

EPIDEMIOLOGIA E GESTIONE TERAPEUTICA DEI PAZIENTI CON TROMBOCITOPENIA IMMUNE PRIMARIA IN ITALIA: EVIDENZE DALLA REALE PRATICA CLINICA

CLICON S.R.L. SOCIETÀ BENEFIT, HEALTH, ECONOMICS & OUTCOMES RESEARCH

XII Congresso SIFACT – Firenze, 4-5-6 dicembre 2024



BACKGROUND E OBIETTIVI

La **trombocitopenia immune (ITP)** è una patologia emorragica causata dalla diminuzione nel numero di piastrine. La ITP viene inizialmente trattata con corticosteroidi (CS); tuttavia, il loro utilizzo prolungato può comportare steroideo-dipendenza o non responsività. Nei pazienti con ITP, altre opzioni di trattamento disponibili sono rappresentate da rituximab, agonisti del recettore della trombopoietina (TPO-RA), o splenectomia [1,2].

OBIETTIVI. La presente analisi si proponeva di descrivere la **popolazione adulta con ITP in Italia**, di stimare la prevalenza della patologia e di valutare la gestione terapeutica dei pazienti in contesti di reale pratica clinica in Italia. Sono stati inoltre analizzati i costi diretti a carico del Servizio Sanitario Nazionale associati alla gestione dei pazienti con ITP.

MATERIALI E METODI

FONTI DEI DATI E PAZIENTI

L'analisi retrospettiva è stata condotta utilizzando dati estratti dai **database amministrativi** di enti sanitari italiani corrispondenti a ~12 milioni di assistiti.

Da gennaio 2015 a settembre 2022, i pazienti con ITP sono stati identificati mediante i seguenti criteri di inclusione:

- codice di esenzione attivo per ITP, **OPPURE**
- diagnosi di dimissione ospedaliera per ITP, **OPPURE**
- almeno una prescrizione di romiplostim o eltrombopag e con diagnosi di dimissione per trombocitopenia primaria non specificata in assenza dei primi due criteri, **OPPURE**
- almeno una prescrizione di fostamatinib o avatrombopag.

La data di inclusione era quella del match con uno dei criteri.

RISULTATI

CARATTERISTICHE DEMOGRAFICHE E CLINICHE AL BASELINE

Sono stati identificati 2,891 adulti con ITP (età media 57.6 anni, 57% di sesso femminile).

STIME EPIDEMIOLOGICHE DELLA ITP

La prevalenza di ITP ha mostrato un tendenziale aumento nel tempo, da 128/1,000,000 nel 2015 a 238/1,000,000 nel 2022. I tassi di prevalenza erano più alti nelle donne: nel 2022 il tasso di prevalenza della popolazione adulta femminile era di 315 contro 230/1,000,000 nella popolazione adulta maschile (Fig. 1).

