

L'impatto economico del Mieloma Multiplo

Indagine sulle ricadute
finanziarie e sociali
per pazienti e caregiver



ASSOCIAZIONE ITALIANA
CONTRO LEUCEMIE
LINFOMI E MIELOMA

Introduzione

A cura di **Giuseppe Toro**, *Presidente Nazionale AIL*

Da oltre 50 anni l'impegno di AIL è la lotta contro i tumori del sangue. Oggi, grazie alla ricerca scientifica che ha compiuto progressi significativi nella cura dei tumori ematologici, e grazie all'incremento dell'assistenza domiciliare, alla realizzazione delle Case alloggio e ai tanti servizi che la nostra Associazione mette a disposizione, siamo sempre più vicini ai pazienti e ai loro familiari.

Nel tempo AIL è riuscita a creare una solida rete di sostegno e assistenza, diventando un punto di riferimento fondamentale per il paziente ematologico e per l'Ematologia italiana e internazionale, grazie a un'alleanza che diventa ogni giorno più forte.

L'obiettivo principale dell'Associazione Italiana contro leucemie, linfomi e mieloma è migliorare la vita dei malati: vogliamo offrire una vita migliore a chi deve affrontare malattie gravi e lunghi percorsi di cura. Per continuare a farlo dobbiamo dare priorità ai bisogni dei pazienti e dei caregiver, bisogni che vanno individuati e quantificati per trovare soluzioni e offrire risposte.

Il Mieloma Multiplo, seconda neoplasia ematologica per incidenza nel nostro Paese, è una di quelle patologie per le quali è più pressante la necessità di indagare a fondo le esigenze e le richieste dei pazienti proprio per il forte "peso" che questa malattia ha sulla vita delle persone colpite e del loro nucleo familiare.

Per questo AIL si è fatta promotrice di un "viaggio" attraverso i costi economici diretti e indiretti dei pazienti con Mieloma Multiplo e dei loro caregiver.

Ne è scaturita un'indagine che a partire dall'esperienza "real life" dei pazienti si è proposta di misurare le ricadute economiche, le cosiddette "tossicità finanziarie", che una diagnosi di Mieloma Multiplo comporta per le famiglie.

Lo scopo dell'indagine è stato fornire strumenti di riflessione a clinici e Istituzioni utili a ottimizzare i processi di gestione della patologia e delle risorse per migliorare la qualità di vita dei pazienti e dei loro familiari e l'efficienza stessa del Sistema.

Un Board di esperti, che desideriamo ringraziare sentitamente per la loro partecipazione all'iniziativa e il lavoro svolto, hanno messo a punto un questionario che è stato somministrato online e in forma cartacea con l'aiuto di 14 Ematologie afferenti all'EMN Italy – European Myeloma Network Italy.



ASSOCIAZIONE ITALIANA
CONTRO LEUCEMIE
LINFOMI E MIELOMA

L'analisi dei dati è stata realizzata in partnership con il Centre for Economic and International Studies and HTA (EEHTA) CEIS della Facoltà di Economia dell'Università di Roma Tor Vergata e ringraziamo per questa collaborazione il professor Francesco Saverio Mennini e il suo team.

I dati emersi dall'indagine ci hanno convinto della necessità di questo progetto e saranno motivo di attenta riflessione da parte nostra, dei clinici e dei pazienti. In particolare, un dato ci ha colpito: l'impatto del Mieloma Multiplo sull'attività lavorativa di pazienti e caregiver. Il 53% dei pazienti e il 24,5% dei caregiver sono costretti ad abbandonare il proprio lavoro; importanti sono anche i relativi costi indiretti dovuti a giornate di lavoro perse e a presentismo, oltre 8.000 euro per anno. Riteniamo sia necessario intervenire in questo ambito con azioni di politiche sociali per mitigare l'emorragia di risorse a scapito della qualità di vita dei pazienti e dei loro caregiver.

