



La Real World Evidence come supporto alle decisioni: posizione di Farmindustria

Marco Zibellini

Direttore Direzione Tecnico Scientifica

Milano, 19 dicembre 2023



FARMINDUSTRIA

Utilizzo di Real Word Data (RWD) per generare Real Word Evidence (RWE): sfide e opportunità



Le aziende farmaceutiche sono impegnate da diversi anni, attraverso varie partnership finalizzate alla raccolta di dati Real World:

- per **sostanziare il valore dei farmaci, supportando le decisioni sanitarie,**
- basate su evidenze su tutte le **dimensioni del valore, cliniche, economiche, sociali, organizzative**
- con **dati e informazioni accessibili e utilizzabili** anche dalle autorità regolatorie per le decisioni di HTA.

I RWD sono in grado di generare informazioni in diversi ambiti:

- **epidemiologia** (es. prevalenza e incidenza, caratteristiche di una determinata popolazione);
- **burden della malattia** (impatto della malattia sul paziente, sulla società e sul sistema salute);
- **profilo di efficacia clinica e di sicurezza degli interventi terapeutici, con un ruolo complementare a quello dei dati generati dagli studi clinici randomizzati**, in quanto forniscono conoscenze utili a supportare il riconoscimento del valore del farmaco non solo in termini di *effectiveness* ma anche sotto il profilo economico e sociale);
- sviluppo di **indicatori relativi al processo assistenziale, ai relativi costi ed esiti** in una visione integrata e non a silos del percorso di diagnosi e cura;
- sviluppo di **indicatori di appropriatezza** delle terapie;
- **stratificazione del rischio**, in particolare nella **gestione efficace della cronicità** con inquadramento dei pazienti con multi morbidità, e identificazione delle principali criticità dell'assistenza;
- possibilità di **definire nuovi quesiti di ricerca** per la promozione di ulteriore attività scientifica;

I RWD sono in grado di generare informazioni in diversi ambiti:

- conferma del *personal value* (la disponibilità di cure adeguate al raggiungimento di specifici *outcome* nel singolo paziente), *technical value* (raggiungimento dei migliori risultati possibili con le risorse disponibili), *allocative value* (equa distribuzione delle risorse tra gruppi di pazienti, *societal value* (contributo dell'assistenza sanitaria alla partecipazione e alla connessione sociale);
- **scelte di cura**, uso appropriato di *Advanced Therapy Medicinal Products* (ATMP), le terapie oncologiche *mutation* o *target driven*, terapie digitali;
- **stratificazione della popolazione** attraverso modelli che tengano conto dei bisogni sanitari e socioeconomici;
- **decisioni regolatorie da parte delle Autorità** (accelerare i tempi normalmente richiesti per ottenere l'autorizzazione grazie alla raccolta di ulteriori evidenze sul beneficio del farmaco anche al di fuori del *setting* sperimentale per consolidare il profilo rischio/beneficio dei farmaci nella popolazione generale);
- **fasi di negoziazione del prezzo e rimborso dei farmaci** che richiedono l'implementazione di nuove procedure valutative in ambito regolatorio, nella consapevolezza che allo stato attuale AIFA conferisce scarso rilievo a tali evidenze, anche nei casi relativi a farmaci già commercializzati.

SFIDE

- **Normative sulla privacy e sulla protezione dei dati:**
 - una delle principali barriere all'utilizzo dei RWD è rappresentata dalle leggi sulla privacy e sulla protezione dei dati, come il GDPR (General Data Protection Regulation) in Europa. È fondamentale garantire la conformità a queste normative durante la raccolta, l'elaborazione e l'uso dei dati, il che può rappresentare una sfida significativa.
- **Standardizzazione dei dati:**
 - La standardizzazione dei dati è un altro ostacolo importante. I dati sanitari provengono da una varietà di fonti, come le cartelle cliniche elettroniche, i registri dei farmaci, i dispositivi medici e le applicazioni di salute digitale. Questi dati possono variare notevolmente in termini di formato, qualità e completezza, rendendo difficile la loro integrazione e analisi.
- **Competenze tecniche e analitiche:**
 - L'uso dei RWD richiede competenze specifiche in ambito di analisi dei dati. Non tutti gli operatori sanitari o i decisori politici hanno le competenze necessarie per comprendere e utilizzare efficacemente i RWD. La mancanza di formazione adeguata può quindi rappresentare un ostacolo all'adozione dei RWD.

