



*Agenzia Italiana del Farmaco*

**AIFA**

### **Area A. 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, di norma, 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. Particolare attenzione sarà rivolta agli studi che coinvolgono pazienti complessi e/o fragili (bambini, donne, anziani) anche a causa della numerosità ed eterogeneità dei trattamenti ricevuti e a studi sull'impiego, dove compatibile con il rationale del progetto, di farmaci che non abbiano protezioni brevettuali, o farmaci prossimi alla scadenza del brevetto o a basso costo.

Area	Tematica	Descrizione
A	1	<p><b>Confronto fra farmaci o strategie terapeutiche in pediatria: ottimizzazione dell'uso dei farmaci per l'apparato respiratorio, gastro-enterico e cardiovascolare.</b></p> <p><b>Nota:</b> considerata la mancanza di conoscenze scientifiche specifiche sul bambino si fa riferimento non solo a studi sulla efficacia clinica comparativa di singoli farmaci ma anche alla valutazione di differenti dosaggi e a studi formulazioni adeguate all'uso in pediatria.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>E' noto che in area pediatrica le sperimentazioni cliniche sono poco frequenti. Per le patologie indicate in questa tematica è particolarmente rilevante la mancanza di conoscenze scientifiche specifiche nel bambino, non solo sull'efficacia, ma anche sul dosaggio ottimale e su formulazioni adeguate all'uso in pediatria. Ne deriva il frequente ricorso all'uso off-label, variabilità prescrittiva e spesso una sottoutilizzazione di opportunità terapeutiche per il bambino.</p>
A	2	<p><b>Confronti fra nuovi farmaci antitumorali e strategie terapeutiche standard volti a chiarire il valore aggiunto dei nuovi farmaci e stabilirne il corretto utilizzo in oncologia.</b></p> <p><b>Nota:</b> il confronto fra strategie terapeutiche include anche l'ottimizzazione delle combinazioni tra farmaci e la definizione di sequenze, dosaggi e vie di somministrazione.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>Negli ultimi anni sono stati introdotti sul mercato numerosi farmaci antineoplastici di nuova generazione (bersaglio-specifici). Nella maggior parte dei casi, non sono disponibili studi comparativi che ne dimostrino la loro maggiore efficacia e sicurezza rispetto alle terapie standard attuali ("place in therapy"). In questo contesto è importante verificare, all'interno di studi confermativi, l'efficacia di questi trattamenti soprattutto in relazione a specifici marcatori già precedentemente validati.</p> <p>Altro problema aperto è il corretto utilizzo delle strategie farmacologiche che riguardano soprattutto le combinazioni tra diversi farmaci (sia di vecchia sia di nuova generazione),</p>

		la durata dei trattamenti, le diverse sequenze e i corretti dosaggi per il trattamento delle patologie neoplastiche. Sono necessari studi clinici volti ad acquisire questo tipo di informazioni al fine di utilizzare al meglio le terapie attualmente disponibili e di identificarne delle nuove.
A	3	<p><b>Confronto tra strategie terapeutiche per il trattamento della spasticità in neurologia.</b></p> <p><b>Nota:</b> particolare attenzione sarà data agli studi che confrontano: a) farmaci diversi; b) somministrazione di farmaci per vie diverse; c) farmaci in confronto con altre strategie terapeutiche. Dovranno essere utilizzate misure di outcome validate e riproducibili, comprese scale di valutazione della qualità di vita.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>Non esiste attualmente una terapia definitiva per la paralisi spastica, ogni terapia deve mirare alla minimizzazione dei sintomi come pure a migliorare il più possibile la capacità motoria. Per ottenere i risultati migliori è indispensabile che la terapia sia interdisciplinare, cioè una combinazione di fisioterapia e di impiego di farmaci. La riduzione della spasticità viene ottenuta tramite l'effetto miorelassante di diverse sostanze farmacologiche. Anche le vie di somministrazione possono essere molto diverse: per via orale, oppure tramite iniezione (ad es. tossina botulinica) o attraverso una pompa impiantata (ad es. baclofene). Oltre alla terapia farmacologica si può ricorrere alla chirurgia correttiva ortopedica e alla neurochirurgia. I trattamenti terapeutici dovrebbero avere fra gli obiettivi il miglioramento della qualità di vita del paziente tramite l'acquisizione di strategie individualizzate per gestire la spasticità. In questo esiste la necessità di acquisire nuove evidenze e di confermare l'efficacia comparativa delle strategie attualmente disponibili.</p>
A	4	<p><b>Confronto e valutazione del profilo beneficio-rischio di strategie terapeutiche nei pazienti ricoverati in terapia intensiva, con specifico riferimento all'insorgenza di antibiotico-resistenza, all'insufficienza multi-organo e alla sepsi.</b></p> <p><b>Nota:</b> nel caso del trattamento con farmaci antibatterici deve essere valutato anche l'impatto del trattamento sull'insorgenza di antibiotico-resistenza.</p> <p><u>Motivazione alla tematica proposta:</u></p> <p>L'insufficienza multi-organo, le infezioni nosocomiali e la sepsi sono una causa importante di morbilità e mortalità nei pazienti ricoverati in terapia intensiva. Esistono differenti strategie di prevenzione e trattamento di queste infezioni di cui è stata documentata l'efficacia anche se sono necessarie valutazioni affidabili della resa di strategie di tipo farmacologico ed organizzativo così come sui potenziali effetti dannosi di questi interventi. Tra questi va considerata soprattutto il rischio di resistenze batteriche successive all'uso di antibiotici.</p> <p>Per quanto riguarda i trattamenti antibatterici a scopo profilattico - considerata la necessità di valutare l'antibiotico-resistenza – si sollecitano studi che utilizzano disegni sperimentali in grado di tenere conto del setting assistenziale (strutture) utilizzando, per esempio, un'allocazione (randomizzazione) per centro.</p> <p>Le strategie terapeutiche utilizzate per il trattamento dell'insufficienza multi-organo non sono supportate da solide evidenze scientifiche.</p> <p>Per quanto riguarda la sepsi vi è infine una mancanza di dati comparativi su efficacia e sicurezza delle terapie antibatteriche utilizzate per il trattamento o la prevenzione di questa condizione. Si sollecitano quindi studi in grado di tener conto degli aspetti organizzativi legati alla necessità di una diagnosi tempestiva al fine di ottimizzare l'appropriatezza del trattamento.</p>