

# ABOUTPHARMA

## AND MEDICAL DEVICES

**Mieloma multiplo**

**Approccio integrato  
tra innovazione  
e sostenibilità**



**Anti corruzione  
Sunshine Act**  
Le mosse del Governo  
pag. 22

**Trend di mercato  
Genericazioni e nuovi lanci**  
Il 2019 è un enigma  
pag. 30



**Management  
Le competenze  
del "bravo" capo**  
pag. 52

# AFFARI REGOLATORI



A cura di  
**Intexo Regulatory Affairs  
& Market Access Solutions**  
www.intexo.it

## Gimbe pubblica le linee guida per definire le soglie di malattia

L'estensione delle definizioni di malattia, se da un lato può determinare benefici per i pazienti che possono accedere a trattamenti efficaci, dall'altro, rappresenta uno dei driver principali dell'over-diagnosi, tanto più rilevante quanto più l'estensione delle definizioni include stadi di malattia precoci o più lievi.

La modifica delle soglie di malattia, infatti, insieme alla disponibilità e all'uso esteso di tecnologie diagnostiche sempre più sensibili – la cui appropriatezza o inappropriata è spesso discussa e soggetta a pareri discordanti – finiscono per identificare come “malate” persone il cui stadio di malattia è troppo precoce, molto lieve e/o non evoluto/tivo.

A livello di popolazione sono varie le condizioni in cui il conseguente sovra-trattamento può sbilanciare il rapporto benefici/rischi: ipertensione, embolia polmonare, insufficienza renale cronica, osteoporosi, prediabete, carcinoma della tiroide, disturbo da deficit di attenzione e iperattività, demenza.

Il beneficio terapeutico assoluto di solito è direttamente proporzionale alla severità della malattia o al rischio di base (una relazione, questa, che è stata dimostrata sia per l'ipercolesterolemia che per l'ipertensione). Al contrario, la probabilità di effetti indesiderati è generalmente costante e indipendente dal rischio di base, poiché questi costituiscono un effetto intrinseco dell'intervento terapeutico stesso. Di conseguenza, nei pazienti ai quali viene diagnosticata una patologia in fase precoce o lieve, gli effetti avversi sono spesso più probabili dei benefici.

“La letteratura scientifica – afferma Nino Cartabellotta, presidente della Fondazione Gimbe – negli ultimi anni ha ampiamente dimostrato che l'estensione delle definizioni di malattia è un fenomeno diffuso in tutte le aree specialistiche, ma che al tempo stesso mancano standard condivisi per identificare e prevenire modifiche inappropriate”.

Oggi, infatti, i panel di esperti che elaborano linee guida per la pratica clinica modificano le soglie di malattia senza valutarne rigorosa-

mente l'impatto e le conseguenze. Diventa pertanto indispensabile che i panel coinvolti in questo processo dispongano di una guida per modificare le soglie di malattia. Con questo preciso obiettivo la Fondazione Gimbe ha realizzato la versione italiana ufficiale della checklist recentemente pubblicata dal Guidelines International Network (Gin) [pubblicazione: Doust J, Vandvik PO, Qaseem A, et al., Evidence 2018; 10(9): e1000187; 15 ottobre 2018].

Il Gin include 107 organizzazioni e mira a guidare, rafforzare e supportare la collaborazione nella produzione, adattamento ed implementazione di linee guida; ha costituito un apposito gruppo di lavoro finalizzato a sviluppare raccomandazioni per modificare le definizioni di malattia tramite una checklist ad 8 item.

“Per evitare – conclude Cartabellotta – che i potenziali rischi di sovra-diagnosi e sovra-trattamento danneggino i nuovi malati occorre grande cautela nel modificare le soglie di malattia. In particolare, tali modifiche dovrebbero sempre migliorare il profilo rischio/beneficio a livello di popolazione. In tal senso auspichiamo che la checklist venga utilizzata da tutte le società scientifiche italiane impegnate nella produzione di linee guida per la pratica clinica”.

La checklist rappresenta un primo step per guidare e documentare in maniera più accurata le modifiche delle definizioni di malattia. Sono necessari ulteriori sforzi per chiarire i metodi e guidare il giudizio sull'adeguatezza delle evidenze e sul profilo rischio-beneficio, ed il gruppo di lavoro Gin incaricato continuerà a lavorare in tal senso.

**Claudia Bertozzi**  
claudia.bertozzi@intexo.it