

# Carta dei diritti dei pazienti con Mieloma Multiplo

🕒 2 dicembre 2021

📍 Fondazione ENPAM



con il contributo non condizionante di



## *Lo scenario attuale:*

### *I numeri del mieloma multiplo in Italia*

Il Mieloma Multiplo (MM) è un tumore che colpisce le plasmacellule del midollo osseo ed è la **seconda neoplasia del sangue per incidenza, dopo il linfoma**.

La decima edizione de “I numeri del cancro in Italia”, pubblicata nel 2020 da AIRtum in collaborazione con AIOM ed altri, ha riportato che nel nostro paese ogni anno si stimano circa **5.700 nuovi casi di mieloma multiplo**, con un'incidenza di 3.019 casi negli uomini e 2.740 nelle donne.

In Italia, il mieloma multiplo rappresenta l'1,5% di tutti i tumori diagnosticati nella donna (7,7 casi ogni 100.000 abitanti per anno) e l'1,6% di tutti i tumori diagnosticati nell'uomo (11,1 casi ogni 100.000 abitanti per anno).



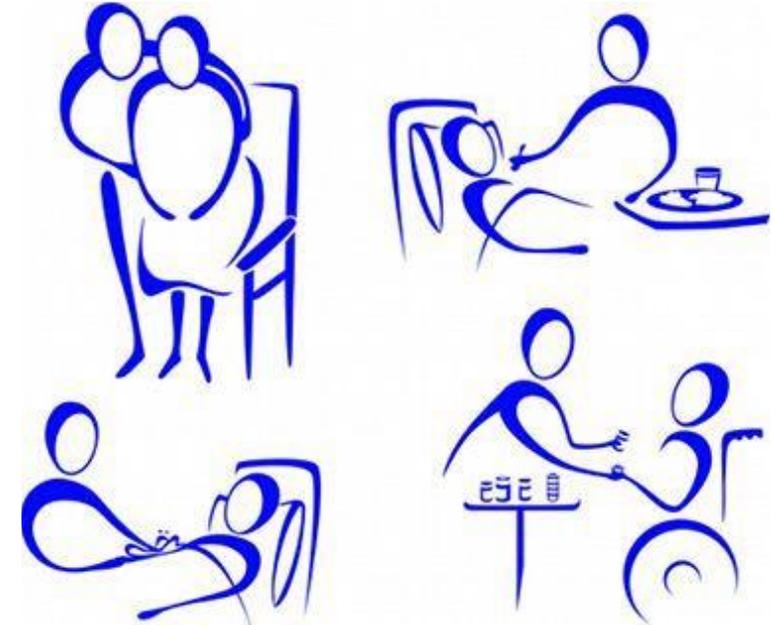
Oltre al mieloma multiplo esistono altre forme di gammopatie la cui individuazione precoce rappresenta un importante elemento prognostico:

- Il *mieloma smoldering* (indolente/asintomatico) è una neoplasia plasmacellulare che non ha ancora provocato danni d'organo clinicamente evidenti, ma ha un elevato rischio di progressione a mieloma clinicamente manifesto.
- la *gammopatia monoclonale* di significato indeterminato o MGUS (Monoclonal gammopathy of undetermined significance - MGUS), forma pre-tumorale, precursore del mieloma multiplo



# *Bisogni dei pazienti e dei loro caregiver*

Ci troviamo di fronte ad un paziente fragile, complesso, prevalentemente anziano e con elevata comorbidità che necessita di essere supportato da un caregiver, soprattutto in presenza di terapie a lungo termine.



## *Il paziente con Mieloma Multiplo: quali criticità*

Soffrono, forse più di altri pazienti oncologici, della difficoltà di individuare una terapia che sia efficace e che porti a esiti positivi.

I farmaci utilizzati funzionano, ma spesso generano a lungo termine recidive e i pazienti non rispondono più ai trattamenti.

Ci sono problemi nell'accesso alle cure e criticità nel percorso di cura e molto a causa di disfunzioni organizzative del sistema.

