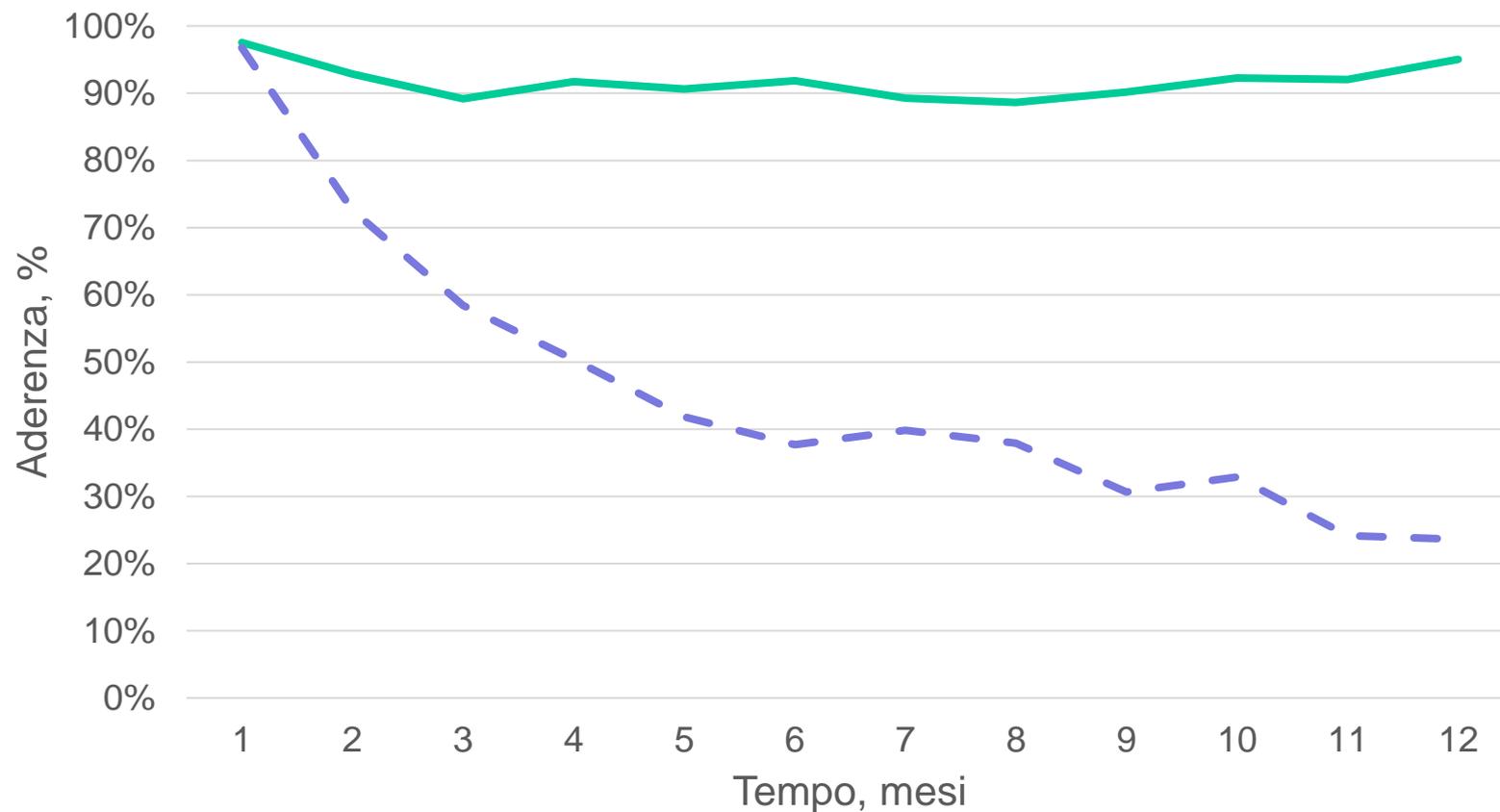
Popolazione in studio

N=671 soggetti maggiorenni, residenti e assistibili alla data di ingresso nello studio e nei 3 anni precedenti, SLA incidenti, sopravvissuti a 30 giorni dall'arruolamento, nuovi utilizzatori di riluzolo (2y prior)



