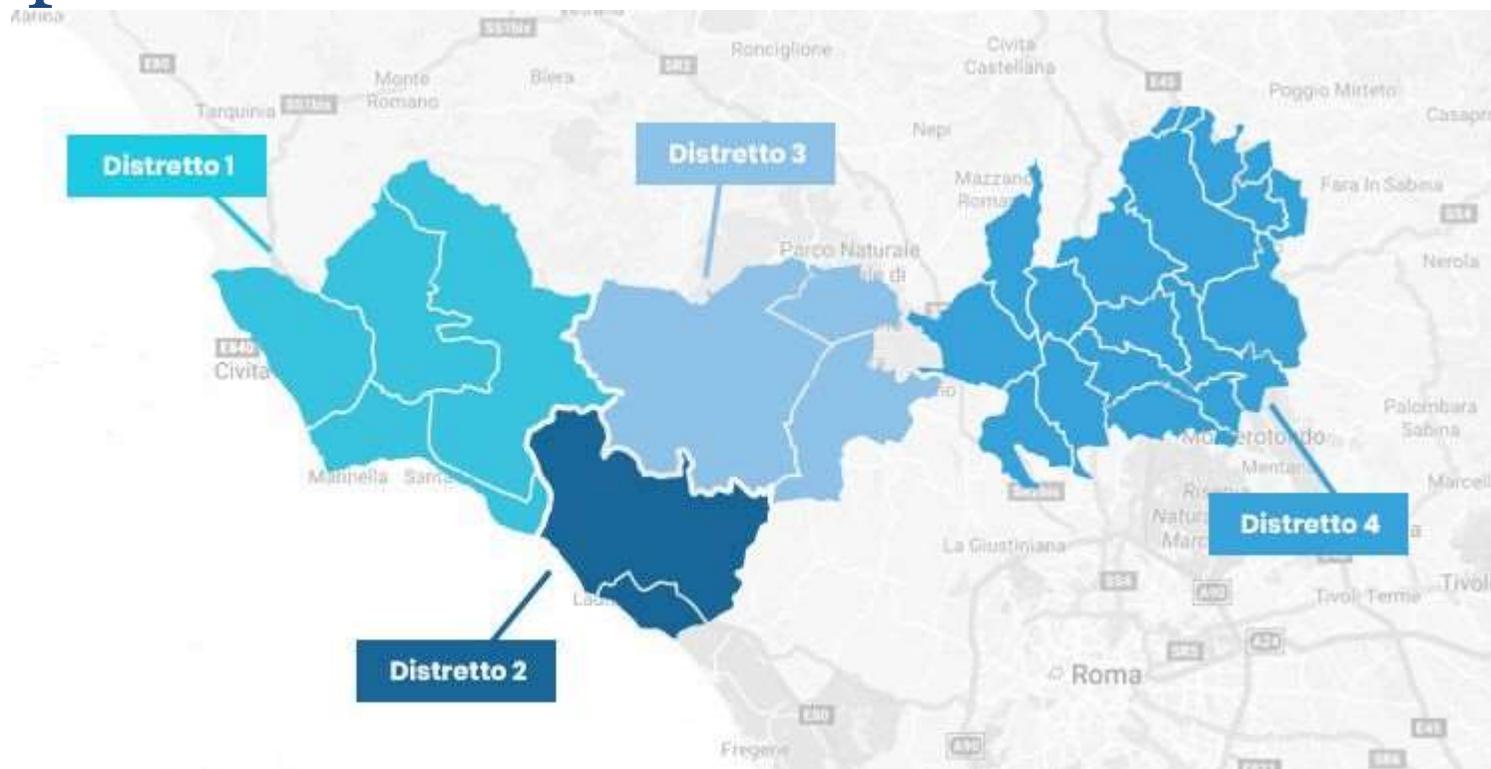


# Strategie di analisi della variabilità ed appropriatezza dell'uso dei farmaci nella sclerosi multipla

*XXVII Seminario Nazionale di Farmacoepidemiologia: “La valutazione dell'uso e della sicurezza dei farmaci: Esperienze in Italia”.*

*Istituto Superiore di Sanità 10-11 Dicembre 2018*

# Scelta della strategia di analisi della variabilità ed appropriatezza in SM



- Territorio si sviluppa entro un arco di oltre 160 km, da Nord-Est (marginari costieri) ad Ovest (prov. VT), per un'area pari a circa 1.317 km<sup>2</sup> e comprende 28 comuni, con popolazione pari a 323.595 abitanti e densità media di 246 abitanti per km<sup>2</sup>

Complessità per variabilità territoriale ed epidemiologica

# Razionale della scelta della patologia: SM e terapie Disease Modifying Therapies (DMT) e rationale della scelta degli strumenti di analisi delle variabilità ed appropriatezza

La SM è:

- una malattia imprevedibile e colpisce in modo differente
- non esiste un trattamento uguale per tutti
- coinvolge il paziente a lungo termine

Le attuali terapie per la RRSM sono:

- DMTs (Disease Modifying Therapies): contrastando la causa alla base dell'infiammazione puntano a rallentare la progressione della malattia, riducendo le ricadute.

