

GRASP

APPROFONDIMENTO

Gli studi Real World

Paolo Bruzzi, Genova

Coordinate per valutare/interpretare i risultati di uno studio

Questi risultati:

SONO VERITIERI?

Validità interna

- Coerenza interna
- Plausibilità
- Coerenza esterna

COSA ME NE FACCIO?

Validità esterna



Coordinate per valutare/interpretare i risultati di uno studio

VALIDITÀ INTERNA

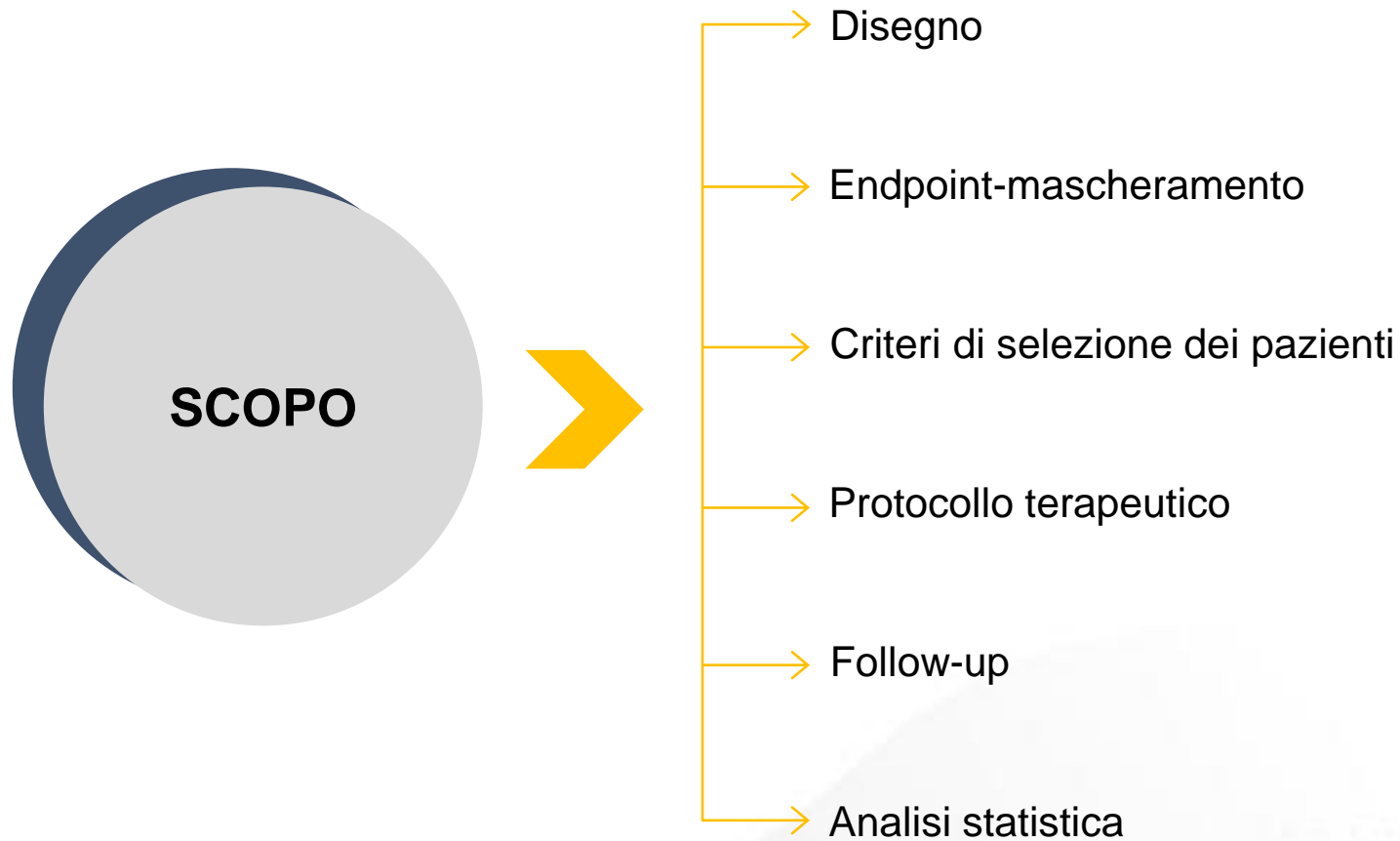
- Validità statistica, assenza di bias/errore sistematico
- **Risultati = verità +/- caso**