Un elemento che ci è parso incoraggiante e come Associazione ci spinge a intensificare e nostre attività, è stato invece il dato riguardante quel 10% di pazienti che, costretti a spostarsi dalla propria residenza per ricevere le cure, hanno trovato nelle Case alloggio AIL un posto sicuro e gratuito dove risiedere anche per lunghi periodi. Ricordiamo che AIL sostiene i pazienti nella mobilità sanitaria con 2.221 viaggi solidali che garantiscono gli spostamenti a chi deve curarsi lontano da casa e 9.054 trasporti da e verso l'ospedale. AIL con le Case alloggio vicine ai Centri di ematologia, accoglie gratuitamente i pazienti non residenti e i loro caregiver. Sono 34 le sezioni provinciali che offrono il servizio, con 2.304 persone ospitate in un anno, di cui 1.002 adulti, 66 bambini e 1.236 familiari. AIL offre ai pazienti e ai famigliari un servizio di supporto psicologico e di ascolto attraverso il Numero Verde AIL 800 226524 per parlare con un ematologo o uno psiconcologo. Sono state eseguite 1.691 consulenze telefoniche gratuite, con 6.659 pazienti e caregiver che hanno ricevuto l'aiuto psicologico.

Auspichiamo che questo progetto possa andare oltre i numeri statistici. Ci rivolgiamo alle Istituzioni perché curare i malati ematologici non basta, l'obiettivo è prendersi cura dei fragili, che significa non solo curare meglio aumentando la durata della vita ma anche la qualità della vita. E in questo l'impegno di AIL non verrà mai meno.

Il Mieloma Multiplo

Il Mieloma Multiplo (MM) è una patologia rara che rappresenta l'1% di tutti i tumori globalmente considerati e, nonostante ciò, è la seconda neoplasia ematologica per incidenza. Secondo i dati dell'Associazione dei Registri Tumori (AIRTUM) in Italia nel 2020 sono stati stimati 6.000 nuovi casi di MM e poco più di 35.000 persone convivono con la patologia e sono in trattamento o in follow-up presso Istituti di cura a carattere universitario o ospedaliero.

La prevalenza è legata alla sopravvivenza dei pazienti che oggi vivono più a lungo. Il Mieloma Multiplo, che tutt'ora è considerata una malattia incurabile, ha ottenuto negli ultimi 5-10 anni in modo importante un aumento della sopravvivenza da tre a cinque volte.

L'età media alla diagnosi è di 68-70 anni, ma il 20% dei pazienti ha meno di 50 anni, circa il 2% meno di 40 anni mentre il 38% dei pazienti ha un'età superiore ai 70 anni.

Le caratteristiche del Mieloma Multiplo

Il MM è un tumore del sangue non guaribile che origina dal midollo osseo. È caratterizzato da una proliferazione incontrollata di plasmacellule. Le plasmacellule in condizioni normali, soprattutto in corso di infezioni, producono 5 tipi di anticorpi (IgG, IgA, IgM, IgD e IgE). Nel MM le plasmacellule si trasformano, per cause non ancora note, in cellule tumorali maligne, si accumulano nel midollo osseo e producono elevate quantità di immunoglobuline (anticorpi) tutte dello stesso tipo, denominate Componente Monoclonale (CM). Inoltre, le plasmacellule anomale producono una sostanza che stimola gli osteoclasti e distrugge l'osso, motivo per cui questi pazienti sono soggetti a fratture ossee.

La malattia è caratterizzata dall'alternanza tra periodi di remissione e periodi di riacutizzazione con la comparsa di recidive che hanno un impatto pesante sia sul piano fisico che psicologico.

Si possono riconoscere due entità cliniche della patologia:

- gammopatia monoclonale di significato indeterminato detta MGUS, una condizione generalmente benigna che necessita di attento monitoraggio;
- Mieloma Multiplo che rappresenta la forma neoplastica.

I sintomi

Il sintomo più comune è il dolore osseo, più frequentemente localizzato alla colonna vertebrale. In alcuni casi il dolore si associa a una frattura patologica, dovuta all'indebolimento localizzato dell'osso causato dalla malattia stessa. Altro disturbo frequente è la stanchezza dovuta all'anemia. Talvolta il MM si associa anche a insufficienza renale, che viene scoperta con gli esami del sangue.

L'ipercalcemia è un segno di malattia frequente in questi pazienti a causa dell'esteso danno osseo e comporta sonnolenza, debolezza muscolare, alterazione del ritmo cardiaco e stitichezza.

Come viene diagnosticata?

Il MM in un terzo dei casi viene diagnosticato casualmente a seguito del riscontro della Componente Monoclonale, nei restanti casi la malattia viene scoperta in seguito alla presenza di sintomi.

La diagnosi viene posta sulla base di tre elementi: presenza della CM a livello del sangue o delle urine, presenza di plasmacellule nel midollo osseo, presenza di danno d'organo.

È necessario eseguire una serie di esami del sangue e indagini strumentali che servono a capire il grado di estensione della malattia.

