

COMMISSIONE PER IL PRONTUARIO TERAPEUTICO REGIONALE

PROPOSTA METODOLOGICA PER LA VALUTAZIONE DI INSERIMENTO DI FARMACI ANTITUMORALI NON PRESENTI NEL PTR.

L'attuale Prontuario Terapeutico Regionale prevede che: *“I criteri che seguirà la CTR per aggiornare l'attuale versione del PTR, attraverso l'interazione con le CTP, sono quelli basati sulle prove di efficacia; saranno privilegiati i principi attivi per i quali studi clinici di adeguata numerosità e condotti attraverso una metodologia corretta ne hanno dimostrato la superiorità rispetto ai farmaci presenti nella stessa classe omogenea utilizzando esiti (end point) clinicamente rilevanti. Saranno inoltre considerati i dati di sicurezza ed infine a parità di efficacia clinica e sicurezza sarà valutato l'impatto sulla spesa sanitaria regionale.”*

Spesso però i farmaci oncologici così come i farmaci per la terapia dell'AIDS giungono alla registrazione attraverso meccanismi rapidi (fast track) avendo prodotto solo dati preliminari di efficacia e quasi sempre senza studi di confronto con gli standard terapeutici attuali. Per quanto riguarda i farmaci oncologici inoltre i vantaggi dimostrati per il nuovo trattamento sono spesso molto piccoli a talvolta non riguardano la sopravvivenza; per esempio la risposta obiettiva (riduzione della massa tumorale) rappresenta l'esito principale per quasi la metà degli studi e il più delle volte non si accompagna ad un aumento della sopravvivenza.

Si propone pertanto di definire a priori i criteri da utilizzare per valutare le evidenze disponibili sull'efficacia dei nuovi farmaci oncologici.

Di seguito vengono proposti alcuni criteri:

1. prediligere gli studi di fase III su quelli di fase II (in caso di esistenza di soli studi o di un solo studio di fase due considerare la situazione caso per caso)
2. considerare preferibilmente gli studi che pongono come end point primario la sopravvivenza, rispetto alla migliore terapia di supporto (placebo) o ad altro farmaco già in uso.
3. considerare quali esiti secondari rilevanti: la sopravvivenza libera da malattia (progressione), la risposta globale (completa e/o parziale), la qualità della vita, la tipologia e gravità degli effetti indesiderati e la mortalità correlabile al trattamento
4. rifiutare gli studi che considerano come esito primario la risposta obiettiva.

COMMISSIONE PER IL PRONTUARIO TERAPEUTICO REGIONALE

5. per la decisione finale fare una valutazione globale delle evidenze al fine di definire un bilancio beneficio rischio che sia considerato accettabile dalla maggioranza dei membri della commissione
6. in fine fare una valutazione del bilancio beneficio costo al fine di definire se il beneficio prodotto giustifica il costo.