

BANDO AIFA 2006

TEMATICHE AREA 3

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Questa area riguarda esclusivamente studi di farmaci in commercio di uso diffuso e/o crescente, motivati soprattutto da esigenze di approfondire le conoscenze sui rischi e rivalutarne il profilo beneficio-rischio. Questa area riguarda inoltre studi mirati a valutare l'impatto di strategie atte a promuovere l'appropriatezza nell'uso dei farmaci. A differenza delle proposte presentate nell'area 2, gli studi potranno avere, in relazione alle caratteristiche del problema in studio, sia un disegno sperimentale randomizzato che osservazionale. Particolare attenzione sarà posta nel favorire studi rivolti a pazienti complessi e/o fragili (ad es. bambini ed 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 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 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure

Area	Tematica	Descrizione
3	1	Studi sull'utilizzo di psicofarmaci nei bambini e negli adolescenti. Altre informazioni
3	2	Studi sul trattamento con farmaci antipsicotici dei disturbi del comportamento dei pazienti con demenza. Nota: si fa riferimento a studi su strategie che comprendono il confronto fra farmaci antipsicotici tipici e di seconda generazione. Altre informazioni
3	3	Studi sui trattamenti farmacologici nella donna in gravidanza e nella preparazione farmacologica ad interventi di fecondazione assistita. Nota: si fa riferimento a studi sugli eventi avversi materno-fetali, sull'ottimizzazione del trattamento del diabete in gravidanza, e sugli interventi ormonali nella fecondazione assistita. Altre informazioni
3	4	Valutazione del profilo beneficio-rischio nel trattamento con bifosfonati. Nota: si fa riferimento a studi sull'insorgenza di gravi effetti collaterali (per es., all'osteonecrosi della mandibola). Altre informazioni
3	5	Studi sugli interventi di profilassi o terapia dell'epatite virale cronica B. Nota: si fa riferimento a studi di: valutazione comparativa del profilo beneficio-rischio dei trattamenti antivirali; valutazione della risposta anticorpale nei confronti di vaccini che hanno presentato problemi di bassa immunogenicità. Altre informazioni
3	6	Studi sui trattamenti farmacologici per la cefalea cronica. Nota: si fa riferimento anche a studi riguardanti la comparsa di dipendenza e di cefalee attribuibili all'uso eccessivo di FANS e triptanici. Altre informazioni
3	7	Studi sull'impiego dell'albumina e delle immunoglobuline nella pratica clinica. Altre informazioni
3	8	Studi sull'utilizzo dei trattamenti farmacologici combinati in pazienti anziani con patologie multiple. Nota: si fa riferimento a studi che includono pazienti affetti da ipertensione, diabete, e patologia cardiovascolare anche in associazione con altre patologie. Si valuterà la possibilità di applicazione a questi pazienti delle linee guida disponibili; si valuteranno gli effetti avversi dovuti all'interazione fra farmaci. Altre informazioni
3	9	Studi di valutazione dell'impatto di interventi di informazione rivolti al pubblico e/o ad associazioni di pazienti, sull'appropriatezza d'uso dei farmaci e sulla spesa farmaceutica. Nota: si fa riferimento a studi di dimensione almeno regionale in grado di valutare, con disegno randomizzato o osservazionale, l'impatto di interventi organizzativi e/o progetti educativi. Altre informazioni

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 1: Studi sull'utilizzo di psicofarmaci nei bambini e negli adolescenti.

Motivazione alla tematica proposta:

L'efficacia e la sicurezza di impiego degli psicofarmaci nei bambini e negli adolescenti sono state negli ultimi anni oggetto di dibattito, in particolare a seguito della segnalazione di una possibile associazione tra i più recenti antidepressivi e il rischio di suicidio. D'altra parte negli ultimi anni si è assistito ad un incremento del loro uso legato sia ad una maggiore sensibilità e attenzione diagnostica da parte dei pediatri che alla disponibilità di farmaci di nuova generazione ritenuti più maneggevoli e più efficaci. La maggior parte degli studi disponibili in letteratura presenta limitazioni riguardo alle indicazioni d'uso, ai criteri diagnostici, alla gravità dei pazienti studiati e all'uso di trattamenti concomitanti. E' pertanto necessario migliorare le conoscenze sul profilo beneficio-rischio di questi farmaci, anche all'interno dei percorsi diagnostici e assistenziali dei pazienti che li utilizzano.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 2: Studi sul trattamento con farmaci antipsicotici dei disturbi del comportamento dei pazienti con demenza.

Nota: si fa riferimento a studi su strategie che comprendono il confronto fra farmaci antipsicotici tipici e di seconda generazione.

