

BANDO AIFA 2006

TEMATICHE AREA 2

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN

Questa area si riferisce strettamente a studi randomizzati e controllati di fase 3 o 4. Gli studi devono riguardare solo farmaci presenti in fascia A e H ed esaminare il profilo beneficio-rischio comparativo di singoli farmaci o di strategie farmacologiche. I confronti possono comprendere oltre all'utilizzo di farmaci anche interventi non farmacologici. Verrà data priorità agli studi rivolti a pazienti complessi e/o fragili (ad es. bambini ed anziani) anche a causa della numerosità ed eterogeneità dei trattamenti ricevuti e all'impiego, dove compatibile con il razionale dello studio, di farmaci che non abbiano protezioni brevettuali, o farmaci vicini a perdere il brevetto o a basso costo.

AREA 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN		
Area	Tematica	Descrizione
2	1	<p>Strategie terapeutiche per ottimizzare il trattamento dell'ictus cerebrovascolare.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi riguardanti l'impiego dei trombolitici in associazione con altri farmaci e/o inseriti in specifiche strategie assistenziali. con particolare riferimento ai dosaggi, ai tempi e alle modalità di somministrazione.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	2	<p>Strategie terapeutiche di trattamento per il diabete di tipo II che includono il confronto fra diversi ipoglicemizzanti orali disponibili.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	3	<p>Strategie terapeutiche per il trattamento di pazienti affetti da broncopneumopatia cronico ostruttiva (BPCO) complicata da scompenso cardiaco.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	4	<p>Strategie terapeutiche per il trattamento dell'asma bronchiale.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi del profilo beneficio-rischio con particolare attenzione ai beta2 adrenergici long-acting e all'anticorpo monoclonale antiIgE.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	5	<p>Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con farmaci oncologici con target antitumorale specifico.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi mirati alla ottimizzazione della durata di terapia, dosaggio, e impiego concomitante, di farmaci con target antitumorale specifico (per esempio: anticorpi monoclonali, inibitori della tirosin chinasi).</p> <p>Altre informazioni</p>
2	6	<p>Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con anestetici generali e miorilassanti in chirurgia.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi comparativi del profilo beneficio-rischio di diverse strategie di anestesia per specifici interventi chirurgici.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	7	<p>Strategie terapeutiche di trattamento per i pazienti in dialisi.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi comparativi del profilo beneficio-rischio dei trattamenti impiegati nella prevenzione delle complicanze (per esempio: anemia, iperlipemia, ecc.) dei pazienti in dialisi.</p> <p>Altre informazioni</p>
2	8	<p>Strategie terapeutiche per la prevenzione delle fratture osteoporotiche.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi sia di confronto "testa a testa" tra specifici trattamenti farmacologici, sia di confronto tra trattamenti farmacologici e strategie assistenziali basate su interventi non farmacologici (per esempio: interventi di informazione/educazione relativamente a dieta, esercizio fisico, strategie di riduzione del rischio di fratture).</p> <p>Altre informazioni</p>
2	9	<p>Strategie terapeutiche di trattamento del dolore in pediatria.</p> <p>Nota: si fa riferimento a studi riguardanti il profilo beneficio-rischio nel trattamento del dolore post operatorio, post traumatico, e nel corso di procedure invasive.</p> <p>Altre informazioni</p>

2	10	Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con farmaci cardiovascolari in pediatria e neonatologia. <u>Altre informazioni</u>
----------	-----------	---

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 1: Strategie terapeutiche per ottimizzare il trattamento dell'ictus cerebrovascolare.

Nota: si fa riferimento a studi riguardanti l'impiego dei trombolitici in associazione con altri farmaci e/o inseriti in specifiche strategie assistenziali, con particolare riferimento ai dosaggi, ai tempi e alle modalità di somministrazione.

Motivazione alla tematica proposta:

L'ictus rappresenta una delle più importanti cause di ricovero ed è la più frequente causa di invalidità permanente dell'adulto. La sua frequenza è in aumento, soprattutto nell'età più avanzata. L'assistenza in aree di degenza dedicate, ed una precoce e completa presa in carico da parte di un team multidisciplinare di operatori esperti (la cosiddetta strategia di *stroke care*) rappresenta oggi il trattamento più efficace per questa patologia. Nonostante i farmaci per la trombolisi nell'ictus sono stati approvati già dal 1999 negli USA, e dal 2002 dall'EMA, il loro uso nella pratica è quanto mai limitato e al momento non riguarda più del 3–4% dei soggetti colpiti da ictus. Ci sono aspetti che riguardano l'efficacia e la sicurezza in cui la ricerca scientifica può contribuire a ridurre le incertezze e a favorire l'uso della trombolisi, che rappresenta al momento l'unico trattamento farmacologico specifico nell'ictus ischemico. La ricerca può fornire risposte riguardo alla finestra temporale entro cui il trattamento risulta ancora efficace, il dosaggio ottimale, la via di somministrazione con il più favorevole rapporto beneficio-rischio, nel contesto di sperimentazioni cliniche che valutino anche il contributo delle strategie integrate di *stroke care*. Inoltre, la valutazione di alcuni fattori di rischio quali l'età e la gravità possono essere molto utili per definire o ampliare l'eleggibilità al trattamento. Un altro aspetto importante è rappresentato dal ruolo dell'uso concomitante degli altri farmaci.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 2: Strategie terapeutiche di trattamento per il diabete di tipo II che includano il confronto tra diversi ipoglicemizzanti orali disponibili.

