

## DOCUMENTO DI SINTESI

**FOCUS LAZIO**

# #MULTIPLAYER

LA SCLEROSI MULTIPLA  
SI COMBATTE IN SQUADRA

**22 GIUGNO 2022**



CON IL PATROCINIO DI



un mondo  
libero dalla SM



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL  
FROSINONE



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL  
VITERBO



[www.motoresanita.it](http://www.motoresanita.it)



## INTRODUZIONE DI SCENARIO

La Sclerosi Multipla (SM) può esordire ad ogni età, ma è più comunemente diagnosticata nel giovane adulto tra i 20 e i 40 anni. Ci sono circa 2,5-3 milioni di persone con SM nel mondo, di cui 1,2 milioni in Europa e circa 130.000 in Italia. Il numero di donne con SM è doppio rispetto a quello degli uomini; la SM assume così le caratteristiche non solo di malattia giovanile ma anche di malattia di genere.

Esistono varie forme di malattia tra cui: la Sindrome Clinicamente Isolata (CIS), la Sindrome Radiologicamente Isolata (RIS), la SM Recidivante-Remittente (SM-RR), la SM Secondariamente Progressiva (SM-SP) e la SM Primariamente Progressiva (SM-PP). È pratica clinica già consolidata da anni iniziare la terapia delle forme SM-RR il più precocemente possibile sapendo che la ricerca ha dimostrato un rallentamento della progressione della disabilità.

Molti studi hanno anche evidenziato che, nei pazienti con CIS fortemente suggestiva di SM, l'uso di farmaci immunomodulanti e immunosoppressori riduce la comparsa di un secondo attacco e la conseguente conversione a una forma clinicamente definita di malattia. Questi studi hanno inoltre dimostrato una significativa riduzione della comparsa di nuove lesioni a livello encefalico valutabili con la risonanza magnetica (RM).

Iniziare un trattamento precoce significa inoltre:

1. ridurre l'accumulo di disabilità clinica e ritardare il passaggio da SM-RR a SM-SP;
2. prevenire il danno assonale che diversi studi anatomopatologici e varie tecniche di RM hanno evidenziato realizzarsi anche in fase precoce;
3. effettuare, come sottolineato da diversi studi clinici, un trattamento che, in quanto precoce, è più efficace di uno ritardato anche solo di pochi anni.

Questi risultati rafforzano l'indicazione a iniziare al più presto il trattamento nei casi di diagnosi accertata di SM, in particolare se sono presenti fattori associati a una prognosi meno favorevole. Va ricordato inoltre che il singolo individuo richiede un programma di trattamento personalizzato. Il percorso terapeutico è parte del percorso di presa in carico definito nel Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA) condiviso nella Regione.



## SALUTI ISTITUZIONALI

La politica negli ultimi anni si è impegnata molto sul tema delle malattie rare in generale e della SM nello specifico, grazie ai centri specialistici e grazie anche ad AISM, ma molto deve essere ancora fatto. Compito della classe politica è quello di andare nelle giuste direzioni con l'obiettivo a dare a tutti lo stesso trattamento per le stesse malattie in tutte le Regioni.

Un cambiamento deve essere anche apportato ai centri per la sclerosi multipla che attualmente sono unicamente negli ospedali; si deve fare in modo che questi centri esprimano al meglio il loro potenziale anche grazie ad una rete che colleghi tutti gli attori sul territorio e in particolare i medici della medicina generale che devono fare sia da sentinelle, per individuare precocemente i malati con sintomi di sclerosi multipla, sia da punto di ritorno dei pazienti.

Ancora compito dei politici sarà ridisegnare i PDTA costruendo nuovi percorsi che sfruttino le opportunità date dalla telemedicina, e dagli strumenti digitali; i decisori devono procedere nella tariffazione delle prestazioni di telemedicina e organizzare sistemi di formazione sia per i medici sia per i pazienti e i caregiver.

Televisita, teleconsulto e anche teleriabilitazione sono pratiche di telemedicina attivabili per i pazienti con SM, ma le tariffazioni di queste prestazioni dovranno essere delineate anche in funzione del tempo effettivo che i professionisti impiegano..