Motivazione alla tematica proposta:

I disturbi del comportamento e in particolare l'agitazione sono riportati in circa il 50-70% dei pazienti con demenza. La necessità di affrontare questi disturbi con un trattamento specifico deriva dalla difficoltà di gestione di questi pazienti da parte degli operatori socio-sanitari e dei familiari, da un maggior rischio di incidenti e da una aumentata necessità di ricorrere al ricovero. Pur essendo gli antipsicotici tipici e atipici ampiamente usati nei pazienti con demenza esistono ancora limitate evidenze a sostegno dell'uso. In particolare è necessario confrontare i rischi associati al trattamento con farmaci antipsicotici tipici e di seconda generazione.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 3: Studi sui trattamenti farmacologici nella donna in gravidanza e nella preparazione farmacologica ad interventi di fecondazione assistita.

Nota: si fa riferimento a studi sugli eventi avversi materno-fetali, sull'ottimizzazione del trattamento del diabete in gravidanza, e sugli interventi ormonali nella fecondazione assistita.

Motivazione alla tematica proposta:

L'individuazione di una tematica dedicata all'uso dei farmaci in gravidanza 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 rappresenta un criterio di esclusione. In molte condizioni i farmaci vengono utilizzati durante la gravidanza senza una approfondita conoscenza del loro profilo beneficio-rischio. Un aspetto importante della ricerca su questo tema riguarderà pertanto le proposte inerenti lo studio degli eventi avversi materno-fetali. Un altro aspetto sul quale la ricerca può offrire un importante contributo all'ottimizzazione della terapia riguarda i trattamenti di iperstimolazione ovarica che vengono effettuati negli interventi di fecondazione assistita. Esistono infatti in commercio diversi farmaci con la stessa indicazione che vengono utilizzati protocolli differenti per dosaggio e durata e con costi differenti.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 4: Valutazione del profilo beneficio-rischio nel trattamento con bifosfonati.

Nota: si fa riferimento a studi sull'insorgenza di gravi effetti collaterali (per es., all'osteonecrosi della mandibola).

Motivazione alla tematica proposta:

I bifosfonati si sono dimostrati efficaci nella prevenzione delle fratture nell'osteoporosi e nella prevenzione delle metastasi ossee nel mieloma multiplo e nei tumori solidi. Recentemente sono state segnalate reazioni avverse importanti come l'osteonecrosi della mandibola che, pur essendo più frequente nei pazienti oncologici trattati con i bifosfonati per via parenterale, si verifica anche in alcuni casi con i bifosfonati somministrati per via orale, suggerendo un effetto di classe. Alcuni lavori stimano un'incidenza di questa complicazione superiore al 10% dei trattati per alcuni bifosfonati, e notevoli differenze di incidenza tra le varie molecole. Molte sono le questioni ancora aperte. In particolare sono necessarie ulteriori ricerche per indagare il profilo beneficio-rischio (l'efficacia dei bifosfonati in relazione alla diversa incidenza di osteonecrosi), la durata ottimale delle terapie, la possibilità di diminuire l'incidenza di osteonecrosi con misure preventive.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 5: Studi sugli interventi di profilassi o terapia dell'epatite virale cronica B.

Nota: si fa riferimento a studi di: valutazione comparativa del profilo beneficio-rischio dei trattamenti antivirali; valutazione della risposta anticorpale nei confronti di vaccini che hanno presentato problemi di bassa immunogenicità.

Motivazione alla tematica proposta:

L'introduzione di farmaci antivirali nell'epatite cronica B ha modificato la storia naturale della malattia sia in termini di riduzione di rilevanti eventi clinici, che di morte e necessità di trapianto. Ad oggi mancano studi di valutazione su larga scala dell'impatto dell'uso di diversi antivirali utilizzati in monoterapia o in combinazione, sul medio o lungo termine, sia in soggetti immunocompetenti che immunodepressi. Il miglioramento delle conoscenze sul profilo beneficio-rischio delle diverse strategie adottate consentirà di ottimizzare la strategia terapeutica dell'epatite B attraverso un'accurata selezione dei pazienti e una precisa scelta del momento di inizio della terapia. Un altro aspetto importante legato al recente ritiro dal commercio di vaccini contro l'epatite B per problemi di efficacia immunogena, è quello di verificare la copertura immunitaria nella coorte di vaccinati prima del ritiro.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 6: Studi sui trattamenti farmacologici per la cefalea cronica.

Nota: si fa riferimento anche a studi riguardanti la comparsa di dipendenza e di cefalee attribuibili all'uso eccessivo di FANS e triptanici.

