



Malattie rare, nuova roadmap per la cura dell'Egpa tra reti multidisciplinari e terapie mirate

Descrizione

(Adnkronos) - Superare la frammentazione assistenziale, azzerare i ritardi diagnostici e promuovere percorsi di presa in carico efficaci. Sono gli obiettivi del piano in 7 punti elaborato dalle associazioni dei pazienti con Granulomatosi eosinofila con poliangioite (Egpa) presentato oggi a Roma alla Camera dei Deputati in un evento che ha visto riuniti istituzioni, comunità scientifica, associazione di pazienti e Industria. La roadmap di azioni concrete scaturisce dal lavoro di ascolto e co-creazione che ha dato vita al Libro bianco - "Storie di vita con Egpa", promosso da Gsk con il patrocinio di Apacs Aps, di Egpa Study Group e delle principali società scientifiche impegnate in quest'area: un punto di partenza fondamentale che ha raccolto evidenze, criticità e proposte lungo tutto il patient journey della persona con Egpa. L'evento di oggi segna il passaggio successivo: dalla consapevolezza alla responsabilità condivisa, dalla fotografia del problema alla definizione di priorità attuabili. A sottolinearlo è Francesca R. Torracca, presidente Apacs Aps (Associazione Pazienti Sindrome di Churg-Strauss). Le Istituzioni sono sensibilizzate sulle tante criticità su cui si deve velocemente intervenire affinché la rarità non sia una condanna. E siamo fiduciosi, perché il cambiamento è già iniziato.

Il piano d'azione in 7 punti. Concretezza la parola chiave che ha guidato il confronto verso una roadmap di interventi prioritari; l'adozione di un Pdta a livello nazionale; il superamento delle disomogeneità regionali attraverso una governance nazionale realmente condivisa sulle vasculiti rare; l'introduzione di un codice di invalidità civile specifico per l'Egpa; la definizione univoca delle caratteristiche strutturali della patologia; l'istituzione di un Registro Nazionale dell'Egpa; l'attivazione di campagne pubbliche di informazione e formazione; l'ottimale utilizzo dei fondi dedicati nell'ambito del Piano nazionale malattie rare 2023-2026.

Cos'è l'Egpa: il punto di vista dei clinici. È una malattia rara con una prevalenza inferiore a 5 casi ogni 100.000 abitanti. Nelle sue fasi iniziali è spesso confusa con asma grave o rinosinusite cronica, e diventa particolarmente pericolosa quando evolve nella fase vasculitica, aggredendo organi vitali come il cuore, i reni e il sistema nervoso periferico, spiega Augusto Vaglio, Professore Associato in Nefrologia e Direttore della Scuola di Specializzazione in Nefrologia presso l'Università degli Studi di Firenze, Coordinatore aziendale delle Malattie Rare e Dirigente Medico presso Unità di

Nefrologia, Azienda Ospedaliero Universitaria Meyer, Firenze. È frequente che la diagnosi della malattia sia tardiva. Spesso, infatti, passano anni prima di riuscire a identificarla, un tempo troppo lungo in cui i danni all'organo evolvono in modo irreversibile. Il tempo è un fattore critico di successo del percorso terapeutico.

La complessità sistemica dell'Egpa impone di agire subito sulla governance del percorso del paziente: oggi manca un Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (Pdta) condiviso a livello nazionale e questa mancanza di uniformità crea una sanità a più velocità, quando servirebbe invece connettere la medicina del territorio con i grandi centri hub ospedalieri, creando delle corsie preferenziali di accesso. Il paziente deve sentirsi parte di un sistema familiare in cui ogni figura sanitaria coinvolta lo segue in modo coordinato aggiunge Cristiano Caruso, Direttore UOSD Allergologia e Immunologia Clinica, Fondazione Policlinico A. Gemelli Irccs Roma e delegato ai rapporti con associazione pazienti della Siaaic, Società Italiana Allergologia Asma e Immunologia Clinica. In questo senso l'ospedale non deve accentrare, ma condividere la presa in carico con il territorio per garantire continuità assistenziale. Altro elemento centrale è il caregiver, figura fondamentale per il paziente soprattutto in presenza di problemi di mobilità, immunosoppressione o difficoltà a seguire il percorso da solo. In assenza di una rete territoriale o familiare, anche una terapia efficace può non bastare.

