

## Il Valore per la persona con Beta Talassemia Major

### Progetto di analisi del costo sociale e degli strumenti per convivere con la malattia

Il progetto *“Il valore per la persona con Beta Talassemia Major”* è una ricerca curata da **Fondazione ISTUD** in collaborazione con **UNITED (Unione Associazioni per le Anemie Rare la Talassemia e la Drepanocitosi)** e **SITE (Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie)**, realizzata nel 2015 con il contributo non condizionato di Novartis. L’obiettivo del progetto è stato quello di valutare il carico complessivo della malattia – **Burden of Illness** – per le persone con Beta Talassemia Major ed i loro famigliari.

Per tale lavoro sono stati coinvolti **157 pazienti e 43 professionisti sanitari** in un’indagine quali-quantitativa che ha permesso di individuare l’attuale scenario relativamente ai seguenti ambiti:

- l’andamento delle terapie, i bisogni e le aspettative;
- i processi di cura, l’organizzazione e la qualità dei servizi offerti in relazione alle richieste;
- i vissuti della malattia nei contesti famigliari, sociali, lavorativi ed economici delle persone con Beta Talassemia Major.

Il questionario utilizzato ha previsto un’integrazione tra sezioni dedicate alla raccolta di dati numerici ed altre di carattere qualitativo per la raccolta dei commenti e delle considerazioni dei rispondenti; infine, per completare la panoramica auspicata, si è utilizzato lo strumento della **narrazione autobiografica**, a disposizione per il racconto libero e spontaneo sia delle persone con Beta Talassemia Major che dei loro curanti.

### Punti di attenzione sui risultati della ricerca

I risultati ottenuti dal presente lavoro sono rilevanti per i numerosi spunti indicati a livello organizzativo e di vissuto delle terapie nella quotidianità. Emergono **elementi di valore** per la presenza sul territorio nazionale di centri esperti nella cura della Beta Talassemia Major e delle sue complessità, frutto di un lungo e dedicato lavoro di gruppi di professionisti che con il tempo hanno contribuito a migliorare i servizi per i pazienti, insieme alla costante attenzione alle innovazioni terapeutiche, che possono rappresentare una vera e propria svolta nel vissuto quotidiano di tale condizione. Emergono tuttavia anche dei **punti di attenzione significativi** relativamente ad una malattia ancora fortemente impattante sia a livello individuale che relativamente al carico per il Servizio Sanitario Nazionale. L’allungamento dell’aspettativa di vita con la Beta Talassemia Major richiede oggi di prendere in considerazione **nuovi elementi di cura**, dovuti ad un aumento della **complessità**, in una malattia già molto impattante per la gestione delle complicanze che si possono sviluppare e per gli effetti collaterali delle terapie che possono insorgere nel tempo, e alla necessità dei pazienti di avere un buon livello di **qualità della vita**. **A tali nuove esigenze si può dare risposta all’interno dei centri di cura esperti**, uniche sedi in cui ci sono professionisti in grado di affrontare le peculiarità e complessità di questa condizione. L’indagine svolta nella presente ricerca, rivolta sia alle persone con Beta Talassemia Major che ai loro curanti, rivela che, a fronte di un percorso di cura soddisfacente dal punto di vista delle relazioni e di terapie sempre più innovative e meno impattanti sulla

Con il supporto non condizionato di

qualità della vita, i fattori organizzativi problematici rilevati, quali la carenza di personale, i ritmi di lavoro sempre più “sfinenti” – sottolineati non solo dai professionisti stessi ma anche dai loro pazienti - il mancato riconoscimento da parte delle dirigenze sanitarie, mettono a rischio la sopravvivenza stessa di tali luoghi di cura. Eppure, il modello di cura rappresentato funziona e, se potenziato e valorizzato, potrebbe rappresentare la risposta alle nuove esigenze di cura di chi convive con la Beta Talassemia Major.

Per quanto il campione rappresentato non abbia una valenza statisticamente significativa, in quanto non considerato un obiettivo della ricerca, l'**omogeneità territoriale** rappresentata e la trasversalità individuata tra i centri di cura di provenienza dei rispondenti permette di considerare le informazioni raccolte come uno spaccato legittimo e verosimile dello scenario nazionale di cura per la Beta Talassemia Major. Attraverso gli sforzi di UNITED e di SITE, infatti, l'indagine è stata diffusa in maniera omogenea e capillare tra le Regioni del Nord, Centro e Sud Italia ed i rispettivi centri di riferimento.

Si rileva inoltre la generale **uniformità tra i punti di vista dei pazienti e dei professionisti**, che riportano quasi coralmemente lo scenario che rappresenta il loro vissuto quotidiano.

In sintesi, si possono individuare **gli elementi di valore e quelli considerati un disvalore** per gli stakeholder interpellati:

#### Fattori relazionali - Valore

- ✓ **Buone relazioni di cura**, l'aspetto più sottolineato sia dalle persone con Beta Talassemia Major, che si sentono ascoltate, incluse nei processi decisionali e fidelizzate al proprio centro di riferimento, sia per i professionisti, che si dichiarano soddisfatti e gratificati nel loro operato dal rapporto con i pazienti.

