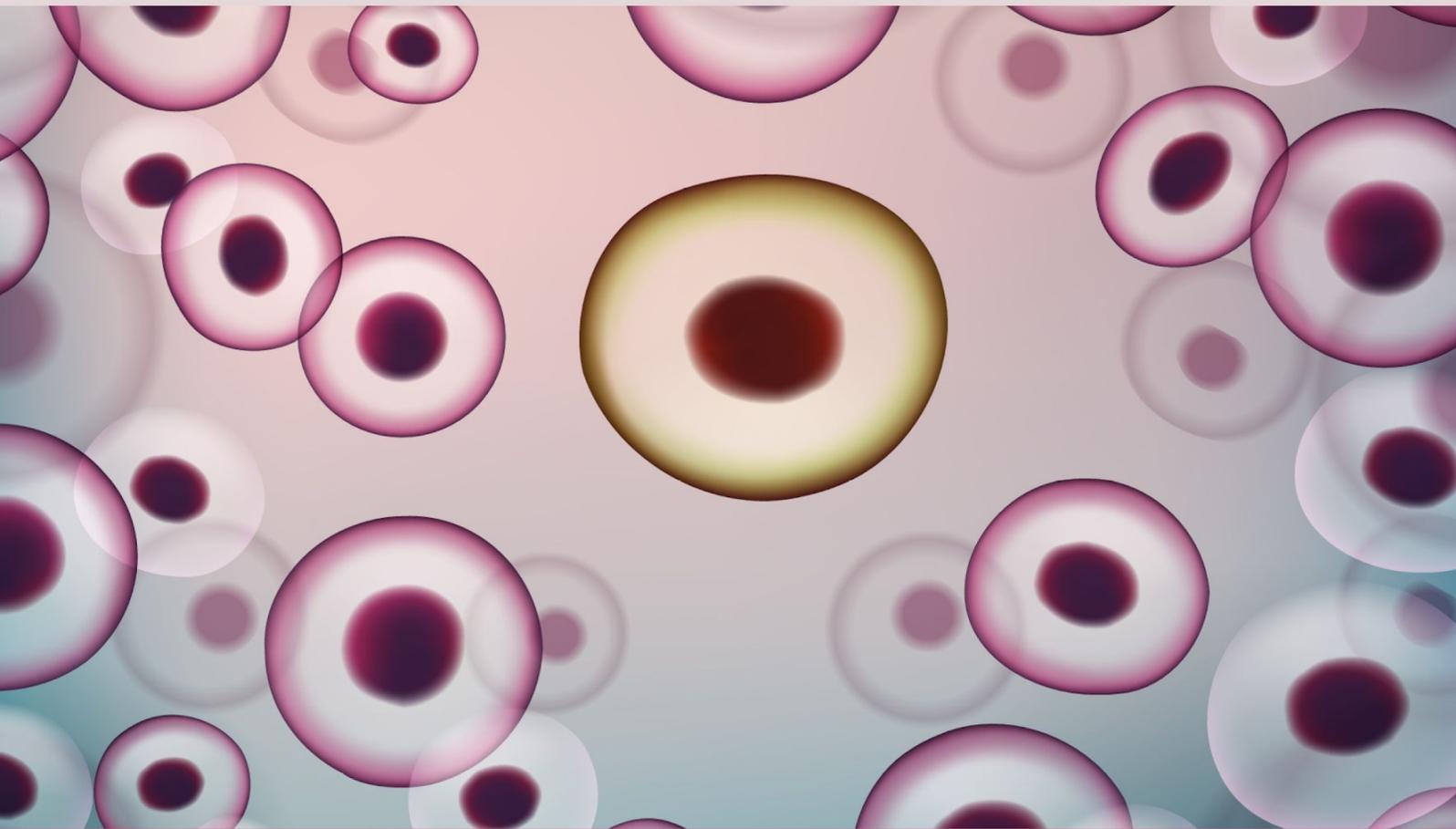


15 DICEMBRE 2020

FOCUS VENETO

GOVERNANCE DELL'INNOVAZIONE IN ONCOLOGIA E ONCOEMATOLOGIA

DOCUMENTO DI SINTESI



www.motoresanita.it

INTRODUZIONE DI SCENARIO

Lo scenario di innovazione tecnologica che si prospetta nei prossimi anni in molte aree terapeutiche è senz'altro molto ricco di contenuti, che fanno ben sperare i pazienti affetti da malattie fino a qualche anno fa a prognosi infausta, in una cronicizzazione se non addirittura in alcuni casi in una guarigione. Un caso paradigmatico di questo evolvere è senz'altro rappresentato dall'oncologia e dall'oncoematologia, dove lo sforzo di trovare sempre migliori armi per combattere malattie prive di terapie efficaci e ben tollerate, è stato ed è una vera e propria lotta contro il tempo, per molti ricercatori, per molti clinici, per molte famiglie. Basti pensare alle ultime linee di terapia del mieloma multiplo per l'oncoematologia, con aspettativa di vita che non va oltre i 9 mesi, o al **tumore ovarico** che con **5.200 nuovi casi annui in Italia** e circa **30mila le donne attualmente in trattamento**, rappresenta il 30% di tutti i tumori maligni dell'apparato genitale femminile. Ma le tante speranze e la grande voglia di innovazione devono trovare conciliazione con la **sostenibilità dei sistemi sanitari** che in tutto il mondo vedono contrarsi gli investimenti attribuiti alla salute. Le reti oncologiche possono dare un grande contributo.

LO STATO DELL'ARTE SUL TUMORE OVARICO E TERAPIE INNOVATIVE

Il tumore ovarico insorge nel 80-90% delle donne di età tra 20-65 anni, è maligno solo nel 15-20% dei casi (nel 90% di questi è diagnosticato in età >40 anni); ha una incidenza di **5200 nuovi casi annui** in Italia (dati 2016) e una **prevalenza di circa 30.000** donne attualmente in trattamento; rappresenta il 30% di tutti i tumori maligni dell'apparato