## L'IMPORTANZA DEL TRATTAMENTO PRECOCE DELLA SM PER UNA TERAPIA EFFICACE

La sclerosi multipla precoce non deve essere confusa in una sclerosi multipla lieve ed anzi è assolutamente importante diagnosticare e trattare la malattia precoce da subito con i farmaci più efficaci. Attualmente sono diversi gli studi clinici che evidenziano come la diagnosi e la cura precoce possano intervenire significativamente sulla progressione della malattia e soprattutto sulla progressione della disabilità.

- La malattia può avere una lunga fase subclinica (RIS-CIS-SM)
- La SM precoce non deve essere confusa con SM "lieve"
- La mancanza di sintomi non implica assenza di attività di malattia
- Atrofia e neuro degenerazione sono fenomeni precoci
- La malattia è più facile da trattare nella fase infiammatoria

Attualmente a disposizione dei clinici esistono strumenti importanti (dati clinici, risonanza magnetica, dati liquorali) per fare diagnosi precocissime, agli esordi della malattia.

È inoltre importante classificare i pazienti di sclerosi multipla in un unicum, non solo in funzione della presenza infiammatoria ma in funzione della possibile prognosi, per dare al paziente giusto il trattamento giusto, perché solo così è possibile cambiare la storia naturale della malattia riducendo drasticamente l'accumulo di disabilità importanti con un impatto significativo anche sui costi sociali della malattia.

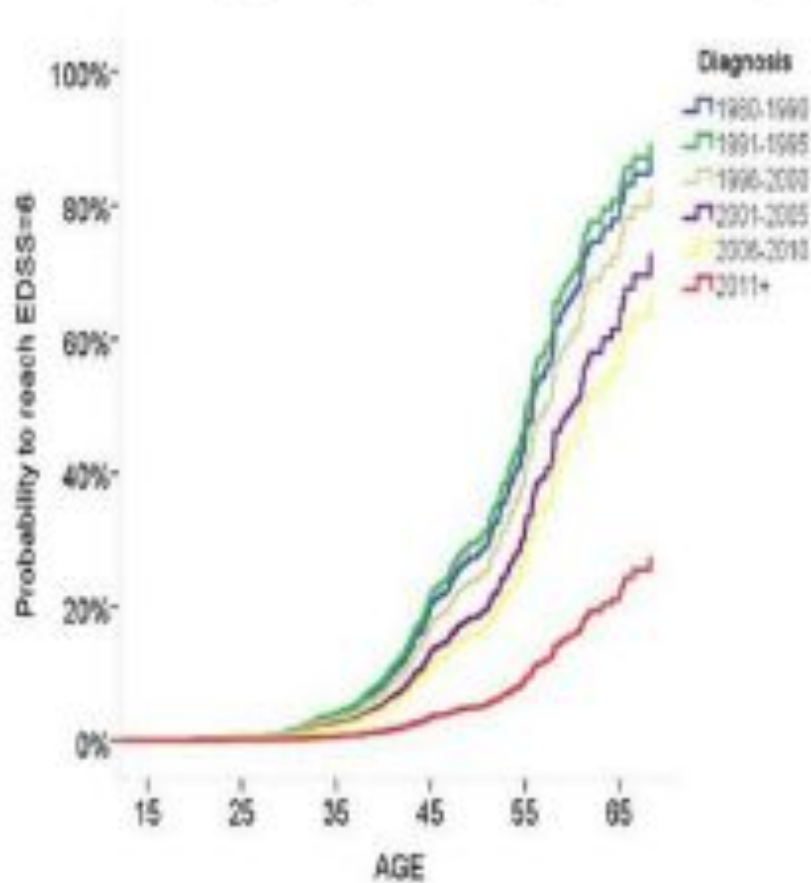
Utilizzando farmaci ad altissima efficacia da subito si cambia la storia della malattia e gli esperti di SM hanno intavolato un dialogo con AIFA per far sì che i pazienti possano essere trattati il più precocemente possibile con questi farmaci e non aspettare che si siano verificate almeno "due ricadute cliniche che lascino esito invalidante" perché non è pensabile sottostare a regole fisse che non tengano conto dell'innovazione.

La sclerosi multipla non è una malattia semplice e varia in base ai vari fenotipi della malattia, per alcuni fenotipi sono state create molecole mentre per altri sono in fase di studio molecole che potenzialmente possono essere utili per tutti i fenotipi della malattia.