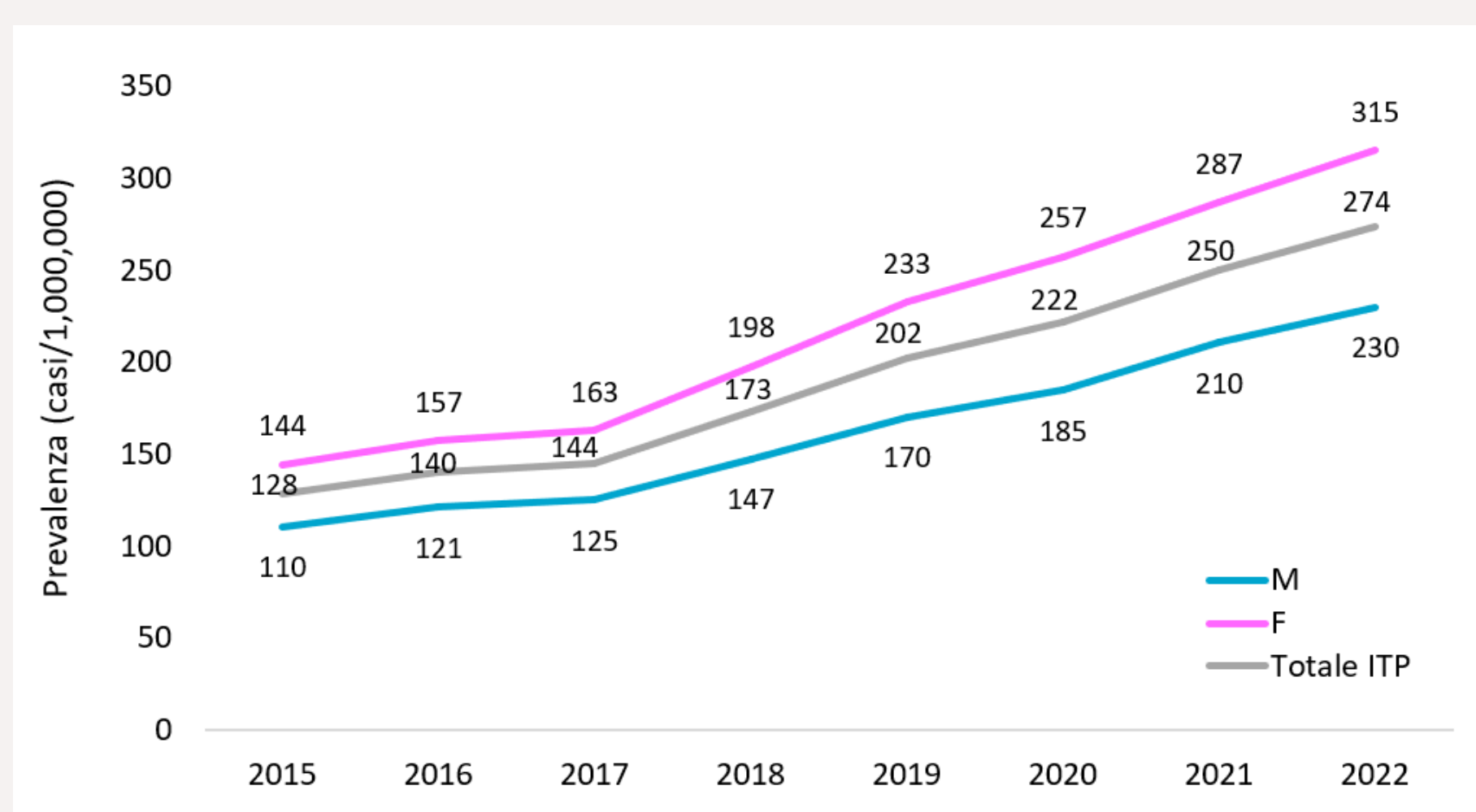


Fig. 1. Prevalenza di IPT nel tempo sul totale dei paziente e nei due sessi.

REFERENZE

- De Souza S, Angelini D. Updated guidelines for immune thrombocytopenic purpura: Expanded management options. Cleve Clin J Med. 2021
- Linea guida "Trombocitopenia immune dell'adulto". https://www.malattierare.gov.it/linee_guida/download_allegato/125/LG-347-SIE_Trombocitopenia_immune_adulto_compressed.pdf

DISCLOSURE: il progetto è stato realizzato con il contributo non condizionante di Sobi Italia.

AUTORI

Valentina Perrone¹, Stefania Mazzoni¹, Maria Cappuccilli², Andrea Cinti Luciani¹, Luca Degli Esposti¹

¹CliCon S.r.l. Società Benefit Health, Economics & Outcomes Research, Bologna, Italia

SCHEMI TERAPEUTICI

Dall'analisi dei pattern terapeutici è emerso che il 9% dei pazienti non era in trattamento attivo per ITP.

Tra i pazienti trattati, il 57.8% aveva ricevuto unicamente CS e il 42.2% CS seguiti da TPO-RA/fostamatinib.

Il 51,7% della popolazione inclusa aveva ricevuto almeno un ciclo di terapia con CS di durata superiore a 3 mesi. La durata complessiva del trattamento con CS era di 11,1 ±14,0 mesi, con il 69.7% dei cicli di CS di durata superiore a 3 mesi (Fig. 2).

