

BANDO AIFA 2008
AREA B
ELENCO TEMATICHE E MOTIVAZIONI

Area B: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure

Quest'area riguarda studi di farmaci in commercio di uso diffuso e/o crescente, classificati in fascia A e H, motivati soprattutto da esigenze di approfondire le conoscenze sui rischi e rivalutarne il profilo beneficio-rischio. Possono anche essere considerati di interesse studi che prevedano l'utilizzo di farmaci di fascia C per i quali emergano specifici quesiti di sicurezza. Quest'area riguarda inoltre studi mirati a valutare l'impatto di strategie atte a promuovere l'appropriatezza nell'uso dei farmaci. Gli studi potranno avere, in relazione alle caratteristiche del problema in studio, sia un disegno sperimentale randomizzato che osservazionale (non saranno tuttavia ammessi studi esclusivamente descrittivi). Particolare attenzione sarà posta nel favorire studi rivolti a pazienti complessi e/o fragili (ad es. bambini, donne e anziani) anche a causa della numerosità ed eterogeneità dei trattamenti ricevuti. Per quanto riguarda più specificamente gli studi per il miglioramento dell'appropriatezza, questi dovranno essere disegnati per permettere una valutazione comparativa dell'impatto degli interventi (per esempio, con controlli concorrenti o con valutazione "prima-dopo") con indicatori non solo di processo ma, quando possibile, anche di esito clinico e/o soggettivo.

Area	Tematica	Descrizione
B	1	<p>Valutazione del profilo beneficio-rischio dei trattamenti farmacologici nella donna in gravidanza e nel periodo perinatale</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>L'individuazione di questa tematica è ampiamente giustificata dalla carenza di interesse di ricerca in questa area da parte delle aziende farmaceutiche e dal fatto che nella maggior parte degli studi la gravidanza e il periodo perinatale rappresentano un criterio di esclusione. In molte condizioni i farmaci vengono utilizzati senza una approfondita conoscenza del loro profilo beneficio-rischio.</p>
B	2	<p>Valutazione degli eventi avversi dei mezzi di contrasto e dei radiofarmaci utilizzati a fini diagnostici o terapeutici</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi clinici di dimensioni adeguate per la valutazione di eventi avversi relativamente rari. Particolare rilievo verrà dato agli studi condotti anche nella popolazione pediatrica.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>I mezzi di contrasto e i radiofarmaci, in particolare quelli iodati, sono largamente utilizzati in diagnostica. Negli ultimi tempi sono emersi molti dubbi sulla sicurezza d'impiego di tali mezzi, in particolare in riferimento alla tossicità renale e alle reazioni da ipersensibilità, queste ultime a volte anche ad esito letale. Ad oggi, non sono disponibili sufficienti dati comparativi in termini di sicurezza dei mezzi di contrasto.</p>
B	3	<p>Valutazione del rischio emorragico in pazienti sottoposti a terapie con anticoagulanti orali, eparine a basso peso molecolare, antiaggreganti, con particolare attenzione agli usi in ortopedia, in chirurgia generale e in cardiologia</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>La tromboprolifassi in pazienti ospedalizzati e sottoposti ad alcuni interventi di chirurgia</p>

