- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 216.73.216.140 Tue, 01 Jul 2025, 00:58:00

Anno 2021, Vol. 22, N. 4: 183-186

Asma e broncopneumopatia cronica ostruttiva: l'apporto della real-world evidence per il monitoraggio degli outcome e per le scelte organizzative

Silvia Calabria[1], Giorgio Walter Canonica[2], Nello Martini[1]

[1]*Fondazione Ricerca e Salute (ReS), Casalecchio di Reno, Bologna;*
[2]*Humanitas University & Research Hospital-IRCCS, Milano*

Riassunto. Asma e broncopneumopatia cronica ostruttiva sono patologie ancora oggi sottodiagnosticate dai medici e difficilmente riconoscibili dai pazienti. La loro rilevanza dal punto di vista epidemiologico, di gravità, invalidità, peso assistenziale ed economico e difficoltà di diagnosi e di accesso alle cure ha fatto sì che il Ministero della salute (tramite il Piano nazionale della cronicità – Pnc) ne analizzasse i bisogni inevasi, proponendo obiettivi e linee d'intervento atti a favorire la piena tutela assistenziale di tali pazienti. La realtà clinica, confermata e avvalorata da un recente studio dei dati amministrativi sanitari di Fondazione ReS (Ricerca e Salute), risulta caratterizzata da insufficienti o improprie strategie diagnostiche e di follow-up (scarso uso della spirometria) e terapeutiche (per esempio, elevato uso dei broncodilatatori a breve durata d'azione invece di quelli a lunga durata d'azione associati a steroidi inalatori), mostrando un percorso assistenziale troppo complesso e non centrato sui bisogni del paziente. Questi aspetti possono essere risolti dall'integrazione tra specialisti e medici di medicina generale (Mmg) (continuità ospedale-territorio-assistenza domiciliare), dalla semplificazione dell'impostazione terapeutica tramite l'estensione ai Mmg della prescrivibilità dei farmaci soggetti a piano terapeutico, dall'implementazione della strumentazione diagnostica non invasiva negli ambulatori di cure primarie, dalla formazione dei medici e dall'*empowerment* dei pazienti.

Parole chiave. Database amministrativo, disturbi ostruttivi respiratori, percorso diagnostico terapeutico assistenziale.

Abstract. Asthma and chronic obstructive pulmonary disease are still under-diagnosed by clinicians and hardly recognizable by patients. Their epidemiology, severity, induced disability, healthcare and economic burden and difficult diagnosis and access to care have led the Italian Ministry of health (through the national plan for chronic care) to assess the unmet needs and to propose interventions aimed to favour the complete and protective healthcare of these patients. In the real world, clinicians are used to insufficiently or inappropriately diagnose, follow-up (low spirometry utilization) and plan therapeutic strategies (e.g., high use of short-acting β-2-adrenoreceptor agonists, instead of the long-acting ones combined with inhaled corticosteroids), demonstrating a quite complex and not patient-centred care pathway. This has also been confirmed by a recent study of the Italian administrative data by Fondazione ReS (Ricerca e Salute). These aspects can be overcome through the integration between specialists and general practitioners (GPs) (i.e., continuity among hospital, primary and home cares), therapeutic strategy simplification by extending to GPs the prescriptions of drugs subject to therapeutic plan, implementation of non-invasive diagnostic tools in the primary care setting, clinician education and update, and patient empowerment.

Keywords. Administrative database, respiratory obstructive diseases, care pathway.

Introduzione

Asma e broncopneumopatia cronica ostruttiva (Bpco) sono disturbi ostruttivi delle vie respiratorie caratterizzati da elevata eterogeneità e frequente sovrapponibilità di sintomi (Pedrini et al, 2017; Calabria et al, 2020). Sono ancora spesso difficilmente diagnosticati dal medico nelle fasi iniziali, ma anche poco conosciuti dalle persone che ne soffrono o difficilmente comunicabili (per esempio, asma pediatrico) (López-Campos et al, 2016; Soriano et al, 2018). Inoltre, in molti pazienti risultano inadeguatamente controllati e ciò determina un'inevitabile evoluzione verso le forme più gravi e un aumento costante dei relativi impatti economico e sociale (López-Campos et al, 2016; Gina, 2021).