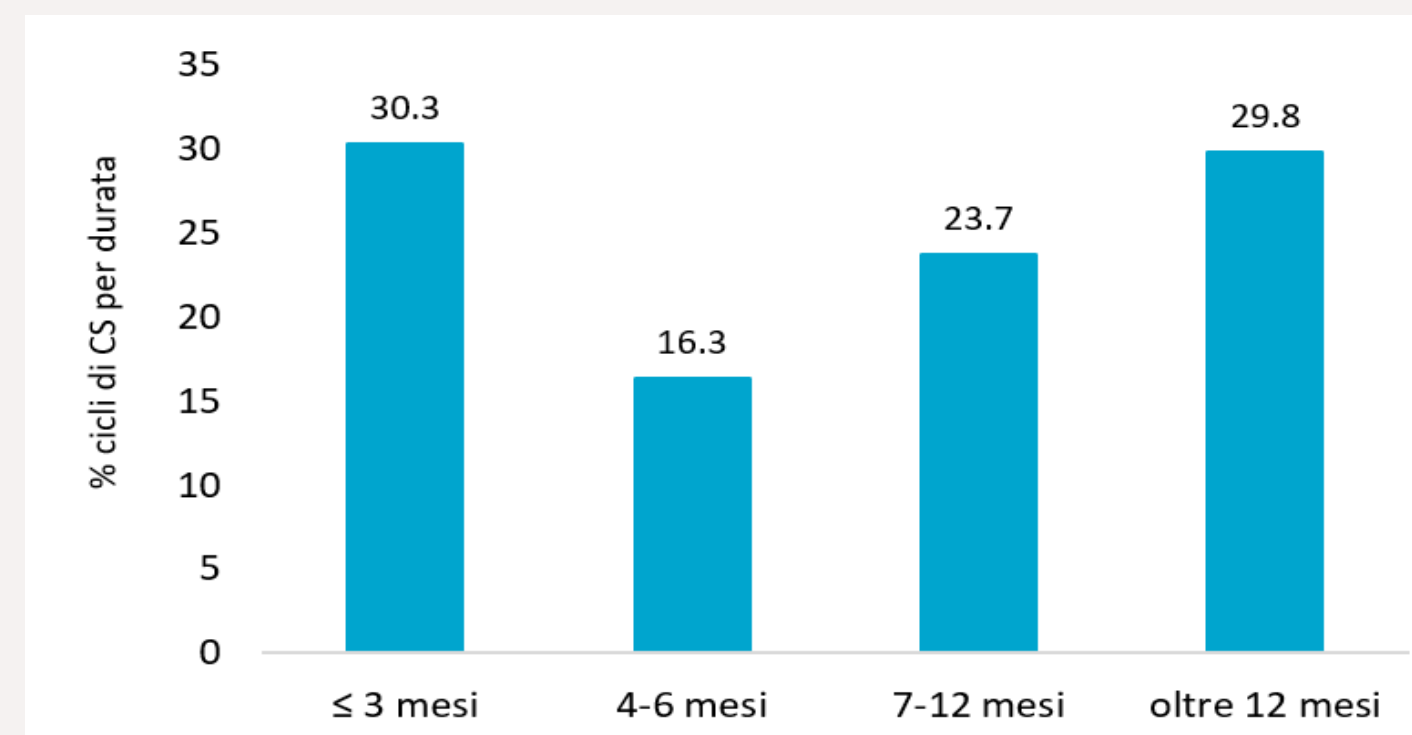


Fig. 2. Percentuale dei cicli di CS suddivisi per durata dei cicli.

L'utilizzo dei CS si è ridotto nel tempo, dall'81.6% nel 2015 al 53.6% nel 2023 (Fig. 3).