		<p>maggior rappresenta un importante strumento che ha ridotto in pazienti ad alto rischio l'incidenza della mortalità e di altri esiti gravi. L'uso di farmaci antitrombotici ed anticoagulanti è aumentato nel tempo sulla base di evidenze di efficacia misurate con outcome clinici e surrogate. Le emorragie rappresentano la più importante complicanza del trattamento. La conoscenza del rischio emorragico è molto meno robusta essenzialmente per la diversa definizione della severità adottata negli studi, per il tempo di follow-up breve e per la dimensione del campione spesso insufficienti a valutare un evento relativamente raro. Una migliore conoscenza del rischio emorragico è assolutamente essenziale per poter bilanciare, nella decisione di raccomandare il trattamento, i benefici attesi sul rischio tromboembolico e quello di complicanze emorragiche.</p>
B	4	<p>Valutazione dell'appropriatezza d'uso e degli esiti di strategie terapeutiche utilizzate per i pazienti affetti da asma grave e BPCO con frequenti riacutizzazioni</p> <p>Nota: saranno privilegiati gli studi con carattere prospettico e valutazione degli esiti a lungo termine.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>Le classi di farmaci indicati nelle malattie ostruttive dell'apparato respiratorio sono numerose ed hanno ruoli terapeutici molto distinti. Gli studi richiesti nella presente tematica dovranno essere in grado di identificare le modalità d'uso delle varie classi rispetto alla diagnosi del paziente ed alla sua gravità, tenendo conto delle raccomandazioni enunciate nelle più autorevoli linee guida internazionali.</p>
B	5	<p>Studi per l'identificazione di epatiti gravi indotte da farmaci</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi di dimensioni adeguate per la valutazione di eventi avversi rari.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>Le epatiti gravi da farmaci rimangono la causa principale di morte indotta da farmaci e anche tra le cause principali di ritiro dei farmaci dal commercio. Il danno epatico da farmaci è una potenziale complicazione per la maggior parte dei farmaci a causa delle caratteristiche anatomiche e funzionali del fegato. Gli studi pre-registrativi non sono in grado di rilevare tutte le possibili reazioni avverse epatiche, in particolare quelle rare, perciò gli studi post marketing basati sulla segnalazione degli eventi avversi correlati ai farmaci rappresentano un mezzo essenziale per identificare tali tipi di reazioni.</p>
B	6	<p>Valutazione del profilo rischio-beneficio delle strategie terapeutiche nella popolazione anziana con polipatologia finalizzata alla semplificazione degli interventi e alla riduzione delle interazioni tra farmaci</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi condotti su pazienti anziani (≥ 65 anni) che presentano una patologia cardiovascolare associata ad altre patologie tra cui diabete, patologie neurologiche e/o psichiatriche, endocrine, respiratorie e dell'apparato digerente. Priorità sarà data agli studi che presentino un disegno sperimentale o di coorte prospettico.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>In Italia, come negli altri paesi industrializzati, continua ad aumentare la quota della popolazione anziana; trend che è destinato, in futuro, a crescere.</p> <p>L'invecchiamento espone ad una serie di malattie e complicazioni, anche di tipo cronico, facendo crescere di conseguenza i consumi (e la spesa) farmaceutici. I pazienti più anziani sono soggetti a ricevere un maggior numero di medicinali e perciò sono esposti</p>

