

L'agenda strategica sul sarcoma

Febbraio 2017



Paolo Casali, Istituto Nazionale dei Tumori, Italia
Nora Drove, Eli Lilly & company
Sarah Dumont, Istituto Gustave Roussy, Francia
Mikael Eriksson, Università di Lund, Svezia
Alessandro Gronchi, Istituto Nazionale dei Tumori,
Italia e EORTC Sarcoma dei Tessuti Molli e delle Ossa
Bernd Kasper, Università di Heidelberg, Germania

Estelle Lecointe, Info Sarcomes, Francia e SPAEN
Claudia Valverde, Università Ospedale Vall' Hebron, Spagna
Markus Wartenberg, SPAEN & das Lebenshaus e.V., das
Wissenhaus GmbH, Germania
Roger Wilson, SPAEN
Shannon Boldon, The Health Policy Partnership
Suzanne Wait, The Health Policy Partnership



L'agenda strategica sul sarcoma è stata sviluppata da un gruppo formato dai principali rappresentanti di organizzazioni di pazienti, esperti clinici e aziende del settore sanitario. Questo progetto è stato avviato e finanziato da Lilly.

Questo documento è stato redatto dal “Sarcoma Policy Checklist Expert Group”. La stesura e la correzione del documento, nonché l’implementazione del progetto, sono stati coordinati da The Health Policy Partnership Ltd. Eli Lilly & company (Lilly), ha fornito supporto economico per i costi degli incontri e dei materiali prodotti dal gruppo. Nessun membro del gruppo è stato retribuito da Lilly per la sua partecipazione al progetto. Sebbene Lilly abbia fornito commenti al documento, il contenuto del testo finale rispecchia il consenso unanime dei membri del gruppo, che hanno avuto pieno controllo editoriale.

Bibliografia per l’infografica nella pagina che segue

1. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
2. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
3. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. BMC Cancer 2013;13(1):1-21.
4. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. BMC Cancer 2010;10(1):1-12.
5. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. Ann Oncol 2012;23(9):2442-9.
6. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.

Sintesi del documento

Il sarcoma in Europa: rafforzare la risposta politica

Sarcomi: famiglia di **tumori rari** che si sviluppano nei tessuti connettivi¹

Eterogeneità significativa

Più di

70 tipi² diversi

Può interessare qualsiasi parte del corpo²

Come conseguenza:



Operatori sanitari:
difficilmente acquisiscono una formazione specialistica



Pazienti:
diagnosi tardiva o errata, accesso limitato alle cure specialistiche



Ricerca:
difficile trovare trattamenti specifici per ogni tipo di sarcoma



Sistema sanitario:
costi elevati a causa della qualità variabile delle cure

Alcune tra le peggiori esperienze tra i pazienti affetti da qualsiasi tipo di tumore¹

1% di tutti i tumori,
2% di tutti i decessi per tumore³



Fino al **40%** di diagnosi errate^{4 5}



Solo il **22%** dei pazienti partecipa a sperimentazioni cliniche¹

1 paziente su 4 curato per qualcos'altro⁶



Significative **disparità**



in tutta Europa nell'accedere ai trattamenti disponibili

L'agenda strategica sul sarcoma - Cosa serve per migliorare la cura del sarcoma?

-  **Centri di riferimento designati, accreditati** per il sarcoma in ogni paese.
-  Maggiore **formazione professionale** per tutti gli operatori sanitari impegnati nella cura del sarcoma.
-  **Approccio multidisciplinare** per la cura di ogni paziente affetto da sarcoma.
-  Maggiori **incentivi per la ricerca** e l'innovazione.
-  **Accesso più rapido** a trattamenti efficaci.

Indice

Sintesi del documento	3
Introduzione	5
L'agenda strategica sul sarcoma: cosa è necessario per migliorare la cura del sarcoma?	7
1. Centri di riferimento nazionali designati per il sarcoma	8
2. Migliore formazione professionale	10
3. Approccio multidisciplinare per la cura di ogni paziente	12
4. Incentivi per la ricerca e l'innovazione	14
5. Accesso più rapido a trattamenti efficaci	16
Conclusioni	18

Parte 2

Profili dei singoli paesi	19
I sarcomi in Francia	20
I sarcomi in Germania	26
I sarcomi in Italia	30
I sarcomi in Spagna	34
I sarcomi in Svezia	40
I sarcomi nel Regno Unito	46
Bibliografia	52

