



# Registri di Monitoraggio AIFA

## Evoluzione nel tempo e potenzialità

### La prospettiva Nazionale

Luca Tomassini

AIFA - Ufficio Registri di Monitoraggio

30 gennaio 2025

## Dichiarazione di trasparenza/interessi\*

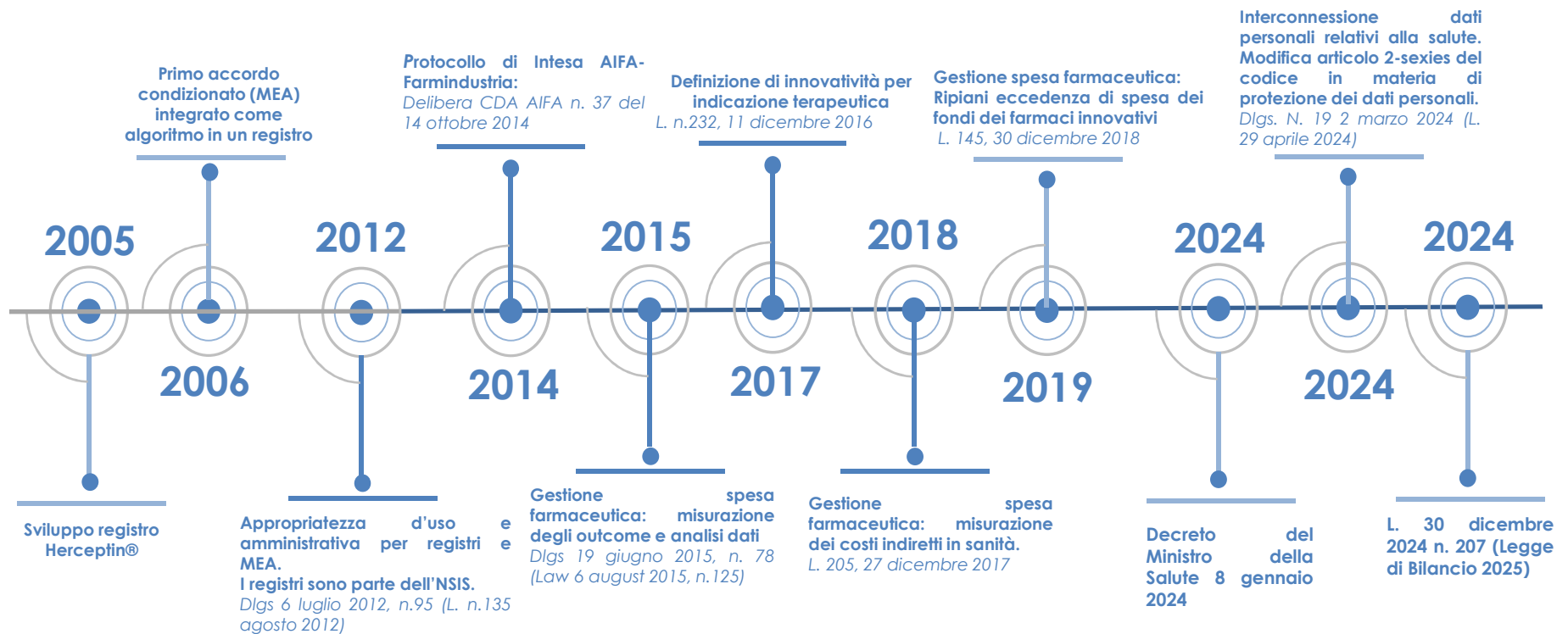
Le opinioni espresse in questa presentazione sono personali e non impegnano in alcun modo l'AIFA

Interessi nell'industria farmaceutica	NO	Attualmente	Da 0 a 3 anni precedenti	oltre 3 anni precedenti
<i>INTERESSI DIRETTI:</i>				
1.1 Impiego per una società: Ruolo esecutivo in una società farmaceutica	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.2 Impiego per una società: Ruolo guida nello sviluppo di un prodotto farmaceutico	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> obbligatorio
1.3 Impiego per una società: altre attività	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
2. Consulenza per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
3. Consulente strategico per una società	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
4. Interessi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
5. Titolarità di un brevetto	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
<i>INTERESSI INDIRETTI:</i>				
6. Sperimentatore principale	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
7. Sperimentatore	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
8. Sovvenzioni o altri fondi finanziari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo
9. Interessi Familiari	X	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> facoltativo

\* Luca Tomassini, secondo il Regolamento per la disciplina dei conflitti di interesse all'interno dell'Agenzia Italiana del Farmaco approvato dal CdA AIFA con Delibera n. 37 del 13 ottobre 2020.

N.B. <Per questo intervento non ricevo alcun compenso>.


## Registri di monitoraggio AIFA: linea temporale ed evoluzione



## Il ruolo dei Registri di Monitoraggio AIFA

I Registri di monitoraggio sono una **modalità amministrativa di controllo**, introdotta nel 2005, per assicurare l'**appropriatezza prescrittiva e d'uso** di alcuni medicinali.

