



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

Sclersosi Amiotrofica Laterale (SLA): pattern prescrittivi e determinanti d'uso

Olga Paoletti

Agenzia Regionale di Sanità della Toscana, Firenze



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

Domanda di studio

Come vengono trattati i pazienti affetti da SLA, in particolare rispetto al riluzolo e altre terapie farmacologiche sintomatiche e non farmacologiche?

Ci sono determinanti rispetto alla terapia con riluzolo?

Metodi

- Descrizione delle caratteristiche demografiche e cliniche dei soggetti con nuova diagnosi di SLA
- Modello di regressione logistica per identificare determinanti di terapie indicate per la SLA



Popolazione di studio

1636 pazienti maggiorenni, residenti e assistibili alla data indice (prima traccia di SLA da pronto soccorso, ospedalizzazione o esenzione), senza tracce di SLA nei 3 anni precedenti e vivi a 30 giorni dalla data indice

L'età media varia dai 66 ai 69 anni

Il 53,2% sono maschi



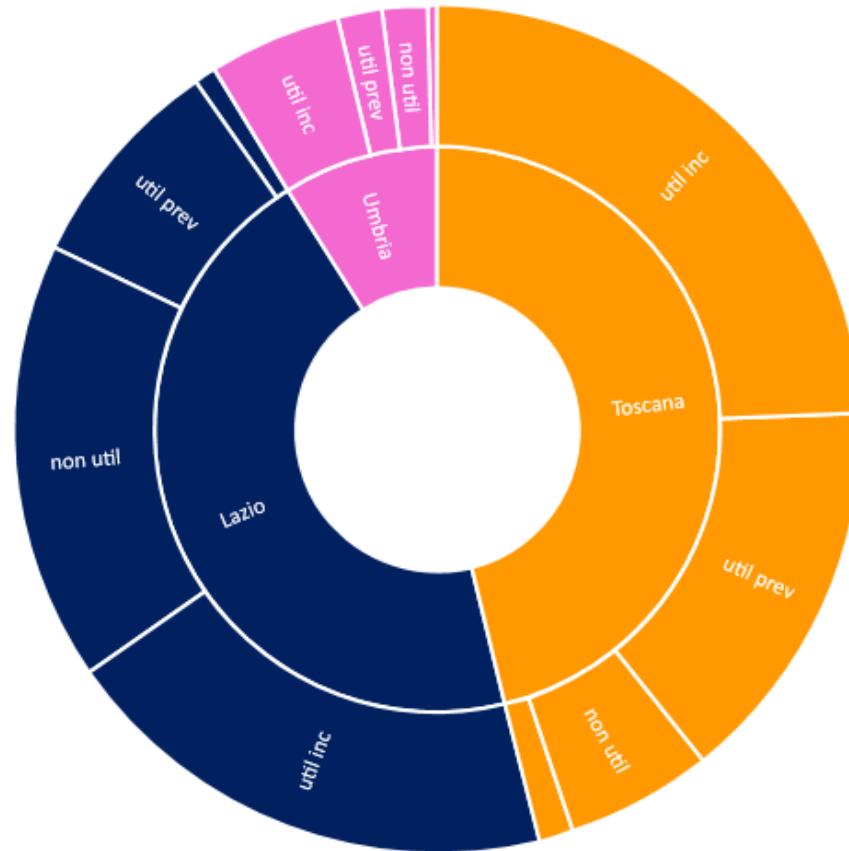
Caratteristiche cliniche dei pazienti affetti da SLA al baseline

