

Η σημασία της καταγραφής των περιστατικών & των κέντρων αναφοράς – Ο ρόλος της Φαρμακοβιομηχανίας



NEW PATIENT REGISTRATION

Last Name: _____ First: _____ Middle: _____

SSN: _____

Date of Birth: _____ Today's Date: _____

Home Phone #: _____

Phone #: _____

Referring Doctor: _____ Age: _____

Care Doctor: _____



Νίκος Νίκας
Ιατρικός Διευθυντής Boehringer Ingelheim Ελλάς
6 Φεβρουαρίου 2020

Θεματολογία

■ Η σημασία της καταγραφής των περιστατικών

- ▷ Από τον «παραδοσιακό» φάκελο στον ηλεκτρονικό
- ▷ Ο ηλεκτρονικός φάκελος υγείας και το μητρώο ασθενών
- ▷ Η σημασία της καταγραφής
- ▷ Ο ρόλος της φαρμακοβιομηχανίας

■ Η σημασία των κέντρων αναφοράς για τα σπάνια νοσήματα

- ▷ Προϋποθέσεις για τα κέντρα αναφοράς/εμπειρογνωμοσύνης
- ▷ Ο ρόλος της φαρμακοβιομηχανίας



Η εξέλιξη της καταγραφής: Από τον χειρόγραφο φάκελο στον ψηφιακό



- Η σύγχρονη πραγματικότητα
- Εγκαταλελειμμένοι σε ράφια
- Ακατάλληλοι για χρήση
- Περιεχόμενο ελλιπές, ανακριβές, δυσανάγνωστο
- Ανοργάνωτες, μη δομημένες πληροφορίες
- Δεν εξυπηρετεί τους σκοπούς του



- Στόχος να υποστηριχτεί η φροντίδα υγείας του ατόμου εφ' όρου ζωής
- Προωθεί την έρευνα και την εκπαίδευση
- Βοηθά στην πρόσβαση και στο διαμοιρασμό πληροφοριών με φιλικό τρόπο
- Ελέγχεται η ασφάλεια των δεδομένων



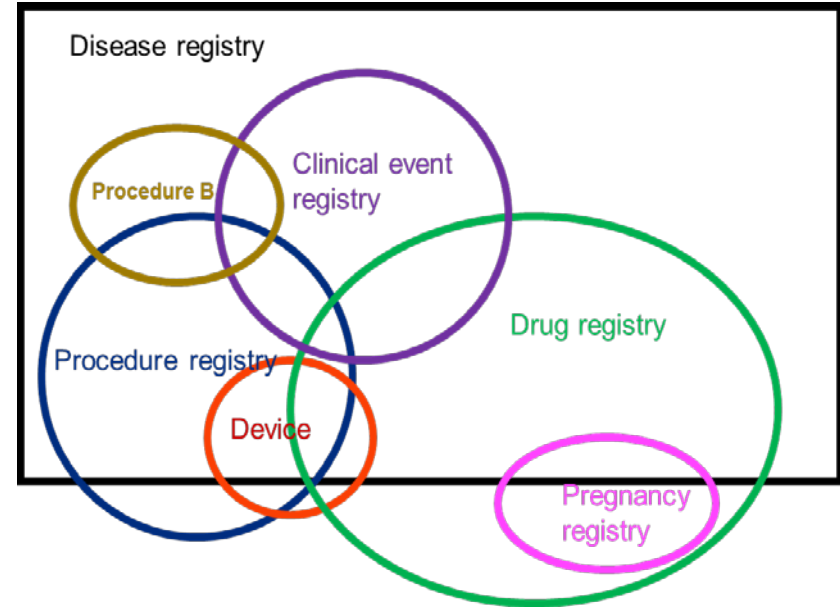
Ο ηλεκτρονικός φάκελος υγείας

Ε-αρχείο με δεδομένα υγείας ενός ατόμου το οποίο ακολουθεί τα πρότυπα διαλειτουργικότητας και το οποίο μπορεί να δημιουργηθεί, διαχειριστεί και ενημερωθεί από εξουσιοδοτημένα άτομα σε περισσότερες από 1 δομές υγείας.



Το μητρώο ασθενών [Registry]

- Οργανωμένο σύστημα το οποίο χρησιμοποιεί μεθοδολογία **μελετών παρατήρησης** για τη συλλογή ομοιόμορφων δεδομένων (κλινικών και άλλων) ασθενών.
- Αξιολογεί συγκεκριμένες εκβάσεις ενός **πληθυσμού** ο οποίος καθορίζεται από μία νόσο, κατάσταση ή έκθεση.
- Χρησιμεύει για **προκαθορισμένους** επιστημονικούς, κλινικούς σκοπούς ή για λόγους καθορισμού πολιτικών υγείας.



