officinamalattierare@dossetti.it



DOTT. ROBERTO BADAGLIACCA - Dipartimento di Scienze Cardiovascolari e Respiratorie – Università "La Sapienza" di Roma

DOTT. VITTORIO VIVENZIO - Consigliere Associazione Malati Ipertensione Polmonare (AMIP)

SINERGIE ISTITUZIONALI E NUOVE DINAMICHE MEDICO - PAZIENTE

Le malattie rare rappresentano una sfida che coinvolge non solo gli aspetti scientifici, diagnostici e terapeutici, ma soprattutto aspetti organizzativi e gestionali.
Un caso paradigmatico è rappresentato dall'ipertensione polmonare primitiva e le forme "associate", una malattia che causa ostruzione dei piccoli vasi polmonari e di conseguenza una gravissima insufficienza cardiaca. Nonostante vi siano possibilità di successo terapeutico solo in centri esperti, in Italia si è assistito alla proliferazione di decine di piccoli centri che non possono garantire l'accesso alle terapie più complesse (terapie infusionali continue e trapianto di polmone). Inoltre, nonostante esista l'obbligo di registrazione dei pazienti su un database dell'ISSN per l'erogazione e la rimborsabilità dei farmaci, non vi è nessuno organismo che verifichi l'attuazione di questa procedura. Questa carenza ha comportato l'utilizzo improprio dei farmaci con un significativo aumento della spesa farmaceutica.
Questi problemi sono stati superati in altri paesi europei (Regno Unito, Belgio, Olanda, Francia) con l'identificazione di centri di riferimento (1 ogni 8-10 milioni di abitanti) che collaborano con un modello spoke-and-hub con gli ospedali del territorio.

Recentemente la Società Europea di Cardiologia e Pneumologia ha identificato le caratteristiche dei centri di riferimento per garantire un adeguato livellio nella ricerca, assistenza e formazione.

Nell'ambito delle malattie rare un ruolo fondamentale deve essere svolto dalle associazioni dei pazienti che:

- rappresentano le esigenze dei malati alle istutuzioni
- sostengono i malati nell'affrontare problemi amministrativi/gestionali
- organizzano gruppi di auto sostegno
- supportano i centri di riferimento

Solo una "alleanza" tra i pazienti, i medici e le istituzioni può consentire l'affrontare con successo la complessa sfida delle malattie rare.

Associazione "G. Dossetti: i Valori" Sviluppo e Tutela dei Diritti – Via Giulio Salvadori 14/16, 00135 Roma
Tel.06 3389120 / 348 8118752 Fax. 06 30603259 www.dossetti.it - segreteria@dossetti.it

Le malattie rare: sinergie istituzionali e rapporto medico-paziente

Roberto Badagliacca
Dip. Scienze Cardiovascolari e Respiratorie
Università di Roma Sapienza
Direttore Prof.F.Fedele

Malattie Rare: le problematiche

Le malattie rare rappresentano una sfida

- Scientifica (limitatezza dei fondi per la ricerca)
- Assistenziale (identificazione e trattamento dei pazienti)
- Organizzativa (team specialisitici)
- Amministrativa (normative)
- Umana (la solitudine del paziente e della famiglia)

Malattie Rare: il caso della Ipertensione Polmonare Primitiva

Malattia rara 1.7 casi ogni 100.000 abitanti

CON

- Non inserita nell'elenco delle malattie rare !!
- Centri di Riferimento non identificati!

