



DỮ LIỆU MỚI PHÂN TÍCH HIỆU QUẢ CÁC LOẠI SURFACTANT

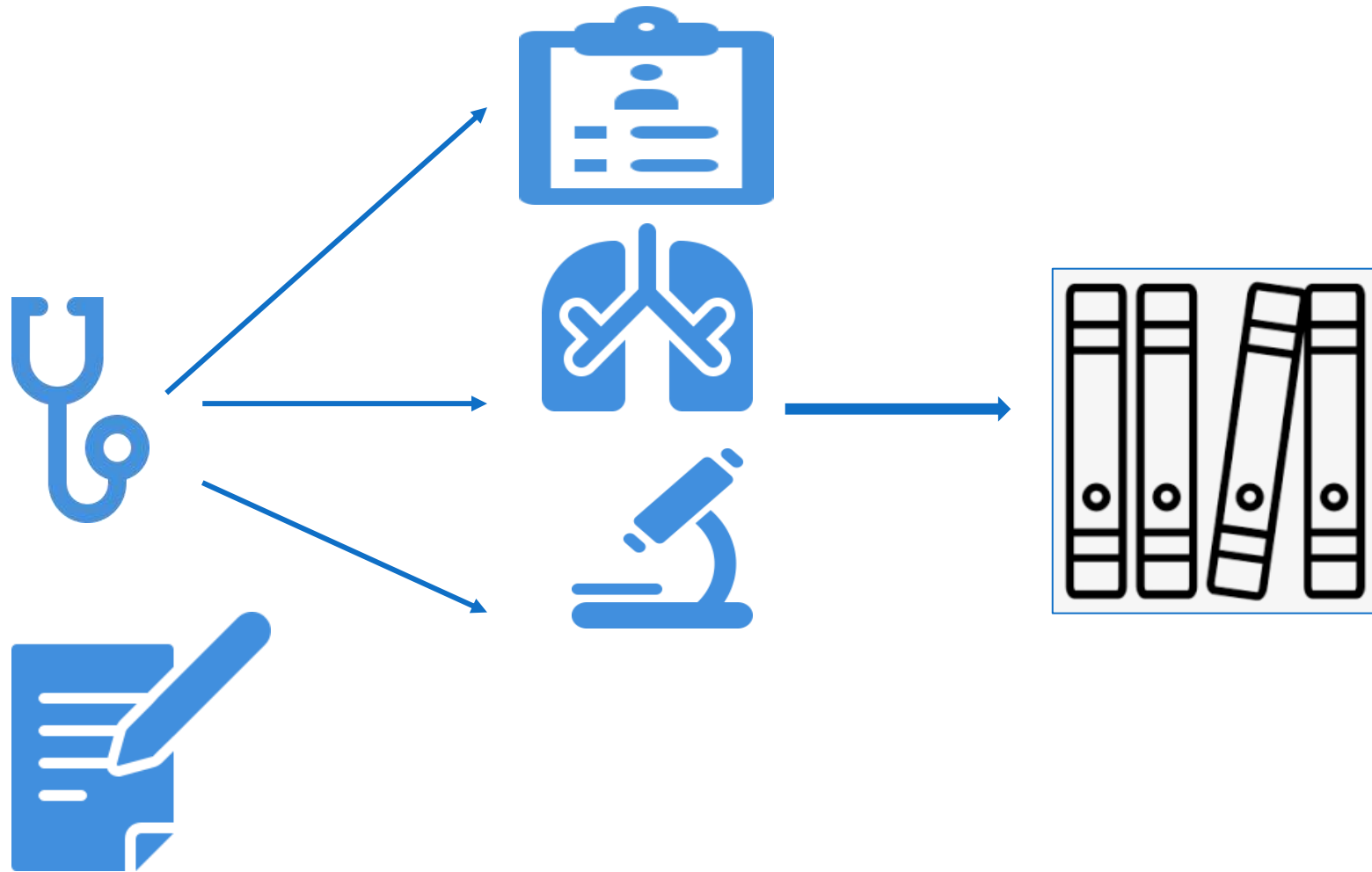
BS CKII Nguyễn Thị Từ Anh
Khoa Sơ sinh
Bệnh viện Từ Dũ