Ηλεκτρονικός φάκελος υγείας & μητρώο ασθενών



- Ο e-φάκελος υγείας εστιάζει στο άτομο και σχεδιάζεται για τη συλλογή, διαμοιρασμό και χρήση της πληροφορίας προς όφελος του ατόμου.
- Δύσκολο στην εφαρμογή

Διασύνδεση (Interface)
Διαλειτουργικότητα (Interoperability)

Ο e- φάκελος υγείας δεν είναι μητρώο και το
μητρώο δεν είναι e-φάκελος

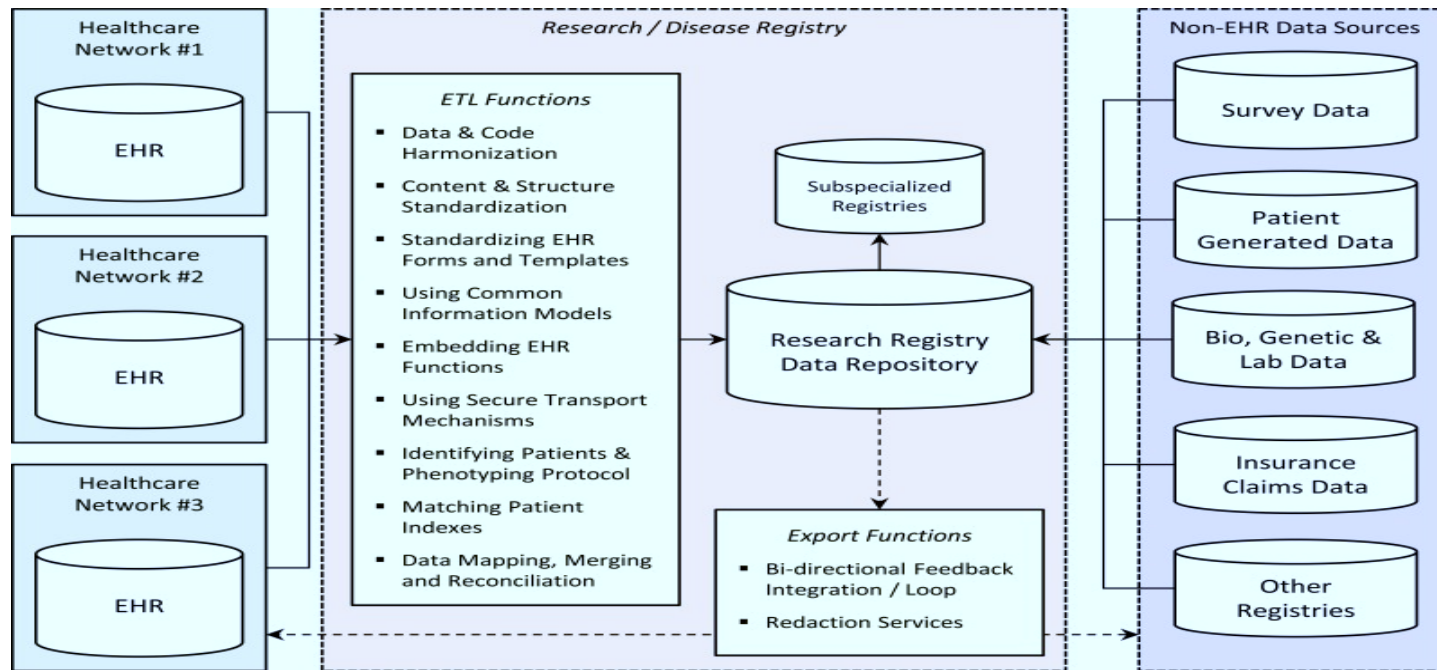


Συλλογή, καθαρισμός, αποθήκευση δεδομένων

Πληθυσμιακά δεδομένα, ποιοτικός έλεγχος

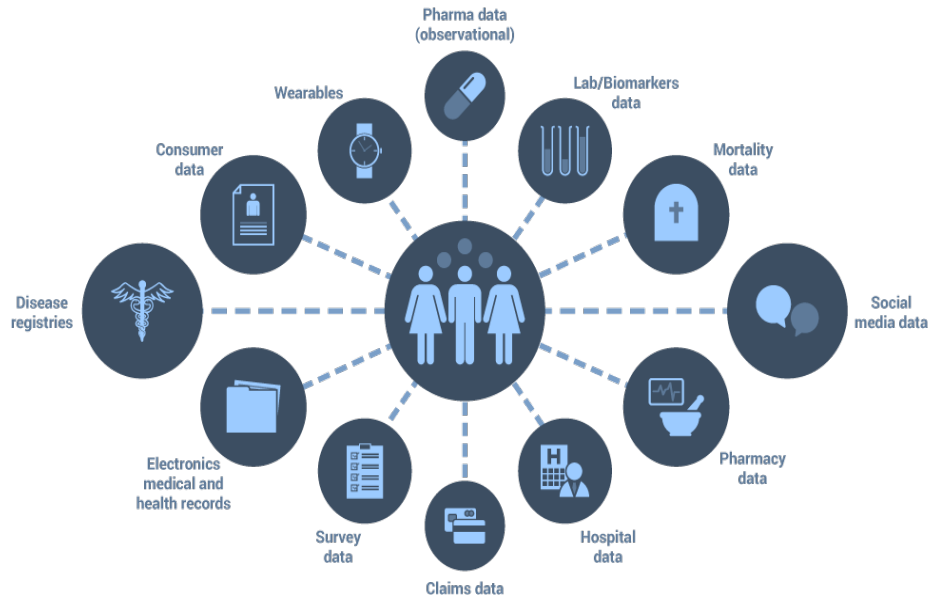
- Το μητρώο εστιάζει σε πληθυσμούς και σχεδιάζεται για να εκπληρώσει ειδικούς σκοπούς, οι οποίοι καθορίζονται πριν τη συλλογή και ανάλυση των δεδομένων.
- Ευκολότερο & φθηνότερο