Introduzione

I tumori rari rappresentano il 22% di tutti i tumori diagnosticati, e solitamente presentano minori prospettive di sopravvivenza dei tumori più comuni come il tumore al polmone, al colon o alla prostata.¹ Nell'ultimo decennio, numerose parti interessate, come quelle riunite nell'iniziativa Rare Cancers Europe, hanno richiamato l'attenzione sulla necessità di attivare politiche che possano migliorare l'accesso del paziente a un'informazione adeguata, agli studi clinici, nonché a cure e farmaci efficaci per tutti i tumori rari.² Anche il recente lancio di un'azione congiunta per i tumori rari potrebbe essere visto come uno sviluppo positivo, poiché mira a integrare meglio le esigenze terapeutiche dei tumori rari nei piani di trattamento nazionali.³

Nonostante ciò, esistono ancora diverse sfide da affrontare per i tumori rari, molte delle quali sono di proporzioni ancora maggiori nel caso dei sarcomi.

Cosa sono i sarcomi?

I sarcomi sono una famiglia eterogenea di tumori rari che interessano i tessuti connettivi. Esistono circa 70 sottotipi di sarcoma e possono interessare qualsiasi parte del corpo.⁴

I due principali tipi di sarcoma sono:

1. **Sarcomi dei tessuti molli (STS) - 84%** dei sarcomi. Si sviluppano nel tessuto molle o in tutti i tessuti di supporto del corpo, eccetto le ossa (ad esempio tessuto adiposo, muscoli, vasi sanguigni, nervi o articolazioni).⁵ Comprendono i **tumori stromali gastrointestinali (GIST)** che sono considerati il 20% degli STS.
2. **Sarcomi ossei - 14%** dei sarcomi.⁶

Le stime attuali sul numero dei sarcomi sono incerte, in quanto la registrazione non è obbligatoria nella maggior parte dei paesi e i regolamenti o le procedure di registrazione non sono uniformi.



L'eterogeneità dei sarcomi rappresenta una sfida per la conoscenza medica, la ricerca clinica e le decisioni politiche

Il numero di pazienti per ogni quadro clinico è estremamente basso, e i sottotipi presentano prognosi, caratteristiche e richieste al sistema sanitario moltodifferenti.⁶

Sarcoma: dati e cifre chiave

I sarcomi rappresentano l'**1%** dei tumori, e il **2%** delle cause di morte per tumori.⁷

Ogni anno si verificano circa **6** casi ogni 100.000 persone, che corrispondono a **27.908** nuovi casi all'anno (EU27).⁶

La **sopravvivenza relativa a 5 anni** è del 56% per i sarcomi dei tessuti molli, del 70% per i GIST e del 61% per i sarcomi ossei.⁸



La sopravvivenza dipende dal momento in cui viene diagnosticato il sarcoma:

per i sarcomi dei tessuti molli, le percentuali di sopravvivenza complessiva a 5 anni vanno dal **15%** (per i pazienti con recidiva metastatica) fino al **90%** (per la malattia in fase precoce) sia negli Stati Uniti che nell'Unione Europea.^{8 9 10}

Quali sono le principali sfide dei sarcomi?

- **I pazienti affetti da sarcoma riferiscono esperienze tra le peggiori mai riscontrate per qualsiasi altro tipo di tumore.**¹¹
- Ai pazienti, spesso, **manca la possibilità di ricevere informazioni adeguate** sulla malattia, sull'accesso ai centri di eccellenza, sui farmaci e relativamente ai percorsi terapeutici disponibili, nonché sulla partecipazione agli studi clinici in corso. Di conseguenza, i pazienti non sono in grado di compiere scelte informate sulla terapia.¹¹
- **La maggior parte dei medici ha poca o nessuna esperienza nella diagnosi e nella cura dei sarcomi a causa della loro rarità.** È perciò probabile che i medici, non indirizzino i pazienti a uno specialista,⁸ determinando così una diagnosi errata o ritardata.
- **Una diagnosi sbagliata porta a una cattiva gestione nel 70% dei pazienti,**⁸ con numerosi pazienti che ricevono un trattamento diverso da quello previsto per il sarcoma.^{11 12}
- **L'abbinamento tra diagnosi errata o ritardata e qualità variabile delle cure** ha un considerevole impatto sulla qualità della vita dei pazienti e delle loro famiglie.
- **Alcuni farmaci non sono rimborsati,** e spesso i pazienti devono percorrere lunghe distanze per poter ricevere la terapia adeguata, o pagare i farmaci di tasca propria.¹³
- Nella terapia di **alcuni tipi di sarcoma, come nel caso del trattamento di prima linea del sarcoma dei tessuti molli in fase avanzata, non si registrano progressi significativi** da ben 30-40 anni. Il GIST, su questo aspetto, rappresenta un'importante eccezione.

