

„Real-life“ data - jejich výhody a limitace pro využití v klinické praxi

Karel Hejduk

Institut biostatistiky a analýz

Masarykova univerzita, Brno

WHO definice patientského registru -
soubor dokumentů obsahující unifikované informace o jednotlivých osobách, získaný prostřednictvím systematického a komplexního sběru dat za předem definovaným účelem.



Neintervenční studie je hodnocení v rámci kterého se používají léčivé přípravky běžným způsobem a v souladu s podmínkami jejich registrace

NIS z pohledu SUKLu:

- Marketingová poregistrační studie
- Neintervenční studie bezpečnosti (PASS)
- Jiný typ studie

Státem garantované registry

Národní onkologický
registr

Národní registr
hospitalizovaných

Národní registr
reprodukčního
zdraví

Národní registr
kardiovaskulárních
operací a intervencí

Národní registr
kloubních náhrad

Národní registr
nemocí z povolání

Národní registr
léčby uživatelů drog

Národní registr
úrazů

Národní registr osob
trvale vyloučených z
dárcovství krve

Národní registr pitev
a toxikologických
vyšetření

Národní registr osob
nesouhlasících s
posmrtným odběrem
tkání a orgánů

Registr lékařů,
zubních lékařů a
farmaceutů

Registr cévní
chirurgie

Registr
ekonomických
výkazů

Registr zdravotních
pracovníků

Registr
zdravotnických
prostředků

Registr
zdravotnických
zařízení

Registr pohlavních
nemocí

Registr TBC

Registr infekčních
nemocí

Znaky klinického registru:

- definované cíle, hypotézy, výstupy
- časově omezený
- nábor určitého počtu pacientů (power analýza)
- praktický dopad do klinické praxe
- dobrovolné zapojení do registru
- publikace, prezentace výstupů

POPULAČNÍ vs. LÉKOVÉ REGISTRY

POPULAČNÍ REGISTRY

Inkluzní kritérium: pacient s
definovanou dg., případně
její tíží

Širší výběr sbíraných otázek
-> hledání souvislostí

Náročnější na definování
výstupů

LÉKOVÉ REGISTRY

Inkluzní kritérium: pacient
užívající konkrétní preparát

Off-label použití vs. on-label
použití

Hodnocení efektivity a
bezpečnosti léčby v běžné
klinické praxi

- Podhlášenost NP (?)
- Možnost propojení s registry
garantované státem (?)

Multicentrický – reprezentativní výběr center – pozor na selekční bias

Klinický registr

- Reálná populace
- Latence záznamů
- Velké soubory (**tisíce**)*
- Validace dat
- Zaznamenání irelevantních dat (Off label léčba).

Klinická studie

- Selektovaná populace
- Prospektivní sběr
- Malé soubory (**stovky**)*
- Monitoring dat
- Zaznamenání přesně definovaných dat (optimalizace výsledku designem).

* Některé randomizované studie v kardiologii mají tisíce probandů a některé registry např. rare disease mají pouze desítky záznamů

