

Popolazioni target e impatto economico dei nuovi farmaci – dati RWE



Convegno

**LE ANALISI SULL'USO DEI FARMACI:
METODI ED ESPERIENZE IN ITALIA
La**

15 giugno 2017

Nello Martini

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

Esperienze e modelli in Italia

Nelle procedure di rimborsabilità dei nuovi farmaci

- PCK-9
- Sclerosi Multipla – SM-PP

Nei modelli di BIA

Nella trasferibilità dei risultati dei RCTs

2

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

Esperienze e modelli in Italia

Nelle procedure di rimborsabilità dei nuovi farmaci

- PCK-9
- Sclerosi Multipla – SM-PP

Nei modelli di BIA

Nella trasferibilità dei risultati dei RCTs

3

RWE in Italia Modelli e progetti

Modelli - Progetti	Descrizione
OsMed-AIFA	Gli indicatori OsMed dell'AIFA
MATRICE	Il Progetto Matrice di Agenas
MeS – Sant'anna diPisa	Il sistema di valutazione delle performance
CORE - CINECA	Il Progetto AR-CO
FRAME	Il Progetto Bicocca
ACG	Il sistema ACG nella Regione Veneto
CReG	L'esperienza dei CReG nella Lombardia
Cronic Care Model	Il Cronic Care Model nell'ASL di Arezzo

RWE in Italia

Progetti e Ambiti di applicazione

Modelli - Progetti	Ambiti di applicazione
OsMed-AIFA	Nazionale
MATRICE - AGeNAS	Multiregionale
MeS – Sant’anna di Pisa	Multiregionale (14 Regioni)
CORE CINECA	Multiregionale (9 Regioni – 53 ASL)
FRAME	Multiregionale
ACG – Regione Veneto	Regione Veneto (21 ULSS)
CReG – Regione Lombardia	Regione Lombardia (10 ASL/POT – 19 Centri)
Cronic Care Model – Toscana	Regione Toscana ASL di Arezzo

Analisi dei modelli e dei progetti per clusters aggregati

Indicatori	OsMed AIFA	MATRICE Agenas	MES S. Anna	CORE CINECA	FRAME Bicocca	ACG Veneto	CReG Lombardia	Cronic Care Model Arezzo
Appropriatezza prescrittiva Aderenza al trattamento	+	+		+		+		
Performance delle Regioni			+					
Costi assistenziali patologie		+		+		+	+	
Popolazioni target	+			+	+	+		
Budget delle cure primarie				+		+	+	+
Integrazione reti cliniche							+	+
PDTA KPI				+	+			

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

Esperienze e modelli in Italia

Nelle procedure di rimborsabilità dei nuovi farmaci

- PCK-9
- Sclerosi Multipla – SM-PP

Nei modelli di BIA

Nella trasferibilità dei risultati dei RCTs

7

Big-Data RWE Flussi dei Dati

- Anagrafe assistiti
- Farmaceutica territoriale
- Distribuzione diretta farmaci
- Schede di dimissione Ospedaliera - SDO
- Specialistica ambulatoriale
- Esenzioni
- Dati Istat
- Altri