Solo dopo avere completato l'osservazione dei dati è possibile stadiare il MM, indicarne la gravità e di conseguenza avere un inquadramento della sua evoluzione.

Le terapie

La terapia d'elezione per i pazienti giovani con età inferiore a 65 anni e in buone condizioni generali è il trapianto di cellule staminali autologhe. I pazienti vengono selezionati da subito in base all'eleggibilità al trapianto. I pazienti candidabili sono sottoposti a una terapia di induzione per ridurre al minimo la quantità di malattia e migliorare il più possibile il danno d'organo.

La terapia di induzione è costituita da quattro farmaci: immunomodulante, cortisone, inibitore del proteasoma e anticorpo monoclonale anti-cd38. Ottenuta la risposta, si procede con la raccolta di cellule staminali del paziente preceduta da una chemioterapia e a seguire il trapianto autologo. Dopo il trapianto il paziente è sottoposto ad una terapia di consolidamento.

I pazienti non candidabili al trapianto, vengono trattati con combinazioni di numerosi

farmaci che oggi consentono di ottenere buone risposte in gran parte dei casi. Segue una terapia di mantenimento estesa nel tempo che è in grado di prolungare la durata di remissione della malattia.

La ricerca sta ampliando le possibilità terapeutiche. Tra le novità, gli anticorpi bispecifici, che attivano il sistema immunitario contro le plasmacellule, e le terapie CAR-T, con linfociti del paziente manipolati geneticamente, reinfusi nello stesso e capaci di attaccare e distruggere il Mieloma grazie ad un recettore specifico.

Report dei dati dell'indagine sui costi diretti e indiretti del Mieloma Multiplo

L'obiettivo dell'indagine è quello di produrre un modello di impatto economico capace di misurare i costi diretti e indiretti legati alla diagnosi di Mieloma Multiplo.

L'analisi si basa su dati di pazienti con diagnosi di MM afferenti a vari Centri di ematologia dell'EMN Italy - European Myeloma Network Italy e i loro caregiver.

La raccolta dati è avvenuta tramite compilazione di un questionario messo a punto da un Board di esperti in collaborazione con il Centre for Economic and International Studies and HTA (EEHTA) CEIS della Facoltà di Economia dell'Università di Roma Tor Vergata.

Il questionario è stato reso disponibile in modalità online attraverso il sito di AIL e in versione cartacea.

I dati sono stati raccolti in forma completamente anonima e tutti i risultati delle analisi statistiche ed economiche saranno presentati in forma aggregata.

Al Board del progetto hanno partecipato:

Mario Boccadoro, Università di Torino, Vice Presidente European Myeloma Network (EMN)

Felice Bombaci, Coordinatore nazionale Gruppi AIL Pazienti

Fabio Fulvio Bragoni, Referente gruppi AIL pazienti

Anna Maria Cafro, Dirigente Medico Ematologia ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda

Daniele Derudas, Dirigente medico UO Ematologia e Centro Trapianti Midollo Osseo (CTMO), Ospedale Oncologico di Riferimento Regionale "Armando Businco", Cagliari

Massimo Gentile, Dirigente Medico, UOC Ematologia, Azienda Ospedaliera di Cosenza

Francesco Saverio Mennini, Direttore EEHTA-CEIS, Facoltà di Economia, Università di Roma "Tor Vergata", Presidente SIHTA - Società Italiana di Health Technology Assessment

Maria Teresa Petrucci, Dirigente medico Dipartimento di Biotecnologie Cellulari ed Ematologia, Azienda Policlinico Umberto I "Sapienza" Università di Roma

