



CONGRESUL UNIVERSITĂȚII DE MEDICINĂ
ȘI FARMACIE CAROL DAVILA - BUCUREȘTI

Perspective interdisciplinare

PALATUL PARLAMENTULUI, 29 - 31 MAI 2017, EDIȚIA A V-A

INIȚIERE. EVOLUȚIE.
EXCELENȚĂ

din 1857

www.congresumf.ro

Studiile pe date reale – metodologiile populaționale și corelația cu practica clinică curentă

***Real world data studies – population
based design in connection with the
clinical practice***

Bogdan Pană MD PhD

Department of Public Health and Management



RWD Studies -Definition

Studies used for decision making that do not collect data in the Randomised Control Trials Methodology.

Studiile utilizate pentru luarea deciziilor in care datele nu sunt colectate pe metodologia RTC.



Studiu noninterventional OMS 904/2006

- ❧ studiul în cadrul căruia medicamentul sau medicamentele sunt prescrise în mod obișnuit în concordanță cu termenii autorizației de punere pe piață;
- ❧ folosirea pentru pacient a unei strategii terapeutice date nu este fixată dinainte printr-un protocol de studiu, ci se supune practicii curente,
- ❧ iar decizia de a prescrie medicamentul este în mod clar separată de aceea de a include pacientul în studiu;
- ❧ nu trebuie aplicată pacienților nici o procedură suplimentară de diagnostic sau de supraveghere,
- ❧ iar pentru analiza datelor culese sunt folosite metode epidemiologice;



SDR in legislatia RO

(861/2014 cu modificari)

- ◆ Inițierea și derularea în România:
 - ✓ Max. 45 de puncte: in locul punctajul Franța (HAS), Marea Britanie (NICE/SMC) și Germania (IQWIG/G-BA) (*tabelul nr 4*)
- ◆ Nu exista metodologie; protocoalele de studiu vor fi evaluate de comisie mixta: ANM, CNAS, MS.
- ◆ >, =, 80 puncte = rambursare neconditionata
- ◆ 60-79 puncte = rambursare conditionata



Obiectivele studiilor:

1. Evaluarea beneficiului clinic aditional,
2. Evaluarea sigurantei,
3. Evaluarea calitatii vietii
4. Colectare de costuri directe, din perspectiva tertului platitor pentru studii de farmacoeconomie.

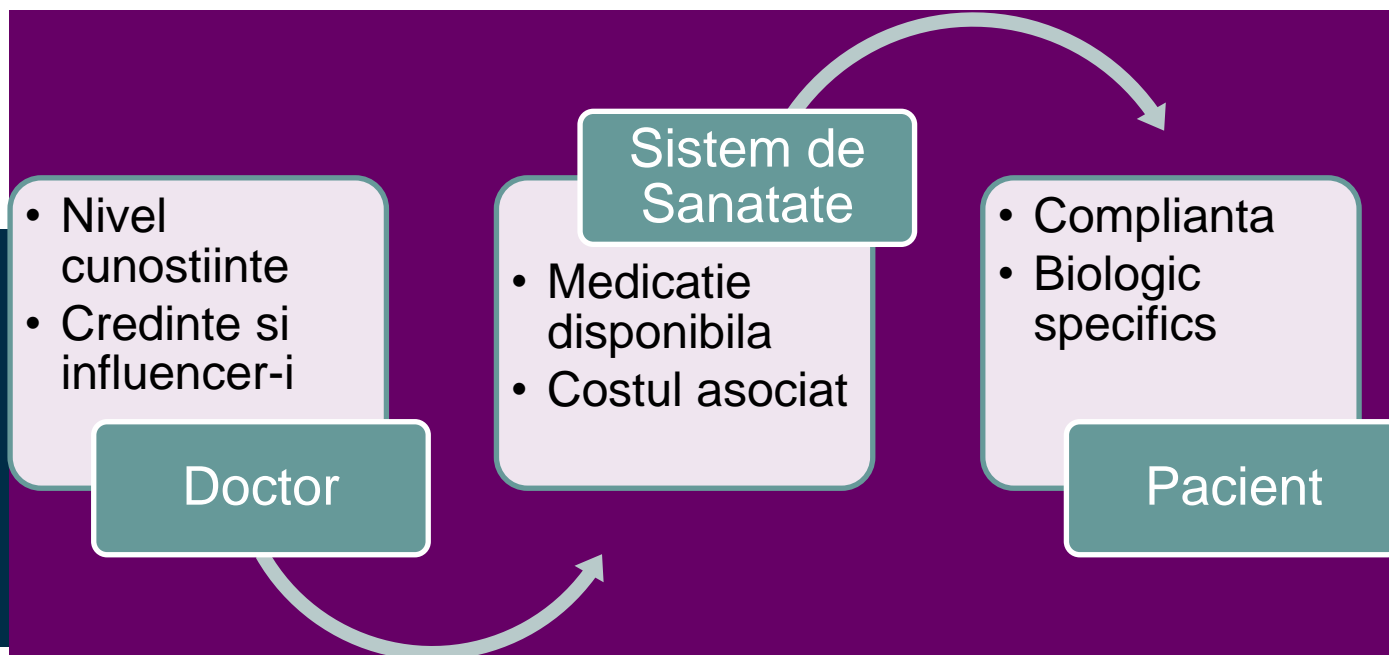


Utilizare/ Europa

- Pentru introducere pe piata si licentiere conditionata –cresterea accesului la terapiile inovative
- Contractare cu tertul platitor si re-evaluarea acestor contracte (la 1 an, 2, 5 in functie de datele analizate)
- *! Utilizarea crescuta a bazelor de date populationale on line !*