VALIDITÀ ESTERNA

- Generalizzabilità:
 - applicabilità su vasta scala!
 - dimostrazione di una legge (fisica) generale
- **Utilità dei risultati: a cosa servono?**



L'aspetto più importante di uno studio è il suo scopo primario



SCOPO

Disegno

Endpoint-mascheramento

Criteri di selezione dei pazienti

Protocollo terapeutico

Follow-up

Analisi statistica



Possibili scopi di uno studio terapeutico

▶ Tossicità, dose massima tollerata, posologia, via di somministrazione, dose-density, dose-intensity

▶ **Attività:** dose-risposta

▶ **Efficacia**

Efficacy

Effectiveness



Efficacy vs effectiveness

- ▶ **Efficacy** is the extent to which an intervention does more good than harm **UNDER IDEAL CIRCUMSTANCES**
- ▶ Effectiveness assesses whether an intervention does more good than harm when provided **UNDER USUAL CIRCUMSTANCES OF HEALTHCARE PRACTICE**



Concetto fondante

I TRIAL

- Reclutano pazienti selezionati (età, performance status, comorbidità)
- Si svolgono in centri selezionati (qualità, performance)
- Adottano procedure “speciali”



I loro risultati non possono essere estrapolati alla pratica clinica generale



Studi esplicativi e studi pragmatici

EFFICACY

STUDI ESPLICATIVI

EFFECTIVENESS

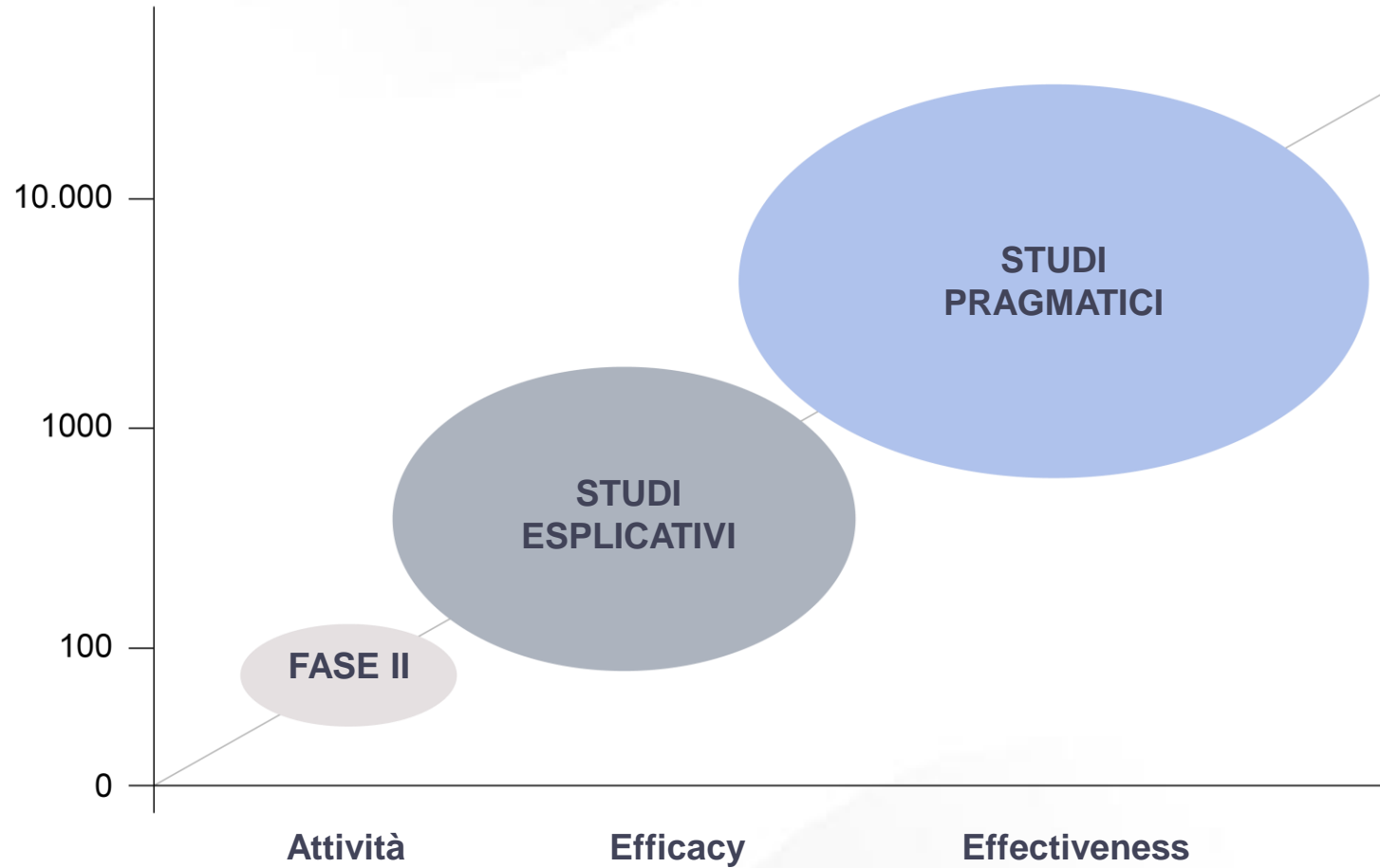
STUDI PRAGMATICI
«LARGE AND SIMPLE
CLINICAL TRIALS»