8

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

PCSK-9

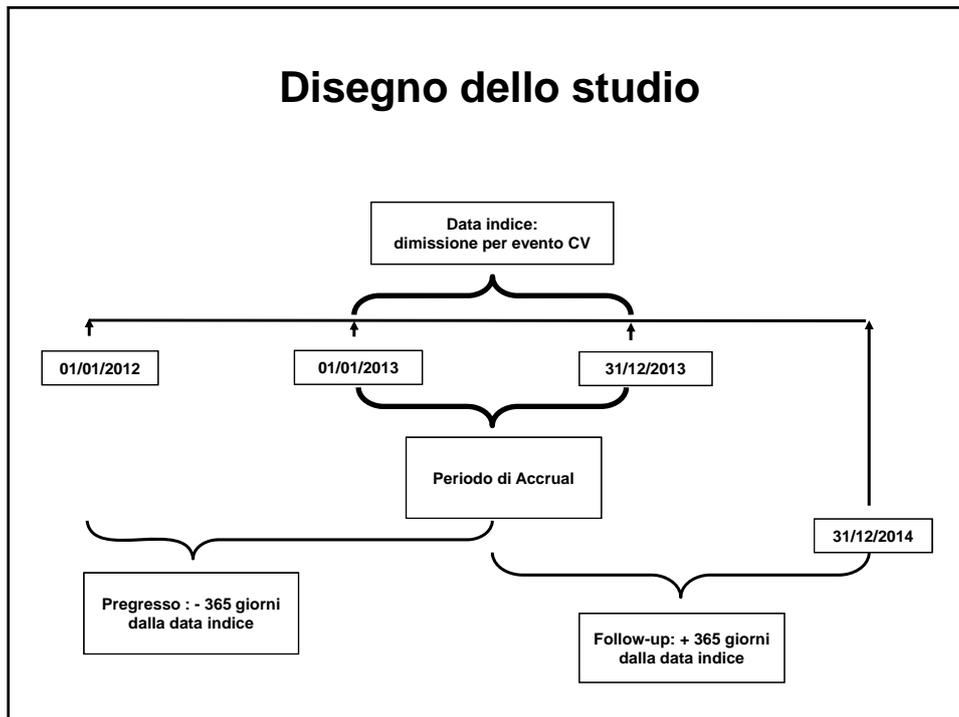
9

PCSK-9 Popolazione Target

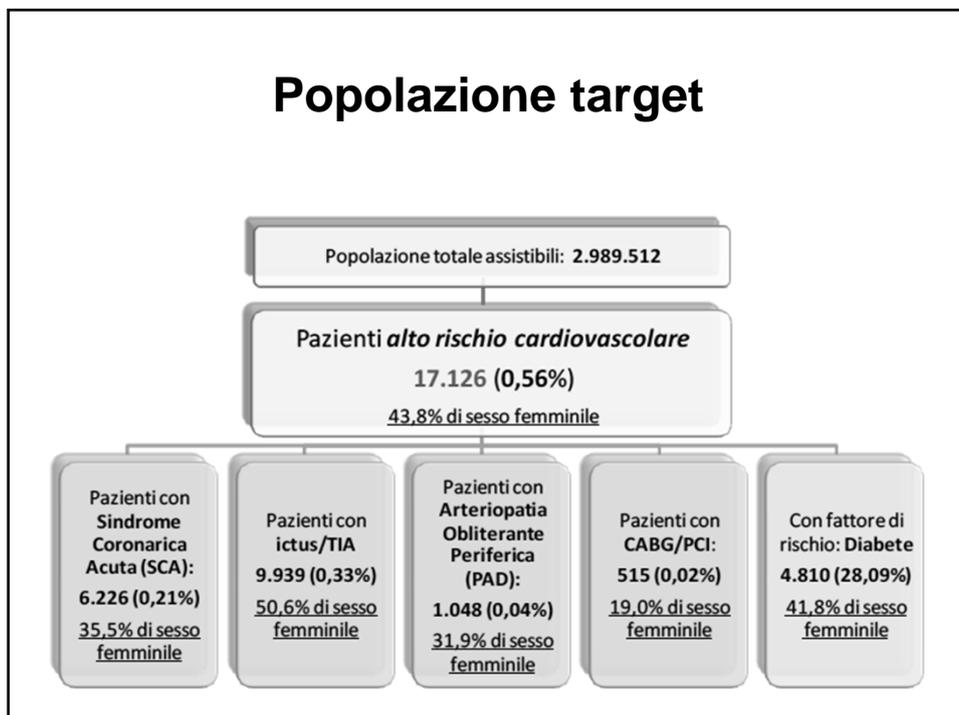
4 CRITERI

- pazienti vivi con evento CV (ricovero - SDO) nell'anno precedente
- in trattamento con statine +/- ezetimibe
- in trattamento con statine +/- ezetimibe ad alto dosaggio
- non a target : LDLc > 100 - > 130

