

HIV e HCV: alla ricerca di nuovi modelli organizzativi “sostenibili”. Quale è il ruolo della Real World Evidence?

NAPOLI, VILLA DORIA D’ANGRI

15 DICEMBRE 2017

DAI REAL WORLD DATA ALLA REAL WORLD EVIDENCE

G. Carla Sorrentino, statistico sanitario

Definizioni di RWD e RWE

Secondo l'International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR) per Real World Data (RWD) si intende quell'insieme di dati “che vengono raccolti fuori dagli studi clinici controllati interventistici tradizionali nelle circostanze di vita reale”.¹

1. <https://www.ispor.org/News/articles/Oct07/RLD.asp>

La Real World Evidence (RWE) è l'evidenza scientifica che si produce a partire dai RWD e quindi dopo che un farmaco entra in commercio.

Patients are more complex in clinical practice than in clinical trials

RCTs



Homogenous population
Optimal compliance
Excludes complex patients
Excludes co-morbidities

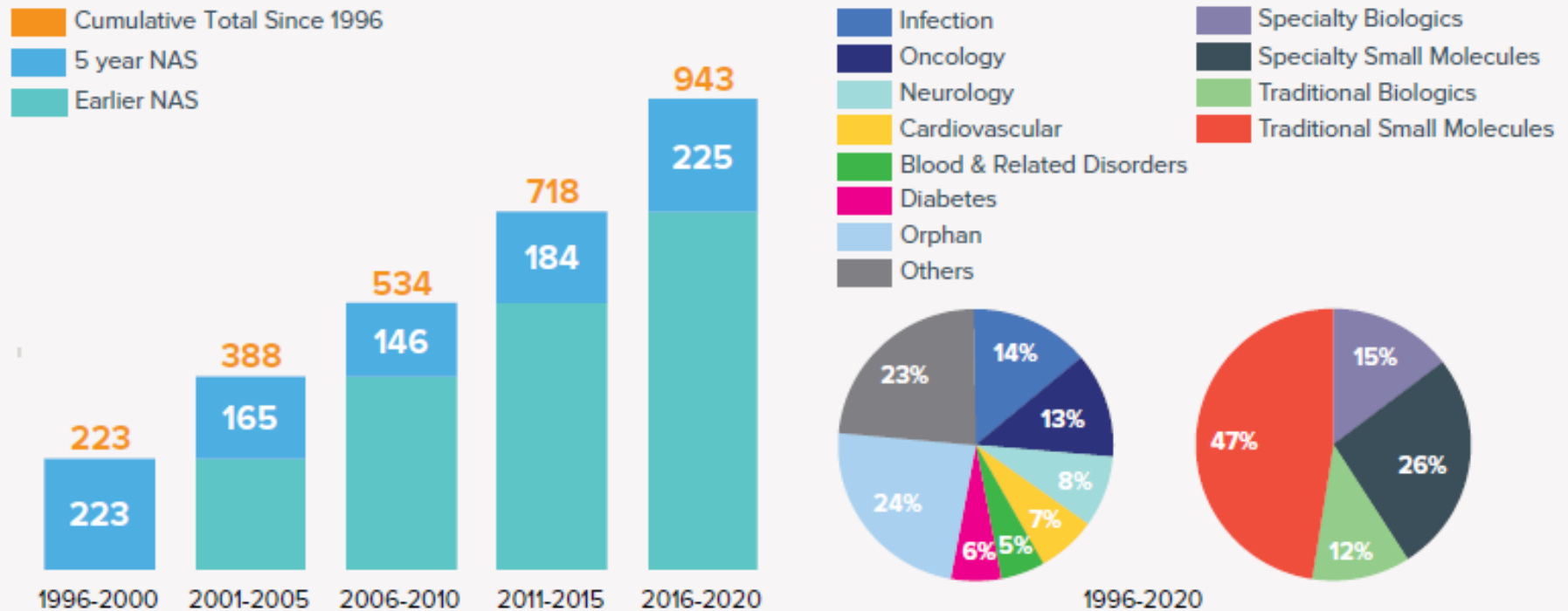
Real-world data



Heterogeneous population
Real-world compliance
Includes complex patients
(PWID, psychiatric, etc.)
Multiple co-morbidities

Efficacy versus effectiveness

Global New Active Substances (NAS) Available Since 1996



Source: Global Medicines Use in 2020. Report by IMS Institute for Healthcare Informatics, Nov 2015

Fonte: Global Medicines Use in 2020. Report by IMS Institute for Healthcare Informatics, Nov 2015

Il contributo della RWE in sanità

Tenuto in considerazione la complessità dei nuovi farmaci e gli elevati costi la RWE, unitamente alla conduzione di una valida ricerca clinica, rappresenta uno dei pilastri fondamentali per una corretta governance.

