

# Uso di riluzolo nei pazienti affetti da Sclerosi Laterale Amiotrofica in tre regioni italiane



**C**omparative **E**ffectiveness and **S**afety  
of Drugs used in **R**are Neuromuscular  
and Neurodegenerative Diseases

**WEBINAR  
GRATUITO**

## Presentazione del Rapporto Farmaci in Toscana 2021

15 DICEMBRE 2021  
ORE 9:00 - 16:00

ACCREDITATO ECM: 4,2 CREDITI

 **SS1**  
Servizio Sanitario  
della Toscana

 **FORMAS**  
Forum Farmaci  
per la Formazione Continua

 **ARS TOSCANA**  
Agenzia Regionale di Sanità

**Marco Finocchietti**

# CONFLITTO DI INTERESSE

## Dichiarazione conflitti di interesse

- Nessun conflitto di interesse

# INTRODUZIONE

## PROGETTO CAESAR

- Bando AIFA Farmacovigilanza 2012-13-14
- Fondi AIFA regionali
- Obiettivo: uso, efficacia e sicurezza dei farmaci utilizzati nelle patologie rare neuromuscolari neurodegenerative
- Durata: 24 mesi
- 3 regioni coinvolte: Lazio, Toscana, Umbria



## Uso di riluzolo nei pazienti affetti da SLA in tre regioni italiane

- Riluzolo: primo farmaco disease-modifying autorizzato per il trattamento della SLA
- Da studi clinici:
  1. Conferma di efficacia rispetto a placebo
  2. Non si osservano problemi di sicurezza
- Indicazioni terapeutiche:
  1. SLA da meno di 5 anni e assenza di controindicazioni
  2. Non indicato per altre patologie del motoneurone
- Analisi
  1. Pattern prescrittivi di riluzolo in 3 regioni
  2. Focus su uso fuori indicazioni terapeutiche

**NB**  
**No Edaravone**

# DOMANDE DI RICERCA

1

Qual è l'uso di riluzolo al di fuori delle indicazioni terapeutiche nei pazienti affetti da SLA?

2

Qual è l'uso di farmaci sintomatici e non e della ventilazione assistita negli utilizzatori di riluzolo?

3

Qual è l'uso di riluzolo *off-label* in pazienti affetti da altre patologie del motoneurone?

# 1 Uso di riluzolo al di fuori delle indicazioni terapeutiche

## Domanda

Qual è l'uso di riluzolo al di fuori delle indicazioni terapeutiche nei pazienti affetti da SLA?

