

IHPB

ITALIAN HEALTH POLICY BRIEF

OPINIONI E CONFRONTI PER UNA SANITÀ SOSTENIBILE

L'ASSISTENZA DOMICILIARE IN ONCOEMATOLOGIA TRA UMANIZZAZIONE DELLE CURE E SOSTENIBILITÀ DEL SISTEMA

AUTORI

Mario Boccardo, *Professore Ordinario di Ematologia, Università di Torino; Direttore Divisione Universitaria di Ematologia, Città della Salute e della Scienza di Torino*

Antonio Gaudio, *Segretario generale Cittadinanzattiva*

Le patologie oncoematologiche rappresentano un gruppo eterogeneo e abbastanza ampio di malattie diverse tra loro sia per quanto riguarda il numero dei casi diagnosticati ogni anno, sia per quanto concerne la prognosi: in ogni caso, il momento della diagnosi scatena una serie di giustificati timori nel paziente, che necessita di rassicurazioni sulle terapie che saranno adottate e sul percorso che lo attende.

Le percentuali di sopravvivenza sono estremamente variabili: se alcune forme aggressive (come molti tipi di leucemie acute) risultano ancora assai difficili da trattare, altre (mielomi, leucemie mieloidi e linfatiche croniche) consentono generalmente un'aspettativa di vita molto più lunga, tanto da non alterare talvolta la normale durata di vita, almeno per l'anziano. Grazie alla ricerca e all'arrivo di terapie innovative, sono stati messi a punto nuovi ed efficaci schemi terapeutici in grado di garantire una qualità di vita più che accettabile per una percentuale non trascurabile di pazienti,

pur senza permettere una vera e propria guarigione. Ogni caso è unico; quindi, anche la tipologia del paziente va tenuta in conto, dal momento che non si tratta più di patologie presenti soltanto nella tarda età, bensì di malattie sempre più diffuse sia tra gli uomini sia tra le donne di ogni età. Secondo l'autorevole *American Cancer Society*, l'impatto delle neoplasie stimate nel 2015 e delle neoplasie ematologiche risulta poco al di sotto del 10%. Si tratta di patologie che, per incidenza e mortalità, sono in linea con le diverse neoplasie e che rivestono un peso notevole rispetto alla totalità delle malattie tumorali in Italia e nel mondo. Si delinea, pertanto, un vero e proprio "esercito" via via più numeroso di pazienti affetti da neoplasie del sistema ematopoietico, che mostrano due picchi di incidenza: nell'infanzia e nel giovane adulto e in età avanzata. Si tratta di pazienti che necessitano non solo di cure adeguate ma anche, soprattutto, di punti di riferimento a cui potersi affidare nel corso dei trattamenti.

Dal decorso clinico alla terapia

Se è vero che di mieloma multiplo non si può guarire, esiste la possibilità di prolungare l'aspettativa di vita grazie a diversi cicli di trattamento, attraverso l'alternarsi di periodi di cure e periodi di pausa che si possono protrarre molto a lungo e il paziente può trascorrere periodi in ospedale per la somministrazione

ne di farmaci sotto controllo medico, ma può avere anche la possibilità di trascorrere la maggior parte del tempo a casa, circondato dall'affetto dei propri cari e da un'atmosfera per quanto possibile serena.

Nell'ottica di una terapia personalizzata, in base alla malattia e alle caratteristiche e necessità del singolo individuo, è molto importante che oncologi ed ematologi si confrontino anche con il Medico di Medicina Generale, per poter valutare al meglio le condizioni psico-fisiche di ciascun paziente.

È, infatti, fondamentale valutare sempre la presenza di eventuali altre patologie concomitanti (anche relativamente meno impegnative come ipertensione, ipercolesterolemia, diabete e così via), instaurando un dialogo tra tutte le persone coinvolte, finalizzato a dare una risposta alle numerose e variegate esigenze del paziente.

Anche nei più avanzati Paesi Occidentali non è sempre facile per i Sistemi Sanitari rispondere a tali richieste: un percorso di cura efficace, oltre a farmaci adeguati, richiede anche personale competente e altamente qualificato, strutture adatte, disponibilità di tempo per l'ascolto e la comprensione ai quali spesso fanno fronte le Associazioni di Volontariato.