N=626 inclusi nell'analisi delle traiettorie

Risultati: traiettorie di aderenza

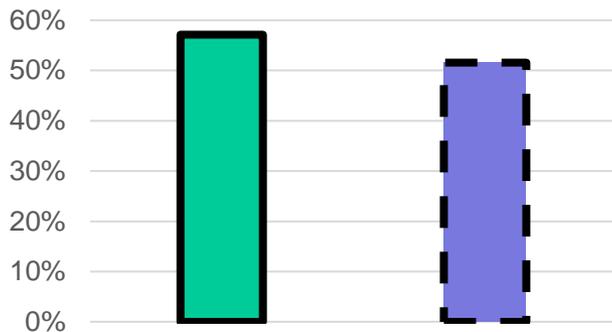


— Alto-aderenti (N=438, 70.0%)

- - Basso-aderenti (N=188, 30.0%)

Risultati: caratteristiche per cluster

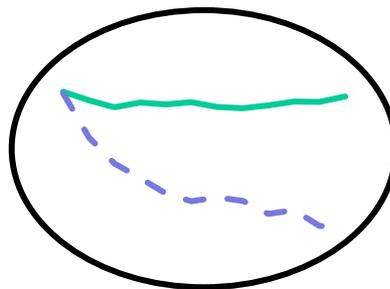
Sesso, M



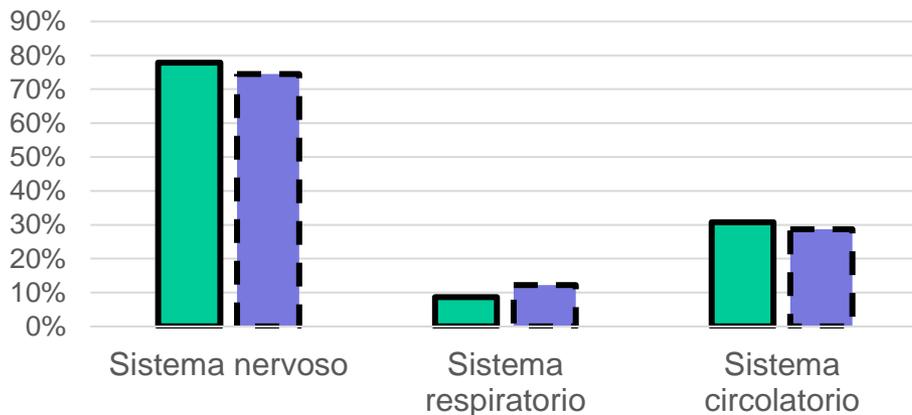
Età, media (DS)

65.8 (10.3)

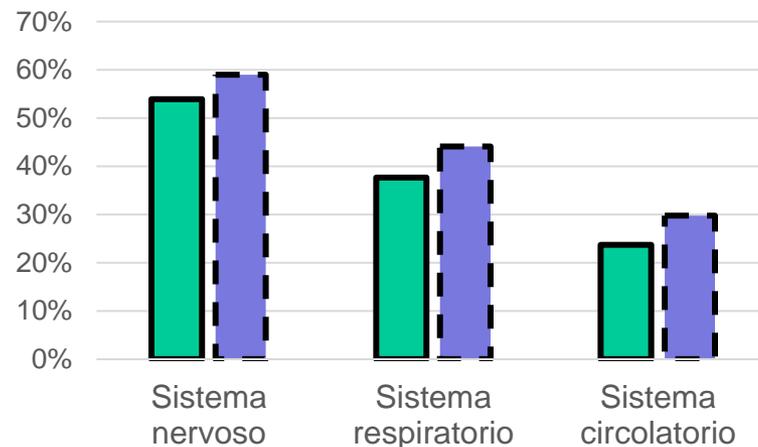
67.4 (10.8)



Comorbidità (baseline, 2y)