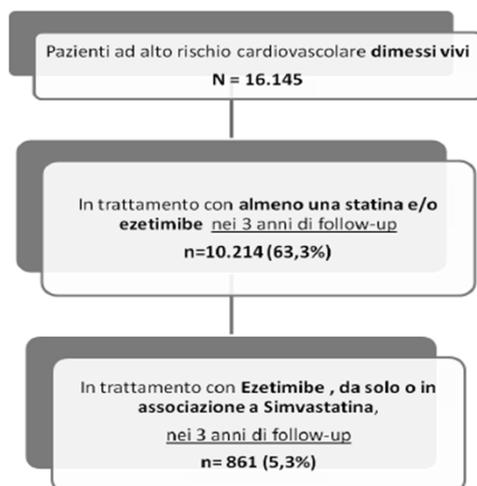
Disegno dello studio



Popolazione target



In trattamento con statine ± ezetimibe



Il **36,7%** dei pazienti con evento CV al follow up di 1 anno non sono trattati con statine ± ezetimibe

La terapia con statine nel follow-up per dosaggio alto – basso dosaggio

Principio attivo	Dosaggio alto/basso	Very high CV risk			
		Totale		Diabetici	
		N*	% trattati del gruppo	N*	% trattati del gruppo
Atorvastatina	Alto	1.183	65,9	301	60,9
	Basso	613	34,1	193	39,1
Simvastatina	Alto	64	21,0	18	19,4
	Basso	241	79,0	75	80,6
Rosuvastatina	Alto	64	37,4	27	37,5
	Basso	107	62,6	45	62,5
Simvastatina ed ezetimibe	Alto	51	100,0	24	100,0
Pravastatina	Basso	21	100,0	8	100,0
Fluvastatina	Basso	6	100,0	0	100,0
Lovastatina	Basso	3	100,0	1	100,0
Totale alto dosaggio		1.357	57,9	368	53,3
Totale basso dosaggio		985	42,1	322	46,7

Il **42,1%** dei pazienti è in terapia con statine a basso dosaggio

Studio CORE - MMG (Health Search)

Pazienti a rischio alto		
TRATTATI (n= 16297)		
a TARGET LDL<100	non a TARGET LDL>= 100	Tutti
6002 (36,83)	9883 (60,64)	15885 (97,47)

Il **60,6%** dei pazienti in terapia con statine non è a target

PCSK-9 Previsione dei pazienti trattati e della spesa in Italia

Pazienti adulti (> 18 anni)	Italia	
	Reclutabili	-Δ %
a) Con evento CV anno precedente	a) 328.414	100
b) In trattamento con statine ± ezetimibe dopo l'evento	b) 207.886	a) -36,7%
c) In trattamento con statine ± ezetimibe ad alto dosaggio	c) 120.366	b) -42,1%
d) Non a target (LDLc > 100)	d) 47.424	c) -60,6%
Spesa (milioni di €) – costo mensile netto : 5.000/6.000 € al netto del CS a 3 mesi	228 Mio €	

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

SM-PP

17

Materiali e metodi – Criteri per la selezione della coorte di pazienti con SM-PP

Nel periodo di accrual (anno 2013) - follow-up di 1 anno

Esenzioni	Presenza di esenzione per patologia per sclerosi multipla
-----------	---