## SM: evoluzione della disabilità

*Cox estimates of the cumulative probability to reach EDSS 6 according to age and the period of diagnosis*



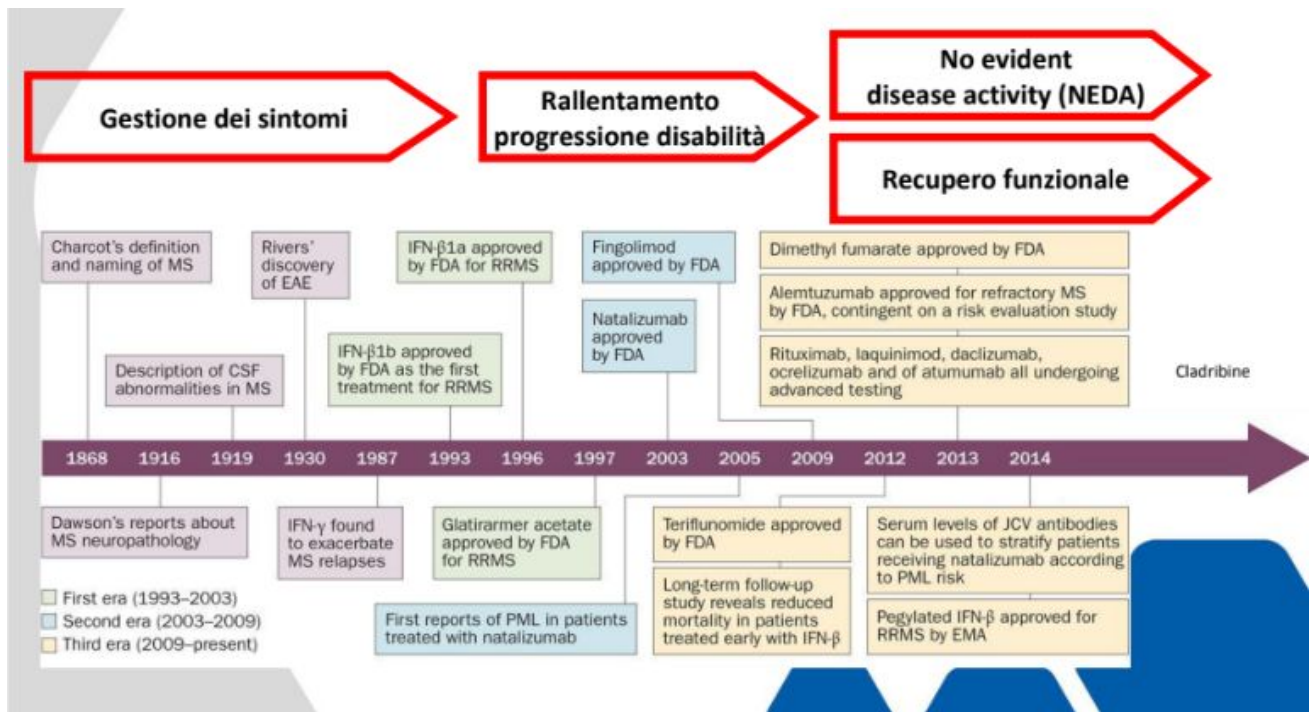
Probabilità di raggiungere i milestone di disabilità stratificati per anno dalla diagnosi.

- N=1324 Cox model
- I pazienti diagnosticati nei periodi più recenti raggiungono EDSS 6 in età più avanzata.
- Una modifica del corso della SM si osserva dopo gli anni 2000; ad es. la percentuale di pazienti che raggiungono EDSS 6 all'età di 50 anni:
  - 47% se la diagnosi era stata fatta prima del 2000
  - 15% se la diagnosi era stata fatta dopo il 2000 ( $p < 0.001$ )



## Obiettivi del trattamento nella SM: una visione “storica”

La crescente disponibilità di nuove terapie ha cambiato le aspettative dei neurologi e dei pazienti