SFIDE

- **Accessibilità dei dati:**

- l'accessibilità ai dati può rappresentare un'ulteriore barriera. Non tutti gli operatori sanitari o le organizzazioni hanno accesso ai dati necessari. Questo può essere dovuto a vari fattori, tra cui costi, restrizioni legali o semplicemente la mancanza di infrastrutture tecniche adeguate.

- **Fiducia nei dati:**

- infine, la fiducia nei RWD è un altro fattore critico. I dati ottenuti dal mondo reale possono essere influenzati da una serie di fattori, come il bias di selezione o di informazione, che possono minare la validità dei risultati. Questo può portare a scetticismo riguardo l'utilizzo dei RWD per prendere decisioni importanti relative alle politiche del farmaco.



OPPORTUNITA'

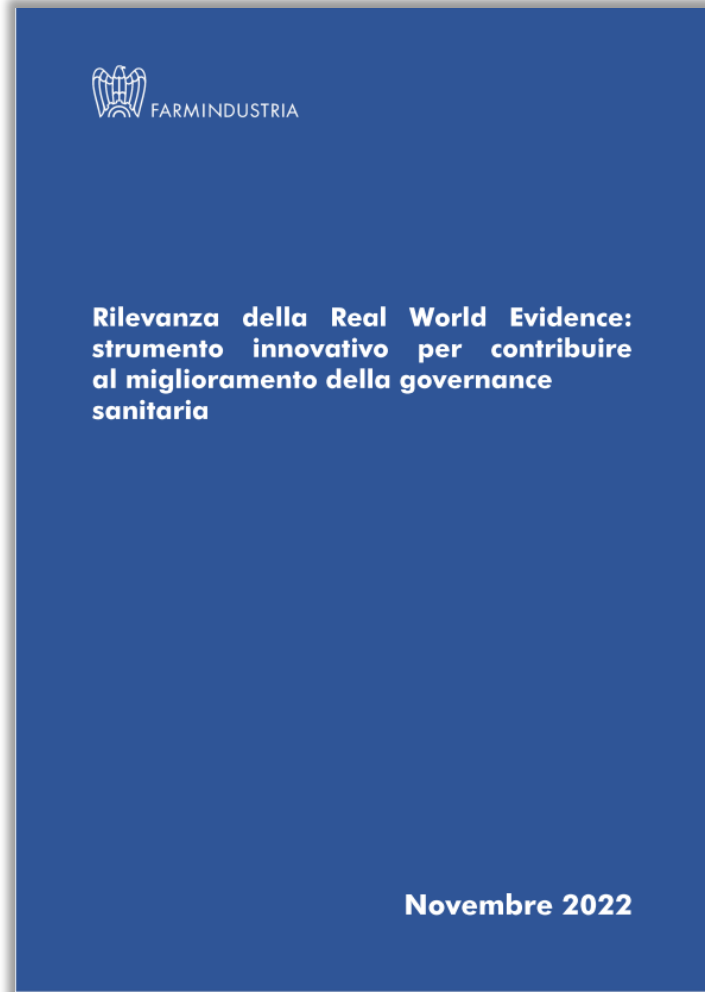
- **Valutazione dell'efficacia dei trattamenti nel mondo reale della pratica clinica:**
 - I RWD possono fornire informazioni sull'efficacia dei trattamenti al di fuori dei rigorosi contesti controllati dei trial clinici, contribuendo a un quadro più realistico di come i farmaci funzionano nella pratica quotidiana.
- **Monitoraggio della sicurezza dei farmaci:**
 - I RWD possono essere utilizzati per monitorare la sicurezza dei farmaci dopo la loro approvazione, identificando potenziali effetti collaterali o interazioni non rilevati durante i trial clinici.
- **Identificazione di nuove indicazioni per farmaci esistenti:**
 - Attraverso l'analisi dei RWD, è possibile identificare nuove applicazioni per i farmaci già esistenti, un processo noto come "riposizionamento del farmaco".
- **Personalizzazione delle terapie:**
 - I RWD possono contribuire all'identificazione di sottogruppi di pazienti che rispondono meglio a determinati trattamenti, supportando lo sviluppo di terapie personalizzate.