Fra i criteri di apertura di un Registro possono esserci ragioni normative/regolatorie, ma anche economiche, e i Registri possono consentire la raccolta di dati sulle caratteristiche dei pazienti sia al baseline che al termine del trattamento (es. dati sull'*effectiveness* del medicinale nell'utilizzo *real world*).



## **Alcuni numeri dopo 18 mesi dal rilascio in Piattaforma del primo registro**

**Numero di centri autorizzati: 412**

**Numero di medici registrati: 866**

**Numero di farmacisti: 351**

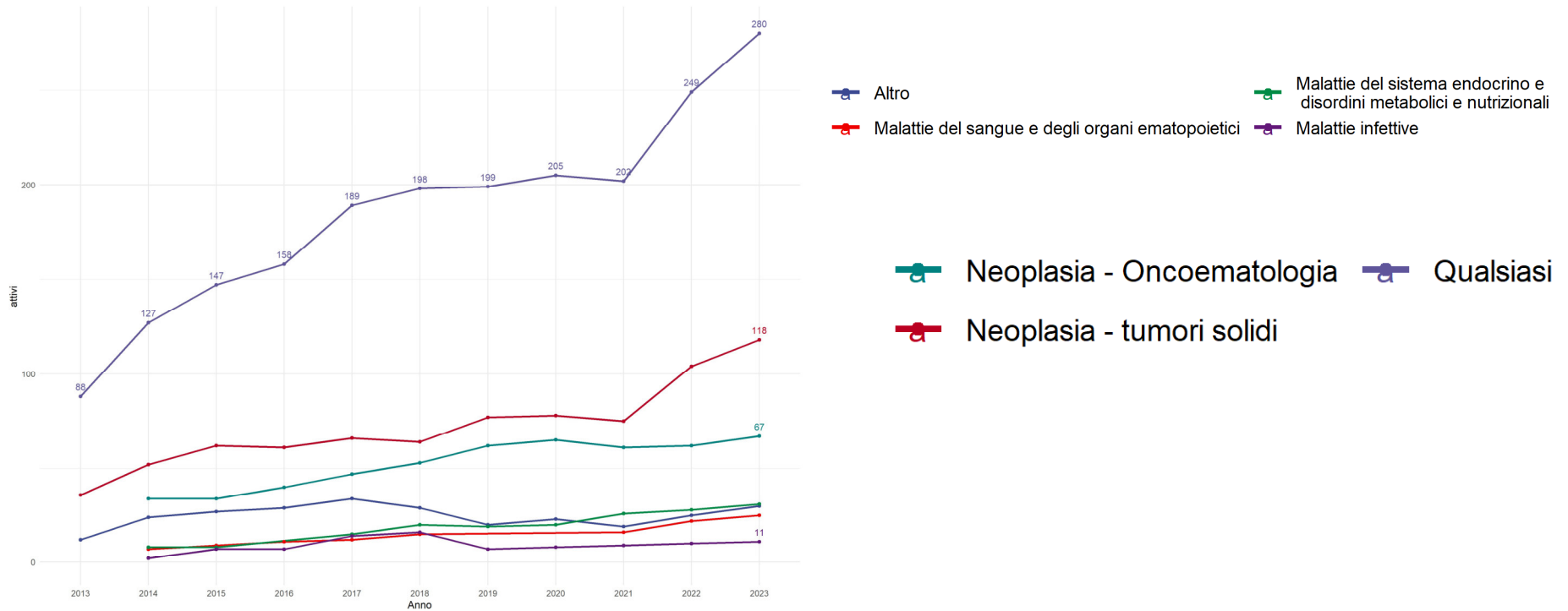
**Numero di pazienti: 19480**

**Numero di registri: 14 (solo oncologici)**

**\*Registro Farmaci Oncologici sottoposti a monitoraggio – Rapporto Nazionale 2007**



# Trend registri AIFA attivi



Dicembre 2023

## I registri AIFA e la pratica clinica: la definizione regolatoria della Piattaforma AIFA

- **AIFA**
- **Referenti Regionali**
- **Strutture Sanitarie**
- **Medici**
- **Farmacisti**
- **Aziende Farmaceutiche**



