



# Prossimità e organizzazione delle cure: la medicina generale di domani tra demografia e cronicità

Real world-data, ricerca in medicina generale:  
il modello del diabete

Le potenzialità della MG nei  
Real World Data e la Ricerca.  
Lo Studio PREMIO

*Walter Marrocco*

**76°** CONGRESSO  
NAZIONALE

7-12 ottobre 2019

Tanka Village - Villasimius (CA)





# Archie Cochrane

*“Between measurements based on randomised controlled trials and benefit in the community there is a gulf which has been much under-estimated”*



- RCT (studi clinici controllati randomizzati) forniscono le migliori garanzie disponibili sull'efficacia (e in parte sulla sicurezza) degli interventi medici

*però*

- i benefici attesi sulla base dei risultati degli RCT, e gli effetti indesiderati, quasi mai si verificano nella pratica clinica corrente.

*quindi*

grande bisogno di:

evidenze sperimentali, e prove sui benefici e la sicurezza dei presidi terapeutici effettivamente osservati nel mondo reale (real world evidence, RWE).

# RCT RWE

## Modelli Non Competitivi ma Complementari

- i trial clinici non sempre sono in grado di cogliere la complessità del mondo reale
- nella pratica clinica la necessità di VALUTARE i profili di Sicurezza, Efficacia (effectiveness) e di Sostenibilità economica osservati, genera Evidenze





## Andare oltre la divisione ricerca-pratica

Superamento...

- Focus sulla popolazione → Medicina di precisione (personalizzata)
- Monoterapie → Regimi Complessi (combinazione)
- Orizzonti di breve/medio periodo → orizzonte decennale/permanente
- Studi (randomizzati controllati) → intera gamma di metodi
- Generazione di conoscenza pre-licenza → approccio all'aspettativa di vita
- Divisione ricerca-pratica → **apprendimento del sistema sanitario**



# RWD (real world data)

vengono raccolti fuori dagli studi clinici controllati  
interventistici tradizionali nelle circostanze di vita reale

## FONTI

- i trial pragmatici
- studi Osservazionali prospettici
- Data Base Clinici ( Medicina Generale), Registri (Pazienti, Patologia, Farmaci)

Crescente disponibilità di dati  
+  
Progressi tecnologici  
*offre nuove possibilità per*  
archiviare, estrarre, analizzare  
i Dati tra più fonti di Dati





# QUALITA' DEI DATI

## *Componenti chiave*

uniformità, rappresentatività, coerenza, completezza,  
accuratezza, tempestività

procedura di verifica dei dati di origine

# SI GENERERANNO 40 ZETTABytes di Dati Sanitari nel 2020

Di cosa stiamo realmente parlando?



• Se 1 byte equivale a un grano di riso,  
• 1 Zettabyte Riempirà l'Oceano Pacifico con il riso.

IBM

## New Technologies: PatientsLikeMe

Circa 500.000 associati

- Un network e anche una Piattaforma di Ricerca
- Tramite il network i pazienti possono rimanere in contatto con altri pazienti
- Condividere esperienze
- Opportunità di imparare dai dati aggregati di altri e vedere altri tipi di trattamenti

Live better, together.



# La medicina di famiglia fondamentale per rispondere in maniera completa a molte questioni di farmaci e salute pubblica

What is the relevant patient population for gene therapy?

What are the long term health benefits of a new treatment compared with standard treatment?

What is the risk of bleeding in new users of DOACs compared with warfarin?

Patterns of codeine prescribing across Europe and the incidence of death

What is the incidence and outcome of opportunistic infections with natalizumab?

Genetic basis of responder/non responder status

What is compliance in the elderly?

What was the impact of the regulatory action following the Article 31 Referral on Combined hormonal contraceptives on prescribing and VTEs?

Genetic susceptibility to adverse drug reactions

Infection spread following vaccination

What is the extent of off label prescribing with SGLT2 inhibitors?



NETMEDICA  
ITALIA

## UNA PIATTAFORMA CHE CONSENTE ...

- Rete assistenziale, abbattendo le differenze tra SW
- Continuità informativa tra i protagonisti dell'assistenza
- Uso della cartella di rete in mobilità
- Audit e benchmarking
- Aggregazione e rendicontazione dati
- Network per iniziative di studio
- Sostegno della **Presenza in Carico della cronicità**
- Supporto a percorsi basati su telemedicina
- Tools professionali per il medico
- ...