Nelle LG e nella pratica clinica i medici devono tener presente ancor più di altre malattie delle preferenze dei pazienti riguardo:

- Sicurezza
- Via di somministrazione
- Effetti sulle abitudini di vita
- ADR frequenti
- Costo-efficacia

Il Dirigente Farmacista Territoriale diventa, in una realtà così complessa territorialmente ed epidemiologicamente, in assenza di Centri Prescrittori, l'unico in grado di monitorare l'aderenza terapeutica dei pazienti per ottenere un dato "real life" sui pazienti affetti da SM in trattamento con DMTs:

- ❖ Effectivness

- ❖ QALY (Quality Adjusted Life Years)

- Il campione di pazienti affetto da SMRR della ASL ROMA 4 analizzato è stato di n. 204 .
- La percentuale di incidenza della popolazione femminile rispetto a quella maschile è stata pari a quasi il doppio.
- L'aderenza terapeutica è stata valutata con elaborazione di un report unico, raccogliendo i dati di ogni singolo Distretto che evidenziava per ogni singolo paziente:
  - ❖ Molecole
  - ❖ Forma farmaceutica
  - ❖ Quantità teorica da posologia
  - ❖ Quantità realmente erogata
  - ❖ Eventuali switch
  - ❖ Costo-terapia

Da questo report si è pensato di realizzare un mini-HTA, utilizzando una delle 4 metodologie di valutazione del'HTA (Health Technology Assessment). Le 4 metodologie sono:

- **Analisi minimizzazione dei costi**
- **Analisi costo-beneficio**
- **Analisi costo-efficacia**
- **Analisi costo-utilità**

Nell'elaborazione del nostro mini-HTA è stata utilizzata la CUA (Cost/Utility Analysis), essendo particolarmente adatta alla valutazione di situazioni cliniche in cui l'intervento terapeutico modifica la qualità della vita e non necessariamente la sopravvivenza.

# Razionale per l'utilizzo della CUA nell'elaborazione del mini-HTA dei DMTs nella SM

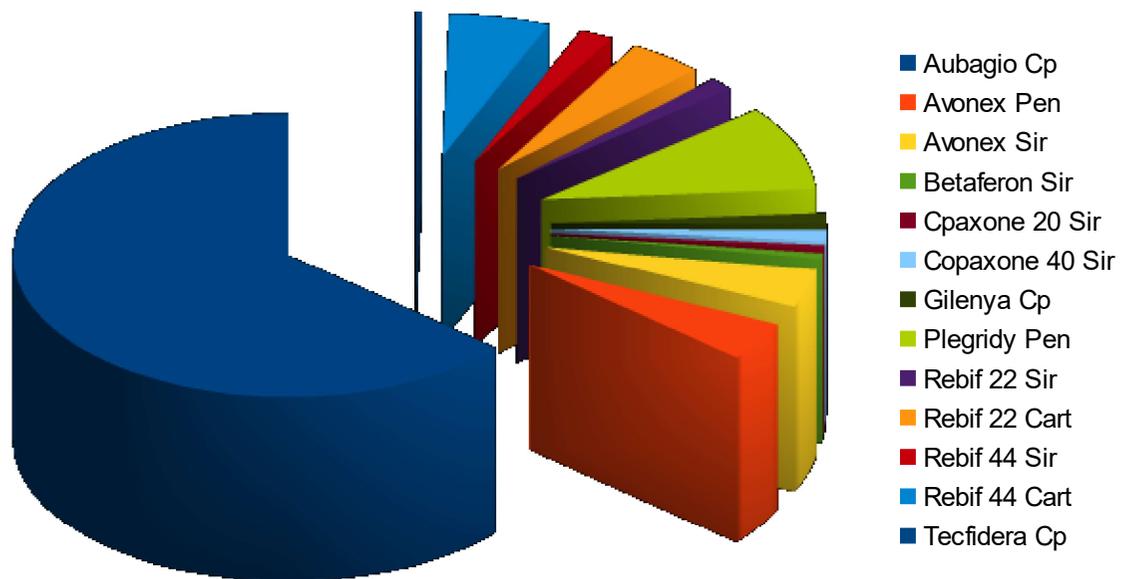
Il rationale è basato su due assunti:

