

## **Raccomandazioni per l'utilizzo appropriato dei farmaci oncologici innovativi: l'esperienza della Regione Emilia-Romagna.**

**Papini D<sup>\*</sup>**, Bandieri E<sup>\*\*</sup>, Belfiglio M<sup>\*\*\*</sup>, Berardi R<sup>°</sup>, Brunetti M<sup>\*\*</sup>, Ciccone G<sup>°°</sup>, De Palma R<sup>\*</sup>, Leoni M<sup>°°°</sup>, Longo G<sup>^</sup>, Magrini N<sup>^^</sup>, Mini E<sup>^^</sup>, Moja<sup>§</sup> PL, Moschetti I<sup>§</sup>, Roila F<sup>§§</sup>, Liberati A<sup>\*</sup>

*\* Regione Emilia-Romagna, Agenzia sanitaria e sociale regionale; \*\* AUSL di Modena; \*\*\* Consorzio Mario Negri Sud; ° Università Politecnica delle Marche; °° CPO Piemonte; °°° AUSL di Ravenna; ^ Azienda Ospedaliero Universitaria di Modena; ^^ CeVEAS, Modena; ^^ Università degli Studi di Firenze; § Centro Cochrane Italiano, §§ Azienda Ospedaliera di Terni*

### Introduzione

Le considerevoli aspettative e i forti interessi commerciali legati ai farmaci innovativi in ambito oncologico portano alla loro immissione sul mercato con informazioni quasi sempre immature, riversando sui singoli clinici la responsabilità di decisioni terapeutiche importanti sia per i pazienti che per il SSN. A questa situazione di incertezza e potenziale inappropriata la Regione Emilia-Romagna (RER) ha cercato di dare una risposta con un programma di ricerca regionale successivamente esteso in ambito trans regionale, avvalendosi di un finanziamento ministeriale.

### Obiettivi

- fornire strumenti decisionali per chi è preposto all'impiego dei nuovi farmaci oncologici e per chi deve considerare la sostenibilità economica e l'equità di accesso correlate al loro utilizzo;
- valorizzare l'esperienza maturata in RER estendendo l'esperienza ad altre 5 Regioni (Abruzzo, Marche, Piemonte, Umbria, Toscana);
- verificare la trasferibilità della metodologia GRADE in un contesto più ampio.

### Metodi

La metodologia utilizzata deriva dall'affinamento dall'esperienza maturata negli scorsi anni in ambito regionale e prevede:

- l'utilizzo del metodo GRADE, internazionalmente riconosciuto come una valida opzione per la valutazione della qualità della letteratura scientifica e per la graduazione della forza delle raccomandazioni
- il coinvolgimento di esperti rappresentativi di discipline diverse e provenienti da più Regioni: i panel di lavoro sono composti da circa 20 membri ciascuno.
- una valutazione formale delle risorse utilizzate nelle varie opzioni terapeutiche.

Il processo di produzione di raccomandazioni per l'uso appropriato dei farmaci è strutturato in una serie di passaggi sequenziali formalizzati e strutturati tra cui: definizione dei quesiti clinici, analisi della letteratura, incontri di valutazione con gli esperti, valutazione economica, sintesi dei risultati. Per ogni passaggio sono individuate specifiche responsabilità (gruppi di lavoro o singoli professionisti).

### Risultati

Nel progetto all'interno della RER sono stati affrontati 21 quesiti clinici e prodotte 32 raccomandazioni sulla terapia adiuvante e della fase avanzata dei tumori della mammella, del polmone e del colon retto.

La fase trans regionale del progetto sta concludendo il primo anno di attività. In questo periodo è stato valutato l'impiego di Sunitinib, Sorafenib, Temozolomide e Bevacizumab nella fase avanzata del tumore del rene e di Cetuximab e Bevacizumab fase avanzata del tumore del colon retto.

### Conclusioni

Il lavoro svolto ha portato alla definizione di una metodologia esplicita e standardizzata di *assessment* di efficacia, sicurezza e impiego di risorse correlati alla introduzione di nuovi farmaci, dimostrando la fattibilità di un percorso complessivo che dalla ricerca va verso l'applicazione clinica dei suoi risultati. Nel tempo l'esperienza ha portato ad un affinamento della metodologia, alla standardizzazione del formato di presentazione dei risultati ed allo sviluppo di una modalità di integrazione con le decisioni regolatorie regionali. Punto di forza del processo è il coinvolgimento attivo di tutte le parti interessate alle decisioni di politica sanitaria.