

approccio olistico e multidimensionale quale è quello proprio dell'HTA, mediante un'analisi costo-conseguenze (simile sotto il profilo metodologico all'analisi di costo-efficacia) su una ipotetica coorte di 500.000 pazienti non controllati dalla metformina, calcolando sia i costi diretti (farmaci, autocontrollo della glicemia, episodi di ipoglicemia, ritardo nel passaggio alla linea successiva a base di insulina, eventi cardiovascolari maggiori) che quelli indiretti (perdita di produttività legata alla malattia) in un arco temporale di 36 mesi.

I risultati hanno mostrato che l'aggiunta alla metformina di un nuovo farmaco antidiabetico, la sitagliptina, ottenuto dalla combinazione di principi attivi appartenenti alla categoria degli inibitori delle DPP-4 e delle biguanidi, non è vantaggiosa solo dal punto di vista clinico, come ampiamente dimostrato da numerosi studi clinici e *real life*, ma anche sotto il profilo dei costi rispetto a un'associazione tradizionale con le sulfaniluree. Infatti l'onere più elevato correlato alla spesa per la sitagliptina viene ampiamente controbilanciato dalla riduzione di altri costi diretti (meno controlli della glicemia, meno episodi di ipoglicemia, riduzione degli eventi cardiovascolari maggiori e del ritardo nel passaggio alla linea successiva) e indiretti e comporta inoltre un ricorso assai più ritardato nel tempo all'insulina, generando un *saving* pari a circa 166 milioni in 3 anni (Figura). ■ GB

## Data sharing: verso una sperimentazione clinica più trasparente?

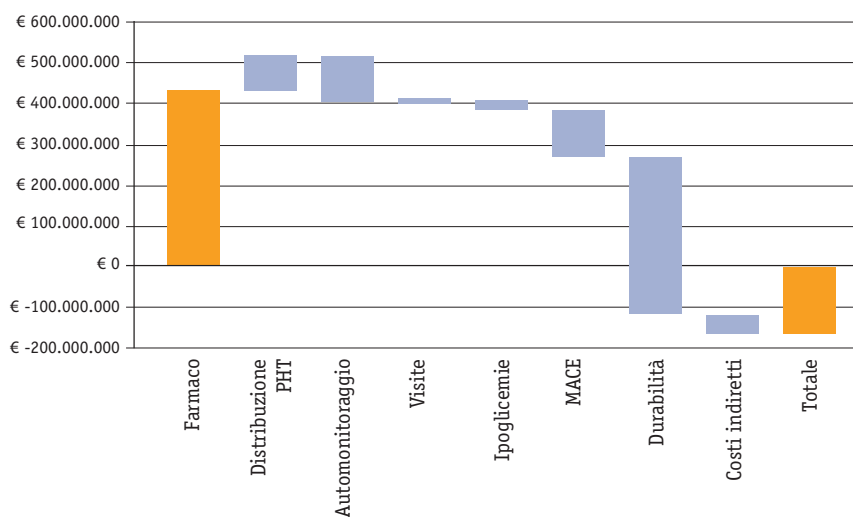
Taichman DB, Backus J, Baethge C et al  
Sharing clinical trial data - a proposal from the International Committee of Medical Journal Editors  
N Engl J Med 2016; 374: 384-386

Krumholz HM, Ross JS  
A model for dissemination and independent analysis of industry data  
JAMA 2011; 306: 1593-1594.

La condivisione dei dati ha in sé un potenziale incredibile per migliorare la ricerca accademica, la pratica clinica e l'integrità del sistema di sperimentazione clinica. Alcuni vantaggi sono evidenti: quando i ricercatori hanno accesso ai dati completi possono rispondere a nuove domande di ricerca, esplorare diverse linee di analisi, e condurre in modo più efficiente le analisi su larga scala tra gli studi. Altri vantaggi, come la possibilità di tenersi alla larga dai conflitti di interesse – in un mondo come quello dei trial clinici in cui la sponsorizzazione esterna è frequente e necessaria – sono meno visibili ma altrettanto importanti.

