

2 Farmaci biologici e sicurezza dei pazienti

I malati reumatici italiani da circa una decina di anni hanno a disposizione i farmaci biologici e recenti indagini hanno confermato senza ulteriore ombra di dubbio che terapie appropriate cambiano radicalmente la vita.

Recentemente a Roma sono stati presentati i dati relativi allo studio RAPSODIA. Dal punto di vista del malato il risultato davvero straordinario che emerge è quello della percentuale pari al 93,9% di persone affette da patologie reumatiche che hanno visto migliorare la qualità della loro vita grazie al trattamento con i farmaci innovativi.

I risultati dello studio RAPSODIA sono la validazione scientifica del fatto che le terapie biologiche costituiscono uno strumento essenziale per il controllo e il miglioramento dei sintomi. La riduzione del dolore è il beneficio più rilevante che l'avvento della terapia biologica ha offerto ai malati di malattie reumatiche autoimmuni, testimoniato dal 91% della popolazione dello studio; va sottolineata anche la riduzione del numero di recidive, confermata dal 79% dei pazienti, e la percezione di una minore stanchezza da parte del 60% dei malati. Queste percentuali sono estremamente significative e incitano a dire che questi farmaci sono una realtà validata e che è fondamentale siano opportunamente

utilizzati. Anche il rapporto con il lavoro cambia. L'indagine ci dice che il 75% dei pazienti in terapia biologica ha ridotto il numero di giorni in cui, a causa della malattia, deve rinunciare all'attività lavorativa.

Questa rilevazione conferma come l'utilizzo di tali terapie, invece di costituire un costo non gestibile, rappresenti un beneficio non solo per il welfare, ma per la società tout court. Non avere la malattia controllata significa svegliarsi la mattina e non riuscire a muoversi: le mani sono rigide e solo appoggiare i piedi in terra provoca dolore, per cui non ci si riesce a vestire da soli, si ha bisogno di tempo per iniziare la giornata e, soprattutto, di una persona che ti assista. Il problema della mancanza di autonomia e una condizione di dolore intenso e persistente sono, secondo la mia personale esperienza, gli aspetti di maggiore impatto nella gestione della quotidianità, che modificano profondamente la percezione della propria vita. Da non trascurare sono anche gli aspetti psicologici quali demotivazione, introversione, rifiuto degli altri, attitudini che inevitabilmente si scatenano nel vissuto della persona.

Purtroppo in Italia sussiste un forte ritardo nel diffondere informazioni sui danni che le malattie reumatiche autoimmuni provocano se non opportunamente trattate. Questo ritardo ha consolidato un atteggiamento poco sensibile delle politiche sanitarie, che non tengono conto dell'effetto e della ricaduta a lungo termine delle malattie reumatiche autoimmuni, ovvero invalidità,

La qualità di vita e i bisogni dei pazienti con artrite Reumatoide, Artrite Psoriasica e SpOnDilite Anchilosante

Lo studio osservazionale RAPSODIA è la prima grande ricerca basata su dati clinici validati mai realizzata in Italia sulla qualità di vita e le esigenze dei pazienti affetti da malattie reumatiche. Nella ricerca – promossa e sostenuta da MSD – sono stati coinvolti 743 pazienti (432 donne e 311 uomini) di 16 centri di reumatologia distribuiti sull'intero territorio nazionale: 328 con artrite reumatoide, 215 con artrite psoriasica e 200 con spondilite anchilosante. Ai pazienti è stato somministrato un questionario con circa 60 domande, tese a investigare:

- i vissuti e le problematiche legate alle patologie;
- l'impatto sulla qualità di vita (QdV);
- la percezione dei risultati della terapia sulla sintomatologia e sulla progressione della malattia;
- le necessità non soddisfatte (*unmet needs*) derivate dalla terapia tradizionale e/o con farmaci biologici;
- i vantaggi percepiti dal paziente con l'introduzione dei farmaci biologici.

Qualità di vita

I risultati del questionario confermano su base scientifica il dato del pesante impatto di queste patologie sulla qualità di vita dei pazienti:

le malattie reumatiche condizionano, anche drammaticamente, l'esistenza di persone per lo più giovani e in età lavorativa, devastandone la quotidianità, il tessuto delle relazioni e la capacità di svolgere le principali attività.

Le malattie reumatiche non peggiorano notevolmente solo la qualità di vita di coloro che ne sono affetti; dalla condizione invalidante che producono deriva la percezione di una difficile e sofferta condizione psicologica, dominata dallo sconforto e dalla prostrazione.

Ripercussioni sulle attività lavorative

La grave inibizione dell'autonomia e gli impedimenti nella gestione della quotidianità non si riflette negativamente solo sulla dimensione psicologica degli individui affetti dalle malattie reumatiche autoimmuni, ma investono pesantemente anche la più ampia sfera sociale e lavorativa:

- per tutti l'insorgere della patologia ha comportato una riduzione media dei guadagni pari al 9,3%;
- il 34,6% ha avuto difficoltà a essere efficiente;
- l'11,7% ha dovuto assentarsi per un maggior numero di giorni per malattia;
- il 7,9% è stato costretto a smettere di lavorare.

La grande opportunità delle terapie biologiche

Rispetto a un quadro di così grande difficoltà, l'avvento delle terapie biologiche ha costituito un vero *turning point*, consentendo di soddi-

necessità di assistenza e perdita di capacità lavorativa. Quindi politiche sanitarie poco attente alla programmazione e alla gestione sul lungo termine a livello locale, regionale e su tutto il territorio nazionale.