Αρχιτεκτονική σύνδεσης ηλεκτρονικών φακέλων υγείας & μητρώων



HER = Electronic Health Record; ETL = Export, Transform, Load

Η σημασία της καταγραφής – RWD & RWE



Real World
Analytics



Η σημασία των RWE/RWD [1]



Μπορούν να επιβεβαιώσουν τα αποτελέσματα των RCTs σε ευρύ πληθυσμό



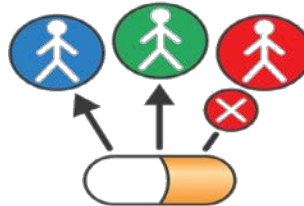
Υποπληθυσμοί



Συγκριτική αποδοτικότητα (effectiveness) διαφορετικών θεραπευτικών στρατηγικών



Επίπτωση, επιπολασμός, παράγοντες κινδύνου, βιοδείκτες, δημογραφικά, φυσική ιστορία και εκβάσεις



Μακροχρόνια ασφάλεια των φαρμάκων, σπάνιες ΑΕ και αλληλεπιδράσεις

Η σημασία των RWE/RWD [2]



- Σωστή παρακολούθηση ασθενών στο σύστημα υγείας
- Συνεχής βελτίωσή του (διάγνωση και θεραπεία) και σωστή διαχείριση φαρμακευτικής δαπάνης



- Εφαρμογή νέων επιστημονικών δεδομένων
- Αυξημένη συμμετοχή ασθενών σε αποφάσεις θεμάτων υγείας



Αναγνώριση ακάλυπτων ιατρικών αναγκών και θεραπευτικών κενών



- Αναλύσεις οικονομικών της υγείας
- Προτεραιοποίηση προϋπολογισμών

Η σημασία των RWE/RWD [3]



Σύσταση κατευθυντήριων οδηγιών ή/και θεραπευτικών πρωτοκόλλων



Αναγνώριση
κατάλληλων ασθενών
για ένταξη σε κλινικές
μελέτες



Ερευνητική δραστηριότητα
της χώρας

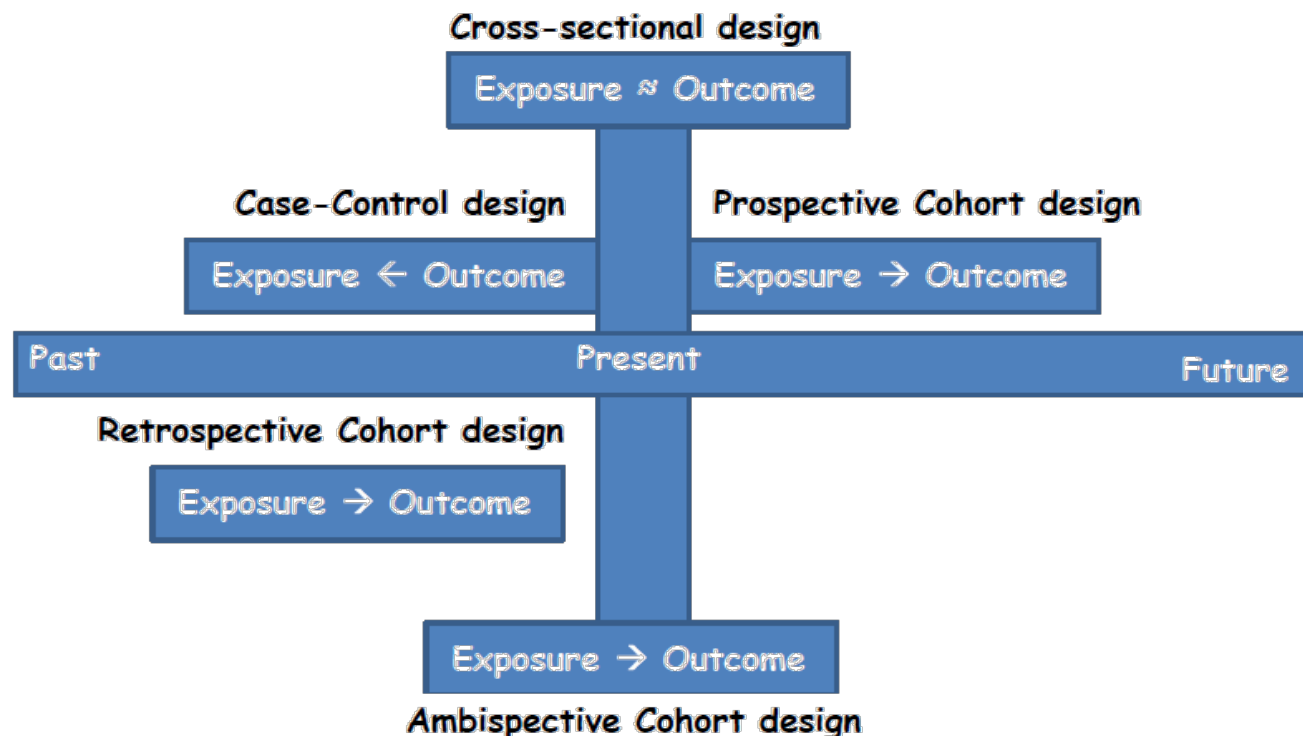
Η καταγραφή είναι απολύτως απαραίτητη στα σπάνια νοσήματα!

