

**DENOMINAZIONE DEL PROGETTO DI RICERCA**

La Real World Evidence quale strumento per la Governance dell'innovazione in ambito oncologico ed oncoematologico: potenzialità e impatto di un Laboratorio sperimentale di farmacoutilizzazione istituito presso la S.C Farmacia Ospedaliera dell'A.O. Ordine Mauriziano di Torino

**ENTE PROPONENTE**

Fondazione Scientifica Mauriziana Onlus

**STRUTTURA PROPONENTE**

S.C. Farmacia Ospedaliera A.O. Ordine Mauriziano di Torino, Direttore Dr.ssa Anna Lisa Gasco

**AMBITO DI INTERESSE DEL PROGETTO**

Nuovi modelli di gestione dei percorsi di cura

**RAZIONALE SCIENTIFICO**

L'aumento costante dei bisogni di salute della popolazione (invecchiamento progressivo della popolazione, insorgenza di malattie degenerative, cronicizzazione di patologie una volta fatali, stili di vita e fattori di rischio...), determina una crescita costante del ricorso al SSN che risponde con soluzioni diagnostiche, terapeutiche e riabilitative sempre più tecnologicamente avanzate, efficaci e costose. La concomitante presenza di vincoli di natura economica, come ad esempio i "tetti di spesa" in ambito farmaceutico, introdotti dall'attuale quadro normativo nazionale e regionale, determinano la necessità da parte dei decision makers di dotarsi di logiche, metodologie e strumenti che consentano una più efficace ed efficiente allocazione delle risorse disponibili tra le diverse alternative terapeutiche.

Esiste un peculiare accordo tra comunità scientifica e quadro normativo di riferimento, nel definire il trial clinico controllato randomizzato (RCT) come il metodo più affidabile per generare evidenze credibili sull'efficacia degli interventi medici, primi fra tutti medicinali e dispositivi medici.

Tuttavia, da alcuni decenni si sta facendo strada la convinzione che gli RCT non siano del tutto sufficienti per la guida del processo decisionale in quanto intrinsecamente inadatti a cogliere l'impatto delle cure nella pratica clinica corrente.

*Premesso che negli ultimi anni, grazie anche agli sforzi della comunità scientifica, si assiste ad un miglioramento dell'aderenza dei prescrittori alle Linee Guida, la complessità dei regimi terapeutici, l'eterogeneità demografica e clinica dei pazienti in trattamento, il protrarsi nel tempo di molte terapie e in qualche caso la incompleta aderenza da parte dei pazienti alle raccomandazioni dei medici, possono generare uno scostamento tra le evidenze generate nell'ambiente controllato, tipico degli RCT (efficacy), e il loro effettivo impatto nel cosiddetto mondo reale (effectiveness).*

In questo contesto, i Real World Data (RWD) e le evidenze che possono scaturire da una loro analisi sistematica, la Real World Evidence (RWE), rappresentano efficaci strumenti a supporto delle politiche decisionali finalizzate alla verifica dell'impatto delle nuove tecnologie in real life e ad una lettura integrata del percorso del paziente.

La RWE deve essere considerata come un'opportunità per acquisire nuove informazioni sui farmaci, ad esempio per migliorare le conoscenze sul profilo di sicurezza ed efficacia e per acquisire informazioni aggiuntive sui sottogruppi di popolazione poco studiati nelle sperimentazioni cliniche.

Nell'era dei Big Data e della salute digitale, una delle sfide più ambiziose è gestire al meglio l'enorme mole di informazioni disponibili: valutarle, selezionarle, integrarle e condividere i risultati con tutti gli attori coinvolti.

La valutazione dei Real World Data non è certamente alternativa, bensì complementare alla valutazione degli interventi medici mediante RCT; è centrata sul cittadino (patient-centered) e riconosce come implicito riferimento la sostenibilità economica del sistema.

Pertanto, le evidenze generate dalla valutazione dei Real World Data si configurano come solidi strumenti da accostare a quelle derivanti dagli RCT e verosimilmente nei prossimi anni acquisteranno un'importanza crescente nella valutazione post-registrativa dei nuovi trattamenti.

Per tale motivo, è d'obbligo adoperarsi per minimizzare l'influenza di eventuali bias che potrebbero inficiarne la qualità.

Tra questi, la scarsa aderenza alle terapie da parte dei pazienti rappresenta una barriera per il raggiungimento del risultato clinico desiderato, con ripercussioni negative sull'effectiveness del farmaco e un inaccettabile dispendio di risorse.

