



# Registri AIFA tra debito informativo e “Outcome Research”

Terapie ematologiche e oncologiche e registri AIFA

Luca Tomassini, Pierluigi Russo

AIFA - Ufficio Registri di Monitoraggio

8 ottobre 2023

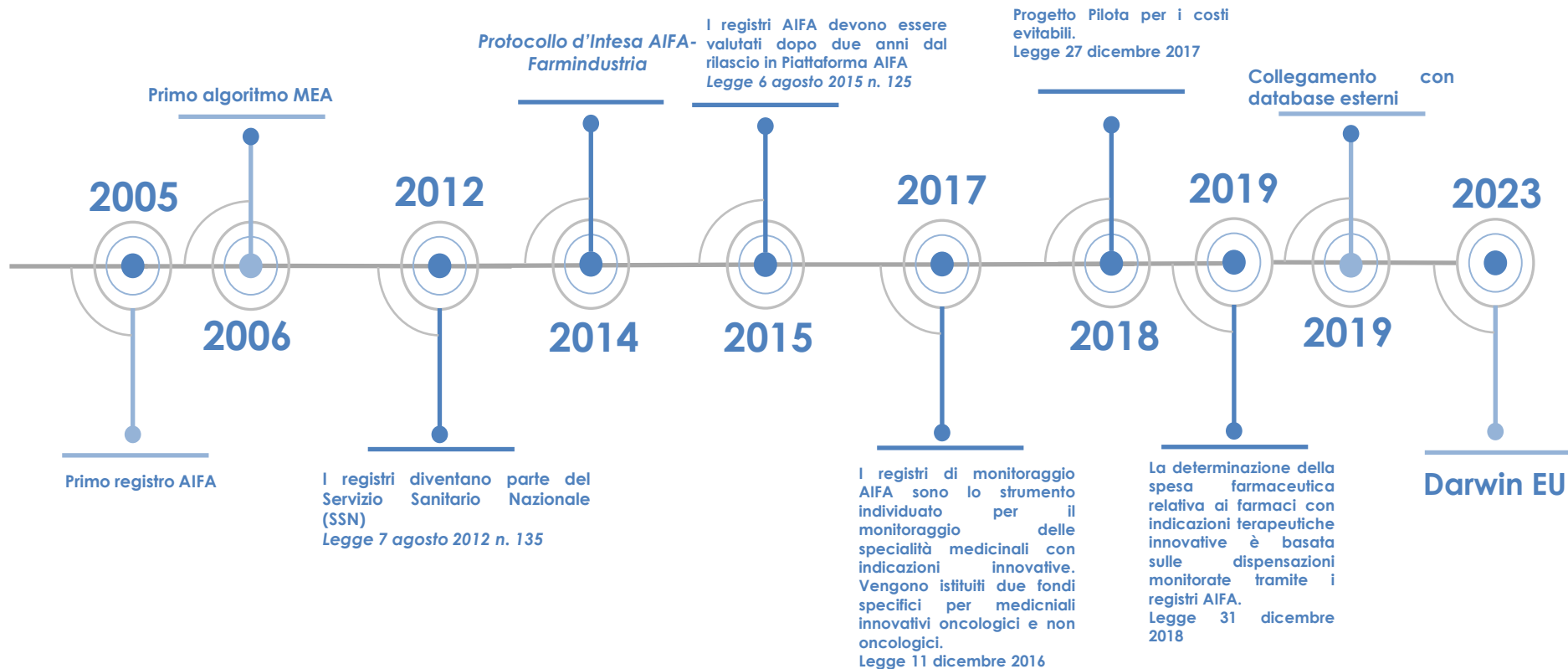
# Dichiarazione di trasparenza/interessi\*

Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

\* Luca Tomassini, secondo il regolamento sul Conflitto di Interessi approvato dal CdA AIFA in data 25.03.2015 e pubblicato sulla Gazzetta Ufficiale del 15.05.2015 in accordo con la policy EMA /626261/2014 sulla gestione del conflitto di interessi dei membri dei Comitati Scientifici e degli esperti.

N.B. Per questo intervento non ricevo alcun compenso.