Principali applicazioni della RWE

ricerca clinica

studio dell'efficacia (*effectiveness*) e la sicurezza delle cure

Reazioni avverse più rare

Eventi avversi che si verificano a distanza di molto tempo dall'assunzione di un farmaco

Sottogruppi di popolazioni di pazienti che non sono stati studiati

Contribuiscono a definire il profilo beneficio rischio di un nuovo farmaco non solo in maniera assoluta ma relativamente a tutte le alternative terapeutiche

sanità pubblica

strumento di governo per assumere decisioni *evidence based* che sappiano conciliare salute del cittadino e sostenibilità del sistema

RWD – fonti primarie

I dati sono raccolti per rispondere ad uno specifico quesito clinico



raccolta prospettica dei dati

non si sono ancora verificati né l'esposizione alle cure né gli esiti di interesse

Trial clinici pragmatici (cercano di mimare le condizioni di real world) studi clinici randomizzati utilizzano criteri di inclusione/esclusione dei pazienti meno rigidi rispetto ai convenzionali RCT preregistrativi, e considerano esiti il cui impatto clinico sia più vicino possibile a quello osservato nella pratica clinica;

Dati osservazionali da studi di coorte prospettici che non prevedono la randomizzazione dei pazienti ma utilizzano principi, metodi ed obiettivi dei RCT.

RWD – fonti secondarie

I dati sono raccolti per ragioni diverse da quelle legate alla produzione di evidenze, ovvero per scopi gestionali/amministrativi



Fonti di dati retrospettive

si sono già verificati sia l'esposizione alle cure che gli esiti di interesse



sono fonti **interconnettibili** poiché sono riconducibili all'individuo a cui sono riferite attraverso un codice identificativo.

RWD – fonti secondarie

Flussi SSN

- Anagrafe assistiti
- Farmaceutica territoriale
- Distribuzione diretta farmaci
- Schede di dimissione Ospedaliera - SDO
- Specialistica ambulatoriale
- Esenzioni
- Altri tra i quali l'assistenza al parto (scheda CEDAP), le vaccinazioni e ogni altra forma di assistenza garantita dai Livelli Essenziali di Assistenza (LEA)

Altre fonti istituzionali

- Dati Istat
- Registri AIFA dei farmaci sottoposti a monitoraggio

Fonti non istituzionali

ad es. registri di patologia, *networks* di medici di medicina generale e di pediatri di libera scelta.....

RWD – interconnessione dei flussi SSN

L'interconnessione delle banche dati a livello centrale è una procedura di assegnazione del **codice univoco nazionale**, in sostituzione del codice fiscale, per tutti i trattamenti oggetto d'interconnessione.

La procedura per l'assegnazione del codice univoco nazionale è strutturata in modo da non consentire l'identificazione diretta dell'interessato durante il trattamento dei dati personali.

Caratteristica comune dei flussi SSN di rilevazione delle prestazioni erogate, è che i dati individuali vengono inviati attraverso un codice univoco che le Regioni sostituiscono al Codice Fiscale dell'assistito - in coerenza con le disposizioni ministeriali.

Il Decreto 7 dicembre 2016, n. 262 prevede un sistema di anonimizzazione nazionale dei dati sanitari che non è ancora disponibile.

i sistemi di anonimizzazione a livello regionale hanno coperture difformi per tipo di flussi interessati e arco temporale coperto

Tradurre i dati in evidenze in grado di orientare le decisioni

REAL WORLD DATA E REAL WORLD EVIDENCE: considerazioni e proposte da un network di società scientifiche

DOCUMENTO RWE - SOCIETÀ SCIENTIFICHE CHE HANNO DATO IL SOSTEGNO

SIF	Società Italiana di Farmacologia
SISMEC	Società Italiana di Statistica Medica ed Epidemiologia Clinica
ISPOR Italy Rome Chapter	ISPOR Italy Rome Chapter
FADOI	Federazione delle Associazioni dei Dirigenti Ospedalieri Internisti
CSCV	Consulta delle Società Scientifiche per la Riduzione del Rischio Cardiovascolare
SIR	Società Italiana di Reumatologia
SIIA	Società Italiana per l'Ipertensione Arteriosa – Lega Italiana contro l'Ipertensione Arteriosa
SIHTA	Società Italiana di Health Technology Assessment
SID	Società Italiana di Diabetologia
SISA	Società Italiana per lo Studio della Aterosclerosi
SIMI	Società Italiana di Medicina Interna
SIFO	Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei Servizi Farmaceutici delle Aziende Sanitarie
SICOA	Società Italiana di Cardiologia e Ospedalità Accreditata
SITOX	Società Italiana di Tossicologia
SSFA	Società di Scienze Farmacologiche Applicate
SIP	Società Italiana di Pediatria
SIPREC	Società Italiana per la Prevenzione Cardiovascolare
Digital SIT	Società Italiana per la salute digitale e la Telemedicina
SIN	Società Italiana di Neurologia
SIP/IRS	Società Italiana di Pneumologia / Italian Respiratory Society
SIC	Società Italiana di Cardiologia

Aprile 2017

Tradurre i dati in evidenze in grado di orientare le decisioni

.....il problema non marginale che dovremmo affrontare è quello di “tradurre” tali dati in evidenze in grado di orientare le decisioni.

