

TRAIETTORIE DI UTILIZZO DI RILUZOLO NEI PAZIENTI AFFETTI DA SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA

SABRINA GIOMETTO, UNIVERSITA' DI PISA

EVENTO
ECM
(IBRIDO)

**Presentazione del
Rapporto Farmaci in
Toscana 2022**

MERCOLEDÌ 14 DICEMBRE 2022
9.00-16.30

CREDITI ECM: 6

ARS TOSCANA
agenzia regionale di sanità

Regione Toscana

SST
Servizio Sanitario
della
Toscana

**CAESAR**

Comparative Effectiveness and Safety
of Drugs used in Rare Neuromuscular
and Neurodegenerative Diseases

INTRODUZIONE

- Sclerosi laterale amiotrofica (SLA): malattia neurodegenerativa progressiva
- Unico farmaco approvato con indicazione SLA in Italia, che ritarda l'uso della ventilazione meccanica assistita: **riluzolo**
- Aderenza e persistenza → aspetto importante di salute pubblica nelle patologie croniche
- Scarsa evidenza sull'aderenza al riluzolo in pazienti con SLA

DOMANDA

I pazienti affetti da SLA in Toscana, Lazio e Umbria che ricevono il riluzolo, sono aderenti alla terapia?

METODI: FONTE DI DATO



- Anagrafe assistiti
- Schede di dimissione ospedaliera
- Pronto soccorso
- Registro esenzioni
- Farmaceutica

DATI AMMINISTRATIVI

METODI: POPOLAZIONE IN STUDIO E SELEZIONE COORTE

Pazienti incidenti di SLA
(SDO, esenzione, PS), 2014-
2019

Data indice (DI): prima traccia del
paziente in una delle tre fonti

Criteria di esclusione:

- < 18 anni
- Non assistibili tre anni precedenti DI
- Non incidenti (diagnosi nei 3 anni precedenti DI)
- Non utilizzatori di riluzolo entro 180 gg DI
- Deceduti entro 30 gg DI