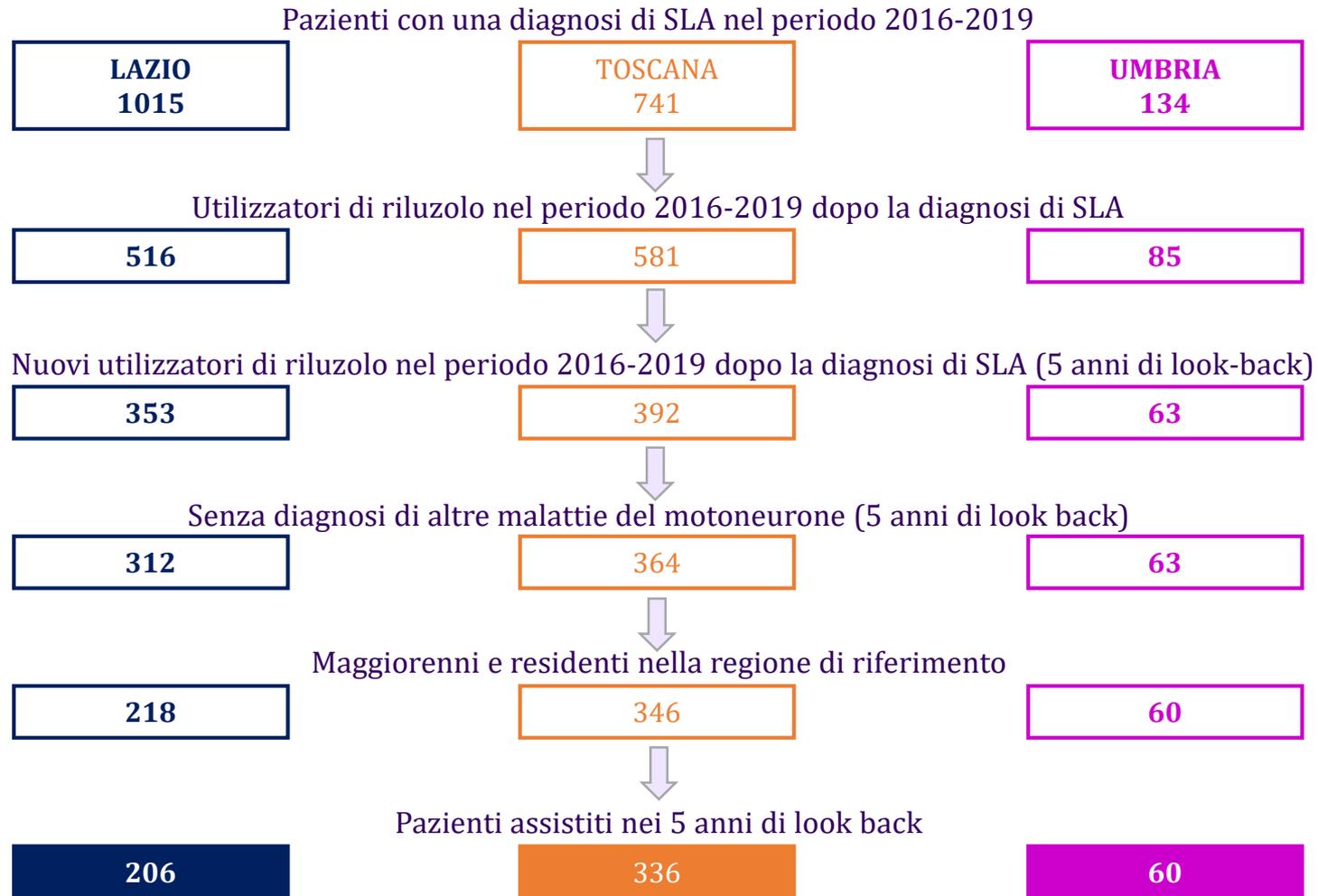
## Metodi

L'uso al di fuori delle indicazioni terapeutiche è definito considerando queste controindicazioni

- pazienti affetti da SLA da più di 5 anni
- pazienti sottoposti a tracheostomia
- presenza di patologie croniche del rene
- presenza di patologie croniche del fegato

# 1 Uso di riluzolo al di fuori delle indicazioni terapeutiche

## Definizione coorte



## Risultati

**Tabella 1: Prima prescrizione di riluzolo nei pazienti SLA in presenza di controindicazioni**

	LAZIO	TOSCANA	UMBRIA
<b>Nuovi utilizzatori di riluzolo affetti da SLA 2016-2019 (n)</b>	<b>206</b>	<b>336</b>	<b>60</b>
<b>Pazienti affetti da SLA da più di 5 anni (n, %)</b>	1 0,5%	0 0,0%	0 0,0%
<b>Pazienti che hanno subito la tracheostomia (n, %) *</b>	2 1,0%	6 1,8%	0 0,0%
<b>Pazienti affetti da patologie croniche del rene (n, %) *</b>	4 1,9%	9 2,7%	3 5,0%
<b>Pazienti affetti da patologie croniche del fegato (n, %) *</b>	1 0,5%	4 1,2%	1 1,7%

