

Progetti innovativi per le malattie rare

Verso la multidimensionalità delle malattie rare: la creazione della “Task Force Empowerment”

Elena Elefante¹, Diana Marinello¹, Chiara Tani¹, Francesco Ferro¹, Rosaria Talarico¹, Marta Mosca¹

1 U.O. Reumatologia, Azienda Ospedaliero Universitaria Pisana

Abstract

Le connettivi sistemiche sono malattie infiammatorie sistemiche croniche caratterizzate da una vasta gamma di manifestazioni cliniche e da un decorso imprevedibile, con un andamento tipicamente recidivante-remittente. Le connettiviti colpiscono spesso giovani donne e hanno un impatto significativo sulla qualità della vita (QoL) e sulle attività della vita quotidiana delle persone che ne sono affette.

La valutazione e la gestione dei pazienti con connettiviti nella pratica clinica può risultare complessa: l'attività della malattia e/o il danno d'organo - valutati dai medici - non sembrano essere strettamente associati alle misure di qualità della vita.

La discordanza tra la visione del medico e quella del paziente può avere conseguenze importanti sull'assistenza e sugli outcome della malattia.

Appare quindi fondamentale comprendere quali sono gli aspetti più significativi per il paziente e integrare i dati riportati direttamente dal paziente alla valutazione tradizionale del medico, in una strategia condivisa di gestione della malattia.

In questo scenario, negli ultimi tre anni, nella U.O. di Reumatologia di Pisa, sono stati condotti studi osservazionali volti ad analizzare la qualità della vita dei pazienti affetti da connettiviti sistemiche (attraverso l'uso di Patient Reported Outcomes validati), a valutare l'associazione dei risultati ottenuti relativamente alla QOL dei pazienti con la valutazione clinica del medico, analizzando i principali fattori determinanti la “discordanza” medico-paziente.

I dati raccolti potranno rappresentare il punto di partenza per sviluppare una strategia di gestione e trattamento dei pazienti con connettiviti sistemiche che preveda che i pazienti svolgano un ruolo più attivo nella gestione della loro malattia e che i medici imparino a prendere in considerazione anche gli aspetti non clinici della malattia.

A tal fine, poiché è necessario implementare l'utilizzo dei PROMs attualmente disponibili, è fondamentale favorire l'empowerment dei pazienti nella gestione della loro malattia, soprattutto quando si tratta di malattie rare. Per tale motivo è stata creata la “Task Force Empowerment” all'interno della U.O. di Reumatologia di Pisa, che include diverse figure specializzate e che ha già avviato progetti di co-design per la creazione di strumenti di misura finalizzati a monitorare la malattia nel tempo e esplorare la multidimensionalità del paziente raro e del suo caregiver.