È indispensabile cercare di migliorare il trattamento per i pazienti oncoematologici, ma anche occuparsi delle esigenze di pazienti, che dal momento della diagnosi devono imparare a convivere con una nuova realtà "cronica". Il mieloma multiplo pone numerose difficoltà gestionali in considerazione

del suo andamento cronico e caratterizzato da una prima fase, cosiddetta "del mieloma indolente", che in genere non richiede trattamento ma ha un notevole impatto psicologico, e da successive fasi di plateau, sporadicamente interrotte da recidive, e infine dalla fase di refrattarietà, in cui si configura la quasi impossibilità delle cure.

Nonostante la ricerca farmacologica e l'ottimizzazione delle terapie, il mieloma rimane una malattia inguaribile. È perciò fondamentale per il medico comunicare sempre con il paziente in maniera trasparente, senza negare alcune evidenze sull'impatto e sui rischi che il mieloma comporta (tossicità correlata alla malattia e ai trattamenti terapeutici utilizzati, possibilità di insorgenza di neoplasie secondarie, eventi infettivi), ma, al di là delle terapie "tradizionali", occuparsi di altri aspetti tutt'altro che marginali, come per esempio scongiurare il problema dell'isolamento: nell'ambito delle patologie oncoematologiche, infatti, la diagnosi è di solito improvvisa e i pazienti possono ritrovarsi da una vita di relazione "piena" a una vita "isolata" e al momento della dimissione possono emergere la paura e l'ansia per la vita al di fuori dell'ospedale.

Il paziente, in definitiva, deve essere preso in carico totalmente sin dal momento della diagnosi e supportato a livello psicologico, familiare, logistico, lavorativo ed economico.

Questi aspetti sono stati oggetto di varie ricerche: in particolare, è stato condotto uno studio su due gruppi di pazienti sottoposti a chemioterapia:

quelli che incontravano personale in grado di rispondere ai loro quesiti e fornire informazioni prima dell'inizio del trattamento è risultato meno stressato rispetto a quelli che affrontavano i trattamenti senza prima essersi confrontarsi con qualcuno.

Un aspetto rilevante, inoltre, è la differente percezione del medico e del paziente: di fronte a un trattamento il cui *outcome* è normale, il medico in genere prende in considerazione i dati obiettivi, che non sempre sono sovrapponibili a quelli riferiti dai pazienti. D'altro canto, anche a fronte del conseguimento di buoni risultati, il paziente spesso continua a lamentare astenia, ansia e difficoltà: anche di questo va tenuto conto poiché la qualità di vita in questi casi è pessima nonostante le buone risposte alla terapia. Sicuramente la "cura" intesa come insieme di trattamenti efficaci è fondamentale; è necessario però lavorare sulle strutture, sulle attrezzature, sulla facilità di accesso, sui tempi di attesa. Un obiettivo tutt'altro che facile, alla luce dei dati sulla spesa sanitaria dei Paesi Occidentali: se è vero che è opportuno trascorrere il maggior tempo possibile a casa propria (spesso con l'aiuto di un supporto domiciliare), è innegabile che alcune terapie vadano eseguite nelle strutture ospedaliere attrezzate, con personale dedicato.

L'assistenza domiciliare e il piano oncologico nazionale

Un aspetto che negli ultimi anni ha acquisito notevole importanza è il servizio di assistenza domiciliare, che ha

portato alla creazione di un piano, da parte del Sistema Sanitario Nazionale, per il trattamento delle terapie oncologiche: denominato inizialmente, negli anni 2010-2013, “Piano oncologico nazionale”, è stato prorogato alla fine del 2016 con la dicitura di “Documento tecnico di indirizzo per ridurre il carico di malattia del cancro”. La dizione utilizzata nell’Intesa non è più “Piano oncologico” a seguito del confronto con le Regioni che, in coerenza alla impostazione di “*stewardship*” adottata dal Ministero, hanno, viceversa, considerato questo documento come un “indirizzo” e non un “piano”. L’obiettivo principale del documento è dare forti indicazioni su dove Stato e Regioni debbano indirizzare gli sforzi comuni al fine di migliorare ulteriormente la “presa in carico totale” del malato oncologico da parte del Servizio Sanitario. Il documento esplicita la cornice teorica di riferimento, le priorità condivise, gli obiettivi comuni. L’Intesa del 30/10/2014, inoltre, prevede il recepimento di tre importanti documenti, predisposti da Gruppi di lavoro istituiti dal Ministero con esperti e rappresentanti del Coordinamento delle Regioni e PPA, che riguardano:

- 1) l’implementazione delle reti oncologiche, con l’identificazione di un set di obiettivi specifici e criteri di realizzazione da applicare nei diversi modelli regionali);
- 2) l’uso delle risorse di sistema identificando, sulla base delle evidenze di letteratura, una serie di tecnologie a forte rischio di inappropriata e rispetto alle quali le Regioni sono chia-

mate a una verifica del loro uso con la prospettiva di potere, in relazione alle applicazioni specifiche, essere considerate pratiche dismissibili (il documento è intitolato “Buon uso delle risorse in oncologia”); 3) gli aspetti metodologici da utilizzare nella valutazione HTA in oncologia e criteri di priorità per indirizzare l’uso delle risorse disponibili (il documento è intitolato “HTA e oncologia”).

Il percorso del malato oncoematologico
Azioni Programmatiche nel triennio
2011-2013

- Implementazione delle reti regionali per l’esecuzione presso servizi diagnostici ad alta specializzazione delle attività diagnostiche costose e/o complesse
- Revisione dell’adeguatezza dell’offerta assistenziale in termini di posti letto per acuti
- Coordinamento tra reti regionali e network nazionali
- Razionalizzazione della distribuzione dei centri per trapianto allogenico di CSE
- Verifica dell’efficace distribuzione territoriale delle strutture di Day Hospital e ambulatori e loro eventuale potenziamento
- Maggiore integrazione tra strutture ematologiche e medicina territoriale per l’organizzazione dell’assistenza domiciliare
- Miglioramento del raccordo con le associazioni di volontariato
- Razionalizzazione dell’offerta formativa finalizzata anche ad una maggiore integrazione tra operatori diversi, anche mediante l’uso di strumenti innovativi come le piattaforme di e-learning

La logica sottesa a questo piano è quella di dare un’assistenza integrata tra medici di Medicina Generale e gli ambulatori con l’assistenza domiciliare, quando possibile e indicazioni di massima su come dovrebbero essere articolati i servizi delle prestazioni di oncologia: sono organizzazioni di tipo dipartimentale/oncologico, un’organizzazione ogni 500.000/1 milione di

abitanti. Un altro aspetto importante consiste nel far sì che, indipendentemente dalla via di accesso al sistema, al paziente venga assicurata la migliore assistenza che la regione gli può offrire: è questo il modello di *Simultaneous Care*, cioè la presa in carico totale del malato oncologico.

Benché l’impegno nello screening sia in apparenza poco produttivo, la diagnosi precoce è fondamentale in quanto assicura sin dall’inizio una terapia più efficace e adeguata, alla quale potrà fare seguito, in caso di esito non favorevole, il progressivo inserimento di cure palliative, fino al supporto alla famiglia nell’elaborazione del lutto: è questo il “modello olistico” di cura del paziente, che è alla base del Piano Oncologico Nazionale.

Il piano ribadisce anche l’importanza delle Associazioni di Volontariato, preziose nell’affiancare il Sistema Sanitario Nazionale e prosegue con alcuni casi specifici, tra cui il percorso del tumore nel paziente anziano, i casi pediatrici, i tumori rari e una specifica sezione nel paziente affetto da malattia oncoematologica. Nell’ambito delle reti regionali viene dedicata notevole importanza alla ricerca e alla formazione, sia dei professionisti del settore sia dei medici di Medicina Generale, in considerazione del loro ruolo nella gestione delle terapie integrate. In particolare nel 2014 è stata trasmessa alle Regioni una Guida per la Costituzione delle Reti Oncologiche Regionali nella quale, in contrapposizione al modello proposto nel Piano oncologico nazionale, orientato verso *l’Hub&Spoke*,

viene attribuita maggiore rilevanza al modello dei *Cancer Care Network*. Le linee di intervento sono quelle ribadite già nel Piano Oncologico Nazionale: decisioni basate sull'evidenza, multidisciplinarietà, continuità dell'assistenza erogata dai centri specializzati al territorio, istituzione del medico "tutor" per la persona affetta da cronicità al momento dell'accesso ospedaliero, che gestisca il percorso clinico intra-ospedaliero e si raccordi con il sistema territoriale.