*\*Nei 5 anni precedenti la data di prima prescrizione di riluzolo.*

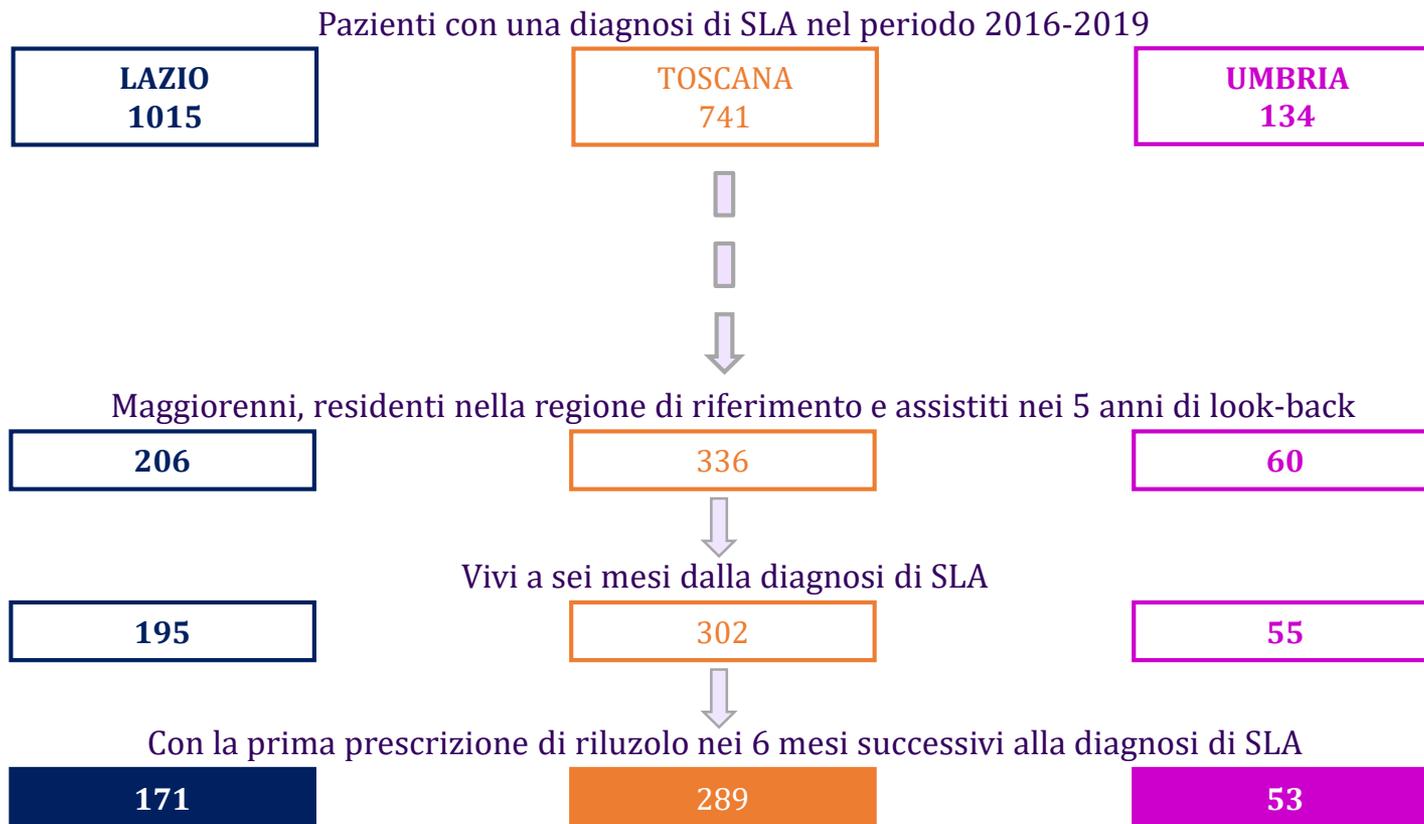
## Domanda

Qual è l'uso di farmaci sintomatici e non e della ventilazione assistita negli utilizzatori di riluzolo?