Il campione



457 questionari analizzati

88% online e 12% cartacei



Sesso ed età

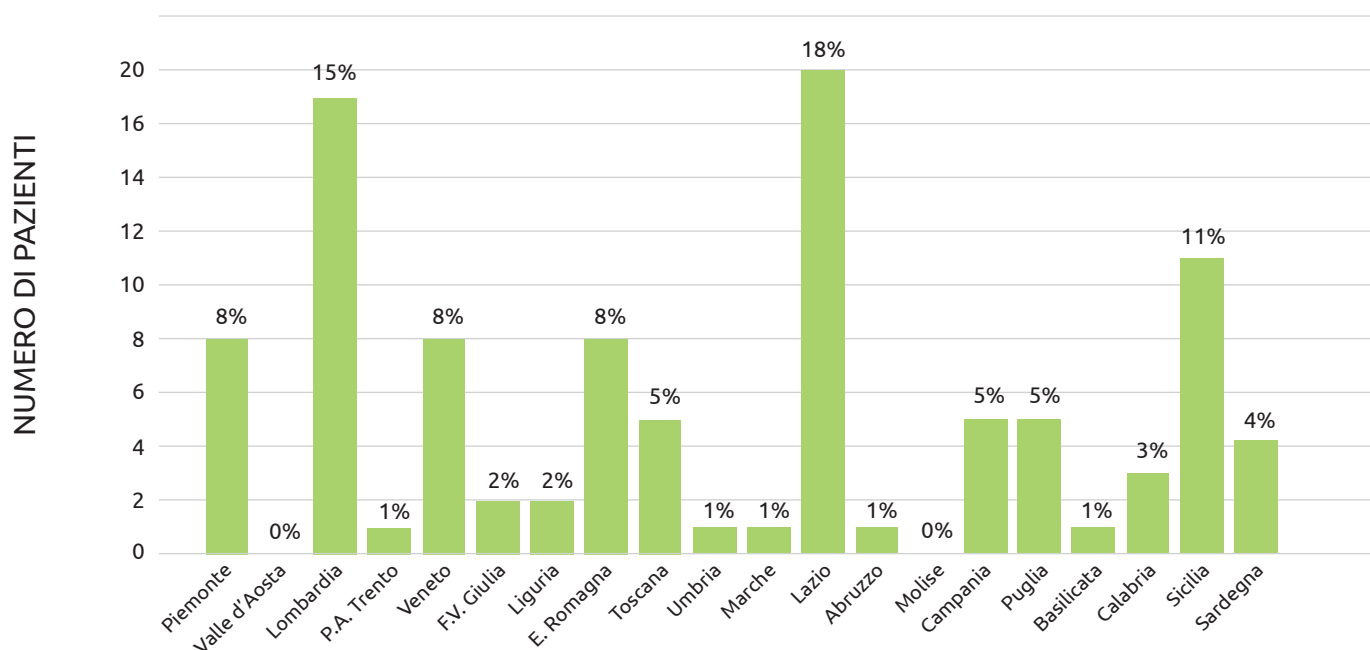
Donne: 42%

Uomini: 58%



Età media 62 anni

Regione di residenza



Stato civile, abitazione, titolo di studio e condizione professionale

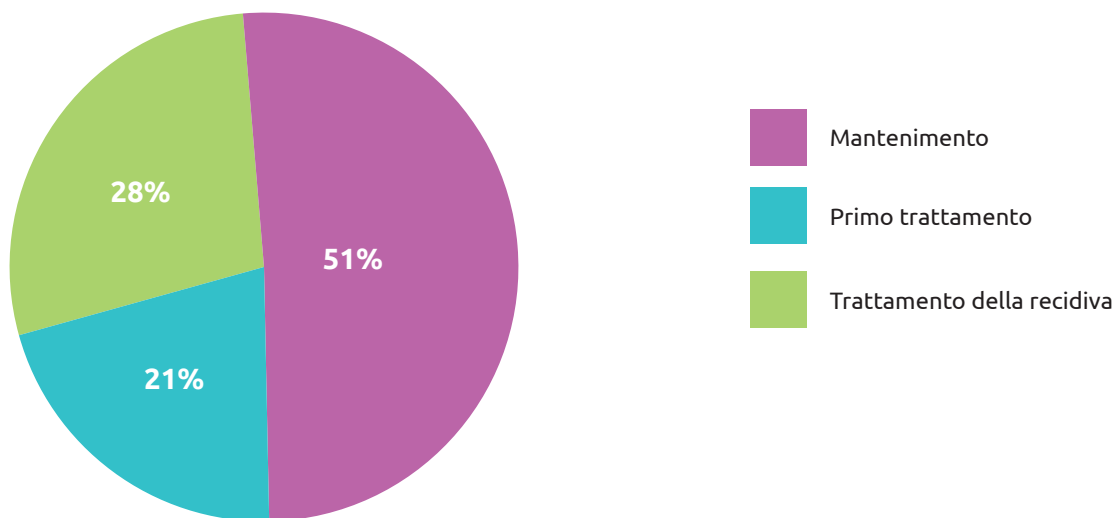
Il 75% del campione risultava coniugato/convivente, quasi il 90% vive con familiari o partner. Elevato il titolo di studio: il 47% è diplomato mentre il 27% è in possesso di una laurea o un dottorato. Il 43% è pensionato, mentre il 28% ha un lavoro a tempo pieno e il 7% ha un lavoro part-time.