Informazioni sul documento

Il presente documento è stato sviluppato dal “Sarcoma Policy Checklist Group of Experts”, un gruppo multi-stakeholder formato da esperti provenienti dal campo medico, dal settore della tutela dei pazienti e dall’industria farmaceutica, per aiutare chi prende decisioni politiche a colmare le carenze nell’accesso a informazioni e cure di alta qualità da parte dei pazienti affetti da sarcoma in Europa.

Il documento è diviso in due parti:

1. Il **Sarcoma Policy Checklist** descrive **cinque aree chiave** in cui chi prende decisioni politiche può concentrare i propri sforzi per migliorare le cure dei pazienti affetti da sarcoma.
2. Vengono quindi presentati i **profili di sei paesi (Francia, Germania, Italia, Spagna, Svezia e Regno Unito)** per illustrare in che misura queste raccomandazioni sono realizzate nei diversi paesi.

L’agenda strategica sul sarcoma: cosa è necessario per migliorare la cura del sarcoma?

1



Centri di riferimento designati, accreditati per il sarcoma in ogni paese.

2



Maggiore **formazione professionale** per tutti gli operatori sanitari impegnati nella cura del sarcoma.

3



Approccio multidisciplinare per la cura di ogni paziente affetto da sarcoma.

4



Maggiori **incentivi per la ricerca** e l’innovazione.

5



Accesso più rapido a trattamenti efficaci.

1 Centri di riferimento nazionali designati per il sarcoma



Agenda strategica: cosa è necessario?

- Presenza, in ogni paese, di almeno un centro nazionale di riferimento o di un collegamento diretto con un centro di riferimento di un altro paese

- Processo di accreditamento nazionale per selezionare i centri di riferimento in base a precisi standard di qualità

- Valutazione periodica dei centri di riferimento in base ai suddetti standard, per assicurare una qualità terapeutica costante



Perché questo è importante?

- **Essendo i sarcomi così rari e presenti in così tante forme**, per la maggior parte degli operatori sanitari è difficile acquisire un'esperienza sufficiente in materia.
- **Si raccomanda, perciò, che la cura del sarcoma venga svolta nei centri specialistici designati o nei centri di riferimento.**
- **La centralizzazione dell'assistenza in centri ad alto afflusso di pazienti con sarcoma ha dimostrato di migliorare la qualità complessiva della cura dei sarcomi**,^{14 15} fornendo ai pazienti una diagnosi precoce, accurata e di qualità,^{16 17} un tempestivo indirizzamento ad una seconda opinione di un esperto¹⁶ e ad un rapido accesso alle informazioni.¹⁵



A che punto è la situazione in Europa?

- **In tutti e sei i paesi esaminati esistono centri di riferimento per molte forme di sarcoma. Tuttavia, tali centri non sono sempre designati formalmente in base a precisi standard di qualità, né la qualità delle cure è monitorata nel corso del tempo.**^{13 18}
- **Ciò rende difficile per i pazienti e per i medici di riferimento sapere dove cercare cure specialistiche, particolarmente in ambito chirurgico.**
- **Uno sforzo per fissare degli standard di qualità per i sarcomi a livello europeo** è stato recentemente coordinato dall'associazione Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN)¹⁹ e dall'Organizzazione Europea per il Cancro (ECCO).²⁰ Il **Regno Unito** ha definito dei precisi standard nazionali per il sarcoma. La **Svezia** può invece vantare un sistema particolarmente sofisticato di monitoraggio qualitativo della cura del sarcoma, basato su un registro nazionale dei tumori per i sarcomi delle estremità e della parete del tronco.
- **Per i pazienti che vivono al di fuori delle aree urbane, l'accesso ai centri di riferimento è spesso un problema.** Ad esempio, in **Spagna** i pazienti potrebbero avere difficoltà ad ottenere il permesso dalla propria regione a trasferirsi in un'altra regione per il trattamento, rischiando anche di non ricevere il rimborso per le spese di viaggio o di alloggio.
- **Diversi centri di riferimento nazionali diventeranno parte dell'emergente Rete di Riferimento Europea (ERN) per i tumori rari solidi dell'adulto, incluso il sarcoma (EURACAN).** Tuttavia, i centri ERN sono in fase di implementazione iniziale, ed è necessario stabilire delle procedure ben definite per facilitare la collaborazione, gli indirizzamenti transfrontalieri dei pazienti e il rimborso appropriato tra i centri partecipanti.^{13 16 18 21}

Reti di riferimento europee:

quali potrebbero essere i vantaggi per la ricerca e la cura del sarcoma?