#### Fattori organizzativi - Disvalore

- ✓ **La scarsità di personale**, fonte di stress sia per gli operatori, perché causa dei ritmi di lavoro ritenuti “sfinenti”, sia per i pazienti, che percepiscono dei tempi di attesa più lunghi.
- ✓ **Episodi di carenza di sangue per le trasfusioni**, che si possono verificare soprattutto durante il periodo estivo e nei periodi festivi.

#### Le terapie ferrochelanti:

Nonostante il percorso terapeutico della Beta Talassemia resti fortemente impattante, l'attenzione alle cure ed alle innovazioni terapeutiche permette di migliorare il vissuto quotidiano delle terapie, se il processo funziona in maniera efficiente.

### Modalità di assunzione della terapia ferrochelante - Valore

- ✓ **L'assunzione orale del farmaco ferrochelante** ha rappresentato per i pazienti talassemici che hanno potuto usufruirne una vera e propria svolta che ha inciso nel miglioramento della loro qualità di vita.
- ✓ **Investimento maggiore verso lo sviluppo di nuove terapie ferrochelanti**, associato ad una comunicazione più responsabile di altre prospettive di cura quali, ad esempio, la Terapia Genica, verso la quale si riversa un'idealizzazione che rischia di far passare ciò che attualmente è una prospettiva per una vera e propria soluzione.

### Effetti collaterali - Disvalore

- ✓ **Numerosità degli effetti collaterali e timori sulla loro insorgenza futura.** Restano delle aspettative ancora alte di ulteriore sviluppo di tali terapie, per ridurre gli effetti collaterali e rendere più fruibile la soluzione orale in sostituzione dell'assunzione per infusione.

### Il Burden of Illness:

Il calcolo del **Burden of Illness** risultante dall'insieme dei costi diretti – rappresentati dalle spese di trasferimento verso i centri di cura e dalle spese extra per le eventuali complicanze – e dei costi indiretti, rappresentati dalle opportunità lavorative perse o ridotte, indica un'incidenza maggiore di quest'ultima voce. Per una persona con Beta Talassemia Major che può contare su un decorso regolare della malattia, **il carico più grande è riferito alle condizioni lavorative**, che non consentono un guadagno ed una legittimazione professionale considerati adeguati da più del 50% del campione interpellato.

### Costi diretti contenuti – Valore

- ✓ **Supporto da parte del Sistema Sanitario Nazionale dei costi delle terapie e delle visite per la cura della Beta Talassemia Major.** Ciò non vuol dire che non ci siano costi diretti a carico dei pazienti, che affrontano gli spostamenti verso i centri di cura e le spese extra per le complicanze (talvolta numerose ed incisive), ma si può contare sul supporto economico delle spese ordinarie.

### Costi indiretti elevati – Disvalore

- ✓ **Elevata incidenza della malattia sulla situazione lavorativa**, che appare ancora non soddisfacente per la metà dei pazienti interpellati, soprattutto per la difficoltà di gestione delle terapie che, indirettamente, porta a dover ridurre le ambizioni professionali e a scegliere contesti e soluzioni lavorative conciliabili con le limitazioni della Beta Talassemia, rappresentate dalle trasfusioni mensili e dalle regolari condizioni di astenia.
- ✓ **Disomogeneità regionale di accesso ai rimborsi di specifici farmaci o visite per le eventuali complicanze.**

Con il supporto non condizionato di

## I professionisti:

### Motivazione professionale – Valore

- ✓ **Forte motivazione professionale** per le gratificanti relazioni di cura, sia con il paziente che con i colleghi, e per l'interesse medico-scientifico nell'evoluzione della cura per Beta Talassemia Major.

### Riconoscimento professionale – Disvalore

- ✓ **Mancato riconoscimento professionale percepito da parte delle dirigenze.** Alcuni professionisti si sentono lasciati soli nel loro lavoro di preservazione della qualità delle cure offerte, senza una reale équipe di supporto e senza il sostegno fattivo della dirigenza che, anzi, tende a contribuire a rendere poco attrattivo agli occhi dei giovani specialisti l'investimento professionale nella cura delle Talassemie.
- ✓ **Segnali di burn-out dati dai carichi di lavoro ritenuti eccessivi,** che causano esaurimento, e dalla frustrazione derivante dal mancato riconoscimento del proprio lavoro. Tali segnali vengono indicati sia direttamente dai professionisti che dai loro pazienti, i quali percepiscono i carichi cui i loro curanti sono sottoposti.