genitale femminile. **La sopravvivenza a 5 anni** è aumentata dal 38% al 41% (nel decennio 1990/94-2000/04) ma se diagnosticato in stadio avanzato si ferma al 25%. Il carcinoma ovarico è uno di quei tumori che ha avuto in questi anni, in tema di innovazione, una accelerazione straordinaria, cioè sta seguendo, seppur con ritardo, la strada della personalizzazione delle terapie, della medicina di precisione e della necessità di una sistema organizzato in rete e in team multidisciplinari, per questo potrebbe dare nei prossimi anni grosse soddisfazioni. Il **Niraparib** è il primo inibitore della poli (ADP-ribosio) polimerasi (PARP) orale in monoterapia approvato per il trattamento di mantenimento di prima linea dopo la risposta al platino indipendentemente dallo stato mutazionale BRCA. Ma si pongono due problemi:

- In un'epoca di grande innovazione tecnologica bisogna ricordarsi che la **chirurgia** è ancora l'arma fondamentale per questo tumore, sia all'inizio che alla recidiva: è necessario potenziare la Scuola di Chirurgia italiana e le reti oncologiche possono aiutare perché possano concentrare la parte chirurgica su alcuni centri.

- La caratterizzazione molecolare del tumore ovarico: identificare le famiglie con mutazione di BRCA significa fare per la prima volta una prevenzione mirata sulla base di un dato molecolare. Il tumore ovarico è l'unico tumore in cui si può fare una **chirurgia molecolarmente guidata**: sulla base di un dato molecolare attraverso una chirurgia preventiva si può prevenire una quota di tumori ovarici che può arrivare al 15-20%.

Proprio per questo, per il tumore ovarico è importantissimo il tema della sostenibilità: **creare non più silos ma percorsi trasversali di cura** che ci consentano di allocare le risorse nel momento in cui servono e nei punti in cui servono, all'interno di reti ben predisposte anche sovraregionali.