Se nell'ambito delle terapie parenterali il problema della compliance è ovviamente di più semplice gestione, per quanto riguarda i trattamenti antitumorali somministrati per via orale i rischi correlati ad una possibile scarsa aderenza terapeutica sono certamente maggiori e richiedono, anche in virtù della crescente disponibilità di farmaci antineoplastici orali, di una riorganizzazione del setting assistenziale.

## **CONTESTO**

Con la D.G.R n° 51-2485 del 23/11/2015, l'A.O. Ordine Mauriziano di Torino, struttura multispecialistica ad alta complessità di cura, è stata identificata tra i Centri HUB nell'ambito del Dipartimento funzionale interaziendale ed interregionale della Rete Oncologica del Piemonte e della Valle d'Aosta.

All'interno dei singoli contesti dipartimentali dell'A.O. Ordine Mauriziano, è istituita la figura del Farmacista Clinico che opera nei Reparti sinergicamente con tutte le altre figure professionali presenti all'interno dell'equipe clinica.

In ambito oncoematologico, il Farmacista, che coopera con Oncologi ed Ematologi, partecipa attivamente ai GIC e alla stesura dei PDTA previsti dalla sopracitata D.G.R, accostando a queste attività quelle tradizionalmente legate all'allestimento centralizzato delle chemioterapie parenterali. Pertanto, presso l'A.O. Ordine Mauriziano di Torino il Farmacista, in virtù del percorso già intrapreso che lo porta a rivestire un profilo a tutto tondo in ambito onco-ematologico, rappresenta un prezioso interlocutore per la promozione dell'appropriatezza, della sicurezza e della sostenibilità degli interventi terapeutici.

Il valore economico delle terapie antitumorali (ATC: L01) ha raggiunto dimensioni importanti, arrivando a rappresentare nel 2017 circa il 42% di tutta la spesa farmaceutica aziendale.

## **OBIETTIVI DEL PROGETTO**

Il Progetto si propone di attivare un Laboratorio sperimentale di farmacoutilizzazione in ambito oncologico ed oncoematologico.

Il suddetto Laboratorio, da considerarsi quale parte integrante del Laboratorio Unità Farmaci Antitumorali (UFA) afferente alla S.C Farmacia Ospedaliera, si pone le seguenti finalità:

1. implementare l'attività di counseling all'atto della dispensazione di tutte le chemioterapie orali, che verrebbero centralizzate all'interno del Laboratorio stesso, al fine di evitare che gli eventuali fallimenti terapeutici derivino da una scarsa compliance, piuttosto che da una reale inefficacia del farmaco. L'attività di counseling, volta a favorire l'empowerment del paziente e la sua compliance ai programmi terapeutici, rappresenta altresì uno strumento per un monitoraggio puntuale delle unità posologiche realmente assunte dal paziente, del suo grado di consapevolezza, nonché strumento per l'individuazione di eventuali fattori che possano compromettere l'efficacia del farmaco, come ad esempio le interazioni con altri farmaci, fitoterapici, cibo e/o integratori.

*In accordo con le logiche lean dei processi sanitari, la centralizzazione della dispensazione di tutte le terapie antitumorali orali all'interno del Laboratorio potrà consentire la definizione di nuovi modelli organizzativi in grado di:*

- ridurre i ritardi e i tempi di attesa;
- migliorare le condizioni di lavoro del personale sanitario;
- aumentare la soddisfazione dei pazienti.

Inoltre, attraverso il monitoraggio puntuale di tutte le terapie antitumorali orali sarà possibile minimizzare l'impiego improprio delle risorse disponibili.

2. definire, in un contesto multidisciplinare, una metodologia che consenta l'analisi strutturata dei Real World Data locali e implementare la stessa nell'ambito dell'attività di valutazione dell'appropriatezza prescrittiva, al fine di integrare i dati di efficacy (EBM-supported) con quelli di effectiveness (RWD-supported). L'elaborazione dei dati, che potrà avvalersi dello sviluppo di un Data-Base locale, non avrà finalità di ricerca clinica, ma sarà volta al miglioramento della gestione delle terapie oncologiche ed oncoematologiche all'interno dell'Azienda.
3. assumere le funzioni di "contenitore formativo" multidisciplinare, ospitando, non solo giovani Farmacisti che hanno scelto di seguire, nell'ambito della Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera, un profilo "clinico", ma anche laureati provenienti da altri Dipartimenti Universitari (Medicina, Economia, Scienze Statistiche, Psicologia, etc...) dai quali si potrebbe trarre reciproco arricchimento, ognuno con il proprio bagaglio culturale e professionale.