Motivazione alla tematica proposta:

Il razionale e il valore strategico dell'individuazione di questa tematica per l'AIFA deriva dall'elevata prevalenza di questa malattia, dall'aumento di alcuni fattori predisponenti, quali l'obesità, e dall'importanza sulla salute e sui costi finanziari di ottimizzare trattamenti a lungo termine per ridurre il rischio di complicanze. D'altra parte oggi il medico dispone di diversi farmaci antidiabetici molto eterogenei per meccanismo d'azione, profilo di sicurezza, tollerabilità e costo. Migliorare le conoscenze in questo campo consentirà di ottimizzare le strategie terapeutiche e di verificare il valore aggiunto dei nuovi farmaci più costosi. In assenza di un interesse diretto da parte delle aziende farmaceutiche a verificare quale dei farmaci in commercio presenti il miglior profilo beneficio-rischio è necessario promuovere studi indipendenti.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 3: Strategie terapeutiche per il trattamento di pazienti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) complicata da scompenso cardiaco.

Motivazione alla tematica proposta:

La broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) rappresenta una delle più frequenti cause di morte e la prevalenza nella popolazione è in ulteriore crescita. Questa condizione coesiste frequentemente in pazienti cardiopatici con conseguenti problemi sia di inquadramento diagnostico che di ottimizzazione della strategia terapeutica. Il trattamento della cardiopatia rappresenta infatti una relativa controindicazione all'uso dei trattamenti specifici della BPCO. L'individuazione della strategia terapeutica con il più alto rapporto beneficio–rischio, e l'individuazione del trattamento per la BPCO con il miglior rapporto costo–efficacia, sono obiettivi importanti sia per il miglioramento dell'assistenza dei pazienti che per il SSN.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 4: Strategie terapeutiche per il trattamento dell'asma bronchiale.

Nota: si fa riferimento a studi del profilo beneficio-rischio con particolare attenzione ai beta2 adrenergici long-acting e all'anticorpo monoclonale antiIgE.

Motivazione alla tematica proposta:

L'asma bronchiale rappresenta una patologia cronica ad elevata prevalenza, in costante aumento particolarmente in età pediatrica, con costi elevati per il SSN. Nel 2004 i farmaci antiasmatici hanno rappresentato il 31% delle prescrizioni per farmaci respiratori, a loro volta al quarto posto per dosi prescritte. Alcuni importanti aspetti della terapia dell'asma che possono trovare risposte attraverso la ricerca riguardano i criteri per l'eleggibilità dei pazienti al trattamento con nuovi farmaci in commercio e la valutazione del profilo beneficio rischio. In particolare, il sempre più frequente ricorso a broncodilatatori a lunga durata, spesso non giustificato dall'aderenza alle linee guida dell'OMS, ha di recente sollevato un ampio dibattito sulla loro sicurezza dato il riscontro di un'associazione con le morti per asma. Inoltre la prossima introduzione in commercio di un anticorpo monoclonale anti-IgE (costo per paziente/anno di circa 10.000 Euro) richiede un approfondimento del profilo beneficio-rischio e una rigorosa valutazione del suo valore aggiunto rispetto ai trattamenti standard. Per quanto riguarda i cortisonici è tuttora aperto il dibattito sulla durata del trattamento o sull'utilità del trattamento continuo rispetto a quello *on demand*.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 5: Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con farmaci oncologici con target antitumorale specifico.

Nota: si fa riferimento a studi mirati alla ottimizzazione della durata di terapia, dosaggio, e impiego concomitante, di farmaci con target antitumorale specifico (per esempio: anticorpi monoclonali, inibitori della tirosin chinasi).

Motivazione alla tematica proposta:

Negli ultimi anni la ricerca farmacologica ha sviluppato nuovi farmaci antitumorali diversi dai chemioterapici tradizionali e in particolare i nuovi trattamenti biologici progettati in base a caratteristiche delle cellule tumorali e caratterizzati per la specificità nel colpire direttamente il tumore senza danneggiare le cellule sane. Attualmente la ricerca clinica oncologica ha definito un ruolo terapeutico per alcuni di essi. Tuttavia, a causa innanzitutto del rilevante impatto sulla spesa sanitaria può essere a rischio l'accesso stesso per tutti i pazienti oncologici a tali opportunità terapeutiche innovative. Di conseguenza il corretto utilizzo di queste moderne terapie rappresenta un aspetto critico per il SSN. In particolare rimane la necessità di definire con maggiore dettaglio alcuni aspetti rilevanti quali la durata e dosaggio delle terapie, per gli effetti sull'efficacia, sui rischi per i pazienti e sulla spesa. É pertanto auspicabile una ricerca mirata ad individuare strategie che possano ottimizzare nuovi piani terapeutici dei trattamenti biologici a target antitumorale specifico in particolare dal punto di vista della durata, del dosaggio e del loro utilizzo in combinazione con altre terapie.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 6: Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con anestetici generali e miorilassanti in chirurgia.