Motivazione alla tematica proposta:

L'emicrania è un problema neurologico diffuso ed invalidante che riguarda il 10–15% della popolazione. Inoltre, circa il 3% della popolazione soffre di cefalea cronica per oltre 180 giorni l'anno e il 15-30% della popolazione presenta almeno un episodio di cefalea al mese. La prescrizione non appropriata, e soprattutto l'automedicazione frequente, comporta un abuso di farmaci che può condurre a dipendenza e trasforma la cefalea occasionale in cefalea cronica. L'emicrania e la cefalea cronica rappresentano condizioni che limitano in modo rilevante le attività e la partecipazione al lavoro. Attualmente sono in commercio diversi farmaci e vengono proposte diverse strategie farmacologiche con conseguente notevole variabilità di approccio a questo problema. Studi mirati alla valutazione del profilo beneficio-rischio delle diverse strategie terapeutiche, e alla promozione dell'uso appropriato, possono avere importanti ricadute sul miglioramento dell'utilizzazione dei farmaci e sui costi per il SSN.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 7: Studi sull'impiego dell'albumina e delle immunoglobuline nella pratica clinica.

Motivazione alla tematica proposta:

Gli emoderivati rappresentano trattamenti di provata efficacia e in alcuni casi salva vita anche se costosi e non completamente esenti da rischi. L'individuazione di questo tema pertanto si pone l'obiettivo di approfondire le conoscenze per il miglioramento dell'appropriatezza d'uso e della sicurezza. E' stato evidenziato in molti studi un'elevata frequenza di inapproprietezza nelle più comuni condizioni d'uso dell'albumina, quali ipotensione/ipovolemia, supporto intradialitico, cirrosi/ascite, sindrome nefrosica e distress respiratori. Analoghi risultati sono stati riscontrati nell'uso delle immunoglobuline endovenose. In particolare questo tema di ricerca può offrire un contributo rilevante soprattutto nell'individuare all'interno delle condizioni d'uso più frequenti sottogruppi di pazienti in cui l'uso di emoderivati comporta un beneficio sostanziale valutato su esiti clinicamente rilevanti.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 8: Studi sull'utilizzo dei trattamenti farmacologici combinati in pazienti anziani con patologie multiple.

Nota: si fa riferimento a studi che includono pazienti affetti da ipertensione, diabete, e patologia cardiovascolare anche in associazione con altre patologie. Si valuterà la possibilità di applicazione a questi pazienti delle linee guida disponibili; si valuteranno gli effetti avversi dovuti all'interazione fra farmaci.

Motivazione alla tematica proposta:

Con l'aumentare dell'età aumenta la proporzione di individui che riceve trattamenti farmacologici, e in particolare di coloro che ricevono trattamenti combinati in corso di patologie multiple. Tuttavia, di norma, le sperimentazioni cliniche sono mirate a evidenziare il contributo aggiuntivo di un trattamento per volta, e i pazienti più complicati, o più anziani, o affetti da patologie concomitanti, tendono a essere esclusi dalle sperimentazioni. Le stesse linee guida sull'uso dei farmaci tendono a riflettere questo fenomeno, e sono quindi più scarse le informazioni relative sia all'efficacia che ai possibili effetti avversi conseguenti l'interazione fra farmaci. Risulta quindi di particolare promuovere studi per acquisire nuove conoscenze in questa area.

Area 3: Studi di farmacoepidemiologia sul profilo beneficio-rischio dei trattamenti e studi sull'impatto di strategie di miglioramento dell'appropriatezza delle cure.

Tematica 9: Studi di valutazione dell'impatto di interventi di informazione rivolti al pubblico e/o ad associazioni di pazienti, sull'appropriatezza d'uso dei farmaci e sulla spesa farmaceutica.

Nota: si fa riferimento a studi di dimensione almeno regionale in grado di valutare, con disegno randomizzato o osservazionale, l'impatto di interventi organizzativi e/o progetti educativi.

Motivazione alla tematica proposta:

I progetti di informazione nel campo del farmaco sono di norma rivolti ai professionisti medici e farmacisti del settore. Più limitate sono le esperienze di informazione rivolta ai cittadini, che per lo più prendono la forma di campagne mirate su farmaci o su categorie terapeutiche. Ancora più sporadiche sono poi le iniziative riguardanti il coinvolgimento di associazioni dei pazienti, le quali hanno un ruolo sempre più rilevante nella diffusione capillare delle informazioni. Raramente sono effettuate valutazioni di effetto dell'informazione fornita. 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 al pubblico, e/o alle associazioni di pazienti, sull'appropriatezza d'uso e sulla spesa farmaceutica.