

Empowerment del paziente e terapie personalizzate: a che punto siamo?

Non si può parlare di paziente al centro se si pensa solo ed esclusivamente ad un risparmio economico. La salute di tutti i cittadini non è un costo ma un investimento per la società, e i nostri decisori politici dovrebbe saperlo. A maggior ragione lo è per chi è affetto da una patologia come la nostra che, se non è diagnosticata in tempo, comporta il sopraggiungere di gravi disabilità con un peggioramento significativo della qualità di vita e un aumento delle spese da affrontare.

Sicuramente un paziente partecipa del suo percorso di cura aderirà meglio alla terapia, ma sarà anche un paziente più esigente rispetto al proprio medico, che però non potrà sempre venire incontro alle richieste del paziente e offrire di più perché bloccato dalla burocrazia. Questo non significa che noi, come Associazione, siamo contro la prescrizione di determinati farmaci, ma semplicemente che deve essere sempre il medico a decidere la terapia, non le Regioni al suo posto.

La ricerca per noi ha fatto passi avanti, tanto è che oggi parliamo di terapie personalizzate. Proprio per questo continueremo a muoverci per il bene dei pazienti in collaborazione con le società scientifiche e le altre Associazioni. Le Associazioni dei pazienti devono essere coinvolte nei percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali e riabilitativi, devono essere presenti nei tavoli decisionali, ma soprattutto devono essere ascoltate, perché hanno il grande potere di esprimere le esigenze di chi sul campo affronta la burocrazia e la vita quotidiana, persone che – rispetto ad altre – hanno sempre qualcosa in meno. ■ ML

Malattie reumatiche e rare: i nuovi LEA e i piccoli pazienti

Una domanda a **Antonella Insalaco**

UO Reumatologia, IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma

Il decreto sull'ampliamento dei livelli essenziali di assistenza varato a gennaio di quest'anno viene effettivamente incontro anche alle esigenze dei pazienti affetti da malattie reumatiche e rare?

Ci sono sicuramente molti elementi positivi in questo nuovo decreto, che ridefinisce dopo 16 anni dalla loro introduzione i livelli essenziali di assistenza in ambito ospedaliero e territoriale. Intanto vengono individuate in modo più chiaro e dettagliato le prestazioni garantite ai cittadini e vengono introdotte anche prestazioni tecnologicamente avanzate, tra cui quelle relative alla genetica.

Questo aspetto è fondamentale in ambito pediatrico e reumatologico, perché le prestazioni di genetica servono ad individuare precocemente, a volte pochi giorni dopo la nascita, le malattie infiammatorie.

Sempre restando nel campo di interesse delle patologie reumatiche, il decreto snellisce le pratiche burocratiche e accorcia i tempi necessari alla fornitura di assistenza protesica. Questi risultati si sono ottenuti grazie alla collaborazione tra Sta-

Malattie reumatiche e rare: le reti amiche

Una domanda a **Domenica Taruscio**

Direttrice del Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

European reference networks: cosa sono e perché sono importanti?

Sono reti virtuali di riferimento europeo (European reference networks - ERNs), costituite attraverso un processo di *call for proposal* promosso dalla Commissione europea e che rivoluzioneranno nei prossimi anni l'organizzazione delle malattie complesse e rare. Per ora sono 24, ognuna con un proprio coordinatore nominato su base volontaria, che riuniscono tutti i centri

di eccellenza a livello europeo in uno specifico ambito clinico. Ogni centro che fa parte della rete deve rispettare determinate caratteristiche e avere ottenuto l'*endorsement* del proprio Ministero della Salute. In Italia il Ministero si è avvalso per la selezione dei Centri della collaborazione dell'Istituto Superiore di Sanità.

Il nostro Paese coordina due reti di riferimento europeo: la rete sulle malattie del sistema osteomuscolare e del tessuto connettivo, chiamata ReCONNECT e guidata dalla professoressa Marta Mosca dell'Azienda Ospedaliero Universitaria Pisana, e la rete sulle patologie ossee, chiamata BOND e che fa capo al dottor Luca Sangiorgi, dell'Istituto Ortopedico Rizzoli di Bologna.