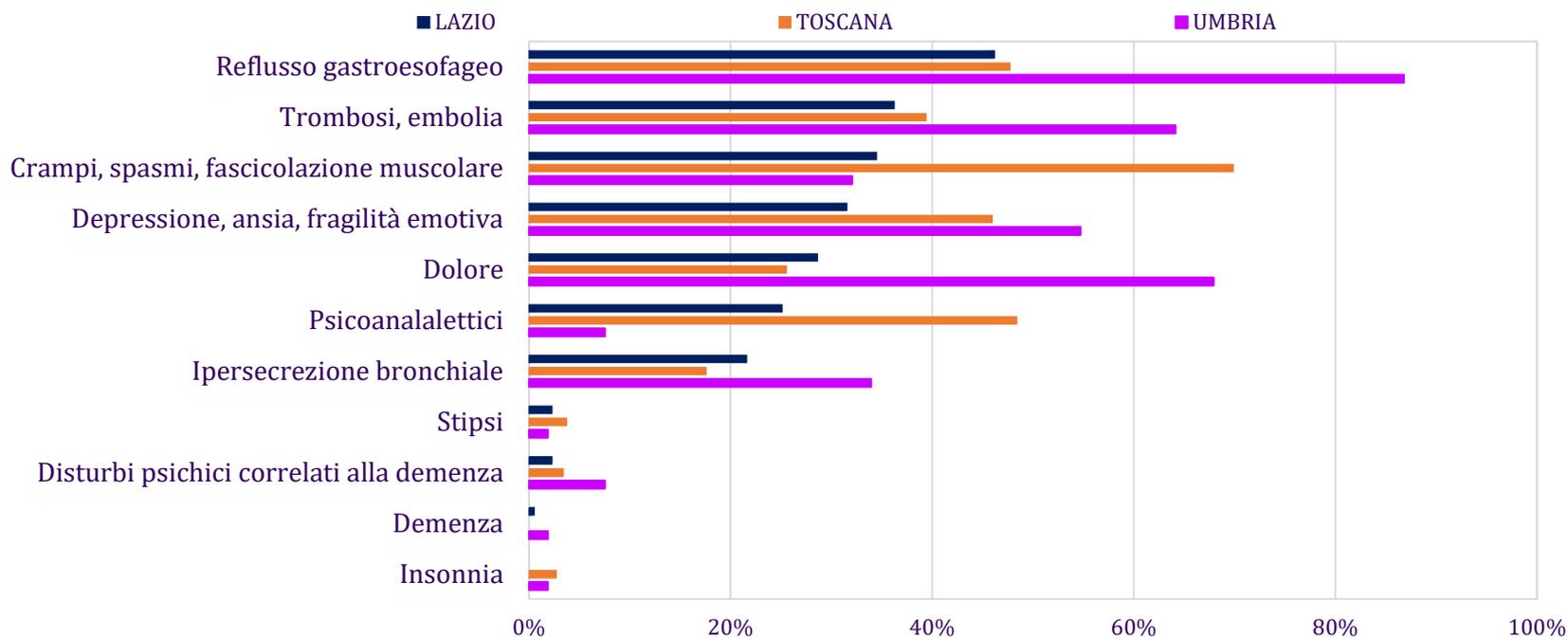
## Metodi

- **Analisi relative ai 6 mesi successivi alla data diagnosi di SLA:**
  1. **pattern prescrittivi di trattamenti sintomatici e di altri farmaci non associati direttamente alla SLA**
  2. **uso di ventilazione assistita non invasiva, invasiva e tracheostomia**