Pazienti incidenti di SLA
inclusi nella coorte

Un anno FUP

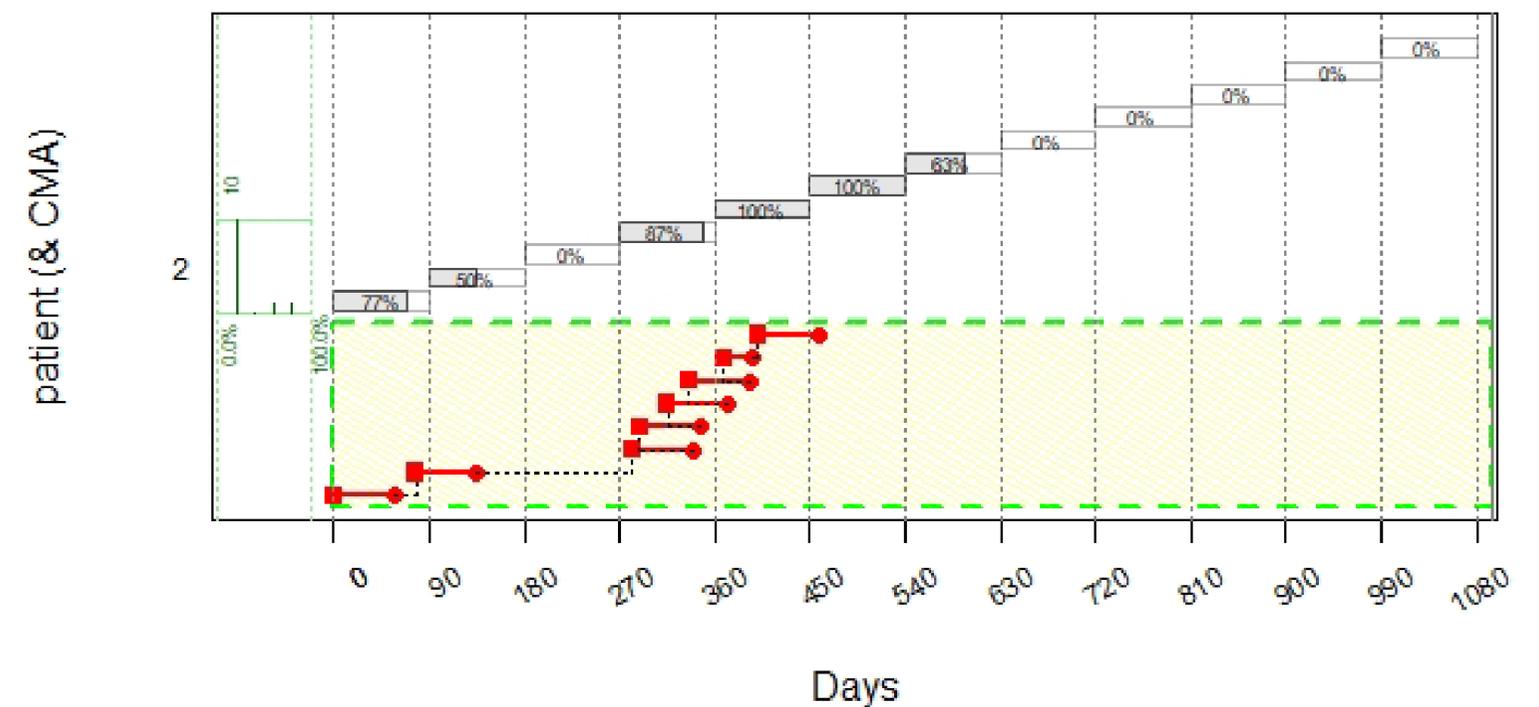
METODI: CALCOLO ADERENZA E IDENTIFICAZIONE TRAIETTORIE

1° erogazione
2° erogazio



- DDD
- Frazionamento mensile
- Traslazione *overlapping*

Event patterns sliding window (CMA7)



METODI: CALCOLO ADERENZA E IDENTIFICAZIONE TRAIETTORIE

1. Calcolo misure (passo 1)
2. PCA (passo 2)
3. Analisi dei gruppi (passo 3)

Passo 1: calcolo di 24 misure per descrivere la variabilità di ciascun comportamento individuale

Passo 2: selezione delle misure che meglio descrivono la variabilità (PCA)

Passo 3: raggruppamento dei soggetti in accordo con le misure selezionate (cluster analysis)

RISULTATI

Pazienti con una
diagnosi di SLA
nel periodo
2014-2019

Lazio
(N=1015)

Toscana
(N=741)

Umbria
(N=134)

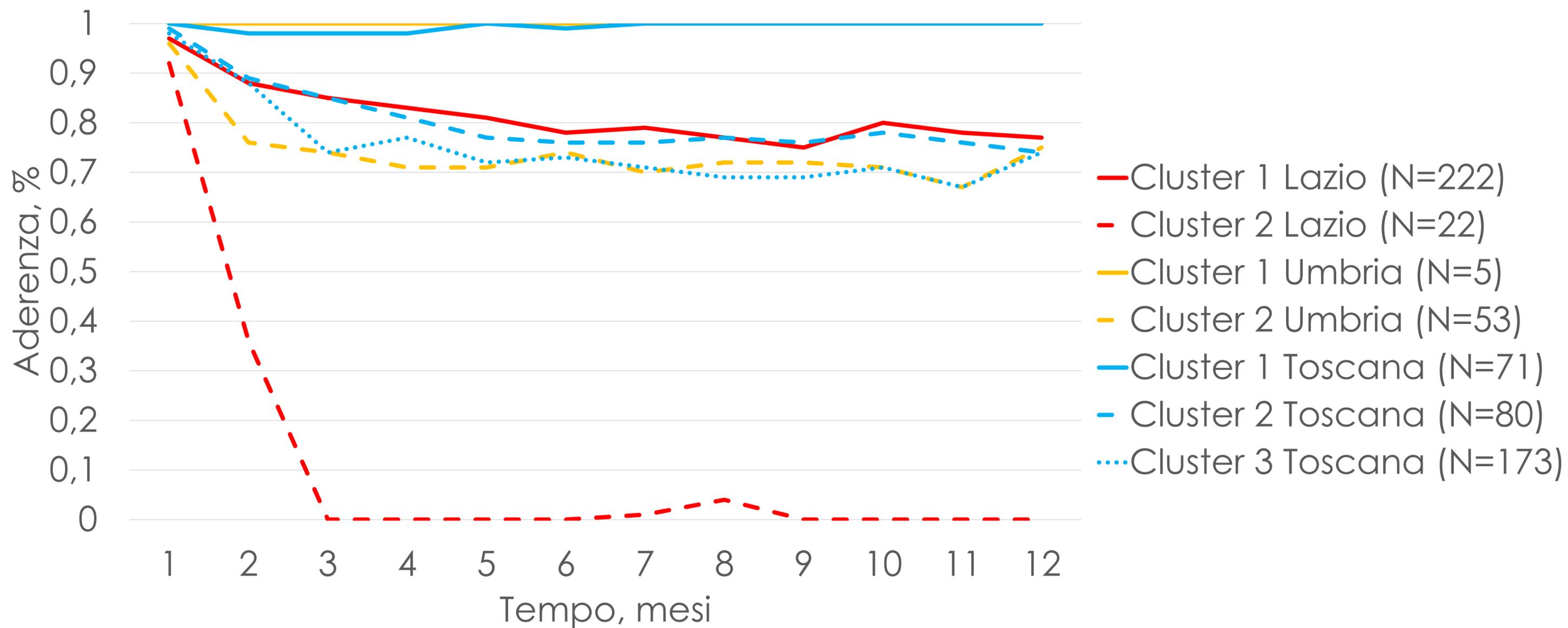
Pazienti
inclusi nella
coorte

Lazio
(N=264)