LO STATO DELL'ARTE SUL MIELOMA MULTIPLO E TERAPIE INNOVATIVE

Il mieloma multiplo è il secondo tumore del sangue dopo i linfomi, registra **2-4 nuovi casi ogni 100mila persone** ed è in crescita, registrando un'**alta prevalenza legata al fatto che ci sono i nuovi casi ai quali si sommano i pazienti in cui la malattia si è cronicizzata**. La **spettanza di vita** è notevolmente migliorata grazie alle varie terapie disponibili fino a questo momento – si è passati da 3-4 anni fino a 15 anni fa, **a oltre 10 anni**).

Per incidere sulla storia naturale del mieloma e ridurre il numero di pazienti affetti da questa malattia bisogna tener conto però:

- prevenzione primaria, quindi cercare di ridurre l'incidenza dei nuovi casi ogni anno
- essendo tutti farmaci in combinazioni esiste la reale possibilità di sfiorare i budget calcolati nei silos di spesa, per cui è necessaria una concertazione con le aziende farmaceutiche sul prezzo dei farmaci.

Le molecole attualmente disponibili per trattare il mieloma multiplo permettono di controllare la malattia, ma ad un certo punto si verificano delle ricadute che, mano a mano che aumentano, il tumore diventa sempre più resistente alle molecole usate, quindi occorrono nuove terapie. Gli esperti hanno annunciato che presto per il mieloma si potrà stabilire un **percorso terapeutico "chemio free"**, solamente legato ad un approccio di tipo immunoterapico su cui fondare una strategia terapeutica globale. Le terapie messe a punto negli ultimi anni per il mieloma multiplo hanno un bersaglio comune, l'antigene di maturazione delle cellule B, e sono:

- anticorpi monoclonali
- coniugati anticorpo-farmaco (come il **belantamab mafodotin**): l'anticorpo funge da veicolo per trasportare all'interno della plasmacellula mielomatosa una molecola che è in grado di indurre la morte della cellula malata.
- anticorpi bi-specifici

- terapia con cellule Car-T: la terapia è approvata, per il momento, per altre neoplasie del sangue, ma diversi studi mostrano la sua possibile efficacia anche nel trattamento dei pazienti affetti da mieloma multiplo.

Questo quadro mostra che ci sono straordinari passi avanti nel futuro della cura del mieloma, ma pone anche evidenti **problemi di capacità dei sistemi sanitari di affrontare in termini di Costi questo tipo di terapie sempre più personalizzate** e su misura. Gli aspetti su cui porre attenzione:

- la sostenibilità: in ambito sanitario l'Italia spende molto rispetto agli altri paesi europei
- i tempi di accesso a queste innovazioni: nel nostro paese i processi di approvazione poi di trasferimento nella pratica clinica non sono veloci
- la differenza di tempistica nel trasferimento nella pratica clinica di queste innovazioni nei vari contesti regionali, che implica una non equità di accesso
- i meccanismi di valutazione delle innovazioni a livello delle singole Regioni: esiste una grande variabilità: è necessario un maggiore raccordo fra le valutazioni fatte a livello nazionale e le valutazioni regionali

LE RETI ONCOLOGICHE PER AFFRONTARE LE CRITICITÀ

Le reti oncologiche possono dare una **risposta di appropriatezza in merito al problema dell'accesso ai farmaci innovativi** e anche dell'**eventuale disuguaglianze** per il loro accesso.

1. Criticità attuali:

- farmaci innovativi molto promettenti ma sono sottoutilizzati da parte degli oncologi
- gli oncologi non sanno come gestirne l'eventuale tossicità
- non conoscenza dei pazienti che più hanno probabilità di beneficiare di questi trattamenti
- necessità di insegnare agli oncologi come usare questi farmaci innovativi attraverso un **sistema a rete** che individui i Centri prescrittori.

In Veneto il sistema a rete è stato adottato per l'impiego dell'immunoterapia nel melanoma: terapia prima riservata unicamente per l'Istituto oncologico veneto, si è poi ampliata all'ospedale universitario di Verona e, in una terza fase, ai 5 Hub della rete oncologica, fino all'adozione da parte di tutte le oncologie. I vantaggi ottenuti attraverso questo sistema a rete sono stati l'appropriatezza dell'uso del farmaco, la salvaguardia del benessere dei pazienti, evitato disuguaglianze.

