



Con il patrocinio della



**BOLOGNA**

**HOTEL BOLOGNA FIERA**  
Piazza della Costituzione, 1

**8 MAGGIO 2019**

**DALLA BIOLOGIA MOLECOLARE  
ALLA TERAPIA DI PRECISIONE**  
IL FAST TRACK DI UNA ONCOLOGIA PERSONALIZZATA



**DOCUMENTO DI SINTESI**

**CONGRESSO “DALLA BIOLOGIA MOLECOLARE ALLA TERAPIA DI PRECISIONE IL FAST TRACK DI UNA ONCOLOGIA PERSONALIZZATA”**

**Bologna, 8 maggio 2019**

Hotel Bologna Fiera, Piazza della Costituzione 1

L'evento è stato promosso da **Motore Sanità** con il patrocinio della **Regione Emilia-Romagna** e dalla **Conferenza delle Regioni e delle Province Autonome** e con il contributo incondizionato di **Roche** e **IT-MeD**

La farmacologia negli ultimi anni ha subito enormi trasformazioni, passando da quella che è stata definita la fase “chimica” a quella attuale “biotecnologica” e di conseguenza la medicina si sta affacciando ad una nuova fase terapeutica, quella della medicina di precisione tramite le analisi genetiche. Se i presupposti e la realtà di tale cambiamento sono esaltanti meno definito è l’impatto che tali terapie comporteranno sul SSN dal punto di vista economico ed organizzativo. L’obiettivo dell’evento in oggetto è stato appunto quello di analizzare tutti gli aspetti inerenti la Target Therapy in oncologia, per fornire sia agli esperti che ai legislatori un quadro per le azioni future.

## **-INNOVAZIONE E NUOVE TECNOLOGIE NEL SISTEMA SANITARIO DAL PIANO- NAZIONALE ALLE RETI REGIONALI**

L'innovazione tecnologica e l'adozione di nuove tecnologie all'interno delle strutture sanitarie del Servizio Sanitario Nazionale e dei Servizi Sanitari Regionali, deputati a organizzare e garantire l'assistenza sanitaria dei cittadini nel rispetto dei LEA, rappresentano una sfida necessaria quanto complessa. In particolare, nel campo di patologie ad elevato impatto sociale ed altissimo costo economico come quelle oncologiche. È dunque imprescindibile una gestione attenta delle risorse disponibili che, peraltro, vedono un finanziamento sempre più contenuto (rapporto spesa sanitaria/PIL che mostra per i prossimi anni un tendenziale del 6.4%). Per affrontare la sfida dell'innovatività all'interno dell'organizzazione dell'assistenza ai pazienti oncologici è necessario affiancare all'articolato sistema normativo di governo del livello centrale, lo sviluppo a livello regionale di strumenti più propriamente di governo clinico che valorizzino la partecipazione responsabile dei professionisti. L'implementazione delle reti oncologiche regionali, la definizione dei percorsi assistenziali, attraverso i processi della multidisciplinarietà, della condivisione di casistica, di risorse di alta specializzazione e dell'allocazione ottimale delle medesime, possono promuovere appropriatezza diagnostico-terapeutica e organizzativa ed equità di accesso e trattamento, espressione del diritto del cittadino alla migliore cura disponibile, in qualunque struttura venga curato. Attraverso un processo di riprogrammazione la rete oncologica può essere un valido alleato alla sostenibilità del sistema e grazie all'attrazione di investimenti può richiamare ricerca e sviluppo di nuova innovazione.

In quest'ottica, l'attività di governance dei SSR non può prescindere da una rinnovata alleanza tra policy maker e professionisti che, attraverso la rete clinica, contrasti gli effetti negativi dei processi di alta concentrazione per orientare le risorse verso servizi e prestazioni di alto valore aggiunto. Per questo c'è necessità di dotarsi di meccanismi di confronto sistematico per la valutazione dei processi, dei trattamenti e degli esiti clinici e soprattutto di leve motivazionali alla partecipazione e al miglioramento della pratica clinica.

## **-PRESENTE E FUTURO DELLA MEDICINA DI PRECISIONE IN ONCOLOGIA-**

La medicina di precisione con la ricerca di marcatori molecolari interessa trasversalmente tutta l'Oncologia, dalla prevenzione con l'individuazione di fattori di rischio genetico, alla prognosi individuando caratteristiche che evidenziano una maggior o minore aggressività biologica di un tumore o un potenziale rischio di tossicità da farmaci, alla terapia permettendo la selezione dei pazienti per sensibilità o resistenza a specifici trattamenti farmacologici, e quindi ottimizzando l'efficacia delle terapie insieme alla gestione delle risorse. Oggi nella pratica clinica utilizziamo già farmaci oncologici registrati e rimborsati dal nostro SSN con l'impiego di specifici test che ne individuano i bersagli molecolari, quali PD-L1, EGFR, ALK e ROS1 per il carcinoma del polmone, HER2 per il carcinoma della mammella e dello stomaco, RAS per il carcinoma del colon-retto, BRAF per il melanoma, BRCA per il carcinoma dell'ovaio, e cKIT per i GIST. Quest'elenco con il progredire della ricerca e degli studi clinici per nuovi farmaci e con la disponibilità di nuove tecnologie e piattaforme molecolari (che permettono di analizzare più alterazioni molecolari anche contemporaneamente) si implementerà progressivamente e migliorerà ulteriormente l'efficacia dell'Oncologia di precisione. Per quanto riguarda il futuro, gli esperti, hanno sottolineato l'importanza che dovranno avere i PDTA, che possono essere utilizzati come strumento di governance dell'innovazione. Perché un processo strutturato che garantisce condizioni di omogeneità di presa in carico e trattamento, favorendo una più adeguata e più rapida inclusione dell'innovazione nell'offerta sanitaria ed ottimizzando l'uso risorse.