A partire dagli obiettivi ministeriali sulle patologie croniche respiratorie e sulla base di quanto emerso da un recente studio real-world di Fondazione ReS (Ricerca e Salute), l'articolo intende favorire la

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 216.73.216.140 Tue, 01 Jul 2025, 00:58:00

discussione sulla necessità di semplificare il percorso diagnostico terapeutico assistenziale (Pdta) del paziente con asma e/o Bpco, anche in linea con quanto stabilito dalla nuova Nota Aifa 99.

Gli obiettivi del Piano nazionale della cronicità sulle patologie respiratorie

La seconda parte del Piano nazionale cronicità (Pnc) (Ministero della salute, 2016) ha annoverato Bpco e asma (in età evolutiva) tra le cronicità oggetto di rivalutazione, poiché rilevanti dal punto di vista epidemiologico, di gravità, invalidità, peso assistenziale ed economico e difficoltà di diagnosi e di accesso alle cure. La rivalutazione del Pnc ha previsto la definizione di alcuni obiettivi generali e specifici e la proposta di alcune linee di intervento, al fine di favorire la piena tutela assistenziale dei pazienti.

In generale, per la Bpco si sottolinea la necessità di migliorare la consapevolezza sulla patologia e sui fattori di rischio a essa collegati a livello politico e sociale, prevenire le riacutizzazioni e la progressione con una gestione attiva e intensiva della persona al domicilio ed evitando ospedalizzazioni inappropriate, migliorare l'aderenza alla profilassi e alla terapia farmacologica e riabilitativa, e creare livelli intermedi di assistenza fra ospedale e domicilio e tra cure primarie e ospedaliere. Allo stesso modo, tra gli obiettivi generali per l'asma in età evolutiva, il Pnc si propone di favorire la deospedalizzazione e la domiciliarità e di migliorare l'aderenza alla profilassi e alla terapia farmacologica, così come previsto dalle linee guida Gina (Global initiative for asthma) (Gina, 2021), anche attraverso il controllo e la riduzione dei fattori di rischio modificabili e dell'invalidità tramite programmi di riabilitazione. Nello specifico, per entrambi i disturbi, il Pnc auspica il miglioramento dei processi formativi dei sanitari e del personale sanitario non medico, del personale scolastico e del paziente stesso (*empowerment* del paziente).

Bpco e asma nella realtà clinica vista attraverso i real-world data

La realtà clinica appare ancora, sotto certi aspetti, piuttosto lontana dagli obiettivi del Pnc. Prendiamo a esempio la Bpco. La priorità nella terapia farmacologica è rappresentata dalla broncodilatazione. In particolare, i broncodilatatori a lunga durata d'azione e rapida insorgenza (Laba), tra cui il formoterolo, dovrebbero essere la scelta primaria in caso di Bpco stabile, considerando anche l'aggiunta dello steroide inalatorio (Ics) (Gina et al, 2021). Tuttavia, nella realtà clinica si assiste a un uso elevato, sia in automedicazione che su prescrizione medica, sia per Bpco (Fan et al, 2016) che per asma – in cui il fenomeno è maggiore (Canonica et al, 2021; Di Marco et al, 2021) e affrontato nelle linee guida Gina (Gina, 2021) –, dei broncodilatatori a breve durata d'azione (Saba), i quali risolvono il sintomo al bisogno, ma impediscono la diagnosi corretta e precoce. Improprie strategie terapeutiche possono essere in parte riconducibili all'insufficiente formazione della classe medica sulle evidenze e le linee guida aggiornate, ma anche alla scorretta diagnosi, per esempio dovuta allo scarso utilizzo della spirometria (López-Campos et al, 2016; Calabria et al, 2020). In ogni caso, di fronte a una scelta terapeutica né giustificata né personalizzata, il controllo della patologia risulta insufficiente e porta a un inevitabile aggravamento.

Nell'ambito del progetto Respiratory outlook di Fondazione ReS, è stato realizzato uno studio osservazionale retrospettivo (Calabria et al, 2021) del database ReS che ha individuato, tramite record linkage dei dati amministrativi sanitari, i pazienti affetti da asma o Bpco, ne ha descritto le caratteristiche demografiche e le comorbilità e ne ha valutato il consumo di risorse sanitarie e i costi assistenziali integrati dalla prospettiva del Servizio sanitario nazionale (Ssn). Lo studio si pone a integrazione delle diverse forme di real-world evidence e a supporto dei decisori sanitari, degli specialisti e dei medici di medicina generale per una reale e consapevole presa in carico del paziente con disturbi ostruttivi delle vie respiratorie.