## I registri AIFA e la pratica clinica: la definizione regolatoria della Piattaforma AIFA

- **AIFA**
- **Referenti Regionali**
- **Strutture Sanitarie**
- **Medici**
- **Farmacisti**
- **Aziende Farmaceutiche**

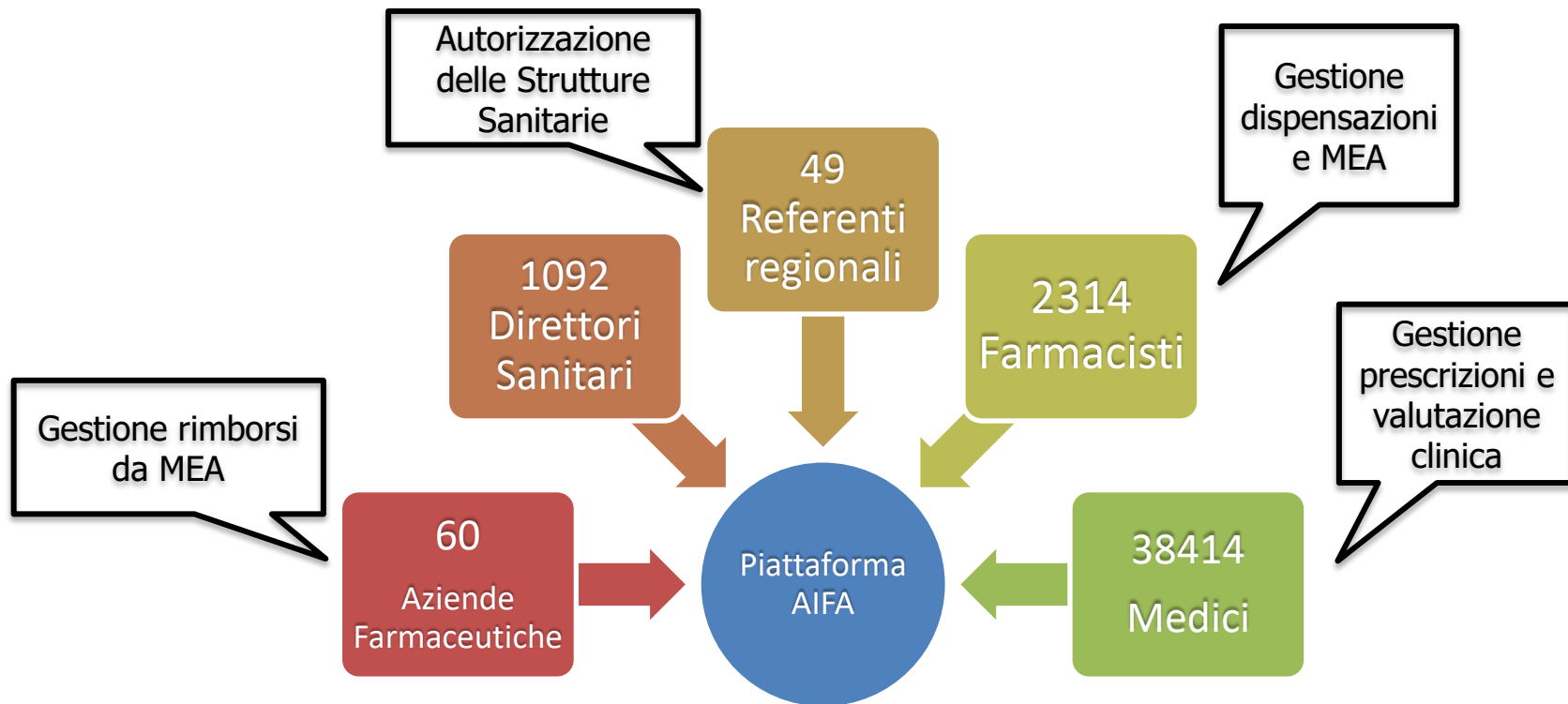


Un network nazionale per la gestione di farmaci innovativi e/o ad alto costo

## La Piattaforma AIFA dei registri di monitoraggio: uno strumento che garantisce uniformità di accesso alle terapie



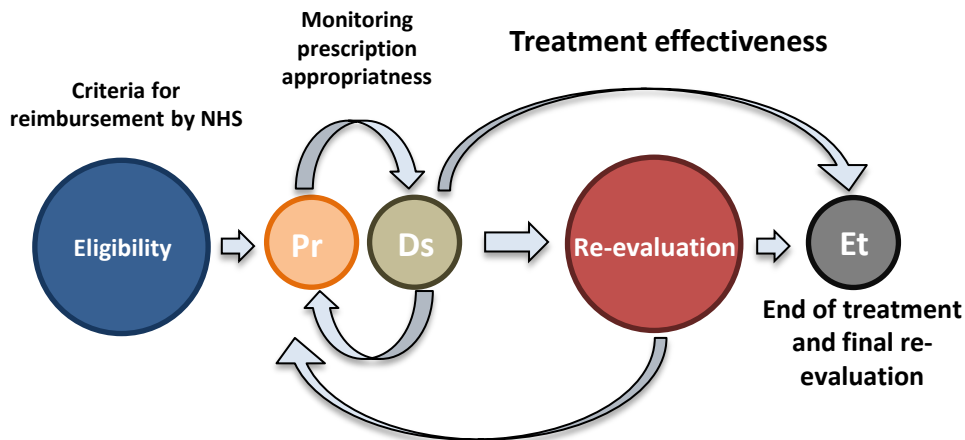
## Il Network dei Registri di Monitoraggio AIFA: alcuni numeri



## I flussi di lavoro nei registri di monitoraggio AIFA: chi fa cosa

*I registri di monitoraggio sono strumenti tecnici-amministrativi, introdotti dal 2005, per assicurare l'appropriatezza prescrittiva e d'uso di determinate specialità medicinali in specifiche indicazioni terapeutiche.*

