

# **INNOVAZIONE NEI PERCORSI DI CURA IN EMATOLOGIA**

**L'ESEMPIO DEL MIELOMA MULTIPLO**  
COME EFFICIENTARE LA FILIERA E VALORIZZARE IL TERRITORIO?

**TRENTINO-ALTO ADIGE**





**20 Dicembre 2022**  
dalle 9.15 alle 13.30

**TRENTO**  
**NH Hotel**  
Via Adalberto Libera, 7

Con il patrocinio di



*Azienda Provinciale  
per i Servizi Sanitari*  
*Provincia Autonoma di Trento*

AUTONOME PROVINZ  
BOZEN – SÜDTIROL



PROVINCIA AUTONOMA  
DI BOLZANO – ALTO ADIGE

PROVINCIA AUTONOMA DE BULSAN – SÜDTIROL

Südtiroler  
Sanitätsbetrieb



Azienda Sanitaria  
dell'Alto Adige

Azienda Sanitera de Sudtirool



## **SOMMARIO**

<b>Introduzione</b>	Pag.4
<b>Saluti delle autorità</b>	Pag.6
<b>Mieloma multiplo: la fotografia attuale</b>	Pag.7
<b>Innovazione in ematologia, dalla terapia ai modelli organizzativi</b>	Pag.18
<b>Quali nuovi modelli di rete assistenziale nel mieloma multiplo?</b>	Pag.22
<b>Conclusioni</b>	Pag.25
<b>Call to action</b>	Pag.26
<b>Panelist</b>	Pag.28



## INTRODUZIONE DI SCENARIO

Le patologie ematologiche hanno visto una grande evoluzione in termini di ricerca ed innovazione prodotta. Questo continuo cambio di scenario ha portato e porterà i modelli assistenziali ematologici ad una necessaria continua revisione organizzativa. Un esempio paradigmatico è quello delle patologie oncoematologiche ed in particolare del mieloma multiplo.

Il mieloma multiplo è una malattia oncoematologica tra le più comuni che colpisce le plasmacellule del midollo osseo, come linfociti B e plasmacellule sintetizzanti le immunoglobuline, molto importanti per il sistema immunitario e le sue risposte fisiologiche per combattere le infezioni.

Se la crescita di queste cellule diventa incontrollata può dare origine al tumore, ostacolando le altre cellule ematiche e dando origine ad un indebolimento del sistema immunitario, ad anemia o a difetti coagulativi.

Inoltre le cellule di mieloma producono in grande quantità una proteina detta Componente M (monoclonale), anticorpo che stimola gli osteoclasti, responsabili della demolizione del tessuto osseo e di conseguenza i pazienti colpiti da mieloma sono spesso soggetti anche a fratture ossee.

Nel report AIOM 2020 si può leggere un dato di incidenza della malattia di 5.759 nuovi casi/anno (uomo 3.019 - donna 2740) e dai dati AIRTUM sappiamo che essa rappresenta 1,3% di tutti i tumori nella donna e 1,2% nell'uomo.

L'età è il principale fattore di rischio per il mieloma multiplo: oltre 60% delle diagnosi di mieloma riguardano persone di età > 65 anni e solo 1% delle persone al di sotto dei 40 anni.

Le cause del mieloma multiplo non sono ancora del tutto note, anche se recenti studi hanno evidenziato la presenza di anomalie nella struttura dei cromosomi e in alcuni specifici geni nei pazienti affetti dalla patologia.

Dopo la diagnosi è indispensabile definire lo stadio del mieloma, in base al quale si ottengono anche indicazioni sulla prognosi della malattia e sulle scelte terapeutiche.



L'innovazione in questi ultimi anni ha prodotto una notevole quantità di opzioni terapeutiche per questi pazienti ed ha segnato per molti di loro una sopravvivenza libera da progressione, con una aspettativa di vita diversa.

Ma l'organizzazione è pronta ad accogliere questo cambio di scenario continuo verso la cronicizzazione di malattia? Cosa manca al sistema per essere più efficiente? Cosa ha insegnato l'attuale pandemia nella gestione della filiera assistenziale e nella presa in carico e nella prossimità delle cure per questi pazienti? Come gli sforzi dell'industria possono generare partnership con le istituzioni e cocreare valore per il sistema?



## SALUTI DELLE AUTORITA'

Per il Friuli Venezia Giulia si contano 120 nuovi casi all'anno. La terapia è stata rivoluzionante: Grazie alle nuove opportunità di cura c'è stato un aumento dell'aspettativa di vita notevole.

La spesa è impattante e conta 1 milione e 200 mila euro nel servizio di ematologia. È un problema che le istituzioni devono e vogliono affrontare. A fronteggiare questo impatto è stato creato un progetto pilota importante la regione sta affrontando fase di riorganizzazione su quella che è l'ematologia e l'oncoematologia di prossimità.

È stata quindi preparata una riforma territoriale innovativa reinserendo i Distretti, dove il personale è gestito da 6 Dipartimenti, e superando l'ottica dei silos. In questo ambito si colloca lo sviluppo della rete oncologica.

Il mieloma multiplo è una patologia che deve avere tutta l'attenzione delle istituzioni, che già da tempo sono molto coinvolte nella sua gestione.

Il costo dei farmaci incide sul bilancio della sanità regionale in maniera importante e, per fare fronte a questo, la Regione Trentino Alto Adige ha fatto rete con Bolzano anche per il protocollo diagnostico e terapeutico del mieloma multiplo.



## Mieloma Multiplo: LA FOTOGRAFIA ATTUALE

Il mieloma Multiplo è la seconda neoplasia ematologica più comune al mondo con 7600 nuovi casi in Germania nel 2020 e 35000 nuovi casi negli USA nel 2021.

	M				F			
L. Hodgkin	4,2	4,7	3,9	4,1	3,5	3,6	3,3	3,4
L. non Hodgkin	26,2	23,7	20,2	24,2	18,3	16,0	13,9	16,8
Mieloma	11,1	12,2	10,6	11,1	7,8	8,3	7,3	7,7
Leucemie, tutte	17,2	18,2	17,8	17,5	10,2	10,7	10,9	10,5
<b>Totale</b>	<b>735,5</b>	<b>708,5</b>	<b>635,7</b>	<b>704,4</b>	<b>512,0</b>	<b>493,9</b>	<b>423,0</b>	<b>484,7</b>

**TABELLA 11.** Tasso medio annuale di incidenza dei tumori in Italia, per sede/tipo, sesso, e area geografica<sup>1</sup>

Oltre ad essere una malattia che conta migliaia di casi ha una prognosi funesta, con tassi di sopravvivenza a 5 anni piuttosto bassi.

