

Percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali, cronicità e rarità

Il percorso per garantire la presa in carico del paziente e l'equità nell'accesso alle prestazioni

Nelle passate stagioni, molta della sua attenzione è stata centrata sulla definizione e l'attuazione dei Percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali (Pdta) per le patologie croniche. Da dove deriva l'attuale centralità dei Pdta?

La nuova programmazione delle cure primarie, con l'istituzione delle aggregazioni funzionali territoriali e delle unità complesse delle cure primarie, ridisegna le strategie di governo della cronicità, con la presa in carico del paziente secondo il *chronic care model* di ispirazione statunitense e il modello delle reti cliniche integrate e strutturate. Come sappiamo, lo strumento operativo per la presa in carico del paziente cronico e delle comorbidità è costituito dai Pdta, che rappresentano pertanto l'architettura del nuovo sistema assistenziale.

Nell'ambito della Fondazione Ricerca e sviluppo, portiamo avanti il progetto Pdta Lab che ha diversi obiettivi. In primo luogo, la ricognizione di tutti i Pdta approvati dalle regioni, suddivisi per patologia e per singola regione; poi la valutazione dei singoli Pdta secondo quattro matrici: quella puramente descrittiva e quelle assistenziale, organizzativa e farmacologico-terapeutica. Infine, il calcolo e la verifica degli indicatori di prevalenza, di processo e di esito dei Pdta.



Intervista a
Nello Martini

Presidente
Fondazione
Ricerca e sviluppo

e rarità) prendendo in considerazione i Pdta assunti dalle regioni per la presa in carico di pazienti con malattie rare e i farmaci orfani che il servizio sanitario nazionale ha reso disponibili e rimborsabili per tali patologie.

Quali dati sono stati evidenziati, a livello macro, dal progetto Pdta Lab?

Dal 2012 al 2017 sono stati censiti 463 Pdta, di cui 262 relativi a patologie croniche e 205 a malattie rare. I 205 Pdta per le patologie rare, a differenza di quelli per le patologie croniche che sono distribuiti su tutto il territorio nazionale, sono stati rinvenuti solo in alcune regioni. Nello specifico, il maggior numero di Pdta per le patologie rare è stato rinvenuto in Lombardia (109 Pdta), dove è presente la rete per le malattie rare coordinata dall'Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri di Milano. Il numero risulta più alto anche in altre regioni, in cui sono attive le reti per le malattie rare, in particolare Lazio (64) e Toscana (15). L'analisi delle aree cliniche in cui rientrano le patologie rare oggetto dei Pdta analizzati, mostra che queste sono prevalentemente malattie del sistema nervoso (48 Pdta), seguite da quelle del sistema muscoloscheletrico (31 Pdta) e dalle malattie congenite (27 Pdta).

Cosa si può dire, invece, riguardo i farmaci orfani?

I farmaci orfani per le malattie rare autorizzati e rimborsati dal Sistema sanitario nazionale sono 27. Quasi nella metà dei casi (13) riguardano le malattie rare e croniche da deficit enzimatico. Il restante 50 per cento è distribuito quasi pariteticamente tra farmaci per le malattie rare e croniche di tipo immunologico (4), farmaci per la ipertensione polmonare (4), farmaci per la fibrosi cistica (3) e per altre malattie rare e croniche (3). Su base annua, la spesa complessiva per i farmaci orfani per le malattie rare e croniche risulta essere pari a 348 milioni di euro.

A quali aspetti dovrebbe prestare attenzione una diversa governance farmaceutica?

La valutazione di sicurezza e di efficacia dei farmaci orfani suggerisce alcune riflessioni importanti. In primo luogo, la valutazione dello status – per così dire – di farmaco orfano per i medicinali che, inizialmente approvati per una singola patologia rara, trovano successivamente indicazione anche in altre aree cliniche, ampliando considerevolmente – se non il numero di pazienti trattati – il peso sui costi complessivi del servizio sanitario.

Poi, a distanza di alcuni mesi dalla definizione di nuovi criteri per il giudizio sull'innovatività dei medicinali, sarà importante seguire con attenzione il lavoro del Grade working group alla metodologia per la determinazione di raccomandazioni nelle inevitabili condizioni di incertezza che caratterizzano gli studi condotti su popolazioni molto ristrette o, addirittura, su serie di casi.