## Definizione coorte



**Figura 1: Utilizzo dei farmaci per la terapia sintomatica nella SLA nelle tre regioni**

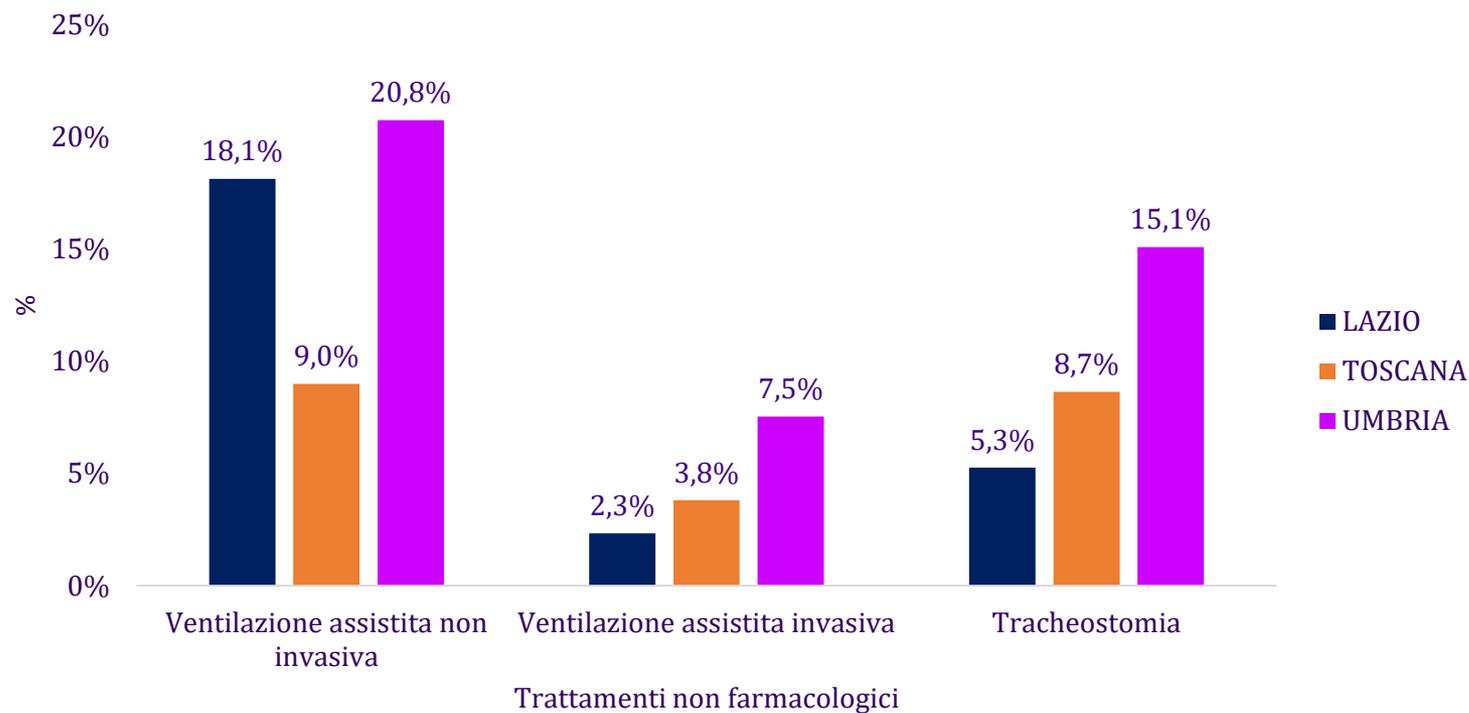


## Poli-farmacoterapia

Lazio 25,7%  
Toscana 21,5%  
Umbria 79,2%

Numero di farmaci sintomatici	LAZIO	TOSCANA	UMBRIA
Media (min-max)	2,7 (0,0-9,0)	4,1 (0,0-13,0)	4,6 (0,1-8,0)
Mediana (IQR)	2,0 (1,0-4,0)	4,0 (2,0-6,0)	5,0 (2,0-8,0)

Figura 2: Trattamenti non farmacologici per pazienti affetti da SLA



## Domanda

Qual è l'uso di riluzolo *off-label* in pazienti affetti da altre patologie del motoneurone?

## Metodi

- I pazienti sono stati identificati analogamente ai pazienti con la SLA, considerando i codici specifici per le altre malattie del motoneurone (Atrofia Muscolare Progressiva, Paralisi Bulbare Progressiva, Paralisi Pseudobulbare, Sclerosi Laterale Primaria, altre malattie del motoneurone) ed escludendo pazienti con diagnosi di SLA
- Sono state analizzate le prescrizioni di riluzolo successive alla data di diagnosi di altre malattie del motoneurone

## Definizione coorte

Pazienti con una diagnosi di altre malattie del motoneurone diverse dalla SLA nel periodo 2016-2019