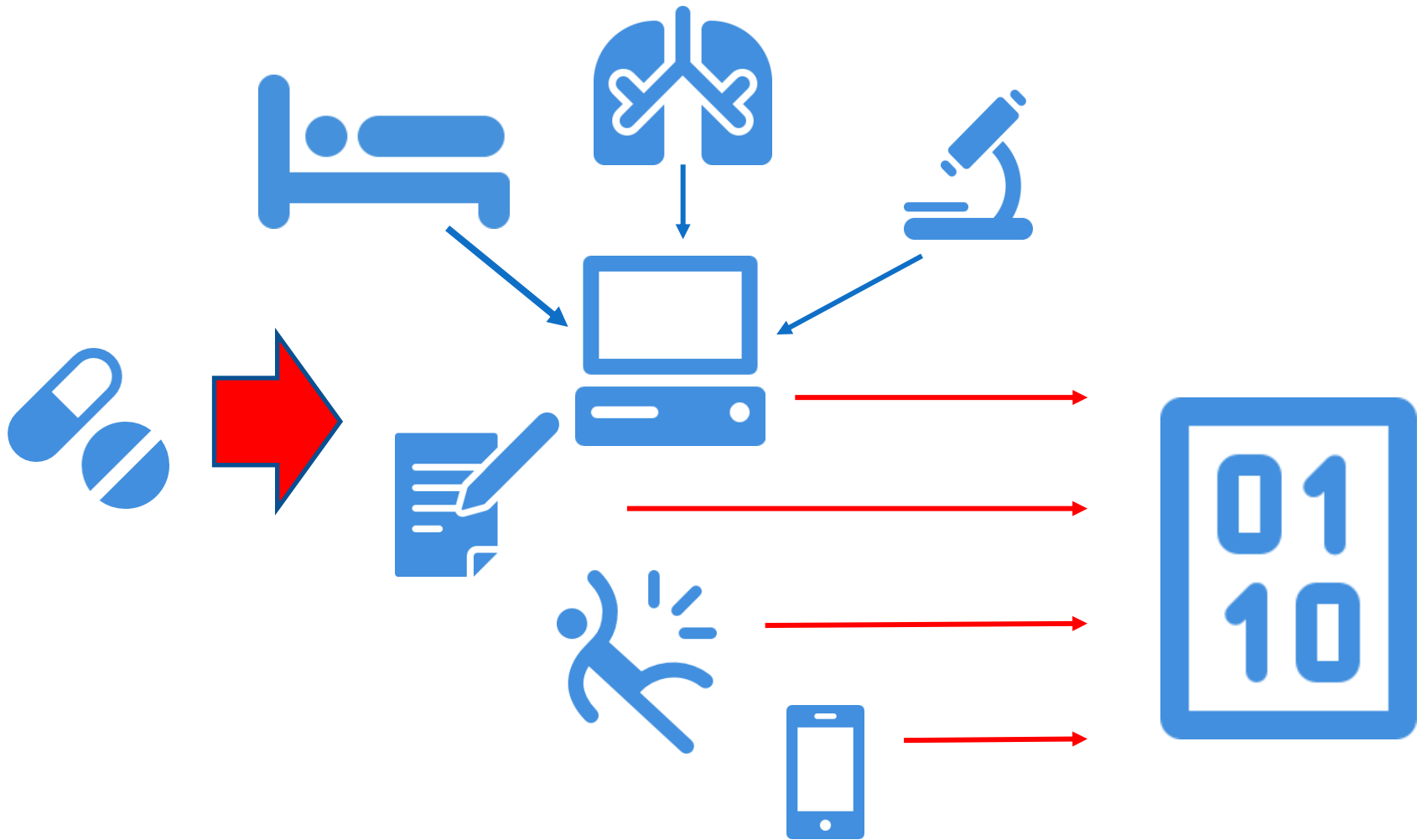
Nội dung

Real World Data và
Real World Evidence

BIG DATA







Real world data – Real world evidence

- **Real world data (RWD)** trong y khoa là dữ liệu trích xuất từ nhiều nguồn liên quan đến các kết quả trong một dân số bệnh nhân tương đồng trong thực tế, bao gồm cả các BA điện tử, hồ sơ BHYT và khảo sát bệnh nhân.
- Real world data = dữ liệu đời thực ?

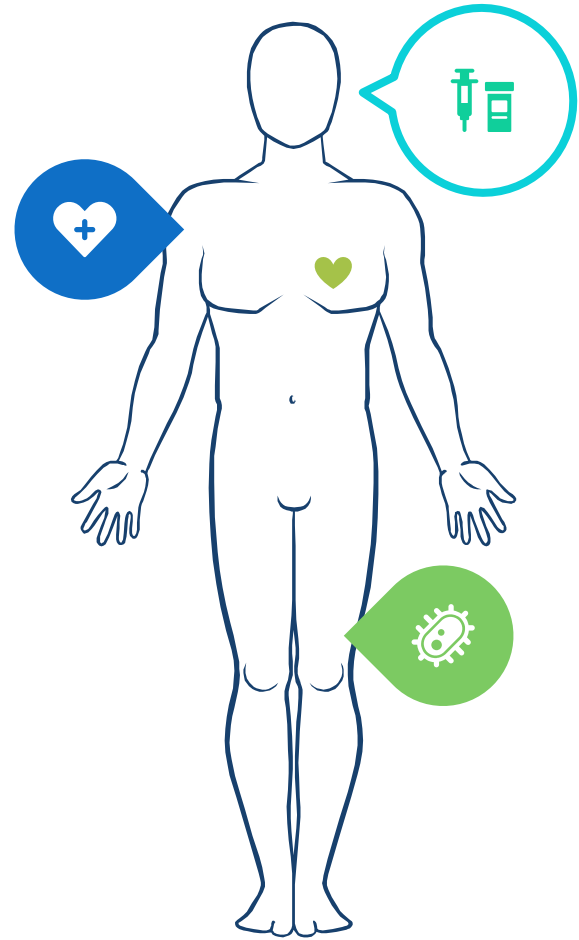
Real world data – Real world evidence

- **Real world evidence** FDA định nghĩa là “clinical evidence regarding the usage and potential benefits or risks of a medical product derived from analysis of RWD” – bằng chứng lâm sàng có được từ phân tích RWD về việc sử dụng, lợi ích hoặc nguy cơ của một sản phẩm y khoa
- RWE = Chứng cứ đời thực?