	LAZIO		TOSCANA		UMBRIA		TOTALE	
	736		755		145		1636	
	n	%	n	%	n	%	n	%
MAGGIORI COMPLICANZE								
Disfagia	31	4,2%	39	5,2%	6	4,1%	76	4,6%
Andatura barcollante	7	1,0%	25	3,3%	1	0,7%	33	2,0%
Fratture causate da infortunio	51	6,9%	87	11,5%	11	7,6%	149	9,1%
COMORBIDITA'						0,0%		
PRESENZA DI ALTRA PATOLOGIA DEL MOTONEURONE	78	10,6%	85	11,3%	8	5,5%	171	10,5%
Insufficienza respiratoria acuta	33	4,5%	31	4,1%	4	2,8%	68	4,2%
Insufficienza respiratoria cronica	64	8,7%	9	1,2%	1	0,7%	74	4,5%
Insufficienza respiratoria acuta e cronica	40	5,4%	17	2,3%	2	1,4%	59	3,6%
Disturbi legati alla depressione	10	1,4%	24	3,2%	3	2,1%	37	2,3%
COMORBIDITA' IN GRANDI GRUPPI								
Tumori	45	6,1%	41	5,4%	14	9,7%	100	6,1%
Malattie endocrine, nutrizionali, metaboliche e disturbi immunitari	118	16,0%	139	18,4%	27	18,6%	284	17,4%
Disturbi mentali	34	4,6%	54	7,2%	20	13,8%	108	6,6%
Malattie del sistema nervoso e degli organi di senso	495	67,3%	600	79,5%	117	80,7%	1212	74,1%
Malattie del sistema nervoso centrale	469	63,7%	564	74,7%	113	77,9%	1146	70,0%
Malattie del sistema nervoso periferico	56	7,6%	91	12,1%	14	9,7%	161	9,8%
Malattie del sistema circolatorio	228	31,0%	248	32,8%	55	37,9%	531	32,5%
Malattie dell'apparato respiratorio	161	21,9%	95	12,6%	21	14,5%	277	16,9%
Malattie dell'apparato digerente	77	10,5%	73	9,7%	14	9,7%	164	10,0%
Malattie del sistema genitourinario	53	7,2%	55	7,3%	16	11,0%	124	7,6%
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo	109	14,8%	140	18,5%	30	20,7%	279	17,1%
Sintomi, segni, e stati morbosi maldefiniti	181	24,6%	197	26,1%	37	25,5%	415	25,4%
Traumatismi e avvelenamenti	191	26,0%	229	30,3%	31	21,4%	451	27,6%

Caratteristiche cliniche dei pazienti affetti da SLA al baseline

	LAZIO		TOSCANA		UMBRIA		TOTALE		
	n	%	n	%	n	%	n	%	
TERAPIA FARMACOLOGICA SINTOMATICA									
Riluzolo	149	20,2%	265	35,1%	34	23,4%	448	27,4%	
psicoanaelettici	15	2,0%	105	13,9%	2	1,4%	122	7,5%	
ipersecrezione bronchiale	176	23,9%	128	17,0%	22	15,2%	326	19,9%	
reflusso gastroesofageo	448	60,9%	354	46,9%	71	49,0%	873	53,4%	
crampi, spasmi, fascicolazioni	189	25,7%	258	34,2%	16	11,0%	463	28,3%	
	Bacoflen	50	6,8%	41	5,4%	3	2,1%	94	5,7%
	Gabapentin	61	8,3%	70	9,3%	2	1,4%	133	8,1%
	Pregabalin	88	12,0%	53	7,0%	5	3,4%	146	8,9%
depressione/ansia, fragilità emotiva	195	26,5%	251	33,2%	41	28,3%	487	29,8%	
	Duloxetina	29	3,9%	21	2,8%	9	6,2%	59	3,6%
	Inibitori selettivi della serotonina-ricaptazione	141	19,2%	216	28,6%	30	20,7%	387	23,7%
	Amitriptilina	33	4,5%	35	4,6%	6	4,1%	74	4,5%
disturbi psichiatrici legati alla demenza	29	3,9%	24	3,2%	5	3,4%	58	3,5%	
dolore	329	44,7%	312	41,3%	42	29,0%	683	41,7%	
	FANS	307	41,7%	230	30,5%	35	24,1%	572	35,0%
	Oppioidi	80	10,9%	151	20,0%	10	6,9%	241	14,7%
trombosi/embolia	368	50,0%	335	44,4%	61	42,1%	764	46,7%	
	Eparinici	122	16,6%	131	17,4%	17	11,7%	270	16,5%
ALTRA TERAPIA FARMACOLOGICA (ATC 4° LIVELLO)									
	<=1	100	13,6%	147	19,5%	48	33,1%	295	18,0%
	2-5	318	43,2%	346	45,8%	51	35,2%	715	43,7%
	6+	318	43,2%	262	34,7%	46	31,7%	626	38,3%
TRATTAMENTI NON FARMACOLOGICI									
	Ventilazione assistita non invasiva	55	7,5%	13	1,7%	3	2,1%	71	4,3%
	Ventilazione assistita invasiva	38	5,2%	6	0,8%	3	2,1%	47	2,9%
	Tracheotomia	13	1,8%	2	0,3%	2	1,4%	17	1,0%
	PEG	25	3,4%	14	1,9%	4	2,8%	43	2,6%