OPPORTUNITA'

- **Ricerca e sviluppo:**
 - I RWD possono accelerare la ricerca e lo sviluppo di nuovi trattamenti, fornendo intuizioni preziose sulle caratteristiche dei pazienti, sul decorso delle malattie e sui risultati dei trattamenti in condizioni diverse da quelle imposte dai clinical trial «controllati»
- **Supporto alle decisioni:**
 - L'uso dei RWD può informare le decisioni riguardanti l'approvazione dei farmaci, la formulazione delle linee guida cliniche e la definizione delle politiche di rimborso
- **Miglioramento della qualità dell'assistenza sanitaria:**
 - Infine, l'analisi dei RWD può aiutare a identificare aree di miglioramento nell'assistenza sanitaria, come la gestione dei pazienti con condizioni croniche o la riduzione delle disparità sanitarie.



Real World Evidence: uno strumento innovativo per migliorare la governance sanitaria



Farindustria ha elaborato un documento strategico per dimostrare l'importanza e il valore della RWE e promuovere l'uso di fonti di dati accreditate, disponibili e facilmente accessibili, utilizzando le tecnologie digitali.


Obiettivo:

un confronto con le Società Scientifiche e le Istituzioni (Ministero della Salute, AIFA, ISS, Agenas), finalizzato alla definizione di specifiche raccomandazioni sui temi prioritari definiti nel documento.

Temi prioritari:

- **Uso a supporto delle valutazioni regolatorie**
- **Potenziati ambiti di utilizzo nelle procedure di accesso**
- **Metodologia e qualità dei dati**

Istituire un Tavolo di discussione multidisciplinare che veda il confronto fra pubblico e privato



AIFA
Ministero della Salute
Società Scientifiche
Associazioni dei
pazienti
CE Nazionali
AGENAS

Definizione di una Health Data Governance applicabile all'uso secondario dei dati (AIFA, Ministero della Salute, AGENAS)

Definizione degli ambiti di applicazione principali per la RWE (AIFA, Ministero della Salute, Società scientifiche, Comitati etici)

- nelle valutazioni regolatorie e delle linee guida metodologiche di riferimento
- nelle valutazioni dell'accesso (AIFA, Ministero della Salute, Società scientifiche, Comitati etici)

Aggiornamento delle linee guida AIFA sulla ricerca osservazionale (AIFA, Società scientifiche, Comitati etici, Associazioni dei pazienti)

Disposizione di linee guida di indirizzo per la generazione di RWE in logica Value Based, a supporto delle valutazioni condotte da parte dai payers e decisori (AIFA, Società scientifiche, Associazioni dei pazienti)

Piano di formazione volto ad incrementare le competenze in ambito RWE (Società scientifiche, Associazioni dei pazienti)

La proposta del tavolo di lavoro è finalizzata a sensibilizzare i diversi stakeholder e attivare un percorso finalizzato a supportare e valorizzare:

- **le informazioni generate dagli studi clinici randomizzati, acquisendo ulteriori dati di efficacia e sicurezza a vantaggio:**
 - ✓ **della salute e della qualità di vita dei pazienti** che, così, possono ricevere le cure più appropriate;
 - ✓ **dei medici**, che possono disporre di informazioni più complete, **per la corretta gestione del paziente**;
 - ✓ **del Servizio Sanitario Nazionale**, che può migliorare la programmazione ed **allocare in modo più efficace le proprie risorse**;
 - ✓ **del Ministero della Salute**, per ottimizzare la definizione di **linee guida** e dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), la gestione del **rischio clinico**, le valutazioni **dell'impatto sulla salute**, i piani di **prevenzione**, l'**Health Technology Assessment**, la verifica della **qualità delle cure** e la valutazione **dell'assistenza sanitaria**.
- **i processi di valutazione dei farmaci da parte di AIFA, in particolare in riferimento a una logica value-based**, che consenta di focalizzarsi sull'impatto del farmaco in relazione all'effetto prodotto nelle diverse dimensioni del percorso di cura;
- **la valutazione dell'intero percorso diagnostico-terapeutico, soprattutto nella cronicità, nei pazienti fragili e nelle emergenze sanitarie** (sviluppo e monitoraggio di indicatori di esito e processo), anche in relazione alla prevista riorganizzazione del Servizio Sanitario in una logica di integrazione fra ospedale e territorio.

Gli obiettivi auspicati del confronto con i vari stakeholder istituzionali:

- definire i **requisiti di qualità** richiesti per una adeguata valutazione delle evidenze raccolte nella vita reale.
- lavorare sulla creazione di **linee guida operative per la generazione, la valutazione e l'utilizzo** dei dati di RWE.
- assicurare **l'integrazione efficace dei dati di RWE nelle decisioni riguardanti le politiche del farmaco.**