



DI EP Lazio

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



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL
ROMA 1



REGIONE
LAZIO



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

CONVEGNO FINALE

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

Lo studio CAESAR

Bando multiregionale FV 2012-2013-2014 su fondi AIFA

Durata: 23 settembre 2020 – 23 giugno 2023

Partecipanti:

TOSCANA



UNIVERSITÀ DI PISA



ARS TOSCANA
agenzia regionale di sanità



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



UMBRIA



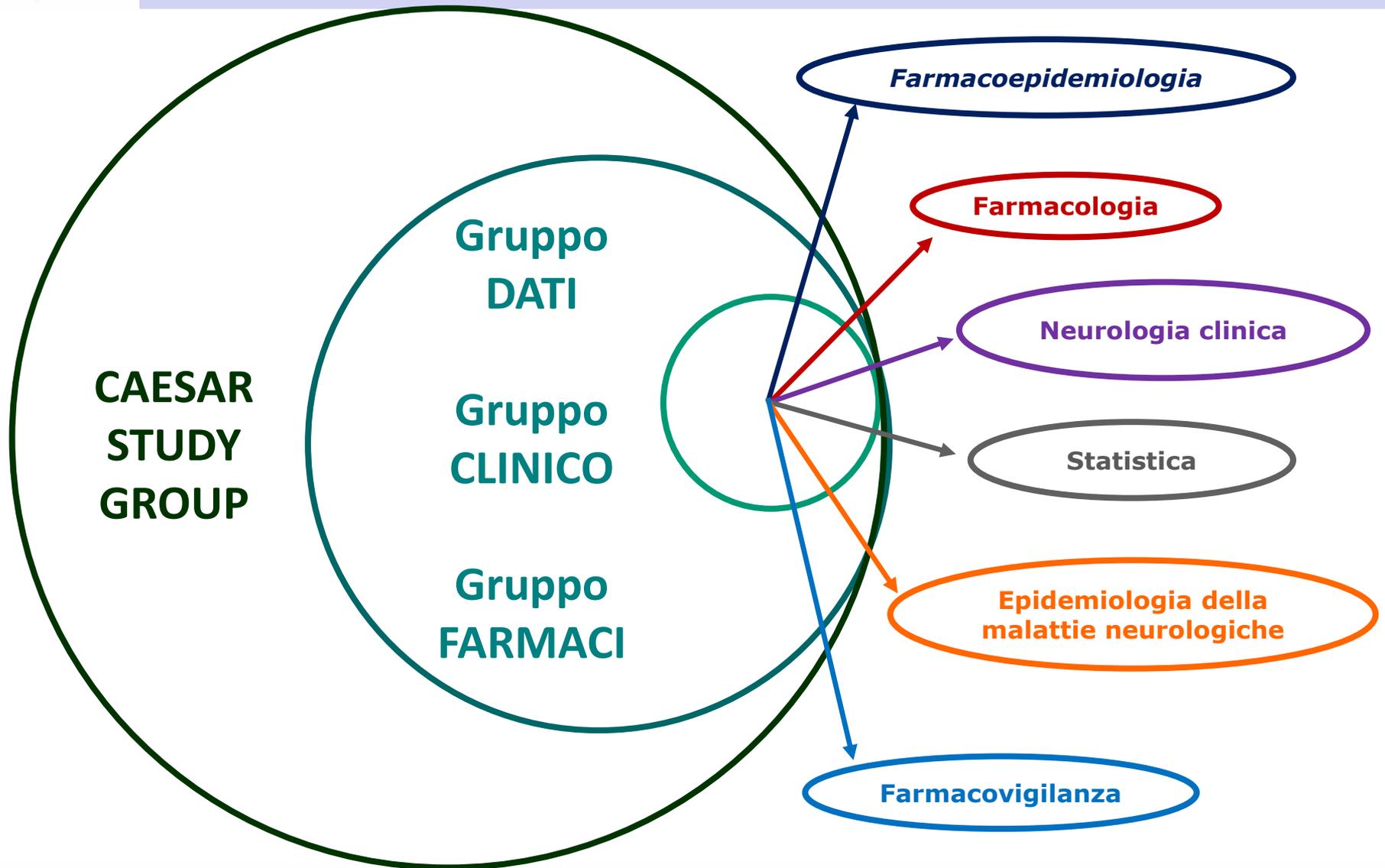
Azienda Ospedaliera di Perugia



LAZIO

EUPAS37983

La rete multidisciplinare



Le patologie in studio

Le patologie motorie neurodegenerative (PMD) sono disordini di tipo neurologico che riguardano selettivamente i neuroni che regolano l'attività motoria e che agiscono sul controllo della muscolatura volontaria, con diverse manifestazioni cliniche. **Sono malattie rare, molto rare o estremamente rare**

In questo studio verranno considerate:

- **Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA)**
- Sclerosi Laterale Primaria (SLP)
- Atrofia Muscolare Progressiva (AMP)
- Paralisi bulbare progressiva e paralisi pseudobulbare (PBP)
- **Miastenia Grave (MG)**
- Altre malattie neuromuscolari

Quali conoscenze mancano ad oggi

I modelli completi di **utilizzo dei farmaci nelle PMD** rimangono spesso sconosciuti.

