

COMUNICATO STAMPA

Tumori del sangue: grandi passi avanti, ora la sfida è di rendere accessibili a tutti le nuove terapie

I nuovi farmaci offrono enormi potenzialità per il trattamento di malattie gravi come il mieloma multiplo e le leucemie acute, ma l'accesso a queste cure rimane disomogeneo

In alcune regioni, come il Veneto, sono stati avviati progetti pilota per valutare il “place in therapy” di nuove terapie oncologiche, attraverso confronti indiretti tra farmaci e le alternative già utilizzate, come l'Horizon Scanning che ha lo scopo di prevedere l'impatto delle nuove terapie sul sistema sanitario e migliorare l'organizzazione dei trattamenti

Padova, 28 marzo 2025 - Negli ultimi cinque anni, l'innovazione diagnostico-terapeutica in ambito ematologico ha segnato traguardi significativi, migliorando drasticamente la qualità e l'aspettativa di vita di molti pazienti. Tuttavia, se da un lato i progressi in campo medico sono straordinari, dall'altro l'innovazione organizzativa fatica a tenere il passo, creando ostacoli nell'implementazione e nell'accesso alle nuove terapie. Durante l'evento organizzato da Motore Sanità a Padova, dal titolo **“Impatto dell'innovazione nei percorsi assistenziali del paziente ematologico, dal mieloma alle leucemie acute”**, sono emerse le problematiche legate alla rapida evoluzione delle terapie e la difficoltà delle strutture sanitarie di adeguarsi in tempo. A pesare sul processo di cambiamento sono la carenza di personale, le risorse economiche insufficienti e una programmazione inadeguata, che rallentano l'adozione dei nuovi trattamenti e creano disparità tra le diverse regioni italiane.

Il caso del mieloma multiplo: progressi e speranze future

Il mieloma multiplo è una delle malattie ematologiche più comuni, che colpisce le plasmacellule del midollo osseo, ed è caratterizzata da un'**incidenza annuale di 5.759 nuovi casi in Italia**, di cui 3.019 fra gli uomini e 2.740 fra le donne (report AIOM 2020), rappresentando secondo i dati AIRTUM l'1,3% di tutti i tumori nella donna e l'1,2% nell'uomo. Oltre 60% delle diagnosi riguarda over 65 anni e solo l'1% under 40 anni. “Il fondamentale passo avanti nella terapia del mieloma è stato l'utilizzo della **immunoterapia in associazione a immunomodulanti e inibitori di proteosomi** – ha spiegato **Renato Zambello**, Coordinatore della Commissione Mieloma della Rete Ematologica Veneta -. Grazie a queste combinazioni la durata delle remissioni libere da malattia si attesta a circa 17 anni per i pazienti più giovani, candidati alle alte dosi, e di circa 8 anni per i pazienti più anziani. Se si pensa che la prognosi del mieloma negli anni '90 era una sopravvivenza di circa 3 anni, si può ben comprendere l'incredibile miglioramento della prognosi. La possibilità di avere un controllo duraturo di malattia rappresenta una opportunità anche in pazienti in linee più avanzate di terapia, mantenendo una qualità di vita soddisfacente”. “A oggi – ha concluso il professore Zambello - la terapia del mieloma è una terapia continuativa che permette certo un buon controllo di malattia, ma costringe i pazienti a non sospendere mai i farmaci. L'auspicio è che si possa arrivare, combinando terapie innovative e la valutazione della qualità della risposta, intesa come negatività della malattia minima residua, alla guarigione della malattia, sospendendo quindi le cure”.

L'introduzione di nuove terapie sempre più efficaci nel trattamento del mieloma multiplo ha migliorato significativamente l'outcome dei pazienti. Uno dei parametri maggiormente informativi circa la risposta al trattamento e la prognosi è lo **studio della "minimal residual disease (MRD) rendendo di fatto fondamentale il suo monitoraggio**. Come ha spiegato **Laura Bonaldi**, referente per la Diagnostica Molecolare Oncoematologica all'Istituto Oncologico Veneto (IOV) "l'International Myeloma Working Group ha già definito nel 2016 quali sono le due metodiche raccomandate per valutare questo tipo di indicatore; da una parte la citometria a flusso multiparametrica nota anche come Next Generation Flow (NGF), dall'altra un approccio tramite Next Generation Sequencing (NGS). Sono entrambe metodiche che richiedono un elevato livello di expertise e che, quindi, devono necessariamente essere affrontate in laboratori di riferimento specializzati, che possiedano già strumentazione e competenze specifiche. Credo che sia opportuno individuare uno o alcuni laboratori di secondo livello che fungano da centri hub in una rete regionale. A tal proposito il professore Renato Zambello dell'UOC Ematologia dell'AOUPD si sta organizzando per rendere disponibile la valutazione della malattia residua con metodica NGF". Per quanto riguarda i centri medio-piccoli, "afferiranno ai laboratori di riferimento; non è possibile infatti pensare di suddividere questo tipo di valutazione sui centri piccoli, ma deve essere necessariamente centralizzata nei centri hub di riferimento. Questo permetterà anche ai centri periferici di accedere a queste analisi avanzate, garantendo una gestione uniforme e di alta qualità all'interno della Rete Ematologica Regionale" ha concluso la dottoressa Bonaldi.