Efficacy vs effectiveness

	Studio esplicativo	Studio pragmatico
Scopo	Efficacy	Effectiveness
Pazienti	Selezionati	Pratica clinica
Protocolli	Approfonditi	Generici
Follow-up	Ad hoc	Pratica clinica
Endpoint	Strumentale/clinico	Clinico
Centri	Specializzati	Generici
Dimensione	Media	Grande





Problema

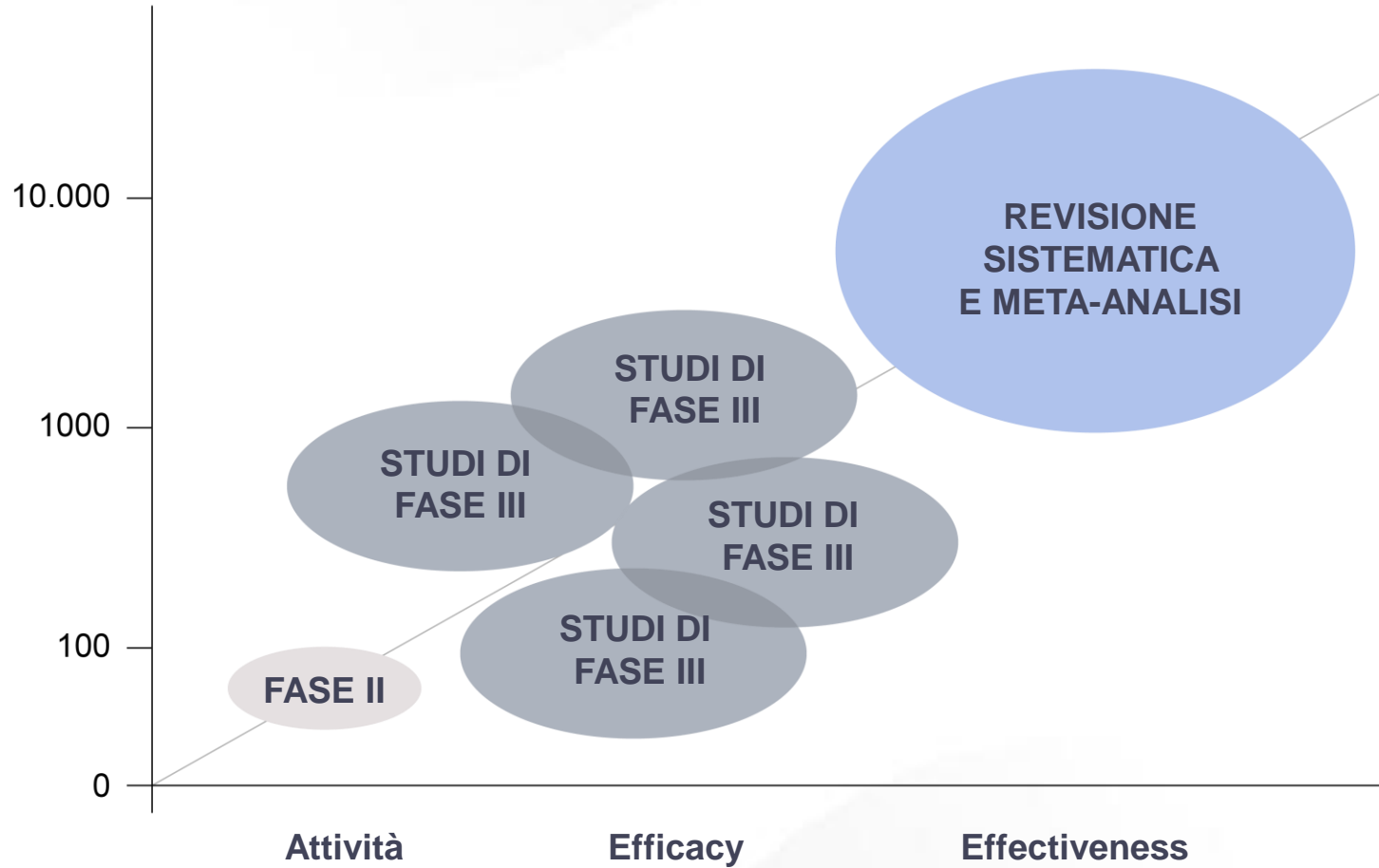
È etico condurre uno studio pragmatico **randomizzato** quando l'efficacia del trattamento è stata dimostrata in uno studio clinico randomizzato **esplicativo**?

SOLUZIONE: META-ANALISI!

«Fornisce una stima dell'effetto medio del trattamento nel paziente tipico»

(R. Peto)