## SM: dati di efficacia “farmaci di II linea”

Brown J et al. JAMA 2019	Harding K et al. JAMA Neurol 2019	Buron MD et al. Neurology 2020	He A et al. Lancet Neurol 2020	Iaffaldano P et al. TAND 2021
<b>First DMT:</b> • fingolimod, alemtuzumab, or natalizumab (n=235); • Injectables (n=380)	<b>Early Intensive Therapy (EIT) (n=104) vs Escalation (ESC) (n=488)</b>	<b>Initial treatment with High efficacy DMT (n=194) or medium efficacy DMT (n=194).</b>	<b>Rituximab, Ocrelizumab, MTX, Alemtuzumab, or Natalizumab either 0-2 years (early) (n=213) or &gt;4 years (late) (n=253) after clinical disease onset.</b>	<b>Early Intensive Therapy (EIT) (n=363) vs Escalation (ESC) (n=363)</b>
5.8 years	Up to 6.9 years (mean for ESC group)	4 years	7.8 years	8.5 years
Time to SP conversion (data-driven definition)	5-year change in EDSS.; time to Sustained Accumulation of Disability (SAD).	Time to 6-month confirmed EDSS worsening and to first relapse	EDSS at 6 to 10 years and cumulative hazard of confirmed disability progression	Disability trajectories at 10 years by using longitudinal models

2019	2020	2021
Initial treatment with fingolimod, alemtuzumab, or natalizumab was associated with a lower risk of conversion to SP than initial treatment with injectables.	Mean 5-year change in EDSS was lower in the EIT group than the ESC group. EIT better than ESC to reduce the risk of reaching SAD.	High-efficacy therapy commenced within 2 years of disease onset is associated with less disability after 6–10 years than when commenced later in the disease course.

### Key messages:

□ Early initiation of highly effective therapy may provide more benefit than an escalation approach



## SM E RIABILITAZIONE

Il trattamento riabilitativo, data la variabilità dei quadri clinici, può comprendere programmi volti alla correzione dello stato di fatica patologico, delle alterazioni posturali, della disfagia, dello stato nutrizionale, delle disfunzioni sfinteriali, dell'insufficienza respiratoria, delle problematiche neuropsicologiche.

Il trattamento riabilitativo, come indicato da linee guida internazionali, deve poter prevedere tutti i setting assistenziali. Può essere di elezione quello Ambulatoriale, quando il paziente è in condizioni cliniche tali da consentirgli l'accesso alla struttura riabilitativa in autonomia.

Il trattamento riabilitativo domiciliare, contrariamente a quanto da più parti proposto, non è indicato in situazioni cliniche di grave disabilità e/o situazioni sociali tali da impedire alla persona l'accesso all'ambulatorio. In tali casi, è infatti indispensabile che il paziente venga preso in carico da strutture di Neuroriabilitazione in grado di garantire un approccio multidisciplinare in grado di affrontare durante il ricovero ordinario le diverse problematiche cliniche, tipiche degli stati avanzati della malattia. Una volta stabilizzato il quadro clinico, è possibile la prosecuzione del trattamento domiciliare. Il trattamento riabilitativo domiciliare prevede anche l'addestramento del caregiver (tecniche di posizionamento e di trasferimento, tecniche di allineamento posturale, prevenzione dei danni da immobilità, mantenimento della abilità residue, addestramento all'uso degli ausili) ed eventuale fisioterapia respiratoria nei casi di accumulo di secrezioni, volta alla rimozione delle stesse.

## COSTO SOCIALE DI MALATTIA

La SM è una patologia che impatta moltissimo: è stato calcolato un costo totale di 5 miliardi di euro, con un costo medio per persona di circa 40-45 mila euro all'anno. Il dato che colpisce molto è quello relativo alla classe di età in cui viene diagnosticata per la maggior parte la malattia, ovvero tra i 20 e i 40 anni; il che significa tutta una popolazione in piena attività lavorativa che viene impattata negativamente dall'avvento della patologia. Questo riduce la qualità di vita e genera un aumento dei costi, tanto per il Servizio Sanitario, quanto dal punto di vista dei costi a carico delle famiglie e dei pazienti stessi e di perdita di produttività lavorativa.