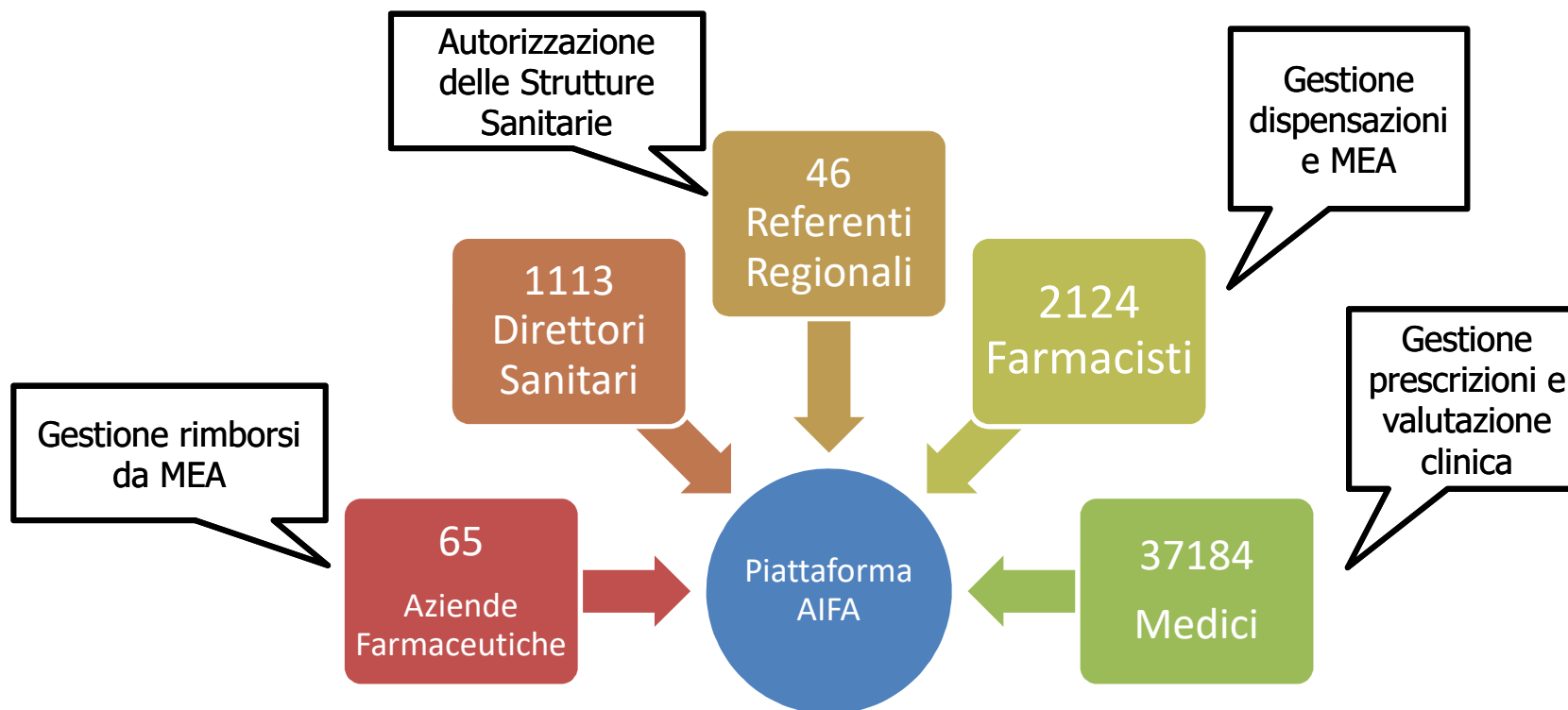
Un network nazionale per la gestione di farmaci innovativi e/o ad alto costo

## La Piattaforma AIFA dei registri di monitoraggio: uno strumento che garantisce uniformità di accesso alle terapie





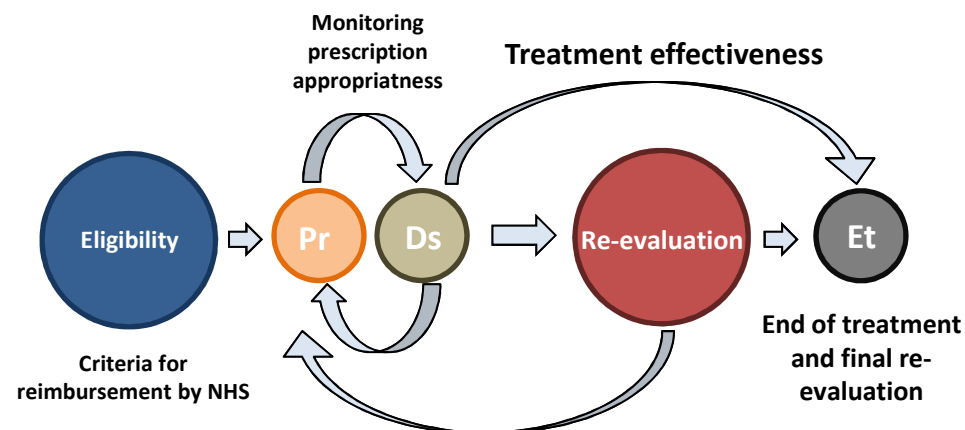
## Il Network dei Registri di Monitoraggio AIFA: alcuni numeri