I database amministrativi sanitari registrano tutti gli accessi all'assistenza da parte del Ssn, in strutture pubbliche o convenzionate, in caso di ricovero o di erogazione di prestazioni specialistiche, oppure al momento del ritiro di un farmaco rimborsabile dal Ssn in una farmacia territoriale o ospedaliera. L'applicazione ai dati amministrativi sanitari di appositi algoritmi permette di identificare in maniera adeguata i pazienti affetti da malattie respiratorie (Rector et al, 2004). Tuttavia, queste fonti di dati non sono prive di limitazioni, come riconosciuto nella pubblicazione dello studio di Fondazione ReS (Calabria et al, 2021), pertanto necessitano di essere integrate con altre tipologie di dati (per esempio, della medicina generale) per fornire un quadro il più accurato possibile. Le successive analisi, inoltre, consentono di valutare il percorso assistenziale sanitario in modalità opportunamente anonimizzata (Pedrini et al, 2020), di delineare il quadro completo di un paziente affetto da una determinata patologia, con particolare riferimento alla sua complessità (soprattutto le comorbilità), e al contempo di individuare bisogni sanitari inevasi e generare segnali di inappropriatezza. Lo studio ReS ha, dunque, evidenziato che i pazienti con asma o Bpco hanno richiesto assistenza soprattutto di tipo farmaceutico e ospedaliero maggiormente a causa di condizioni morbose diverse da quelle respiratorie, sia acute che croniche. Inoltre, ha

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 216.73.216.140 Tue, 01 Jul 2025, 00:58:00

risollevato il noto scarso utilizzo della spirometria come strumento diagnostico e di follow-up. Infine, poiché a scopi di rimborsabilità i database amministrativi sanitari contengono tutte le informazioni per valutare i costi relativi al consumo di risorse specifiche a carico del Ssn, l'analisi integrata ha permesso di valutare l'impatto economico derivante dall'intera assistenza, non solo specifica della patologia in esame, e ha mostrato che il costo dei pazienti con Bpco e asma/Bpco, dovuto a proporzionali carichi assistenziali, è stato circa tre volte maggiore di quello delle persone affette da asma, in due anni di follow-up.

È presumibile che tale panorama risenta di carenze formative e informative del personale medico, ma anche di un inefficiente coordinamento multidimensionale e una gestione non sempre centrata sul paziente.

La proposta: semplificare il Pdta del paziente con Bpco e asma

Asma e Bpco sono patologie croniche, dunque i pazienti che ne sono affetti necessitano di essere seguiti all'interno di un Pdta (percorso diagnostico terapeutico assistenziale) che si basi sulle più aggiornate ed efficienti strategie diagnostiche, terapeutiche e di follow-up, nell'ottica di una medicina sempre più personalizzata e di un accesso da parte del paziente alle diverse forme di assistenza il più possibile in continuità tra ospedale (specialista), territorio (medico di medicina generale – Mmg) e domicilio.

In ambito di programmazione sanitaria risulta, quindi, urgente realizzare una concreta integrazione tra la medicina specialistica e quella generale, attraverso un Pdta multidisciplinare in cui i Mmg sono messi nelle condizioni di fare diagnosi precoce, impostare una prima strategia terapeutica e svolgere controlli di follow-up tra le visite specialistiche concordate.