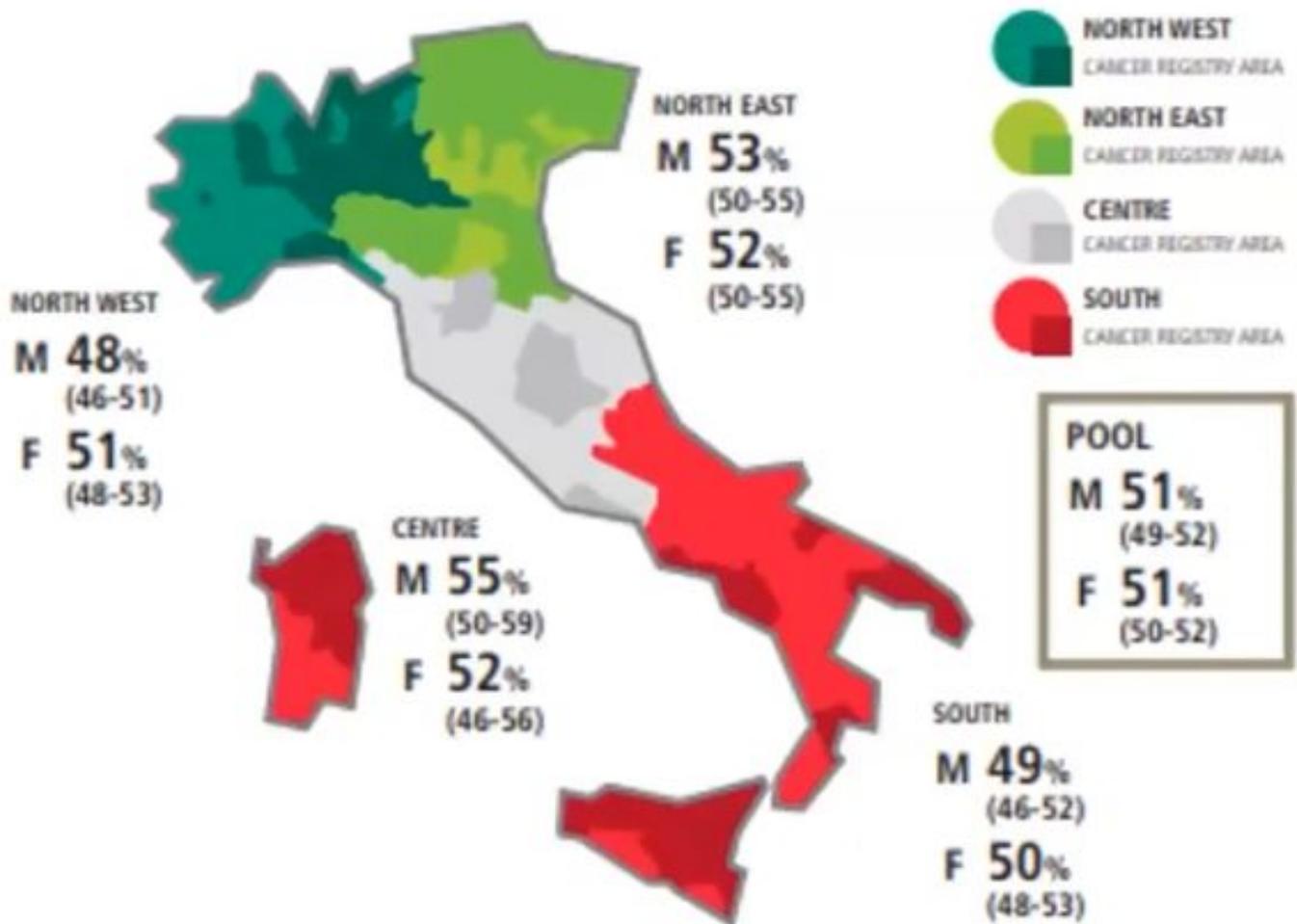


**MYELOMA**

**MALES & FEMALES**

**A 5-YEAR AGE-STANDARDIZED NET SURVIVAL (%)  
BY GEOGRAPHICAL AREA AND GENDER, 2005-2009**

POOL OF 42 CANCER REGISTRIES (11994 OBSERVED CASES)





MYELOMA

MALES & FEMALES

**B** 5-YEAR NET SURVIVAL (%) BY AGE AND GENDER, 2005-2009

POOL OF 42 CANCER REGISTRIES (11994 OBSERVED CASES)



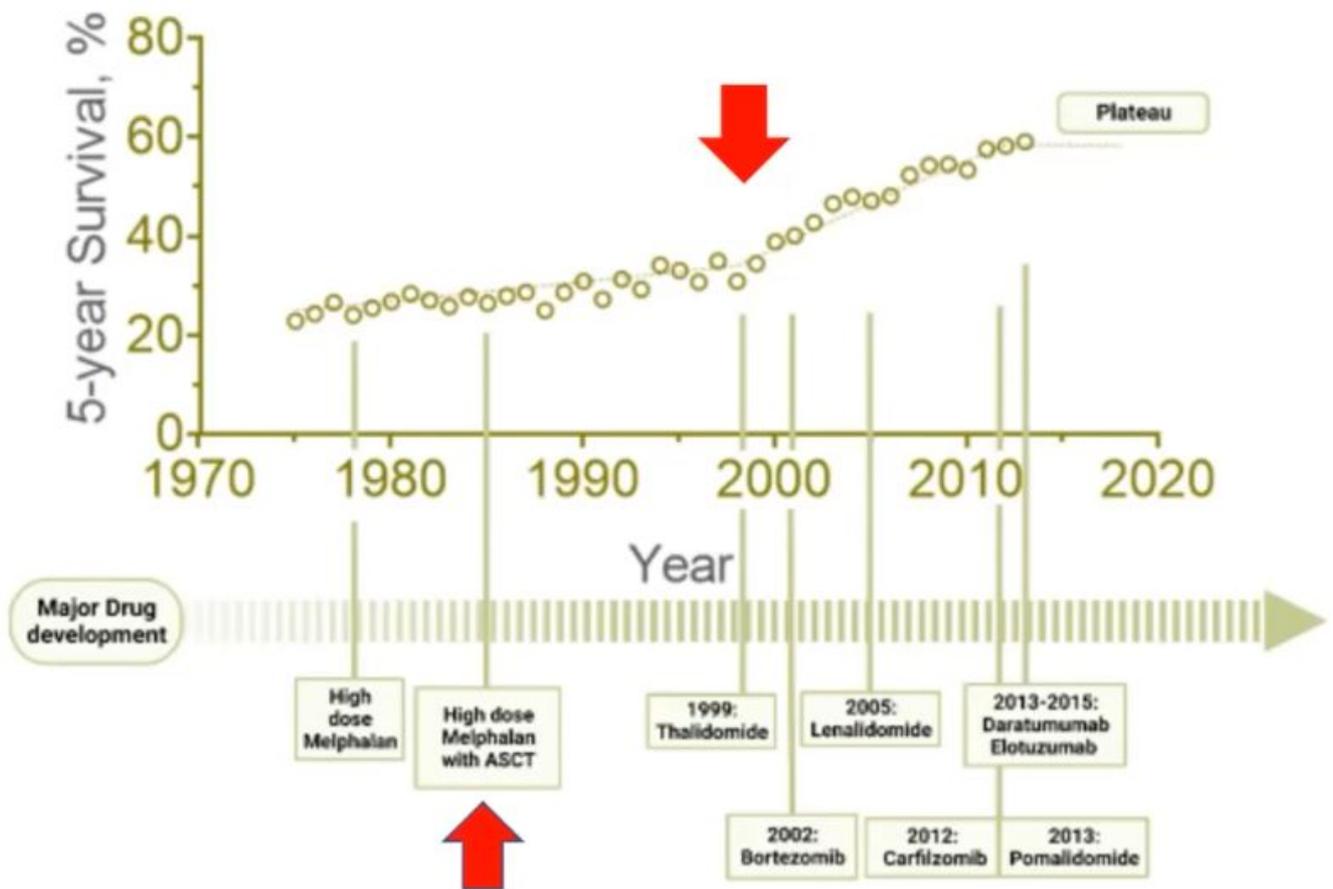
Vivere con il mieloma è estremamente invalidanti. Questa malattia infatti inficia molto negativamente la qualità della vita di chi ne è affetto.