Corelația cu practica clinică curentă



**Terapii noi in lista , med. pentru bolile rare,
Evidente locale: eficacitate, siguranta, QoL**



SDR Clasificare:

1. Tip de rezultat

1. Rezultate Clinice:
 1. Masurari biologice
2. Rezultate raportate de pacienti
 1. Calitatea vietii
 2. Satisfactie, etc
3. Economic
 1. Costuri directe pentru studii economice



SDR Clasificare:

2. Tip de design

1. Cohorta
 1. “Corelational”/analitice (RR,RA,etc)
2. Caz control
 1. “Corelational”/analitice (OR)
3. Transversale/ descriptive
 1. Exploratorii

! Criteriile de calitate a design-ului si raportarii rezultatelor !



SDR Clasificare:

2. Tip de design



**!!DATE vs DESIGN
(metodologie)**



Validitatea SDR/ Extern +

Validitatea Externa (cohorta): Realitatea identificata de studiu este similara cu realitatea din exteriorul studiului:	Clinic
- Co-morbiditati	- pacienti similari cu "ai mei"?
- Terapii combinate	- pacientii din practica de zi cu zi ?
- Distributie larga grup populational	- Imagine globala reala
- Varibilitate in acces	
- Variabilitatea in complianta	
	SDR+/RTC



Validitatea SDR/ Intern -

Validitatea Interna (cohorta):
Studiul identifica corect
realitatea din interiorul studiului
(control bias-uri)

Clinic:

Confounding bias/Factorii de
confuzie

- Respectarea Indicatiilor
terapeutice/protocoale, tot timpul !! Nu
doar in RTCs

Selecting Bias/Eroare de selectie

- Raportare corecta si completa a evolutiei
la TOTI pacientii, nu doar cei din studii

Performance Bias/Eroare de
Performanta

- Raportarea permanenta a terapiilor

Detection Bias/Eroare de
Dedectie

-Complianta pacientilor, clar documentata

Attrition Bias/Pierderea in
urmarire

- Comunicare ?

Reporting Bias/Eroare de
Raportare

- Reglementare?

SDR -/RTC



SDR Clasificare:

3. Tip de baza de date (I)

1. Baze de date asociate studiilor clinice (pragmatic RTC's)
2. Anchete

criterii de calitate	Cum sunt adresate
reprezentativitate	Esantionare (semnificatie, putere)
variabilele	Alese vs obiectiv
calitatea datelor	Verificare(introducere, codificare,etc)
analiza	ITT
transparenta	Punerea datle la dispozitie pt re-analiza?



SDR Clasificare:

3. Tip de baza de date (II)

3. Registre

1. Nationale
2. Regionale
3. Institutionale

4. Date administrative pentru rambursare de servicii- SIUI

5. Dosarele medicale electronice- DES

Criteria de calitate	Cum sunt adresate	Cum ar fi adresate?
reprezentativitate	Esantionare (semnificatie, putere)	Prin numarul mare? Criteriu de alegere a BD?
variabilele	Alese vs obiectiv	Exista deja definite? Si daca nu?
calitatea datelor	Verificare(introducere, codificare,etc)	Prin reglementare? Penalitatea e la cine?
analiza	ITT	Reguli diferite?
transparenta	Punerea datelor la dispozitie pt re-analiza?	Protectia datelor?



Concluzii (I)

1. Studiile pe date reale vor crește în importanță datorită:
 - ✓ Disponibilității datelor în timp real și numărul virtual exhaustiv prin sistemele electronice de raportare și monitorizare actuale și viitoare.
 - ✓ Nevoii crescute a decidenților de a evalua terapiile finanțate prin bugetele naționale și de a echilibra echitabil cererea/oferta.



Concluzii (II)

2. Cresterea in importanta va implica:

- ✓ Cresterea nivelului de cunostiinte: pentru :
planificare, executie si intelegere a acestor
tipuri de studii.
- ✓ Cresterea nevoii de standarde, atat pentru
procoale, cit si pentru publicare.
- ✓ Cresterea calitatii si valorii bazelor de date
cu reprezentativitate nationala.
- ✓ Cresterea nivelului de reglementare.



Concluzii (III)

2. In practica clinica curenta pot aparea urmatoarele implicatii:

- ✓ Schimbarea panelului de terapii disponibile/compensate cu o frecventa mai mare.
- ✓ O standardizare mai mare a practicii medicale.
- ✓ Cresterea responsabilitatilor de inregistrare a pacientilor/efectelor terapiilor.



**CONGRESUL UNIVERSITĂȚII DE MEDICINĂ
ȘI FARMACIE CAROL DAVILA - BUCUREȘTI**

Perspective interdisciplinare

PALATUL PARLAMENTULUI, 29 - 31 MAI 2017, EDIȚIA A V-A

INIȚIERE. EVOLUȚIE.
EXCELENȚĂ

din 1857

www.congresumf.ro

Va multumesc

bogdan.pana@umfcd.ro