Tempo dalla diagnosi

Il tempo intercorso dalla diagnosi è in media per oltre la metà del campione di 5 anni.

Caratteristiche della patologia

Riguardo le fasi della malattia, il 51% del campione al momento dell'indagine era in mantenimento, il 28% assumeva terapie per la recidiva e il 21% era al primo trattamento. Il trapianto di cellule staminali autologhe ha riguardato quasi il 61% del campione.



Quanto alla remissione di malattia, il 45% del campione non era in remissione, il 39% era in remissione con terapia di mantenimento mentre il 16% si trovava in remissione senza mantenimento. Più di un paziente su due in remissione ha riferito di esserlo da oltre 1 anno.

Le risorse utilizzate dai pazienti

Alla domanda "Negli ultimi 6 mesi ha effettuato visite specialistiche a pagamento?" il 62% del campione ha negato ma quasi il 40% ha dichiarato di averne effettuate in media 4.

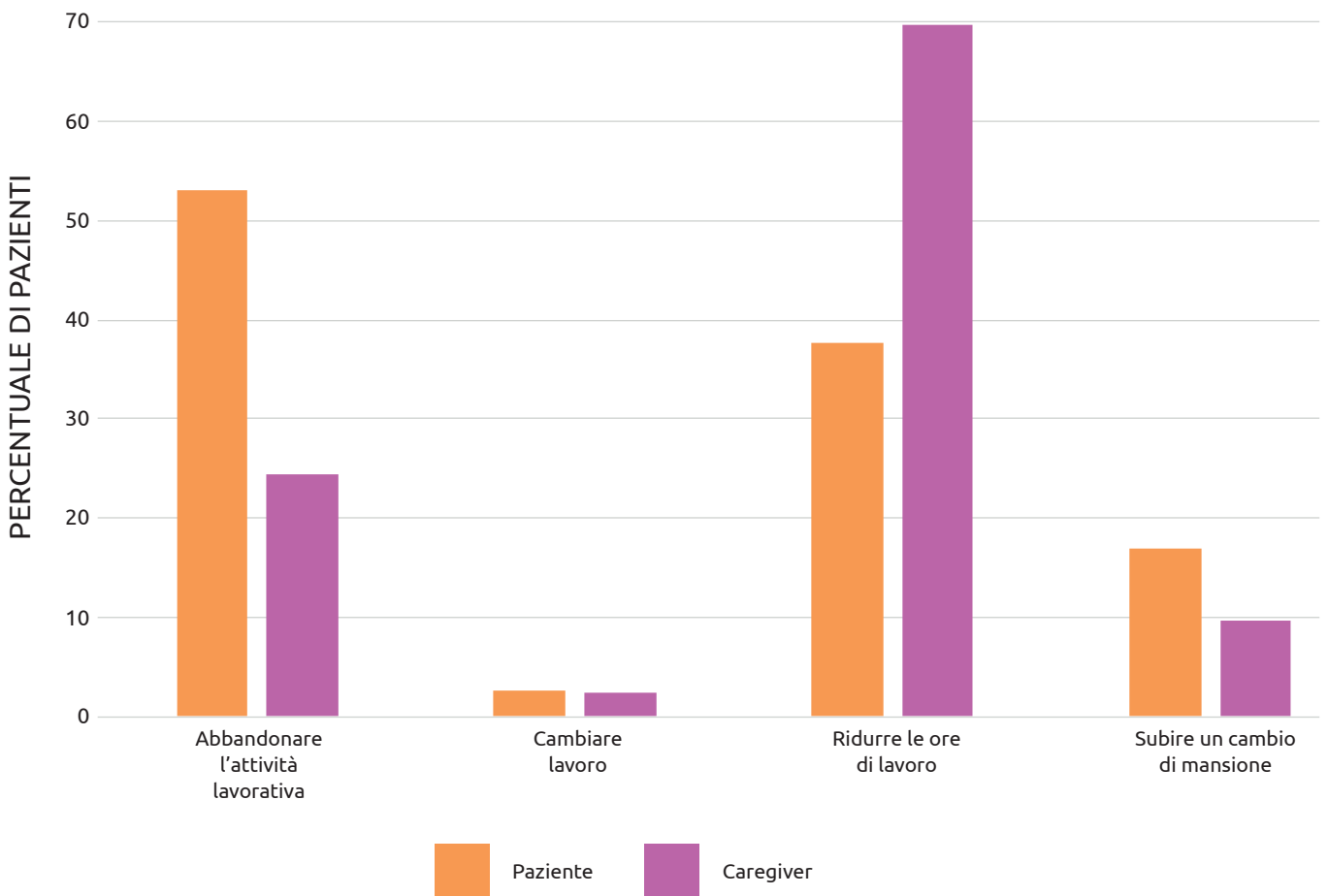
Scarso il ricorso all'aiuto di badanti, infermieri, psicologi e assistenza notturna. Il 9% del campione ha riferito di essersi avvalso di "altro", probabilmente familiari/amici. La maggioranza del campione (72%) ha dichiarato inoltre di non avere usufruito di ausili.

