

Valutazione di efficacia e sicurezza dell'utilizzo di riluzolo in una coorte di pazienti affetti da sclerosi laterale amiotrofica – studio CAESAR

Silvia Cascini¹, Marco Finocchietti¹, Olga Paoletti², Anna Maria Bargagli¹, Niccolò Lombardi³, Giada Crescioli³, Maria Grazia Celani⁴, Francesco Sciancalepore⁵, Antonio Addis¹, Nera Agabiti¹, Ursula Kirchmayer¹, CAESAR study group

¹Dipartimento di Epidemiologia ASL Roma 1, SSR Lazio, Roma; ²Agenzia Regionale di Sanità della Toscana, Firenze; ³Dipartimento di Neuroscienze, Psicologia, Area del Farmaco e Salute del Bambino, Università di Firenze, Firenze; ⁴Azienda Ospedaliera di Perugia: S.C. Neurofisiopatologia, Perugia; ⁵Istituto Superiore di Sanità, Roma

Introduzione

La sclerosi laterale amiotrofica (SLA) è una patologia degenerativa progressiva che comporta la perdita dei neuroni motori con conseguente mancato controllo dei muscoli deputati al movimento provocando perdita di forza, ipostenia fino ad atrofia. Il primo farmaco disease-modifying autorizzato per la SLA in Italia è il riluzolo. Studi clinici hanno evidenziato l'efficacia del riluzolo verso placebo di incrementare la sopravvivenza e ritardare la necessità della ventilazione assistita.

Obiettivi

Nell'ambito del progetto CAESAR (Valutazione comparativa di efficacia e sicurezza dei farmaci utilizzati nelle patologie rare neuromuscolari e neurodegenerative – FV AIFA 2012-13-14), sono state valutate efficacia e sicurezza del riluzolo nel migliorare esiti clinicamente rilevanti nel primo anno di utilizzo, rispetto al non-utilizzo.

Metodi

Dai sistemi informativi sanitari del Lazio, nel periodo 2016-2019, è stata arruolata una coorte di pazienti con SLA, considerando uno tra diagnosi principale di SLA (ICD-9-CM335.20) e/o diagnosi secondaria di SLA dimissione da pronto soccorso con diagnosi principale di SLA esenzione per SLA (codice RF0100), escludendo soggetti minorenni, non residenti, casi prevalenti (con SLA nei 3 anni precedenti), e deceduti entro 30 giorni dalla data di arruolamento. L'analisi as treated si è basata sulle Defined Daily Doses. Il follow-up è iniziato alla data di prima prescrizione del riluzolo (data indice) ed è terminato al verificarsi di uno dei seguenti eventi, interruzione del trattamento, esiti in studio (mortalità, insufficienza respiratoria, gastrostomia endoscopica percutanea, tracheostomia), decesso o fine dello studio (1 anno dalla data indice). L'associazione tra uso di riluzolo ed esiti è stata stimata attraverso un modello di regressione di Cox aggiustato per caratteristiche sociodemografiche, comorbidità e complicanze specifiche della patologia, Charlson index e uso di farmaci sintomatologici nei due anni precedenti la data indice.

Risultati

Sono stati arruolati 359 soggetti affetti da SLA (54% maschi, età media 67 anni), di cui il 58% utilizzatori di riluzolo. A ogni utilizzatore è stato appaiato un non-utilizzatore per genere ed età. I non-utilizzatori hanno una maggiore frequenza di comorbidità specifica della patologia (11% vs 1%) e un maggior utilizzo di farmaci anticoagulanti (31% vs 11%) o farmaci per depressione o ansia (40% vs 26%). Tra gli utilizzatori di riluzolo sono stati stimati eccessi di rischio di mortalità (HR=1.15, 95%IC, 0.67-1.96) e di insufficienza respiratoria (HR=1.61, 95%IC, 1.03-2.51) non statisticamente significativi.

Conclusioni

Lo studio non evidenzia vantaggi dell'uso di riluzolo rispetto al non-uso in termini di sopravvivenza o progressione della SLA. Tuttavia, i risultati vanno interpretati con estrema cautela, data la bassa numerosità della popolazione e il rischio di confondimento residuo tra utilizzatori e non-utilizzatori. L'analisi verrà estesa alle regioni Toscana e Umbria.

Corrispondenza: s.cascini@deplazio.it

XLVII Convegno dell'Associazione Italiana di Epidemiologia



Libro degli Abstract

Pisa, 19 – 21 aprile 2023

Area della Ricerca del CNR

Con il patrocinio di



Con la collaborazione di



Area della Ricerca di Pisa