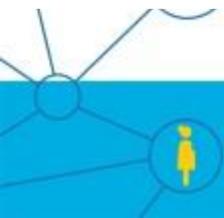
ASSISTENZA

e

HEALTH

TECHNOLOGY

ASSESSMENT



# NETMEDICA ITALIA: ALCUNE ALTRE ESPERIENZE

## STUDIO PREMIO

Prevenzione Primaria della Cadute  
Domiciliari in Pazienti Anziani a Rischio



## STUDIO OSSERVAZIONALE SU UNA POPOLAZIONE DI ULTRACENTENARI



# Studio «PREMIO» (2016)

(Studio di PREvenzione PriMaria delle Cadute domiciliari in pazienti anziani a rischiO)

valutazione del rischio ed efficacia della prevenzione delle cadute  
nel contesto della Medicina Generale

**STUDIO**  
multicentrico  
interventistico  
educazionale  
non farmacologico

Collaborazione tra:



- F.I.M.M.G.  
(Federazione Italiana dei Medici di Medicina Generale)

- IRCCS San Raffaele - Pisana



# STUDIO PREMIO: DATI PRELIMINARI

ARRUOLAMENTO	N
Intervento	870
Controllo	877
Complessivi	1747

# STUDIO PREMIO

## RISULTATI PRELIMINARI

GRUPPO	PAZIENTI ARRUOLATI	PAZIENTI CADUTI	CADUTE COMPLESSIVE	CADUTE PER PAZIENTE	ACCESSI AL PRONTO SOCCORSO A SEGUITO DI CADUTE
INTERVENTO	870	166	270	1,63	65
CONTROLLO	877	184	343	1,86	111
TOTALE	1747	350	613	1,75	176

↓  
**-21,3%**

↓  
**-12%**

↓  
**-41,5%**

# NUOVE FRONTIERE E LA MEDICINA GENERALE

I progetti di ricerca clinica pre- e post-marketing, secondo la logica del "**large and simple trial**", sono sempre più utilizzati per la verifica dell'**effectiveness** (efficacia reale) e non solo per l'efficacia sperimentale.

Sono proprio le Agenzie Regolatorie, in primis l'EMA (European Medicine Agency), a chiedere:

- studi Osservazionali
- studi post-registrativi nelle condizioni più vicine possibili al mondo reale
  - (**PASS**: Post Authorization Safety Study)
  - (**PAES**: Post Authorization Efficacy Study)
- **Registri** Pazienti/Patologia/Farmaci
- **Adaptive Path Way**

# ***COSA POSSIAMO FARE PER MIGLIORARE LA SALUTE DEI PAZIENTI DIABETICI ?***



# ACCESSO ALLE PRESTAZIONI E TEMPO DI ATTESA

INEQUITA' SU:

- modalità di accesso dei pazienti nei diversi distretti sanitari
- modalità di prenotazione a livello del CUP aziendale
- tempo necessario all'erogazione delle prestazioni



In Italia, il target terapeutico viene raggiunto da non più del 45% dei pazienti diabetici

Natura evolutiva della malattia per progressivo declino della funzione  $\beta$ -cell

Insoddisfacente aderenza dei pazienti a terapie complesse e non scevre da effetti collaterali

E' evidente l'esigenza di trattamenti che garantiscano il raggiungimento e il mantenimento di un controllo glicemico a fronte di un basso rischio di effetti collaterali, (oltre che una diminuita incidenza di complicanze).

**I farmaci che si basano sulle incretine  
(DPP4-i e analoghi GLP1)  
rappresentano l'esempio più recente di questo processo.**

*Quality Indicators in Diabetes in Italy. Italian Association of Clinical Diabetologist (AMD) Annals AMD 2011.*



**Nuove terapie per il T2D:  
Nuovi profili di appropriatezza**



**Dal “Treat to target” al... “Treat to benefit”**

- ✓ efficacia duratura (aderenza?)
- ✓ in sicurezza
- ✓ impatto favorevole sulle complicanze e sulla mortalità CV

## Conclusioni

La scienza progredisce oggi più velocemente del "sistema", impedendo lo sviluppo e il miglior utilizzo di nuove possibilità di cure.

**Sfruttare le RWE è una necessità – e un obiettivo realizzabile.**

La condivisione e il collegamento dei dati sono esigenze chiave nell'intero panorama dei dati.

**Tuttavia, sono necessari meccanismi per standardizzare la raccolta, la registrazione e l'archiviazione dei dati.**

La condivisione proattiva di tutte le forme di dati clinici richiede meccanismi per garantire la protezione della privacy, ma gli approcci all'anonimizzazione dei dati devono anche preservare l'utilità scientifica dei dati.



# Conclusioni

Accelerare l'uso di RWE richiede uno sforzo congiunto e i necessari investimenti iniziali.

Le buone notizie: questo non è un gioco a somma zero, *tutti* gli attori dell'ecosistema farmaceutico partecipano per guadagnare.