Symptom	Number of studies	Number of subjects	Pooled prevalence (%)	95% CI
Pain	15	1882	58.6	8.8– 95.2
Severe pain	10	1136	44.7	2.2– 96.7
Bone aches	4	572	41.0	0.0– 100.0
Fatigue	13	1204	98.8	98.1– 99.2
Severe fatigue	7	620	59.7	12.9– 93.7
Weakness	3	264	21.6	0.1– 99.7
Tiredness	3	318	46.9	0.2– 99.7
Sleep problems	11	1075	34.5	3.8– 87.4
Severe sleep problems	4	245	32.1	1.9– 92.1

<sup>a</sup> No pooled prevalence (only one study).

Negli anni, grazie allo sviluppo di farmaci sempre più efficaci, il tasso di sopravvivenza è aumentato.



Il più grande impatto sulla sopravvivenza è stato dato dalle terapie sistemiche. Terapie ancora oggi in sviluppo per una maggiore efficacia ed efficienza.



## TIMELINE OF SYSTEMIC THERAPY APPROVALS IN MULTIPLE MYELOMA

**JULY 20, 2012** FDA accelerated approval of carfilzomib injection for patients with MM who have received  $\geq 2$  prior therapies, including bortezomib and an IMiD

2012

**FEBRUARY 8, 2013** FDA accelerated approval of pomalidomide for patients with MM who have received  $\geq 2$  prior lines of therapy, including lenalidomide and bortezomib

2013

**FEBRUARY 23, 2015\*** FDA accelerated approval of panobinostat plus bortezomib and dexamethasone for patients with MM who have received  $\geq 2$  prior therapies, including bortezomib and an IMiD

2015

**JULY 24, 2015** FDA approval of carfilzomib plus lenalidomide and dexamethasone for patients with relapsed MM who have received 1-3 prior lines of therapy

**NOVEMBER 16, 2015** FDA accelerated approval of daratumumab for patients with MM previously treated with  $\geq 3$  prior lines of therapy, including a PI and an IMiD, or who are refractory to a PI and an IMiD

**NOVEMBER 20, 2015** FDA approval of oral ixazomib plus lenalidomide and dexamethasone for patients with MM who have received  $\geq 1$  prior line of therapy

**NOVEMBER 30, 2015** FDA approval of elotuzumab plus lenalidomide and dexamethasone for patients with MM who have received 1-3 prior lines of therapy

**NOVEMBER 21, 2016** FDA approval of daratumumab plus lenalidomide or bortezomib and dexamethasone for patients with MM who have received  $\geq 1$  prior line of therapy

2016

**JUNE 27, 2019** FDA approval of daratumumab plus lenalidomide and dexamethasone for patients with newly diagnosed MM who are ineligible for ASCT

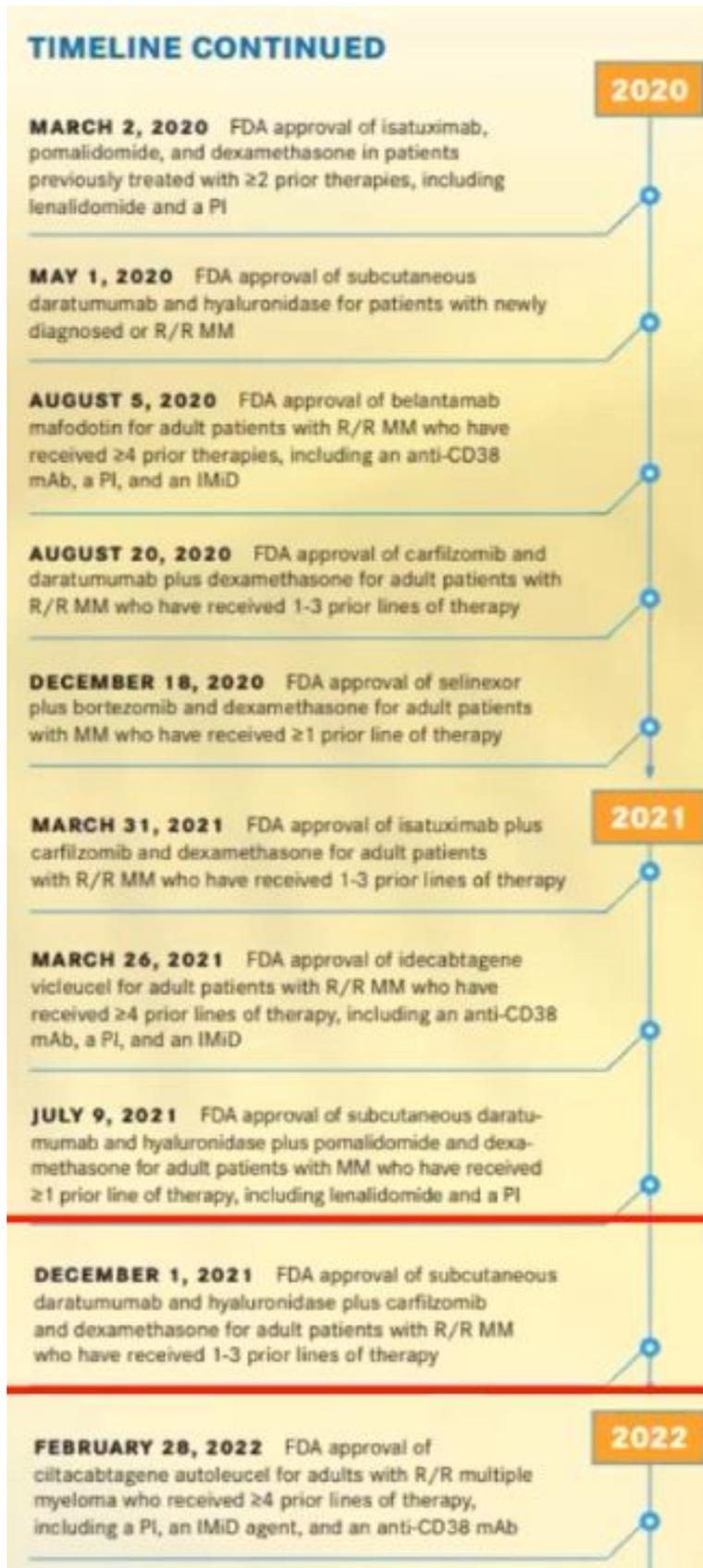
2019

**JULY 3, 2019** FDA accelerated approval of selinexor plus dexamethasone for adult patients with R/R MM who have received  $\geq 4$  prior lines of therapy and whose disease is refractory to  $\geq 2$  PIs,  $\geq 2$  IMiDs, and an anti-CD38 mAb

**SEPTEMBER 26, 2019** FDA approval of daratumumab plus bortezomib, thalidomide, and dexamethasone for patients with newly diagnosed MM who are eligible for ASCT