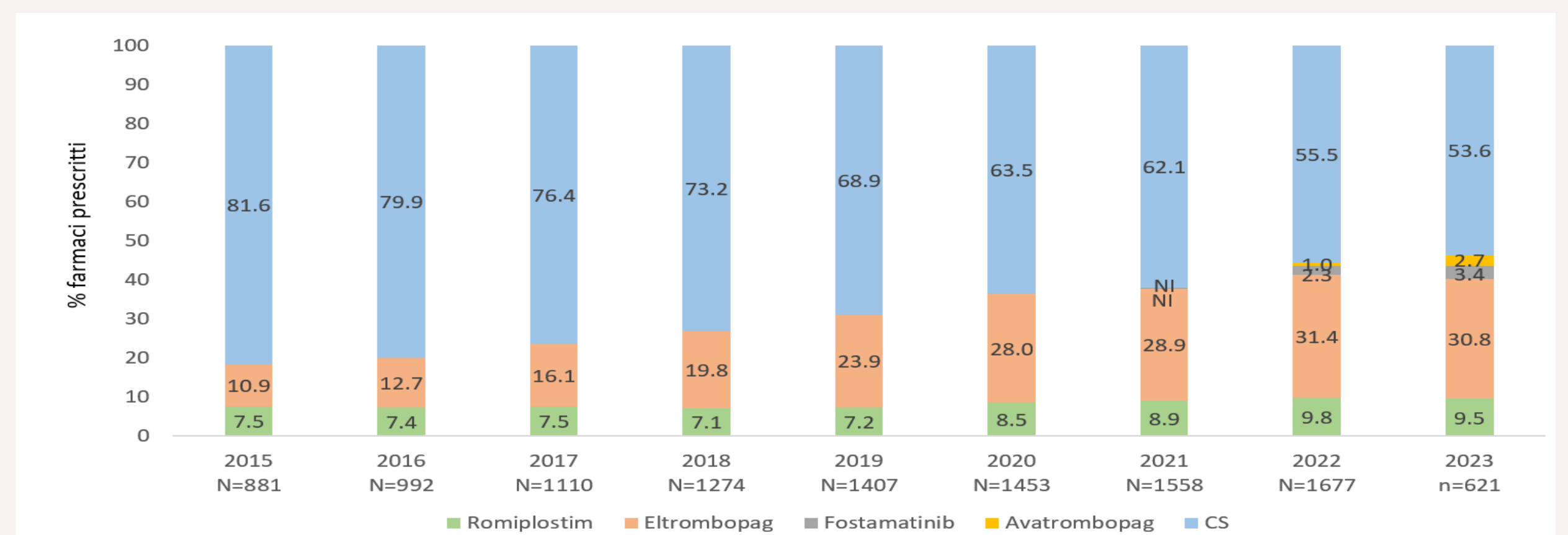


Fig. 3. Prescrizioni di farmaci per ITP nel tempo

ANALISI DEI COSTI SANITARI ASSOCIATI ALLA ITP

I costi sanitari totali per paziente a 1 anno di follow-up corrispondevano a 10,608€, dovuti ai farmaci per 6,883€, di cui 5,571€ per trattamenti correlati alla ITP.

I pazienti sottoposti a splenectomia (eseguita nel 4% dei casi) avevano costi totali più alti rispetto a quelli senza splenectomia (rispettivamente 19,320€ e 10,243€), un terzo dei quali per i ricoveri (Fig. 4).