Vi è una mancanza di dati sulla **frequenza di trattamenti multipli** (sia farmacologici che non farmacologici), trattamenti usati "**off-label**" o trattamenti utilizzati in diversi stadi della malattia.

Le informazioni sulla **sicurezza dell'uso dei farmaci** utilizzati nelle PMD sono scarse.

I nuovi farmaci sono stati valutati negli studi registrativi rispetto al placebo, quindi è ancora sconosciuto il loro **valore aggiunto e il loro profilo di efficacia e sicurezza rispetto alla terapia standard**.

Mancano informazioni su quanto la **popolazione trattata corrisponde effettivamente a quella prevista** dalle indicazioni terapeutiche.

Obiettivo primario dello studio

Misurare i pattern prescrittivi dei farmaci per le e patologie motorie neurodegenerative e le caratteristiche dei pazienti esposti a questi trattamenti nelle diverse realtà geografiche coinvolte

Obiettivo secondario dello studio

Analizzare l'efficacia e la sicurezza comparativa dei farmaci selezionati utilizzati per le e patologie motorie neurodegenerative

Disegno di studio, periodo e popolazione

Disegno: Studio multicentrico retrospettivo di coorte

Periodo: 2014-2020 (ultimo anno disponibile)

Popolazione in studio: pazienti affetti da PMD nel periodo 2014-2019 nelle regioni partecipanti nelle regioni Lazio, Toscana ed Umbria

Focus farmaci: Riluzolo, Piridostigmina

- **Archivio degli ASSISTIBILI**
- **Registro della MORTALITÀ (ove possibile per causa)**
- **Sistema informative OSPEDALIERO – Scheda di dimissione ospedaliera**
- **Sistema informative delle EMERGENZE SANITARIE**
- **Sistema informativo della ASSISTENZA SPECIALISTICA**
- **Registro delle ESENZIONI per patologia**
- **Registro della FARMACEUTICA (territoriale, diretta e per conto)**
- **Regione Lazio: REGISTRO SLA da progetto (non ancora a regime)**

Metodi: popolazione in studio

Identificazione dei pazienti da database amministrativi:

Criteria di inclusione:

- Dimissione da ricovero (diagnosi principale, diagnosi secondaria + tipo reparto)
- Accesso in PS (diagnosi principale) e/o
- Inizio di esenzione per patologia

nel periodo 2014-2019.

Criteria di esclusione:

- Pazienti non assistibili/residenti
- Pazienti con età < 18 anni

SLA

- ✓ **Occorrenza della patologia da SIS**
- ✓ **Pattern prescrittivi SLA: farmaci indicati e terapie non farmacologiche**
- ✓ **Aderenza alla terapia con riluzolo**
- ✓ **Uso del riluzolo al di fuori dalle indicazioni terapeutiche**
- ✓ **Efficacia e sicurezza del riluzolo**

MG

- ✓ **Occorrenza della patologia tramite revisione sistematica dalla letteratura**
- ✓ **Pattern prescrittivi MG: farmaci indicati e terapie non farmacologiche**
- ✓ **Uso dei farmaci per la MG in presenza di controindicazioni**
- ✓ **Efficacia e sicurezza della piridostigmina**

Punti di forza

- ✓ **Collaborazione tra regioni in un gruppo multidisciplinare: creazione di una rete tematica tra professionisti**
- ✓ **Popolazione di 3 regioni italiane (ca. 10 Milioni di residenti)**
- ✓ **Condivisione dei metodi (es. analisi traiettorie)**
- ✓ **Confronto dei risultati tra regioni (sinergie e differenze)**

Alcune sfide dello studio

- **Identificazione della popolazione in studio da database amministrativi**
 - >> equilibrio tra sensibilità e specificità
- **Malattie rare, esiti rari**
 - >> numerosità delle popolazioni, potenza dello studio
- **Mancanza di informazioni cliniche delle malattie**
 - >> confondimento residuo
- **Mancanza di terapia farmacologica specifica a confronto** (farmaci nuovi non tracciabili nel periodo di studio, es. edaravone)
 - >> confronto utilizzatori vs non utilizzatori (difficoltà nel rendere i gruppi confrontabili)
- **Condivisione dei dati** (metanalisi vs pooled)