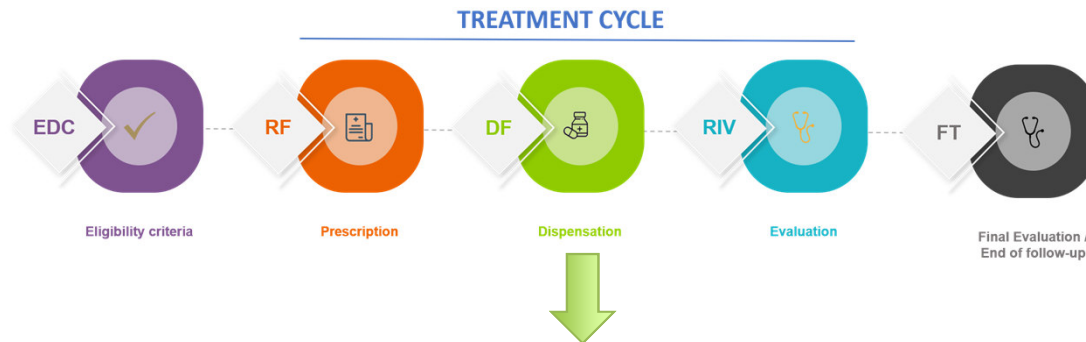
## I flussi di lavoro nei registri di monitoraggio AIFA: chi fa cosa

La struttura di un registro è di **natura modulare** e permette il controllo dell'appropriatezza prescrittiva, il follow up dell'appropriatezza d'uso e la valutazione dell'effectiveness.

- Scheda Anagrafica;
- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici;
- Scheda Richiesta Farmaco (Scheda Piano Terapeutico per PTwb);
- Scheda Dispensazione (solo nella modalità registro);
- Scheda Rivalutazione;
- Scheda Fine Trattamento;
- Scheda Gravidanza per farmaci con RMP.



Per registro si intende l'associazione del binomio farmaco-indicazione.



- Controllo amministrativo dell'appropriatezza d'uso
- Applicazione di un accordo negoziale condizionato (MEA)
- Controllo e gestione amministrativa di altre attività e funzioni (es. farmaci innovativi)
- Raccolta dati per analisi regolatorie nell'ambito delle attività HTA dell'Agenzia
- Raccolta dati per analisi di effectiveness

## Nuovi elementi nel percorso decisionale

Nel corso della procedura negoziale di una nuova indicazione terapeutica, la CSE valuta la necessità (o meno) di attivazione di un monitoraggio attraverso la Piattaforma AIFA.

Il percorso tiene conto di criteri sia di natura economica sia di natura tecnico-scientifica.

Tale passaggio procedurale non si applica alle casistiche nelle quali il monitoraggio attraverso la Piattaforma AIFA è un requisito normativo obbligatorio (specialità medicinali con indicazioni terapeutiche innovative).

## Tipologie di monitoraggio attraverso la Piattaforma AIFA

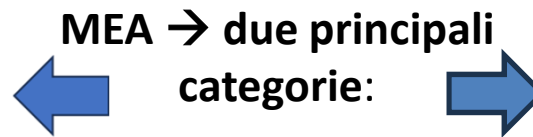
La scelta della corretta tipologia di monitoraggio si basa essenzialmente su criteri di natura regolatoria e sulla base delle finalità specifiche del monitoraggio. Le tre modalità previste sono:

- **Registro di monitoraggio**
- **Piano Terapeutico web based**
- **Registro semplificato (multifarmaco o non)**

## Registri AIFA e MEA

### a) Performance-Based

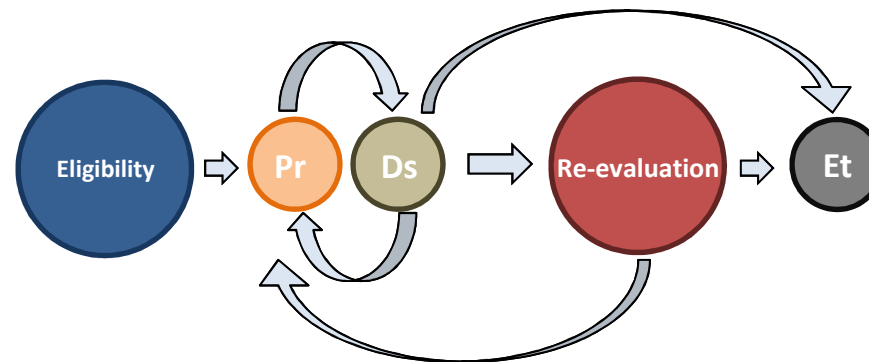
- 1) **Payment by result:** rimborso totale da parte dell'azienda farmaceutica di tutti i pazienti che non rispondono al trattamento
- 2) **Risk sharing:** sconto applicabile esclusivamente ai pazienti che non rispondono al trattamento
- 3) **Success fee:** l'SSN provvede a remunerare solo le confezioni dispensate per i trattamenti in cui è stato ottenuto un successo terapeutico