## Gli aspetti emozionali

Serenità, fiducia ed interesse sono le emozioni maggiormente indicate e riprese nelle testimonianze rilasciate. L'analisi dei frammenti narrativi delle persone con Beta Talassemia Major ha permesso di individuare numerosi fattori di coping, primo fra tutti la proiezione verso il **futuro**; molte delle narrazioni rilasciate sono storie di progetti, speranze, desideri, obiettivi raggiunti e da raggiungere, con una dimensione del futuro presente tanto quella del passato, spesso ricordato con sofferenza, e del presente, vissuto con serenità. Resta comunque alta l'**aspettativa**, seguita dalla paura, relativamente all'evolversi della malattia e soprattutto degli effetti collaterali che si possono presentare nel lungo termine a causa dell'assunzione prolungata delle terapie. La prospettiva del futuro di per sé è un elemento positivo, anche nuovo per le attuali generazioni di persone con la Beta Talassemia Major, tuttavia è un aspetto che rappresenta l'ignoto, non si sa se le condizioni fisiche potranno migliorare, mantenersi o peggiorare, e non si conoscono le conseguenze sulla qualità di vita.

I professionisti interpellati condividono le stesse emozioni dei loro pazienti, tuttavia in loro il sentimento di aspettativa è più presente, talvolta connesso alla paura, soprattutto in relazione al futuro del proprio centro di riferimento. Nel loro caso, infatti, l'attenzione e le relative preoccupazioni sono rivolte non tanto al loro futuro professionale quanto a quello della struttura nella quale dedicano e hanno dedicato gran

*Con il supporto non condizionato di*



parte del loro impegno quotidiano. Sono frequenti i timori legati ai nuovi assetti organizzativi imposti dalle direzioni sanitarie, ritenuti dai professionisti dei veri e propri **fattori di rischio**, in grado di mettere in discussione l'esistenza dei centri stessi per l'insostenibilità dei ritmi imposti e delle risorse a disposizione.

### Considerazioni finali:

L'indagine quali-quantitativa rivolta alle persone con Beta Talassemia Major restituisce uno scenario di un percorso di cura che, per le sue caratteristiche di complessità cronica, resta molto impegnativo sia per l'impatto a livello individuale che per il Sistema Sanitario Nazionale.

Con il miglioramento della prognosi, le stesse persone con Beta Talassemia Major testimoniano di poter vivere un presente di qualità ed un futuro di progettualità e speranza, diventando "padrone del proprio tempo" - tanto da considerare i tempi di attesa delle visite e delle cure uno dei principali disvalori. Tale miglioramento di qualità della vita è però strettamente connesso al percorso di cura integrale, comprendendo quindi sia l'aspetto delle innovazioni terapeutiche, sia la gestione organizzativa dei servizi. Per questa ragione la visione del futuro, per quanto positiva, è legata ad una **forte aspettativa espressa** di ulteriore miglioramento delle proprie condizioni di vita con la Beta Talassemia Major, che resta una patologia cronica e dagli sviluppi di elevata complessità, soprattutto con l'aumento dell'età.

I centri esperti presso i quali operano i professionisti interpellati si confermano essere dei **modelli di cura efficienti**, come emerso anche dall'analisi dei questionari dei pazienti, per la qualità dei servizi offerti e delle relazioni che si instaurano tra i curanti e le persone con Beta Talassemia Major. Nel contempo, però, sono delle **strutture a rischio di preservazione**, a causa della disintegrazione delle risorse e dello scarso riconoscimento del loro valore tra le dirigenze sanitarie. Non sono solo i professionisti a rivelare tale scenario, ma gli stessi pazienti descrivono dei centri di cura sovraffollati, con un unico medico di riferimento che nello spazio di una stessa mattinata deve occuparsi di più attività e dei conseguenti tempi di attesa considerati inaccettabili e scarsamente rispettosi delle necessità delle persone. A salvare il quadro sono spesso le relazioni di cura, che invece appaiono molto positive e curate, e la gestione efficiente delle visite; tuttavia tali aspetti positivi vengono spesso presentati come il risultato di sforzi di singoli individui o gruppi di professionisti e non di un processo ed un impianto organizzativo di sistema. Non sono infine da sottovalutare i segnali di possibile *burn out* individuato tra i professionisti che, per quanto gratificati e fortemente motivati dal loro lavoro, vengono quotidianamente messi alla prova da un contesto professionale sempre più richiedente in termini di sforzi e nel contempo meno riconoscente. La mancanza di investimento verso nuovo personale esperto, soprattutto, mette a rischio la sopravvivenza di un processo di cura che invece negli anni si è rivelato essere vincente. Una malattia rara come **la Beta Talassemia Major necessita di centri esperti e di cure ad elevata complessità in ogni fase della malattia**, dalle trasfusioni, alla chelazione, fino alle svariate complicanze annesse; tali servizi non possono essere delegati ad altri presidi territoriali meno esperti. Le analisi della presente ricerca e le testimonianze raccolte confermano **l'importanza di preservare i centri esperti nella cura delle Emoglobinopatie e di potenziarli nelle sue risorse**, per non rischiare di fare dei passi indietro rispetto ad un lavoro svolto negli ultimi decenni di efficientamento e sviluppo qualitativo delle cure offerte, che ha portato dei primi frutti e necessita di proseguire.