- Che i DMTs sono in grado di prevenire le ricadute, rallentare la progressione di malattia, almeno una significativa riduzione della morbidity
- Che i DMTs non incidono sulla sopravvivenza, ma prevalentemente sulla qualità della vita del paziente

# Report annuale spesa 2017 DMTs ASL ROMA 4

| FARMA CO        | COSTO DD | DD EROGATE | TOTALE   |
|-----------------|----------|------------|----------|
| AUBAGIO CP      | 24,89    | 7868       | 195834,5 |
| AVONEX PENNE    | 172,45   | 436        | 75188,2  |
| AVONEX SIR      | 172,45   | 256        | 44147,2  |
| BETA FERON SIR  | 25,7     | 717        | 18426,9  |
| COPAXONE 20 SIR | 22,59    | 940        | 21234,6  |
| COPAXONE 40 SIR | 52,07    | 5496       | 286176,7 |
| GILENYA CP      | 49,9     | 9828       | 490417,2 |
| PLEGRIDY PENNE  | 377,75   | 94         | 35508,5  |
| REBIF 22 SIR    | 57,49    | 516        | 29664,84 |
| REBIF 22 CART   | 172,46   | 124        | 21385,04 |
| REBIF 44 SIR    | 77,3     | 568        | 43906,4  |
| REBIF 44 CART   | 231,89   | 998        | 231426,2 |
| TECFIDERA CP    | 15,22    | 25130      | 382478,6 |

# Report annuale spesa 2017 DMTs



# Mini-HTA CUA: Cost Utility Analysis

- Monetizzazione costo-terapia
- Espressione del beneficio in unità cliniche, incorporando la stima sia dell'aderenza terapeutica sia della qualità della vita (QALY) sia gli ICER
- Utilità ricavate dai dati registrativi EDSS
- Utilità ricavate dal punteggio medio EQ-5D

# Risultati campione ASL ROMA 4

n. 204 pazienti

- Teriflunomide: su n. 25 pazienti il 20% non aderenti
- Fingolimod: su n. 21 pazienti il 23,80% non aderenti
- Dimetil fumarato: su n. 45 pazienti il 24,44% non aderenti
- Interferone beta-1-a: su n. 14 pazienti il 21,45% non aderenti
- ***Interferone beta-1-b: su n. 9 pazienti il 44,44% non aderenti***
- Peg-inteferone-beta-1-a: su n. 6 pazienti il 33,33% non aderenti
- Interferone beta-1-a: su n. 37 pazienti il 13,51% non aderenti
- ***Glatiramer: su n. 45 pazienti il 8,88% non aderenti***

- La spesa complessiva per l'ASL ROMA 4 per n. 204 pazienti in terapia con i DMTs per l'anno 2017 è stata pari a euro 1.715.468,92
- La non-aderenza alle terapie dei DMTs ha un costo che influisce in modo negativo sul calcolo delle unità cliniche che stima i QALY
- Il costo della non-aderenza alle terapie dei pazienti affetti da SM nella ASL ROMA 4 è stato pari a euro 390.655,011

## *Conclusioni*

- Il farmaco che ha dimostrato la maggior aderenza è stato il Glatiramer (91,12%)
- Inglobando la stima del costo della non-aderenza sul calcolo delle CU si è ottenuto per Glatiramer:
  - valore stimato di RCE= euro 19.703,45 per QALY
  - valutazione RCE: da favorevole a molto favorevole

## *Conclusioni*

- I farmaci con maggior tasso di non-aderenza e valori più elevati di RCE per QALY sono stati:
  - a) dimetil fumarato valore stimato di RCE per QALY= euro 38.567,33 e valutazione RCE= favorevole
  - b) Fingolimod valore stimato di RCE per QALY= euro 38.567,33 e valutazione RCE= favorevole
  - c) interferone-1-b: valore stimato di RCE per QALY= euro 33.542,75 e valutazione RCE= favorevole

## *Conclusioni*

I dati sorprendenti dell'analisi condotta nella popolazione dell'ASL ROMA 4 affetta da SM e in terapia con farmaci DMTs sono stati:

- Una formulazione sottocute ha dimostrato maggiore aderenza terapeutica e migliori valori di RCE, nonostante siano presenti per il trattamento della SM molte formulazioni orali;

-

Grazie per la vostra pazienza