Al fine di favorire la diagnosi precoce, aumentare l'uso della spirometria e migliorare il follow-up, gli strumenti diagnostici e di follow-up raccomandati dalle linee guida Gina (Gina, 2021) e Gold (Global initiative for chronic obstructive lung disease) (Gold, 2021), come spirometri o misuratori di ossido nitrico esalato, che non sono invasivi e non necessitano di personale specializzato, dovrebbero entrare a far parte in modo sistematico dell'armamentario degli ambulatori di cure primarie. In merito alla promozione di un'assistenza integrata e tempestiva, la Nota Aifa 99 di recente istituzione (Aifa, 2021) richiede l'esecuzione dell'esame spirometrico già nel setting della medicina generale, ai fini dell'impostazione della terapia più corretta da parte del Mmg, il quale è comunque sollecitato ad avvalersi della collaborazione dello specialista in assenza della strumentazione o in caso di dubbi. Allo stesso tempo, mentre prima dell'istituzione della Nota Aifa 99 al Mmg non era dato prescrivere tutte le opzioni terapeutiche in commercio in Italia, a oggi viene permessa la prescrizione anche delle associazioni duplici fisse Laba + anticolinergici a lunga durata d'azione (Lama) e Laba + Ics. Al contrario, la triplice Ics + Laba + Lama, gli anticorpi monoclonali e l'inibitore della fosfodiesterasi (roflumilast) restano prescrivibili dallo specialista e subordinati al piano terapeutico da rinnovarsi annualmente (Piccinni et al, 2021). Il vincolo del piano terapeutico determina non pochi spostamenti del paziente, il quale dopo la visita specialistica deve recarsi dal Mmg per la ricetta necessaria al ritiro del farmaco in farmacia ospedaliera o territoriale, a seconda del canale di distribuzione. Se si considera che un paziente affetto da Bpco presenta almeno un'altra patologia cronica concomitante (Negewo et al, 2015; Calabria et al, 2021) e alcune di queste (per esempio, diabete e fibrillazione atriale) prevedono lo stesso iter prescrittivo (Piccinni et al, 2021), svincolare almeno le associazioni duplici fisse da questo obbligo, come fatto attraverso la Nota 99, era necessario e urgente, al fine di semplificare l'attuale percorso del paziente con multicronicità. Sulla base delle argomentazioni ampiamente affrontate per gli antidiabetici (Piccinni et al, 2020) e dell'esperienza con gli anticoagulanti diretti imposta dalla pandemia da covid-19 (Aifa, 2020), l'estensione della prescrivibilità ai Mmg di tutti i farmaci per Bpco e asma rappresenterebbe una soluzione rapida, ma soprattutto di buon senso, anche considerando che la maggior parte delle associazioni fisse (compresa la triplice terapia) hanno già perso il brevetto.

L'estensione della prescrivibilità dei farmaci per Bpco e asma alla medicina generale implica inevitabilmente la riclassificazione delle relative modalità di prescrizione e del regime di rimborsabilità, azioni che possono essere affrontate senza aggravio di spesa.

Risulta, infine, urgente implementare e adottare Pdta dei disturbi ostruttivi respiratori basati sulla continuità ospedale-territorio (compresa l'assistenza domiciliare), sull'aderenza alla prevenzione e sul controllo di tali patologie, e inoltre sui bisogni reali dei pazienti con multicronicità, adeguandoli ai più recenti cambiamenti assistenziali. Per favorire la discussione e incoraggiare l'aggiornamento costante dei Pdta, Fondazione ReS mette a disposizione una raccolta sistematica di tutti i Pdta regionali ufficiali pubblicati, attraverso il database Pdta Net (http://fondazioneres.it/pdta/). Dall'analisi di tale database emerge che al 31 dicembre 2019 sono presenti 13 Pdta sulla Bpco; tutti i documenti prevedo-

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 216.73.216.140 Tue, 01 Jul 2025, 00:58:00

no a diverso titolo il coinvolgimento del Mmg in tutte le fasi della presa in carico; tuttavia, questi strumenti di governance soffrono della ben nota limitazione dello scarso aggiornamento. Pertanto, oltre alla implementazione del Pdta, è necessario provvedere a una campagna di sensibilizzazione e di formazione dei Mmg, soprattutto sulle opzioni terapeutiche fino a oggi a essi precluse, e dei pazienti stessi.

Conclusioni

Questo testo ha illustrato brevemente, anche grazie al supporto dei risultati dell'analisi real-world del database ReS, la situazione attuale della gestione dei pazienti affetti da asma e Bpco, anche alla luce della Nota Aifa 99 di recente istituzione. I passaggi tecnici proposti per la semplificazione del Pdta sono, senza aggravio di spesa, dei primi passi fondamentali per il raggiungimento degli obiettivi che il Pnc si pone per realizzare la piena tutela dell'assistenza delle persone affette da tali disturbi, anche e soprattutto di fronte alle criticità che la pandemia da covid-19 ha ulteriormente sollevato. Le istituzioni centrali, come Ministero della salute e Aifa, stanno rivalutando il ruolo della medicina territoriale, ma rimane fondamentale l'impegno costante nell'aggiornamento e nella formazione dei medici, il rafforzamento della strumentazione in uso e delle possibilità prescrittive, e il coinvolgimento dei pazienti stessi.

Bibliografia

Aifa (2020), Adozione definitiva della Nota 97 relativa alla prescrivibilità dei nuovi anticoagulanti orali ai pazienti con fibrillazione atriale non valvolare (FANV), *G.U.*, n. 255, 15 ottobre.

