

Ministero di
la Salute
e di Sanità

Convegno

La Ricerca Clinica in Italia:
evoluzione o involuzione?

7 novembre 2016

I TAVOLA ROTONDA

Studi clinici e "real world evidence"

Moderatori: Stefano Del Prato e Gualtiero Palareti

La posizione della Consulta su

Database Amministrativi

Giovanni Corrao



Healthcare Research

& Pharmacoepidemiology

RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

RWE: Real World Evidence

RWD: Real World Data

Clinical review

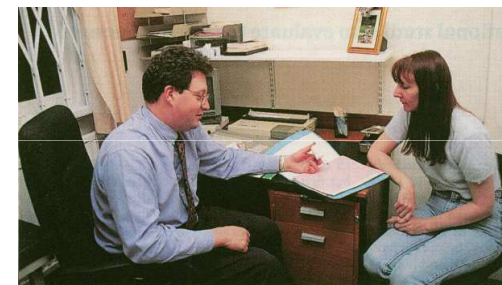
BMJ

1996;312:1215-8

Why we need observational studies to evaluate the effectiveness of health care

Nick Black

The view is widely held that experimental methods (randomised controlled trials) are the “gold standard” for evaluation and that observational methods (cohort and case control studies) have little or no value. This ignores the limitations of randomised trials, which may prove unnecessary, inappropriate, impossible, or inadequate. Many of the problems of conducting randomised trials could often, in theory, be overcome, but the practical implications for researchers and funding bodies mean that this is often not possible. The false conflict between those who advocate randomised trials in all situations and those who believe observational data provide sufficient evidence needs to be replaced with mutual recognition of the complementary roles of the two approaches. Researchers should be united in their quest for scientific rigour in evaluation, regardless of the method used.



What work well in pharmacological research may not work in the messier world of clinical care

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: Studi clinici e Real World Evidence |
| DATABASE AMMINISTRATIVI |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |



Monitoraggio e valutazione dei percorsi diagnostico-terapeutici



RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

Aderenza alle raccomandazioni

	Lombardia	Sicilia
Emoglobina glicata ¹	49.4%	34.9%
Profilo lipidico ²	64.8%	72.0%
Microalbuminuria ²	44.0%	27.6%
Creatininemia ²	74.4%	57.2%
Visita oculistica ²	21.3%	14.2%
Terapia farmacologica ³	53.9%	31.4%

¹ almeno 2 controlli / anno

² almeno 1 controllo / anno

³ aderenza (MPR) $\geq 75\%$

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: Studi clinici e Real World Evidence |
| DATABASE AMMINISTRATIVI |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |

RWE: Real World Evidence
RWD: Real World Data



Monitoraggio e valutazione dei percorsi diagnostico- terapeutici



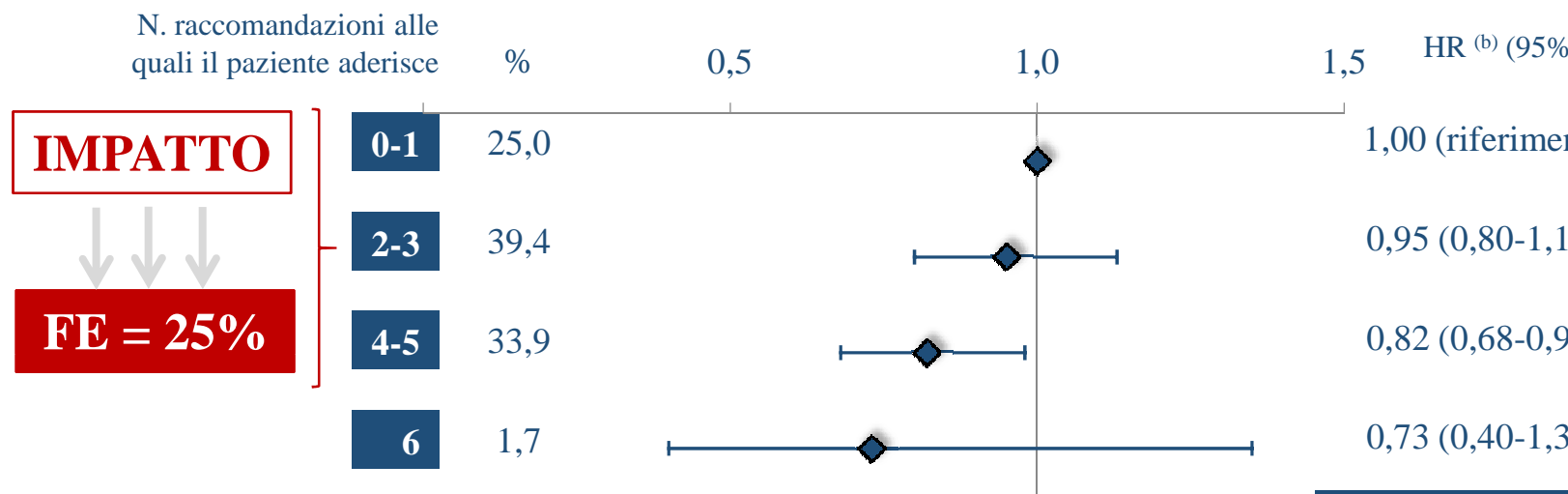
RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