- "*Clinical Features and Outcomes of Coronavirus Disease 2019 Among People Who Have HIV in the United States: A Multi-center Study From a Large Global Health Research Network (TriNetX)*"
- Kết cục của Covid-19 được so sánh giữa những người bị HIV và HIV âm tính dựa trên dữ liệu của những BA đã được ẩn dữ liệu cá nhân. Nền tảng TriNetX cho phép các nhà nghiên cứu xem xét tần suất nhập viện, nhập ICU, thở máy và bệnh nặng để hiểu tác động của nhiễm Covid-19 đối với người bị HIV


Real world evidence

Clinical trials





Beractant and poractant alfa in premature neonates with respiratory distress syndrome: a systematic review of real-world evidence studies and randomized controlled trials

Manuel Sánchez Luna ¹ · Peter Bacher² · Kristina Unnebrink³ · Marisol Martinez-Tristani² · Cristina Ramos Navarro¹

Received: 23 August 2019 / Revised: 16 December 2019 / Accepted: 31 January 2020 / Published online: 12 February 2020

© The Author(s) 2020. This article is published with open access

- Đánh giá hệ thống các kết quả từ các bài báo được đăng tải gần đây: The BIOSIS Previews®, Current Contents® Search, Derwent, Drug File, Embase®, EMCare®, International Pharmaceutical Abstracts, MEDLINE®, and SciSearch®
- Gồm 15 nghiên cứu ngẫu nhiên có kiểm chứng (RCT) & 4 nghiên cứu thế giới thực (RWE)
- So sánh hiệu quả & an toàn của Betactant và poractant alfa trên trẻ sinh non có hội chứng suy hô hấp cấp

KẾT QUẢ CHUNG

- Nhìn chung, các kết quả tương tự giữa beractant và poractant alfa trong các nghiên cứu RWE và RCT
- Kết quả từ các nghiên cứu thế giới thực (RWE): không thấy sự khác biệt có ý nghĩa thống kê giữa các kết quả điều trị của 2 nhóm
- Kết quả từ tổng phân tích các nghiên cứu ngẫu nhiên (RCT): không có sự khác biệt có ý nghĩa thống kê giữa 2 nhóm điều trị:
 - tử vong (OR [khoảng tin cậy 95%], 1,35 [0,98–1,86])
 - loạn sản phế quản phổi (1,25 [0,96–1,62])
 - tràn khí màng phổi (1,21 [0,72 –2,05])
 - hội chứng rò khí (2,28 [0,82–6,39])

KẾT QUẢ Review tạp chí

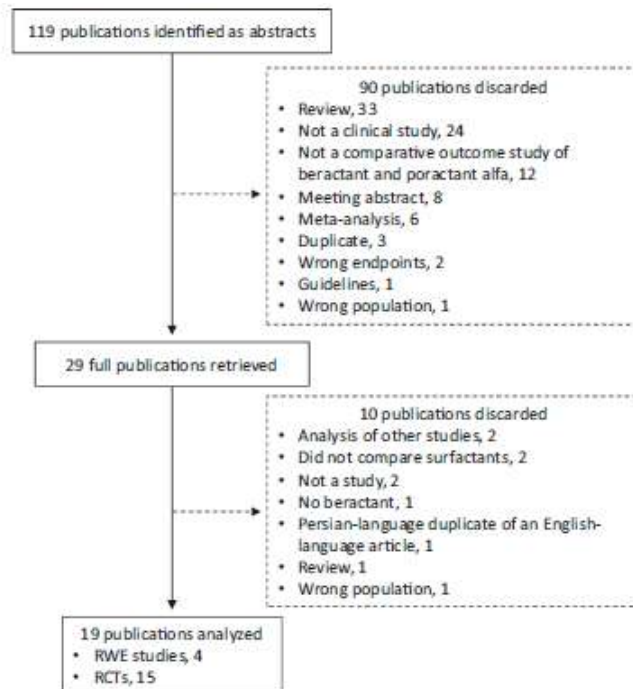


Fig. 1 Literature search results. RCT randomized controlled trial, RWE real-world evidence.

• **Liều surfactant**

Liều khuyến cáo:

- **Beractant:** 4 mL/kg cân nặng, mỗi 6 h; **100 mg/kg surfactant**
- **Poractant alfa:** liều khởi đầu: 2.5 mL/kg, sau đó 1.25 mL/kg, có thể bơm lại mỗi ~12-h, tương đương **200 mg/kg, sau đó 100 mg/kg surfactant**

4 Nghiên cứu thế giới thực (rwe)

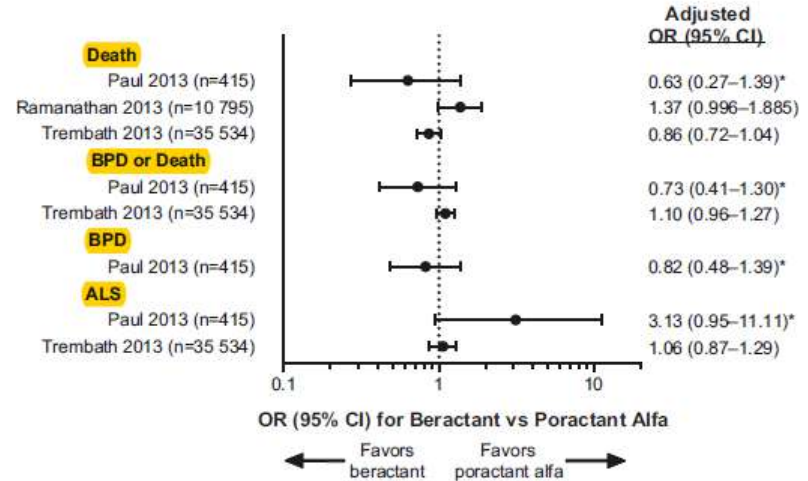
Table 1 Real-world evidence studies.