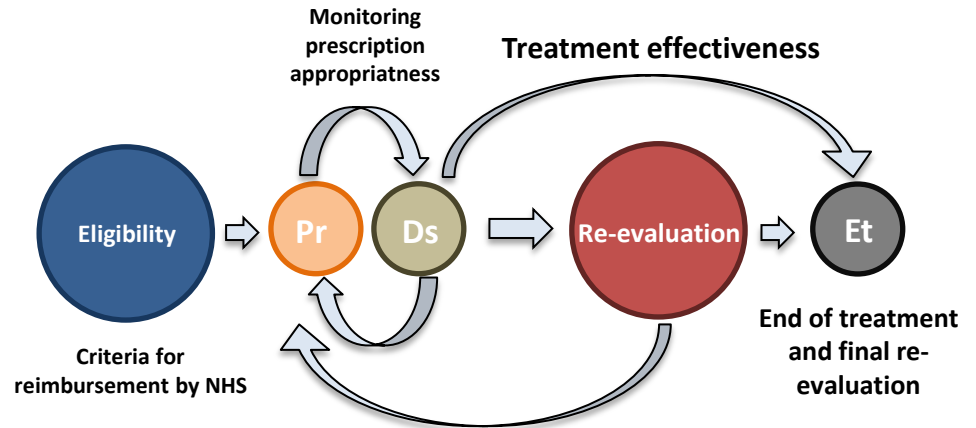
*Per registro si intende l'associazione del binomio farmaco-indicazione.*



## I flussi di lavoro nei registri di monitoraggio AIFA: chi fa cosa

La struttura di un registro è di **natura modulare** e permette il controllo dell'appropriatezza prescrittiva, il follow up dell'appropriatezza d'uso e la valutazione dell'effectiveness.

- Scheda Anagrafica;
- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici;
- Scheda Richiesta Farmaco (Scheda Piano Terapeutico per PTwb);
- Scheda Dispensazione (solo nella modalità registro);
- Scheda Rivalutazione;
- Scheda Fine Trattamento;
- Scheda Gravidanza per farmaci con RMP.