Utilizzo di riluzolo nei 12 mesi successivi alla data di arruolamento



LAZIO		
736		
	n	%
Non utilizzatori	273	37,1%
Ex utilizzatori	13	1,8%
Utilizzatori prevalenti	136	18,5%
Utilizzatori incidenti	314	42,7%

61,2%

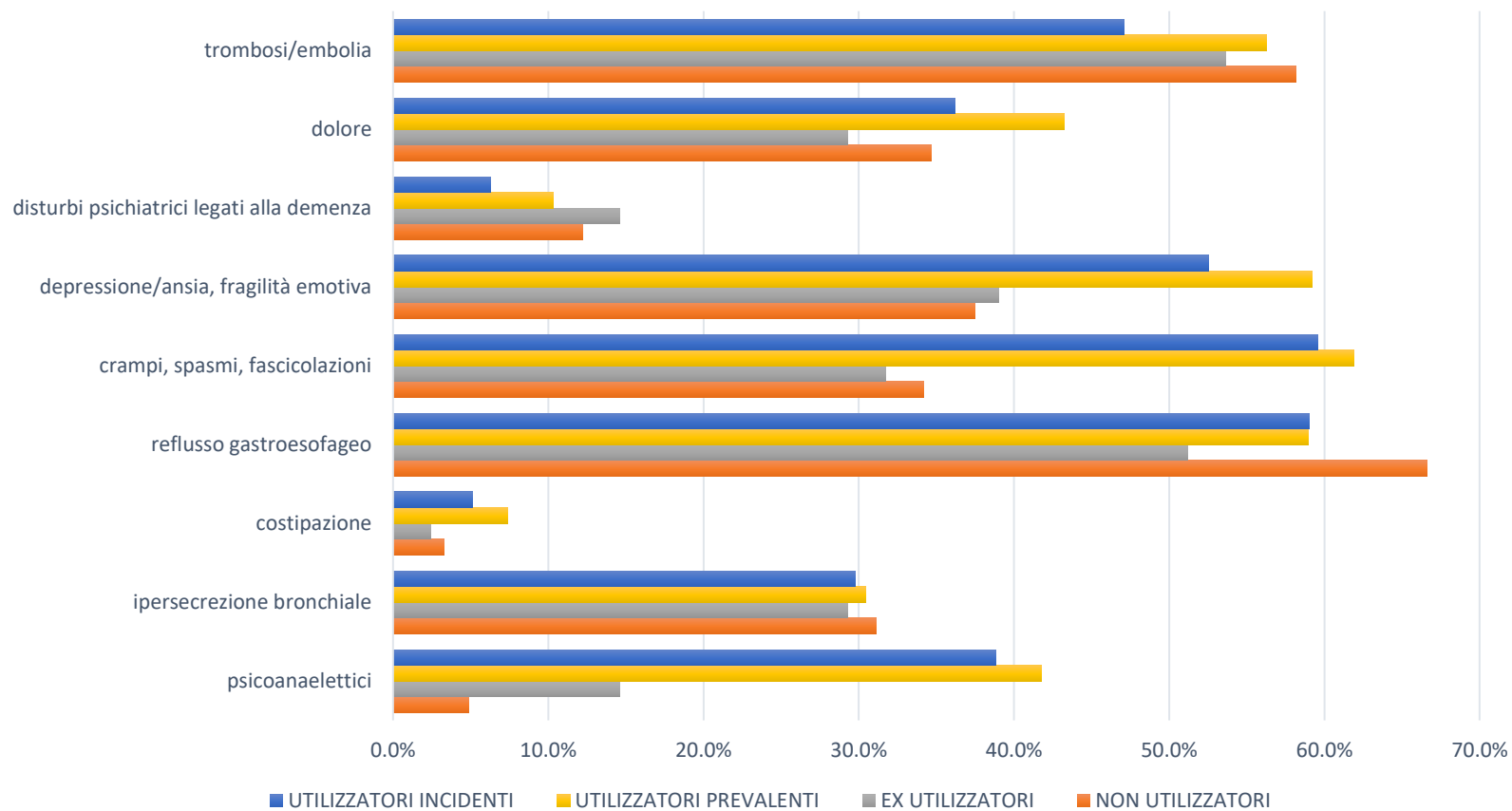
TOSCANA		
755		
	n	%
Non utilizzatori	91	12,1%
Ex utilizzatori	22	2,9%
Utilizzatori prevalenti	243	32,2%
Utilizzatori incidenti	399	52,8%