### **PROPRIETA' DEI DATI**

I dati ed i risultati derivanti dalla loro elaborazione sono da considerarsi di proprietà esclusiva dell'Ente proponente, che si riserva la possibilità di condividerli e divulgarli attraverso i canali che riterrà più opportuni.

### **RISORSE**

#### **1. Risorse umane**

Le attività progettuali all'interno del Laboratorio verrebbero svolte da un Farmacista Ospedaliero Specializzato dedicato, iscritto all'Ordine dei Farmacisti, in qualità di ricercatore con contratto di prestazione d'opera; il suddetto Farmacista dovrà dimostrare, in occasione delle procedure pubbliche di selezione, di possedere competenze nelle discipline di Clinical Pharmacy e Pharmaceutical Care in ambito oncoematologico e verrà affiancato da giovani laureati in formazione nelle diverse discipline precedentemente citate.

#### **2. Risorse ambientali e strumentali**

Il Progetto verrebbe svolto in un locale dedicato, situato all'interno del Day Hospital Oncoematologico, come previsto dalla Raccomandazione Ministeriale n°14.

Il suddetto locale dovrà essere adeguatamente dotato degli arredi e delle apparecchiature strumentali e tecnologiche necessarie all'espletamento delle attività progettuali descritte.

### **AVVIO E DURATA DEL PROGETTO**

Il Progetto, indicativamente, avrà una durata biennale e sarà avviato nel corso del secondo semestre 2018.

### **PROSPETTIVE FUTURE**

Le potenzialità che il Progetto potrebbe avere, in termini di prospettive future, sono le seguenti:

- esportabilità e riproducibilità della metodologia proposta in altri contesti clinici;
- condivisione della metodologia proposta e degli outcomes in occasione di momenti divulgativi, incontri multidisciplinari aziendali (non ECM) e attraverso pubblicazioni scientifiche;
- istituzione di una Rete Didattica permanente, attraverso la partnership con la Scuola di Specializzazione in Farmacia Ospedaliera e nell'ambito delle Convenzioni attualmente vigenti tra l'A.O. Ordine Mauriziano e i diversi Dipartimenti dell'Università degli Studi di Torino.

### **ANALISI DEI COSTI PER LA REALIZZAZIONE DEL PROGETTO**

Il Progetto, per la cui realizzazione si richiede un'elargizione liberale "da più soggetti erogatori", ha un valore indicativo di 114.400€.

Per la ripartizione dettagliata dei costi del Progetto si rimanda all'Allegato 1.

Si precisa, inoltre, che sarà cura della Fondazione Scientifica Mauriziana Onlus gestire e destinare tutte le elargizioni liberali effettivamente ricevute.

Qualora le elargizioni liberali dovessero essere superiori al valore indicato, il Progetto sarà esteso per un periodo maggiore, con un indubbio beneficio nel raggiungimento degli obiettivi indicati.

Si individua in 80.000€ il valore minimo indicativo per poter avviare il Progetto.

## **BIBLIOGRAFIA**

1. Garrison LP Jr et al, Using real world data for coverage and payment decisions: the ISPOR Real World Data Task Force Report. Value Health 2007; 10: 326-35
2. Eichler HG et al, From adaptive licensing to adaptive pathways: delivering a flexible life-span approach to bring new drugs to patients. Clin Pharmacol Ther 2015; 97: 234-46
3. Traversa G, Chiarire il ruolo della Real World Evidence. Ricerca in Pratica 2016; 32: 129-130
4. Melazzini M, Dagli studi clinici alla pratica medica, allineando e integrando i dati sanitari. AIFA Editorial 06/04/2017
5. Raccomandazione Ministeriale per la prevenzione degli errori in terapia con farmaci antineoplastici, Raccomandazione n.14, ottobre 2012
6. Altini M, Stewardship nella gestione delle terapie orali in oncoematologia. Frammenti Educational 2016; supplemento al numero 39.

**ANALISI DEI COSTI PER LA REALIZZAZIONE DEL PROGETTO**

**Costi risorse umane**

- n° 1 Contratto di prestazione d'opera: 60.000€ (30.000€/anno);
- n° 3 Borse di studio (mediante apposite Convenzioni): 39.000€

**Costi tecnologie e arredi: 5.000€**

**Costi per organizzazione di eventi divulgativi e pubblicazioni scientifiche: 6.000€**

**Costi per spese amministrative: 4.400€**