Problema

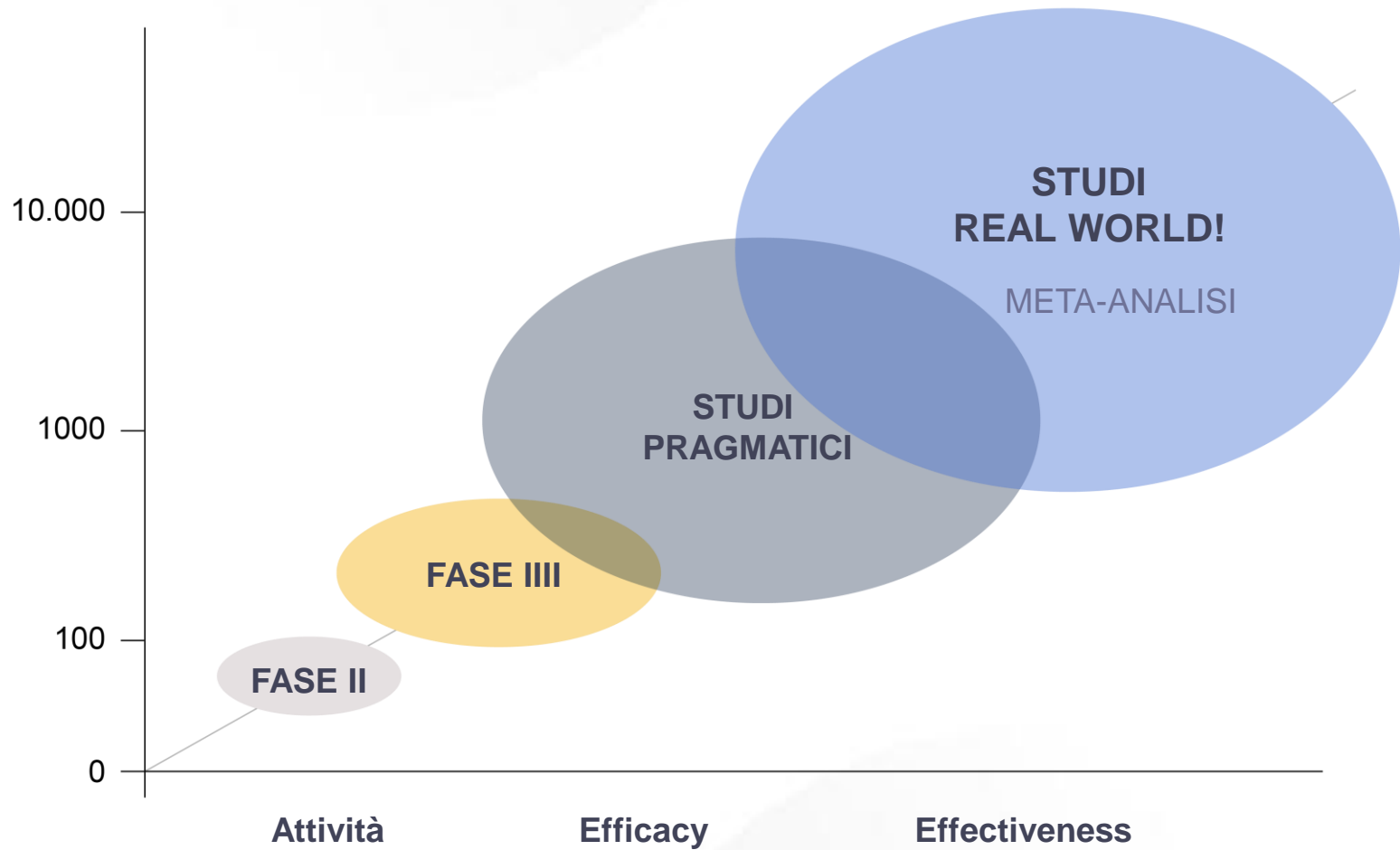
Nell'oncologia/ematologia moderna:

- un farmaco → una condizione → un trial → registrazione
- trial accademici sotto finanziati
- diffusione dell'informazione (rifiuto random)

COSA META-ANALIZZO?

COME TRATTO I PAZIENTI ESCLUSI DAI TRIAL?





Cosa sono i dati Real World?

“

Data used for decision-making that are not collected in conventional randomized clinical trials

”

*International Society of Pharmacoeconomics
and Outcomes Research*



Sources of Real World data

- ▶ Pragmatic clinical trials
- ▶ Prospective observational studies and patient registries
- ▶ Administrative claims data
- ▶ Patient surveys
- ▶ Electronic health records/medical chart reviews
- ▶ Government- or third-party-sponsored systematic surveys that assess public health, resource consumption, practice patterns, and clinical trends



A che scopo?