e

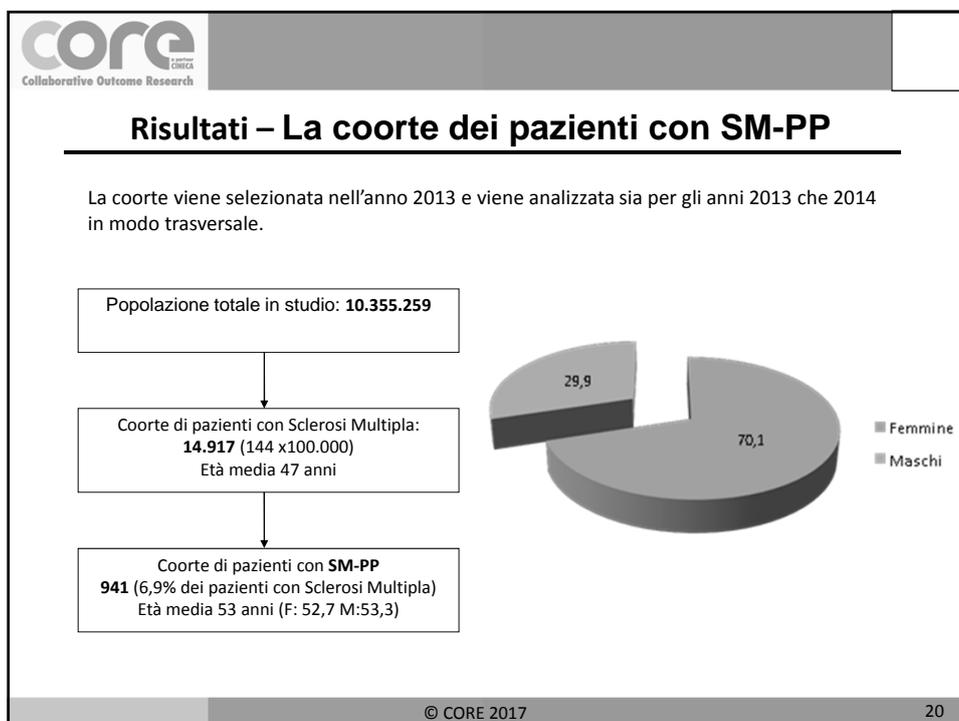
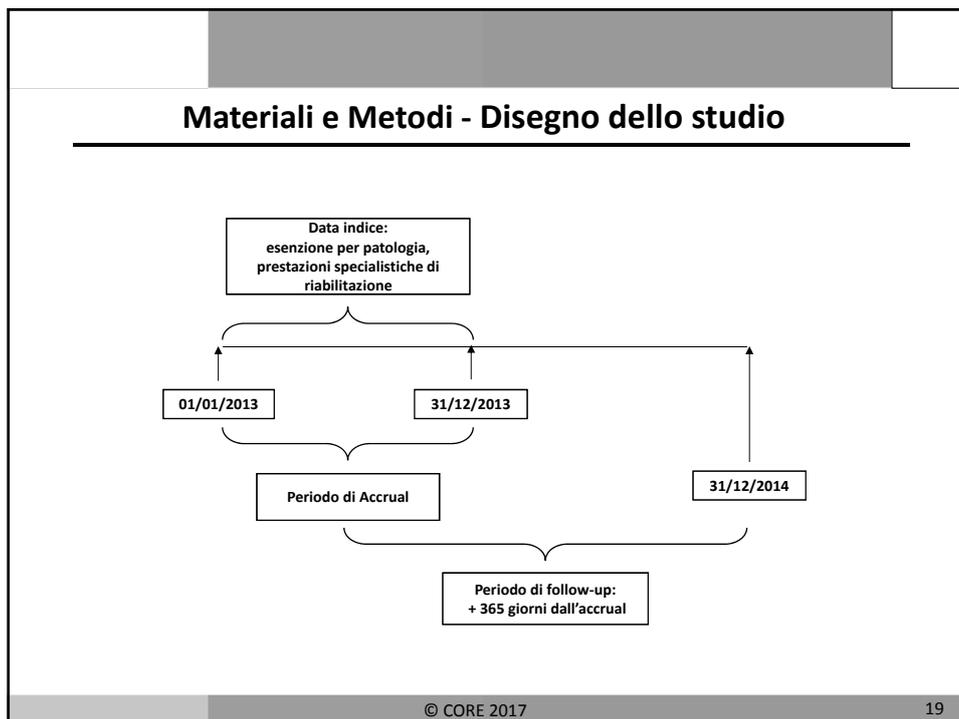
SDO / SPA	Presenza di prestazioni specialistiche di riabilitazione
-----------	--

e

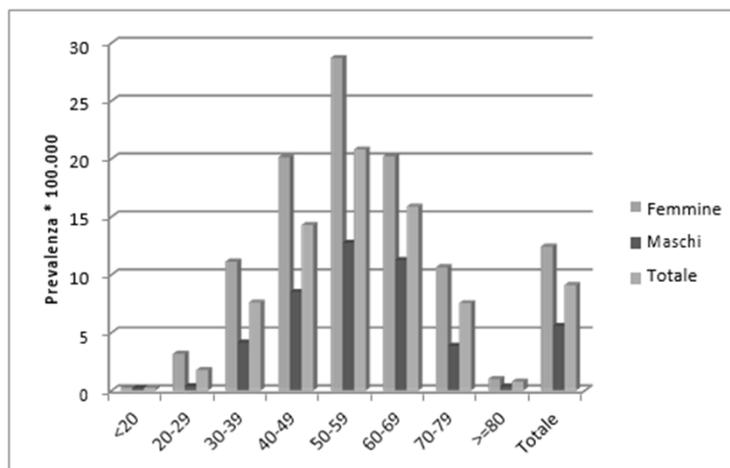
Farmaceutica Territoriale (convenzionata, DPC e diretta)	Assenza di trattamento con farmaci indicati per SM nell'anno di accrual e nell'anno successivo
--	--