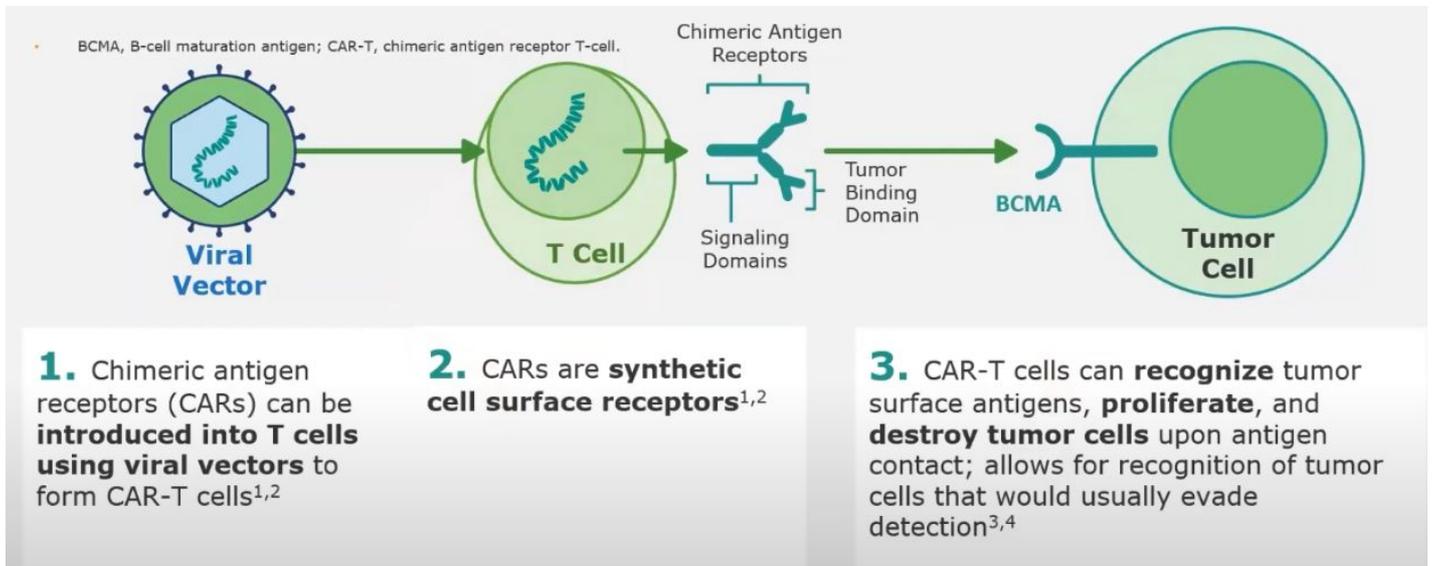
Nel 2022  
la FDA  
americana  
ha approvato  
l'utilizzo delle  
terapie Car-T  
nel mieloma.





## Car-T nel mieloma multiplo.

Come nelle altre applicazioni delle terapie CAR-T anche per i pazienti con mieloma multiplo le cellule del paziente vengono prelevate, modificate per riconoscere e uccidere il bersaglio, e poi reinfuse con una unica infusione.

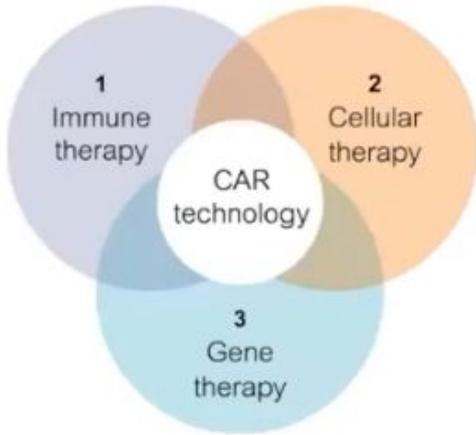


Il funzionamento di queste terapie può essere semplificato così: Nelle cellule Car del paziente viene “montato” un anticorpo che identifica un bersaglio che è comune con la cellula tumorale e la attacca.

Le cellule Car-T sono in realtà all'intersezione di 3 tecnologie innovative. La tecnologia automobilistica si aggiunge alla capacità delle terapie immunocellulari sperimentali di sfruttare le capacità intrinseche del sistema immunitario per eliminare i tumori.