## *Il paziente con Mieloma Multiplo: quali criticità*

Manca a volte un accesso tempestivo alla diagnosi e l'avvio di un percorso di cura efficace, coordinato e continuativo uniforme sul territorio

E' necessario un approccio multidisciplinare alla patologia

Percorso difficoltoso all'interno dei day hospital perché devono affrontare anche specifiche criticità organizzative che possono impattare in modo rilevante sulla qualità della vita non solo della persona in cura, ma anche dei suoi familiari

Necessità di implementazione delle cure sul territorio in modo che il paziente possa essere agevolato nel percorso e guadagnare in qualità della vita

## *Il Mieloma Multiplo ai tempi del Covid-19*

Durante l'emergenza da Covid-19, che a tutt'oggi impone la limitazione degli accessi in ospedale, la ***continuità delle cure*** per questi pazienti non è avvenuta sempre in maniera omogenea e costante, causando in molti casi il dilazionamento o l'interruzione dei trattamenti, con conseguenze fatali per il paziente oncoematologico, soprattutto per quei pazienti con malattia avanzata la cui aspettativa di vita è molto limitata ed inevitabilmente legata all'erogazione puntuale delle suddette terapie.

COVID-19  
CORONAVIRUS



#### DIRITTO ALLA PREVENZIONE E ALLA TEMPESTIVITÀ DELLE CURE

Ogni persona ha diritto ad accedere ai programmi di prevenzione e a tutte le prestazioni in grado di individuare precocemente i fattori di rischio, facilitando al massimo l'accessibilità alla diagnosi e l'avvio del trattamento per la patologia senza limitazioni o ritardi determinati da disfunzioni organizzative, burocrazia, liste d'attesa e condizioni economiche che ne limitano l'accesso.

#### DIRITTO ALL'EQUITÀ DELLE CURE

Il paziente con mieloma multiplo ha diritto di essere curato in modo equo su tutto il territorio nazionale. L'accesso a prestazioni diagnostiche e alle terapie più appropriate deve essere garantito indipendentemente dal luogo in cui si vive, così da assicurare che ogni paziente abbia le stesse opportunità di cura.

#### DIRITTO AL TRATTAMENTO PERSONALIZZATO E A RICEVERE LA MIGLIORE OPPORTUNITÀ TERAPEUTICA

Il paziente con mieloma multiplo ha diritto ad un trattamento personalizzato capace di determinare il miglior risultato di salute possibile e ad accedervi in modo tempestivo; ha altresì il diritto al riconoscimento delle proprie peculiarità e a ricevere i trattamenti il più possibile adatti alle sue esigenze personali che tengano in considerazione e rispettino anche tutte le caratteristiche individuali rilevanti. La personalizzazione delle cure dovrà bilanciare la migliore efficacia con la

#### DIRITTO ALLA QUALITÀ DELLE CURE

Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto ad accedere a cure di qualità, sicure ed efficaci secondo standard condivisi e comunicati. Ha diritto a percorsi diagnostico-terapeutici assistenziali specifici per la patologia, semplificati, efficienti, in cui siano individuati tempi certi per ogni fase. Ha diritto ad essere curato attraverso un approccio multidisciplinare.

#### DIRITTO ALLA QUALITÀ DELLA VITA

Il paziente con mieloma multiplo ha diritto ad accedere a terapie che limitino il più possibile gli eventi avversi, contribuendo così a migliorare la sua qualità della vita e quella delle persone che lo assistono e ha diritto a mantenere e conservare i miglioramenti e i progressi di salute e qualità di vita.

#### DIRITTO ALL'INFORMAZIONE CONSAPEVOLE

Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto di essere informato rispetto alla propria patologia, alle ripercussioni sulla qualità della vita, al trattamento sanitario cui è sottoposto o a cui dovrà sottoporsi in modo semplice, chiaro e completo. Deve essere messo al corrente delle opportunità di diagnosi e cura (anche sperimentali), che sono a disposizione per la sua patologia, anche se disponibili presso altre strutture sanitarie, diverse da quelle presso cui è in cura, ed essere messo quindi nella condizione di potervi accedere.