Study	Follow-up	Key criteria	Population	Characteristics	Outcomes				
					Death	BPD or Death	BPD	Pneumothorax	ALS
Paul 2013 [17]	>28 d	<32 wGA Born in hospital RDS No weight limit BPD: O ₂ >21% for ≥28 d + O ₂ <30% at 36 wk PCA (moderate) or +O ₂ ≥ 30% and/or ventilation/CPAP at 36 weeks PCA ALS: pneumothorax or PIE	Total = 415 B 100/100 mg/kg = 201 P 200/100 mg/kg = 214	Mean wGA, 27.2 Mean weight, 1037 g Cesarean, 56.1% Male, 51.6% Prenatal steroids, 95.9% FiO ₂ , no data Mean surfactant doses, B = 1.78, P = 1.63	B = 15/201 (7%) P = 24/214 (11%) Adjusted OR (CI) ^a , 0.63 (0.27–1.39) P = 0.239	B = 59/200 (29%) P = 78/212 (37%) (11%) Adjusted OR (CI) ^a , 0.73 (0.41–1.30) P = 0.282	B = 46/200 (23%) P = 63/212 (30%) Adjusted OR (CI) ^a , 0.82 (0.48–1.39) P = 0.455	No data	B = 11/201 (5.4%) P = 5/214 (2.3%) Adjusted OR (CI) ^a , 3.13 (0.95–11.11) P = 0.060
Ramanathan 2013 [16]	Until discharge	25–32 wGA Born in hospital RDS Weight 500–1999 g Age ≤2 d at first dose No congenital abnormalities	Total = 14,173 B = 5698 P = 5097 C = 3378	Mean wGA, no data Mean weight, no data Cesarean, no data Male, 54.6% Prenatal steroids, no data FiO ₂ , no data Surfactant dosing, no data	B = 261/5698 (4.58%) P = 184/5097 (3.61%) C = 201/3378 (5.95%) Adjusted OR (95% CI) ^b : B vs. P, 1.370 (0.996–1.885), P = 0.053 C vs. P, 1.496 (1.014–2.209), P = 0.043 C vs. B, 1.092 (0.765–1.559), P = 0.626	No data	No data	No data	No data
Trembath 2013 [15]	>34 d	<37 wGA NICUs with ≥50 ps No multiple surfactants No weight limit No explicit requirement for RDS ALS: pneumothorax or PIE after first exposure to surfactant BPD: if <32 wGA, continuous O ₂ or respiratory support from 36–<37 wGA; if ≥32 wGA, from 28–34 days after birth	Total = 51,282 B = 20,383 P = 15,151 C = 15,748	Median wGA, 30 Median weight, 1435 g Cesarean, 72.8% Male, 57.0% Prenatal steroids, 63.7% FiO ₂ , no data Surfactant dosing, no data	B = 2052 (10.1%) P = 1086 (7.2%) C = 1438 (9.1%) Adjusted OR (95% CI) ^c : B vs. P, 0.86 (0.72–1.04) C vs. B, 1.14 (0.93–1.39) C vs. P, 0.98 (0.78–1.23)	B = 5403 (27.4%) P = 2913 (19.9%) C = 3848 (24.9%) Adjusted OR (95% CI) ^c : B vs. P, 1.10 (0.96–1.27) C vs. B, 1.08 (0.93–1.26) C vs. P, 1.19 (1.00–1.41)	B = 3475 (17.6%) P = 1889 (12.9%) C = 2480 (16.1%) Unadjusted OR (95% CI), not analyzed	B = 1230 (6.0%) P = 616 (4.1%) C = 775 (4.9%) Unadjusted OR (95% CI), not analyzed	B = 1589 (7.8%) P = 802 (5.3%) C = 1059 (6.7%) Adjusted OR (95% CI) ^c : B vs. P, 1.06 (0.87–1.29) C vs. B, 1.17 (0.95–1.43) C vs. P, 1.23 (0.98–1.56)
Naseh 2014 [18]	Until discharge	<37 wGA RDS No weight limit No congenital heart disease or chromosomal anomalies	Total = 242 B 100 mg/kg = 74 P 100 mg/kg = 168	Mean wGA, 32.7 wk Mean weight, 2027 g Cesarean, 82.6% Male, 64.0% Prenatal steroids, 91.7% FiO ₂ , no data Surfactant dosing, no data	B = 2/74 (2.7%) P = 19/168 (11.3%) P = 0.027	No data	No data	No data	No data

4 NGHIÊN CỨU THẾ GIỚI THỰC

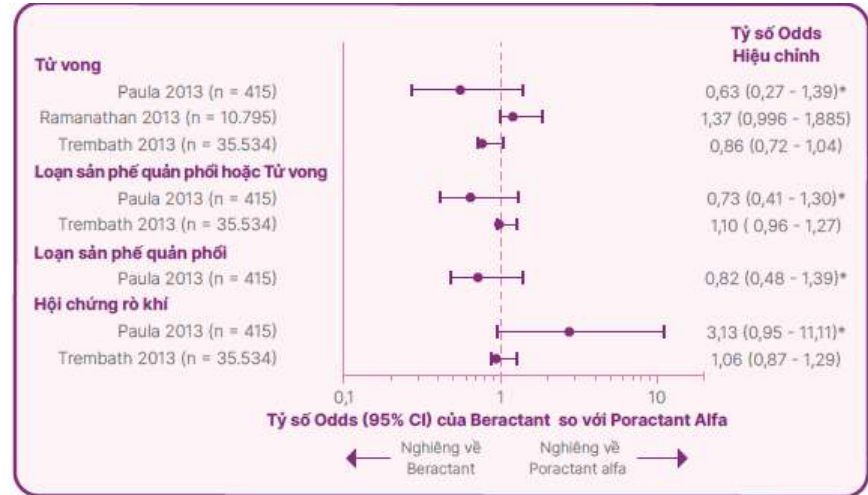
KẾT QUẢ

- Không có sự khác biệt về:
 - Tỷ lệ tử vong
 - Loạn sản phế quản phổi hoặc tử vong
 - Loạn sản phế quản phổi
 - Hội chứng rò khí