Questi aspetti, che erano previsti nel Piano Nazionale, hanno una particolare rilevanza perché numerose neoplasie cominciano ad assumere carattere di cronicità, oppure insorgono in età avanzata e si associano a gravose comorbilità.

Le reti oncologiche

Per quanto riguarda le reti oncologiche regionali più attive e meglio organizzate sono quelle di Piemonte, Valle d'Aosta, Lombardia e Istituto Toscano dei Tumori (rete oncologica della Regione Toscana). Le prime hanno un'organizzazione "centralista", mentre nella rete lombarda il governo della rete è affidato a un coordinamento. Tuttavia, anche laddove queste reti sono state istituite, l'assistenza rimane principalmente negli ospedali, che nel 2014 hanno erogato quasi l'80% delle prestazioni ai malati oncologici.

La realtà oncologica esemplifica bene lo stato in cui si trova attualmente il Sistema Sanitario: le tecnologie diventano sempre più complesse, i farmaci hanno un costo inimmaginabile, le pa-

tologie tendono a cronicizzarsi per cui le terapie aumentano di durata. Tutti questi fattori portano a un aumento per il momento incontrollato della spesa sanitaria a cui Stato e Regioni faticano a rispondere: per questa ragione diventa indispensabile potenziare l'efficienza delle reti, migliorare l'appropriatezza diagnostica e terapeutica e contenere la spesa pubblica per ricavare adeguate risorse per affrontare queste problematiche.

Dal documento emerge con chiarezza che i compiti della "rete" sono definiti con precisione: prendere in carico i nuovi pazienti, adottare i protocolli terapeutici, assicurare le varie assistenze, adeguare terapie del dolore e palliative, identificare le risorse in ambito territoriale e collaborare con le associazioni di volontariato, promuovere attività di donazione di cellule staminali e attivare l'assistenza domiciliare. Un altro "compito" consiste

nell'assicurare, nel migliore dei modi, il passaggio dall'ambito pediatrico (per molti pazienti in giovanissima età) all'ambiente della medicina dell'adulto.

È poi fondamentale un'attività di formazione, per formare nuovi giovani che lavorano in questi centri o distribuiti sul territorio.

Considerazioni di farmaco-economia

Dall'ultima rilevazione della spesa farmaceutica del *Rapporto OsMED 2015*, il complesso di farmaci antineoplastici si posiziona al secondo posto per importanza con oltre 4 miliardi di spesa in un anno, subito dopo gli antimicrobici, benché il numero di confezioni erogate sia inferiore (gli antimicrobici sono infatti a basso costo).

Il costo dei farmaci antineoplastici giustificerebbe fino al 16% il costo *pro capite* della spesa farmaceutica.