Molti studi hanno dimostrato come nell'andare avanti con la progressione della malattia aumentano in maniera molto forte i costi; questo significa che c'è la necessità di intervenire tempestivamente nella diagnosi precoce e nella presa in carico precoce del paziente con conseguente trattamento precoce. Gli assegni ordinari di invalidità nel 2019 sono cresciuti del 30% rispetto al 2016 e le prestazioni per quanto riguarda questa tipologia di servizio previdenziale; assegno ordinario e pensione di inabilità pesano per



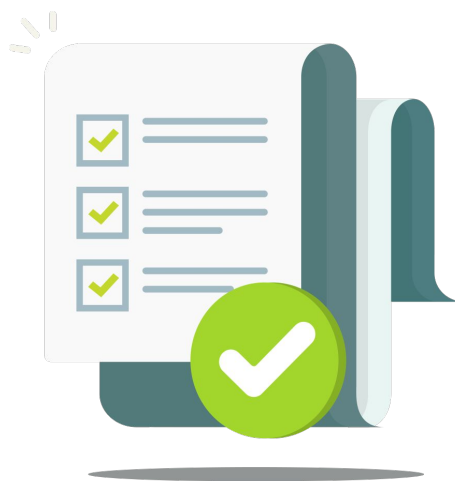
## CONCLUSIONI

È stata fortemente ribadita l'importanza del diritto alla cura e al fatto che a ciascuna persona, a ciascun paziente, deve essere assicurato il miglior trattamento possibile e se non siamo in grado di garantire questo diritto qualcosa non funziona.

I progressi non vanno compressi. Lo scopo principale di un sistema sanitario e sociale come quello italiano è quello di permettere ai pazienti di andare oltre la malattia e di permettergli di perseguire gli obiettivi di vita. La sclerosi multipla sfortunatamente è una malattia invalidante e purtroppo irreversibile; non è possibile parlare di vera e propria cura farmacologica.

Ad ogni modo però, la somministrazione di farmaci e la messa in atto di strategie terapeutiche parallele e multidisciplinari (fisioterapia, logopedia, terapia occupazionale), possono prevenire le complicanze, ritardando la disabilità e migliorando, quanto possibile, la qualità di vita del paziente.

In Lazio ci sono ottime pratiche di interazione tra ospedale e territorio (Roma, ma anche Frosinone) ed il sistema deve partire anche da queste esperienze che devono diventare materia di confronto anche per l'aggiornamento del PDTA.







## IL PANEL CONDIVIDE

- I protocolli di cura non possono non tener conto del progetto di vita del paziente: tutto deve essere calato nella vita del paziente che deve andare avanti.
- La diagnosi precoce e l'inizio tempestivo con le terapie rappresentano due elementi fondamentale per ridurre il più possibile l'impatto della malattia sul paziente.
- L'approccio multidisciplinare è la chiave di volta per garantire delle cure adeguate al paziente.
- La multidisciplinarietà non deve essere caratteristica dell'ambito sanitario ma anche di quello socio-assistenziale.
- Esistono sempre maggiori evidenze che supportano l'uso precoce di farmaci ad "alta efficacia".
- Il concetto di rete non deve esistere solo tra diverse specialistiche ma anche all'interno delle singole specialità mediche. Un costante scambio di esperienze e competenze tra gli specialisti è fondamentale.
- I farmaci innovativi richiedono un ripensamento della logica economica legata ai silos budget.
- Il percorso terapeutico deve essere continuamente rivalutato nel tempo per rispondere alle sempre differenti scoperte che la ricerca offre.



## ACTION POINTS

- Anche grazie al PNRR è in atto un cambiamento della sanità e la rete della sclerosi multipla va coinvolta nel ripensamento della sanità su come costruire un DM71 centrato sulla sclerosi multipla, ma non in esclusiva. I fondi del PNRR dovranno quindi essere utilizzati anche per garantire ai cittadini con SM una vita quanto più normale possibile. Per riuscire in questo bisogna territorializzare tutti quei servizi che possono essere traslati sul territorio riducendo l'accesso alle strutture ospedaliere il più possibile.
- In Lazio i centri funzionano e funzionano bene ed hanno retto bene anche durante la pandemia (i centri con PDTA applicato hanno retto meglio), ma hanno bisogno di risorse.
- Bisogna potenziare i servizi di telemedicina che risultano fondamentali per il monitoraggio e la cura dei pazienti con sclerosi.
- Le associazioni dovrebbero essere coinvolte maggiormente nei tavoli decisionali, compresi i tavoli di stesura dei PDTA.
- L'attuale distinzione fenotipica tra forme recidivanti e progressive di SM va rivista.
- Un sistema a rete vuol dire anche mettere insieme a lavorare in squadra i clinici che si occupano di SM, ma anche gli infermieri, i fisioterapisti, i radiologi e così via, insieme alle Istituzioni, ai pazienti stessi e ai loro caregiver, perché la malattia si modifica nel tempo e pone esigenze diverse, visto che da un lato il soggetto invecchia e dall'altro la malattia stessa evolve; dall'altro ancora cambia anche l'ambiente all'interno in cui la malattia si colloca.
- Il Covid-19 ha alleggerito molti aspetti burocratici (ricetta dematerializzata, rinnovo piani terapeutici, etc.) che dovrebbero essere mantenuti anche per il futuro.
- Tutti i centri specialistici e riabilitativi devono essere dotati di infermieri specializzati nella SM.
- Bisogna creare una rete di dialogo tra tutti i centri specialistici della Regione.