85,0%

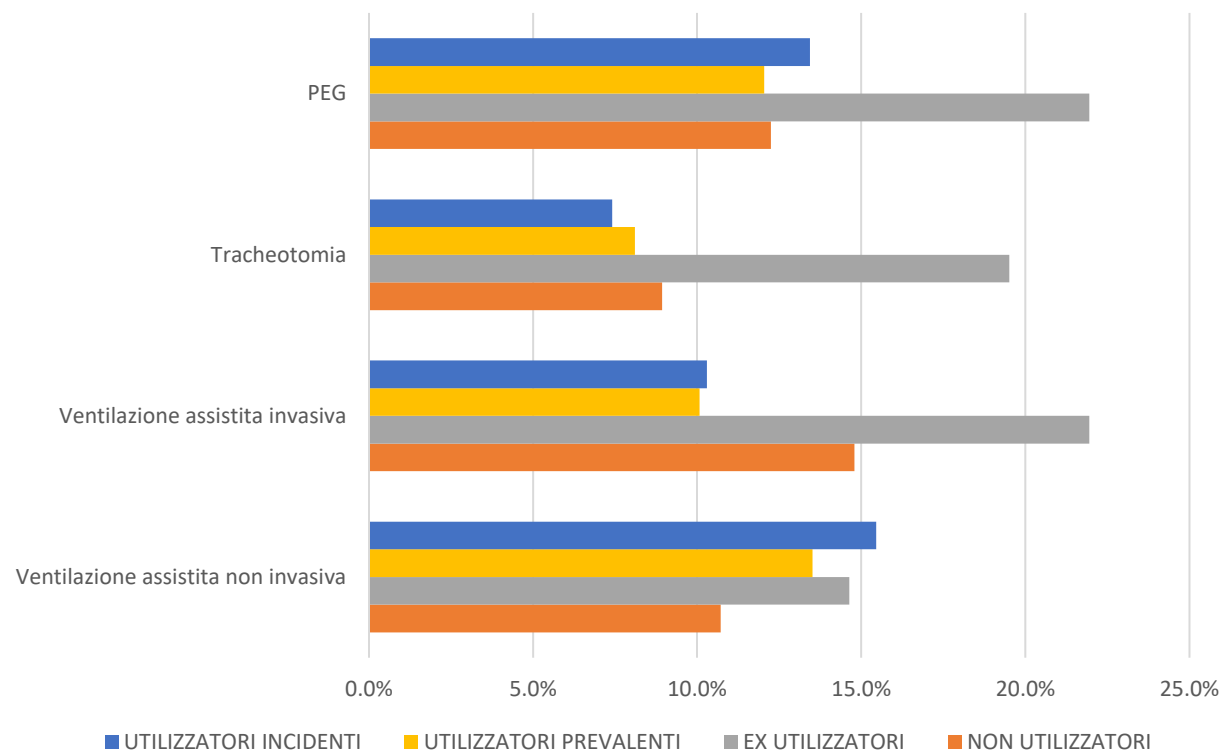
UMBRIA		
145		
	n	%
Non utilizzatori	28	19,3%
Ex utilizzatori	6	4,1%
Utilizzatori prevalenti	28	19,3%
Utilizzatori incidenti	83	57,2%