VÝHODY

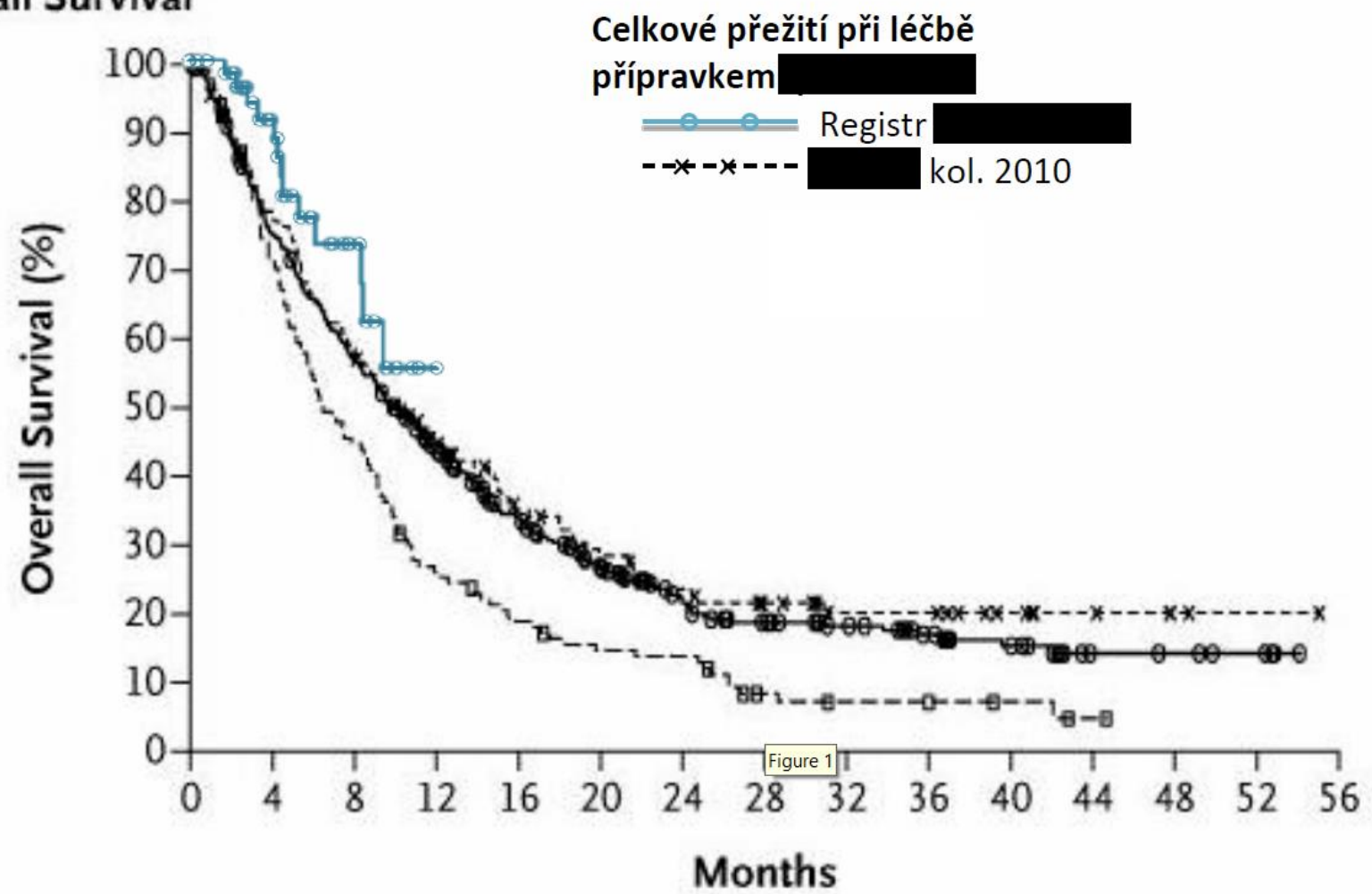
- Plně reprezentativní data z běžné klinické praxe
- Flexibilnější struktura než u klinických studií
 - Možnost spojení s již existujícími databázemi
 - Předefinování cílů na základě zjištěných informací
 - Heterogenita populace - **mnoha úroňová analýza** (komorbidity, komedikace, atd.)
- Evidence-based data pro rozhodnutí o úhradě (např. VILP)
- Doplnující informace pro rozšíření indikace