Oltre all'adozione di Pdta chiari, condivisi e omogenei a livello nazionale, è urgente il riconoscimento di un codice di invalidità specifico, che valorizzi la complessità e l'impatto sistemico dell'EGPA. Serve inoltre un impegno deciso per potenziare la formazione dei medici di medicina generale e degli specialisti. Si tratta di una patologia che unisce la vasculite all'infiltrazione di eosinofili nei tessuti spiega Giacomo Emmi, Professore Ordinario di Medicina Interna, Università di Trieste e direttore Struttura complessa medicina clinica, immunologia e reumatologia, ospedale universitario Cattinara, Trieste. Questa infiammazione può nel tempo causare a livello cardiaco fibrosi ed eventuale insufficienza cardiaca anche in soggetti giovani, compromettendo la loro salute fisica e psicologica. Il precoce danno infiammatorio a carico di arterie e vene accelera la degenerazione vascolare, elevando il rischio di eventi trombotici, tra cui infarto ed ictus fino ad un paziente su quattro. La terapia spazia dal cortisone agli immunosoppressori e farmaci biologici in base alla gravità, ma richiede sempre una gestione multidisciplinare guidata da uno specialista.

Tra le criticità evidenziate, ancora, la disparità nell'accesso ai farmaci tra le varie regioni. L'azione terapeutica deve evolvere verso una reale sostenibilità nella vita quotidiana del paziente afferma Roberto Padoan, Responsabile del Centro Vasculiti di Padova presso l'UOC Reumatologia dell'Azienda Ospedale-Università Padova. La gestione dell'Egpa è cambiata in modo significativo grazie all'arrivo di terapie mirate, capaci di agire su meccanismi chiave della malattia, inclusa l'infiammazione eosinofila. Oggi la sfida è portare precocemente queste innovazioni nei percorsi di cura ordinari, con l'obiettivo di controllare meglio la malattia, limitare il ricorso prolungato ai glucocorticoidi e migliorare la qualità di vita dei pazienti.

Il ruolo della politica. L'appello della comunità scientifica ha trovato ascolto presso i decisori politici e istituzionali. Ospitare alla Camera dei deputati la presentazione del Libro Bianco sull'Egpa

significa contribuire a dare attenzione istituzionale a una patologia rara ancora poco conosciuta ma fortemente impattante per pazienti e caregiver. È fondamentale sostenere occasioni di dialogo come questa, che mettono in rete istituzioni, clinici e associazioni pazienti per promuovere una presa in carico più tempestiva ed equa. Le evidenze e le proposte contenute nel Libro Bianco potranno inoltre costituire una base di lavoro utile anche per future iniziative parlamentari finalizzate a mantenere alta l'attenzione sui bisogni dei pazienti con Egpa», afferma Gian Antonio Girelli, componente XII Commissione Affari sociali della Camera dei deputati.

Il coinvolgimento delle istituzioni pubbliche è condizione imprescindibile per migliorare concretamente la vita dei pazienti con Egpa, malattia che, per la sua complessità e la sua scarsa conoscenza, rischia di essere invisibile. Accendere i riflettori sulle malattie rare significa dare attenzione a bisogni spesso poco visibili ma molto concreti per pazienti e famiglie. La presentazione di oggi del Libro Bianco sull'Egpa rappresenta un momento importante per valorizzare il lavoro svolto da Apacs, dalla comunità scientifica e da tutti gli stakeholder coinvolti, favorendo una maggiore consapevolezza su diagnosi, presa in carico e qualità della vita. È ora dovere delle istituzioni tradurre questa consapevolezza in un impegno concreto e continuativo a sostegno dei malati rari, rafforzando le politiche di presa in carico e l'equità di accesso alle cure», aggiunge la senatrice Elena Murelli, capogruppo 10a Commissione Affari sociali e membro IV Commissione Politiche dell'Ue del Senato della Repubblica

»

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Giugno 10, 2026

Autore

redazione