Sebbene siano numerosi gli aspetti problematici che devono essere affrontati al fine di rendere la condivisione dei dati pratica e utile per i ricercatori, la posta in gioco è troppo alta per fare un passo indietro di fronte a questa opportunità e sono molte le proposte messe in campo da diversi organismi scientifici per promuovere e realizzare un processo efficace quanto sicuro. Una di queste, promossa dall'International Committee of Medical Journal Editors (ICMJE), prevede il *data sharing* come *conditio sine qua non* per la pubblicazione nelle principali riviste mediche. La proposta del ICMJE richiederebbe, nello specifico, la condivisione da parte degli autori dei dati anonimizzati sui quali si basano i risultati del loro studio, consentendo ad altri ricercatori di condurre nuove analisi, risparmiando così tempo e risorse importanti, come accade in altri ambiti scientifici, come fisica, astronomia, genetica, dove la condivisione del dato è all'ordine del giorno. Tale requisito rappresenterebbe, dunque, un significativo passo

Delta dei costi: sitagliptina + metformina versus sulfanilurea + metformina (36 mesi, prospettiva sociale).



MACE: eventi cardiovascolari maggiori



in avanti nel processo di miglioramento in termini di trasparenza e integrità dei trial clinici. Nonostante i numerosi commenti positivi ricevuti, molti nutrono seri dubbi sull'effettiva attuazione della proposta di condivisione dei dati suggerita dal ICMJE<sup>1</sup>. Il crescente interesse nella condivisione dei dati non si traduce, infatti, in progresso senza lo sviluppo di infrastrutture e politiche che permettano di attuare tale condivisione in modo efficace e responsabile.

La condivisione dei dati è un processo complesso che richiede l'uso di nuove tecnologie, sviluppate sempre nel rispetto della privacy dei partecipanti. Il progetto *Yale Open Data Access* (YODA) è uno dei numerosi modelli pionieristici di condivisione dei dati già in uso. Avviato nel 2011, dal 2014 collabora con un'azienda del calibro della Johnson & Johnson, che si è impegnata pubblicamente a condividere i dati dei propri studi attraverso la loro piattaforma. Questa importante collaborazione ha permesso al progetto di perfezionarsi in modo da poter includere un gran numero di studi clinici. I principi alla base del progetto si fondano sulla protezione della privacy dei partecipanti, l'approvazione di proposte scientificamente valide, e la distribuzione di dati rigorosamente entro i termini di un accordo che ne vieta l'uso per scopi commerciali o di contenzioso; richiede, inoltre, che tutti i ricercatori rendano pubblici i risultati del loro studio. Tale sistema di condivisione dei dati è stato progettato per garantire la cooperazione con il proprietario dei dati e promuovere un accesso sicuro e responsabile ad essi. I ricercatori presentano le proposte di accesso ai dati e YODA effettua una rigorosa selezione delle stes-

se, approvando solo quelle in cui la domanda di ricerca sia chiaramente descritta e possa essere ragionevolmente ricercata attraverso i dati richiesti. I ricercatori devono, inoltre, dichiarare che l'uso dei dati richiesti serve a creare nuove conoscenze scientifiche o a migliorare quelle esistenti.

Nel primo anno di collaborazione con YODA la Johnson & Johnson ha reso disponibili i dati completi di 123 studi clinici<sup>2</sup>, ricevendo e approvando 29 richieste di utilizzo dei dati.

Sebbene si stiano facendo grandi progressi nella condivisione dei dati, siamo ancora all'inizio di questa trasformazione. I prossimi passi terranno conto dei progressi e dell'esperienza fino ad oggi raggiunti per implementare il processo, con particolare attenzione nel ricercare le modalità più appropriate per condividere i set di dati in modo responsabile, dando al contempo credito ai ricercatori che li hanno per primi generati. Il successo di questo approccio sarà la creazione di una cultura di apertura alla pari con quella di altre discipline scientifiche, con il fine ultimo di aumentare il volume della scienza medica di alta qualità.

**Eliana Ferroni**

*Servizio Epidemiologico Regionale (SER)*

*Regione Veneto*

1. Comments on the ICMJE's proposals for sharing clinical trial data, 2016 (<https://forms.acponline.org/icmje-comments>).

2. The YODA Project home page (<http://yoda.yale.edu>).