- Μικρός πληθυσμός
- Αίσθηση «απομόνωσης» των ασθενών
- Τεράστια ετερογένεια
- Μεγάλη πολυπλοκότητα
- Δυσκολία στη διάγνωση & θεραπεία
- Μεγάλα κενά στις γνώσεις
- Λίγοι ειδικοί
- Δυσκολία/αδυναμία σχεδιασμού τυχαιοποιημένων μελετών
- Έλλειψη βιοδεικτών/αξιολόγηση εκβάσεων

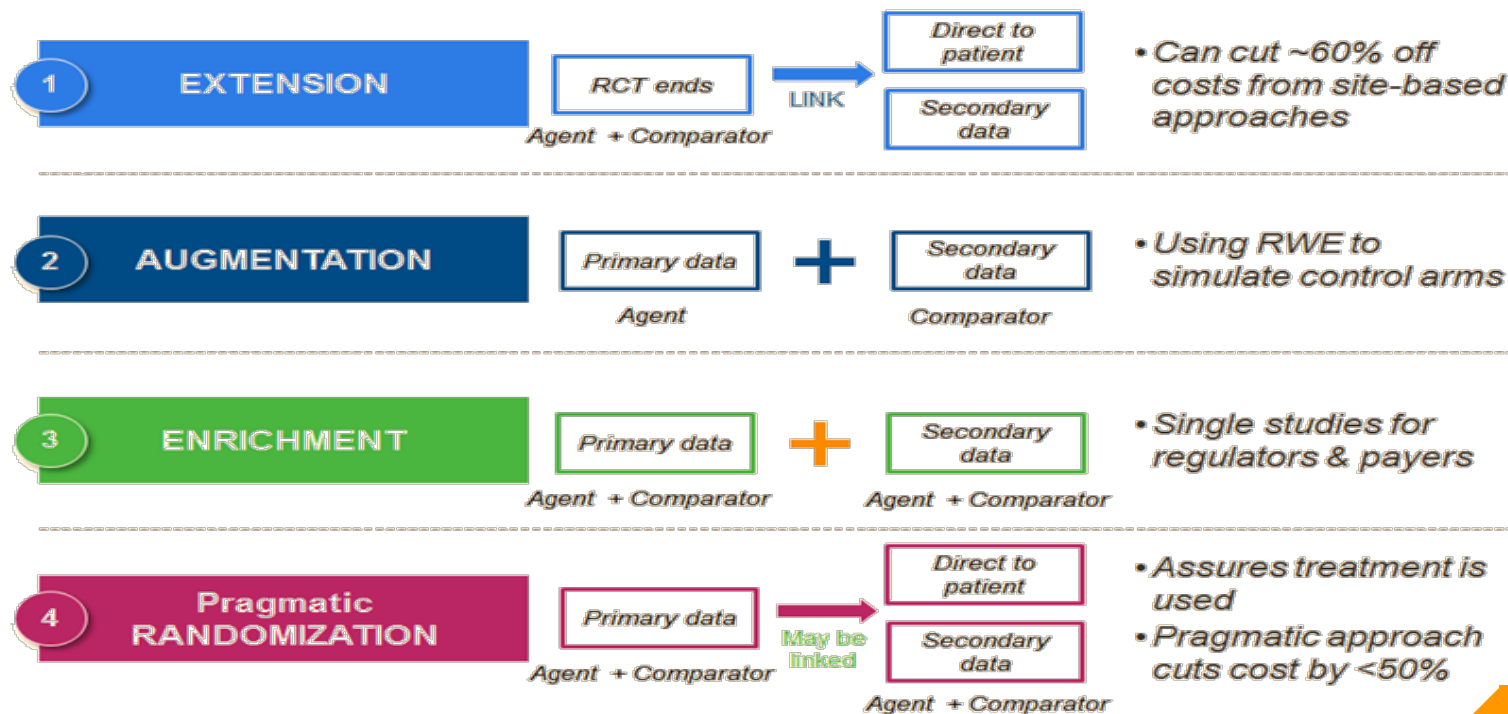
- Σωστή διάγνωση/βέλτιστη θεραπεία
- Αναγνώριση ασθενών για ένταξη σε κλινικές μελέτες
- Ερευνητικές συνεργασίες
- Αξιοποίηση των δεδομένων καταγραφής/παρατήρησης
- Καινοτομία
- Αξιοποίηση των «λεπτομερειών» που ενδέχεται να κάνουν «τη διαφορά»
- Ενδυνάμωση ασθενών
- Απλοποίηση διαδικασιών
- Διεθνείς συνεργασίες



Τα δεδομένα των μητρώων αναλύονται ως μελέτες παρατήρησης



RWE & Μητρώα: Επέκταση, ενίσχυση, εμπλουτισμός και καινοτομία στο σχεδιασμό των κλινικών μελετών!



Γιατί γίνεται τόσοσ θόρυβος για τα RWD/RWE;

Οι RCTs οι οποίες αποτελούν τη ραχοκοκαλιά της EBM έχουν αδυναμίες

- Αυστηρά επιλεγμένος πληθυσμός
- «Ιδανικές συνθήκες»
- Υψηλό κόστος
- Μικρή περίοδος παρατήρησης
- Δύσκολα εφαρμόσιμες σε σπάνια νοσήματα ή σε αυτά με αργή εξέλιξη
- Χαμηλή εξωτερική εγκυρότητα
- Δραστικότητα [efficacy]
- Αδυναμία ανίχνευσης σπάνιων ΑΕ (<1%) και αλληλεπιδράσεων

Γιατί γίνεται τόσοσ θόρυβος για τα RWD/RWE;

Do you know about any RCTs that provide evidence that we should use RCTs?