.....mentre i dati (RWD) sono semplici materie prime da sole non informative, l’evidenza (RWE) presuppone l’organizzazione dei dati stessi e il loro trattamento secondo un piano di ricerca predefinito (protocollo) e la conseguente presentazione e interpretazione dei metodi e dei risultati in un documento (report).

.....le norme di buona pratica della ricerca clinica, ampiamente accettate e condivise nel setting sperimentale, e in quello osservazionale prospettico, devono necessariamente essere adattate al contesto dei RWD e della RWE se si vuole dare credibilità all’approccio in esame (ovvero fornire al decisore evidenze credibili emerse dall’osservazione “pianificata” dei percorsi sperimentati dai beneficiari del SSN).

La carenza delle informazioni dei RWD

QUALITA' E COMPLETEZZA DEI DATI

Una prestazione rimborsabile dal SSN, effettivamente erogata a un cittadino, è difficilmente omessa dal sistema di registrazione, perché questo comporterebbe il mancato rimborso al servizio che l'ha erogata.

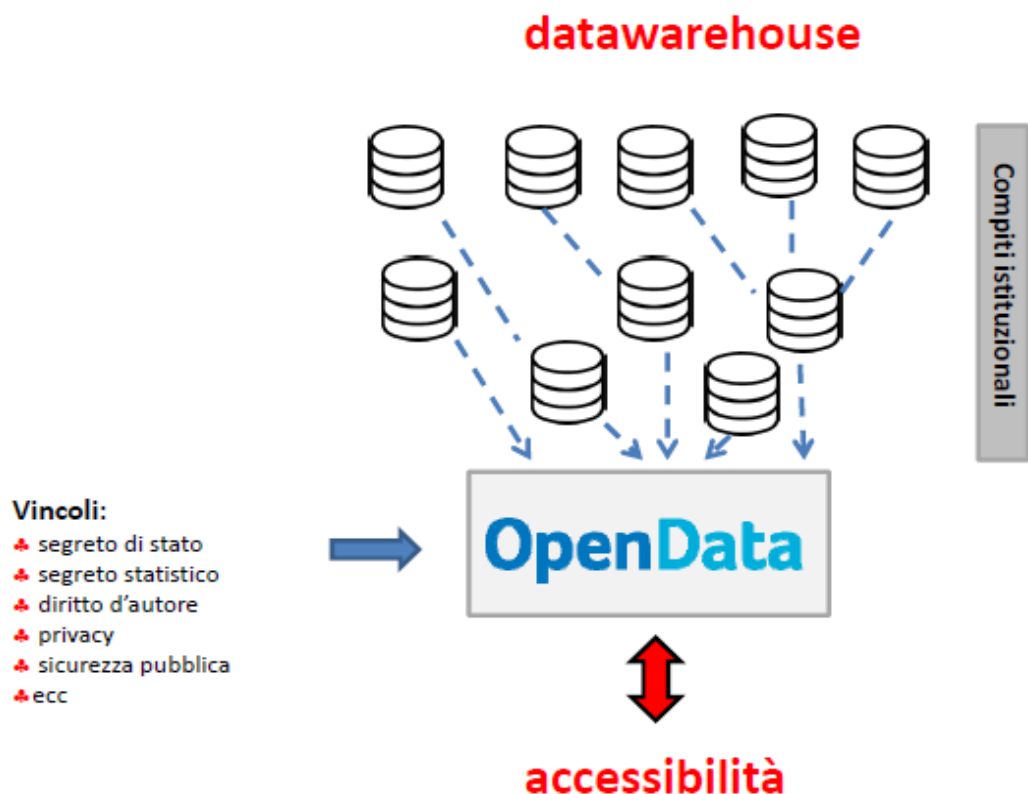
I database amministrativi sono funzionali a documentare l'erogazione della prestazione:

non riportano informazioni sulla malattia alla base della prestazione erogata, la sua severità/stadio, le malattie concomitanti, il dosaggio dei farmaci prescritti, l'indice di massa corporea, la pressione arteriosa, i valori degli esami di laboratorio, le abitudini di vita, ecc..

La ricerca clinica che utilizza i RWD si basa su approssimazioni.

Necessità di robusti piani osservazionali e adeguate metodologie di analisi in grado di tener nella corretta considerazione la complessità dei fenomeni e generare credibili evidenze.

Accessibilità ai RWD



I dati aperti sono dati che possono essere liberamente utilizzati, riutilizzati e ridistribuiti da chiunque, eventualmente soggetti alla necessità di citarne la fonte e di condividerli con lo stesso tipo di licenza con cui sono stati originariamente rilasciati.

Interoperabilità: possibilità di combinare diverse basi dati e quindi sviluppare nuovi e migliori prodotti/servizi.