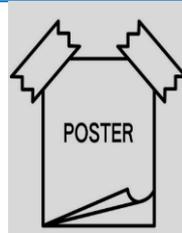
Divulgazione dei risultati: SLA

Occorrenza

AIE '22, SIN '22

Riluzolo fuori indicazione

AIE '22, ICPE '22, ISoP '22



Riluzolo fuori indicazione

Rapporto Farmaci Toscana '21,

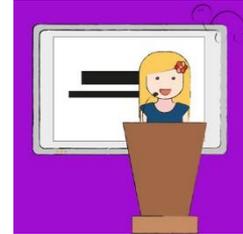
Aderenza riluzolo

EuroDURG '23

Efficacia e sicurezza riluzolo

AIE '23

Convegno Perugia '23



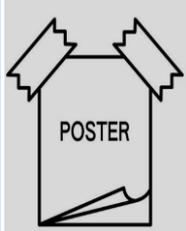
Publicato: **Riluzolo fuori indicazione (doi: 10.3389/fdsfr.2022.1041275)**

Sottomesso: **Occorrenza (Orphanet J Rare Dis)**

In fase di stesura: **Pattern prescrittivi, Aderenza riluzolo**

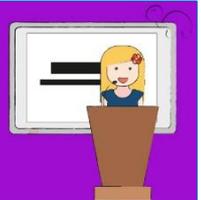
Pianificato: **Efficacia e sicurezza riluzolo**



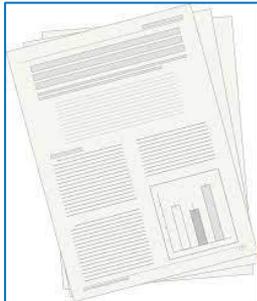


Pattern prescrittivi/piridostigmina in presenza di controindicazioni:
ISS '22, Rapporto Toscana '22, ICPE '23, EuroDURG '23

Rapporto Farmaci Toscana '23
AIE '23



In fase di stesura:



Pattern prescrittivi

Piridostigmina in presenza di controindicazioni

Revisione Sistemática sull'occorrenza

Registro SLA della regione Lazio: aggiornamento e consolidamento

Rete NeuroEpiNet



*Clinical **epidemiology network**
for chronic **neurological diseases***

**Es. identificazione di popolazioni target per terapie innovative,
stima del fabbisogno terapeutico, pianificazione PDTA**

I sessione: La Sclerosi Amiotrofica Laterale

MODERATORI: ALFREDO VANNACCI, TERESANNA CANTISANI

10:00 La SLA, una malattia incurabile?

Adriano Chiò

10:30 La gestione del paziente

Paola Brunori

10:45 Occorrenza della SLA - i risultati dello studio CAESAR

Anna Maria Bargagli

11:00 Pausa caffè

11:30 L'uso dei farmaci indicati nella terapia

Olga Paoletti

11:45 Aderenza alla terapia con riluzolo

Sabrina Giometto

12:00 Uso del riluzolo fuori indicazione terapeutica

Giada Crescioli

12:15 Efficacia e sicurezza del riluzolo

Silvia Cascini

12:30 Q&A

13:00 Pausa pranzo

II Sessione: La Miastenia Gravis

MODERATORI: ILARIA BACIGALUPO, MARCO TUCCORI

14:00 La patologia e le terapie disponibili

Maria Grazia Celani

14:15 Epidemiologia della patologia

Francesco Sciancalepore

14:30 L'uso dei farmaci indicati

Marco Finocchietti

14:45 L'uso dei farmaci in presenza di controindicazioni

Niccolò Lombardi

15:00 Efficacia e sicurezza della piridostigmina

Silvia Cascini

15:15 Q&A

III Sessione: Tavola Rotonda

15:45 III SESSIONE: TAVOLA ROTONDA “I RISULTATI DELLO STUDIO E IL LORO POSSIBILE IMPATTO”

Moderatori: Antonio Addis, Nicola Vanacore

Partecipano: Maurizio Inghilleri (Policlinico Umberto I), Marina Davoli (DEP), Lorella Lombardozi (Regione Lazio), Giampaolo Bucaneve (Regione Umbria), Lorian Tartaglia (AIFA), Edmondo Lucantonio (WLaVita onlus)

17:00 Conclusioni e chiusura del convegno

Antonio Addis, Ursula Kirchmayer

Inquadra  **QrCode** e accedi ai materiali del convegno



Utente: CAESAR

Password: Caesar_070623



Grazie!

CAESAR Study group: Antonio Addis, Antonio Ancidoni, Ilaria Bacigalupo, Anna Maria Bargagli, Valeria Belleudi, Roberto Bonaiuti, Paola Brunori, Giampaolo Bucaneve, Teresa Anna Cantisani, Silvia Cascini, Maria Grazia Celani, Livia Convertino, Giada Crescioli, Marina Davoli, Marco Finocchietti, Rosa Gini, Giulia Hyeraci, Ursula Kirchmayer, Niccolò Lombardi, Olga Paoletti, Rosalba Elisabetta Rocchi, Mariangela Rossi, Francesco Sciancalepore, Marco Tuccori, Nicola Vanacore, Alfredo Vannacci.

- 1. Quali potrebbero essere le ricadute nell'assistenza e nell'organizzazione dei servizi per i pazienti con SLA e familiari dei risultati del progetto Caesar ?**

- 2. Quali temi dovrebbero essere approfonditi nella ricerca in sanità pubblica nella gestione delle malattie neurodegenerative rare ?**