Τα RWD/RWE φαίνεται να καλύπτουν τις αδυναμίες των RCTs

- Δεν γίνεται αυστηρή επιλογή πληθυσμού
- «Πραγματικές συνθήκες» καθημερινής κλινικής πρακτικής
- Χαμηλό κόστος
- Μεγάλη περίοδος παρατήρησης
- Εφαρμόσιμες σε σπάνια νοσήματα ή σε νοσήματα με αργή εξέλιξη
- Υψηλή εξωτερική εγκυρότητα
- Αποτελεσματικότητα [effectiveness]
- Δυνατότητα ανίχνευσης σπάνιων ΑΕ και αλληλεπιδράσεων



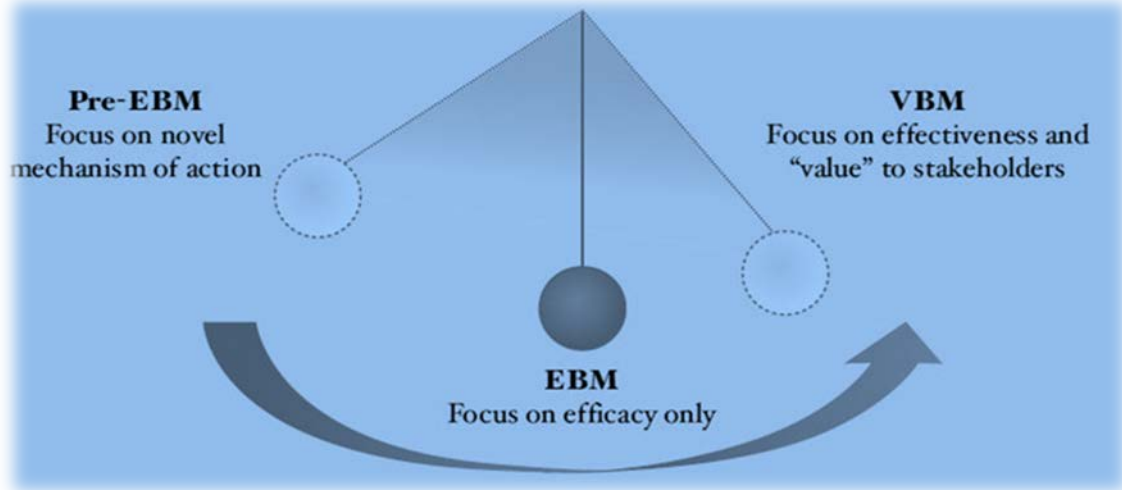
<http://freshspectrum.com/6-rct-randomista/>

Controlled setting

Real world



Γιατί γίνεται τόσος θόρυβος; Από την EBM στην VBM



EBM = Evidence Based Medicine
VBM = Value Based Medicine



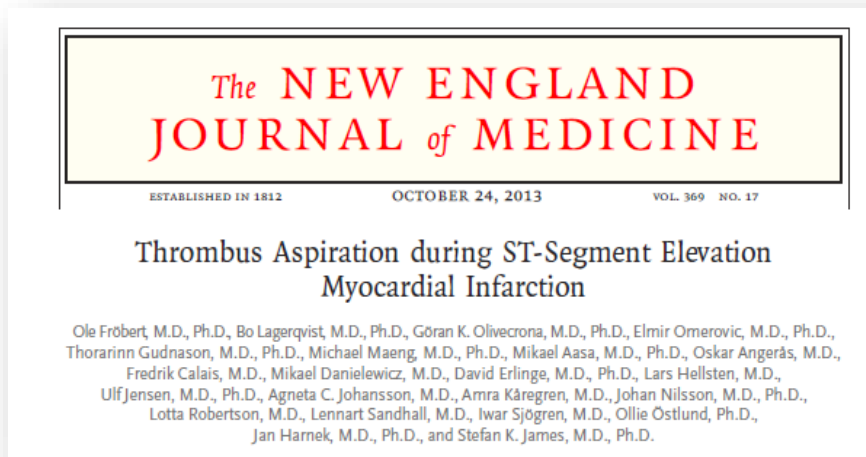
OUTCOME



Σπάζοντας τα στεγανά μεταξύ RCTs & RWE – Οι “pragmatic” μελέτες

The Randomized Registry Trial — The Next Disruptive Technology in Clinical Research?