© CORE 2017

18



Risultati – Percentuale di pazienti con SM-PP sui pazienti con SM, per fasce d'età e sesso



© CORE 2017

21

Risultati – La coorte di pazienti con SM-PP per terapia prescritta

ATC	Descrizione	2013			2014		
		N. trattati	% N=941	Spesa per trattato	N. trattati	% N=934	Spesa per trattato
M03BX01	baclofene	234	24,9	€ 106	256	27,4	€ 107
L04AX01	azatioprina	106	11,3	€ 182	102	10,9	€ 192
G04BD04	oxibutinina	98	10,4	€ 65	96	10,3	€ 72
L01BA01	metotrexato	31	3,3	€ 66	29	3,1	€ 88
M03AX01	tossina botulinica	5	0,5	€ 843	7	0,7	€ 546
N06BA07	modafinil	2	0,2	€ 759	2	0,2	€ 526
N02BG10	sativex	1	0,1	€ 437	51	5,5	€ 1.253
L04AA06	micofenolato				1	0,1	€ 41

© CORE 2017

22

Risultati – Ricoveri per sclerosi nei pazienti con SM-PP

Anno	N. pazienti	N. ricoverati	% su pazienti	N. medio ricoveri per ricoverati	Importo medio per ricoverato
2013	941	76	8,1	1,3	€ 4.678
2014	934	42	4,5	1,2	€ 2.607

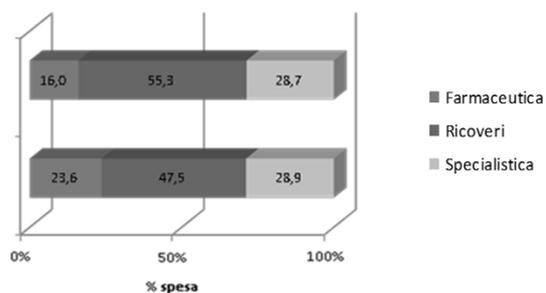
© CORE 2017

23

Risultati – Costi assistenziali integrati dei pazienti con SM-PP

Spesa media pro capite, anno e per flusso amministrativo

Anno	N. pazienti	Farmaceutica		Ricoveri		Specialistica		Totale
		Spesa media pro capite (€)	%	Spesa media pro capite (€)	%	Spesa media pro capite (€)	%	Spesa media pro capite (€)
2013	941	684	16,0	2.370	55,3	1.229	28,7	4.283
2014	934	747	23,6	1.504	47,5	913	28,9	3.164



© CORE 2017

24

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

Esperienze e modelli in Italia

Nelle procedure di rimborsabilità dei nuovi farmaci

- PCK-9
- Sclerosi Multipla – SM-PP

Nei modelli di BIA

Nella trasferibilità dei risultati dei RCTs

25

Modelli di BIA

BIA : Markov Model – Life Time – inferenziali

BIA : RW Data – RW Evidence

26

Integrazione – Complementarietà della RW Data e RW Evidence

Esperienze e modelli in Italia

Nelle procedure di rimborsabilità dei nuovi farmaci

- PCK-9
- Sclerosi Multipla – SM-PP

Nei modelli di BIA

Nella trasferibilità dei risultati dei RCTs

27

Trasferibilità dei risultati dei RCTs

- i criteri di selezione e di esclusione dei pazienti che finiscono per identificare una popolazione diversa dalla popolazione reale, specie per quanto riguarda **la comorbidità** e i trattamenti concomitanti
- la poca o scarsa rappresentatività di alcune popolazioni, quali ad esempio le persone **anziani e i bambini**
- un **simple size** che non tiene conto della prevalenza reale delle popolazioni target con una determinata patologia e che si basa su dati epidemiologici puramente inferenziali

28

**Popolazioni target e impatto economico
dei nuovi farmaci – dati RWE**



Convegno

**LE ANALISI SULL'USO DEI FARMACI:
METODI ED ESPERIENZE IN ITALIA
La**

15 giugno 2017

Nello Martini