

## 7.4. Emofilia: le nuove frontiere terapeutiche. Quale modello organizzativo

<i>Laboratorio</i>	<b>7.4. Emofilia: le nuove frontiere terapeutiche. Quale modello organizzativo</b>
<i>Area</i>	Modelli organizzativi innovativi
<i>Abstract</i>	L'approvazione della terapia genica per i pazienti affetti da Emofilia A grave se da una parte offre una straordinaria nuova opportunità terapeutica, dall'altra pone problemi di sostenibilità economica. È pertanto necessario adottare un modello organizzativo in grado di garantire efficienza, efficacia, appropriatezza clinica e organizzativa, sicurezza delle cure, in un contesto di risorse limitato a garanzia di equità di accesso alle cure.

### Scenario di riferimento

Durante la prima fase del laboratorio, dopo l'intervento della dottoressa Anna Borrelli, AOU Federico II, Napoli, si è dato il via alla discussione entrando nel vivo della tematica affrontata. Tutti hanno partecipato attivamente alla discussione, condividendo la propria esperienza e fornendo il proprio contributo. Il tema trattato afferisce alla sperimentazione di un nuovo farmaco "Roctavian" indicato per il trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5. Nello specifico il dibattito si è incentrato sulla appropriatezza organizzativa, sulla equità di accesso alle cure e sulla sostenibilità. Sono stati analizzati gli aspetti critici del problema ma anche i punti di forza, sono state individuate le azioni virtuose messe in campo e quelle che potrebbero essere attuate allo scopo di risolvere alcune delle criticità rilevate.

I partecipanti hanno sintetizzato i punti salienti di questa prima parte del dibattito attraverso l'utilizzo di post-it sui quali sono state annotate le seguenti parole chiave:

- Mancata rilevazione dati
- Censimento pazienti frammentato
- Problemi burocratici per dare il via alle terapie
- Costo sociale ed economico del paziente emofiliaco

- Monitoraggio pazienti fuori regione dopo la terapia
- Processi del paziente emofilico candidabile: selezione e screening del paziente; verifica pazienti candidabili e prescrizione terapia genica; somministrazione e gestione terapia genica; follow-up di breve termine; follow-up di lungo termine

## Le azioni proposte e le azioni prioritarie

Durante la seconda fase del laboratorio i partecipanti hanno esplorato i possibili scenari di un futuro da sogno che auspicherebbe la realizzazione dei seguenti punti:

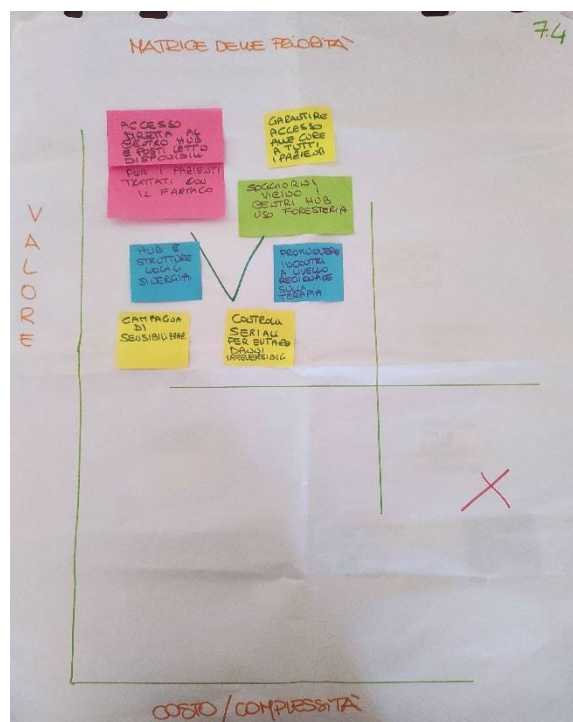
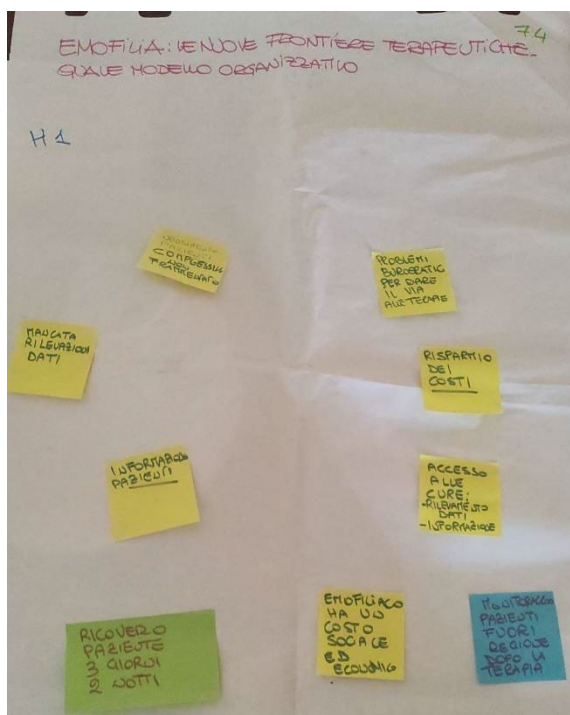
- Censimento complessivo e non frammentato dei pazienti affetti da Emofilia A
- Rilevamento dati e informazione dei pazienti
- Garantire accesso alle cure a tutti i pazienti, anche a quelli fuori regione
- Notevole risparmio dei costi
- Creare centri specialistici in tutte le regioni

Le azioni da mettere subito in campo potrebbero essere:

- Campagna di sensibilizzazione
- Promuovere incontri a livello regionale sulla terapia
- Sinergia tra HUB e strutture locali
- Controlli seriali per evitare danni irreversibili
- Sistema di monitoraggio dei pazienti fuori regione
- Accesso diretto al centro HUB e posti letto disponibili per i pazienti trattati con il farmaco
- Organizzare soggiorni uso foresteria vicino ai centri HUB

## Conclusioni

Dal dibattito è emerso che, benché il farmaco “Roctavian” abbia un alto costo, la terapia genica consentirebbe, in ogni caso, nel lungo periodo, un risparmio e quindi una convenienza in termini di sostenibilità atteso l’elevato costo dei pazienti affetti da Emofilia A grave sia in termini economici che sociali.



## Hanno partecipato

**Moderatore:** Anna Borrelli, Direttore Sanitario AOU Federico II, Napoli

**Management Advisor:** Monica Calamai, AOU di Ferrara

**Facilitatore:** Simona Castellano, Consiglio Ordine Avvocati Torre Annunziata

**Partecipanti:** Matteo Di Minno, Francesco Esposito, Gerardo Guerrino, Riccardo Palomba, Federica Santi.