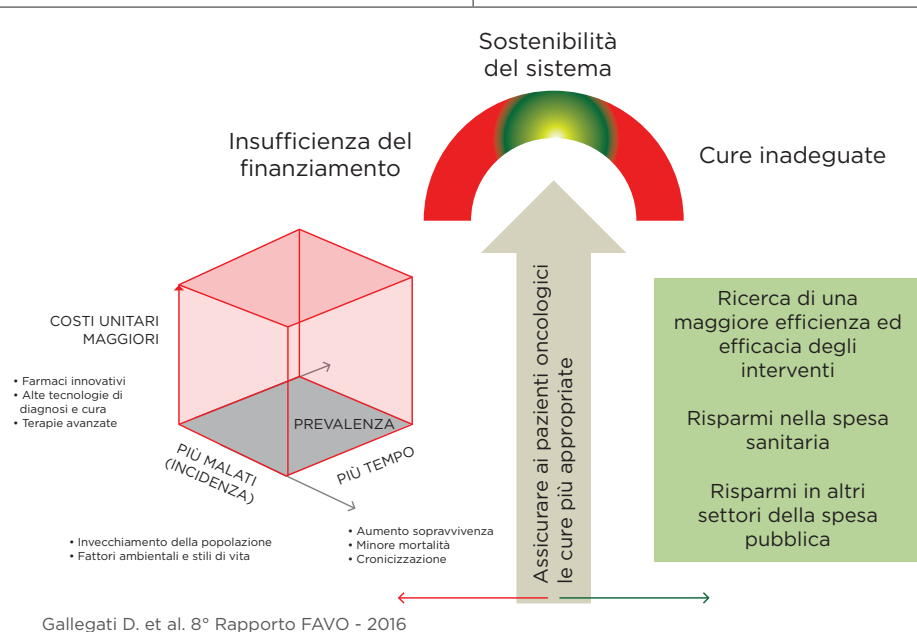


Figura 1: Fattori incidenti sulla crescita della spesa oncologica

Il costo per le terapie ematologiche nel 2012 ammonterebbe a circa 6,8 miliardi di euro in un anno: è una stima condotta nel 2012 su un totale di spese per le neoplasie di circa 57 miliardi. Si tratta di cifre notevoli, dal momento che le patologie ematologiche si collocherebbero quasi alla pari, non molto distanti dal carcinoma della mammella.

In ambito farmaco-economico, però, non basta sapere se per ogni paziente l'investimento del sistema sanitario sia coerente con i benefici: occorre capire anche se si dispone delle risorse per sostenere tale spesa. Sotto questo profilo il mieloma multiplo è una malattia rara (i nuovi casi in un anno sono circa 4.500), il che rende meno rilevante l'impatto economico complessivo del suo trattamento; ovviamente, però, il target di popolazione è più ristretto e il recupero dell'investimento in ricerca e sviluppo impone un costo più elevato della terapia. Inoltre, se si esclude l'ambito pediatrico, l'esordio prevalente in età avanzata solleva ulteriori problemi dal punto di vista gestionale, impone valutazioni di costo sociale in paziente più fragile con presenza di comorbidità e ha un peso importante nell'assistenza più che nella perdita di produttività dei pazienti dovuta all'assenteismo lavorativo. Come già spiegato in apertura di articolo, è poi una malattia grave, con una prognosi sostanzialmente infausta (anche se alla prima recidiva l'aspettativa di vita è aumentata negli ultimi anni di 15 mesi) e bassa qualità di vita, e non prevedibile.

Quello dei farmaci per il mieloma

multiplo è peraltro un mercato con prospettive di "affollamento" e sono disponibili terapie diverse dal punto di vista delle modalità di somministrazione (alcune per via orale, altre iniettive o miste), con vari effetti sui costi, sull'organizzazione del trattamento e, ovviamente, sul paziente.

Sotto il profilo dell'impatto economico è di cruciale importanza capire non soltanto qual è il farmaco, ma anche qual è la sequenza maggiormente "costo-efficace".

Uno studio su dati retrospettivi di 236 pazienti raccolti nel 2008 e pubblicato nel 2013 sulla rivista Tumori, ancora attuale, dimostra che il paziente con mieloma multiplo comporta mediamente un costo sociale di circa 20mila euro, più elevato (oltre 59mila euro) per i pazienti trapiantati, e che il paziente in remissione costa circa un terzo rispetto a quello in trattamento farmacologico. Questo significa che la

remissione produce un risparmio per il Sistema sanitario nazionale. Uno dei fattori più impattanti sulla perdita di produttività è la morte prematura e l'impatto sociale nel caso del mieloma multiplo è relativamente inferiore rispetto all'impatto sul Sistema sanitario.

Di fatto ben i due terzi dei costi a carico del Sistema sanitario nazionale sono rappresentati rispettivamente da prestazioni di ricovero generate dai trapianti e dai farmaci immunomodulatori e antineoplastici, sia di prima linea sia di terapia induttiva o di seconda e terza linea nel paziente recidivante.