LIMITACE

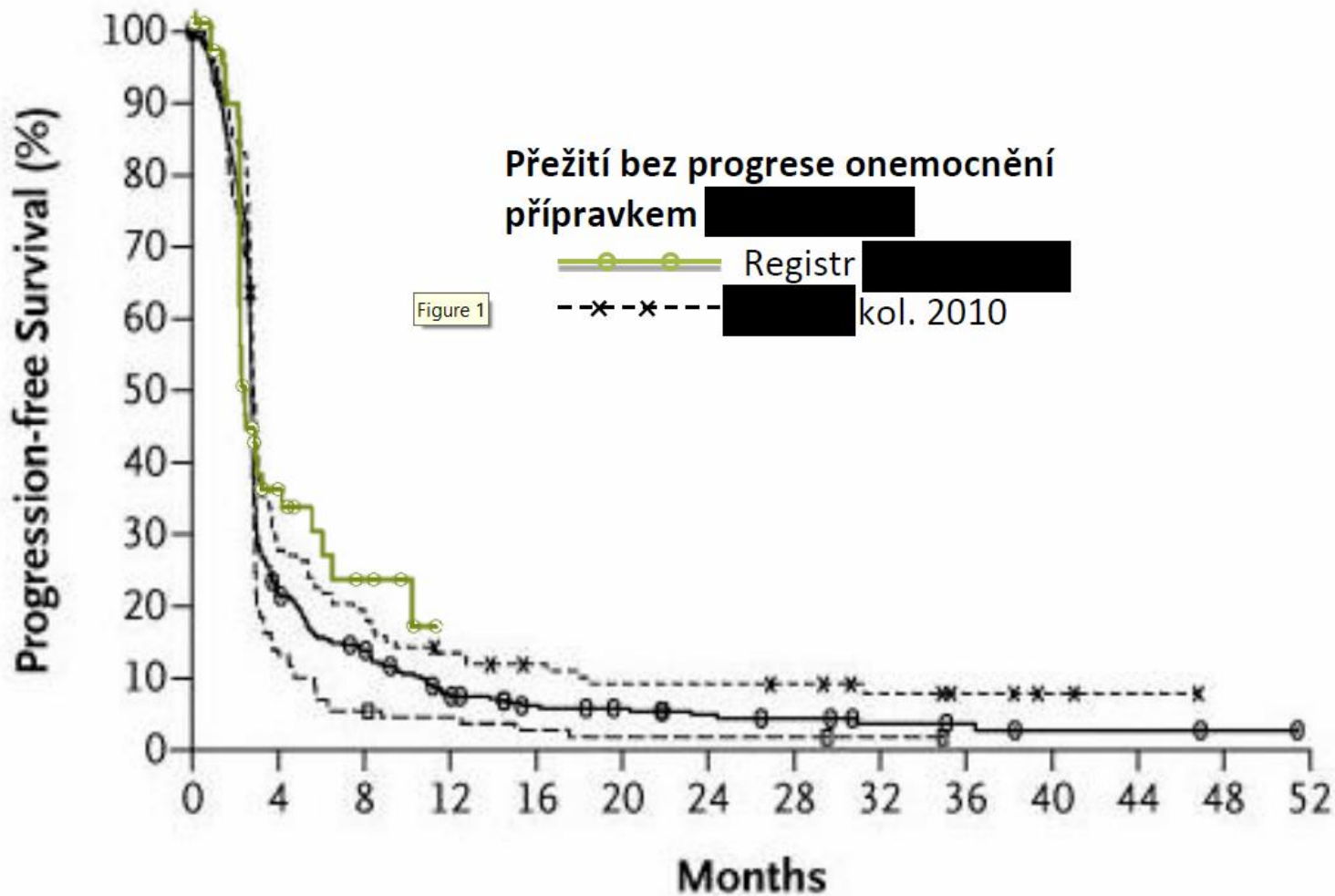
- **Není možná randomizace**
- **Potenciál pro selekční bias**
- **Validita dat není 100% u všech záznamů**
 - Variabilita dat (nejednotné intervaly sběru dat, riziko nepřesných definic, nejednoznačná interpretace výsledků)
 - Duplicitní záznamy
 - Chybně zaznamenaná data
 - Data nedostatečná pro plánovanou analýzu (počet záznamů, kvalita)
 - Hodnota výsledků stále nedocenená (Viagra®)
- **Latence záznamů**
- **Nutná značná erudice pro vyhodnocení dat**
- **Vnímaný „nižší“ publikační potenciál**