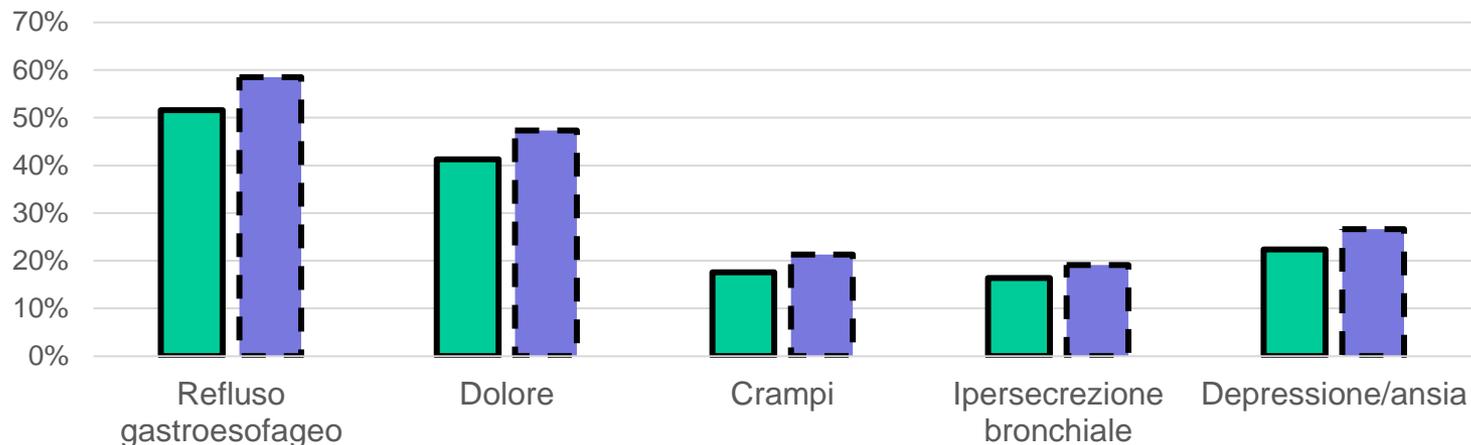


Comorbidità (FUP, 1y)

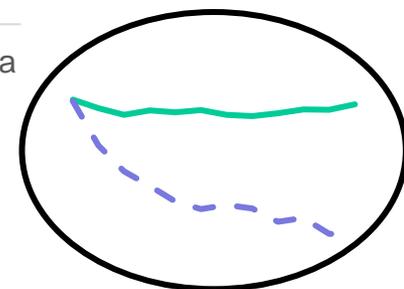
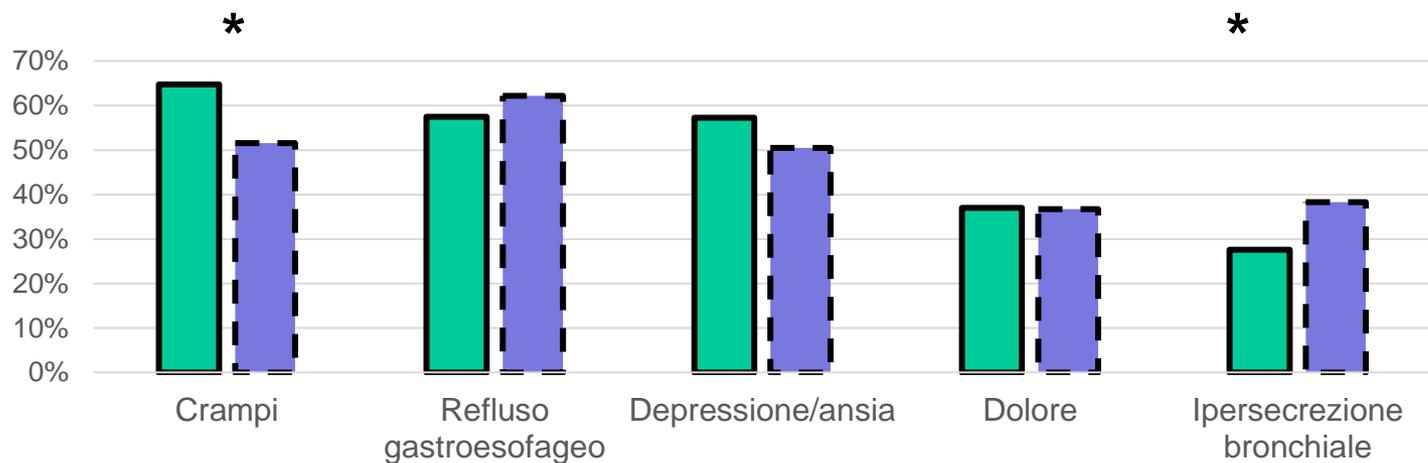