#### DIRITTO ALLA BUONA RELAZIONE E ALLA PARTECIPAZIONE ALLE SCELTE DI CURA

Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a partecipare alle scelte terapeutiche e il suo parere deve essere ascoltato, rispettato e tenuto in considerazione in appositi e specifici momenti di discussione individuali all'interno del piano terapeutico. Il Servizio sanitario deve promuoversi come agente di informazione attiva nei confronti dei pazienti e dei loro familiari, favorendo quella consapevolezza e competenza utile per coinvolgere i pazienti in un processo decisionale condiviso con i professionisti sanitari.

#### DIRITTO ALLA PRESA IN CARICO DELLA PERSONA NELLA SUA COMPLESSITÀ

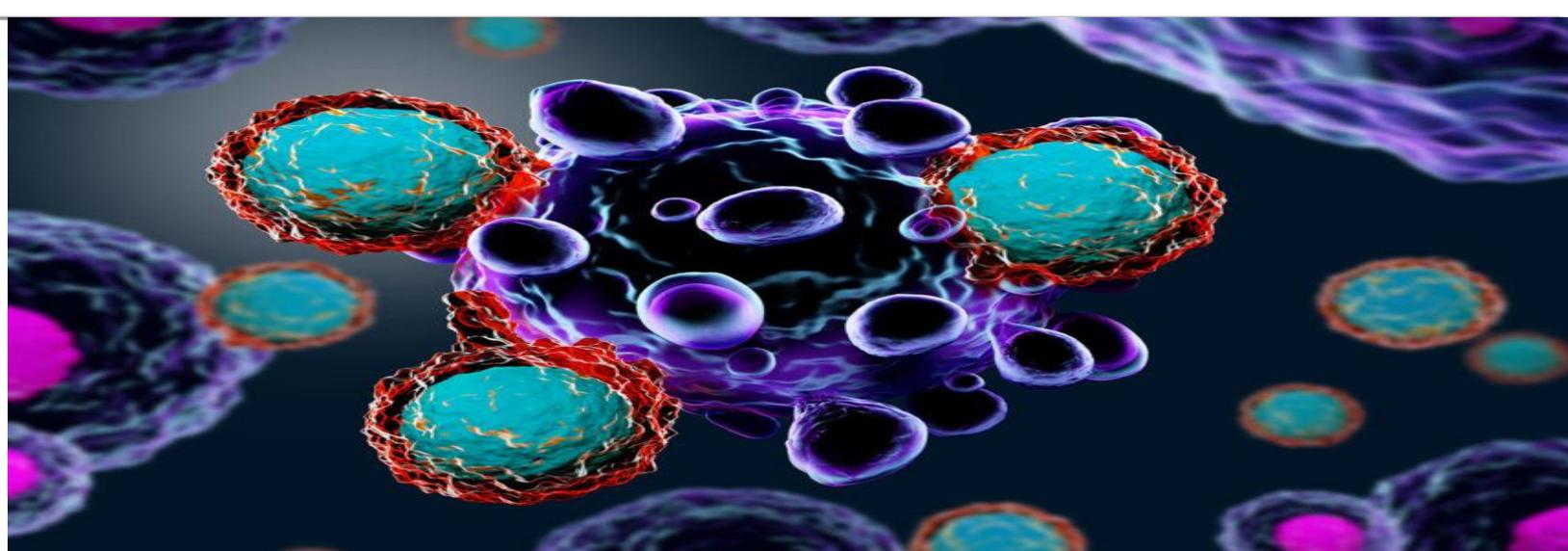
Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a ricevere la migliore assistenza sanitaria in relazione alle conoscenze scientifiche più aggiornate e ha diritto ad una presa in carico integrata che preveda una valutazione dei bisogni psicologici, sociali, economici ed assistenziali e ad essere orientato e accolto nei diversi servizi a disposizione per le sue specifiche condizioni.

#### DIRITTO ALLA CURA DEGLI ASPETTI PSICOLOGICI

Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a che siano valutati gli aspetti psicologici ed a ricevere laddove necessario il supporto psicologico per sé, per i familiari e per il caregiver durante tutto il percorso di cura. Data la complessità e la delicatezza del tema, la persona ha diritto a non essere lasciato solo nel momento della restituzione della diagnosi o della comunicazione della recidiva e che questo momento sia accompagnato e gestito dai medici di riferimento. Ha il diritto inoltre alla confidenzialità delle informazioni di carattere personale.