PRO

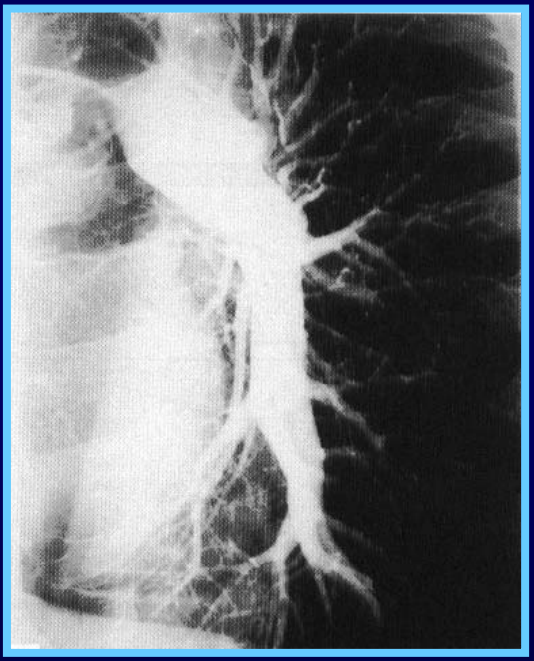
- Possibilità di cure efficaci
- Associazione dei pazienti molto attive

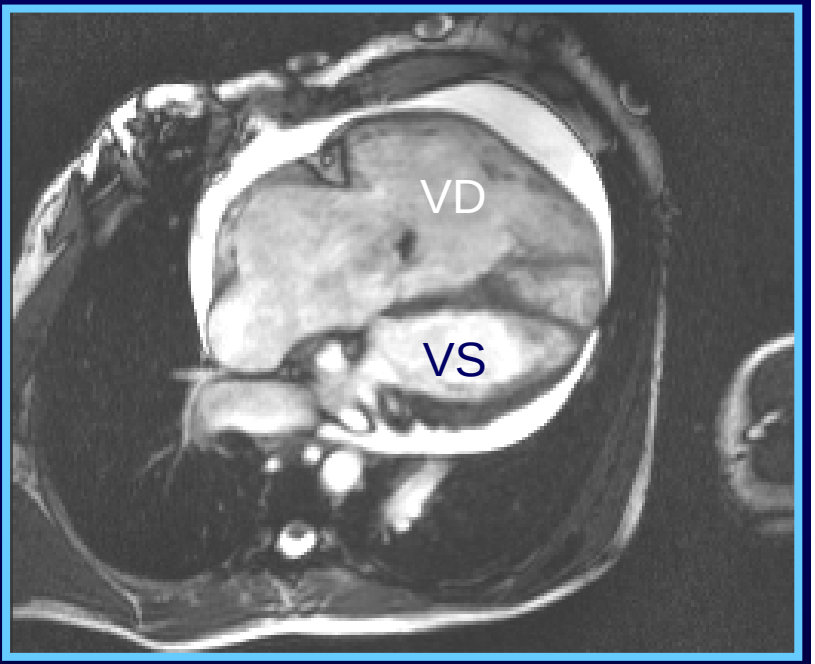
L’Ipertensione Polmonare Primitiva (o Ipertensione Arteriosa Polmonare Idiopatica)

NORMALE



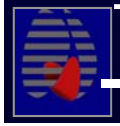
IPERT. POLM.





Farmaci Specifici

	Half-life	Route
Prostanoids		
Epopoprostenol	2-4 min	i.v.
Iloprost	20-40 min	i.v./inhal
Treprostinil	4-6 ore	s.c.
Beraprost	40-120 min	os
ET-1 Antagonists		
Bosentan	360-480 min	os
Sitaxentan	10 ore	os
Ambrisentan	9-15 ore	os
PDE-5 Inhibitors		
Sildenafil	180-240 min	os
Tadalafil	36-40 ore	os



Farmaci Specifici

Farmaci Orali

PDE-5 inhibitor
Sildenafil
- Dosaggi diversi
- Interazioni farm

ETRA
Bosentan
Sitaxentan
Ambrisentan
- ALT/AST mensile
- Interazioni farm

Farmaci Inalatori

Prostanoide
Iloprost
- Addestramento paz.
- manutenzione device
- reperibilità medica