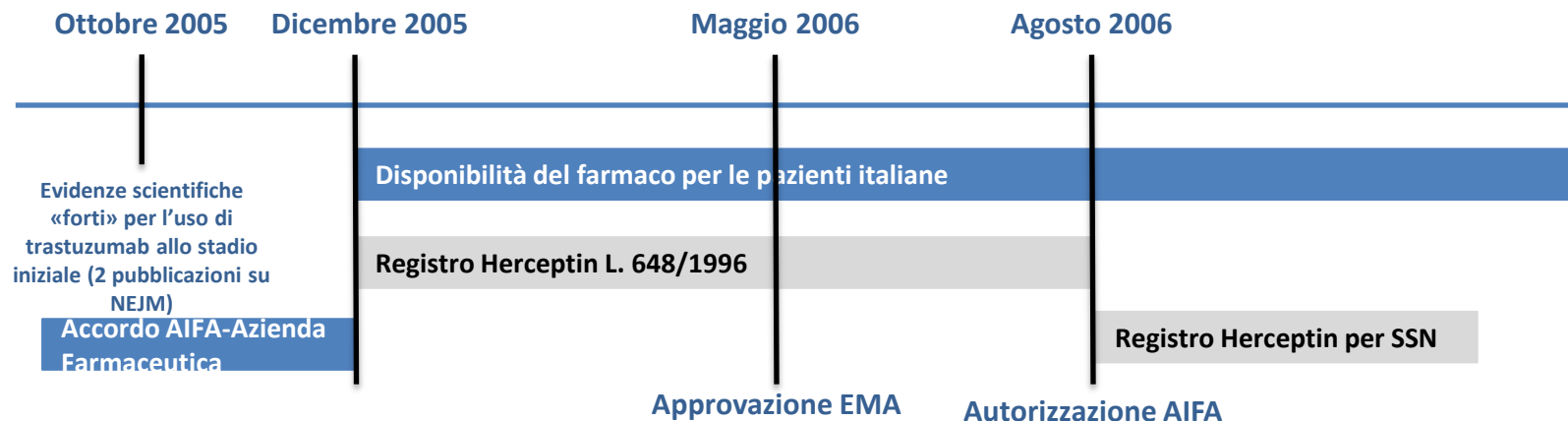


# Tipologie di monitoraggio attraverso la Piattaforma AIFA

La scelta della corretta tipologia di monitoraggio si basa essenzialmente su criteri di natura regolatoria e sulla base delle finalità specifiche del monitoraggio. Le tre modalità previste sono:

- **Registro di monitoraggio**
- **Piano Terapeutico web based**
- **Registro semplificato (multifarmaco o non)**