### b) Financial-based

- 1) **Cost sharing:** sconto sul prezzo su un numero definito di cicli di terapia per tutti i pazienti eleggibili al trattamento
- 2) **Capping:** l'azienda farmaceutica si fa carico dell'erogazione del farmaco al superamento delle quantità stabilite dall'accordo negoziale

## Nel 2006 è stato applicato il primo algoritmo MEA della tipologia Outcome-Based




I MEA outcome-based sono basati su parametri di fallimento o di efficacia, valutati durante le rivalutazioni obbligatorie e/o al termine del trattamento (scheda di Fine Trattamento)

## Alcuni numeri del Database dei Registri AIFA (aggiornamento al 29 gennaio 2025)

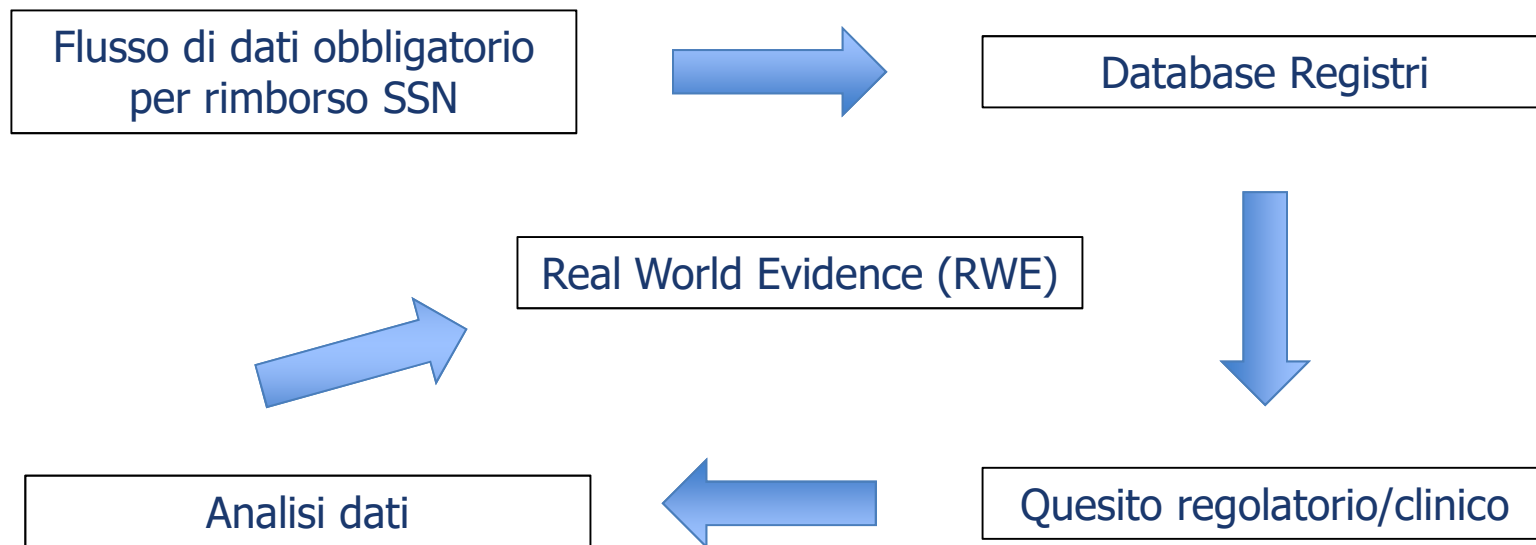


Database Registri:  
2,316 strutture  
5,650,699 trattamenti  
4,305,342 pazienti  
13,759,243  
somministrazioni\*