CAR technology sits at an intersection<sup>1,2</sup>



**1. Immune therapy**

Harnessing an individual's own immune system

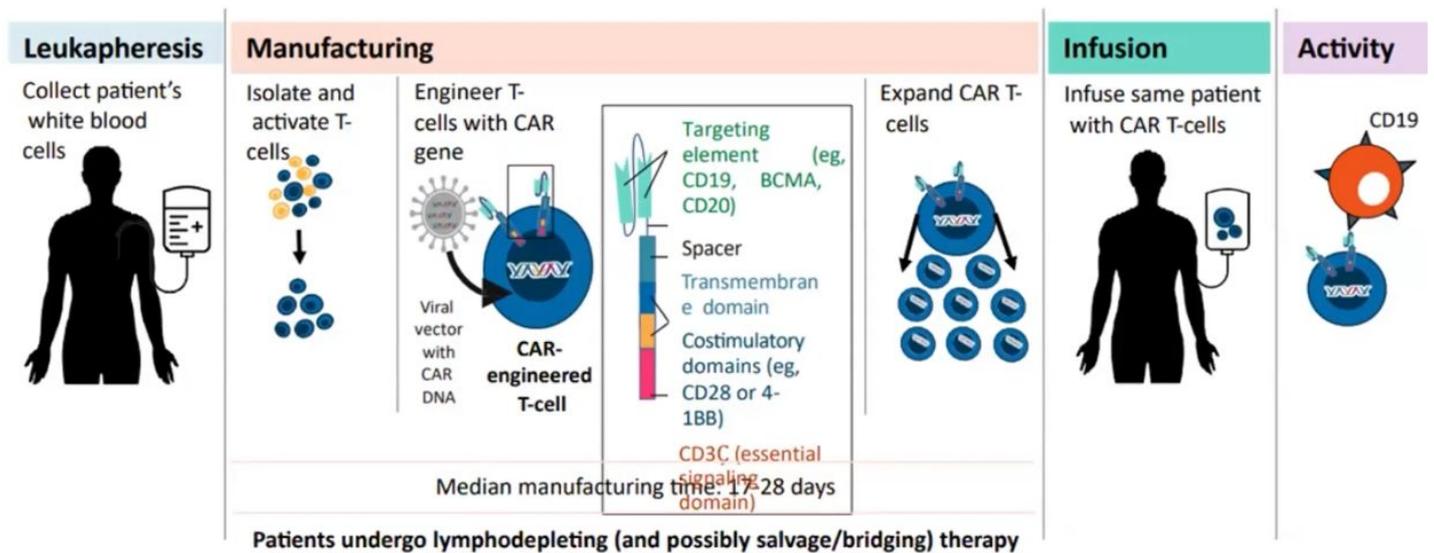
**2. Cellular therapy**

Using an individual's own T cells\*

**3. Gene therapy**

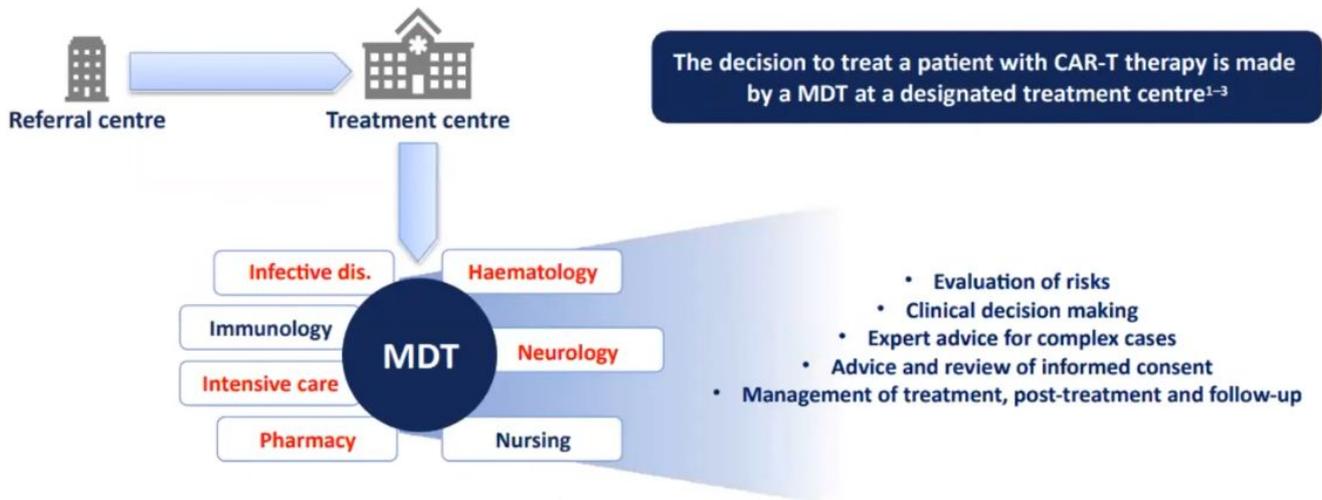
Inserting genes into a patient's cells, causing them to express a new CAR protein\*

Queste terapie per poter arrivare alla somministrazione, data la loro alta complessità, richiedono un processo che vede coinvolti il produttore e diversi attori del SSR.





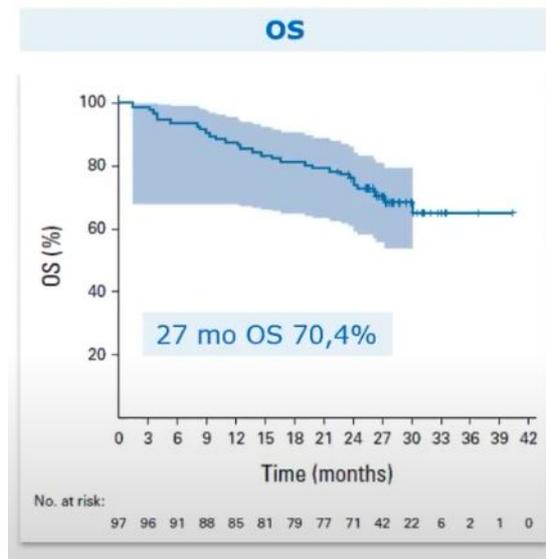
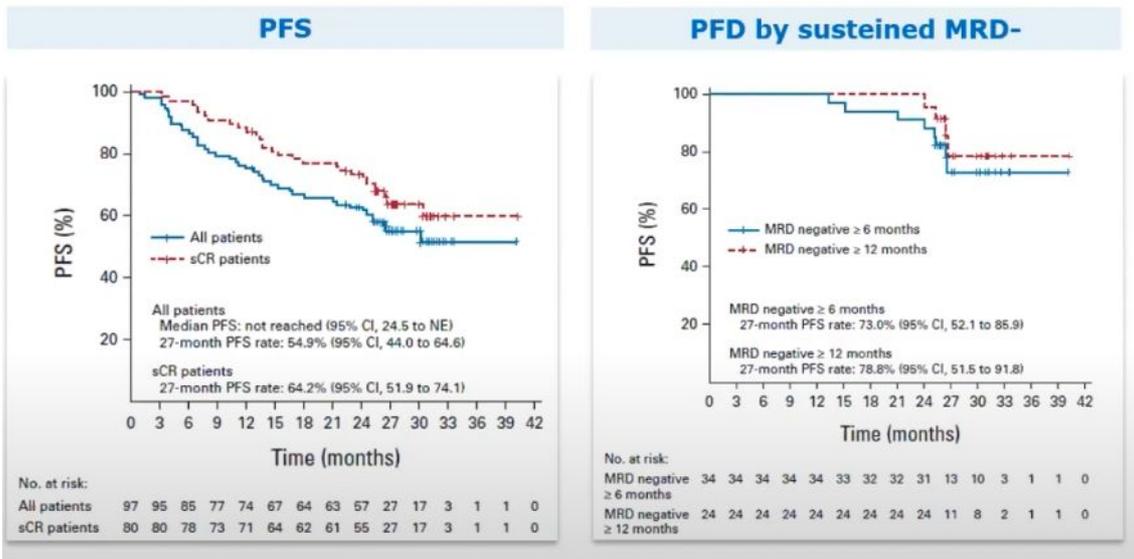
È quindi necessario che i centri erogatori delle Car-T racchiudano tutte le competenze necessarie all'erogazione e al follow-up del paziente.





## Efficacia delle Car-T

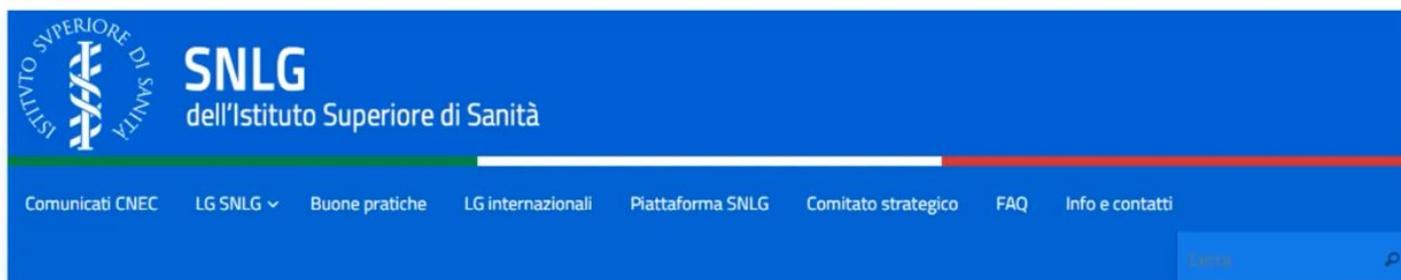
Da quanto emerso fino ad ora le cellule Car-T hanno una efficacia molto interessante anche se l'effetto è collegato alla loro persistenza nel paziente, persistenza che può essere piuttosto variabile.





## LINEE GUIDA E RACCOMANDAZIONI

Le linee guida aggiornate descrivono come sviluppare raccomandazioni terapeutiche basate sulla rilevanza clinica delle interazioni e come tarare le dosi o monitorare i pazienti durante il trattamento.



Al contempo, l'ISS, attraverso il Centro Nazionale per l'Eccellenza Clinica, la Qualità e la Sicurezza delle Cure (CNEC) funge da garante metodologico e indipendente per la valutazione di LG prodotte da terzi e per la produzione di LG di buona qualità, informate dalle migliori evidenze disponibili e rispondenti ai bisogni di salute del Paese sulla base di criteri di rilevanza e impatto clinico, economico e sociale.

### Linee guida Società Italiana di Ematologia

Il Ministero della Salute, nel 2017, ha inserito la Società Italiana di Ematologia nell'Elenco delle società scientifiche e delle associazioni tecnico-scientifiche delle professioni sanitarie in attuazione dell'articolo 5 della Legge 8 marzo 2017, n. 24 (Legge Gelli) e del Decreto ministeriale 2 agosto 2017 abilitate alla produzione delle linee guida.

