

**LA REAL WORLD EVIDENCE IN ITALIA:
lo stato dell'arte in Italia nel 2016**



BOLOGNA | 9 GIUGNO 2016

SALA ULISSE
ACCADEMIA DELLE SCIENZE
DELL'ISTITUTO DI BOLOGNA
VIA ZAMBONI, 31

Obiettivi

Francesco Rossi

LA REAL WORLD EVIDENCE IN ITALIA: lo stato dell'arte in Italia nel 2016

BOLOGNA 9 GIUGNO 2016

Anche se vi è **crisi dovunque**, anche nel mondo industrializzato, **la Ricerca Farmacologica vive nuovamente un momento di grande crescita** grazie alla migliore comprensione dei meccanismi molecolari e genetici alla base delle malattie, allo sviluppo della genomica e della proteomica e allo sviluppo sempre migliore della **Medicina personalizzata**.

Anche nel 2015 l'industria farmaceutica ha continuato a creare valore nel Paese

Industria farmaceutica

(var % 2015/2014)

Produzione Industriale **+5%**

Export **+4%**

Occupazione **+1%**

Produzione industriale

(var % 2015/2010)

Industria manifatturiera **-7%**

Farmaceutica **+10%**

Mezzi di trasporto **+4%**

Meccanica **0%**

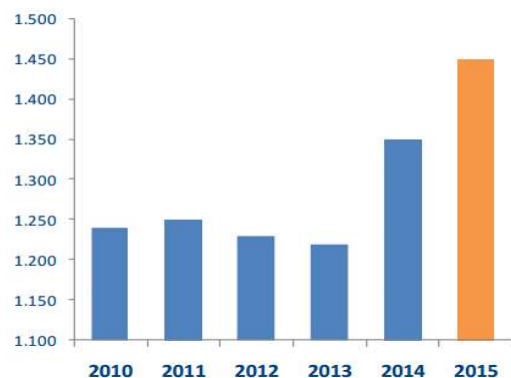
Nel 2015 produzione farmaceutica in Italia pari a 30,1 miliardi

Farmindustria Marzo 2016

L'Italia partecipa alla «rivoluzione» dell'innovazione farmaceutica mondiale aumentando l'impegno in R&S

Grazie alla ricerca e all'innovazione farmacologica negli ultimi 20 anni è diminuito del 30% il tasso di mortalità generale della popolazione.

Spese R&S della farmaceutica in Italia
(milioni di €)



Farmindustria Marzo 2016

Il futuro si profila altrettanto incoraggiante: attualmente, infatti, **in tutto il mondo** vi sono oltre **7.000 nuovi farmaci in sviluppo** grazie anche alla **ricerca svolta in Italia**;

In Italia, specializzazione per biotech, vaccini ed emoderivati: investimenti in R&S +15% negli ultimi due anni e più di 300 prodotti biotech in sviluppo;

L'Italia rappresenta un'eccellenza anche nelle terapie avanzate e malattie rare: il primo farmaco a base di cellule staminali approvato è italiano e la prima terapia genica frutto di partnership pubblico-privato è nata in Italia.

Farmaci in sviluppo nel mondo

	Numero
Neoplasie	1.813
Malattie neurologiche	1.329
Malattie Infettive	1.256
Malattie immunitarie	1.120
Malattie cardiovascolari	599
Disturbi psichiatrici	511
Diabete	475
HIV/AIDS	159

Fonte: PhRMA Report, 2015

La disponibilità di **nuovi farmaci**, i processi di **market access** e le procedure di **rimborsabilità** sono, e lo saranno sempre di più in futuro, direttamente legate alla **disponibilità di dati di Real World Evidence**.

Questo scaturisce da alcuni elementi e analisi di fondo:

- lo **studio clinico controllato (RCT)** rimane lo strumento di ricerca più potente per verificare la **reale efficacia** di un farmaco, ma i risultati si riferiscono ad una **popolazione altamente selezionata, escludendo le comorbidità e patologie concomitanti**, seguita per un periodo di osservazione definito e limitato nel tempo;
- dopo l'autorizzazione all'immissione in commercio e la rimborsabilità da parte delle Agenzie Regolatorie, il farmaco **nella normale pratica clinica (Real world) viene impiegato su pazienti diversi da quelli arruolati nelle RCT**, in quanto affetti da **comorbidità e polipatologie**, per una **diversa durata di trattamento** e **con differenti variabili del contesto assistenziale** ed organizzativo che differenzia profondamente l'RCT dalla pratica clinica corrente.