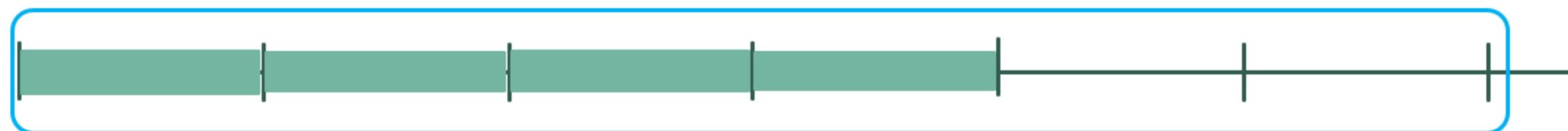
Toscana
(N=344)

Umbria
(N=63)

RISULTATI: ANDAMENTO ADERENZA



METODI: CLASSIFICAZIONE PAZIENTI



Paziente aderente



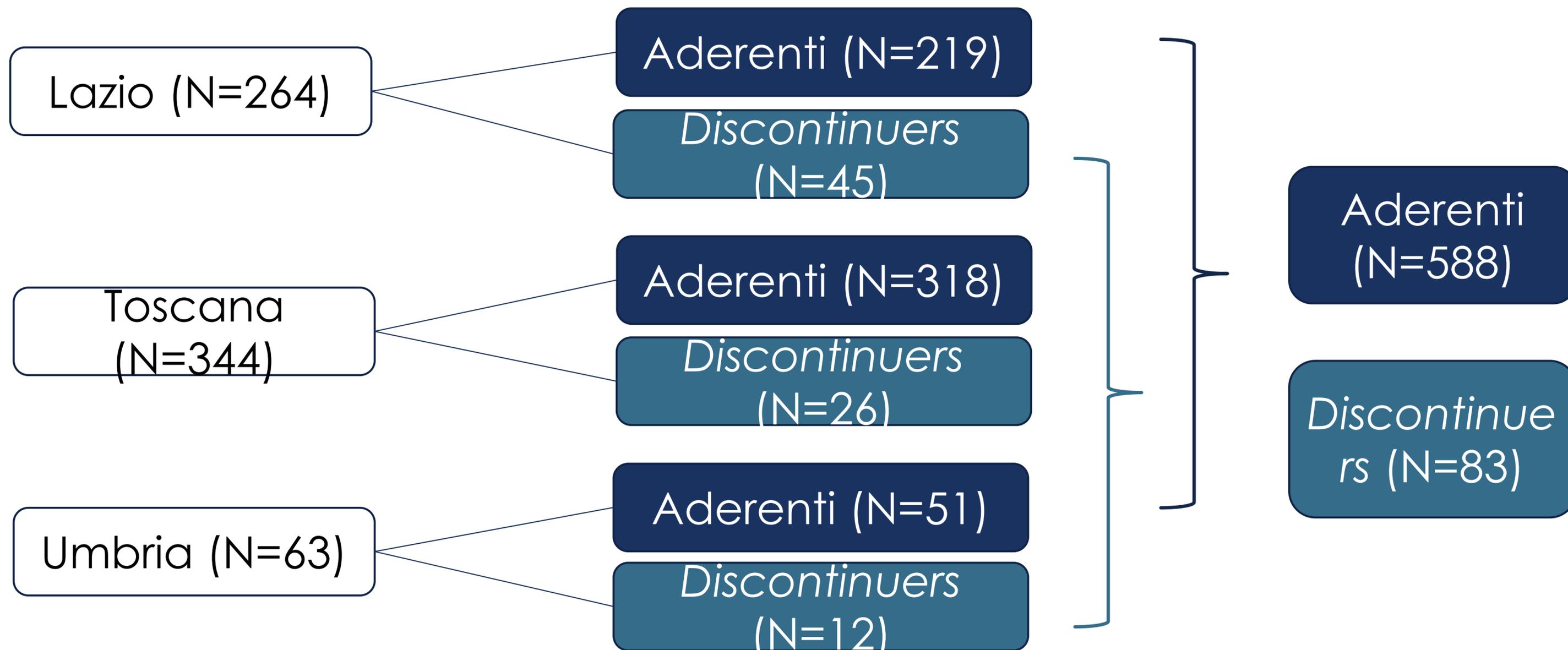
Paziente che interrompe

 periodo coperto

 periodo osservato

Paziente che interrompe:
seconda metà (almeno) del periodo osservato non coperta

RISULTATI



RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Genere, M	337	291	49,5	46	55,4
Età, media (DS)	67,4 (10,4)	67,5 (10,4)	-	67,0 (10,6)	-
Complicanze (2 anni precedenti)					
Fratture da infortunio	59	55	9,4	4	4,8
Comorbidità (2 anni precedenti)					
Altre patologie del motoneurone	51	41	7,0	10	12,0
Malattie infettive/parassitarie	10	7	1,2	3	3,6
Tumori	48	43	7,3	5	6,0

RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Comorbidità (2 anni precedenti)					
Malattie endocrine/nutrizionali/metaboliche, n (%)	118	109	18,5	9	10,8
Disturbi mentali, n (%)	35	30	5,1	5	6,0
Malattia sistema nervoso centrale, n (%)	496	433	73,6	63	75,9
Malattia sistema nervoso periferico, n (%)	60	55	9,4	5	6,0
Malattia sistema circolatorio, n (%)	208	184	31,3	24	28,9

RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Comorbidità (2 anni precedenti)					
Malattia apparato digerente, n (%)	50	44	7,5	6	7,2
Malattia sistema genitourinario, n (%)	43	39	6,6	4	6,0
Malattia apparato respiratorio, n (%)	67	58	9,9	9	10,8
Malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo, n (%)	122	104	17,7	18	26,5
Traumatismi e avvelenamenti, n (%)	168	145	24,7	23	27,7

RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Terapia farmacologica sintomatica (1 anno precedente)					
Farmaci ipersecrezione bronchiale, n (%)	117	107 (18)	18,2	10	12,0
Farmaci reflusso gastroesofageo, n (%)	358	318 (54)	54,1	40	48,2
Farmaci crampi/spasmi, n (%)	125	112 (19)	19,0	13	15,7