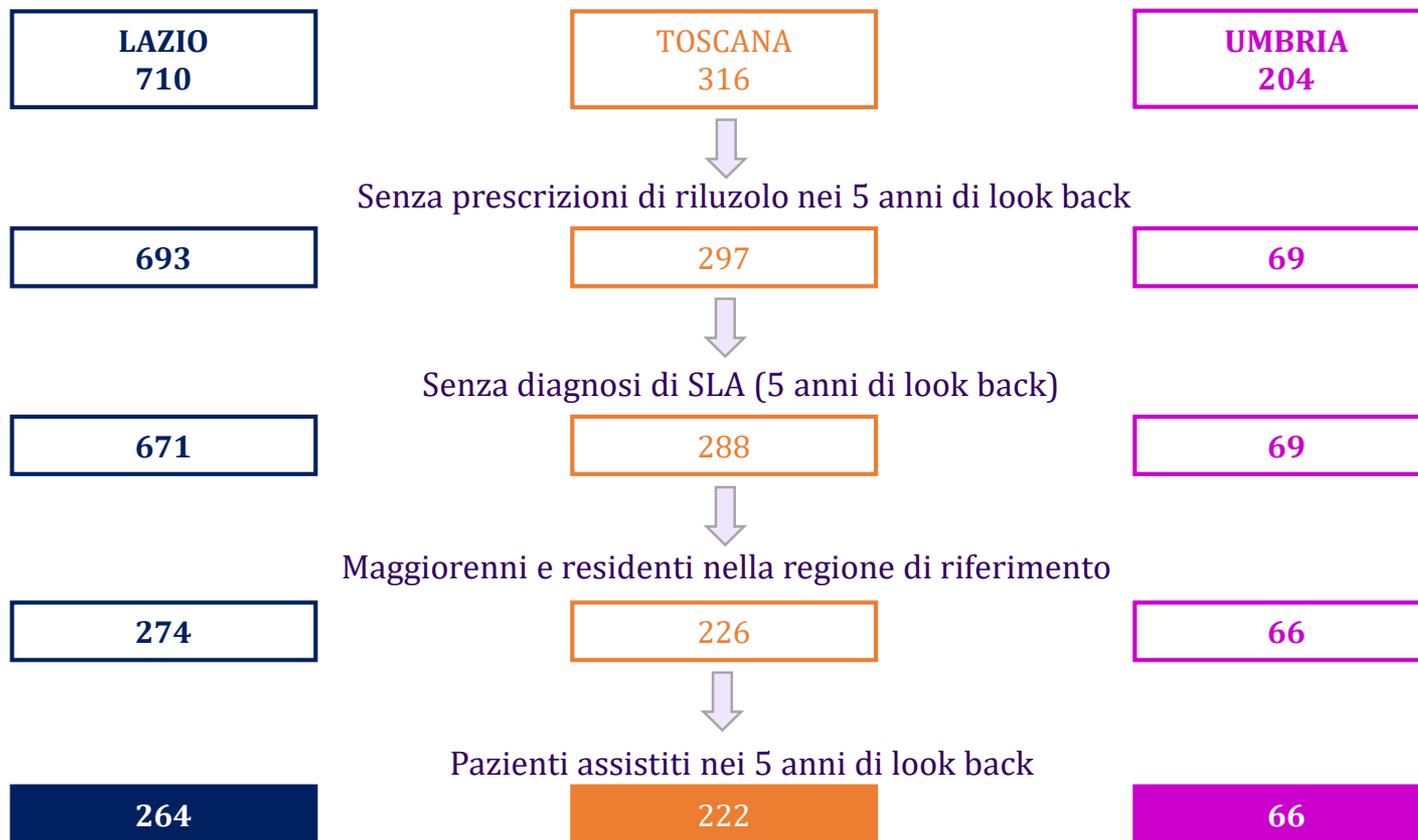
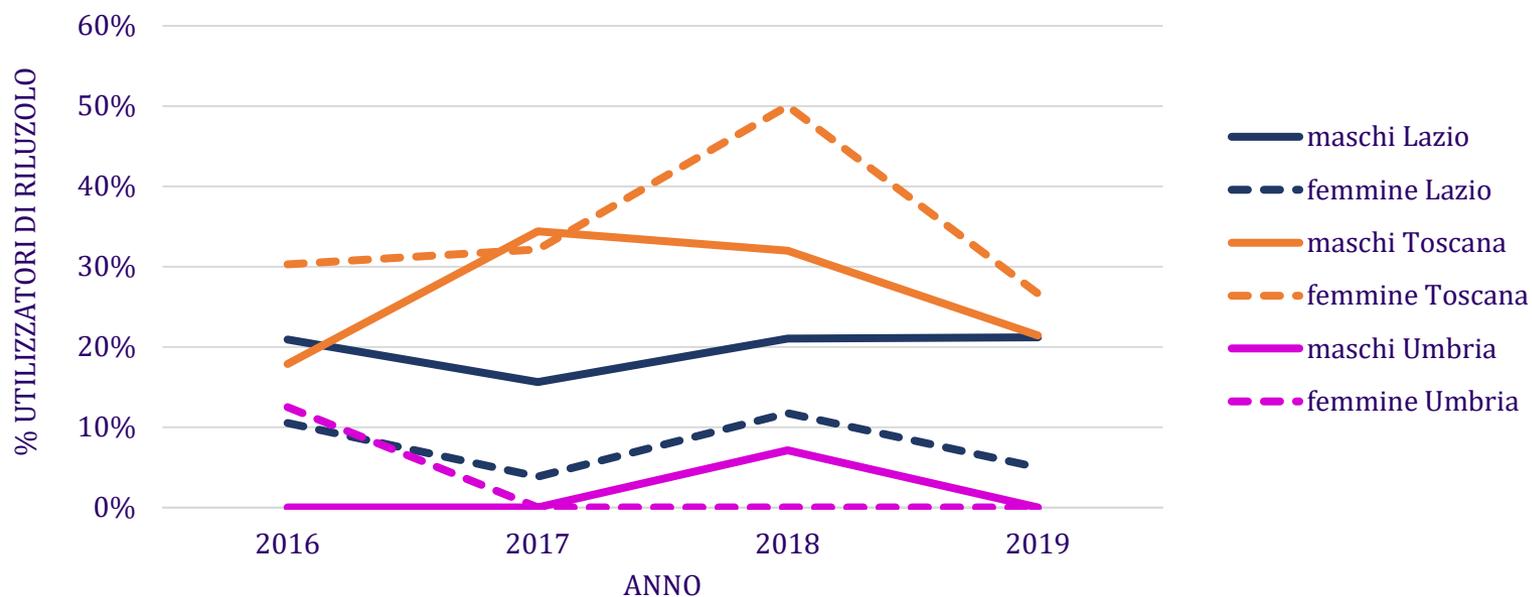