RWE: Real World Evidence
RWD: Real World Data



(a) Esito composto: Scompenso cardiaco, Infarto miocardico, Patologia cerebrovascolare, Aritmia, Vasculopatia periferica; Complicanze arti inferiori, Procedure di rivascularizzazione; Diabete con complicanze renali, oculari, neurologiche, circolatorie periferiche, altre complicanze specificate e non

(b) Hazard ratio (e 95% CI) stimato interpolando un modello Cox. Il modello include come covariate genere, età, cotrattamenti (statine, anti-ipertensivi, anticoagulanti, antiaritmici, nitroglicerina, antidepressivi) and comorbidità (cardiovascolare, cerebrovascolare, renale, respiratoria, tumori, indice di comorbidità di Charlson)



RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

Censimento dei DB «linkabili» in 8 Regioni italiane

	ABR	FVG	LOMB	MAR	SARD	SIC	TRN	UM
Registry of NHS beneficiaries	1996	1982	1997	2005	2005	2010	1995	1982
Hospital discharge diagnoses	2003	1986	2000	1996	2001	2001	1995	1982
Emergency room diagnoses	2011	2000	2011	2011	2012	2008	1995	2000
Outpatients services	2008	1998	2000	1998	2009	2003	1995	1998
Outpatients drug prescriptions	2008	1995	2004	2003	2009	2007	1995	1998
Inpatients drugs dispensed	2010	2007	2004	2007	2009	2005	2006	2000
Certificates of Delivery Assistance	2003	1989	2003	2011	2009	2007	1995	2000

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
 | I TAVOLA ROTONDA: Studi clinici e Real World Evidence |
 | DATABASE AMMINISTRATIVI |
 | giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |

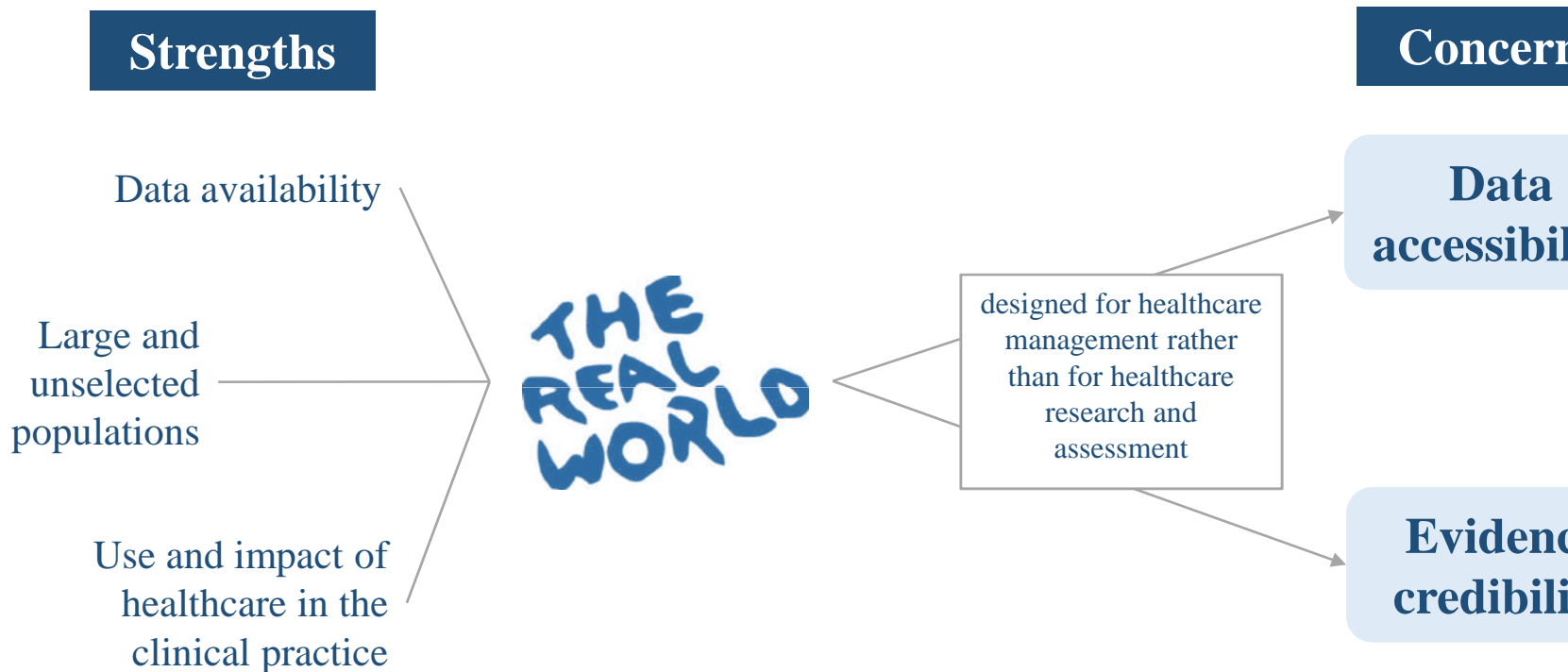


RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave





RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

Tanti individui,
pochi dati clinici

Vulnerabilità dell'approccio
osservazionale

The NEW ENGLAND
JOURNAL of MEDICINE
1993;329:1196-9

Data Torturing

James L. Mills, M.D., M.S.