Anche se il coordinamento è solo di 2 reti, di queste e delle altre 22 fanno comunque parte molti centri italiani. Tra i parametri presi in considerazione per ottenere l'*endorsement* del Ministero vi è la segnalazione dei casi di malattia al Registro

to, Regioni, Istituzioni e Società scientifiche. Almeno sulla carta vengono quindi superate le difformità esistenti a livello territoriale sia in termini di livelli di assistenza sia di erogazione di trattamenti usufruibili. Ovviamente bisogna fare in modo che tutti i pazienti che hanno maggiori bisogni ricevano realmente di più e che i medici siano messi nelle condizioni di poter dare di più, perché i pazienti possano usufruire delle prestazioni di cui hanno bisogno sul loro territorio evitando i viaggi della speranza. Tutti i pazienti, indipendentemente dalla Regione di residenza, devono avere lo stesso diritto alle cure.

Un altro aspetto prioritario del decreto è che ha comunque ampliato l'elenco delle malattie rare. Restando nell'ambito reumatologico, sono state inserite alcune malattie finora bistrattate e orfane, come le febbri periodiche ereditarie geneticamente determinate, e tutte le malattie infiammatorie come la sarcoidosi, la fibrosi e la sclerodermia. Ricordiamoci che per tutte queste patologie le prestazioni sono esenti dal pagamento del ticket. Ovviamente ci sono ancora delle patologie escluse, come la malattia di Kawasaki, e alcuni aspetti da migliorare nelle stesse patologie incluse. Nell'ambito delle malattie croniche, per esempio, è stata inserita l'osteomielite cronica infiammatoria, ma per la stessa patologia cronica alcune prestazioni sono esenti e altre no.

Possiamo dire che questo decreto è un buon punto di partenza, ma certamente non un punto di arrivo: per questo bisogna fare gli auguri di buon lavoro alla Commissione nazionale per l'aggiornamento continuo dei Lea, perché la collaborazione tra medici e istituzioni possa consentire di tendere la mano ai pazienti e raggiungere un'adeguata qualità dell'assistenza. ■ ML



Nazionale delle Malattie Rare gestito dall'Istituto Superiore di Sanità. Mi preme ricordare questo aspetto per sottolineare l'importanza dei registri di patologia.

La bella notizia è che, grazie a queste 24 reti europee, ben 900 *health care provider* sono legati in tutta Europa da un filo invisibile che consente di far viaggiare le conoscenze. Sebbene queste reti siano nate per garantire il diritto dei pazienti di spostarsi da uno Stato all'altro per poter ricevere una migliore diagnosi e terapia (*transborder healthcare*), quello che si privilegia ora è invece proprio il trasferimento virtuale delle conoscenze e delle linee guida basate sulle evidenze da un Paese all'altro. Ovviamente queste conoscenze devono poi essere calate nelle realtà di ogni singolo Paese. È per questo che, accanto al coordinamento scientifico delle reti, esiste un coordinamento parallelo dei Ministeri della Salute. Ogni centro di eccellenza e ogni paziente appartiene infatti a uno

degli Stati membri e tutti i singoli *health care provider* sono finanziati dai singoli Stati, ognuno con la sua *governance* in materia di assistenza sanitaria. Una delle molte sfide da affrontare sarà quindi proprio proprio quella di riuscire a creare una *governance* europea, riconosciuta da tutti i Paesi che partecipano a queste reti.

Non è poi solo compito dei medici quello di essere uniti, ma anche dei pazienti. È per questo che EURORDIS, la federazione europea dei pazienti, ha lanciato l'idea di affiancare alle reti dei professionisti quelle dei rappresentanti dei pazienti. Gli ePAGs (European Patient Advocacy Groups) sono nati proprio per coinvolgere le associazioni dei pazienti e garantire un processo democratico di rappresentanza dei malati nei processi decisionali riguardanti le reti di riferimento europee. ■ ML