Infine, la necessità di lavorare sull'affidabilità dei dati che derivano dalla cosiddetta *real world evidence*. Il monitoraggio della sicurezza e dell'efficacia dei medicinali introdotti nella pratica clinica con procedure accelerate o condizionate è uno degli aspetti più rilevanti, soprattutto nel momento in cui l'attenzione si centrerà sulla valutazione del singolo agente nel contesto del percorso assistenziale. ▣

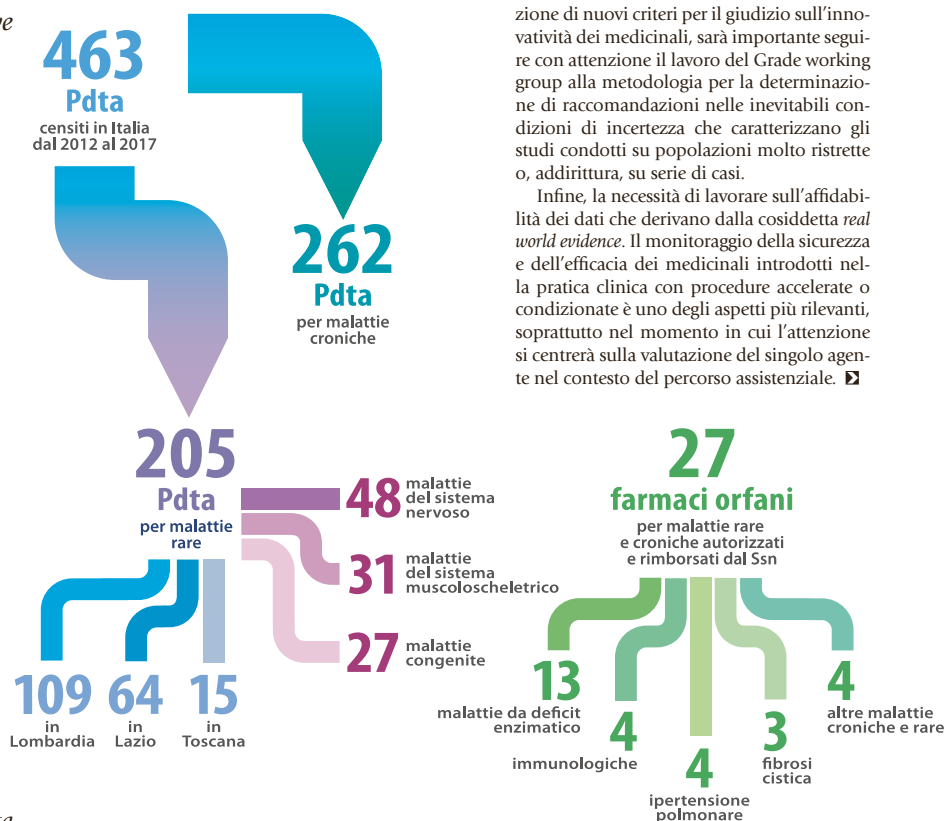
“ I Pdta rappresentano l'architettura del nuovo sistema assistenziale.

Di cosa disponiamo, invece, per quanto riguarda le malattie rare?

Come premessa, direi che i termini "rarità" e "cronicità" in medicina fanno riferimento a due entità che non sono state mai esaminate congiuntamente ma sempre analizzate in modo separato. Nel nostro paese, soprattutto negli ultimi mesi, quando si parla di cronicità si fa riferimento al Piano nazionale e ai Piani regionali sulla cronicità per la presa in carico dei pazienti cronici attraverso i Pdta.

In questa dimensione la cronicità viene assunta come condizione life-time per patologie o multimorbidità ad alta prevalenza sociale. In particolare, nel Piano nazionale della cronicità si fa riferimento a sei principali aree cliniche: quella delle malattie croniche renali, l'artrite reumatoide, le malattie infiammatorie intestinali (morbo di Crohn e colite ulcerosa), lo scompenso cardiaco, il morbo di Parkinson e la broncopneumopatia cronica ostruttiva e l'asma.

Al contrario, quando si parla di rarità si fa riferimento alle malattie rare e, in termini di assistenza farmaceutica, ai farmaci orfani rimborsati per il trattamento delle malattie rare e croniche. Per tale motivo è necessario assumere un punto di vista diverso e specifico che osservi le due dimensioni (cronicità



“ Serve assumere un punto di vista diverso e specifico che osservi le due dimensioni (cronicità e rarità) prendendo in considerazione i Pdta.

Le vie per la presa in carico dei pazienti rari