Farmaci Parenterali

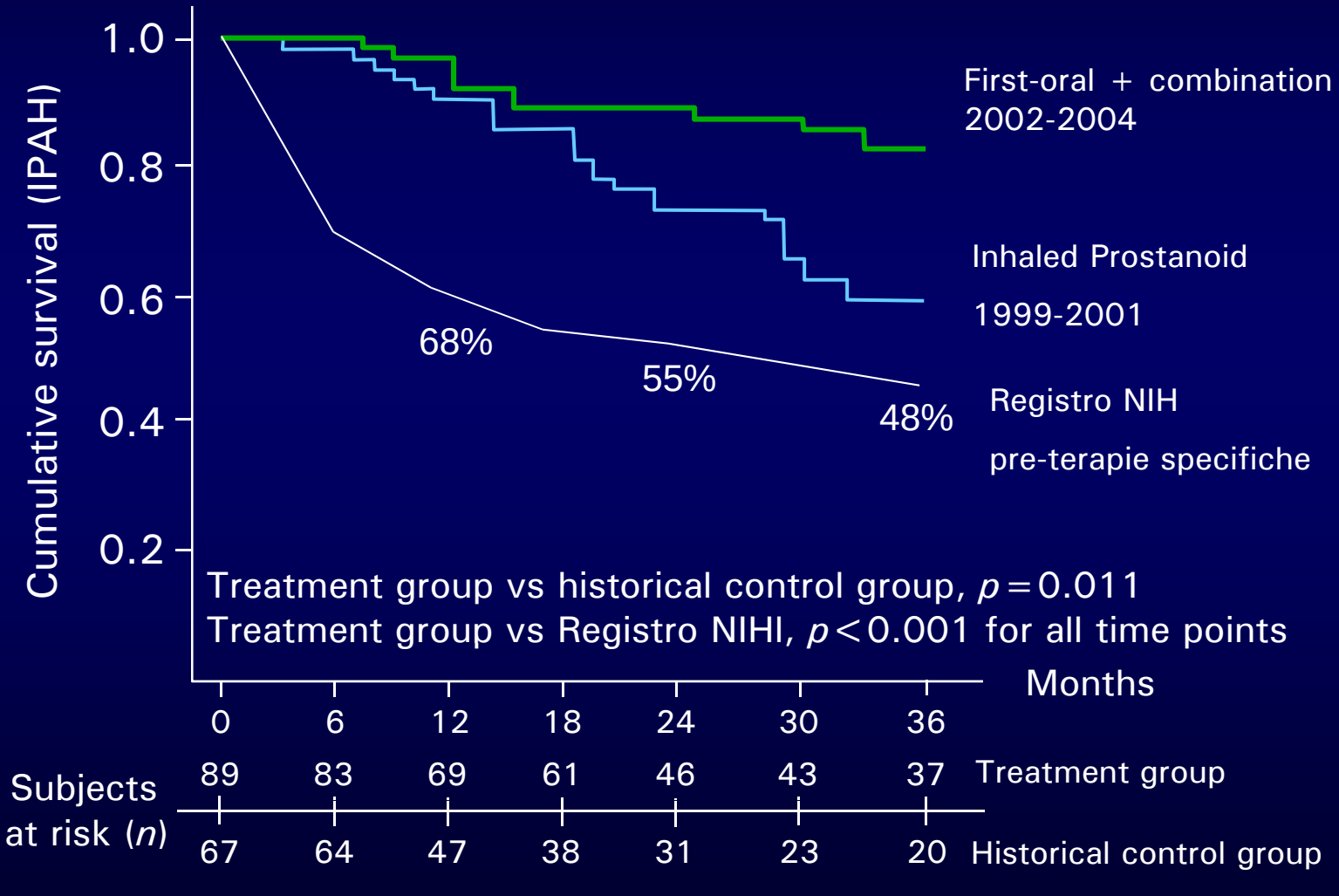
Prostanoidi
Epoprostenol/Treprostinil
- Addestramento paz.
- manutenzione device
- infezioni
- aggiustamento dose
- reperibilità medica