\* No PTwb







# Analisi di effectiveness

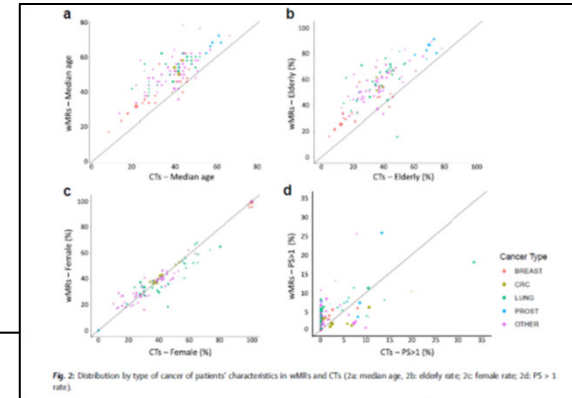
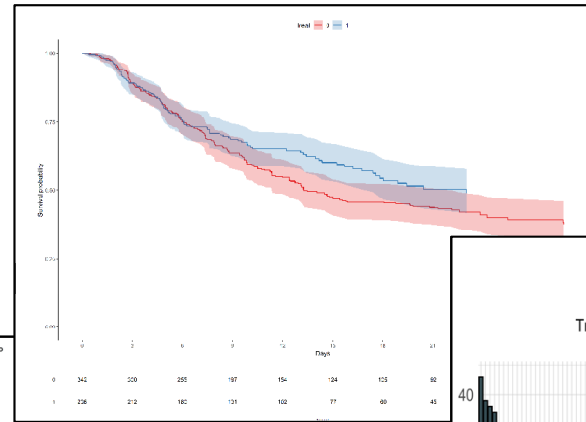
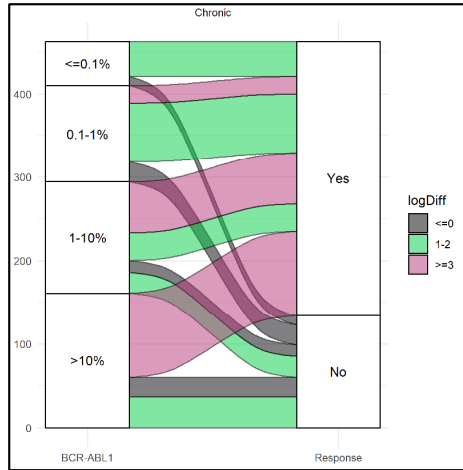
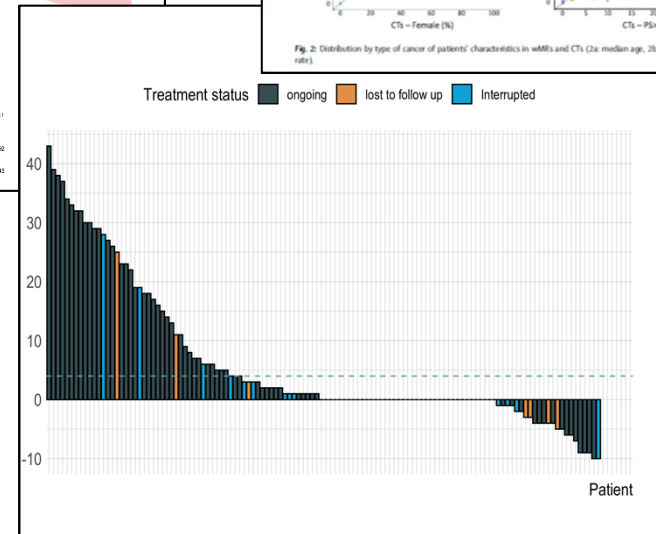


Fig. 2: Distribution by type of cancer of patients' characteristics in wMRIs and CTs (2a: median age; 2b: elderly rate; 2c: female rate; 2d: PS > 1 rate).

Overall *	29550 (100%)		0.60 (0.59 - 0.63)	32	9	< 0.001		
Age group 55-74	12109 (40.97%)		0.73 (0.46 - 1.14)	14	6	0.32		
Age_Group 75+	11829 (40.03%)		0.76 (0.61 - 0.94)	65	16	0.07		
Sex F *	14741 (49.88%)		0.59 (0.45 - 0.78)	31	8	< 0.001		
Sex M	14812 (50.12%)		0.74 (0.67 - 0.87)	33	10	0.09		
Fully vaccinated *	25617 (86.68%)		0.57 (0.45 - 0.72)	27	7	< 0.001		
No vaccinated	3938 (13.32%)		1.07 (0.75 - 1.54)	65	26	0.7		
Days from symptoms onset 0-2 *	13931 (47.14%)		0.65 (0.49 - 0.85)	34	10	0.01		
Days from symptoms onset 3-5	15622 (52.86%)		0.72 (0.59 - 0.90)	31	8	0.09		
Onco/Oncohematological disorders No *	24700 (83.58%)		0.64 (0.51 - 0.81)	29	6	< 0.001		
Onco/Oncohematological disorders Yes	4853 (16.42%)		0.66 (0.46 - 0.94)	47	25	0.09		









## The Lancet Regional Health - Europe

Volume 41, June 2024, 100912



### Articles

# Comparison of baseline patient characteristics in Italian oncology drug monitoring registries and clinical trials: a real-world cross-sectional study

[Maria Lucia Iacovino](#)<sup>a,j</sup>, [Simone Celant](#)<sup>b,j</sup>, [Luca Tomassini](#)<sup>b</sup>, [Laura Arenare](#)<sup>a</sup>, [Andrea Caglio](#)<sup>c</sup>,  
[Andrea Canciello](#)<sup>a</sup>, [Flavio Salerno](#)<sup>c</sup>, [Pier Paolo Olimpieri](#)<sup>b</sup>, [Susanna Di Segni](#)<sup>b</sup>,  
[Antonella Sferrazza](#)<sup>b</sup>, [Maria Carmela Piccirillo](#)<sup>a</sup>, [Giordano Domenico Beretta](#)<sup>d</sup>, [Carmine Pinto](#)<sup>e</sup>,  
[Livio Blasi](#)<sup>f</sup>, [Saverio Cinieri](#)<sup>g</sup>, [Luigi Cavanna](#)<sup>h</sup>, [Massimo Di Maio](#)<sup>i</sup>, [Pierluigi Russo](#)<sup>b,k</sup>,  
[Francesco Perrone](#)<sup>a,k</sup>  

Across 129 registries, 355,563 patients were treated with one or more monitored drugs (419,461 unique pairs of patients and drug therapeutic indications). Within 140 related trials, 87,452 patients had been enrolled.