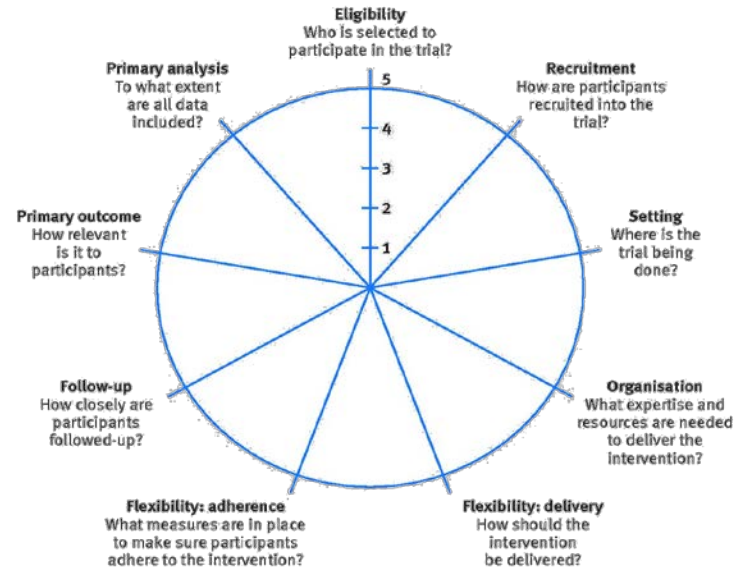
Michael S. Lauer, M.D., and Ralph B. D’Agostino, Sr., Ph.D.



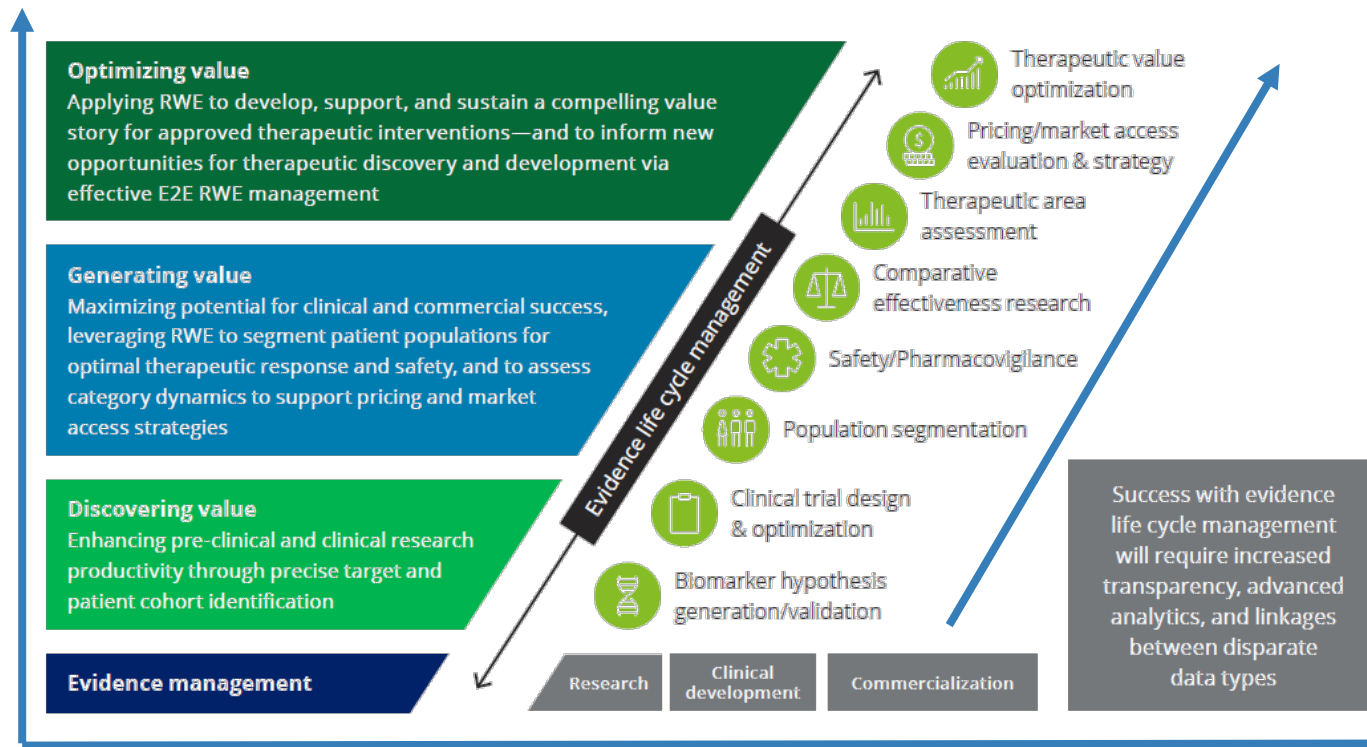
Pragmatic trials: Το μέλλον

- Παλαιός όρος (1967)
- Σήμερα χρησιμοποιείται κυρίως για να περιγράψει μελέτες που συνδυάζουν στοιχεία τόσο από τις RCT όσο και από RWE.
- Το πόσο “pragmatic” είναι μια μελέτη μπορούμε να το υπολογίσουμε με το Precis 2 tool.