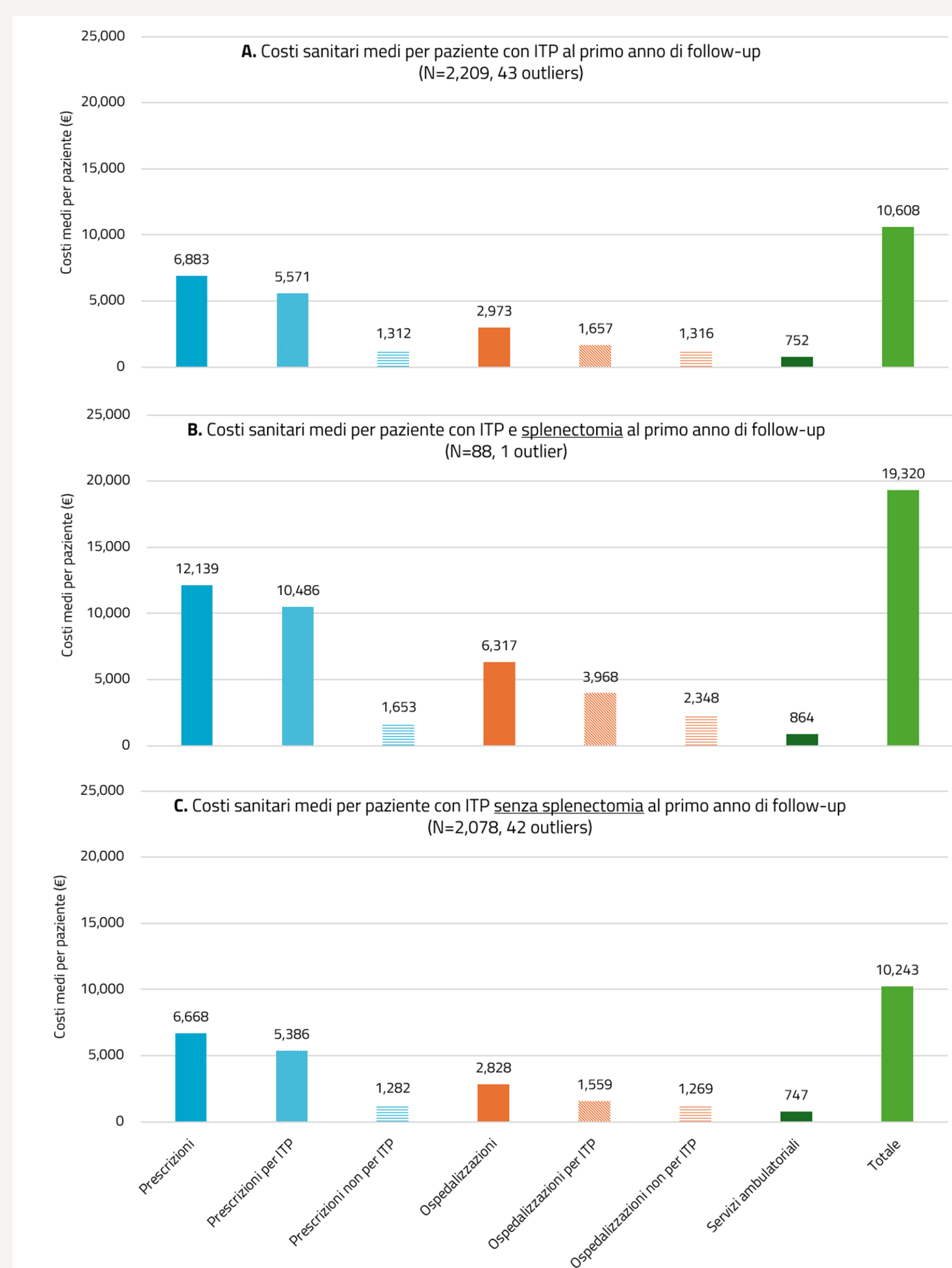


Fig. 4. Costi sanitari per paziente a un anno di follow-up: (A) in tutti i pazienti con ITP, (B) nei pazienti con splenectomia e (C) senza splenectomia

CONCLUSIONI

I risultati dell'analisi, condotta nella reale pratica clinica italiana, indicano che, nonostante la disponibilità di nuovi farmaci per il trattamento della ITP, l'utilizzo dei CS continua a essere ben superiore, in termini di durata di trattamento, rispetto alle raccomandazioni delle più recenti linee guida nazionali e internazionali [1,2].

Resta inoltre non residuale il ricorso alla pratica chirurgica, con costi quasi raddoppiati rispetto al trattamento farmacologico. Tali dati evidenziano pertanto la necessità di ottimizzare l'appropriatezza prescrittiva e la gestione terapeutica della ITP, anche con la finalità di un migliore utilizzo delle risorse sanitarie disponibili.