



Nasce Ossfor il primo centro-studi Crea Sanità e Osservatorio Omar sui farmaci orfani

# Think-tank per i malati rari

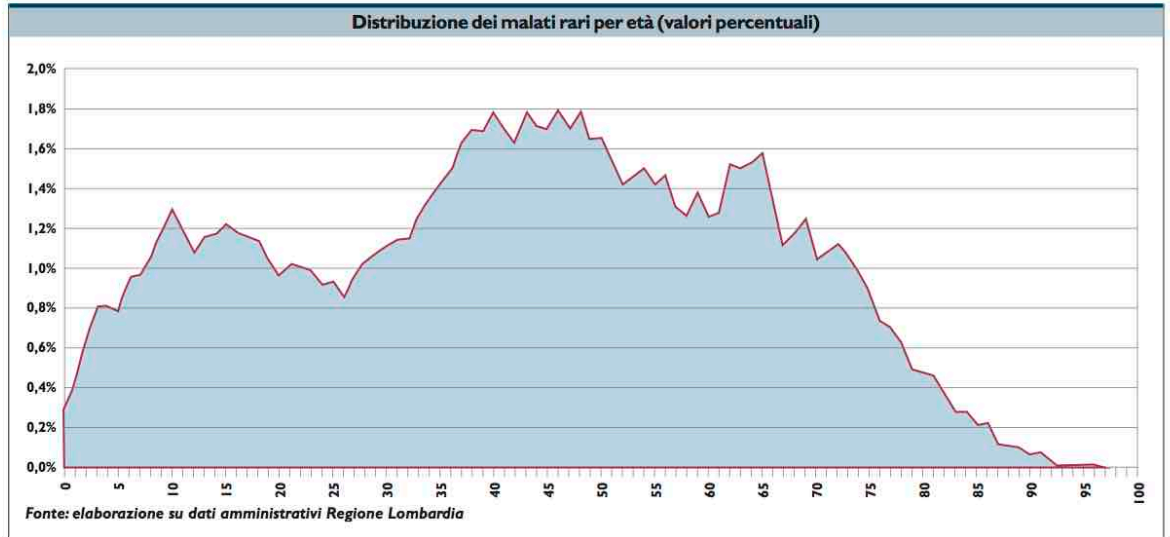
Obiettivo è vigilare e incentivare le policy e l'attenzione sulle patologie

DI BARBARA POLISTENA \*

Quello delle malattie rare è un importante banco di prova per i servizi sanitari, sia per gli aspetti morali ed etici che implica il saper far fronte ai bisogni di una fascia di popolazione fragile e numericamente piccola, sia per la sfida che porta all'organizzazione assistenziale, chiamata a dare risposte in modo fortemente individualizzato.

La necessità di una maggiore e più strutturata attenzione delle politiche sanitarie verso le malattie rare, quelle che per convenzione hanno una prevalenza non superiore a 5 casi ogni 10mila abitanti è ormai un fatto condiviso a livello internazionale: il Consiglio d'Europa mediante l'emanazione di una Raccomandazione l'8 giugno 2009 ha sollecitato gli Stati membri a elaborare, e adottare, nel quadro dei propri sistemi sanitari e sociali, piani e strategie nazionali per le rare.

Quello delle malattie rare, pertanto, è certamente un tema prioritario di salute pubblica, che deve essere fronteggiato attraverso l'assunzione di decisioni basate su evidenze scientifiche: sul versante epidemiologico, clinico, economico, oltre che su



quello dei bisogni dei pazienti e delle loro famiglie.

Sul versante clinico le conoscenze avanzano con continuità, e anche sul versante dei bisogni espressi dai pazienti e dalle relative famiglie si osserva un volume crescente di iniziative promosse soprattutto dalle Associazioni dei pazienti tese a offrire evidenze per comprendere a fondo i cosiddetti «unmet needs».

Di contro, le informazioni risultano parzialmente incomplete sia sul versante epidemiologico, che su quello economico. Per colmare tali carenze è stato sviluppato Osservatorio Farmaci orfani (Ossfor) il primo centro studi e think-tank interamente dedicato al settore delle cure per Malattie rare. Ossfor nasce da

una iniziativa congiunta del centro di ricerca Crea Sanità (Consorzio per la Ricerca economica applicata in sanità) e della testata Osservatorio Malattie rare (Omar) e si propone - attraverso la generazione di analisi dati e informazioni terze sul settore - di favorire la messa a punto di policy innovative, capaci di incentivare lo sviluppo di

farmaci orfani, tenendo pienamente conto delle sfide della sostenibilità.

Una prima analisi fatta da Crea Sanità sui database amministrativi della Regione Lombardia ha mostrato come la prevalenza delle malattie rare sia pari allo 0,46 per cento. Tale dato sottostima la vera entità del fenomeno, in quanto sono stati inclusi nell'analisi

solo i soggetti che hanno ricevuto il riconoscimento del diritto all'esenzione dalla partecipazione alla spesa (ticket) per le prestazioni di assistenza sanitaria relative alle malattie rare incluse in un elenco nazionale. Di contro, non tutti i soggetti portatori di malattie rare richiedono l'esenzione, come anche alcune patologie rare non sono inserite nelle li-