#### DIRITTO A NON SOFFRIRE

Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto di ricevere, in qualsiasi fase della malattia, i trattamenti che possano alleviare la sua sofferenza ed evitare di soffrire inutilmente così come stabilito dalla Legge 38/2010 che garantisce l'accesso alle cure palliative e alla terapia del dolore a tutti i cittadini su tutto il territorio nazionale.



L'obiettivo della *Carta dei diritti dei pazienti con mieloma multiplo* è quello di far conoscere ai pazienti, ai loro familiari, ai medici, ai professionisti della sanità e ai cittadini, l'esistenza dei diritti a loro spettanti e al tempo stesso, consolidare il protagonismo del paziente e promuoverne l'empowerment. La presente Carta può aumentare il livello di esigibilità dei diritti da parte dei malati e dei cittadini nei differenti contesti regionali e può, inoltre, essere uno strumento di armonizzazione dei sistemi sanitari regionali che favorisca pari diritti a tutti i pazienti.

# *Il contributo degli stakeholder*

*AIL - associazione italiana contro leucemie, linfomi e mieloma*

*ASSO - Associazione Siciliana sostegno oncologico*

*Bianco Airone Onlus*

*Lampada di Aladino*

*FIMMG - Federazione italiana medici di medicina generale*

*SIF - società italiana di farmacologia*

*Mario Boccadoro (Direttore della Divisione Universitaria di Ematologia  
Università degli Studi di Torino, AOU Città della Salute e della  
Scienza)*

*Claudio Cerchione (Dirigente Medico Ricercatore presso la Divisione  
di Ematologia IRCCS Istituto Romagnolo per lo Studio dei Tumori*

*Maria Teresa Petrucci (Dirigente medico presso il Dipartimento di  
Biotecnologie Cellulari ed Ematologia; Università Sapienza di Roma)*



## DIRITTO ALLA PREVENZIONE E ALLA TEMPESTIVITÀ DELLE CURE

Ad oggi, non esiste certezza circa le cause di insorgenza del mieloma multiplo e delle altre forme di gammopatie monoclonali e circa il 25% dei casi viene scoperto in modo casuale nel corso di analisi di routine. per le gammopatie MGUS non vi è esenzione dal ticket pur essendo raccomandato un monitoraggio serrato della condizione

L'avvio delle terapie in modo tempestivo rappresenta un elemento fondamentale per il buon esito delle cure

*Ogni persona ha diritto ad accedere ai programmi di prevenzione e a tutte le prestazioni in grado di individuare precocemente i fattori di rischio, facilitando al massimo l'accessibilità alla diagnosi e l'avvio del trattamento per la patologia senza limitazioni o ritardi determinati da disfunzioni organizzative, burocrazia, liste d'attesa e condizioni economiche che ne limitano l'accesso.*

- Individuare soluzioni per garantire al massimo l'accessibilità alle prestazioni da parte dei cittadini, specie per quelle condizioni di svantaggio economico che, come noto, subiscono maggiormente il peso delle cure
- Individuare categorie target (fascia di età, familiarità, ecc.), per le quali raccomandare un primo screening e, se necessario, avviare un programma di sorveglianza attiva

## DIRITTO ALL' EQUITÀ DELLE CURE

Il tema delle **disuguaglianze d'accesso e dell'equilibrio dell'offerta e dell'integrazione tra ospedale e territorio** per i pazienti con malattie oncoematologiche è particolarmente sentito nei territori dove l'**offerta dei servizi è minore e vi è maggiore distanza tra cittadino e strutture sanitarie**, ove vengono eseguiti specifici esami e trattamenti (diagnostici, terapeutici ecc)

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto di essere curato in modo equo su tutto il territorio nazionale. L'accesso a prestazioni diagnostiche e alle terapie più appropriate deve essere garantito indipendentemente dal luogo in cui si vive, così da assicurare che ogni paziente abbia le stesse opportunità di cura.*