		ad un rischio più elevato di sviluppare reazioni avverse e di incorrere in interazioni tra questi. Il rischio di patologie multiple comporta poi una potenziale risposta alle terapie non sempre ottimale rispetto alle attese. Va inoltre considerata la mancanza di studi specifici a supporto dell'efficacia e della sicurezza dei farmaci nella popolazione anziana, specialmente nelle fasce di età superiori a 75-80 anni. È quindi prioritaria l'identificazione delle aree più frequenti di uso improprio e l'individuazione di criteri per semplificare i regimi di trattamento.
B	7	<p>Valutazione del profilo beneficio-rischio a lungo termine dei trattamenti farmacologici in pazienti ipotiroidei</p> <p>Nota: priorità sarà data agli studi che presentino un disegno sperimentale o di coorte prospettico.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>L'approccio farmacologico ai pazienti affetti da ipotiroidismo primitivo o secondario a tiroidectomia ha il suo trattamento standard nella terapia ormonale sostitutiva. Tuttavia, non sono disponibili studi di follow-up a lungo termine tesi a documentare il profilo beneficio-rischio di strategie singole o combinate. Questa tematica ha lo scopo di promuovere studi clinici multicentrici di grandi dimensioni con follow-up di almeno due anni capaci di documentare la compliance e l'efficacia di trattamenti ormonali singoli o combinati, con particolare riguardo alla posologia, alla durata del trattamento e all'età dei pazienti.</p>
B	8	<p>Studi di valutazione dell'impatto di interventi di formazione/informazione rivolti ai pazienti e/o ai professionisti del SSN, sull'appropriatezza d'uso dei farmaci e/o sui rischi legati all'interazione fra farmaci</p> <p>Nota: questi studi devono essere costruiti al fine di poter documentare "fattori di ostacolo e/o favorenti" del processo di cambiamento e indicatori attraverso cui sia possibile valutare il raggiungimento degli obiettivi che lo studio si propone di ottenere. In questa tematica rientrano anche studi tesi a valutare la trasferibilità delle linee guida già disponibili in aree cliniche rilevanti quali a titolo di esempio il tromboembolismo venoso, il trattamento del dolore o la chemio-profilassi in chirurgia.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>I progetti di formazione/informazione nel campo del farmaco sono di norma rivolti ai professionisti del campo sanitario come medici e farmacisti. Più limitate sono le esperienze di informazione rivolte ai cittadini, o le associazioni dei pazienti, che hanno un ruolo sempre più rilevante nella diffusione capillare delle informazioni. Raramente sono effettuate valutazioni dell'efficacia degli interventi di informazione/formazione. Tenuto conto del ruolo dell'informazione ai cittadini quale parte integrante della buona pratica clinica, è importante condurre studi tesi a valutare l'impatto di interventi e progetti di informazione/formazione agli operatori sanitari, e/o ai pazienti e alle associazioni di pazienti, sull'appropriatezza d'uso dei farmaci e/o sui rischi legati all'interazione fra farmaci. Pertanto, è necessario condurre degli studi che dovrebbero prevedere misurazioni eseguite prima e dopo gli interventi informativi/formativi e prevedere una misurazione obbiettiva dei cambiamenti dei comportamenti adottati. Gli studi dovrebbero anche fornire informazioni utili a evidenziare i fattori facilitanti o le barriere all'implementazione degli interventi formativi ai fini di valutare anche il rapporto costo-efficacia della loro introduzione generalizzata. Gli studi devono avere almeno una dimensione regionale.</p>

B	9	<p>Revisioni sistematiche (RS) su quesiti terapeutici in campo farmacologico caratterizzati da elevata incertezza e per i quali non esistano già RS disponibili nella letteratura scientifica</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi che dovranno essere conclusi entro 12 mesi dal conferimento dell'incarico. Le RS proposte <u>non devono</u> già essere disponibili (ed aggiornate negli ultimi due anni) sulla Cochrane Library o sugli altri principali database di revisioni sistematiche.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>Il metodo delle revisioni sistematiche (RS) di letteratura si è dimostrato utile per sintetizzare i risultati di studi primari sull'efficacia e il profilo beneficio-rischio di interventi farmacologici e per individuare le aree nelle quali si deve indirizzare la ricerca futura.</p> <p>In questa tematica verranno considerate solamente proposte che documentino nella lettera di intenti la presenza di tutte le seguenti caratteristiche: a) elevata incertezza sul profilo beneficio-rischio dello specifico intervento da valutare; b) mancanza di RS già disponibili nella letteratura scientifica e/o nella produzione di agenzie di technology assessment internazionale; c) esplicita finalizzazione della RS ad individuare con precisione le caratteristiche che dovrebbero avere gli studi primari mirati a verificare in modo affidabile l'effettiva efficacia ed il profilo beneficio-rischio dell'intervento; d) raccordo con argomenti di particolare rilevanza per decisioni regolatorie dell'AIFA e con progetti già individuati come prioritari per la produzione di linee guida nell'ambito del Sistema Nazionale di Linee Guida (SNLG) da parte di istituzioni nazionali e regionali.</p>
---	---	--