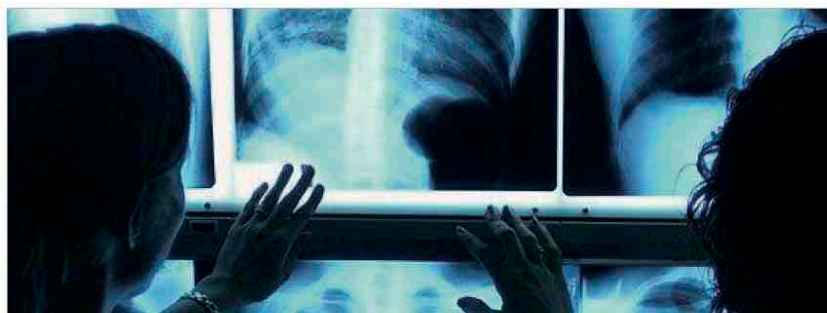
I FISICI MEDICI PROMUOVONO L'APPLICAZIONE DELLA DIRETTIVA EURATOM 2013/59

## Radiazioni oltre i limiti: alleanza con i pazienti

SABINA STROCCHI \*

L'Associazione italiana di Fisica medica (Aifm) con i suoi soci che sono per lo più fisici medici che lavorano nei principali ospedali italiani, sta lavorando per rendere realizzabile la direttiva europea Euratom 2013/59. Questa direttiva infatti stabilisce che i pazienti dovranno trovare nel referto un'informazione sulla quantità di radiazioni a cui sono stati sottoposti nel corso di un esame radiologico o medico nucleare. L'Italia, come tutti gli Stati dell'Unione europea, dovrà recepirlo da febbraio 2018. La valutazione delle dosi da radiazioni assorbite dai pazienti è un compito specifico del fisico medico, ma, per poter comunicare in tutti i referti radiologici un dato significativo come questo, bisogna organizzare procedure operative e disporre di software adeguati, come anche effettuare verifiche sull'accuratezza dei dati valutati, archiviati e comunicati. Da un lato, quindi, c'è la necessità di valutare un numero, con la sua specifica accuratezza, che ha un valore scientifico e tecnico ben definito, ma dall'altro bisogna anche comunicare un'informazione corretta ma significativa ai non addetti ai lavori, come i pazienti.

Come si traduce un dato tecnico, come la quantità di radiazioni, espressa in milliSievert, in un'informazione comprensibile per i pazienti? Come si deve comunicare per far capire l'importanza di proteggersi da



quantità troppo elevate di raggi X, come prevede la stessa direttiva europea? Un recente studio finlandese pubblicato su European Radiology (L. Ukkola, et al. "Information about radiation dose and risks in connection with radiological examinations: what patients would like to know") ha proprio affrontato questo problema. Infatti la quantità di radiazioni impartita a un paziente può essere espressa in molti modi diversi. Esistono grandezze calcolate direttamente dall'apparecchiatura radiologica, che però sono specifiche della singola tecnologia (Tac, radiografia, ortopantomografia).

Il loro difetto è che non sono confrontabili fra loro. Esistono grandez-

ze derivate che esprimono il rischio radiologico, come la dose efficace. Ma tutte queste grandezze sono "numeri" ben poco espressivi per i non addetti ai lavori. Gli studiosi finlandesi hanno chiesto a un campione di pazienti, che erano stati sottoposti a esame radiologico, come preferivano che fosse loro comunicata la dose da radiazioni.

Le possibilità erano: con un sistema grafico tipo "numero di stellette" (da 0 a 3), su una scala nominale (nessuna, bassa, media...), come dose efficace in milliSievert, con il numero di radiografie del torace corrispondente, con il periodo di radiazioni di fondo naturale corrispondente, con il numero di voli intercontinentali cor-

rispondente (infatti i voli intercontinentali espongono a una quantità di radiazioni cosmiche superiore che sulla superficie terrestre, perché minore è lo spessore di atmosfera che lo schermo). Hanno chiesto loro, fra l'altro, se volevano essere informati su questi aspetti. I pazienti hanno risposto di essere interessati a questo tipo di informazioni, ma non hanno mostrato di gradire né le grandezze fisiche (dose efficace), né le analogie numeriche con radiografie del torace, fondo naturale o altro. Le scale preferite sono state quella grafica e quella nominale.

I pazienti in pratica sono sensibili al tema della prevenzione e della protezione dalle dosi eccessive di

raggi X, ma chiedono di ricevere informazioni semplici, comprensibili, non tecniche. Non possiamo dare per scontato che gli italiani rispondano come i finlandesi, ma è normale aspettarsi che questo bisogno di semplicità sia lo stesso anche per i pazienti nel nostro Paese.

Come conciliare allora i complessi dati tecnici sui raggi X con la necessità di semplificare e di sensibilizzare sulla prevenzione i pazienti e i medici non esperti in radiazioni come richiesto dalla stessa direttiva europea? I fisici medici possono avere un ruolo importante in tal senso: oggi siamo impegnati nell'organizzazione di corsi di formazione in tutta Italia rivolti ai medici e operatori della sanità, proprio sul tema della direttiva e sulle radiazioni assorbite dai pazienti.

L'obiettivo è incontrare e formare i medici non esperti in radiazioni ionizzanti che hanno però il compito di prescrivere gli esami radiologici e di medicina nucleare. In attesa di conoscere nel dettaglio come sarà recepita la direttiva europea in Italia, i pazienti devono sapere che il fisico medico già oggi è un punto di riferimento, la figura professionale che può aiutarli a interpretare correttamente le informazioni, in caso di dubbi.

\* commissione Pubbliche relazioni Aifm ospedale di Circolo e fondazione Macchi Varese

© RIPRODUZIONE RISERVATA