

DOCUMENTO DI SINTESI



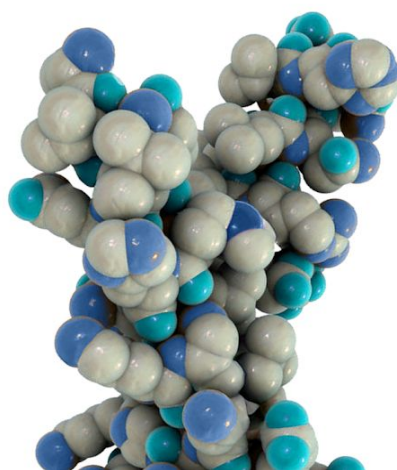
www.motoresanita.it

FOCUS ON

IPOPARIETIROIDISMO

Innovazione organizzativa nei percorsi di diagnosi, cura, follow-up

TOSCANA



16 Settembre 2025

dalle **10.00** alle **13.30**

FIRENZE

Hotel NH Firenze

Piazza Vittorio Veneto, 4



Inquadramento generale ed epidemiologia

L'ipoparatiroidismo è una malattia rara, cronica, con un impatto significativo sulla qualità della vita dei pazienti. In Italia si stimano tra 10.000 e 15.000 casi, in prevalenza forme secondarie post-chirurgiche legate a tiroidectomia radicale o interventi al collo. Le forme primitive o genetiche rappresentano una minoranza, ma presentano una maggiore complessità clinica.

La prevalenza più alta si registra nelle donne adulte, con esordio spesso precoce. Nonostante la rarità, la patologia è rilevante per i costi diretti (ospedalizzazioni, follow-up, accessi in pronto soccorso) e indiretti (giornate di lavoro perse, carico sui caregiver).

Diagnosi e criticità

Il percorso diagnostico presenta ancora ritardi e incertezze. Spesso i sintomi (crampi, parestesie, disturbi cognitivi, depressione, tetania) vengono confusi con problematiche neurologiche o psichiatriche, portando a trattamenti non appropriati.

Mancano linee di riferimento uniformi e una diffusa consapevolezza nei pronto soccorso, dove molti pazienti non vengono riconosciuti tempestivamente.

La disponibilità di registri regionali e nazionali ha migliorato la raccolta dati, ma restano limiti legati alla frammentarietà delle informazioni e alla difficoltà di inserimento di tutte le tipologie di ipoparatiroidismo.

Complicanze cliniche e qualità di vita

La patologia compromette diversi organi e sistemi: rene (nefrocalcinosi, nefrolitiasi, insufficienza renale), apparato scheletrico (alterazioni della microarchitettura ossea, fratture), sistema nervoso centrale (depressione, epilessia, disturbi cognitivi), occhi (cataratta).

I pazienti riportano un forte impatto sulla qualità di vita con affaticamento, limitazioni lavorative e difficoltà cognitive. Questionari specifici hanno confermato punteggi di benessere inferiori rispetto alla popolazione generale.



Terapie: convenzionali e innovative

Tradizionalmente i pazienti sono stati trattati con calcio e vitamina D attiva. Questo approccio, definito non più “convenzionale” ma “adiuvante”, mostra limiti significativi: difficoltà di controllo dei livelli di calcemia, rischio di complicanze renali e ossee, necessità di politerapia (fino a 7-9 farmaci al giorno).

La terapia sostitutiva con paratormone ricombinante segna una svolta. Nuove molecole a lunga durata d'azione hanno dimostrato efficacia nel ridurre i sintomi, migliorare la qualità della vita e diminuire l'uso di supplementi orali, con un profilo di sicurezza favorevole. L'accesso resta però vincolato a negoziazioni regolatorie e a problemi di sostenibilità economica.

Innovazione organizzativa e PDTA

È emersa la necessità di strutturare percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali (PDTA) omogenei a livello regionale e nazionale.

Elementi chiave:

- presa in carico multidisciplinare (endocrinologi, chirurghi, nefrologi, psicologi, pediatri, medici di base);
- continuità ospedale-territorio;
- ruolo della telemedicina per monitoraggi a distanza;
- strumenti pratici come tesserini di emergenza per pazienti da presentare in pronto soccorso;
- inclusione delle associazioni pazienti ai tavoli decisionali.

Aspetto pediatrico e transizione all'età adulta

Nei bambini, l'ipoparatiroidismo è principalmente congenito (sindrome di DiGeorge, forme autoimmuni, mutazioni genetiche). La diagnosi precoce è fondamentale per evitare ritardi e complicanze severe.