Příklad srovnání OS v KHL a NIS

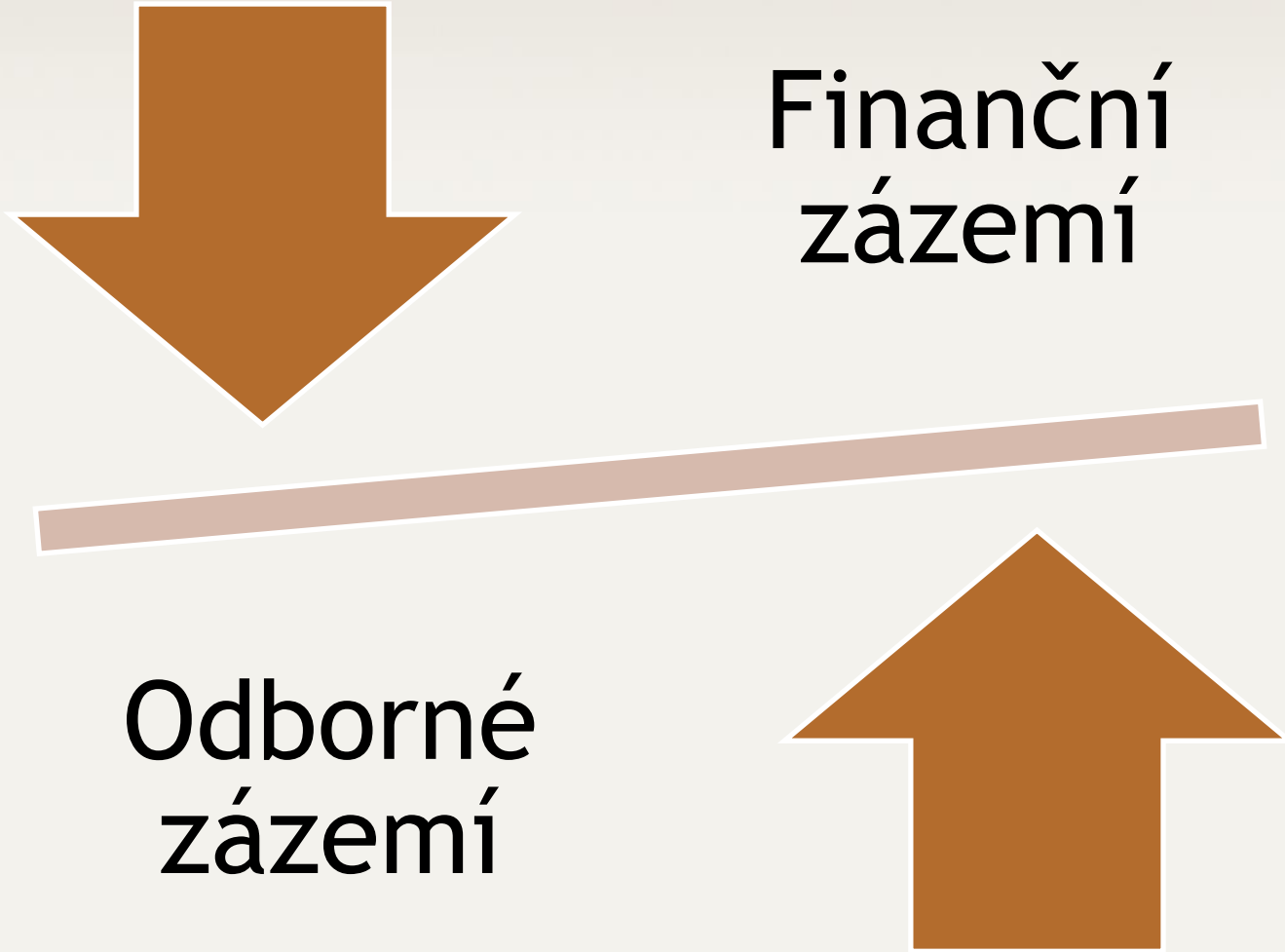
A Overall Survival



B Progression-free Survival



Pár poznámek z praktického hlediska...