Livelli di openness

OL : Open Licence



Il dato è disponibile sul web (in qualsiasi formato) con una licenza aperta

RE : REadable



dati strutturati ma codificati con un formato proprietario: ad esempio Microsoft Excel

OF : Open Format



dati strutturati e codificati in un formato non proprietario: ad esempio il formato .csv (*Comma Separated Values*)

UR : Uniform Resource identifier



<http://data....>

dati strutturati e codificati in un formato non proprietario che sono dotati di un URI (*Identificatore Univoco di Risorsa*) che li rende indirizzabili sulla rete e quindi utilizzabili direttamente online

LD : Linked Data

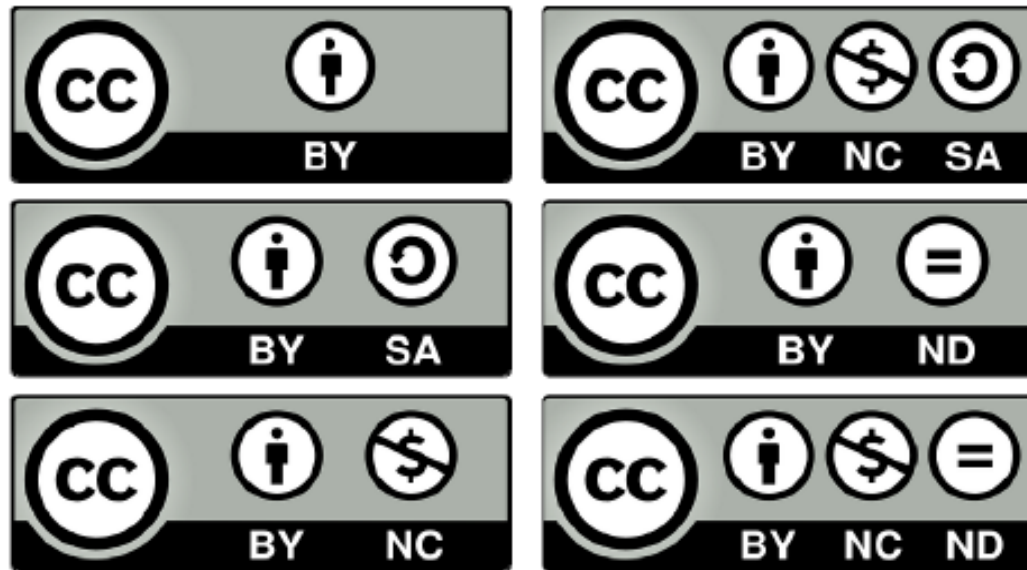


Il dato rispetta tutti gli altri criteri e inoltre contiene collegamenti ad altri dati (W3C: Web semantico)

Tim Berners Lee (inventore del World Wide Web)



Modalità di utilizzo



Attribuzione	(BY)
Non commerciale	(NC)
Non opere derivate	(ND)
Condividi allo stesso modo	(SA)

Esempio 1

The screenshot shows the FDA website's navigation bar with the U.S. Department of Health and Human Services logo and the FDA U.S. Food & Drug Administration logo. A search bar is present with the text "Search FDA". Below the navigation bar, a menu lists various product categories: Home, Food, Drugs, Medical Devices, Radiation-Emitting Products, Vaccines, Blood & Biologics, Animal & Veterinary, Cosmetics, and Tobacco Products. The main content area is titled "Drugs" and includes a breadcrumb trail: Home > Drugs > Guidance, Compliance & Regulatory Information > Surveillance > FDA Adverse Events Reporting System (FAERS). A sidebar on the left contains links to "FDA Adverse Events Reporting System (FAERS)", "FDA Adverse Event Reporting System (FAERS): Latest Quarterly Data Files", "FDA Adverse Events Reporting System (FAERS) Public Dashboard", "Potential Signals of Serious Risks/New Safety Information Identified from the FDA Adverse Event Reporting System (FAERS)", and "FDA Adverse Events Reporting System (FAERS) Electronic Submissions". The main heading is "FDA Adverse Event Reporting System (FAERS): Latest Quarterly Data Files". Below the heading are social sharing icons for Facebook, Twitter, LinkedIn, Pinterest, Email, and Print. The text explains that the files contain raw data extracted from the AERS database and are not cumulative. It also notes that users need to be familiar with relational databases and provides instructions on how to search for data, including a link to a FOIA request page. A list of quarterly data files is provided, including their formats and time ranges. Contact information for the FDA/CDER Office of Surveillance and Epidemiology is also included.

U.S. Department of Health and Human Services

FDA U.S. FOOD & DRUG ADMINISTRATION

A to Z Index | Follow FDA | En Español

Search FDA

Home | Food | Drugs | Medical Devices | Radiation-Emitting Products | Vaccines, Blood & Biologics | Animal & Veterinary | Cosmetics | Tobacco Products

Drugs

Home > Drugs > Guidance, Compliance & Regulatory Information > Surveillance > FDA Adverse Events Reporting System (FAERS)

FDA Adverse Events Reporting System (FAERS)

FDA Adverse Event Reporting System (FAERS): Latest Quarterly Data Files

FDA Adverse Events Reporting System (FAERS) Public Dashboard

Potential Signals of Serious Risks/New Safety Information Identified from the FDA Adverse Event Reporting System (FAERS)

FDA Adverse Events Reporting System (FAERS) Electronic Submissions

FDA Adverse Event Reporting System (FAERS): Latest Quarterly Data Files

SHARE | TWEET | LINKEDIN | PIN IT | EMAIL | PRINT

The files listed on this page contain raw data extracted from the AERS database for the indicated time ranges and are not cumulative.