Tutti questi elementi pongono il problema della reale trasferibilità e attribuibilità dei risultati degli RCT alla popolazione trattata nella normale pratica clinica.

La necessità della *Real-World Evidence*

Il trasferimento dei risultati della ricerca clinica nella pratica e nelle scelte assistenziali dei professionisti sanitari è un percorso fondamentale che trova oggi riscontro nelle pratiche di *evidence based medicine* soprattutto, di *real world evidence*.



Se da un lato i risultati degli studi clinici randomizzati forniscono informazioni sulla efficacia di un trattamento, le condizioni di *real world* sono in grado di dimostrarne l'effectiveness.

La disponibilità di nuovi farmaci, i processi di *market access* e le procedure di rimborsabilità saranno sempre più legate alla disponibilità di dati di *Real World Evidence*.

In generale, il “*real word evidence*” rappresenta ciò che succede al dato. Costruire il portfolio delle evidenze richiede la raccolta sistematica di dati corretti. La validità delle evidenze dipende, quindi, dall'accuratezza dei dati e dall'appropriata raccolta degli stessi così da permetterne l'interpretazione, analisi e conclusioni

RCT vs RWE

- **Sicurezza ed efficacia clinica**
- Set di **popolazione ideale** e controllato
- **Migliaia di pazienti** monitorati per un breve periodo di tempo
- La randomizzazione rimane il metodo più efficace per ridurre bias e fattori di confondimento
- Il **ridotto numero di pazienti** arruolati o l'elevata proporzione di soggetti persi al follow-up influisce sulla potenza statistica

- **Reale valore del farmaco** nel contesto di reale pratica clinica
- Set di **popolazione reale**
- **Milioni di pazienti** seguiti nel tempo
- Risultati generalizzabili
- **Informazioni più complete** e corredate degli esiti
- **Completa evidenza dell'efficacia clinica**
- **Accesso più veloce** del paziente all'innovazione

L'importanza dei Real World Data

Le autorità regolatorie per prendere delle decisioni possono fare affidamento anche sui " real world data" .

Esempi Dati di RWE

- ✓ **Ricerca clinica indipendente** (collaborazione Società Scientifiche – ricercatori – Industrie Farmaceutiche)
- ✓ Utilizzo dei **dati** dei **registri**
- ✓ pubblicazione **dati PSUR**
- ✓ accesso ai **dati** di efficacia e sicurezza **raccolti in altri paesi**
- ✓ Studi **PASS** e **PAES** (partecipazione ricercatori/industria a studi di efficacia e Farmacovigilanza)

Proposte SIF per una maggiore conoscenza (RWE) relativa ai nuovi biosimilari (follitropina, infliximab, insulina glargine, ecc.)

Proposte della SIF per promuovere la conoscenza del profilo rischio/beneficio comparativo di prodotti di riferimento e biosimilari allo scopo di allineare la sovrapposibilità regolatoria con quella clinica

- **ricerca clinica indipendente** ad esempio attraverso l'utilizzo di un **registro** o l'attuazione di uno **studio clinico comparativo di Fase IV da parte dei Centri Prescrittori**, mirati all'analisi di evidenze sul farmaco biosimilare commercializzato (valutazione dell'efficacia e sicurezza in pratica clinica nelle diverse indicazioni approvate);
- **pubblicazione**, nell'ambito dei PSUR, **dei principali dati che hanno portato all'autorizzazione in commercio dei singoli farmaci**, siano essi biosimilari;
- **accesso ai dati di efficacia e sicurezza raccolti in altri paesi.**

PROGRAMMA DELLA GIORNATA

La Real World Evidence in Italia: lo stato dell'arte in Italia nel 2016

- Overview della situazione italiana
- RWE nelle decisioni regolatorie
- BIG DATA, decisioni regolatorie e governance (CORE-CINECA)
- Aspetti legali e privacy
- Studi PAES e PASS

Tavola rotonda: RWE e Società Scientifiche

- Rapporto OsMed
- Governo, sostenibilità e BIG DATA (E.Pic.A.)
- Il punto di vista del Farmacista Ospedaliero
- Metodi di real world data
- Il rapporto SDO
- Il Registro Airtum
- Il successo dei progetti di partnership