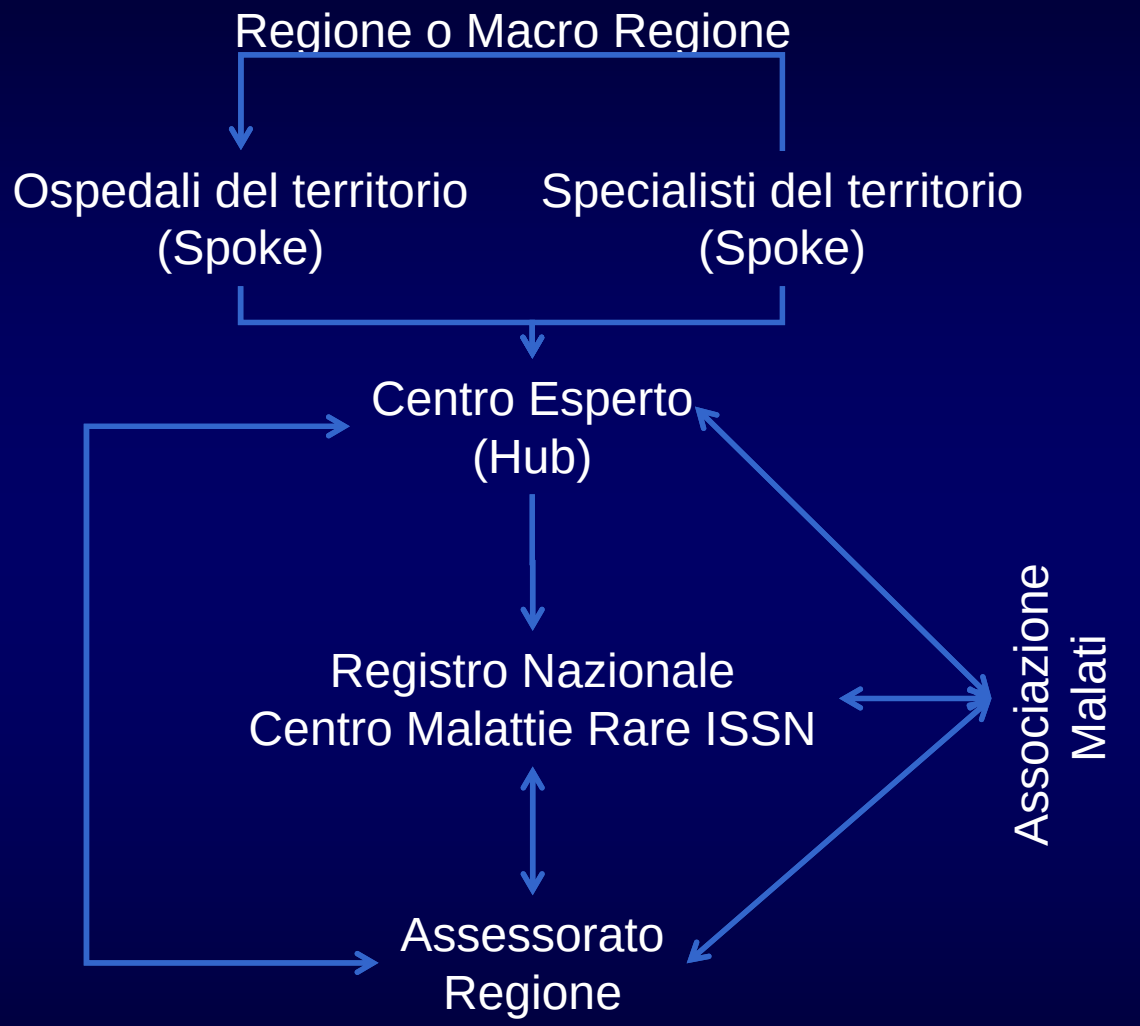


L’efficacia delle terapie specifiche



Hoeper MM, *et al. Eur Respir J* 2005; 26:858-63.

Quale organizzazione ? La teoria .....



