

PROSPETTIVE DI RICERCA INDIPENDENTE E DI RISULTATO

Fausto Roila
Oncologia Medica, Perugia

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE

- L'industria promuove studi di sviluppo del farmaco per registrarlo (talora anche studi di fase IV che spesso però sono studi di marketing)
- I farmaci vengono registrati sempre più sulla base di endpoint “surrogati” (evidenza di attività del nuovo farmaco ma non di efficacia o di effectiveness): tra 1990-2002 solo 18/57 (32%) dei farmaci approvati aumentava sopravvivenza (Johnson JR, J Clin Oncol 2003; 21:1404)

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE

- Ciò è dovuto ad una “dipendenza” degli enti regolatori dall’industria farmaceutica
- Fino recentemente la richiesta minima per approvare un farmaco era di dimostrarne l’efficacia (risultati clinicamente rilevanti) in uno studio clinico controllato.
- Tali risultati dovevano peraltro essere confermati da almeno un altro studio clinico controllato

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE

- L'approvazione accelerata di un farmaco antitumorale ritarda l'esecuzione da parte dell'industria di studi controllati come richiesto dalla FDA. Si è visto che per 8 farmaci gli studi confirmatori saranno completati in circa 10 anni (Mitka M. JAMA 2003; 289: 3227)

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE

- La ricerca indipendente dovrebbe promuovere studi atti ad **identificare il ruolo “reale” del nuovo farmaco**
- Studi di nuove indicazioni dei farmaci (tumori rari)

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE

- Studi sui fattori prognostici
- Studi non farmacocentrici (approcci diagnostici, screening, follow-up) diretti a rispondere a importanti quesiti clinici.

Uno studio sull'uso dei marcatori tumorali è stato pianificato nella nostra regione nel 2008

LA NECESSITA' DI RICERCHE DI RISULTATO (OUTCOME RESEARCH)

- La ricerca di risultato è la valutazione di un farmaco, dimostratosi efficace e tollerabile in studi controllati (ricerca clinica), nella pratica clinica di tutti i giorni

LA NECESSITA' DI STUDI DI RISULTATO (OUTCOME RESEARCH)

Questi studi ci permettono di:

- valutare la tollerabilità del/i trattamento/i a lungo termine in un elevato numero di pazienti.
- valutare l'appropriatezza prescrittiva

LA NECESSITA' DI STUDI DI RISULTATO (OUTCOME RESEARCH)

Questi studi ci permettono di:

- valutare le caratteristiche dei pazienti trattati nella pratica clinica rispetto a quelli inclusi nella ricerca clinica
- valutare la compliance dei pazienti alle terapie nella pratica clinica
- valutare l'agire medico nelle aree di incertezza e nelle popolazioni escluse dai trials

LA NECESSITA' DI STUDI DI RISULTATO (OUTCOME RESEARCH)

Questi studi ci permettono di:

- valutare la trasferibilità/praticabilità dei risultati della ricerca e delle linee guida esistenti
- identificazione gruppi specifici di pazienti a rischio più elevato di cura inappropriata o di esiti sfavorevoli

LA NECESSITA' DI STUDI DI RISULTATO (OUTCOME RESEARCH)

Questi studi ci permettono di:

- eseguire studi farmacoeconomici per valutare la costo-efficacia di un nuovo trattamento nella pratica clinica
- eseguire studi sull' impatto del/i trattamento/i sulla qualità di vita nella pratica clinica

CHI DEVE SPONSORIZZARE LA
RICERCA INDIPENDENTE E DI
RISULTATO?

LA NECESSITA' DI UNA RICERCA INDIPENDENTE E DI RISULTATO

- Tali ricerche dovrebbero essere sponsorizzate da istituzioni (Ministero della Salute, AIFA, ISS, CNR, Regioni, Aziende ospedaliere), associazioni, società scientifiche, gruppi oncologici
- L'industria farmaceutica potrebbe sostenere in qualche maniera tali studi (fornendo i farmaci gratuitamente, pagando la stampa di CRF, etc.) che peraltro sarebbero completamente indipendenti

STUDI FINANZIATI RECENTEMENTE DAL MINISTERO DELLA SALUTE

ALLA REGIONE EMILIA-ROMAGNA (coordinato
dalla Divisione di Oncologia Medica di Forlì)

- Valutazione e monitoraggio delle innovazioni nel campo dei farmaci antitumorali (revisioni sistematiche, produzione e implementazione delle linee guida). Tale progetto nasce da una collaborazione tra più regioni (inclusa la nostra) e tra le regioni e l'AIFA

STUDI FINANZIATI RECENTEMENTE DAL MINISTERO DELLA SALUTE

ALLA REGIONE PIEMONTE (coordinato dalla
Divisione di Epidemiologia clinica del S:Giovanni di
Torino)

- Appropriatelyzza della PET: revisione critica delle evidenze e sviluppo di nuove indicazioni

STUDI FINANZIATI RECENTEMENTE DAL MINISTERO DELLA SALUTE

ALLA REGIONE UMBRIA (coordinati dalla
Divisione di Oncologia Medica di Perugia)

- due studi doppio cieco sul ruolo dell'aprepitant nella prevenzione dell'emesi ritardata indotta da chemioterapia di alto e moderato potere emetogeno
- studio doppio cieco di confronto tra furosemide per via aerosol vs placebo nel controllo della dispnea refrattaria alla morfina
- studio di confronto tra naproxen, prednisone e paracetamolo nel controllo della febbre neoplastica

STUDI FINANZIATI RECENTEMENTE DAL MINISTERO DELLA SALUTE

- ALLA REGIONE UMBRIA (coordinati dalla Divisione di Oncologia Medica di Perugia)
 - studio doppio cieco di confronto tra paroxetina, mirtazapina e ondansetron nel controllo del prurito da ittero colestatico
 - studio doppio cieco di confronto tra baclofen, nifedipina e gabapentina nel controllo del singhiozzo refrattario alla metoclopramide

STUDI FINANZIATI RECENTEMENTE DAL MINISTERO DELLA SALUTE

ALLA REGIONE UMBRIA (coordinati dalla
Divisione di Oncologia Medica di Perugia)

- studio doppio cieco di confronto tra glutatione, carnitina e placebo nella profilassi della neurotossicità da oxaliplatino
- studio di confronto tra due strategie diagnostiche e terapeutiche del diabete indotto da corticosteroidi