Users of these files need to be familiar with creation of relational databases using applications such as ORACLE®, Microsoft Office Access, MySQL® and IBM DB2 or the use of ASCII files with SAS® analytic tools.

A simple search of FAERS data cannot be performed with these files by persons who are not familiar with creation of relational databases. However, you can get a summary FAERS report for a product by [sending a Freedom of Information Act \(FOIA\) request](#) to FDA. You can also request individual case reports by [submitting a FOIA request](#) listing case report numbers. You can get older AERS data files from the [Quarterly Legacy AERS Data Files page](#).

The quarterly data files, which are available in ASCII or SGML formats, include:

- demographic and administrative information and the initial report image ID number (if available);
- drug information from the case reports;
- reaction information from the reports;
- patient outcome information from the reports;
- information on the source of the reports;
- a "README" file containing a description of the files.

For assistance, please email the FDA/CDER Office of Surveillance and Epidemiology, Division of Medication Errors and Technical Support: cderosetracking@fda.hhs.gov

Attiva Windows

FAERS Data Files

Click on a Link Below to Begin Downloading

- [FAERS_ASCII_2017q2 \(ZIP - 41.3MB\)](#)
April - June 2017
- [FAERS XML 2017q2 \(ZIP - 76.1MB\)](#)
April - June 2017
- [FAERS_ASCII_2017q1 \(ZIP - 42.6MB\)](#)
January - March 2017
- [FAERS XML 2017q1 \(ZIP - 80.8MB\)](#)
January - March 2017
- [FAERS ASCII 2016q4 \(ZIP - 39.2MB\)](#)
October - December 2016
- [FAERS XML 2016q4 \(ZIP - 72.3MB\)](#)
October - December 2016



Public Domain

MEDSTAT.DK

[Home](#)[Groups of medicines](#)[ATC code](#)[Product name](#)[Download](#)[Data basis and description](#)

Download of metadata from medstat.dk

Here you can download metadata in search modules "ATC code" and "Product name". The data files are semi colon separated csv files. The data files and variables are described in the [download description](#). In addition to medstat data you find a data file containing population data by January 1st each year. Data is derived from [Statistics Denmark](#).

- [2014_atc_code_data.txt](#)
- [2014_product_name_data.txt](#)
- [2015_atc_code_data.txt](#)
- [2015_product_name_data.txt](#)
- [2016_atc_code_data.txt](#)
- [2016_product_name_data.txt](#)
- [atc_code_text.txt](#)
- [groups_of_medicines_data.txt](#)
- [groups_of_medicines_text.txt](#)
- [population_data.txt](#)
- [product_name_per_sector.txt](#)
- [product_name_text.txt](#)

LINKS AND DOCUMENTS

[Data basis and description](#)[ATC-system](#)[Download data](#)

Information


For medstat.dk we only use the latest updated DDD values and atc codes. If you have downloaded an earlier version of data you may need to download data once more to have the most updated version. Furthermore data may change between updates for other changes in The Register of Medicinal Product Statistics.

[Legal aspects of download.](#)

Last modified 16.03.2017

Attiva Windows

Passa a Impostazioni p



Agenzia Italiana del Farmaco

RAM

AIFA Attività Pillole dal Mondo Concorsi Bandi Modulistica e Linee Guida Open Data News Banca Dati Farmaci Farmaci-line Intranet

Cittadino Operatore Azienda Area stampa Servizi online

Home

Attività

- > Registrazione
- > Farmacovigilanza
- > Difetti di qualità
- > PCA - Programma di controllo annuale
- > Carenze e indisponibilità
- > [Batch Release per i medicinali immunologici e i medicinali derivati dal sangue e dal plasma \(umano\)](#)
- > Revoche di AIC su rinuncia del Titolare
- > Contrasto al crimine farmaceutico
- > Ispezioni
- > Negoziazione e rimborsabilità
- > Consumi e spesa farmaceutica
- > Innovazione. Supporto scientifico e regolatorio
- > Informazione indipendente
- > Sperimentazione e ricerca
- > Registri Farmaci sottoposti a monitoraggio
- > Rapporti Internazionali
- > Affari amministrativi
- > Qualità delle procedure e Controllo di gestione
- > Amministrazione Trasparente

Open Data



Con Dati aperti si fa riferimento alla dottrina per la quale alcune tipologie di dati in possesso delle Pubbliche Amministrazioni sono rese liberamente accessibili a tutti, senza restrizioni di copyright che ne limitino la riproduzione.