La Società Italiana di Ematologia ha perciò costituito al proprio interno una struttura di esperti che hanno il compito di produrre le linee guida delle principali patologie ematologiche, in autonomia oppure in collaborazione con altre Società Scientifiche-La struttura di SIE prevede

- Comitato Strategico Linee Guida
- Gruppo metodologico esperto nella metodologia GRADE

#### COMITATO STRATEGICO LINEE GUIDA SIE

Paolo Corradini, Milano  
Alessandro Levis, Alessandria  
Mario Luppi, Modena  
Fabrizio Pane, Napoli  
Francesco Rodeghiero, Vicenza

#### GRUPPO METODOLOGICO

Atto Billio, Bolzano  
Monia Marchetti, Alessandria  
Jacopo Olivieri, Udine  
Massimiliano Panella, Novara

L'ISS tramite il CNEC funge da garante metodologico e indipendente per la produzione di linee guida di buona qualità metodologica in collaborazione con le società scientifiche tra cui la SIE.



SISTEMA NAZIONALE LINEE GUIDA DELL'ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ



Linea guida	Validita'	Coordinamento
Profilassi del tromboembolismo venoso nei pazienti ematologici	05/2021	Marchetti Panella
Gestione clinica del mieloma multiplo	04/2021	Marchetti Panella
Trombocitopenia immune nel paziente adulto	03/2021	Billio Olivieri
Porpora trombotica trombocitopenica	01/2021	Billio Olivieri
Leucemia acuta mieloide nel paziente >60 anni	01/2023	Billio Olivieri
Linfoma di Hodgkin	Expected 04/2023	Billio Olivieri
Diagnosi della malattia di Von Willebrand	Expected 06/2023	Billio Olivieri
Terapia della malattia di Von Willebrand	Expected 09/2023	Billio Olivieri
Car-T nei linfomi non Hodgkin	Expected 09/2023	Marchetti Panella

Linee guida licenziate e/ o sottoposte al ministero, nel caso specifico del MM deve essere aggiornata perché da aprile 2021 sono successe diverse cose



## I FARMACI INNOVATIVI

NOME COMMERCIALE	MOLECOLA	INDICAZIONE	SPESA BZ
ADAKVEO	CRIZANLIZUMAB	ANEMIA FALCIFORME	no
ADCETRIS	BRENTUXIMAB VEDOTIN	LINFOMA HODGKIN	90.000
DARZALEX	DARATUMUMAB	MIELOMA MULTIPLA	1.300.00 (sc) 400.000
KEYTRUDA	PEMBROLIZUMAB	LINFOMA DI HODGKIN	
KYMRIAH	TISAGENLECLEUCEL	LEUCEMIE ACUTE LINFOBLASTICHE, LINFOMI NON HODGKIN GRANDI CELLULE	no
POTELIGEO	MOGAMULIZUMAB	MICOSI FUNGOIDE, SINDROME DI SEZARY	90.000
REVLIMID	LENALIDOMIDE	LINFOMA NON HODGKIN FOLLICOLARE	no
TECARTUS	CELLULE C3+TRASDOTTE ANTI CD19	LINFOMA MANTELLARE	no
VYXEOS	CITRABINA +DOXORUBICINA LIPOSOMIALE	LEUCEMIE MIELOIDI ACUTE	180.000
XOSPATA	GILTERITINIB	LEUCEMIE ACUTE MIELOIDI	25000
YESCARTA	AXICABTAGENE CILOLEUCEL	LINFOMA NON HODGKIN	250.000

Una raccomandazione è definita forte ( secondo metodo GRADE) quando quasi tutti i pazienti faranno questa terapia e i clinici la raccomanderanno. Esempio nei pazienti DRd vs. Rd ha una raccomandazione forte



## Considerazioni sul DARZALEX SC

Gli esperti intervenuti nel panel hanno deciso, come scelta terapeutica, di somministrare a tutti i pazienti trattati il farmaco sottocute.

Questo perché il farmaco sottocute potrebbe costare di più rispetto alla terapia endovena ma nella decisione entrano nella discussione anche altri fattori tra cui l'equità di accesso alle cure e la qualità della vita del paziente.

L'endovena infatti richiede diverse ore in day hospital per la somministrazione mentre il sottocute richiede circa cinque minuti.

Analizzando tutti i fattori gli esperti intervenuti nel panel hanno concluso che garantire l'equità di accesso ed una migliore qualità della vita, oltre ad una maggiore sicurezza per il paziente, fossero superiori al risparmio ottenuto rispetto all'utilizzo endovena.



## **INNOVAZIONE IN EMATOLOGIA, DALLA TERAPIA AI MODELLI ORGANIZZATIVI**

La qualità della vita del paziente con mieloma multiplo è inficiata da diversi fattori, tra i quali sono preminenti il dolore osseo e la “fatigue”. Il trapianto autologo di midollo è stata la prima grande innovazione nello scenario terapeutico del mieloma multiplo.

Le sequenze delle nuove terapie innovative di cui disponiamo oggi hanno consentito di migliorare radicalmente la curva di sopravvivenza rispetto agli anni antecedenti al 2000.

Dopo i traguardi raggiunti attraverso gli anticorpi monoclonali e coniugati inibitori di CD38 (es° daratumumab) a fine 2023 sono attese le nuove procedure CAR-T: grande tecnologia di frontiera della terapia cellulare, immunologica e genica.

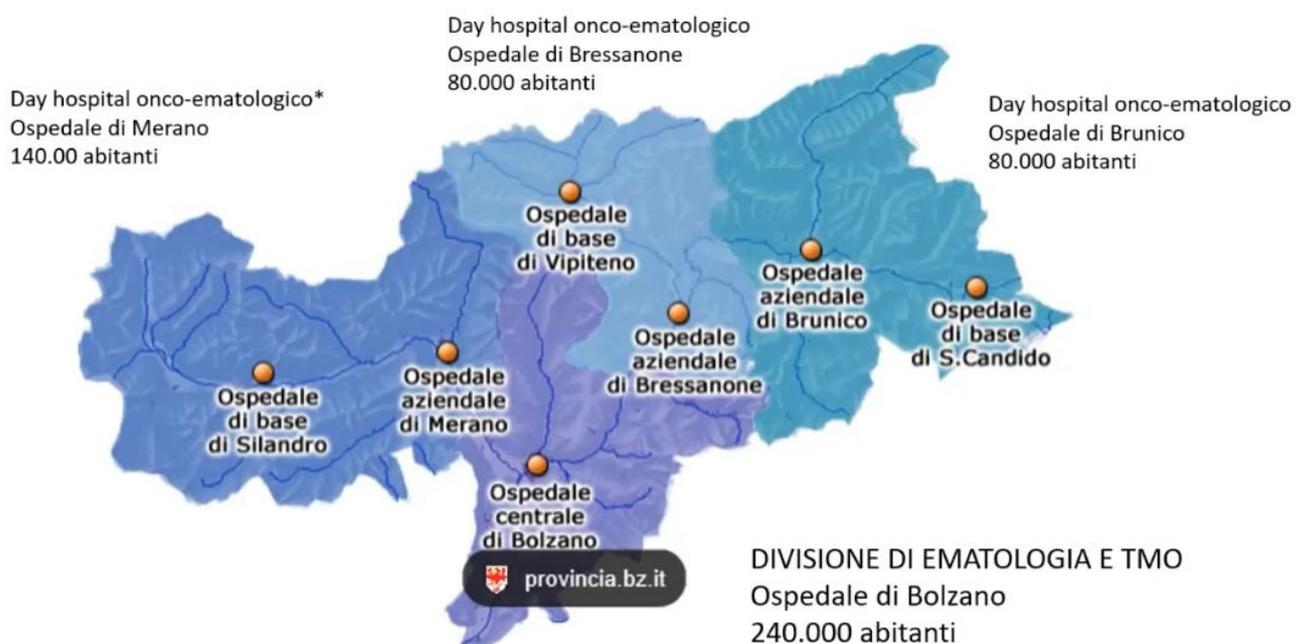
La gestione di questa procedura necessita però di un ben strutturato multidisciplinare (ematologo, trasfusionista, intensivista, neurologo, specialista delle malattie infettive, farmacista) per far fronte ai bisogni assistenziali e alle eventuali complicanze post infusionali delle CAR-T.