La transizione dall'età pediatrica all'età adulta rappresenta un momento delicato: è necessario un ambulatorio dedicato che coinvolga specialisti pediatrici e dell'adulto per garantire continuità assistenziale e supporto alla famiglia.



Sostenibilità e costi

Il costo complessivo per paziente complicato si aggira intorno ai 10.000 euro/anno, includendo ospedalizzazioni e accessi in pronto soccorso.

L'introduzione di terapie innovative può generare risparmi indiretti grazie alla riduzione delle emergenze e al miglioramento della produttività dei pazienti.

La sfida è fornire ai decisori politici dati quantitativi affidabili (registri, survey sulla qualità di vita, valutazioni delle complicanze) per supportare le decisioni di rimborso e accesso.



Temi emersi

- **Patologia rara ma rilevante:** 10-15.000 casi in Italia, con prevalenza femminile e forme secondarie post-chirurgiche.
- **Ritardi diagnostici frequenti e scarsa consapevolezza** nei pronto soccorso.
- **Impatto multisistemico (rene, osso, SNC, occhi)** e qualità di vita compromessa.
- **Terapia “convenzionale” con calcio e vitamina D insufficiente** e gravosa.
- **Nuove terapie sostitutive con paratormone: efficaci e sicure, ma ancora non accessibili** a tutti.
- **Necessità di PDTA regionali e nazionali** per uniformare diagnosi, presa in carico e follow-up.
- **Ruolo delle associazioni pazienti nella sensibilizzazione** e nel supporto psicologico.
- **Importanza della transizione** pediatrica-adulto.
- **Tematica dei costi:** valutare non solo la spesa farmaco, ma anche i costi indiretti evitati.



Action Points

- **Definire PDTA regionali e nazionali** con criteri di omogeneità e selezione dei pazienti.
- **Integrare team multidisciplinari ospedale-territorio** per una presa in carico completa.
- **Implementare la telemedicina** per il monitoraggio domiciliare e la riduzione degli accessi ospedalieri.
- **Utilizzare questionari di qualità di vita e dati clinici** per misurare l'impatto reale e fornire evidenze ai decisori.
- **Introdurre strumenti pratici (tesserini di emergenza per pazienti)** da diffondere su scala nazionale.
- **Coinvolgere le associazioni pazienti nei tavoli decisionali** e nella diffusione di materiale informativo.
- **Favorire la transizione strutturata pediatria-età adulta** con ambulatori dedicati.
- **Sensibilizzare i chirurghi alla riduzione degli interventi non necessari** e alla centralizzazione in centri esperti.
- **Produrre dati economici affidabili su costi diretti e indiretti** per sostenere la negoziazione dell'accesso ai farmaci innovativi.



Documento redatto sulla base dei contenuti discussi dai partecipanti all'evento

Daniele Barbaro, Direttore U.O. Aziendale di Endocrinologia Livorno

Stella Bernardi, Professore Associato di Endocrinologia, Università degli Studi di Trieste

Maria Luisa Brandi, Presidente Fondazione Firmo

Marco Capezzone, Direttore UOSD di Endocrinologia, Ospedale Misericordia, Grosseto, Referente AME Toscana

Maria Grazia Castagna, Direttore UOC Endocrinologia, AOU Siena

Filomena Cetani, Professore Associato di Endocrinologia, Dipartimento di Medicina Clinica e Sperimentale, Sezione Endocrinologia, Università di Pisa

Luisella Cianferotti, Professore associato Ricercatrice Università di Firenze

Rossella Elisei, Presidente AIT (Associazione Italiana Tiroide)

Luigi Gennari, Professore Ordinario Dipartimento di Medicina Interna, Scienze Endocrino-Metaboliche e Biochimica, Università degli Studi di Siena

Laura Masi, Direttore SOD Malattie del Metabolismo Minerale e Osseo AOUI Careggi

Anna Maria Marcantonio, Dirigente Medico, Medicina Interna ed Endocrinologia, USL4, Prato

Annamaria Minicucci, Direzione Scientifica di Motore Sanità

Franco Ricci, Medico Pediatra, SS Auxoendocrinologia del Meyer

Francesca Romeo, Consigliere Associazione A.P.P.I. (Associazione Per i Pazienti con Ipoparatiroidismo)



Con il contributo incondizionato di



Comunicazione e redazione stampa
a cura di **www.mondosanita.it**

Registrati e ottieni le nostre
rassegne stampa in esclusiva

ORGANIZZAZIONE e SEGRETERIA

Anna Maria Malpezzi - 329 9744772

Truman Piovano - 328 844 3678

segreteria@panaceascs.com



**MOTORE
SANITA**
Cure the Future

panacea



www.motoresanita.it