Farmaceutická společnost

- Jedna farmaceutická společnost
- Konsorcium farmaceutických společností

Odborná společnost

- Jedna odborná společnost
- Více odborných společností

Grantová agentura

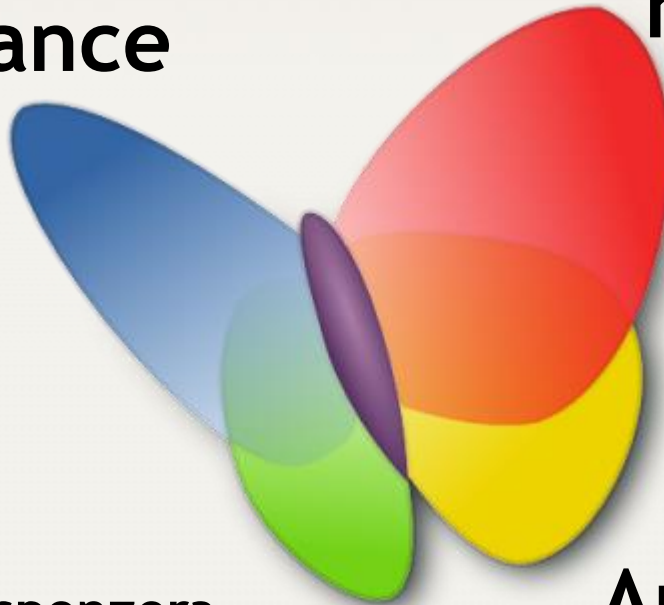
- Evropské fondy
- Výzvy MZ

Odborná garance

- Definování cílů
- Revize protokolu
- Návaznost na zájmy odborné společnosti
- Prezentace výsledků

Přiměřená role sponzora

- Koordinace projektu
- Diseminace výsledků



Projekt management

- Dokumentace
- Sběr dat
- Administrace projektu
- Komunikace

Analýza dat

- Statistická analýza biomedicínských dat
- Prezentace výsledků

- Odborná společnost, panel expertů
- Úloha garanta
 - Definování cílů projektu
 - Zasazení do rámce běžné klinické praxe
 - Revize protokolu, CRF, časového harmonogramu
 - Sladění se zájmy odborné společnosti
 - Koordinace projektu na nejvyšší úrovni
- Prezentace výsledků
 - V rámci odborných konferencí, články v časopisech
 - Na jednáních odborné společnosti
 - V komunikaci se zástupci státní správy a plátcí zdravotní péče

Přípravná
fáze

Vědecký
záměr

Detailní plán

Realizace

Příprava
dokumentace

Iniciace a
sběr dat

Výstupy

Statistická
analýza

Prezentace
výsledků



50 **BREAST**
 registr pacientů s karcinomem prsu léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



**18
21** **CORECT**
 registr pacientů s kolorektálním karcinomem léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



64 **RENIS**
 registr pacientů s karcinomem ledvin léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



34 **TULUNG**
 registr pacientů s karcinomem plic léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP a ČPFS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)

45 **MPM**
 registr pacientů s maligním mezoteliomem pleury léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP a ČPFS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



25 **PANCREAS**
 registr pacientů s karcinomem slinivky břišní léčených cílenou terapií pod záštitou ČOS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



GIST
 registr pacientů s gastrointestinálním stromálním tumorem pod záštitou ČOS ČLS JEP

[webové stránky projektu](#)



Yondelis
 Registr pacientů se sarkomy měkkých tkání léčených trabectedinem

[webové stránky projektu](#)

ATTRA
Clinical Register



ČESKÁ
REVMATOLOGICKÁ
SPOLEČNOST
ČLS JEP

[Úvod](#) [Diagnózy](#) [Zapojená centra](#) [Technologie](#) [Výsledky](#) [Garance](#) [Vstup do registru](#) [DAS kalkulátor](#)



Diagnózy

Artritida (doslova "zánět kloubů") je široký pojem, zahrnující více než 100 druhů zánětlivých nebo degenerativních onemocnění kloubů. Artritida ve všech jejích podobách je nejrozšířenější invalidizující chorobou ve vyspělých zemích. Všechny formy artritidy mají - ať už ve vyšším nebo nižším stupni - stejné počáteční příznaky: bolest, ztuhlost a otok kloubu.

Klinický registr ATTRA se zaměřuje na čtyři následující diagnózy:

- [Revmatoidní artritida \(RA\)](#)
- [Ankylozující spondylitida \(AS\)](#)
- [Psoriatická artritida \(PSA\)](#)
- [Juvenilní idiopatická artritida \(JIA\)](#)
- [Systémový lupus erythematosus \(SLE\)](#)



VILP

vysoce
inovativní
léčivé přípravky

- Skutečná potřeba registru, cíl
- Odborná garance
- Finanční zázemí
- Správný výběr center
- Správný výběr spolupracujících lékařů
- Publikování výstupů, medializace, marketing
- Dodržování legislativních norem
- Výběr správného a nezávislého partnera pro realizaci projektu (ISO, SOP)
-

Masarykova univerzita
Institut biostatistiky a analýz

PhDr. Karel Hejduk
projektový manažer
hejduk@iba.muni.cz
+420 549 49 7246