L’ematologia di Bolzano è già qualificata per l’uso delle CAR-T ed è in attesa del rinnovo dell’accreditamento del Centro Trapianti da parte del Centro Nazionale Trapianti per avviare la fase operativa sul paziente



## L'attuale rete assistenziale, nuovi scenari di cura tra Hub&Spoke e medicina di prossimità: chi farà cosa?

Il SSR regionale è ben organizzato con una presenza capillare dell'assistenza onco-ematologica.



Totale popolazione Alto Adige  
540.000 abitanti





Bolzano sarà il centro che gestirà l'erogazione delle Car-T ma potrà contare su altri centri in grado di gestire la patologia cronica

	<b>Bolzano</b>	<b>Merano</b>	<b>Bressanone</b>	<b>Brunico</b>
	PATOLOGIA ACUTA Trapianto autologo Trapianto allogenico Car-T* PATOLOGIA CRONICA	PATOLOGIA CRONICA	PATOLOGIA CRONICA	PATOLOGIA CRONICA
Teleconferenza (21 gg)	si	no	si	si
Prescrivibilità farmaci alto costo	si	si	si	si
Esenzione malattie rare	si	no	no	no
Popolazione	240.000	140.000	80.000	80.000

Attualmente manca una formalizzazione di questa rete di strutture, ma i professionisti delle singole aziende già da diversi anni collaborano avendo anche formato un Tumor Board.



## Modello ematologico Alto Adige:

PUNTI DI FORZA	PUNTI DEBOLI	PROPOSTE DI MIGLIORAMENTO
Copertura capillare del territorio per le patologie ematologiche croniche	Assenza di collegamento formale con Bolzano sul modello hub & spoke	Formalizzazione del modello hub&spoke
Terapia erogata c/o domicilio del paziente	Frammentazione dell'esperienza nella gestione di farmaci innovativi e di malattie rare	Presentazione dei nuovi casi al tumor board con aumento della frequenza a 14 giorni
Tumor board (Bressanone-Brunico)	Merano non presente al tumor board	Coinvolgimento di Merano
	Difficolta' di arruolamento negli studi clinici	Messa in rete degli studi attivi
PDTA locali (Leucemia linfatica cronica, inibitori FVIII)		Incremento dei PDTA locali
Prescrivibilita' capillare dei farmaci ad alto costo sul territorio provinciale	Asimmetria nella prescrivibilita' dei farmaci ad alto costo non rimborsabili	Allineamento in base alla politica aziendale (e non comprensoriale)

## Collaborazione Bolzano-Trento

- Istituzione di un programma metropolitano di trapianto
- Trapianto autologo eseguibile a Trento
- Raccolta cellule staminali autologhe a Bolzano
- Manuale qualità unico (ematologia BZ, servizio immunoematologia Bz, struttura semplice ematologia Tn).



## **La spinta dell'innovazione tra nuove linee di terapia e sostenibilità: accesso al fondo innovativi esempi di possibile governance?**

Dal punto di vista dell'impatto economico, visto il valore dell'innovazione in arrivo la spesa farmaceutica relativa al mieloma multiplo non sarà indifferente e richiederà una programmazione di risorse adeguata.

Tutto ciò in particolare nelle due province autonome di Trento e Bolzano che non hanno accesso al fondo innovativi nazionale. Come già accaduto in tutte le altre regioni a statuto autonomo, la soluzione da adottare rapidamente, potrebbe essere quella di implementare un fondo dedicato all'innovazione.



## QUALI NUOVI MODELLI DI RETE ASSISTENZIALE NEL MIELOMA MULTIPLO?

Le nuove terapie con bersagli molecolari, l'immunoterapia e le terapie geniche, viste oggi nell'ampio contesto dell'ematologia cosiddetta di precisione, hanno radicalmente cambiato le prospettive e la qualità della vita dei pazienti affetti da patologie oncoematologiche.

La possibilità di utilizzare terapie diversificate, personalizzate per ogni singolo paziente, crea la necessità di competenze ultra specialistiche e rende di conseguenza prioritario il ruolo delle Reti.

Maggiormente in tempi di COVID, in cui la mobilità è limitata e in assenza di opportunità congressuali di aggiornamento, chi può avvalersi delle reti risulta facilitato; i networks sono fondamentali per sopperire alle carenze che la situazione impone. Il problema oggi è il coinvolgimento del territorio, e questo si esplica attraverso l'applicazione dei PDTA, ma non solo.

Far partecipare il territorio, infatti, non implica soltanto coinvolgere i centri di cura più piccoli e periferici con i protocolli terapeutici più innovativi ma significa anche raggiungere la Cittadinanza per un accesso appropriato ed una adeguata informazione.

Sempre tornando al tema COVID non deve verificarsi quanto, ad esempio, purtroppo accade con il fenomeno del negazionismo, frutto essenzialmente di una ignoranza figlia di una scarsa informazione. **Per questo le Reti**, in quanto strumenti per coordinare l'innovazione, sono ora e lo saranno maggiormente nel futuro un valore aggiunto imprescindibile.



## Proposte

### ruolo del clinico, del laboratorio e delle strutture sanitarie nel caso del Mieloma Multiplo:

- **Qualificare il monitoraggio della evoluzione** delle Gammopatie Monoclonali a Significato Indeterminato-MGUS- ed accesso ad Ematologia, mediante percorso di RETE;
- **L'Ematologia deve garantire**, in RETE, utilizzi di tecniche di laboratorio per definire la prognosi in modo statico (citogenetica) e dinamico (Malattia Minima Residua-MRD-);
- **Offrire corretto e facilitato accesso ai farmaci innovativi** in appropriatezza (indicazioni AIFA) attraverso una efficiente rete HUB-SPOKE;
- **Offrire modello di Cure Palliative/Supportive Precoci** per qualificare la comunicazione di prognosi e programma di cura con paziente e caregiver in grado di offrire cura tempestiva ed appropriata dei sintomi fisici (dolore in primis) e psico-sociali e spirituali.



## La spinta dell'innovazione e le nuove linee di terapia: serve una revisione organizzativa?

Negli ultimi decenni si è posto in maniera sempre più preponderante il governo dell'innovazione in ambito oncologico ed ematologico. Ciò è dovuto da un lato ai bisogni largamente insoddisfatti in diverse condizioni e setting di patologie onco ematologiche e dall'altro alla possibilità di avere sempre più precocemente farmaci con dati scientifici non definitivi pur tuttavia seppur preliminari, molto promettenti.