4 NGHIÊN CỨU THẾ GIỚI THỰC KẾT QUẢ

- Không có sự khác biệt về:
 - Tỷ lệ tử vong
 - Loạn sản phế quản phổi hoặc tử vong
 - Loạn sản phế quản phổi
 - Hội chứng rò khí



4 NGHIÊN CỨU THỂ GIỚI THỰC

KẾT CỤC TỬ VONG

3 nghiên cứu thể giới thực:

- Liều beractant 100mg/kg so với poractant alfa 200mg & 100mg/kg
- Tỷ lệ tử vong tương tự nhau ở 2 nhóm: beractant và poractant alfa

1 nghiên cứu thể giới thực:

- Liều **beractant 100mg/kg** so với **poractant 100mg/kg**
- **Tỷ lệ tử vong thấp hơn ở nhóm beractant** so với **poractant alfa** (2/74 [2.7%] vs. 19/168 [11.3%]; $P = 0.027$)

4 NGHIÊN CỨU THỂ GIỚI THỰC

CÁC KẾT CỤC KHÁC

Tương tự nhau giữa **beractant** và **poractant alfa**

- Tỷ lệ loạn sản phế quản phổi (3 nghiên cứu)
- Tỷ lệ loạn sản phế quản phổi (2 nghiên cứu)
- Tổ hợp loạn sản phế quản phổi & tử vong (2 nghiên cứu)
- Tỷ lệ tràn khí màng phổi (1 nghiên cứu)

15 Nghiên cứu NGẪU NGHIÊN CÓ KIỂM CHỨNG (RCT)

Table 2 Randomized controlled trials.

Study and blinding	Follow-up	Key criteria	Population	Characteristics	Outcomes			
					Death	BPD	Pneumothorax	ALS
Speer 1995 [30] Some assessments blinded	Long-term, 28 d	Preterm Weight 700-1500 g RDS Age 1-24 h BPD: O ₂ at 36 wk PCA	Total = 73 B 100 mg/kg = 40 ^a P 100 mg/kg = 33 ^a	Mean wGA, 28.8 Mean weight, 1088.2 g Cesarean, no data Male, 45.2% Prenatal steroids, 49.3% Median FIO ₂ , B = 0.9, P = 0.9 Mean doses, B = 2.2, P = 1.7	B = 5/40 ^{ab} P = 1/33 ^{ab}	B = 4/40 ^{abc} P = 4/33 ^{abc}	B = 5/40 ^{ab} P = 2/33 ^{ab}	PIE B = 4/40 ^{ab} P = 1/33 ^{ab}
Barotis 2003 [28]	Long-term, >36 weeks PCA or discharge Blinded for A and P but not B	≤32 wGA Weight ≤ 2000 g Born in center With RDS No major congenital anomalies ALS: PIE or pneumothorax BPD: O ₂ at >36 weeks PCA	Total = 80 B 100 mg/kg = 26 ^a P 100 mg/kg = 27 ^a A 100 mg/kg = 27 ^d	Mean wGA, 29.0 Mean weight, 1203 g Cesarean, 51.3% Male, 51.5% Prenatal steroids, 30.0% Mean FIO ₂ , 0.64 ± dose, B = 23.1%, P = 14.8%, A = 18.5%	B = 6/26 ^{ab} P = 5/27 ^{ab} A = 7/27 ^d	B = 4/26 ^{abc} P = 4/27 ^{abc} A = 3/27 ^d	No data	B = 4/26 ^{ab} P = 3/27 ^{ab} A = 2/27 ^d
Ramanathan 2004 [19] Observer blinded on day 1, otherwise OL	Long-term, 28 d (all patients) or until 36 wk PCA (if born at ≤32 wGA)	<35 wGA Birth weight 750-1750 g Evidence of RDS Intubated and mechanically ventilated Age < 6 h at randomization FIO ₂ > 0.30 and O ₂ saturation 88%-95% No life-threatening congenital anomalies	Total = 293 (<35 wGA) Initial/late dose B 100/100 mg/kg = 98 ^{ab} P 100/100 mg/kg = 96 ^a P 200/100 mg/kg = 99 ^b Total = 270 (≤32 wGA) ^d B 100/100 mg/kg = 90 ^d P 100/100 mg/kg = 85 ^d P 200/100 mg/kg = 95 ^d	Mean wGA, 28.7 Mean weight, 1162 g Cesarean, no data Male, 59.0% Prenatal steroids, 80.9% Mean FIO ₂ , approximately 0.63 > 1 dose, B = 68%, P = 36%	At day 28 B = 8/98 ^{ab} P 100 = 6/96 ^{ef} P 200 = 3/99 ^{ef} At 36 weeks PCA ^d B = 10/90 ^d P 100 = 9/85 ^d P 200 = 3/95 ^d	At day 28 B = 4/99 ^{abc} P 100 = 4/89 ^{ab} P 200 = 4/99 ^{bc} At 36 weeks PCA ^d B = 5/90 ^d P 100 = 5/85 ^d P 200 = 3/95 ^d	At day 28 P 100 = 6/96 ^{ab} P 200 = 3/99 ^{bc} At 36 weeks PCA ^d B = 5/90 ^d P 100 = 5/85 ^d P 200 = 3/95 ^d	No data
Malloy 2005 [29] Some assessments blinded	Long-term, ≤40 corrected wGA	<37 wGA With RDS No weight limit BPD: O ₂ at 36 wk PMA and ≥28 d of age	Total = 58 B 100 mg/kg = 29 ^b P 200 mg/kg = 29 ^b	Mean wGA, 29.5 Mean weight, 1401 g Cesarean, no data Male, 46.6% Prenatal steroids, 74.1% Mean FIO ₂ , 0.48 Mean doses, B = 1.7, P = 1.2	B = 3/29 ^{bc} P = 0/29 ^{bc}	B = 10/27 ^{bc} P = 10/29 ^{bc}	B = 1/29 ^{bc} P = 2/29 ^{bc}	No data
Gharebghazi 2010 [23] Blind	Long-term, 7 d or until discharge	Preterm with RDS No major congenital anomalies No weight limit ALS: PIE or pneumothorax BPD: O ₂ at >36 wk PCA	Total = 150 B 100 mg/kg = 71 ^b P 200 mg/kg = 79 ^b	Mean wGA, 29.45 Mean weight, 1444.4 g Cesarean, 65.3% Male, 58.7% Prenatal steroids, 44.0% Mean FIO ₂ , 0.72 Mean surfactant doses, B = 1.06, P = 1.06	B = 15/71 ^{bc} P = 21/79 ^{bc}	B = 20/71 ^{bc} P = 20/79 ^{bc}	No data	B = 5/71 ^{bc} P = 2/79 ^{bc}