76,5%

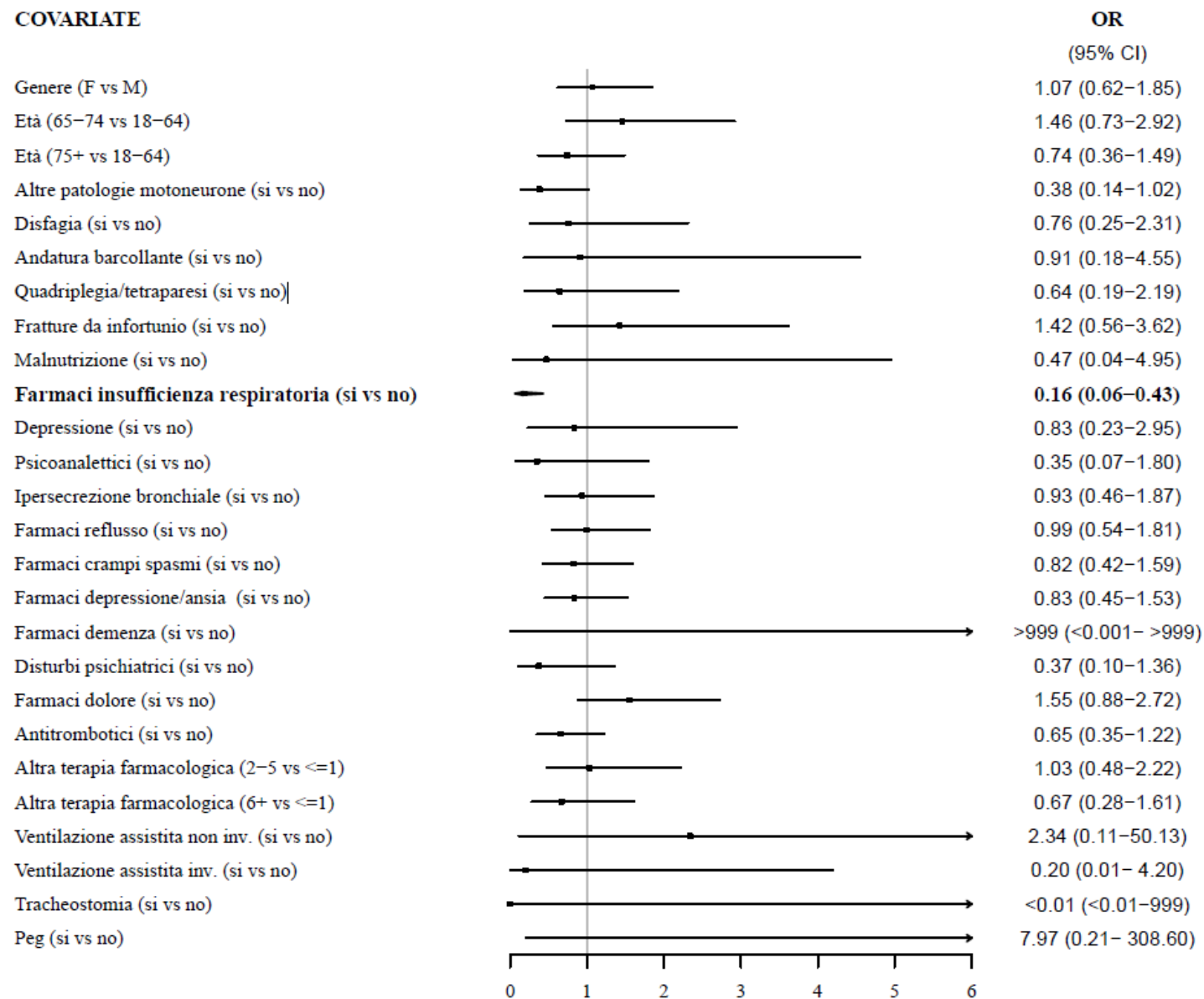
Terapia farmacologica nei 12 mesi successivi alla data arruolamento stratificata per categorie di utilizzo di riluzolo



Trattamenti non farmacologici nei 12 mesi successivi alla data arruolamento stratificata per categorie di utilizzo di riluzolo