## **-VISION E GOVERNANCE DELLA DIAGNOSTICA MOLECOLARE AVANZATA: TRA- SOSTENIBILITÀ E OUTSOURCING**

L'utilizzo delle analisi NGS per la profilazione genomica in oncologia si sta affermando come elemento imprescindibile per la definizione del percorso di cura per la scelta della terapia più efficace per i pazienti. Tale scenario mina la sostenibilità economica del Sistema Sanitario Nazionale e dunque si tratta di un tema da affrontare con urgenza anche alla luce della poca rilevanza strategica che finora si è attribuito a questo ambito in campo nazionale. Quando si parla di terapie personalizzate non si parla solo di farmaci, perché i test ricoprono un ruolo fondamentale. Nel corso dell'intervento è stata evidenziata la situazione attuale, in cui 21 farmaci rimborsati con richiesta di test bio-molecolari nell'oncologia hanno l'offerta di questi test affetta da diverse criticità: non associazione del farmaco al test, accesso al test, non comparabilità dei test (test con parametri valutati di positività diversi, con sensibilità differenti), differenze di attribuzione di spesa ai test o non attribuzione di spesa. Secondo gli esperti è necessario definire le indicazioni di test e definire in maniera chiara i requisiti necessari ai laboratori, facendo una chiara distinzione tra laboratori clini e di ricerca e di primo e secondo livello.

## **-IL MOLECULAR TUMOR BOARD PER LA MEDICINA DI PRECISIONE-**

La medicina di precisione si affida tantissimo alle nuove tecnologie però non esclude il medico dal paradigma delle cure, anzi, diventa ancora più indispensabile il suo lavoro e la sua esperienza. Infatti, come spiegato nel corso di questo intervento l'anello di collegamento tra meri dati scientifici e il paziente viene svolto dai Molecular Tumor Board. Oncologi, biologi molecolari, genetisti, anatomo-patologi e farmacologici devono collaborare e confrontarsi per interpretare i dati genetici e molecolari e decidere, grazie alla loro esperienza, la strategia terapeutica adeguata. Un aspetto fondamentale che richiede una grande attenzione da parte dei manager e che è stata attentamente analizzata nel corso del convegno per trovare le migliori soluzioni di governance.

## **-QUALI PERCORSI PER GARANTIRE STANDARDIZZAZIONE E RIPRODUCIBILITÀ- DEI PROCESSI IN BIOLOGIA MOLECOLARE**

La caratterizzazione molecolare è parte integrante e necessaria dell'iter diagnostico e terapeutico dei pazienti con tumori solidi. Le nuove tecnologie disponibili di sequenziamento massivo parallelo (NGS) hanno determinato una transizione da un approccio a singolo gene verso una strategia multi-gene con un miglioramento della efficienza e del rapporto costo/beneficio delle analisi di diagnostica molecolare. Tuttavia, la rapidità della evoluzione tecnologica e l'impatto terapeutico sui pazienti richiedono un attento controllo dei processi e delle fasi pre-analitica, analitica e post-analitica dei test. L'istituzione di tumor molecular boards a livello locale o Regionale rappresenta il miglior strumento per garantire la qualità e la riproducibilità dei test. Perché, come sottolineato dagli esperti, un test sbagliato equivale esattamente alla somministrazione di un farmaco sbagliato.

## **-LE INFORMAZIONI PER I CITTADINI: TRA DIRITTI E ASPETTATIVE-**

Questo nuovo approccio terapeutico, come dimostrato nel corso del convegno, è utile per il paziente e vantaggioso per il SSN, quindi bisogna che questo valore venga riconosciuto anche a livello politico-amministrativo, assicurando di conseguenza l'equità di accesso a queste piattaforme all'interno del SSN e la possibilità da parte del sistema di valutare le soluzioni migliori offrendo chiare informazioni sull'impatto reale di tali terapie al fine di evitare speranze non corrispondibili. Un impegno condiviso anche dall'associazione Cittadinanza Attiva che nel corso dell'evento ha rappresentato il punto di vista del cittadino.

## **-LO SVILUPPO DELLA MEDICINA DI PRECISIONE QUALI MODELLI?-**

Dopo un'attenta analisi degli impatti che le terapie di precisione hanno e potranno avere sul SSN si è tenuto un tavolo di lavoro che ha visto il coinvolgimento di tutti i partecipanti al congresso. Durante questa discussione tecnica sono state avanzate molte proposte per il futuro. Idee concrete da applicare nei diversi settori della sanità: quello tecnico-scientifico, quello di governance e dal punto di vista della sostenibilità economica.

## **-CONCLUSIONI-**

Il sistema farmacologico è entrato in una nuova Era e le istituzioni sanitarie e politiche non possono farsi cogliere impreparate. Questo evento ha mostrato potenzialità e limiti del nostro Sistema, ed un cambiamento è necessario, altrimenti si rischia di non garantire le migliori cure ai cittadini o di non riuscire a sostenere economicamente il sistema. Un equilibrio è possibile, ma le istituzioni dovranno farsi carico di questi cambiamenti cogliendo le indicazioni e le proposte dagli esperti.

L'evento è stato organizzato da **Motore Sanità** con il contributo incondizionato di



IT-MED

Per ulteriori informazioni e materiale stampa, visitate il nostro sito internet [www.motoresanita.it](http://www.motoresanita.it)

**Ufficio stampa Motore Sanità**

comunicazione@motoresanita.it

**Marco Biondi** – Cell. 327 8920962

**Riccardo Thomas** – Cell. 340 5526793