Il 52% degli intervistati non ha dovuto spostarsi dalla sua città per curare la patologia. Ciò denota una buona diffusione, organizzazione e competenza dei Centri di ematologia sul territorio nazionale. Il 42% ha affrontato spostamenti brevi e solo per il 6% lo spostamento ha comportato la necessità di trovare un alloggio per cui più la metà ha preso stanze a pagamento, alcuni sono stati ospitati da amici/parenti e un 10% è stato accolto nelle Case alloggio dell'AIL.

Circa un paziente su due si avvale dell'assistenza di un caregiver, nella maggioranza dei casi si tratta di un parente o un amico.

Impatto sull'attività lavorativa del paziente e del caregiver

Il 35% dei pazienti (160) coinvolti nell'indagine avevano un lavoro a tempo pieno o part-time. Per il 68% dei pazienti la malattia ha condizionato in modo importante l'attività lavorativa, percentuale sovrapponibile a quanto dichiarato dai caregiver (70%). Oltre un paziente su due (53,1%) ha dovuto abbandonare il lavoro contro il 24,5% dei caregiver. Nel 70% dei casi i caregiver si sono visti costretti a ridurre le ore di lavoro, anche il 37,6% dei pazienti ha ridotto l'attività lavorativa.



Costi diretti e indiretti

Nel complesso, i costi totali annui per un paziente con Mieloma Multiplo sono stati stimati pari a € 10.438 dei quali il 78% relativo ai costi indiretti, dovuti ad assenteismo e presenteismo, e il 22% a costi diretti sanitari e non sanitari.

Costi diretti = € 2.280

L'analisi dei costi ha evidenziato una spesa diretta sanitaria e non sanitaria annua per paziente dovuta a spese per l'assistenza personale (€ 731: badante, assistenza notturna, infermiere, psicologo), l'alloggio (€ 236), l'acquisto di medicinali (€ 737) e di ausili (€ 142) e le visite specialistiche (€ 434).

Costi indiretti = € 8.158

I costi indiretti sono dovuti a perdita di giornate di lavoro del paziente e/o del caregiver (€ 7.550) e alle giornate con ridotta capacità produttiva (€ 608).

I costi sono risultati strettamente legati all'età del paziente: molto più alti per i pazienti in età lavorativa (circa € 11.886), più bassi per le fasce d'età più anziane, per le quali i costi indiretti erano dovuti al caregiver (circa € 2.628).

Note metodologiche

L'analisi dei costi diretti e indiretti è stata effettuata escludendo, per ogni domanda, le modalità di risposta superiori al 99° percentile (valori anomali).

L'analisi dei costi indiretti è stata effettuata valorizzando le giornate di lavoro perse dal paziente e dal caregiver e le giornate in cui il paziente, pur recandosi a lavoro, ha avuto una ridotta produttività (presenteismo), sulla base del reddito medio annuo riportato.

- Per definizione, i costi indiretti dei pensionati sono stati calcolati considerando esclusivamente le giornate perse dal caregiver.
- Per i pazienti che hanno indicato di "aver dovuto abbandonare l'attività lavorativa", i costi indiretti sono calcolati ipotizzando 365 giorni di lavoro persi (come da metodologia Human Capital).
- Le giornate con ridotta capacità non sono state valorizzate per i pensionati o per chi ha abbandonato l'attività.



ASSOCIAZIONE ITALIANA
CONTRO LEUCEMIE
LINFOMI E MIELOMA

Via Casilina, 5 – 00182 Roma
Tel. 06 7038601 – www.ail.it

In collaborazione con



Con il contributo non condizionante di