- Eliminare completamente le disuguaglianze conseguenti a difformità territoriali e **disegnare l'offerta dei servizi coniugando una analisi delle strutture/servizi esistenti e una analisi dei bisogni.**
- **Istituire un registro specifico che includa i pazienti affetti da MGUS, Mieloma Smoldering e Mieloma Multiplo**, così da potere avere informazioni dettagliate sull'epidemiologia, sulla diagnostica e sui trattamenti al fine di garantire che i pazienti possano essere seguiti in modo equo e favorire il migliore disegno dell'offerta di servizi e prestazioni sulla base dei bisogni effettivi.

## DIRITTO AL TRATTAMENTO PERSONALIZZATO E A RICEVERE LA MIGLIORE OPPORTUNITA' TERAPEUTICA

Oggi per la cura del mieloma multiplo esistono diverse tipologie di nuove molecole che hanno dimostrato la loro straordinaria attività soprattutto nei pazienti in **stadio avanzato o refrattari alle terapie standard**. Ad oggi, sappiamo che l'accesso a terapie innovative è appesantito da procedure regolatorie eccessivamente lunghe che rallentano fortemente la effettiva disponibilità delle cure per i pazienti. In Italia i tempi che intercorrono tra l'autorizzazione all'immissione in commercio e la disponibilità al paziente sono mediamente di 418 giorni a cui si aggiungono quelli di approvazione regionale e inserimento nei PTOR

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto ad un trattamento personalizzato capace di determinare il miglior risultato di salute possibile e ad accedervi in modo tempestivo; ha altresì il diritto al riconoscimento delle proprie peculiarità e a ricevere i trattamenti il più possibile adatti alle sue esigenze personali che tengano in considerazione e rispettino anche tutte le caratteristiche individuali rilevanti. La personalizzazione delle cure dovrà bilanciare la migliore efficacia con la migliore qualità di vita.*

- Il rapido cambiamento delle terapie disponibili rende necessario un **altrettanto rapido ed efficiente adattamento delle raccomandazioni per la pratica clinica**, in modo da **garantire un'adozione tempestiva ed uniforme sul territorio delle nuove terapie nel momento in cui si rendono disponibili**.
- La scelta della cura più appropriata per il singolo paziente deve essere fatta in linea con i **protocolli più aggiornati esistenti a livello nazionale e internazionale** ed essere in effetti disponibili per i pazienti in tempi rapidi.

## DIRITTO ALLA QUALITA' DELLE CURE

Per garantire servizi sanitari di qualità, le strutture sanitarie e i professionisti sanitari devono erogare le prestazioni sanitarie nel rispetto di **precisi standard qualitativi** adottati dalle singole amministrazioni, rivisti e valutati periodicamente. **Tuttavia siamo di fronte ad una forte difformità di percorsi**

*Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto ad accedere a cure di qualità, sicure ed efficaci secondo standard condivisi e comunicati. Ha diritto a percorsi diagnostico terapeutici assistenziali specifici per la patologia, semplificati, efficienti, in cui siano individuati tempi certi per ogni fase. Ha diritto ad essere curato attraverso un approccio multidisciplinare.*

- Definire PDTA specifici, semplificare i percorsi diagnostico terapeutico assistenziali, **efficientare e rendere ergonomici i percorsi**, garantire raccordo tra figure professionali e la **multidisciplinarietà della presa in carico**

## DIRITTO ALLA QUALITÀ DELLA VITA

La più importante conseguenza dei **progressi terapeutici ottenuti con i nuovi farmaci** è il **netto miglioramento della qualità di vita dei pazienti**. Si tratta di farmaci “mirati” che non hanno il profilo di tossicità della classica chemioterapia. Tuttavia non tutte le strutture che trattano pazienti con mieloma multiplo garantiscono protocolli aggiornati. Sono invece spesso costretti a una pesante **mobilità (inter regionale intra regionale)**.