15 Nghiên cứu NGẪU NGHIÊN CÓ KIỂM CHỨNG (RCT)

Table 2 (continued)

Study and blinding	Follow-up	Key criteria	Population	Characteristics	Outcomes			
					Death	BPD	Pneumothorax	ALS
Mercado 2010 [31] OL	Long term, follow-up: >36 wk PMA (BPD)	wGA <30 RDS No multiple congenital abnormalities No weight limit BPD: O ₂ at 36 wk PMA	Total = 40 B 100/100 mg/ kg = 20 ^b P 200/100 mg/ kg = 20 ^b	Mean wGA, 26 Mean weight, 731 g Cesarean, no data Male, 45.0% Prenatal steroids, 95.0% Mean FiO ₂ , no data > 1 dose, B = 45.0%, P = 45.0%	B = 1/20 ^{b,a} P = 4/20 ^{b,a}	B = 13/20 ^{b,c,e} P = 8/20 ^{b,c,e}	No data	No data
Dizdar 2012 [25] Blinding not specified	Long term, 40 wk corrected gestational age	wGA <37 RDS within 6 h of birth No weight limit No congenital heart or lung diseases No weight limit BPD per US NIH criteria	Total = 126 B 100/100 mg/ kg = 65 ^h P 200/100 mg/ kg = 61 ^h	Median wGA, 28 Median weight, 1080–1165 g Cesarean, 81.7% Male, 57.9% Prenatal steroids, 56.3% FiO ₂ , no data Mean doses, B = 1.34, P = 1.11	B = 15/65 ^{h,a} P = 6/61 ^{h,a}	B = 18/65 ^{h,a} P = 9/61 ^{h,a}	B = 3/65 ^{h,b} P = 4/61 ^{h,b}	No data
Saeidi 2013 [32] Blinding not specified	Long term, >28 d (BPD)	<37 wGA RDS No weight limit No major congenital anomalies Age ≤ 4 h BPD: O ₂ at 28 d	Total = 104 B 100/100 mg/ kg = 74 ^a P 100/100 mg/ kg = 30 ^a	Mean wGA, 29.84 Mean weight, 1360 g Cesarean, 63.5% Male, 41.3% Prenatal steroids, no data FiO ₂ , no data Repeat surfactant dosing, no data	B = 21/74 ^{a,b} P = 8/30 ^b	B = 30/74 ^{a,b} P = 12/30 ^{a,b}	B = 15/74 ^{a,b} P = 6/30 ^{a,b}	No data
Eras 2014 [20] OL	Long term, until 18–24 mo corrected age	≤32 wGA RDS No weight limit No major congenital anomalies	Total = 215 B = 10/2 ^b P = 113 ^b	Mean wGA, 28.5 Mean weight, 1128 g Cesarean, no data Male, 48.4% Prenatal steroids, no data FiO ₂ , no data Repeat surfactant dosing, no data	B = 10/125 ^{b,b} P = 7/135 ^{b,a}	B = 28/102 ^{b,a} P = 24/135 ^{b,a}	No data	No data
Karadap 2014 [27] Blinding not specified	Long term, 36 wk PMA	wGA ≤32 Born in hospital RDS Age ≤ 2 h No major congenital anomalies No weight limit BPD: O ₂ at 36 wk PMA	Total = 92 B 100/100 mg/ kg = 46 ^a P 200/100 mg/ kg = 46 ^a	Mean wGA, 29.3 Mean weight, 1092 g Cesarean, 57.6% Male, 55.4% Prenatal steroids, 79.3% FiO ₂ , no data Second dose, B = 47.8%, P = 19.6%	B = 8/46 ^a P = 4/46 ^a	B = 9/46 ^{b,c} P = 6/46 ^{b,c}	B = 6/46 ^{b,c} P = 2/46 ^{b,c}	No data
Terek 2015 [33] OL	Long term, 6 h for oxygenation and hemodynamics assessments, otherwise not stated	26–36 wGA RDS Born in hospital No weight limit No congenital heart or lung diseases No major congenital anomalies	Total = 30 B 100 mg/kg = 15 ^b P 200 mg/kg = 15 ^b	Mean wGA, 29.8 Mean weight, 1396.7 g Cesarean, no data Male, 46.7% Prenatal steroids, 72% Mean FiO ₂ , 0.6887 Repeat surfactant dosing, no data	B = 3/15 ^{b,a} P = 4/15 ^{b,a}	B = 4/15 ^{b,c} P = 4/15 ^{b,c}	B = 0/15 ^{b,c} P = 0/15 ^{b,c}	No data

15 Nghiên cứu NGẪU NGHIÊN CÓ KIỂM CHỨNG (RCT)

Table 2 (continued)