“If you torture your data long enough, they will tell you whatever you want to hear”

Editorials **BMJ**
Evidence based medicine: what it is and what it isn't 1996;312:71
David L Sackett, William M C Rosenberg, J A Muir Gray, R Brian Haynes, W Scott Richardson

“... If you find that a study was not randomized, we'd suggest that you stop reading it and go to the next article ...”

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: **Studi clinici e Real World Evidence** |
| **DATABASE AMMINISTRATIVI** |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |



RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave



2007;10:326-35



Using Real-World Data for Coverage and Payment Decisions: The ISPOR Real-World Data Task Force Report

Louis P. Garrison Jr., PhD (cochair),¹ Peter J. Neumann, ScD (cochair),² Pennifer Erickson, PhD,³
Deborah Marshall, PhD,⁴ C. Daniel Mullins, PhD⁵

The notion was that “data” conjures the idea of simple factual information, whereas “evidence” connotes the organization of the information to inform a conclusion

Evidence is generated according to a research plan and interpreted accordingly, whereas data is but one component of the research plan.

evidence is shaped, while data simply are raw materials and alone are noninformative.

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: **Studi clinici e Real World Evidence** |
| **DATABASE AMMINISTRATIVI** |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |

Per valorizzare l'enorme patrimonio informativo dei DB amministrativi:

RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

Al mondo accademico

Al falso conflitto tra superiorità
dei trial clinici e generalizzabilità
degli studi osservazionali
bisognerebbe sostituire il
riconoscimento del ruolo
complementare dei due approcci



**Whom do you love
more, daddy or
mommy?**



Per valorizzare l'enorme patrimonio informativo dei DB amministrativi:

Gli enti di ricerca pubblici attrezzati per generare evidenze da questo enorme patrimonio informativo, devono essere incentivati a fornire il loro contributo alla ricerca finalizzata alla valutazione dell'appropriatezza, dell'efficacia, dell'efficienza e dell'equità degli interventi nel mondo reale della pratica clinica corrente

RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

Al mondo istituzionale

| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: **Studi clinici e Real World Evidence** |
| **DATABASE AMMINISTRATIVI** |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |



Per generare RWE credibili dai DB amministrativi:

Bisognerebbe elaborare, adottare e diffondere norme condivise per la buona pratica della ricerca osservazionale con fonti secondarie

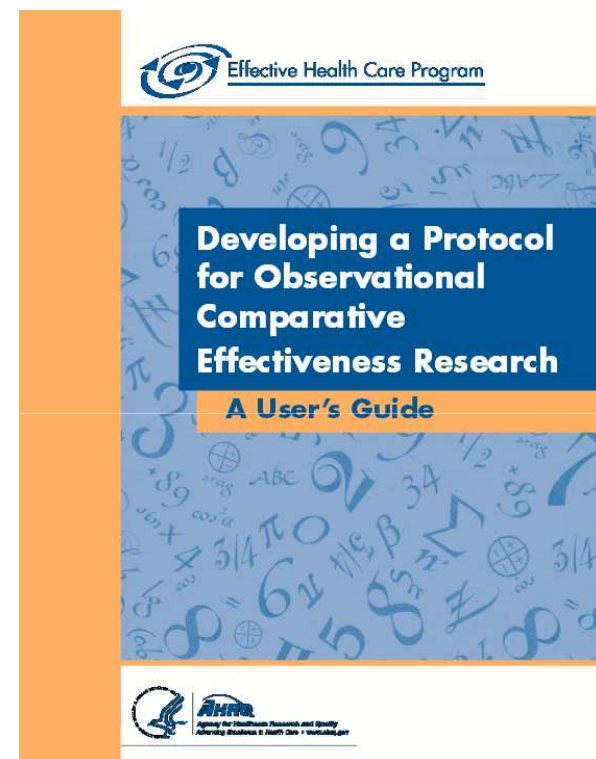
RWE: perché ne abbiamo bisogno

RWD: il ruolo dei DB amministrativi

RWD vs RWE: criticità

RWE: messaggi chiave

A tutti



| La ricerca clinica in Italia: evoluzione o involuzione? |
| I TAVOLA ROTONDA: Studi clinici e Real World Evidence |
| DATABASE AMMINISTRATIVI |
| giovanni.corrao@unimib.it | 7 Novembre 2016 | Bologna |