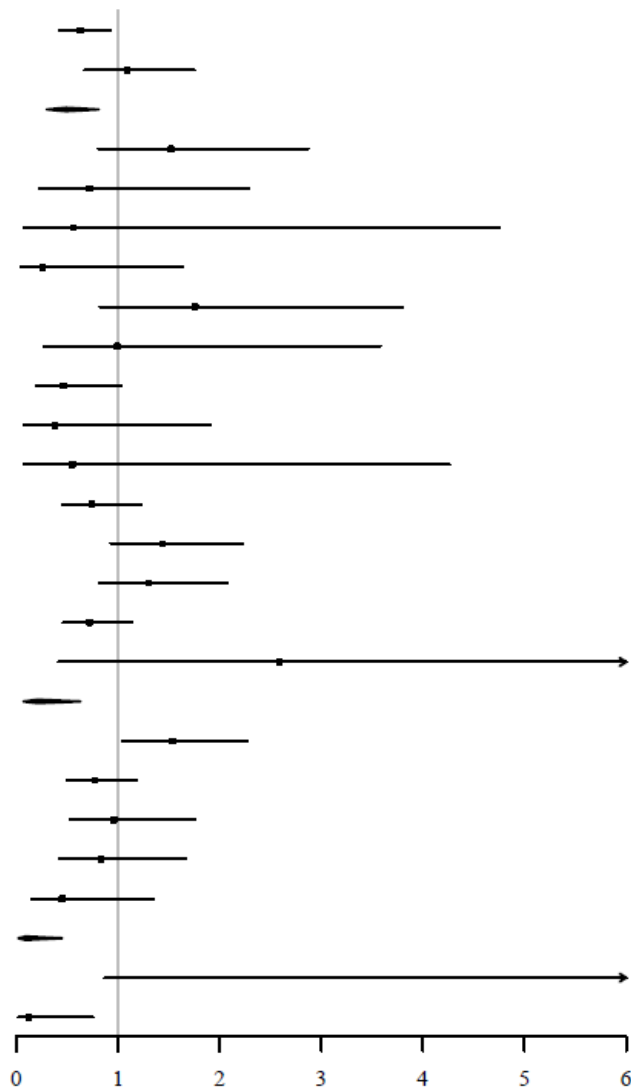
Determinanti d'uso della terapia con Riluzolo: Toscana



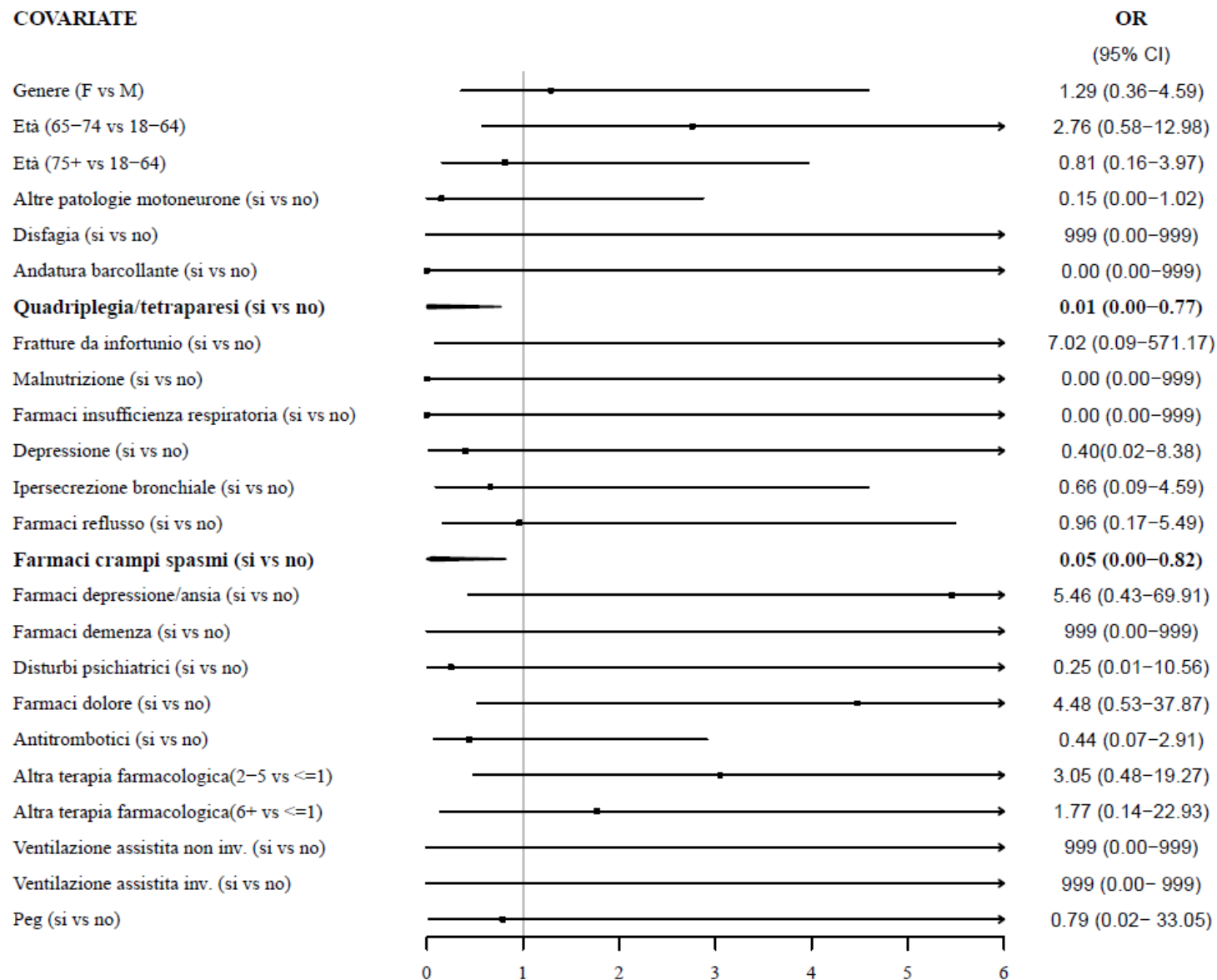
Determinanti d'uso della terapia con Riluzolo: Lazio