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto ad accedere a terapie che limitino il più possibile gli eventi avversi, contribuendo così a migliorare la sua qualità della vita e quella delle persone che lo assistono e ha diritto a mantenere e conservare i miglioramenti e i progressi di salute e qualità di vita.*

- Garantire **accesso uniforme sul territorio a farmaci mirati** così da migliorare la qualità della vita
- Implementare **nuovi modelli organizzativi territoriali**, basati sulla prossimità delle cure, favoriti dall'innovazione tecnologica, oggi a disposizione ed in corso di implementazione (telemedicina, teleassistenza, telemonitoraggio, televisita, ecc.), capace di limitare i ricoveri impropri, gli accessi in pronto soccorso, favorire una migliore gestione della terapia, una migliore aderenza alle cure così come una migliore qualità della vita del paziente.

## DIRITTO ALL'INFORMAZIONE CONSAPEVOLE

Un elemento importante ma ancora poco soddisfatto, è la comunicazione e condivisione con il paziente, i familiari ed i caregiver di tutte le **informazioni sulla patologia ed il percorso terapeutico** (sulla durata dei trattamenti, effetti collaterali, prognosi ecc.). La comunicazione continua con il paziente è rilevante anche allo scopo di **fornire un orientamento al paziente sulle terapie esistenti**, favorire l'**aderenza terapeutica** e, quindi, l'efficacia degli interventi e gestire al meglio le aspettative del paziente.

*Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto di essere informato rispetto alla propria patologia, alle ripercussioni sulla qualità della vita, al trattamento sanitario cui è sottoposto o a cui dovrà sottoporsi in modo semplice, chiaro e completo. Deve essere messo al corrente delle opportunità di diagnosi e cura (anche sperimentali), che sono a disposizione per la sua patologia, anche se disponibili presso altre strutture sanitarie, diverse da quelle presso cui è in cura, ed essere messo quindi nella condizione di potervi accedere.*

- Rendere accessibile a medici e pazienti le **informazioni sulle sperimentazioni attive sul territorio** e garantire l'invio del paziente
- Rendere il tempo dedicato all'informazione adeguato e sufficiente ad una corretta e completa comprensione, **in tutte le fasi di cura, dall'avvio ai follow up**,
- abbandonare la logica stringente del «minutaggio» e adattare il tempo della comunicazione alle esigenze del paziente

## DIRITTO ALLA BUONA RELAZIONE E ALLA PARTECIPAZIONE ALLE SCELTE DI CURA

Negli ultimi anni il rapporto tra medico e paziente è cambiato e molti sono i fattori che stanno trasformando il rapporto medico-paziente: una maggiore facilità di accesso alle informazioni, prima solo patrimonio dei medici, e l'utilizzo di nuovi strumenti e tecnologie, che se mal gestite possono portare alla virtualizzazione della medicina con la conseguente perdita del rapporto umano.

Un paziente coinvolto diventa protagonista attivo della propria salute e del proprio benessere, **accresce la sua fiducia e l'aderenza rispetto alle terapie proposte**. Sviluppare una compliance terapeutica attiva, permette al paziente di vivere il rapporto professionale con il medico, rispetto alla terapia, più semplice ed efficace.

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a partecipare alle scelte terapeutiche e il suo parere deve essere ascoltato, rispettato e tenuto in considerazione in appositi e specifici momenti di discussione individuati all'interno del piano terapeutico. Il Servizio sanitario deve promuoversi come agente di informazione attiva nei confronti dei pazienti e dei loro familiari, favorendo quella consapevolezza e competenza utile per coinvolgere i pazienti in un processo decisionale condiviso con i professionisti sanitari.*

- Favorire momenti di confronto tra personale sanitario e paziente lungo tutto il percorso di cura (caregiver e familiare)
- Garantire che **il paziente sia incluso, quale membro a tutti gli effetti attivo nei momenti di discussione delle scelte terapeutiche** e che il suo parere sia ascoltato.

## DIRITTO ALLA PRESA IN CARICO DELLA PERSONA NELLA SUA COMPLESSITA'

I pazienti con mieloma multiplo sono, per lo più, **anziani con condizioni generali di salute legate all'età e che soffrono di altre patologie** come l'ipertensione arteriosa, il diabete, lo scompenso cardiaco, la BPCO, ecc., o **presentano caratteristiche che possono determinare una minore risposta alle terapie**, per cui risulta necessaria una presa in carico globale del paziente da parte di un'equipe multidisciplinare.