## Comparison of baseline patient characteristics in Italian oncology drug monitoring registries and clinical trials: a real-world cross-sectional study

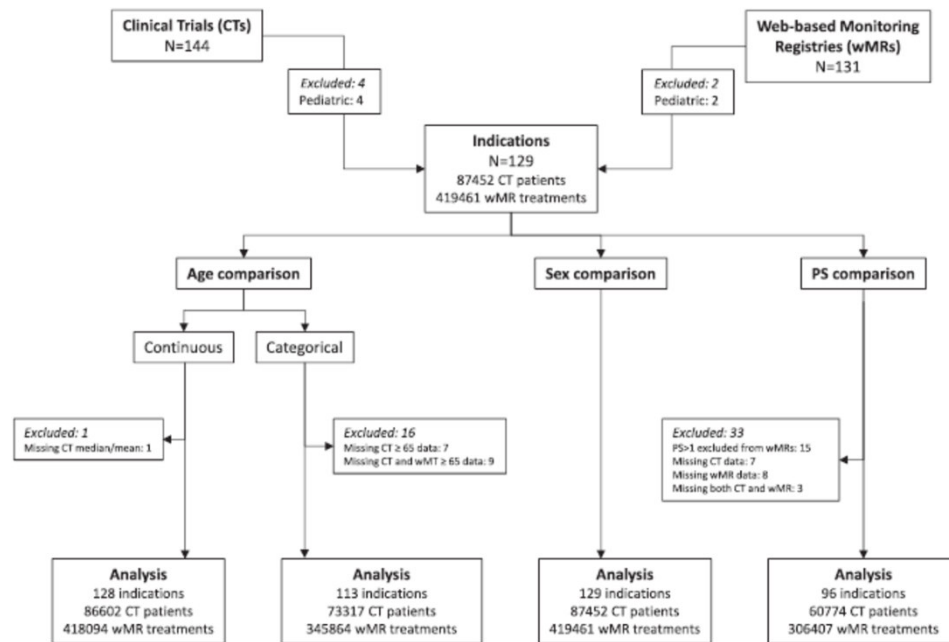
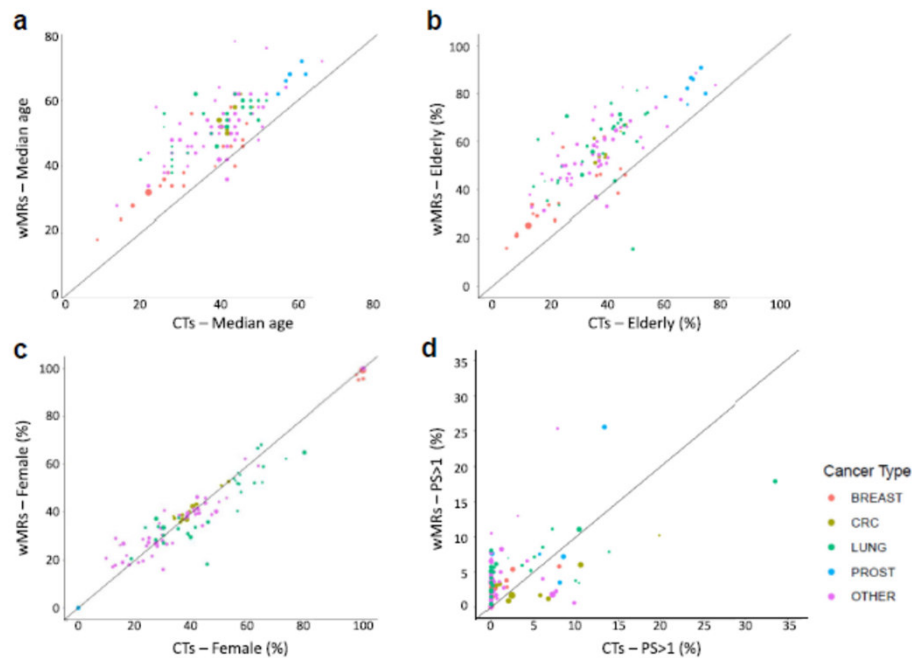


Fig. 1: Flow chart of the study.