Verifica appropriatezza
- Diagnosi
- Prescrizione terapeutica
- Follow-up

- Studi Epidemiologici

Verifica appropriatezza
- Rimborsabilità
- Controllo della spesa

Quale organizzazione ? La realtà .....



Verifica appropriatezza
- Diagnosi
- Prescrizione terapeutica
- Follow-up

- Studi epidemiologici

Verifica appropriatezza
- Rimborsabilità
- Controllo della spesa

L’organizzazione in Inghilterra



8 Centri di Riferimento

Prescrivibilità dei farmaci

London
- Great Ormond Street Hospital for Children (children)
- Hammersmith Hospital
- Royal Brompton Hospital (adult congenital heart disease)
- Royal Free Hospital (connective tissue disease)

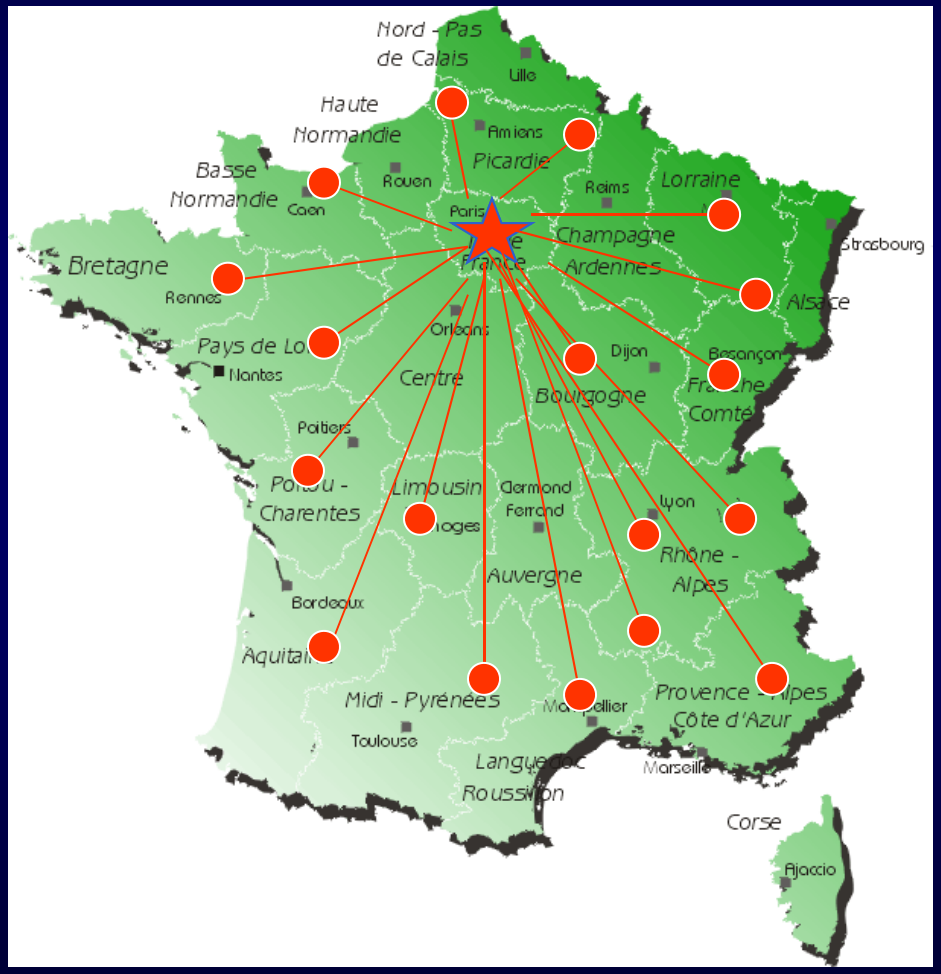
Cambridge
- Papworth Hospital

Sheffield
- Royal Hallamshire Hospital

Newcastle
- Freeman Hospital

Glasgow
- Western Infirmary

L’organizzazione in Francia



Un Centro Principale a Parigi

18 Centri periferici individuati secondo criteri prestabiliti, che fanno riferimento al Principale

La confusa situazione Italia



- 3 centri con più di 200 pazienti in 10 anni
- 4-5 centri con 50-100 pazienti negli ultimi 5 anni
- 100-120 colleghi che trattano meno di 5 pazienti /anno