Il Codice dell'Amministrazione Digitale (art. 68 c. 3 lett. b) definisce "dati aperti" quei dati che presentano le seguenti caratteristiche:

- sono disponibili secondo i termini di una licenza che ne permetta l'utilizzo da parte di chiunque, anche per finalità commerciali, in formato disaggregato;
- sono accessibili attraverso le tecnologie dell'informazione e della comunicazione, ivi comprese le reti telematiche pubbliche e private, in formati aperti ai sensi della lettera a), sono adatti all'utilizzo automatico da parte di programmi per elaboratori e sono provvisti dei relativi metadati;
- sono resi disponibili gratuitamente attraverso le tecnologie dell'informazione e della comunicazione, ivi comprese le reti telematiche pubbliche e private, oppure sono resi disponibili ai costi marginali sostenuti per la loro riproduzione e divulgazione.

I dati sono organizzati in un catalogo che ne permette la consultazione e il download: è sufficiente selezionare la categoria di interesse e cliccare sull'icona per effettuare lo scaricamento del dato, all'interno della scheda di dettaglio.

Non è necessaria alcuna procedura di autenticazione per effettuare il download, si consiglia tuttavia di prendere visione della licenza d'uso a corredo, in quanto questa ne determina l'uso che si può fare del dato.

  La licenza di distribuzione dei dati utilizzata da AIFA la CC-BY (attribuzione) nella versione 4.0. Questa licenza permette a terzi di distribuire, modificare, ottimizzare ed utilizzare i dati, anche commercialmente, con l'obbligo di citare la fonte. Si rimanda, per maggiori informazioni, alla [licenza](#) e alla pagina di [Creative Commons](#). I dati personali pubblicati sono riutilizzabili solo alle condizioni previste dalla normativa vigente sul riuso dei dati pubblici (direttiva comunitaria 2003/98/CE e d. lgs. 36/2006 di recepimento della stessa), in termini compatibili con gli scopi per i quali sono stati raccolti e registrati, e nel rispetto della normativa in materia di protezione dei dati personali. Ulteriori informazioni nella pagina [Privacy](#).

AIFA rende disponibili i dati per facilitarne la consultazione, il riutilizzo e la distribuzione in diversi formati (xml, csv, pdf).

Il file csv (comma separated value) è un formato testuale che consente di distribuire dati in formato tabellare: possono essere letti con software open (calc di OpenOffice) o con software proprietari come Excel di Microsoft o semplicemente con editor testuale (NotePad).

Per ulteriori informazioni sugli Open Data, consultare il [Vademecum Open Data](#) e le ["Linee guida per la valorizzazione del patrimonio informativo pubblico - anno 2014"](#)

Open data: una risorsa collettiva per combattere la corruzione e favorire la conoscenza (Sondaggio Open Data AIFA)

- Dati su Organizzazione e Personale
- Dati su Provvedimenti AIFA
- Dati su incarichi e consulenze
- Dati su Sovvenzioni, contributi, sussidi, vantaggi economici
- Dati su Bandi di Gara e Contratti
- Dati sulle Liste dei Farmaci
- Dati sulla Farmacovigilanza
- Dati sulle Officine autorizzate

Esempio 4

linkedopendata

PIATTAFORMA SPERIMENTALE
PER I LOD DELL'ISTITUTO NAZIONALE DI STATISTICA



La piattaforma Linked Open Data (LOD) dell'Istat consente di accedere e navigare dati in formato open, sulla base di tecnologie e standard del web semantico. I LOD, interrogabili direttamente da qualsiasi applicazione, rispondono alle esigenze espresse dalle comunità di utilizzatori di disporre di dati standardizzati e interoperabili.

BASI TERRITORIALI

Interrogazioni guidate: Dati territoriali dell'anno 2011

VARIABILI CENSUARIE

Interrogazioni guidate:

Aggregazione per **partizioni territoriali subcomunali**

Aggregazione per **sistemi locali del lavoro**

SPARQL ENDPOINT

Interrogazioni libere: accesso diretto all'ENDPOINT SPARQL

DATASET/ONTOLOGIE

Download Dataset censuari

Download Ontologie del territorio e del censimento



I contenuti del sito sono soggetti al Creative Commons, per cui è possibile riprodurli, distribuirli, trasmetterli e adattarli liberamente purché se ne citi la fonte

[Home](#) / [note legali](#)

[[English](#)]

Note legali ASCOLTA

Clausola di esclusione di responsabilità

L'Istat non assume alcuna responsabilità:

- per eventuali errori od omissioni di qualsiasi tipo e per qualunque tipo di danno diretto, indiretto o accidentale derivante dalla lettura o dall'impiego delle informazioni pubblicate su questo sito;
- per l'accesso o l'uso del materiale contenuto in altri siti ad esso collegati.

La presente clausola di esclusione di responsabilità non ha lo scopo di eludere il rispetto dei requisiti prescritti dalla legislazione nazionale vigente, né di escludere la responsabilità nei casi per i quali essa sussiste ai sensi della stessa legislazione.

Licenza CC-by



Salvo diversa indicazione, tutti i contenuti pubblicati su questo sito sono soggetti alla licenza [Creative Commons - Attribuzione - versione 3.0](#).

