



Richiesta per borsa di studio da attivare ai sensi di quanto disposto dal D.M. n. 1061 del 10/08/2021

Il sottoscritto Antonino De Lorenzo, qualifica Professore Ordinario, afferente al Dipartimento di Biomedicina e Prevenzione, Interno 0672596856 email delorenzo@uniroma2.it

CHIEDE

L'attivazione di una borsa di studio di dottorato ai sensi di quanto disposto dal D.M. n. 1061 del 10/08/2021. A tal fine comunica quanto segue:

La borsa sarà attivata sul seguente corso di dottorato accreditato per il XXXVII ciclo: Scienze Medico-Chirurgiche Applicate

Area per la quale si presenta la richiesta (selezionare solo una delle due):

Innovazione

Green

Tipologia di cofinanziamento (pari ad euro 8000 una tantum):

Nome dell'Ente finanziatore pubblico o privato:

ASSOCIAZIONE QOL-ONE

Persona di Riferimento: FRANCESCA VAZZANA Telefono 329-8699514

Emailamministrazione@qol-one.org

Fondi di ricerca dipartimentali

Progetto di Ricerca (massimo 10.000 battute complessive spazi inclusi) che comprenda

Descrizione del Progetto:

Health Technology Assessment (HTA) dell'utilizzo dell'eltrombopag per il trattamento della piastrinopenia associata a sindrome mielodisplastica a rischio IPSS basso e intermedio-1

La valutazione delle tecnologie sanitarie - (HTA) - è uno strumento per supportare i diversi livelli di governo del Sistema Sanitario Nazionale (SSN) nell'applicazione dei principi espressi all'articolo 1 del D.Lgs. 502/92 e s.m.i. riguardanti, in particolare, l'equità nell'accesso all'assistenza, la qualità delle cure e la loro appropriatezza riguardo alle specifiche esigenze, nonché l'economicità nell'impiego delle risorse, consentendo di supportare con evidenze scientifiche le decisioni su "i servizi e le prestazioni sanitarie che presentano, per specifiche condizioni cliniche o di rischio, evidenze scientifiche di un significativo beneficio in termini di salute, a livello individuale o collettivo, a fronte delle risorse impiegate" da porre a carico del SSN.

L' HTA è un processo multidisciplinare che sintetizza le informazioni sulle questioni cliniche, economiche, sociali ed etiche connesse all'uso di una tecnologia sanitaria, in modo sistematico, trasparente, imparziale e solido. Il suo obiettivo è contribuire all'individuazione di politiche sanitarie sicure, efficaci, incentrate sui pazienti e mirate a conseguire il miglior valore.



La valutazione delle tecnologie sanitarie può prendere in considerazione diversi aspetti, sia clinici (problema di salute e uso attuale della tecnologia, caratteristiche tecniche, sicurezza, efficacia clinica) sia non clinici (costi ed efficacia economica, analisi etica, aspetti organizzativi, aspetti sociali, aspetti legali).

Il processo di HTA si basa su evidenze scientifiche tratte da studi, che vengono considerate per specifiche tipologie di intervento sanitario su determinate popolazioni di pazienti, confrontando gli esiti e i risultati con quelli di tecnologie sanitarie di altro genere o con lo standard di cura corrente.

Le tecnologie oggetto di valutazione possono essere farmaci, dispositivi medici, vaccini, procedure e, più in generale, tutti i sistemi sviluppati per risolvere un problema di salute e migliorare la qualità della vita.

Le sindromi mielodisplastiche (MDS) prevalgono in età anziana e sono caratterizzate da displasia midollare, citopenie periferiche e un rischio relativo di evoluzione in leucemia acuta mieloide. La terapia di supporto rappresenta la principale opzione terapeutica nella maggior parte dei pazienti. La qualità della vita (QoL) è deteriorata principalmente dalla citopenia ed alla dipendenza trasfusionale. L'unico trattamento disponibile per la piastrinopenia severa, in presenza di emorragia, è la trasfusione di piastrine. Eltrombopag è un agonista del recettore della trombopoietina, biodisponibile in formulazione orale in indicazioni per il trattamento di altre patologie ematologiche. E' in corso una sperimentazione internazionale "Eltrombopag for the treatment of thrombocytopenia due to low- and intermediate risk myelodysplastic syndromes (EQoL MDS), EudraCT No 2010-022890-33" coinvolgente centri italiani, tedeschi e francesi. Il database di tale studio, sponsorizzato dall'Associazione QOL-ONE, verrà messo a disposizione per questo progetto.

Obiettivi formativi:

- Raggiungimento delle conoscenze tecniche e pratiche della gestione del farmaco sperimentale:
 - Mantenimento di un registro con ID paziente e centro di riferimento
 - Controllo delle escursioni delle temperature, esportazione grafica e invio dei dati allo Sponsor
 - Registrazione in IVRS dell'arrivo
 - Etichettatura del farmaco
 - Dispensazione del farmaco sperimentale in IVRS
 - Comunicazione degli eventi avversi seri (SAE)
- Raggiungimento delle conoscenze tecniche e pratiche nel calcolo della HTA:
 - Metodologia "value-based" e sua applicazione tramite Net Monetary Benefit (NMB)
 - Calcolo del valore soglia Willingness To Pay (WTP) e del Quality-Adjusted Life Years (QALYs) per paziente
 - Calcolo del costo paziente (diretti ed indiretti)
 - Incorporazione delle misure di qualità della vita, degli eventi avversi e della farmacocinetica nella valutazione dell'efficacia

Attività previste:

Formazione Teorica e Pratica sull'utilizzo delle eCRF, sul controllo delle temperature, sulle procedure operative dell'Unità Farmaci Antitumorali (UFA), sulla creazione delle SOP e sulla statistica di base per il raggiungimento degli obiettivi formativi.

Realizzazione di un Modello statistico di HTA per il farmaco eltrombopag nell'indicazione trattamento della piastrinopenia nel paziente affetto da sindrome mielodisplastica a basso rischio.

Attinenza del progetto all'area indicata:

Nell'area GREEN, è prevista la promozione di uno sviluppo sostenibile. In tal senso, il progetto ha valore nello sviluppo di un trattamento sostenibile per la popolazione paziente affetta da sindrome mielodisplastica con piastrinopenia severa, che prevede una riduzione degli eventi emorragici, riduzione del tempo trascorso in ospedale,



riduzione delle trasfusioni di piastrine, riduzione dei costi del sistema sanitario nazionale legati alla patologia e alle trasfusioni e dei costi sociali e miglioramento della qualità della vita.

Il risultato potrebbe rivelare il trattamento idoneo ad un utilizzo sostenibile.

Risultati attesi:

Il principale risultato atteso è il rilievo di un farmaco efficace in termini di aumento della conta piastrinica, della riduzione degli eventi emorragici, della richiesta trasfusionale e delle ospedalizzazioni, e miglioramento della qualità della vita con un buon rapporto costo/efficacia.

Azienda pubblica o privata coinvolta nazionale o straniera in cui si prevede di far svolgere il periodo obbligatorio da 6 a 12 mesi previsto dal Decreto Ministeriale:

GOM (Grande Ospedale Metropolitano Bianchi Melacrino Morelli) Reggio Calabria

Firma
Antonio De Loro