Nota: si fa riferimento a studi comparativi del profilo beneficio-rischio di diverse strategie di anestesia per specifici interventi chirurgici.

Motivazione alla tematica proposta:

A differenza della ricerca farmacologica nella maggior parte dei settori clinici, l'area anestesiologicala soffre di una carenza cronica di studi controllati tesi a verificare il profilo beneficio-rischio comparativo dei trattamenti disponibili. Appare quindi auspicabile promuovere studi mirati ad acquisire nuove conoscenze sull'ottimizzazione delle strategie di trattamento con anestetici generali e miorilassanti. Oltre ai risultati concreti degli studi, vanno considerati con particolare attenzione il ruolo di stimolo nella creazione di una rete di ricerca in ambito anestesiologicalo e la ricaduta positiva sulla condivisione di informazioni tra anestesisti.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 7: Strategie terapeutiche di trattamento per i pazienti in dialisi.

Nota: si fa riferimento a studi comparativi del profilo beneficio-rischio dei trattamenti impiegati nella prevenzione delle complicanze (per esempio: anemia, iperlipemia, ecc.) dei pazienti in dialisi.

Motivazione alla tematica proposta:

La dialisi è in continuo aumento e rappresenta una spesa sostanziale nel bilancio del SSN. La spesa viene ulteriormente amplificata dalle numerose complicanze che si accompagnano alla presenza di un accesso arterovenoso nonché dagli effetti tossici dei prodotti impiegati. Risulta perciò importante ottimizzare i trattamenti atti a prevenire queste complicanze per meglio definire le dosi, la durata, nonché le interazioni con altri farmaci. Sembra particolarmente utile studiare il confronto fra diverse strategie terapeutiche.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 8: Strategie terapeutiche per la prevenzione delle fratture osteoporotiche.

Nota: si fa riferimento a studi sia di confronto “testa a testa” tra specifici trattamenti farmacologici, sia di confronto tra trattamenti farmacologici e strategie assistenziali basate su interventi non farmacologici (per esempio: interventi di informazione/educazione relativamente a dieta, esercizio fisico, strategie di riduzione del rischio di fratture).

Motivazione alla tematica proposta:

L'uso di farmaci per la prevenzione delle fratture osteoporotiche sta diventando sempre più diffuso e molti studi sull'appropriatezza hanno evidenziato un uso improprio ed eccessivo. In particolare sono necessarie ulteriori ricerche per indagare se l'adozione sistematica di strategie non farmacologiche basate su stili di vita possa sostituire o evitare il ricorso ai farmaci, se l'incidenza di eventi avversi vari fra i diversi bifosfonati, e quali siano i fattori concomitanti che aumentano il rischio di eventi avversi e le eventuali strategie di prevenzione.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 9: Strategie terapeutiche di trattamento del dolore in pediatria.

Nota: si fa riferimento a studi riguardanti il profilo beneficio-rischio nel trattamento del dolore post operatorio, post traumatico, e nel corso di procedure invasive

Motivazione alla tematica proposta:

E' noto che in area pediatrica le sperimentazioni cliniche sono poco frequenti. Ciò determina la difficoltà di stabilire se i trattamenti impiegati siano ottimali o se invece rappresentino una semplice trasposizione al bambino di ciò che è noto nell'adulto. Perciò è molto importante realizzare studi clinici controllati per verificare l'efficacia dei trattamenti antidolorifici confrontando farmaci, dosi ed intensità di trattamento. Ciò permetterà di migliorare l'impiego dei farmaci antidolorifici nei bambini con particolare riferimento al dolore post-operatorio, post-traumatico e nel corso di procedure invasive.

Area 2: Confronto fra farmaci e fra strategie terapeutiche per patologie e condizioni cliniche ad elevato impatto per la salute pubblica e per il SSN.

Tematica 10: Strategie terapeutiche di ottimizzazione del trattamento con farmaci cardiovascolari in pediatria e neonatologia.

Motivazione alla tematica proposta:

I bambini rappresentano una popolazione privilegiata per la ricerca indipendente data la nota carenza di interesse da parte dell'industria. Le conoscenze sull'efficacia e la sicurezza dei farmaci cardiovascolari derivano essenzialmente da studi condotti sulla popolazione adulta. L'utilizzo di questi farmaci in pediatria, spesso in mancanza di formulazioni adatte ai bambini, avviene pertanto senza una valutazione adeguata del loro profilo beneficio-rischio. L'uso di questa categoria di farmaci avviene quindi frequentemente in assenza di indicazioni approvate (uso *off-label*) e l'incertezza nella valutazione del bilancio tra i vantaggi e i rischi associati al suo impiego comporta un rischio di sottoutilizzazione di strumenti terapeutici efficaci e disponibili.