Study and blinding	Follow-up	Key criteria	Population	Characteristics	Outcomes			
					Death	BPD	Pneumothorax	ALS
Musavi 2016 [22] Triple-blind	Long-term, ≥28 d (BPD)	<ul style="list-style-type: none"> ≤37 wGA Admitted to NICU with RDS No weight limit Age ≤ 6 h No congenital anomalies BPD: O₂ at ≥ 28 d Pneumothorax: air leak that accumulated in pleural space 	<ul style="list-style-type: none"> Total = 165 B 100 mg/kg = 62^b P 200 mg/kg = 54^b A 100 mg/kg = 49^f 	<ul style="list-style-type: none"> Mean wGA, 31.6 Mean weight, 1840 g Cesarean, 69.1% Male, 66.7% Prenatal steroids, no data FiO₂, no data Mean surfactant doses, B = 1.08, P = 1.06, A = 1.55 	<ul style="list-style-type: none"> No data on post-intervention deaths 	<ul style="list-style-type: none"> B = 2/82^{b,e,f} P = 1/54^{b,e,f} A = 1/49^f 	<ul style="list-style-type: none"> B = 2/82^{b,e} P = 3/54^{b,e} A = 7/49^f 	<ul style="list-style-type: none"> No data
Najafian 2016 [26] Blinding not specified	Long-term, until discharge	<ul style="list-style-type: none"> wGA <35 Born in hospital RDS Age ≤ 6 h No congenital heart diseases or life-threatening congenital anomalies Weight >750 g 	<ul style="list-style-type: none"> Total = 112 B 100 mg/kg = 56^e P 100 mg/kg = 56^e 	<ul style="list-style-type: none"> Mean wGA, 32.59 Mean weight, 1911.3 g Cesarean, 83.0% Male, 58.0% Prenatal steroids, 72.3% FiO₂, no data Mean doses, B = 1.32, P = 1.18 	<ul style="list-style-type: none"> B = 6/56^b P = 2/56^b 	<ul style="list-style-type: none"> No data 	<ul style="list-style-type: none"> B = 5/56^{ab} P = 2/56^{ab} 	<ul style="list-style-type: none"> No data
Mirzarahimi 2018 [24] Blind	Long-term, ≥28 d (BPD)	<ul style="list-style-type: none"> wGA <37 with RDS No weight limit No congenital anomalies BPD: O₂ at 28 d 	<ul style="list-style-type: none"> Total = 150 B 100 mg/kg = 75^e P 100 mg/kg = 75^e 	<ul style="list-style-type: none"> Mean wGA, 29.65 Mean weight, no data Cesarean, no data Male, 46.7% Prenatal steroids, no data FiO₂, no data >1 surfactant dose, B = 28.0%, P = 13.3% 	<ul style="list-style-type: none"> B = 15/75^b P = 13/75^b 	<ul style="list-style-type: none"> 12% (no comparison)^{d,f} 	<ul style="list-style-type: none"> 16.7% (no comparison)^d 	<ul style="list-style-type: none"> No data
Fujii 2010 [21] OL	Short-term, 72 h after birth for level of respiratory support during NICU hospitalization for morbidities of prematurity	<ul style="list-style-type: none"> 24-30 wGA Born in hospital RDS requiring ventilation No weight limit Age < 6 h at randomization No severe congenital anomalies, significant CHD, or death expected in ≤3 d ALS: not defined BPD: O₂ at 36 wk PCA Observation time for BPD: 72 h 	<ul style="list-style-type: none"> Total = 52 Initial/later dose B 100/100 mg/kg = 27^d P 200/100 mg/kg = 25^d 	<ul style="list-style-type: none"> Mean wGA, 26.9 Mean weight, 914 g Cesarean, 69.2% Male, 61.5% Prenatal steroids, 98.1% FiO₂, no data >1 dose, B = 56%, P = 36% 	<ul style="list-style-type: none"> B = 5/27 (19%)^d P = 2/25 (8%)^d 	<ul style="list-style-type: none"> B = 11/22 (50%)^d P = 8/23 (35%)^d 	<ul style="list-style-type: none"> No data 	<ul style="list-style-type: none"> B = 4/27 (15%)^d P = 0/25 (0%)^d

15 NGHIÊN CỨU NGẪU NHIÊN CÓ KIỂM CHỨNG (RCT)

KẾT QUẢ

- Liều beractant 100mg/kg so với poractant alfa 200mg & 100mg/kg
- Không có sự khác biệt về:
 - Tỷ lệ tử vong
 - Loạn sản phế quản phổi
 - Tràn khí màng phổi
 - Hội chứng rò khí

Beractant and poractant alfa in premature neonates with respiratory distress syndrome: a systematic ...