È dunque possibile riprodurre, distribuire, trasmettere e adattare liberamente dati e analisi dell'Istituto nazionale di statistica, anche a scopi commerciali, a condizione che venga citata la fonte.

Non è necessaria alcuna autorizzazione per creare collegamenti ipertestuali verso le pagine di questo sito.

Le immagini, i loghi (compreso il logo dell'Istat), i marchi registrati e gli altri contenuti di proprietà di terzi appartengono ai rispettivi proprietari e non possono essere riprodotti senza il loro consenso.

In evidenza

- [Calendario](#) delle diffusioni e degli eventi
- [Territorio e cartografia](#)
- [Piattaforma on line per la formazione statistica](#)
- [Questionario sulla soddisfazione degli utenti](#) e sulla qualità delle statistiche prodotte

Quadri informativi

- [La violenza](#) sulle donne
- [Sistema informativo #giovani](#)
- [Sistema informativo #anziani](#)
- [Immigrati](#) e nuovi cittadini
- [Sistema sulle professioni](#)
- [Congiuntura](#) economica

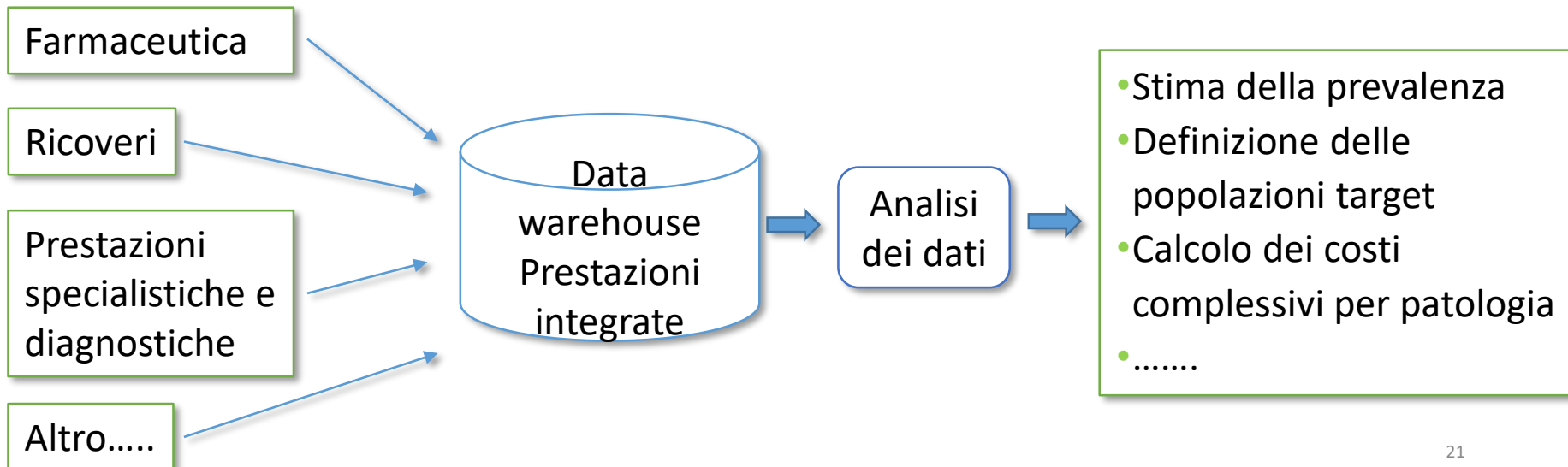


RWD per l'analisi dei costi assistenziali integrati

Superamento della logica dei compartimenti stagni dei silos



Valutazione dell'impatto dell'innovazione sull'evoluzione dei sistemi di cura all'interno del processo di erogazione dei servizi sanitari