Risultati: caratteristiche per cluster

Farmaci (baseline, 1y)

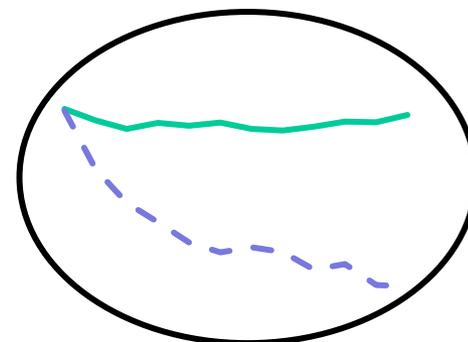
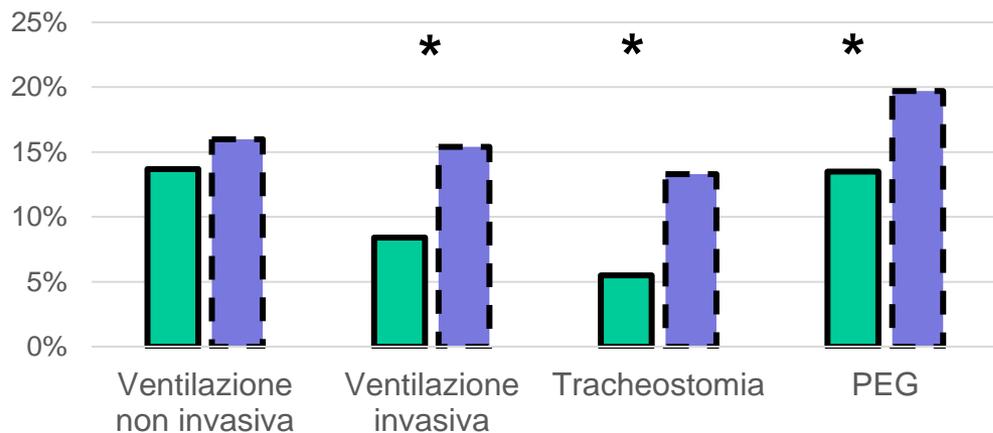


Farmaci (FUP, 1y)

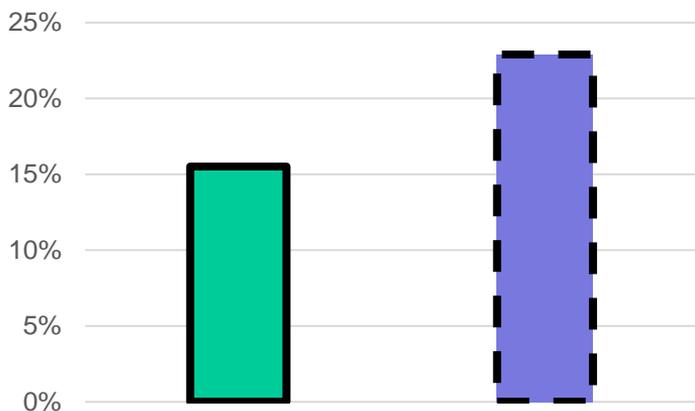


Risultati: caratteristiche per cluster

Trattamento non farmacologico (FUP, 1y)



Decesso (*)



* p-value from t-test or Chi-squared test ≤ 0.01

Punti di forza e limiti specifici

- Esplorazione longitudinale dell'aderenza attraverso il metodo delle traiettorie, che tiene conto del tempo in cui si osservano le interruzioni di trattamento
- Analisi dei gruppi non robusta → identificazione numero di gruppi

Key-messages

- La maggior parte dei pazienti affetti da SLA che inizia la terapia con riluzolo, rimane aderente durante il primo anno di utilizzo
- I pazienti che interrompono precocemente il trattamento risultano più fragili e mostrano una maggior mortalità