La gestione nel centro Esperto/Riferimento

Cosa dicono le linee guida internazionali

Statement	Class[a]	Level[b]
Referral centres are required to provide care by a multiprofessional team (cardiology and respiratory medicine physicians, clinical nurse specialist, radiologists, psychological and social work support, appropriate on-call expertise)	I	C
Referral centres are required to have direct links and quick referral patterns to other services (such as CTD service, family planning service, PEA service, lung transplantation service, adult congenital heart disease service)	I	C
A referral centre should follow at least 50 patients with PAH or CTEPH and should receive at least two new referrals per month with documented PAH or CTEPH	IIa	C
Referral centres should perform at least 20 vasoreactivity tests in PAH patients per year	IIa	C
Referral centres should participate in collaborative clinical research in PAH, which includes phase II and phase III clinical trials	IIa	C

Linee guida della
Società Europea di Cardiologia

Eur Heart J 2009



Un. La Sapienza
Roma

I Cattedra di Cardiologia Dir. Prof F Fedele
Centro Ipertensione Polmonare Primitiva e Forme Associate
Responsabile Prof. Carmine Dario Vizza



PH clinicians (Cardiology ward, CCU, consultation & outpatients management):

Senior Cardiologists	CD. Vizza, R. Badagliacca, R. Poscia
Fellows:	A. Nona, E Crescenzi
In Training:	C. Gambardella, B.Pezzuto, S. Papa, S. Marcon

Echo Lab
Dr. Sciomer
Dr. Badagliacca

PFTs-CPX Lab
Prof. Palange
Dott.Valli

CT & RNM Lab
Dott. Carbone
Dott. Francone

Right Cath Lab
Dott. Mancone
Dott. Colantoni

Reumathologists
Prof Valesini
Prof.Riccieri

Liver Transplant Unit
Prof. Rossi
Prof. Corradini

HIV clinic
Prof.Vullo

Pulmonologists
Prof. Parola

Lung Transplant Program
Prof.Coloni
Prof.Venuta

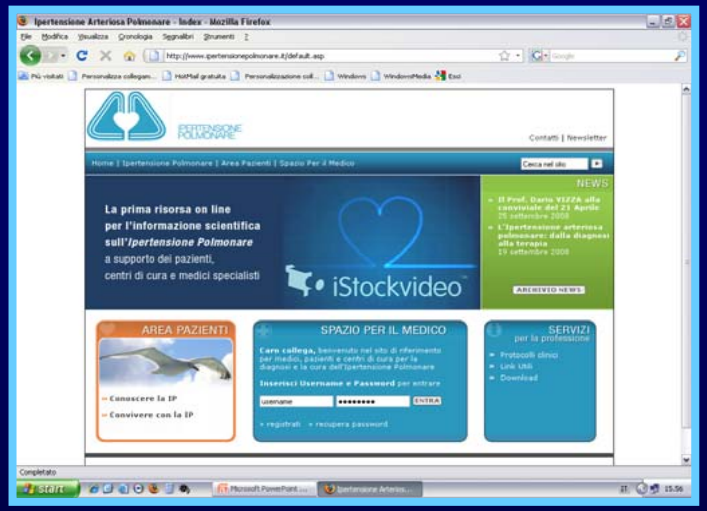
I rapporti con l'esterno

Attività educazionale

- Hospital meeting locali (10-15 per anno)
- Corsi residenziali (7-8 per anno)
- Convegni scientifici regionali (20-25 per anno)
- Convegni Scientifici nazionali (3-4 per anno)
  - 200-300 colleghi

Sito Web

- Info per pazienti (manuali)
- Info per Medici (materiale educazionale)



Associzione Malati

Stretta collaborazione Associazione Pazienti