Precis 2 tool



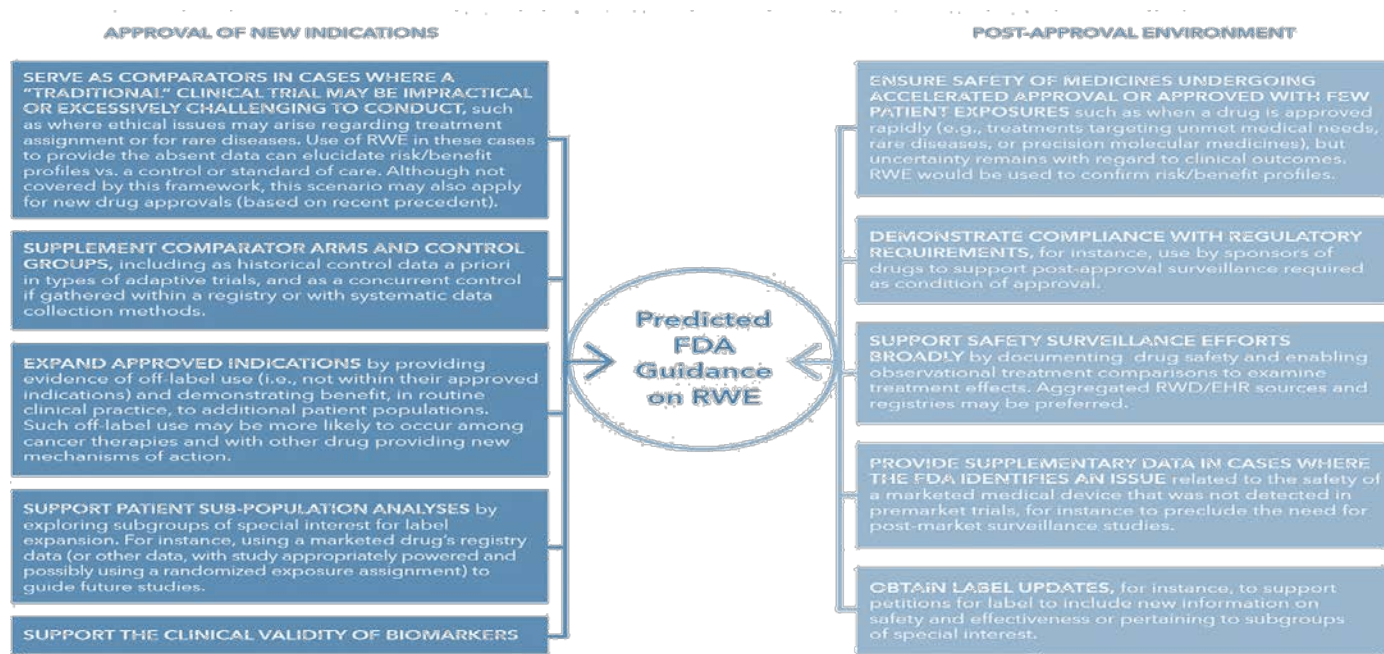
RWE και “integrated evidence plan”



Από τα RWD στα Big Data



Τι λένε οι αρχές για τα μητρώα; Το FDA



Sources: FDA, Use of Real-World Evidence to Support Regulatory Decision-Making for Medical Devices, Guidance for Industry and Food and Drug Administration Staff Document, Aug 2017; Sherman BE, M.D., M.P.H., et al. Real-World Evidence – What Is It and What Can It Tell Us? N Engl J Med 2016; 375:2293-2297; IQVIA Institute Analysis, Feb 2018

Notion: RWD = Real-World Data; RWE = Real-World Evidence.

Report: 2018 and Beyond: Outlook and Turning Points. IQVIA Institute for Human Data Science, Mar 2018

Τι λένε οι αρχές για τα μητρώα; Ο EMA

- *Science progresses now faster than the “system”, impeding the development and best use of novel treatment options.*
- ***Leveraging RWE is a need – and an achievable goal.***
- *Accelerating the use of RWE requires a concerted effort and the necessary upfront investments.*
- ***The good news: this is not a zero-sum game, all players in the pharmaceutical ecosystem stand to gain.***



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

1 24 September 2020

2 EMA/502388/2020

3 Guideline on registry-based studies

4 Draft

Ο ρόλος της φαρμακοβιομηχανίας στην καταγραφή

Καινοτομία

- Νέα μόρια
- Integrated Evidence Plans
- Νέοι σχεδιασμοί μελετών
- Ψηφιακές μελέτες, AI



Ασθενοκεντρικότητα

- Ασθενοκεντρικές μελέτες
- Ο ασθενής ως συνεργάτης (συμβουλευτικές επιτροπές, σχεδιασμός μελετών, προσομοίωση επισκέψεων, mock trials)
- Ο ασθενής ως συμμετέχων (μελέτες, ερωτηματολόγια, συνεντεύξεις)



Συνεργασία

- Κέντρα αναφοράς
- Πανεπιστήμιο, ΕΣΥ
- Βασικοί ερευνητές
- Υγειονομικές αρχές (ΕΟΦ, ΕΜΑ)
- HTA
- CROs
- Άλλες εταιρίες, start-ups
- Ομάδες ασθενών



Κέντρα αναφοράς/εμπειρογνωμοσύνης για τα σπάνια νοσήματα: Προϋποθέσεις [1]



Κύριες προϋποθέσεις

- **Επιστημονική, κλινική εμπειρία** [δημοσιεύσεις, grants, μελέτες, κλινικό έργο]
- **Δέσμευση και εμπιστοσύνη** [συνεργασία και διαμοιρασμός δεδομένων]

Διεπιστημονικότητα

- **Ιατρικό προσωπικό** [πολλαπλές ειδικότητες]
- **Επιστημονικό προσωπικό** [έρευνα, νοσηλεία, υποστήριξη ασθενών]
- **Κοινωνική προσέγγιση** [συγγενείς ασθενών]