- ✓ Maggiori opportunità per i pazienti di partecipare agli studi clinici e di ricevere assistenza e trattamenti ottimali attraverso una collaborazione transfrontaliera^{14 16}
- ✓ Creazione di registri e raccolta uniforme di dati dal mondo reale,^{13 16 18 21} in uno sforzo comune per l'elaborazione di standard condivisi
- ✓ Sviluppo di meccanismi per la garanzia di qualità nei test di laboratorio²¹
- ✓ Strumenti di formazione e istruzione per gli operatori sanitari²¹
- ✓ Scambio accelerato^{13 18 22} di informazioni, campioni biologici, immagini radiologiche, altri materiali diagnostici ed e-tools per la telemedicina tra i centri partecipanti.^{15 16}

2 Migliore formazione professionale



L'agenda strategica: cosa è necessario?



Protocollo nazionale di indirizzamento per i pazienti con sospetto sarcoma, che fornisca ai non specialisti informazioni adeguate sui sintomi da “red flag” (campanelli d’allarme) e sul momento in cui indirizzare i pazienti ai centri di riferimento



Formazione sui tumori rari inclusa nel programma generale degli studi di medicina



Formazione continua sui tumori rari accessibile a tutti gli oncologi



Programmi di formazione specialistica sui sarcomi, disponibili agli operatori sanitari appartenenti alle équipes multidisciplinari per il trattamento del sarcoma



Perché questo è importante?

- **Poiché i sarcomi possono interessare qualsiasi parte del corpo, i pazienti che accusano dei sintomi possono rivolgersi a una vasta gamma di medici:** medici generici, ginecologi, dermatologi, chirurghi e altri.
- **Probabilmente, la maggior parte di questi medici non ha mai visto un caso di sarcoma, e potrebbe non sapere a quale specialista indirizzare il paziente.** Ciò può avere come conseguenza una diagnosi ritardata, un trattamento inadeguato^{11 12} ed esiti sfavorevoli.⁸
- **Molti oncologi non sono stati formati per la diagnosi o il trattamento dei sarcomi.**



A che punto è la situazione in Europa?

- **In tutti e sei i paesi studiati, i medici non ricevono una formazione ufficiale sui tumori rari (inclusi i sarcomi) nell'ambito della propria formazione generale.** Tuttavia, sia la **Spagna** che il **Regno Unito** stanno concentrando i loro sforzi nel miglioramento della diagnosi precoce e dell'indirizzamento dei pazienti affetti da sarcoma.
- **Nella maggior parte dei paesi, la formazione sui tumori rari non fa parte del percorso di studi standard degli oncologi** sebbene in alcuni paesi si stia tentando di modificare questa situazione.
- **Esistono diversi programmi paneuropei di formazione specialistica sul sarcoma.** Ad esempio, la Società Europea di Chirurgia Oncologica (ESSO) ha istituito un corso di formazione chirurgica sul sarcoma, denominato **European School of Soft Tissue Sarcoma Surgery (Scuola Europea per la Chirurgia del Sarcoma dei Tessuti Molli)**.¹⁵ Inoltre, corsi specialistici sulla gestione dei sarcomi sono disponibili in molti paesi, spesso sotto forma di programmi di formazione online.
- In aggiunta alla formazione ufficiale, la **disponibilità di semplici linee guida per l'indirizzamento dei pazienti**, come quelle della **Svezia**, ha dimostrato di consentire una diagnosi e terapia dei sarcomi più rapide e accurate.

3 Approccio multidisciplinare per la cura di ogni paziente



L'agenda strategica: cosa è necessario?

- Linee guida nazionali per il trattamento di tutti i sarcomi, sia per gli adulti che per i bambini

- Possibilità di curare tutti i pazienti affetti da sarcoma tramite un team multidisciplinare specializzata (TMD) secondo un preciso percorso terapeutico

- Chiara definizione della composizione minima di ogni TMD

- Assegnazione, ai pazienti, di un operatore sanitario dedicato e di un piano di terapia personalizzato che li aiuti ad orientarsi meglio durante il trattamento



Perché questo è importante?