L'organizzazione territoriale dei servizi socio sanitari risulta ancora troppo frammentata, di difficile attivazione e disomogenea nell'erogazione dei servizi. Gli interventi di natura socio-assistenziale non sono organizzati e strutturati come parte integrante di un modello di risposta integrata ai bisogni.

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a ricevere la migliore assistenza sanitaria in relazione alle conoscenze scientifiche più aggiornate e ha diritto ad una presa in carico integrata che preveda una valutazione dei bisogni psicologici, sociali, economici ed assistenziali e ad essere orientato e accolto nei diversi servizi a disposizione per le sue specifiche condizioni.*

- Procedere in una logica di valutazione “**multidimensionale**” che tenga conto dell'aspetto sanitario (diagnosi e terapia); della dimensione dell'autonomia e del soddisfacimento dei bisogni fondamentali (mangiare, muoversi, cura della persona); della dimensione psico-sociale (contesto in cui vive il paziente, relazioni interpersonali possibilità economiche, abitazione, supporti familiari, attività lavorativa).
- Lavorare sulla omogeneizzazione e l'integrazione dell'offerta di servizi socio sanitari sul territorio

## DIRITTO ALLA CURA DEGLI ASPETTI PSICOLOGICI

La diagnosi di tumore e le sue conseguenze possono avere un forte **impatto negativo sulla vita dei malati e delle loro famiglie**, ben oltre la vasta gamma di sintomi fisici sui quali generalmente si concentra l'attenzione di chi ha in cura i pazienti. Occorre, pertanto, **porre attenzione anche a chi deve curare**, perché la malattia non colpisce solo il paziente ma l'intera famiglia.

*Il paziente con mieloma multiplo ha diritto a che siano valutati gli aspetti psicologici ed a ricevere laddove necessario il supporto psicologico per sé, per i familiari e per il caregiver durante tutto il percorso di cura. Data la complessità e la delicatezza del tema, la persona ha diritto a non essere lasciato solo nel momento della restituzione della diagnosi o della comunicazione della recidiva e che questo momento sia accompagnato e gestito dai medici di riferimento. Ha il diritto inoltre alla confidenzialità delle informazioni di carattere personale.*

- Garantire percorsi di **sostegno psicologico** lungo tutto il percorso di cura dalla diagnosi al follow up sia per i **pazienti** sia per la famiglia.
- **Rendere strutturale** la presenza della figura dello **psiconcologo**

## DIRITTO A NON SOFFRIRE

Tra i sintomi più comuni del mieloma vi è il dolore osseo: circa 7 pazienti su 10 (70%), riferiscono dolore.

Dopo oltre 11 anni dall'approvazione della legge 38, persistono numerosi limiti all'accesso alla terapia del dolore che sono legati: alla formazione e all'aggiornamento del personale medico (che è tenuto a informare il paziente che il dolore può essere curato), al mancato riconoscimento di alcune tipologie di dolore, alla debolezza della rete delle cure palliative e della rete delle terapie del dolore, alla carenza di strutture specializzate sul territorio che erogano prestazioni a domicilio del paziente

*Il paziente con mieloma multiplo ha il diritto di ricevere, in qualsiasi fase della malattia, i trattamenti che possano alleviare la sua sofferenza ed evitare di soffrire inutilmente così come stabilito dalla Legge 38/2010 che garantisce l'accesso alle cure palliative e alla terapia del dolore a tutti i cittadini su tutto il territorio nazionale.*

- Risulta necessario, pertanto, che tutto il **team multi-disciplinare** sia formato e sia consapevole che la gestione del dolore e le cure palliative non riguardano solamente il fine vita.
- Nelle patologie come il mieloma multiplo, la **terapia del dolore deve essere parte integrante del percorso di cura.**
- Durante la pandemia da Covid-19, sul territorio nazionale si sono diffusi gli **ambulatori virtuali con iniziative di piattaforme virtuali di telemedicina anche per le cure palliative**

*Grazie!*