Συντονισμός σε πολλαπλά επίπεδα

- **Μεταξύ κέντρων αναφοράς**
- **Με τα άλλα κέντρα & την πρωτοβάθμια φροντίδα**
- **Κλινικό & ερευνητικό έργο**
- **Επιστημονικές εκδηλώσεις**
- **Ομάδες ασθενών**

Σφαιρική & πλήρης διαχείριση

- **Ενσωμάτωση όλων των υπηρεσιών** [ιατρικών και κοινωνικών]
- **Διεθνή δίκτυα συνεργασίας**
- **Απλοποίηση διαδικασιών για τους ασθενείς**

Κέντρα αναφοράς/εμπειρογνωμοσύνης για τα σπάνια νοσήματα: Προϋποθέσεις [2]



Ασθενείς

- Προσέλκυση ασθενών [ικανός αριθμός]
- Κλινικές μελέτες [συμμετοχή]
- Ενημέρωση, επιμόρφωση, εκπαίδευση [ασθενών, συγγενών, φροντιστών]
- Βελτίωση της QoL
- Δημιουργία και επικοινωνία ομάδων ασθενών

Προσδοκίες

- Εναρμονισμένη ποιότητα στη φροντίδα [οδηγίες, διαγνωστικά, θεραπευτικά πρωτόκολλα, αλγόριθμοι θεραπείας]
- Διευκόλυνση ασθενών [μεταφορά από το ένα κέντρο στο άλλο]

Έρευνα

- Τοπική, ΕΥ, διεθνής [συνεργασία με τη φαρμακοβιομηχανία, προγράμματα ΕΥ]
- Πολυκεντρικές μελέτες
- Βασική έρευνα [διαθεσιμότητα δειγμάτων DNA, RNA, ιστών κλπ.]

Επιμόρφωση & εκπαίδευση

- Προγράμματα ενημέρωσης κοινού και πρωτοβάθμιας φροντίδας [επιμόρφωση, παραπομπές]
- Προγράμματα για ΕΥ [συνέδρια, ημερίδες, σεμινάρια, συναντήσεις ομοφωνίας για οδηγίες]

Κέντρα αναφοράς/εμπειρογνωμοσύνης για τα σπάνια νοσήματα: Προϋποθέσεις [3]



Αξιολόγηση

- Καθορισμός κριτηρίων αξιολόγησης των κέντρων αναφοράς [βελτίωση εκβάσεων, χρόνος μέχρι τη διάγνωση, QoL, συνεργασίες, έρευνα κλπ.)

Χρηματοδότηση, βιωσιμότητα, διοίκηση

- Δυνατότητα σταθερής χρηματοδότησης [μακροχρόνια από δημόσια κεφάλαια]
- Βιωσιμότητα και ανάπτυξη
- Ηγεσία, συντονισμός, διοίκηση [διαδικασίες]

Ευελιξία

- Γεωγραφική κάλυψη
- Συνεργασία προς όφελος των ασθενών

Η φαρμακοβιομηχανία και τα κέντρα αναφοράς: Αρωγός με τον ασθενή πάντα στο επίκεντρο



Έρευνα

- Διεθνείς μελέτες
- Research grants
- Investigator's Initiated Research
- Βασική Έρευνα

Εκπαίδευση Επιμόρφωση

- Συνέδρια
- Σεμινάρια
- Κλινικά φροντιστήρια
- Preceptorships
- Εξειδίκευση



Πολλαπλές συνεργασίες

- Συμβουλευτικές επιτροπές (τοπικές & διεθνείς)
- Ομάδες/οργανώσεις ασθενών
- Ρυθμιστικές αρχές
- HTA

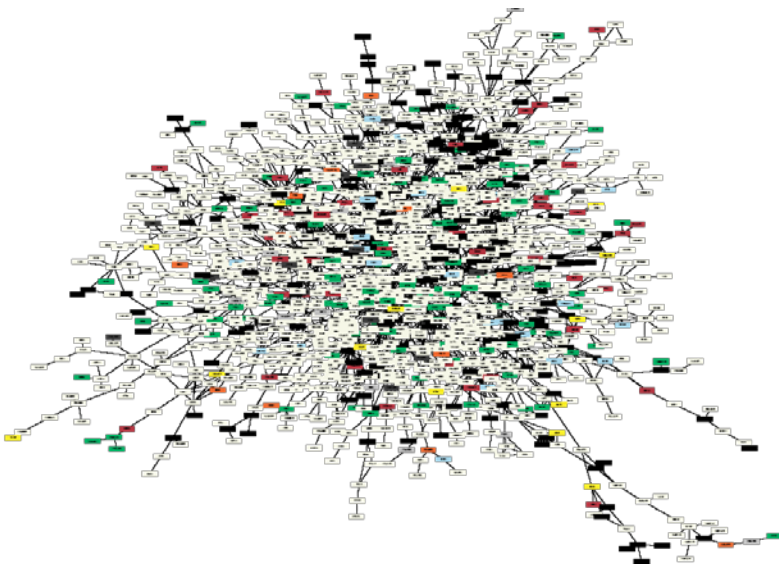
RWE

- Μητρώα (τοπικά & διεθνή)
- Ε-φάκελος

Το μέλλον...



Από εδώ...



...Εδώ



Αυτή είναι η
αλληλουχία
του DNA
μου!



**Σας ευχαριστώ πολύ για
την προσοχή σας!**