Figura 3: Utilizzo di riluzolo per genere e per anno dei pazienti affetti da altre patologie del motoneurone



# CONCLUSIONI

- **Pazienti affetti da SLA sono sottoposti in gran parte a poli-farmacoterapia in generale ed a terapia farmacologica sintomatica, con notevoli differenze tra le regioni.**
- **La ventilazione assistita è usata da un numero consistente di pazienti, con delle differenze tra tipologie nelle tre regioni.**
- **L'uso del riluzolo nella SLA è in linea con le indicazioni terapeutiche, mentre si nota un uso non trascurabile per il trattamento delle altre malattie del motoneurone, dove non è indicato.**
- **Le differenze osservate tra le tre regioni in studio possono essere dovute a reali differenze dei pattern prescrittivi in base a protocolli terapeutici regionali o locali, politiche sanitarie (rimborsabilità, somministrazioni intra- ed extra-ospedaliero), o la tracciabilità dei consumi nei database amministrativi (prescrizioni su ricetta SSR vs altre vie di distribuzione).**
- **Pertanto la presente analisi verrà ulteriormente raffinata e arricchita in ambito del progetto CAESAR**

# GRUPPO DI LAVORO



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



Alfredo Vannacci  
Niccolò Lombardi  
Giada Crescioli  
Roberto Bonaiuti



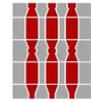
UNIVERSITÀ DI PISA

Marco Tuccori  
Emiliano Cappello  
Giulia Valdiserra



ARS TOSCANA  
agenzia regionale di sanità

Rosa Gini  
Olga Paoletti  
Giulia Hyeraci



Regione Umbria

Giampaolo Bucaneve  
David Franchini  
Marcello De Giorgi  
Rosalba Elisabetta Rocchi  
Mariangela Rossi



*Azienda Ospedaliera di Perugia*

Teresa Cantisani  
Maria Grazia Celani  
Paola Brunori



Nicola Vanacore  
Francesco Sciancalepore  
Antonio Ancidoni  
Ilaria Bacigalupo