- I percorsi terapeutici e riabilitativi devono includere in maniera sempre maggiore la sanità territoriale. In Lazio ci sono eccellenti esperienze di riabilitazione ma manca una visione di rete riabilitativa relazionale.
- I PDTA devono essere rivisti nel tempo per poter rispondere ai nuovi bisogni del paziente ma è necessario anche scrivere un programma per poi applicarlo.
- Gli investimenti nella ricerca non devono essere dedicati esclusivamente ai nuovi farmaci, è necessario anche riuscire a ricercare e rendere operativi nuovi strumenti tecnologici atti alla riabilitazione fisica. Gli strumenti riabilitativi, come dimostrato da evidenze scientifiche, possono migliorare la qualità della vita del paziente e migliorare il decorso della malattia.
- È necessario ridurre il più possibile le liste di attesa per gli esami legati alla diagnosi di SM. Attualmente nel Lazio, come in molte regioni, le liste di attesa sono molto lunghe e questo aumenta il tempo già di per sé lungo per una corretta diagnosi di sclerosi multipla.
- La riabilitazione cognitiva è un aspetto estremamente importante nella presa in carico del paziente con SM, è necessario potenziare questo aspetto in gran parte dei centri regionali.



## **SONO INTERVENUTI (I NOMI RIPORTATI SONO IN ORDINE ALFABETICO):**

**Paolo Bandiera**, Direttore degli Affari Generali di AISM

**Mario Alberto Battaglia**, Presidente Nazionale FISM

**Fabiola Bologna**, Segretario XII Commissione (Affari Sociali), Camera dei Deputati

**Maria Grazia Celeste**, Direttore UOC Farmacia Policlinico "Tor Vergata", Roma

**Antonella Conte**, Professore Associato Neurologia Dipartimento Neuroscienze Umane "Sapienza" Università di Roma, Responsabile Centro Sclerosi Multipla e Dirigente medico Neurologo UOC Neurologia Policlinico Umberto I, Roma

**Claudio Gasperini**, Direttore UOC Neurologia e Neurofisiopatologia San Camillo-Forlanini, Roma

**Maria Grazia Grasso**, Direttore Reparto Riabilitazione Fondazione Santa Lucia Neuroscienze e Riabilitazione, Roma

**Alessandro Malpelo**, Giornalista Scientifico

**Girolama Marfia**, Responsabile U.O.S.D. Centro Regionale di riferimento Sclerosi Multipla, Policlinico "Tor Vergata", Roma

**Fabiana Marinelli**, Responsabile CSM ASL Frosinone

**Francesco S. Mennini**, Professore di Economia Sanitaria e Economia Politica, Research Director - Economic Evaluation and HTA, CEIS, Università degli Studi di Roma "Tor Vergata" e Presidente SIHTA

**Massimiliano Mirabella**, Direttore del CSM Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, Roma

**Cinzia Monaco**, Direttore UOC Farmacia Azienda Ospedaliera San Camillo-Forlanini, Roma

**Marco Salvetti**, Direttore UOC Neurologia Ospedale Sant'Andrea, Roma

**Antonino Salvia**, Direttore Sanitario Fondazione Santa Lucia Neuroscienze e riabilitazione Roma



MOTORE  
SANITÀ

Panacea

CON IL CONTRIBUTO INCONDIZIONATO DI

Celgene |  Bristol Myers Squibb™  
Company