Maria Lucia Iacovino,<sup>a,j</sup> Simone Celant,<sup>b,j</sup> Luca Tomassini,<sup>b</sup> Laura Arenare,<sup>a</sup> Andrea Caglio,<sup>c</sup> Andrea Canciello,<sup>a</sup> Flavio Salerno,<sup>c</sup> Pier Paolo Olimpieri,<sup>b</sup> Susanna Di Segni,<sup>b</sup> Antonella Sferrazza,<sup>b</sup> Maria Carmela Piccirillo,<sup>a</sup> Giordano Domenico Beretta,<sup>d</sup> Carmine Pinto,<sup>e</sup> Livio Blasi,<sup>f</sup> Saverio Cinieri,<sup>g</sup> Luigi Cavanna,<sup>h</sup> Massimo Di Maio,<sup>i</sup> Pierluigi Russo,<sup>b,k</sup> and Francesco Perrone <sup>a,k,\*</sup>  
**The Lancet Regional Health - Europe** 2024;41: 100912 Published Online 24 04 2024 <https://doi.org/10.1016/j.lanepe>.

## Distribution of baseline characteristics – Italian clinical practice (wMRs) vs RCTs



**Fig. 2:** Distribution by type of cancer of patients' characteristics in wMRs and CTs (2a: median age, 2b: elderly rate; 2c: female rate; 2d: PS > 1 rate).

Lo studio trasversale ha confrontato alcune caratteristiche al baseline (sesso, età ed ECOG performance status), tra i pazienti inseriti in 129 registri oncologici AIFA, per un totale di circa **420.000** trattamenti, con **87.452** pazienti arruolati nei trial clinici relativi agli stessi medicinali nelle medesime indicazioni terapeutiche. Da questo confronto è emerso che i pazienti trattati nella pratica clinica hanno un'età più alta sia in termini assoluti, con una differenza media dell'età mediana di **5,3** anni, sia in termini di differenza percentuale di pazienti con età maggiore o uguale a 65 anni (**+17,2%**). Dal punto di vista dell'ECOG performance status, i pazienti trattati nella pratica clinica italiana avviati al baseline con uno score di 2 o superiore sono risultati maggiori, in termini relativi, ai pazienti arruolati nelle sperimentazioni cliniche, per una differenza media di **1,3%**. Anche le percentuali di uomini e donne avviate nella pratica clinica rispetto alle frequenze dei relativi trial hanno mostrato delle differenze, ma solamente su alcune tipologie di tumore.

## Multivariate analysis PCA and cluster analysis – Italian clinical practice (wMRs) vs RCTs

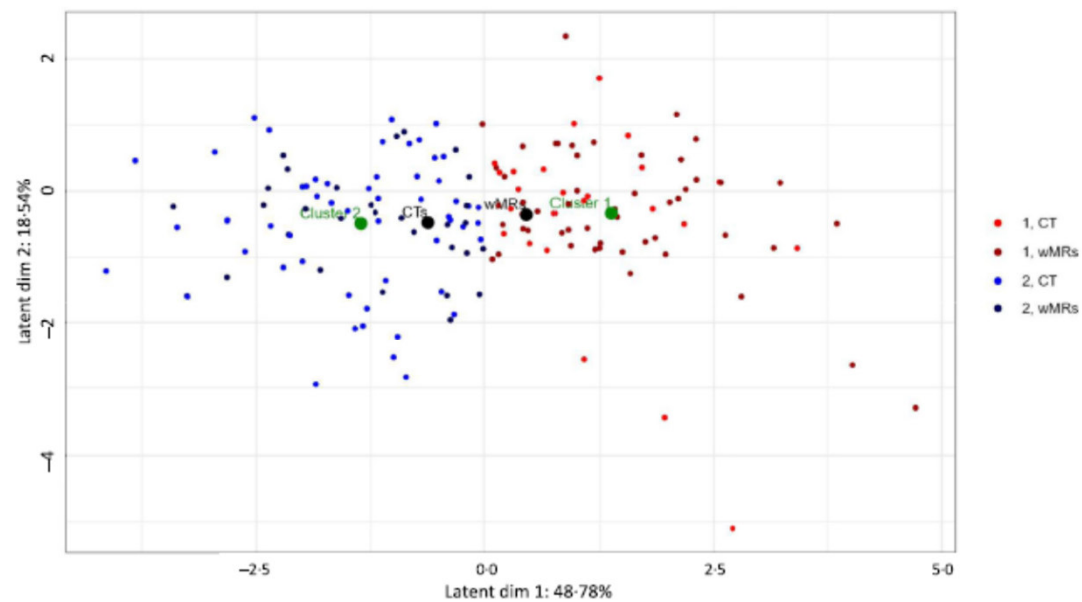


Fig. 3: Cluster analysis.

## Conclusione

[...] the analysis of AIFA monitoring registries supports that cancer patients enrolled in clinical trials only partially represent those who have been treated in the Italian clinical practice. Even if randomized clinical trials remain the gold-standard instruments to find out new effective drugs, their degree of inclusiveness has to be increased to ensure generalizability of results to the real-world population.

A thick, solid blue horizontal bar is located at the bottom of the slide, spanning most of the width of the page.



# Grazie per l'attenzione!

Contatti del relatore:  
l.tomassini@aifa.gov.it

[aifa.gov.it](http://aifa.gov.it)