## Il registro di Trastuzumab per il trattamento adiuvante del carcinoma mammario HER2+



## **Alcuni numeri dopo 18 mesi dal rilascio in Piattaforma del primo registro**

**Numero di centri autorizzati: 412**

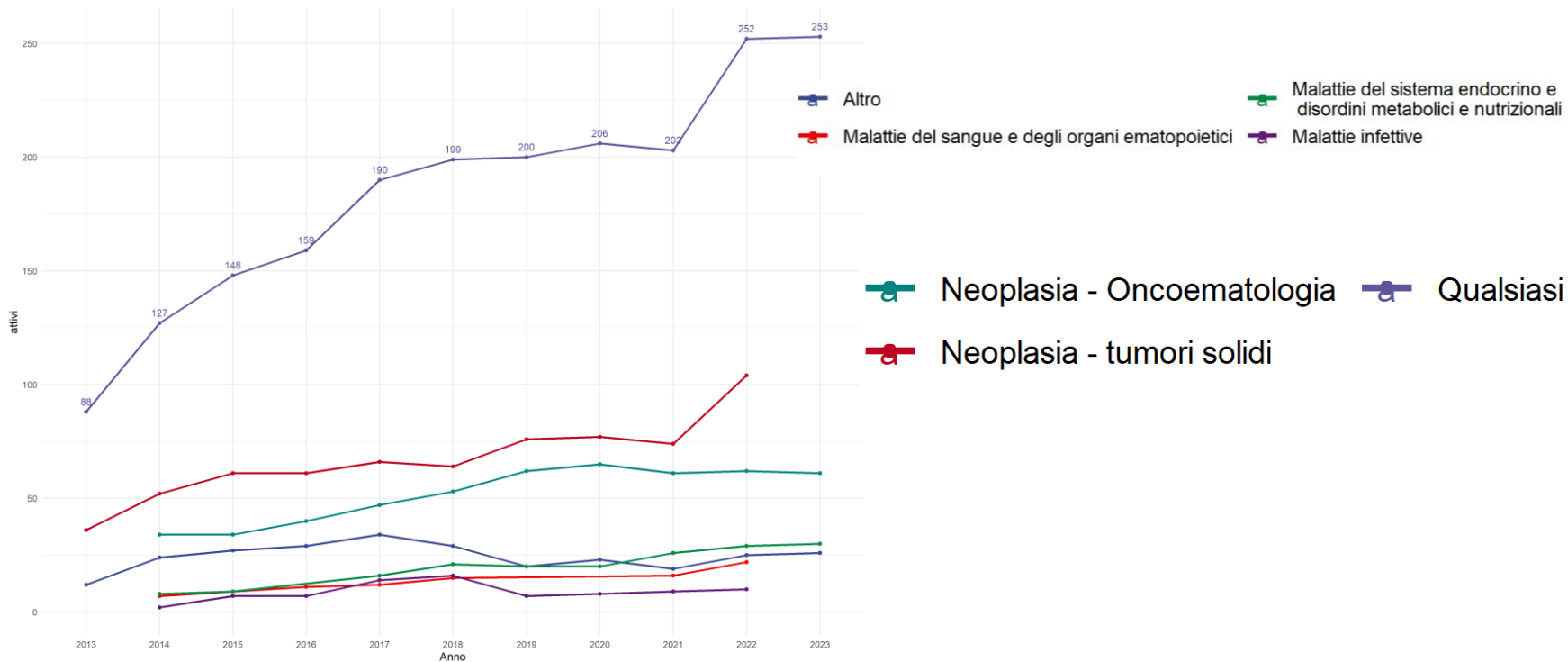
**Numero di medici registrati: 866**

**Numero di farmacisti: 351**

**Numero di pazienti: 19480**

**Numero di registri: 14 (solo oncologici)**

# Trend registri AIFA attivi

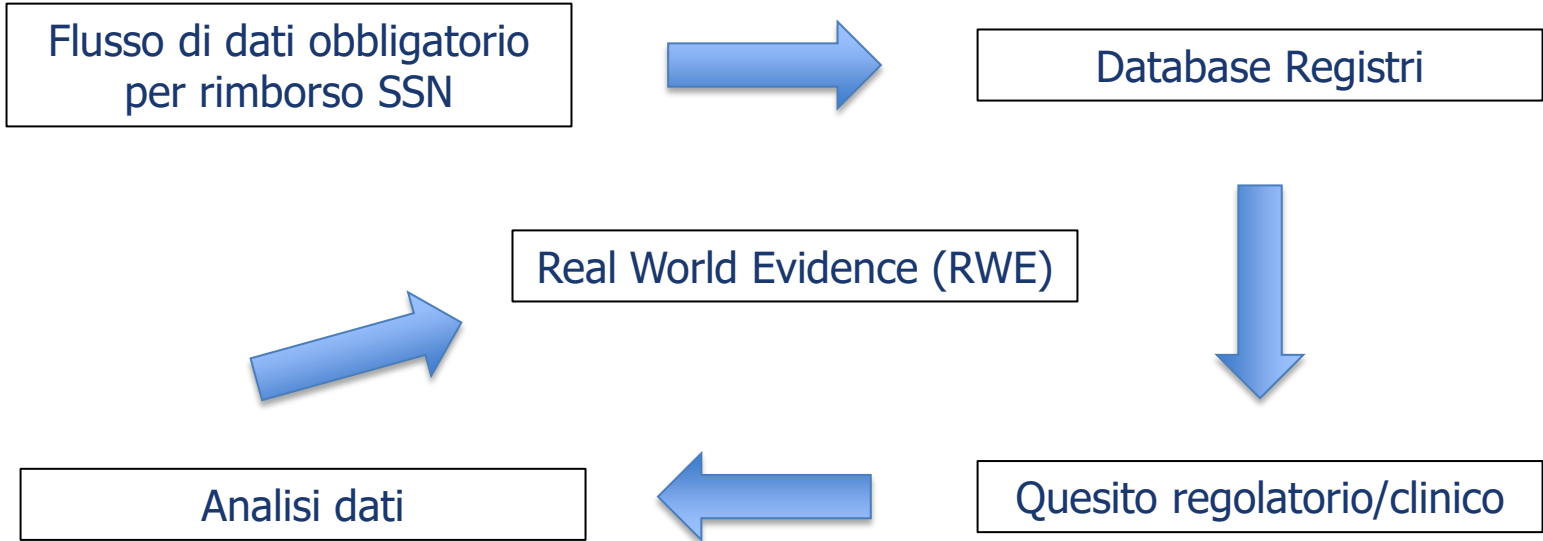


Maggio 2023

## Alcuni numeri del Database dei Registri AIFA (aggiornamento al 28 giugno 2023)

Database Registri:  
2,191 strutture  
4,748,673 trattamenti  
3,732,981 pazienti  
11,354,029  
somministrazioni\*

\* No PTwb







Blood Cancer Journal

[www.nature.com/bcj](http://www.nature.com/bcj)

ARTICLE **OPEN**

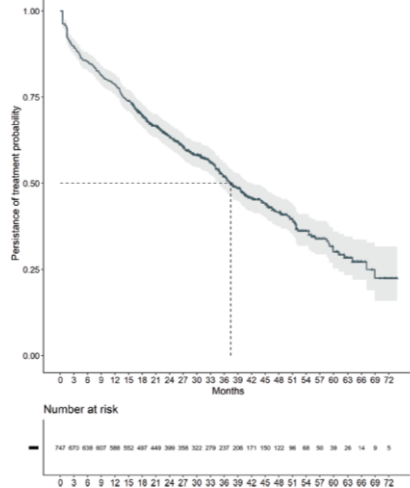


## Outcomes in patients with chronic lymphocytic leukemia and *TP53* aberration who received first-line ibrutinib: a nationwide registry study from the Italian Medicines Agency

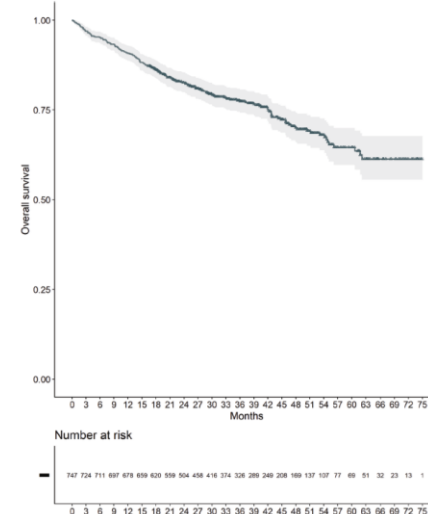
Gian Matteo Rigolin<sup>1,4</sup>, Pier Paolo Olimpieri <sup>2,4</sup>, Valentina Summa<sup>2</sup>, Simone Celant<sup>2</sup>, Lydia Scarfò <sup>3</sup>, Lucia Tognolo<sup>1</sup>, Maria Pia Ballardini<sup>1</sup>, Antonio Urso<sup>1</sup>, Mariarosaria Sessa <sup>1</sup>, Silvia Gambarà<sup>1</sup>, Francesca Cura<sup>1</sup>, Monica Fortini<sup>1</sup>, Paolo Ghia <sup>3,5</sup> ✉, Antonio Cuneo<sup>1,5</sup> and Pierluigi Russo<sup>2,5</sup>

Cohort: 747 treated in the approved therapeutic indication between January 2016 and December 2020 in the framework of INHS reimbursement (census)

2








**Fig. 1 Time to treatment discontinuation (TTD).** At the data cut-off (May 2022), 350 patients (46.9%) were still on ibrutinib and discontinuation occurred in 397 patients (53.1%) with a median time to discontinuation of 37.4 months and an estimated treatment persistence probability of 63.4% at 24 months.