Aifa (2021), Istituzione della Nota Aifa 99 relativa alla prescrizione, a carico del Servizio sanitario nazionale, della terapia inalatoria di mantenimento con LABA, LAMA, ICS e relative associazioni precostituite (LABA/ICS, LABA/LAMA, LABA/LAMA/ICS) nei pazienti con BPCO, *G.U.*, n. 207, 30 agosto.

Calabria S, Ronconi G, Dondi L et al (2020), Open triple therapy for chronic obstructive pulmonary disease: patterns of prescription, exacerbations and healthcare costs from a large Italian claims database, *Pulm Pharmacol Ther*, 61: 101904.

Calabria S, Ronconi G, Dondi L et al (2021), Analisi real-world dei disturbi ostruttivi delle vie respiratorie: caratterizzazione, assistenza sanitaria e costi, *Recenti Prog Med*, 112 (4): 285-293.

Canonica GW, Paggiaro P, Blasi F et al (2021), Manifesto on the overuse of SABA in the management of asthma: new approaches and new strategies, *Ther Adv Respir Dis*, 15: 1-6.

Di Marco F, D'Amato M, Lombardo FP et al (2021), The burden of short-acting β(2)-agonist use in asthma: is there an Italian case? An update from SABINA program, *Adv Ther*, 38 (7): 3816-3830.

Fan VS, Gylys-Colwell I, Locke E et al (2016), Overuse of short-acting beta-agonist bronchodilators in COPD during periods of clinical stability, *Respir Med*, 116: 100-106.

Gina (2021), *Global strategy for asthma management and prevention*. Disponibile online al seguente indirizzo: https://ginasthma.org/wp-content/uploads/2021/05/GINA-Main-Report-2021-V2-WMS.pdf . Ultima consultazione: ottobre 2021.

Gold (2021), *The global strategy for diagnosis, management and prevention of chronic obstructive pulmonary desease (2021 Report)*. Disponibile online al seguente indirizzo: https://goldcopd.org/wp-content/uploads/2020/11/GOLD-REPORT-2021-v1.1-25Nov20_WMV.pdf. Ultima consultazione: ottobre 2021.

López-Campos JL, Tan W, Soriano JB (2016), Global burden of COPD, Respirology, 21 (1): 14-23.

Ministero della salute (2016), *Piano nazionale della cronicità. Accordo tra lo Stato, le Regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano del 15 settembre 2016*. Disponibile online al seguente indirizzo: https://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_2584_allegato.pdf. Ultima consultazione: ottobre 2021.

Negewo NA, Gibson PG, McDonald VM (2015), COPD and its comorbidities: impact, measurement and mechanisms, *Respirology*, 20 (8): 1160-1171.

Pedrini A, Piccinni C, Maggioni AP et al (2020), Nuovi farmaci per le patologie croniche. Individuazione delle popolazioni target con i real world data, *Recenti Prog Med*, 111 (10): 571-576.

Pedrini A, Rossi E, Calabria S et al (2017), Current management of severe refractory asthma in italy: analysis of real-world data, *Glob Reg Health Technol Assess, 4* (1): 216-220.

Piccinni C, Addesi A, Pedrini A et al (2021), Piani terapeutici dei farmaci: quanti e quali? Fotografia di uno strumento di appropriatezza prescrittiva e assistenziale, *Recenti Prog Med*, 112 (4): 243-249.

Piccinni C, Maggioni AP, Pedrini A et al (2020), L'estensione della prescrizione alla medicina generale delle categorie terapeutiche per le patologie croniche: evidenze scientifiche, aspetti regolatori e organizzativi per i nuovi antidiabetici, I supplementi di *Politiche sanitarie*, n. 2 (Suppl a *Pol san*, vol 21, n. 4).

Rector TS, Wickstrom SL, Shah M et al (2004), Specificity and sensitivity of claims-based algorithms for identifying members of Medicare + Choice health plans that have chronic medical conditions, *Health Serv Res*, 39 (6 Pt 1): 1839-1857.

Soriano JB, Polverino F, Cosio BG (2018), What is early COPD and why is it important?, *Eur Respir J*, 52: 1801448.

Conflitti di interesse Nessuno

Autore per la corrispondenza
Silvia Calabria, calabria@fondazioneres.it

Ricevuto 26 agosto 2021, accettato 20 ottobre 2021