1129

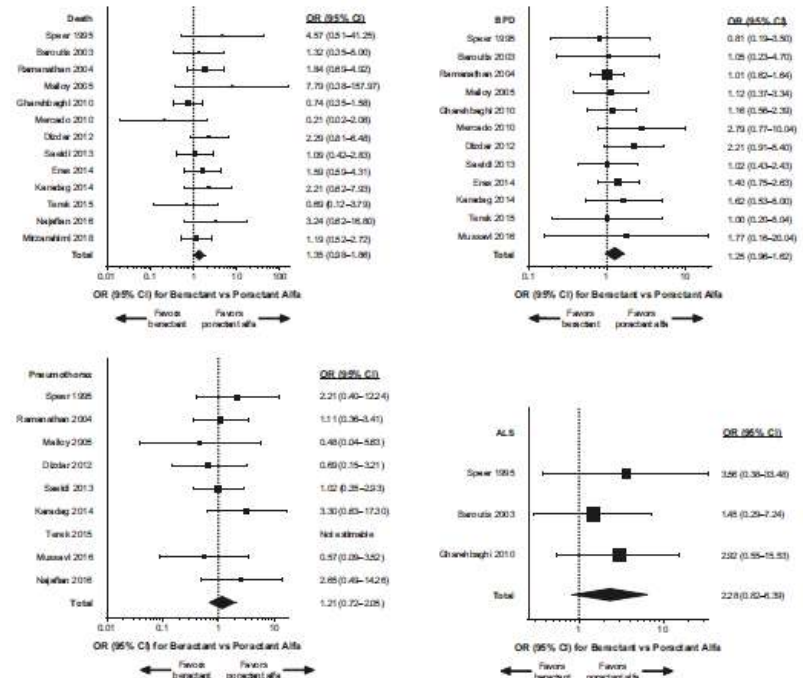
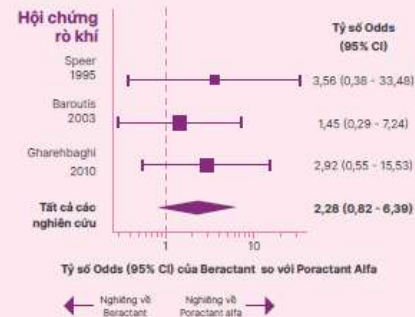
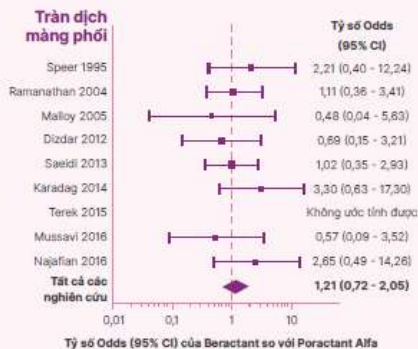
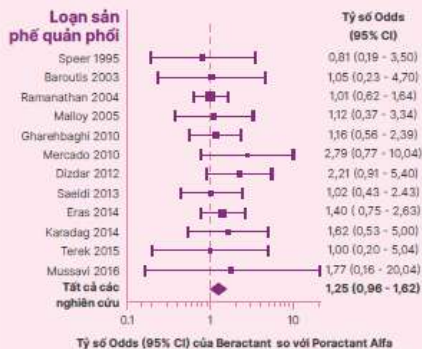
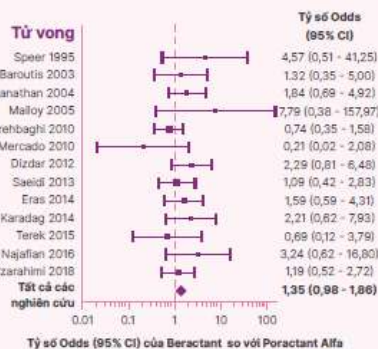


Fig. 3 Forest plots of patient outcomes from primary meta-analyses of RCTs, with any dose of surfactant. ALS air leak syndrome, BPD bronchopulmonary dysplasia, CI confidence interval, OR odds ratio, RCT randomized controlled trial.

15 NGHIÊN CỨU NGẪU NHIÊN CÓ KIỂM CHỨNG (RCT) KẾT QUẢ

- Liều beractant 100mg/kg so với poractant alfa 200mg & 100mg/kg
- Không có sự khác biệt:



← Nghiêng về Beractant Nghiêng về Poractant alfa →

← Nghiêng về Beractant Nghiêng về Poractant alfa →

← Nghiêng về Beractant Nghiêng về Poractant alfa →

← Nghiêng về Beractant Nghiêng về Poractant alfa →

Bàn luận (1)

- Nghiên cứu RCT: Kiểm soát chặt chẽ các yếu tố đánh giá trong nghiên cứu
- Nghiên cứu RWE: Kết quả đại diện trong thực hành lâm sàng
- Bằng chứng từ cả RCT & RWE: Hiểu biết đầy đủ về lợi ích tương đối của một liệu pháp
- So sánh kết quả của RCT & RWE phức tạp do khác biệt đáng kể giữa các nghiên cứu được phân tích về: thiết kế, tiêu chí đầu vào, nhân khẩu học, tình trạng bệnh, phác đồ dùng thuốc, thời gian theo dõi, kết cục đánh giá

Bàn luận (2)

Trong thực tế, **poractant alfa** liều khởi đầu khuyến cáo phần lớn là **200 mg/kg**, hơn là liều thấp 100 mg/kg, liều **poractant alfa 200 mg/kg**, tương đương liều **beractant 100 mg/kg** cho trẻ cùng cân nặng

Poractant alfa 100 mg/kg: không cải thiện được tỉ lệ tử vong như sử dụng lượng phospholipid tương tự **beractant 100 mg/kg**. Điều này có thể là do **thể tích phân bố nhỏ hơn**.

Current practice is dominated by administration of poractant alfa at its recommended initial dose (200 mg/kg; 2.5 mL/kg) rather than at a lower dose (100 mg/kg; 1.25 mL/kg), and so with a volume by patient weight that is similar to that for beractant 100 mg/kg (4 mL/kg).

When 100 mg of phospholipid is used with poractant alfa, even though the amount of phospholipid is similar to physiologic conditions, the clinical outcome does not appear to be similar to beractant, at least with regards to the incidence of death. This might be due to a smaller volume of distribution (1.25 vs. 4 mL).

KẾT LUẬN

- Tần suất TKMP, bệnh phổi mãn, tỷ lệ tử vong sau khi điều trị RDS bằng beractant và poractant alpha liều 100 mg/kg không khác biệt
- RWE phản ánh kết quả điều trị thực tế trên lâm sàng
- Nhiều chọn lựa sẽ tăng thêm cơ hội cho bệnh nhi





XIN CẢM ƠN