Il progressivo sviluppo conoscitivo delle caratteristiche clinico-biologiche dei vari tumori ha prodotto e produrrà, sempre di più in futuro, entità tumorali tra il raro ed il molto raro. Ciò comporterà l'impossibilità di avere studi clinici scientificamente e metodologicamente di qualità alta al momento della disponibilità del farmaco o della sua immissione in commercio.

Per cui il SSN e i SSR dovranno attrezzarsi a far sì che la Real life possa trasformarsi in uno studio osservazionale prospettico. Questo consentirà di completare il resto di sviluppo di questi farmaci per poter attribuire loro un reale valore terapeutico ed economico.

Affinché la Real life diventi un'attività assistenziale non solo finalizzata alla cura del malato ma anche al progressivo aumento delle conoscenze è necessario ed indispensabile che i professionisti dei vari centri oncologici ed ematologici facciano parte di una **rete integrata** e supportata da una corretta informatizzazione comune in grado di condividere raccomandazioni, linee guida e le attività di ricerca Clinica.



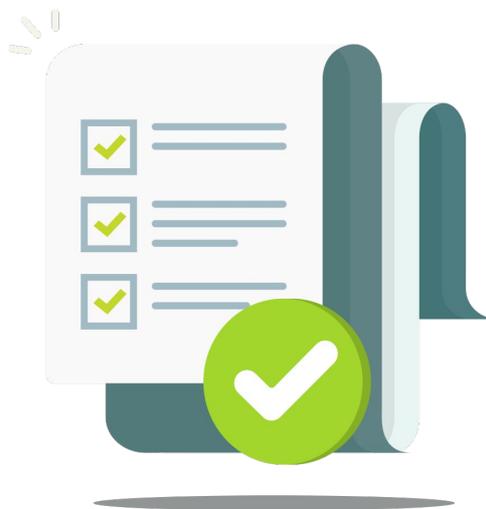
## CONCLUSIONI

Il 2023 rappresenta un anno di svolta per il mieloma multiplo. Le nuove possibilità di cura disponibili cambieranno il paradigma della malattia. L'innovazione però non si fermerà nel 2023 perché prevista l'approvazione nei prossimi anni di numerosi nuovi trattamenti per questa patologia.

Quest'anno sarà quindi apripista per un grande innovazione terapeutica e se il SSR del Trentino Alto Adige non si farà trovare preparato si corre il rischio di non poter offrire le migliori possibilità di cura adesso e negli anni futuri. È compito degli operatori, degli esperti del settore, delle Associazioni dei pazienti, di trovare e suggerire alle istituzioni politiche 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 sui pazienti trattati è pensabile una cabina di regia che regoli in tutta Italia il flusso.

Perché in oncologia la vera sfida è e sarà aumentare l'esperienza, le possibilità di ricerca, la multidisciplinarietà e la comunicazione tra tutti i professionisti per migliorare l'organizzazione.





## CALL TO ACTION

1. **Bisogna creare un PDTA regionale** per il mieloma multiplo che abbia tra i vari obiettivi quello di far incontrare gli specialisti con il territorio.
2. **Tutto il sistema organizzativo assistenziale deve promuovere la ricerca** sul mieloma multiplo, favorendo sia la ricerca accademica che quella pratica riuscendo a sfruttare al meglio le possibilità offerte dai trial clinici.
3. Le associazioni pazienti devono essere coinvolte a 360° per riuscire ad offrire un supporto reale ai pazienti e alle loro famiglie.
4. **Il sistema deve evolvere per riuscire ad erogare appropriatamente** le più efficaci terapie innovative (anticorpi CD 38, Car-T, etc.) sin dalla diagnosi della malattia. Per le 2 province autonome è indispensabile programmare fondi dedicati come già accaduto in tutte le regioni autonome che non accedono al fondo nazionale
5. **È necessario creare dei centri operativi regionali** per le CarT. Questo va fatto prima dell'approvazione da parte dell'AIFA così che una volta arrivata l'approvazione la Regione sia preparata ad erogare le cure nel minor tempo possibile, evitando trasferimenti dei pazienti in altre regioni.
6. **È necessario creare laboratori per la valutazione della malattia minima residua** (Minimal Residual Disease – MRD). Il valore prognostico della MRD è riconosciuto a livello internazionale e viene utilizzato per la stratificazione dei pazienti nei trial clinici.

Al di fuori dei protocolli, non tutti i centri sono equipaggiati per garantire che questo tipo di indagine molecolare sia svolta tempestivamente e appropriatamente su tutti i pazienti. La soluzione per garantire un accesso uniforme ai pazienti non è quella di attrezzare laboratori e formare personale in tutti i centri, ma quella di ragionare in un'ottica di una rete per valorizzare competenze e strutture già presenti e con una forte esperienza anche internazionale.



7. Ricerca e assistenza clinica in ematologia rappresentano un binomio inscindibile. I Servizi sanitari provinciali devono quindi adeguarsi attraverso una più stretta collaborazione tra clinici e ricercatori per riuscire contemporaneamente a gestire le terapie innovative e guardare al futuro della ricerca scientifica.
8. **Le nuove terapie aumenteranno il numero di pazienti cronicizzati e guariti**, il sistema dovrà quindi prepararsi per garantire un sistema adeguato di presa in carico e follow-up sia ospedaliero che domiciliare.
9. **È prevedibile che le nuove diagnosi di mieloma multiplo aumenteranno** nei prossimi anni, bisogna quindi aumentare i posti letto dedicati per riuscire a far fronte al futuro fabbisogno.
10. **È necessario potenziare il sistema di cartelle cliniche elettroniche condivise** per riuscire a monitorare con maggiore precisione chi sviluppa sintomi e/o patologie per poter poi indicare la migliore strada terapeutica per questi pazienti.

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

**Atto Billio**, Direttore Ematologia e Centro di Trapianto Midollo Osseo ASAA Bolzano

**Federica Bonizzi**, Referente Provinciale Commissione Farmaci, Provincia Autonoma di Bolzano

**Paola Cristina Cappelletto**, Dirigente Farmacista presso Azienda Sanitaria dell'Alto Adige

**Susanna Cozzio**, Direttore di Area Medica del S.O.P. e Direttore U.O. Medicina Interna Ospedale S. Maria del Carmine di Rovereto

**Antonio Ferro**, Direttore Generale APSS Trento

**Walter Locatelli**, Direzione Scientifica Motore Sanità

**Valentina Solfrini**, Responsabile HTA e Sviluppo Innovazione Staff DG AOU Modena

**Gilbert Spizzo**, Medicina Interna Oncologia ed Ematologia Ospedale di Bressanone

**Carlo Tomassini**, Direzione Scientifica Motore Sanità

**Roberto Valcanover**, Presidente AIL Trento

**Simone Verza**, Presidente AIL Bolzano

**Josef Widmann**, Direttore Sanitario ASAA Bolzano

**Gianna Zamaro**, Direzione centrale salute, politiche sociali e disabilità Regione Friuli Venezia Giulia

**Florian Zerzer**, Direttore Generale ASAA Bolzano



Con il contributo incondizionato di



IT-MeD



**ORGANIZZAZIONE**



**Barbara Pogliano**

[b.pogliano@panaceasc.com](mailto:b.pogliano@panaceasc.com)



**Clara Nebiolo**

[meeting@panaceasc.com](mailto:meeting@panaceasc.com)



324 6327587



MOTORE  
SANITÀ

panacea