Per quanto riguarda invece le evidenze di costo/efficacia dei farmaci per mieloma multiplo, va ricordato che per costo/efficacia si intende il confronto da una parte i costi incrementali di un nuovo farmaco (ossia i costi del farmaco, i costi collegati alla

Il costo del MM in Italia: le caratteristiche dello studio Petrucci et al, 2013

- Studio retrospettivo, su popolazione prevalente
- Cinque centri, 236 pazienti (età media 66,4)



Figura 2: Il costo del mieloma multiplo in Italia

somministrazione, al monitoraggio e agli eventi che quel farmaco produce, per effetti collaterali indotti o evitati dal farmaco stesso) e dall'altra i benefici: l'obiettivo è quello di misurare i vantaggi in maniera trasversale rispetto ai diversi farmaci e alle diverse indicazioni terapeutiche.

Un beneficio che viene utilizzato ciclicamente nei Paesi Occidentali in cui si utilizza la costo/efficacia per decidere l'accesso di un farmaco è il QALY (*Quality Adjusted Life Years*), un indicatore che integra la sopravvivenza e la qualità di vita del paziente.

L'aumento delle disponibilità terapeutiche offre un notevole vantaggio per il paziente e per il sistema nel suo complesso, grazie a un aumento della competizione. In tale contesto è importante il supporto di analisi sul *Value for Money* sia per i nuovi farmaci sia per le sequenze terapeutiche, ricordando però che nella gestione del percorso di un paziente non rientra soltanto il farmaco ma anche il costo della sua somministrazione, la gestione degli eventi avversi e la gestione delle recidive. In termini prospettici, un ulteriore passo in avanti potrebbe essere correlato a un'identificazione effettiva della predittività della risposta dei pazienti alle terapie.

Conclusioni

La realtà dell'oncoematologia esemplifica bene l'attuale stato in cui versa il Sistema Sanitario: le tecnologie diventano sempre più complesse e numerose, i farmaci hanno costi molto elevati e le patologie tendono a cronicizzarsi

per cui le terapie aumentano di durata, ma portano a un miglioramento della qualità di vita del paziente. Tutti questi fattori hanno un impatto sulla spesa sanitaria a cui Stato e Regioni faticano per il momento a rispondere: diventa così indispensabile aumentare l'efficienza delle reti, migliorare l'appropriatezza diagnostica e terapeutica e recuperare risorse attraverso la razionalizzazione della spesa pubblica. Soltanto attraverso una collaborazione efficiente tra le strutture e i professionisti coinvolti nei processi di diagnosi, cura e trattamento sarà possibile ottenere risultati soddisfacenti a vantaggio della qualità assistenziale, dell'efficienza e dell'equità nell'accesso alle cure e nell'erogazione delle prestazioni sul territorio nazionale.

Italian Health Policy Brief

Anno VII
Speciale 2017

Direttore Responsabile
Stefano Del Missier

Direttore Editoriale
Marcello Portesi

Editore



Altis Omnia Pharma Service S.r.l.
Viale Sarca, 223
20126 Milano

Contatti redazione
Tel. +39 02 49538300
info@altis-ops.it

www.altis-ops.it

Comitato degli esperti:

Achille Caputi
Claudio Cricelli
Nello Martini
Antonio Nicolucci
Annarosa Racca
Francesco Ripa Di Meana
Ketty Vaccaro
Antonello Zangrandi

Tutti i diritti sono riservati, compresi quelli di traduzione in altre lingue. **Nota dell'Editore:** nonostante l'impegno messo nel compilare e controllare il contenuto di questa pubblicazione, l'Editore non sarà ritenuto responsabile di ogni eventuale utilizzo di questa pubblicazione nonché di eventuali errori, omissioni o inesattezze nella stessa. Ogni prodotto citato deve essere utilizzato in accordo con il Riassunto delle Caratteristiche di Prodotto (RPC) fornito dalle Case produttrici. L'eventuale uso dei nomi commerciali ha solamente l'obiettivo di identificare i prodotti e non implica suggerimento all'utilizzo.