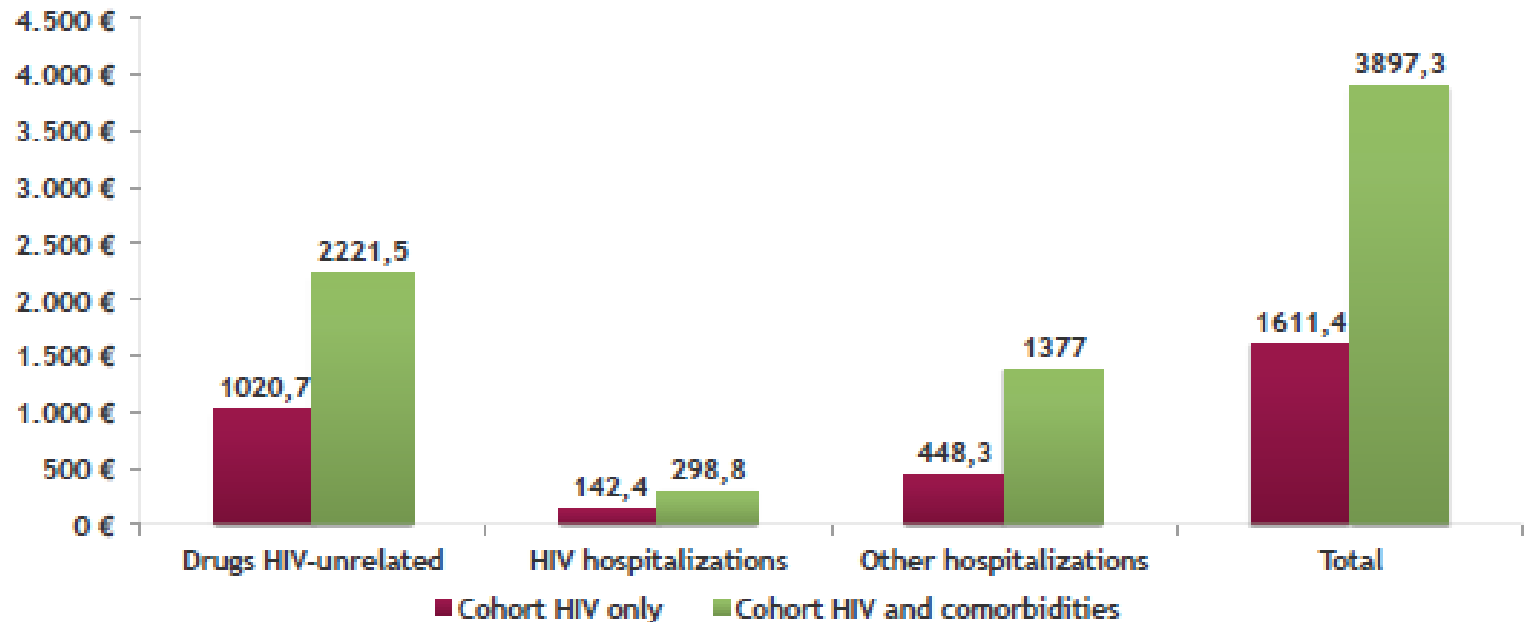


Studio osservazionale retrospettivo di coorte basato su dati amministrativi e di laboratorio di 7 ASL italiane

Prevalenza d'uso di farmaci in pazienti con HIV: confronto con la prevalenza d'uso nella popolazione generale (anno 2014)

	Anti-hypertensives	Lipid-lowering agents	Anti-diabetic	Drugs for COPD	Drugs for osteoporosis	Drugs for major depressive disorder	Antacid or antisecretory agents
General Pop.	28.0	11.5	5.4	13.0	1.8	6.1	21.1
Gender							
Male	26.5	11.7	5.8	11.9	0.3	3.9	18.7
Female	29.4	11.4	5.0	14.0	3.3	8.3	23.4
Age groups							
≤45	3.2	0.7	0.4	9.0	0.0	2.7	6.9
46-65	28.4	10.6	4.9	10.6	1.2	6.4	20.1
66-75	61.8	30.7	13.8	16.4	4.7	9.6	40.6
>75	77.6	31.8	14.9	19.8	6.8	13.7	52.8
Study group	44.3	22.5	15.7	34.6	3.6	15.4	47.9
Gender							
Male	46.4	22.3	17.3	32.4	1.7	6.1	45.8
Female	40.6	22.8	12.9	38.6	6.9	31.7	51.5
Age groups							
≤45	6.5	8.7	8.7	32.6	0.0	10.9	28.3
46-65	42.2	25.3	12.7	34.3	3.6	14.5	47.0
66-75	75.0	22.9	22.9	41.7	6.3	25.0	64.6
>75	75.0	30.0	40.0	25.0	5.0	10.0	60.0

Figure 3. Annual average cost of illness* (€)



Note. *excluding cost of HIV-related drugs

«.....si può arrivare a forzare a tal punto i limiti degli studi preregistrativi da fare apparire come preferibile, o inevitabile, il loro almeno parziale superamento attraverso il ricorso alla RWE. Si colloca in questa prospettiva la proposta dell'adaptive licensing (o adaptive pathways), e cioè di un sistema registrativo dei farmaci nel quale si sposta una parte importante delle prove attualmente richieste per l'autorizzazione, in un secondo tempo, quando il farmaco è già in commercio¹.

Il fatto è che tutte le volte che si accelera l'immissione in commercio i pazienti corrono più rischi.

Il che può essere accettabile nel caso di farmaci efficaci nel trattamento di condizioni oggi prive di una terapia adeguata.

Non è invece ragionevole quando si dispone di trattamenti consolidati.»

L'utilizzo della RWE non deve diventare un'alternativa a un processo di registrazione rigoroso, poiché non ci sarebbe alcun vantaggio né per i pazienti né per i servizi sanitari.

1. Eichler HG, Baird LG, Barker R, et al. From adaptive licensing to adaptive pathways: delivering a flexible lifespan approach to bring new drugs to patients. *Clin Pharmacol Ther* 2015; 97: 234-46.

HIV e HCV: alla ricerca di nuovi modelli organizzativi “sostenibili”. Quale è il ruolo della Real World Evidence?

NAPOLI, VILLA DORIA D'ANGRI

15 DICEMBRE 2017

GRAZIE PER L'ATTENZIONE