È necessario ricordare che solo 4 Regioni in Italia citano nel loro Piano Sanitario Regionale le patologie reumatiche. Inoltre oggi assistiamo alla necessità da parte delle Regioni di mettere in atto una politica di risparmio a tutti i costi nei confronti delle cure. I farmaci biologici costano e questo induce alcune Regioni a sostenere: "Facciamo un bando di gara, chi offre il prezzo più basso vince!".

Non dobbiamo però dimenticare che esistono più farmaci perché devono rispondere ad esigenze diverse, che ogni malato è un soggetto unico e irripetibile con le sue caratteristiche e la sua diversità e che proporre un farmaco unico di riferimento è assolutamente in contrasto con le esigenze delle persone. Io, persona malata, rivendico la necessità che il medico debba avere la libertà di scegliere il farmaco più adatto per curare al meglio il suo paziente. Se vi saranno limitazioni nei farmaci a disposizione, chi mi assicura che il medico avrà fatto il meglio per la mia situazione?

I malati sono impegnati a far capire a chi programma la sanità che sono altri i fronti su cui tagliare e riorganizzare e che il cittadino malato, proprio perché anello debole della catena, va tutelato e soprattutto curato nel modo migliore.

Ormai siamo alla svolta. Tra poco anche in reumatologia, scaduti

i brevetti, si aprirà l'era dei biosimilari: farmaci biologici 'copiati' dagli originali saranno a breve a disposizione anche in Italia e come malati siamo partecipi di questo ulteriore cambiamento epocale. Il 25 novembre, a Rimini, nel convegno organizzato da ANMAR nell'ambito del congresso SIR, i malati hanno affrontato questo problema. Le prospettive sono favorevoli per quanto riguarda i costi, che saranno sicuramente più competitivi. Quello che interessa molto di più alla persona malata è la sicurezza. "Il processo di sintesi del farmaco biosimilare non è mai del tutto fedele a quello dell'originatore – ha affermato la professoressa Debetto – e ciò può comportare problemi di efficacia e sicurezza, che possono allarmare i pazienti. Le molecole biologiche sono estremamente complesse e il sito produttivo riveste un'importanza determinante.

Quando questi nuovi farmaci entreranno nel mercato e saranno disponibili sarà indispensabile attivare un confronto che coinvolga i diretti interessati, cioè le persone malate, perché nessuna incertezza deve accompagnare un trattamento terapeutico. Non vogliamo che esigenze di bilancio possano pregiudicare la sicurezza di noi malati attraverso il ricorso ai farmaci biologici in versione generica.

Bisogna stare in guardia affinché non passi una logica del risparmio a tutti i costi.

Gabriella Voltan

Associazione Nazionale Malati Reumatici - ANMAR

sfare le necessità essenziali che permangono quando le terapie tradizionali falliscono, i cosiddetti *unmet needs*.

Il 94% dichiara, infatti, che la somministrazione dei farmaci biologici è in grado di alleviare completamente i sintomi delle patologie: ciò è particolarmente vero nel caso della spondilite anchilosante, a fronte del 50% circa di pazienti che dichiara di non aver ricevuto alcun miglioramento dei sintomi dalla terapia convenzionale.

La medesima percentuale (94%) ritiene che i farmaci biologici siano più efficaci di quelli convenzionali nel migliorare la qualità di vita e la capacità di eseguire le attività quotidiane, a conferma di quanto la percezione dei sintomi delle malattie reumatiche autoimmuni corrisponda a un reale deterioramento del piacere di vivere.

Analizzando i dati relativi al numero dei giorni 'buoni' in un mese, cioè quelli nei quali i pazienti possono alzarsi senza avvertire dolore, le terapie biologiche ottengono dei risultati notevolmente maggiori:

- nell'artrite reumatoide i pazienti che riescono ad avere più di 15 giorni 'buoni' al mese salgono da 16 a 145 dopo le terapie biologiche (incremento del 65,9%), a fronte dei 12 in terapia convenzionale che arrivano, dopo la somministrazione, solo a 38 (incremento del 10,9%);
- nell'artrite psoriasica l'incremento è del 70,1% per i pazienti in terapia biologica (da 22 a 103 pazienti) a fronte del 34,5% per i pazienti in terapia convenzionale (da 11 a 20);
- nella spondilite anchilosante l'incremento realizzato dalle terapie biologiche è ancora maggiore, così come lo scarto rispetto alle te-

rapie convenzionali: 78,1% (da 15 a 118 pazienti) a fronte del 26,8% (da 8 a 11 pazienti).

Anche dal punto di vista lavorativo i dati relativi alle terapie biologiche indicano un netto miglioramento delle performance: il 75% dei pazienti intervistati afferma che, dall'assunzione dei farmaci biologici, ha visto aumentare il numero dei giorni in cui, per assenza di dolore e contrazioni nel movimento, ha potuto lavorare. Un ulteriore punto di forza offerto dalle più recenti terapie biologiche è la possibilità di autosomministrazione mensile, preferita dal 69% dei pazienti in trattamento intervistati. La valutazione complessiva dei pazienti sul trattamento con farmaco biologico è, infine, del tutto positiva:

- per il 97% rallenta la progressione della malattia;
- per il 96% limita l'avanzamento delle deformità articolari;
- per il 95% assicura sollievo di lunga durata;
- per il 93% provoca meno ricadute;
- per il 91% riduce il dolore e il gonfiore.

Gli *unmet needs*, ossia i bisogni non completamente coperti dai farmaci biologici, si riferiscono principalmente alla modalità di somministrazione dei farmaci, che sembra recare dolore e disagio nei pazienti. In particolare:

- per il 19% l'iniezione provoca malessere generale;
- per il 20% l'iniezione provoca dolore;
- per il 26% l'iniezione provoca irritazione/dolore.