Farmaci depressione/ansia, n (%)	161	142 (24)	24,1	19	22,9
Farmaci dolore, n (%)	292	254 (43)	43,2	38	45,8
Farmaci tromboembolia, n (%)	281	247 (42)	42,0	34	41,0

RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Terapia farmacologica (1 anno precedente)					
Altra terapia farmacologica, n (%)					
≤1	140	115	19,6	25	30,1
2-5	304	270	45,9	34	41,0
6+	227	203	34,5	24	28,9
Numero farmaci sintomatici totale, media (DS)	2,4 (1,9)	2,4 (1,9)	-	2,2 (1,9)	-
Numero ricoveri ordinari/day hospital, media (DS)	1,2 (1,1)	1,2 (1,1)	-	1,3 (1,2)	-
Numero accessi PS, media (DS)	1,2 (1,5)	1,2 (1,5)	-	1,3 (1,8)	-
Numero visite specialistiche, media (DS)	3,2 (3,4)	3,2 (3,4)		3,0 (3,1)	

RISULTATI: CARATTERISTICHE PER GRUPPO

	Overall	Pazienti aderenti (N)	Pazienti aderenti (%)	Pazienti che interrompono (N)	Pazienti che interrompono (%)
N	671	588	100,0	83	100,0
Mortalità (1 anno di follow-up)					
Totale, n (%)	154	125	21,3	29	34,9
Lazio, n (%)	53	39	17,8	14	31,1
Toscana, n (%)	80	71	22,3	9	34,6
Umbria, n (%)	21	15	29,4	6	50,0

CONCLUSIONI

La maggioranza dei pazienti affetti da SLA che inizia il trattamento con riluzolo è aderente alla terapia nel primo anno. I pochi pazienti che interrompono la terapia precocemente mostrano maggiore fragilità e maggiore mortalità, fattori che potrebbero aver portato all'interruzione della terapia.

RINGRAZIAMENTI

Ersilia Lucenteforte, Marco Tuccori

Marco Finocchietti, Ursula Kirchmayer, Silvia Cascini, Anna Maria Bargagli, Valeria Belleudi, Antonio Addis, Marina Davoli

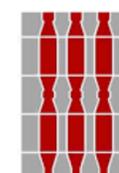
Olga Paoletti, Giulia Hyeraci, Rosa Gini

Niccolò Lombardi, Giada Crescioli, Alfredo Vannacci, Roberto Bonaiuti

Giampaolo Bucaneve, Rosalba Elisabetta Rocchi, Mariangela Rossi

Livia Convertino

Teresa Cantisani, Maria Grazia Celani, Paola Brunori



Regione Umbria



Azienda Ospedaliera di Perugia