COVARIATE

COVARIATE	OR (95% CI)
Genere (F vs M)	0.63 (0.43-0.92)
Età (65-74 vs 18-64)	1.09 (0.67-1.75)
Età (75+ vs 18-64)	0.49 (0.30-0.81)
Altre patologie motoneurone (si vs no)	1.52 (0.81-2.87)
Disfagia (si vs no)	0.72 (0.23-2.28)
Andatura barcollante (si vs no)	0.56 (0.07-4.75)
Tetraparesi/paraplegia (si vs no)	0.26 (0.04-1.64)
Fratture da infortunio (si vs no)	1.76 (0.82-3.80)
Malnutrizione (si vs no)	0.99 (0.27-3.58)
Farmaci insufficienza respiratoria (si vs no)	0.46 (0.20-1.03)
Depressione (si vs no)	0.38 (0.08-1.91)
Psicoanalettici (si vs no)	0.55 (0.07-4.26)
Ipersecrezione bronchiale (si vs no)	0.74 (0.45-1.23)
Farmaci reflusso (si vs no)	1.44 (0.93-2.22)
Farmaci crampi spasmi (si vs no)	1.30 (0.82-2.07)
Farmaci depressione/ansia (si vs no)	0.72 (0.46-1.14)
Farmaci demenza (si vs no)	2.59 (0.41-16-38)
Disturbi psichiatrici (si vs no)	0.21 (0.07-0.63)
Farmaci dolore (si vs no)	1.54 (1.04-2.27)
Antitrombotici (si vs no)	0.77 (0.50-1.18)
Altra terapia farmacologica (2-5 vs <=1)	0.96 (0.53-1.76)
Altra terapia farmacologica (6+ vs <=1)	0.83 (0.42-1.67)
Ventilazione assistita non inv. (si vs no)	0.45 (0.15-1.35)
Ventilazione assistita inv. (si vs no)	0.09 (0.02- 0.45)
Tracheostomia (si vs no)	9.95 (0.87-113.46)
Peg (si vs no)	0.12 (0.02- 0.75)



Determinanti d'uso della terapia con Riluzolo: Umbria



Determinanti d'uso della terapia con Riluzolo

Caratteristiche associate ad una maggiore probabilità di non usare il riluzolo

- Età avanzata (75+)
- Ventilazione assistita invasiva
- Uso di farmaci per insufficienza respiratoria
- Malattie dell'apparato respiratorio
- Disturbi psichiatrici legati alla demenza
- Uso di farmaci per crampi e spasmi
- Uso di 6+ farmaci
- Uso di farmaci per crampi e spasmi
- PEG

**Indicatori di maggiore gravità della malattia /
complessità del paziente**

N.B.: si tratta di numeri piccoli e le evidenze non sono state confermate in tutte le regioni



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

Messaggi chiave

La percentuale dei pazienti con diagnosi di SLA che vengono trattati con riluzolo dimostra una variabilità tra le regioni in studio

L'uso di farmaci sintomatici è frequente

Una maggiore gravità e complessità del paziente può portare ad una minore probabilità di essere trattati con riluzolo

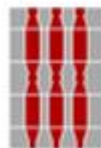


Comparative Effectiveness and Safety
of Drugs used in Rare Neuromuscular
and Neurodegenerative Diseases

Grazie per l'attenzione



UNIVERSITÀ DI PISA



Regione Umbria



Azienda Ospedaliera di Perugia