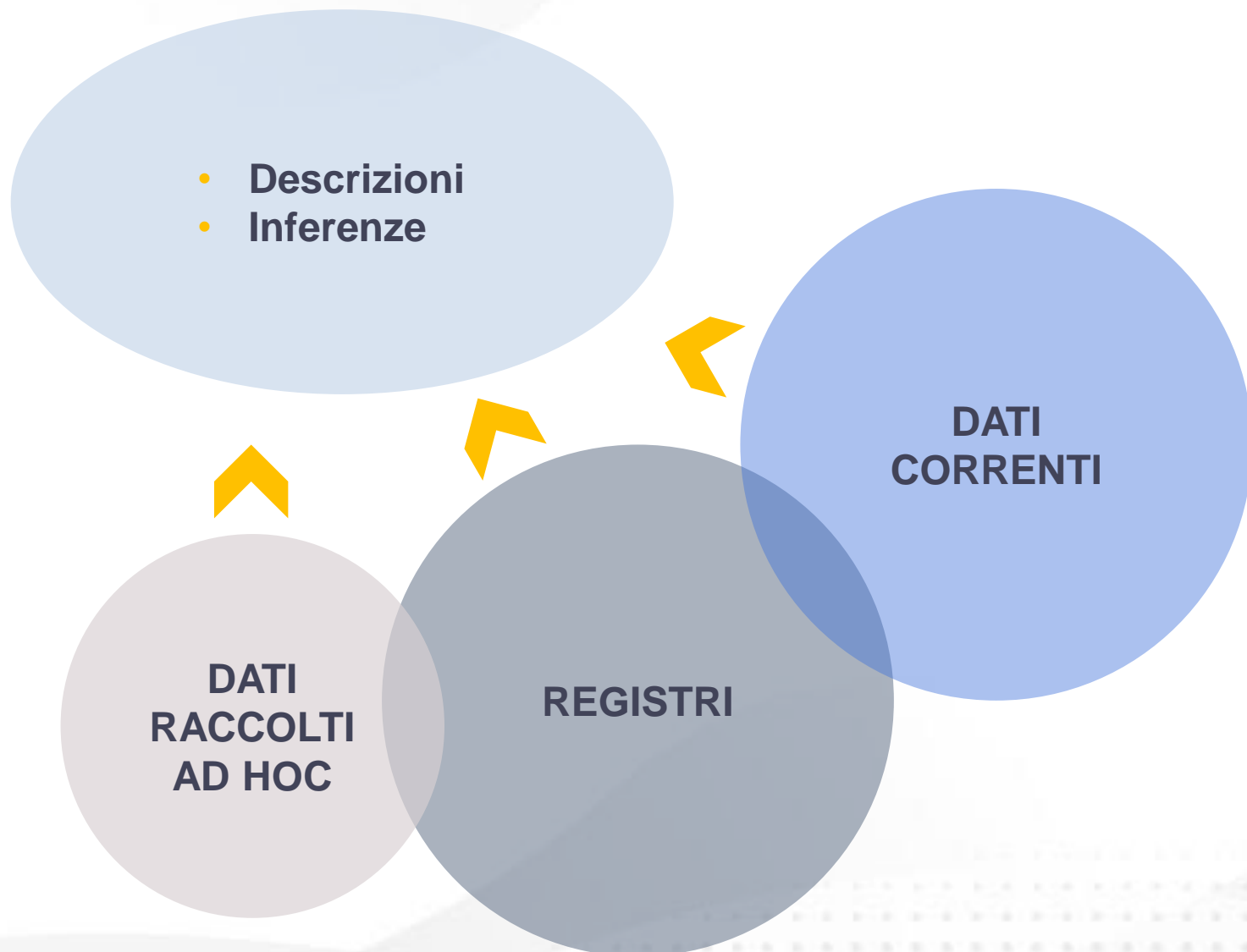
**DATI
RACCOLTI
AD HOC**

REGISTRI

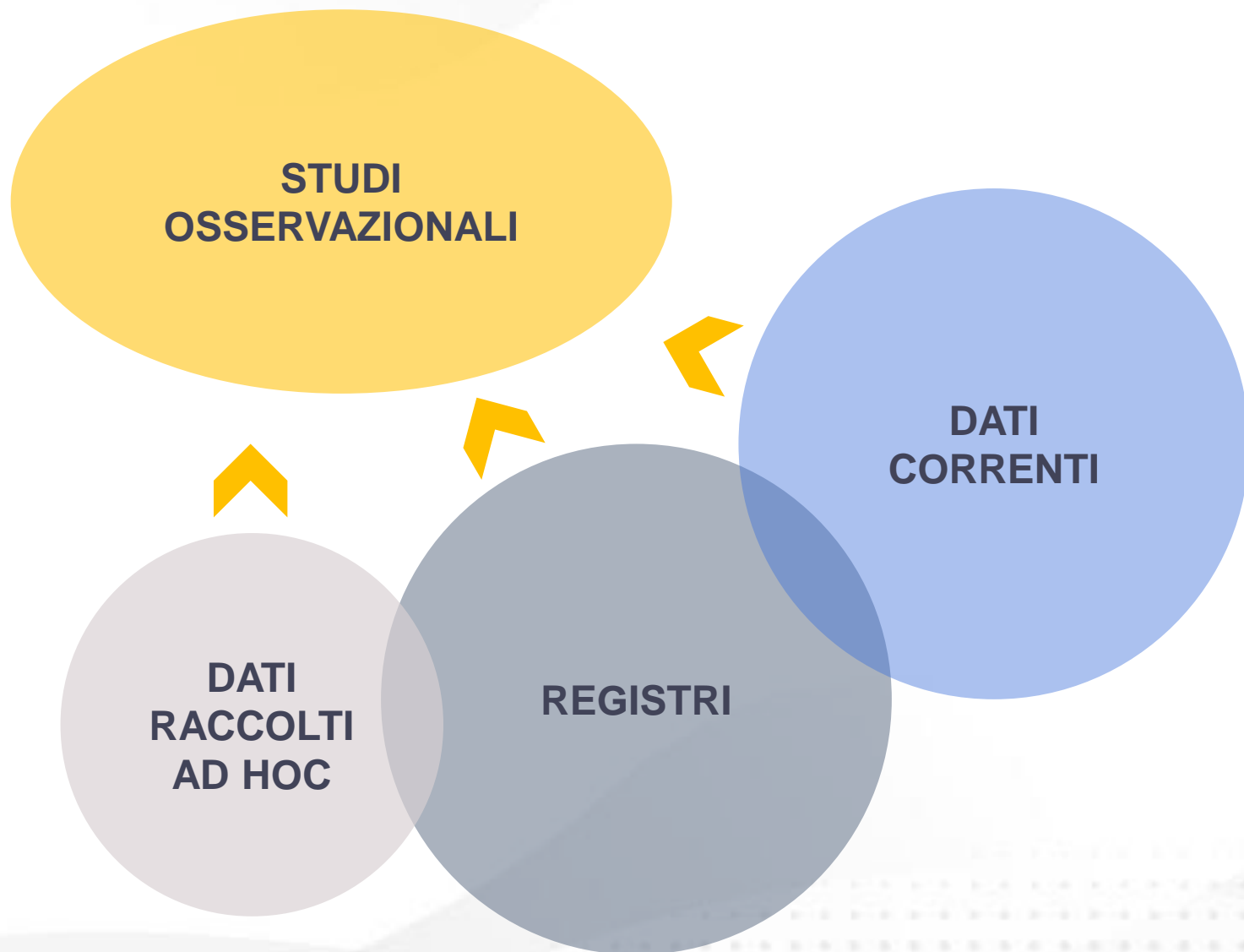
**DATI
CORRENTI**



A che scopo?



A che scopo?



- **Dati raccolti ad hoc**
- **Registri**
- **Estrazione dati già raccolti**
- **Dati amministrativi**
- **Big data**

STUDI
REAL WORLD

STUDI
OSSERVAZIONALI

STESSI PROBLEMI METODOLOGICI!



Obiettivi di studi Real World

VALUTARE:

- epidemiologia descrittiva
- determinanti epidemiologici
- esiti della malattia

- efficienza/costi dei processi
- appropriatezza degli interventi
- outcomes?

- efficacia degli interventi?

BISOGNI

QUALITY OF CARE



Conclusioni

- ▶ Fino ad oggi i cosiddetti studi Real World sono stati disegnati, analizzati e **riportati** con scarsa attenzione, e di conseguenza hanno avuto un impatto minore sulla pratica clinica, inferiore all'atteso
- ▶ Gli studi Real World potrebbero essere utilizzati per molti scopi, **anche di grande importanza** (includere, in certi casi, valutazioni di effectiveness)
- ▶ Le loro problematiche metodologiche sono quelle degli **studi osservazionali** (vedi approfondimento)

