

«Real World Evidence»

Nuovi target terapeutici in Ematologia

“Real World Evidence”
Nuovi target terapeutici
in ematologia



deriva da un'esigenza fondamentale.....

Dr. Proc. Paolo Porziotta
NOTAIO

REGISTRATO A BARLETTA
IL 21/12/2009
N. 9465 serie AT

N. 23974 di Repertorio N. 11822 di Raccolta
COSTITUZIONE DI ASSOCIAZIONE TEMPORANEA DI SCOPO E CONFERIMENTO DI MANDATO COLLETTIVO SPECIALE CON RAPPRESENTANZA PER LA GESTIONE DEL PROGETTO:
"RETE EMATOLOGICA PUGLIESE"

- **Intraprendere** un lavoro condiviso su aspetti di comune interesse di carattere scientifico e organizzativo.
- **Definire** una forte caratterizzazione e specificità degli impegni di assistenza delle Strutture di Ematologia rispetto al panorama della oncologia pugliese.
- **Costruire** un "network" organizzativo e professionale, in cui vengano raccolte e discusse le problematiche dell'Ematologia regionale, i dati rilevanti delle attività realizzate, le collaborazioni, l'uso efficiente delle risorse, i percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali, le appropriatezze, gli outcomes dei pazienti, i modelli clinico-organizzativi ed il confronto e integrazione strutturata con i livelli decisionali della programmazione sanitaria regionale.

REPUBBLICA ITALIANA

BOLLETTINO UFFICIALE

DELLA REGIONE PUGLIA

Poste Italiane S.p.A. - Spedizione in Abbonamento Postale - 70% - DCB S1/8Z
Anno XLI BARI, 28 APRILE 2010 N. 76

DELIBERAZIONE DELLA GIUNTA REGIONALE 25 marzo 2010, n. 912

L.R. n. 23/08 "Piano Regionale di Salute 2008-2010". Istituzione "Rete Ematologia Pugliese" - Costituzione Coordinamento regionale.

OBIETTIVI GENERALI DELLA RETE

Aggregazione funzionale ed integrata di Unità Operative Ematologiche Pugliesi in RETE che operi nel rispetto dell'autonomia clinica ed assistenziale delle singole componenti.

Gestione coordinata delle procedure diagnostiche e terapeutiche per migliorare l'accesso alle Unità Operative e pari opportunità di diagnosi e trattamento.

.....**curare bene i pazienti, raccogliendo, condividendo ed utilizzando le informazioni cliniche in un network ampio, come la REP, nata proprio per**

- *intraprendere un lavoro condiviso...*
- *costruire un network organizzativo e professionale...*
- *gestire in modo coordinato tutte le procedure diagnostiche e terapeutiche...*
- *garantire a tutti i pazienti pugliesi pari opportunità di diagnosi e terapia...*
- *implementare registri di patologia...*
- *registrare efficacia e sicurezza nella vita reale dei nuovi trattamenti...*
- ...

«Real World Evidence»

Nuovi target terapeutici in Ematologia



L'evento rappresenta un'occasione per verificare il nostro modo di utilizzare i nuovi farmaci nelle varie emopatie, di rivedere i modelli ed i percorsi clinici in cui vengono usati, la loro efficacia, gli effetti collaterali e la loro gestione, andando però a rivedere anche quelli che sono i risultati di questi farmaci nell'ambito degli studi clinici controllati e registrativi che arruolano pazienti con criteri di esclusione, che spesso non sono la maggioranza rispetto a quelli che successivamente utilizzeranno il nuovo farmaco.

La conoscenza dell'efficacia e tossicità dei nuovi farmaci non si risolve con la pubblicazione degli studi registrativi o con quello che viene riportato nella brochure dei farmaci, ma nella pratica quotidiana: infatti utilizziamo i nuovi farmaci cucendoli sul paziente, riducendo o interrompendo la somministrazione, prevenendo o correggendo effetti collaterali, registrando eventi avversi strani e non descritti.

E' la pratica quotidiana che allena all'utilizzo ed alla conoscenza delle nuove terapie.

MM

Pomalidomide
Daratumumab, Elotuzumab
Carfilzomib, Ixazomib

NMC Ph'-

Ruxolitinib

LMC

Glivec, Nilotinib,
Dasatinib, Bosutinib
Ponatinib

LH

Brentuximab
Nivolumab

LLC - LNH

Ibrutinib, Idelalisib
Venetoclax
Obinotuzumab

LMA - LLA

Azacitidina, Decitabina
Midostaurina
Blinatumumab, Inotuzumab

«Real World Evidence»

Nuovi target terapeutici in Ematologia



Lo studio clinico controllato (RCT) rimane lo strumento di ricerca più potente per verificare l'efficacy di un trattamento in condizioni controllate

RCT → efficacy

- Numero definito di pazienti
- Campione selezionato
- Condizioni controllate
- Monitoraggio intensivo
- Condotta in centri specializzati

RWE → effectiveness

- Numero elevato di pazienti
- Campione non selezionato
- Soggetti con polipatologie
- Compliance non sempre adeguata
- Aperto a tutte le istituzioni

Ma l'effectiveness va definita nelle condizioni reali di utilizzo e quindi nel Real World

«Real World Evidence»

Nuovi target terapeutici in Ematologia



Si tratta di una molteplicità di dati clinici derivanti da una molteplicità di fonti, incluse le cartelle cliniche elettroniche, le fatturazioni ospedaliere, i registri di prodotto e di malattia e i dati raccolti attraverso dispositivi personali o app che riguardano la salute.

La RWE è importante perché può orientare:

1. lo sviluppo delle terapie
2. la ricerca sugli esiti
3. l'assistenza ai malati
4. la ricerca sui sistemi sanitari
5. il miglioramento di qualità
6. la sorveglianza della sicurezza
7. gli studi sull'efficacia

L'utilizzo dei dati raccolti nella pratica clinica rappresenta un'opportunità:

1. per acquisire nuove informazioni sui farmaci
2. per migliorare le conoscenze sul profilo di sicurezza
3. per acquisire informazioni aggiuntive sui sottogruppi di popolazione poco studiati nelle sperimentazioni cliniche
4. per verificare la reale efficacia e quindi portare alla ridefinizione nel tempo delle condizioni di accesso, di prezzo e di rimborsabilità dei nuovi trattamenti
5. per continuare ad accumulare informazioni sul profilo rischio-beneficio durante tutta la vita di un farmaco