- Minimizzazione del valore della produzione dei dati

Le reti oncologiche consentono inoltre:

- che l'**innovazione sia sempre trasferita e valutata nella pratica clinica**, per fornire delle informazioni importanti
- di **produrre PDTA**
- di **raggiungere il territorio** (ospedali più piccoli e cittadinanza che deve essere informata sulle nuove possibilità terapeutiche anche attraverso le associazioni di pazienti).
- Sull'importanza di un'**informazione che sia corretta, bilanciata e aggiornata** le Associazioni hanno un ruolo importante.

CONCLUSIONI

L'attuale pandemia pur mettendo in ginocchio i sistemi sanitari mondiali, dal più evoluto al meno evoluto, ci ha mostrato alcuni insegnamenti:

- Che il sistema salute in questi anni è stato continuamente depauperato di mezzi e risorse e che la coscienza di un sottofinanziamento del Sistema Sanitario Nazionale deve essere comune;
- Qual'è il valore sociale di tutte le professioni in campo nel mondo salute (operatori di ogni genere ed industrie),
- Come le aziende di settore e le Istituzioni debbano collaborare attivamente attraverso partnership trasparenti quanto necessarie;
- Che se vogliamo realmente mantenere il paziente al centro del sistema, tutto deve essere pensato per dare a questo un beneficio in termini di salute e di vita.

Gli operatori e gli esperti del settore devono trovare le migliori azioni da intraprendere insieme dando spazio all'innovazione consentendone un accesso rapido ma sostenibile attraverso nuovi modelli virtuosi. Le stesse associazioni, al pari degli altri attori del sistema salute, chiedono collaborazione e comunicazione trasparenti. Circa la raccolta dei dati, è pensabile una cabina di regia che regola in tutta Italia i pazienti che vengono trattati. In oncologia la vera sfida aumentare l'esperienza, le possibilità di ricerca, la multidisciplinarietà e la comunicazione tra tutti i professionisti per migliorare l'organizzazione.

SONO INTERVENUTI NEL CORSO DELL' EVENTO:

(i nomi sono posti in ordine Alfabetico)

Daniela Boresi, Giornalista

Pierfranco Conte, Professore Ordinario di Oncologia Medica Università di Padova - Coordinatore Tecnico Scientifico ROV - Direttore UOC Oncologia Medica 2, IOV IRCCS Padova

Filippo Gherlinzoni, Direttore UO Ematologia, Ospedale Ca' Foncello, ULSS 2 Marca Trevigiana, Treviso

Valentina Guarneri, Professore Associato Oncologia 2, IOV IRCCS Padova

Mauro Krampera, Direttore UOC Ematologia e Centro Trapianto di Midollo Osseo AOUI Verona

Sabrina Nardi, Responsabile AIL Pazienti

Carlo Saccardi, Clinica Ginecologica Ostetrica, Università degli Studi di Padova

Giovanni Scambia, Direttore della Ginecologia Oncologica del Policlinico, Gemelli di Roma

Gianpietro Semenzato, Coordinatore Tecnico Scientifico Rete Ematologica Veneta (REV) - Professore Ordinario di Ematologia dell'Università di Padova

Giuseppe Turchetti, Professore Economia e Gestione delle Imprese, Scuola Superiore Sant'Anna Pisa

Renato Zambello, UO Ematologia AOU Padova

Claudio Zanon, Direttore Scientifico Motore Sanità

Il webinar è stato realizzato da **Motore Sanità**

con il patrocinio di **Regione del Veneto, AIL - Associazione Italiana Leucemie Linfomi e Mieloma, ACTO - Alleanza Contro il Tumore Ovarico e Azienda Ospedale Università di Padova**

e con il contributo incondizionato di **GSK e di Daiichi-Sankyo**

Con il contributo incondizionato di:



Daiichi-Sankyo