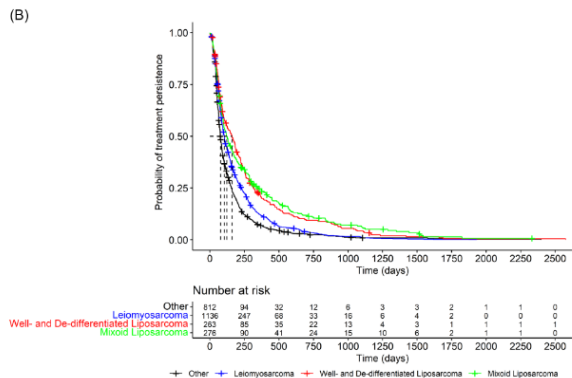
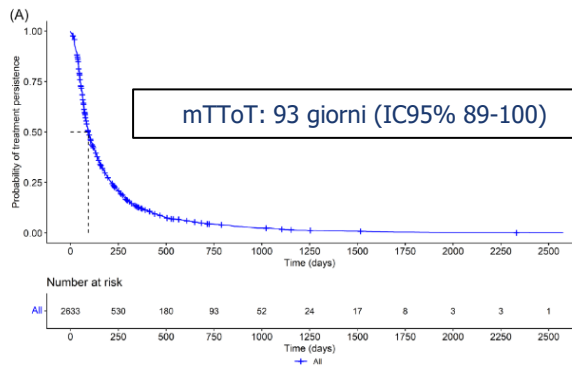
**Fig. 2 Overall survival (OS).** Median OS was not reached with a 24-month survival probability of 82.6%.



# Trabectedin use in soft-tissue sarcoma patients in a real-world setting: Data from an Italian national drug-access registry

Bruno Vincenzi<sup>1</sup>  | Andrea Napolitano<sup>1,2</sup>  | Alessandro Comandone<sup>3</sup> |  
Roberta Sanfilippo<sup>4</sup>  | Simone Celant<sup>5</sup> | Pier P. Olimpieri<sup>5</sup> | Susanna Di Segni<sup>5</sup> |  
Pierluigi Russo<sup>5</sup>  | Paolo G. Casali<sup>4,6</sup> 

Cohort: 2633 patients with STS treated with trabectedin from January 2013 to December 2019.  
A total of 14950 individual cycles were analyzed.



Modello AFT

Variable	Coef (SE)	Exp(Coef)	P value
Intercept	4.00 (0.151)	54.75	<.01
Gender (male vs female)	-0.141 (0.043)	0.868	<.01
Age	0.003 (0.002)	1.003	n.s.
Stage (metastatic vs locally advanced)	-0.021 (0.070)	0.979	n.s.
ECOG PS (0 vs >0)	0.405 (0.041)	1.499	<.01
Histology (vs other)			
LMS	0.199 (0.046)	1.220	<.01
WD/DDLS	0.545 (0.075)	1.725	<.01
MyxLS	0.476 (0.073)	1.610	<.01
Indication (progressive disease vs contraindication)	0.006 (0.067)	1.006	n.s.
Trabectedin dose in mg/sqm at cycle 1 (vs 1.5)			
1.0	-0.100 (0.054)	0.905	n.s.
1.2	-0.011 (0.053)	0.988	n.s.
1.3	0.023 (0.058)	1.023	n.s.
Treatment center volume (high- vs low-volume)	0.209 (0.043)	1.231	<.01

Abbreviations: ECOG PS: Eastern Cooperative Oncology Group performance status; LMS: leiomyosarcoma; MyxLS: myxoid liposarcoma; WD/DDLS: well differentiated/dedifferentiated liposarcoma.

## Prospettive future e nuovi obiettivi:

- 1) Partecipazione a progetti europei e internazionali (DARWIN EU)
- 2) Applicazione di metodologie statistiche evolute di analisi dei dati (confronto diretto, studi di sequenza)
- 3) Miglioramento tecnologico della Piattaforma AIFA
- 4) Nuovi scenari dal punto di vista regolatorio

Contatti del relatore:  
[l.tomassini@aifa.gov.it](mailto:l.tomassini@aifa.gov.it)