Le leucemie acute: nuove frontiere nella cura e nella diagnosi

Le leucemie acute, come la leucemia linfoblastica acuta (LLA) e la leucemia mieloide acuta (LMA), presentano una prognosi variabile a seconda del tipo di leucemia acuta, ma sicuramente per alcune forme ancora non soddisfacente a causa del rischio di recidiva e di resistenza alle terapie. La LLA è prevalentemente una malattia pediatrica (**rappresenta il 75% delle leucemie negli under 15 e il 25% di tutti i tumori dei bambini**), mentre la LMA colpisce principalmente gli anziani (età media di insorgenza intorno ai 70 anni).

Negli ultimi vent'anni, i cambiamenti nel trattamento sono stati notevoli, grazie all'introduzione di **nuove terapie come gli anticorpi monoclonali, le cellule CAR-T e la caratterizzazione molecolare** delle neoplasie ematologiche. "La conseguenza più evidente di questi cambiamenti è stata l'aumento della possibilità di ottenere una remissione completa di malattia e quindi l'aumento della sopravvivenza complessiva e della possibilità di portare al trapianto allogenico un maggior numero di pazienti con questa indicazione – ha spiegato **Mauro Krampera**, Direttore dell'UOC Ematologia e Centro Trapianti di Midollo Osseo di Verona e Coordinatore Tecnico-scientifico della Rete Ematologica Veneta (REV) -. L'auspicio è quello di poter estendere al maggior numero di Centri ematologici, in un'ottica di Rete, queste nuove potenzialità, armonizzando le scelte terapeutiche secondo le linee guida e i processi di place in therapy, che consentono rapidamente, ma in modo rigoroso, di calare nella pratica clinica quotidiana tutte le innovazioni che provengono dalla ricerca traslazionale" ha concluso il professore Krampera.

Disparità nell'accesso alle terapie: un problema che persiste

Uno degli aspetti più problematici nel panorama attuale riguarda l'accesso alle terapie, che mostra significative disuguaglianze tra le diverse regioni italiane. **Anna Martini**, della Direzione Farmaceutico-Protesica della Regione Veneto, ha sottolineato come un maggiore allineamento tra AIFA e le regioni, soprattutto per quanto riguarda la valutazione delle terapie, possa facilitare l'accesso ai farmaci innovativi e ridurre le disparità. "Potersi riferire a una maggiore condivisione delle valutazioni sui farmaci condotte da AIFA con il livello regionale consentirebbe alle Regioni di non replicare alcune attività (ad esempio, valutazione delle evidenze scientifiche, individuazione

del place in therapy rispetto alle alternative terapeutiche), bensì di concentrarsi sull'impatto economico a livello locale unitamente agli aspetti organizzativi che devono, necessariamente, tener conto delle specificità dei diversi contesti (ad esempio: reti di patologia; modello hub and spoke), soprattutto nel caso di particolari terapie, ad esempio CAR-T, elacestrant, ecc". "Riteniamo – ha proseguito Martini - che l'attività di Horizon Scanning possa contribuire in modo importante a stimare tempestivamente il ruolo di nuove terapie in termini di definizione di un loro probabile "place in therapy" e del loro eventuale impatto sull'organizzazione dell'assistenza sanitaria sia nazionale che regionale". **Nel Veneto l'attività di Horizon Scanning è attiva dal 2008 con un ruolo a livello regionale, nazionale e internazionale.** "Attualmente è in fase di avvio una fase pilota relativa ai farmaci oncologici che prevede l'utilizzo di confronti indiretti tra un nuovo farmaco/nuova indicazione, che abbia ricevuto una positive opinion da parte del CHMP-EMA, e le alternative farmacologiche già utilizzate nella pratica clinica, allo scopo di definire con una modalità più strutturata l'eventuale "place in therapy" del nuovo medicinale/nuova indicazione" ha concluso Anna Martini.

Il ruolo fondamentale di AIL nel supporto ai pazienti

In un contesto in cui l'innovazione diagnostico-terapeutica corre più veloce della capacità delle strutture sanitarie di adattarsi, **le associazioni come l'AIL (Associazione Italiana contro le Leucemie, Linfomi e Mieloma) svolgono un ruolo fondamentale nell'offrire supporto psicologico, assistenza logistica e un continuo monitoraggio delle necessità dei pazienti e dei loro familiari.** A sottolinearlo è stato **Stefano Boscariol**, Referente comunicazione di AIL Pordenone. "Penso alle urgenze nelle visite con familiari al seguito per i quali mettiamo a disposizione volontari autisti e veicoli di nostra proprietà per il trasporto dalle loro abitazioni ai centri di cura. Sul piano psicologico diamo supporto attraverso i professionisti del settore da noi finanziati e per quanto riguarda il percorso di cura che costringe ad effetti collaterali fisici viene in aiuto il nostro personale fisioterapico sovvenzionato che tocca un settore unico e innovativo come la telemedicina".

Tuttavia, anche all'interno dell'AIL, c'è consapevolezza che l'organizzazione del sistema sanitario non riesca sempre a tenere il passo con l'innovazione terapeutica, impedendo una risposta tempestiva alle necessità dei malati. "Siamo consapevoli come, a fronte di questa evoluzione, non si riesca ad implementare gli aspetti organizzativi legata ad essa – ha spiegato **Daniel Lovato**, Presidente AIL Verona ODV -. Si evidenzia, inoltre, carenza di personale nelle strutture che comporta ritardi nella presa in carico dei pazienti. Tutto ciò, per ovvie ragioni, si differenzia sul territorio nazionale da regione a regione".

Si ringrazia Pfizer per il contributo incondizionato.

Ufficio stampa Motore Sanità

comunicazione@motoresanita.it

Liliana Carbone - 347 2642114

www.motoresanita.it