- È fondamentale che **i pazienti affetti da sarcoma siano assistiti da un'ampia gamma di professionisti** (istopatologi, radiologi, chirurghi, medici oncologi, psico-oncologi, esperti in cure palliative, specialisti in riabilitazione) in grado di soddisfare tutte le esigenze dei pazienti nel corso del tempo.⁸



A che punto è la situazione in Europa?

- Nella maggior parte delle linee guida si riconosce come **l'organizzazione della cura del sarcoma mediante team multidisciplinari** sia la chiave per fornire ai pazienti un'assistenza della massima qualità.
- **L'approccio alla cura basato sui TMD** rappresenta anche un criterio per l'ingresso dei centri nelle reti ERN per i sarcomi, di recente istituzione.
- **Nonostante ciò, in tutti i paesi esaminati l'implementazione dei TMD varia considerevolmente da un centro all'altro.** Molti centri non hanno risorse sufficienti per implementare un approccio sistematico alla cura del sarcoma secondo il sistema dei TMD.
- **Una delle sfide più importanti riguarda la necessità di includere nei TMD tutti gli operatori sanitari rilevanti al percorso sanitario del paziente,** per garantire cure e diagnosi di elevata qualità nell'intero percorso terapeutico.
- **Inoltre, la composizione di un TMD specializzato in sarcoma, spesso non è definita chiaramente,** e non tutti i centri potrebbero includere personale dotato della formazione adeguata.

4 Incentivi per la ricerca e l'innovazione



L'agenda strategica: cosa è necessario?



Presenza di un registro nazionale dei sarcomi



Archivi di dati standardizzati che consentano la raccolta dei dati dal mondo reale e il confronto tra i rispettivi centri di riferimento



Collaborazioni per la ricerca sul sarcoma svolte su scala nazionale



Incentivi per partnership tra settore pubblico e privato focalizzate sui tumori rari, inclusi i sarcomi



Perché questo è importante?

- **Tradizionalmente, la ricerca di base sui sarcomi non viene finanziata.** Di conseguenza, non si conoscono le cause di molti sarcomi,⁶ né si dispone di un'ampia evidenza scientifica sui modelli di incidenza e sopravvivenza riguardanti il sarcoma.⁸
- **La ricerca di base è fondamentale** per indirizzare gli sforzi verso trattamenti migliori per i pazienti.
- **L'iscrizione di un numero sufficiente di pazienti agli studi clinici rappresenta una sfida continua,** a causa dello scarso numero di pazienti per ogni tipo specifico di sarcoma.^{11 13 16}
- **La raccolta di dati dal mondo reale è perciò essenziale** per ottenere dati sufficienti a sostenere gli ulteriori sforzi della ricerca, nonché per assicurare un miglioramento nelle terapie.



A che punto è la situazione in Europa?

- **Sono in corso diverse e importanti iniziative di ricerca sul sarcoma in vari paesi. Ad esempio, la Francia** ha una buona disponibilità di dati sia nella rete clinica che in quella di patologia, che consente di svolgere molti progetti di ricerca sul sarcoma, sia a livello nazionale che internazionale. La **Svezia** possiede un registro nazionale dei sarcomi (INCA), che raccoglie i dati sui pazienti affetti da sarcoma da tutte le regioni consentendo l'analisi dei dati dal mondo reale. Nel **Regno Unito** un'indagine completa sui pazienti affetti da sarcoma ha fornito importanti informazioni sull'esperienza della malattia. L'**Italia** ha compiuto sforzi significativi nella ricerca sui sarcomi infantili. La **Spagna** ha finanziato un progetto sui sarcomi rari per determinarne il carico e migliorare i percorsi terapeutici per i pazienti.
- **Nonostante questi sforzi, è ancora necessaria un'ulteriore ricerca di base sui sarcomi** e di adeguati finanziamenti.
- **Lo sviluppo della rete ERN avrà probabilmente un ruolo importante nel favorire la raccolta di dati comparabili dal mondo reale nei diversi centri.** Infatti, la raccolta di dati prospettici ospedalieri sarà obbligatoria per l'accreditamento nell'ERN.

5 Accesso più rapido a trattamenti efficaci



L'agenda strategica: cosa è necessario?

- Partecipazione dei pazienti affetti da sarcoma o dei loro rappresentanti alla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA, Health Technology Assessment) e ad altri percorsi di accesso

- Speciali percorsi normativi e di accesso ai trattamenti per i tumori rari

- Allineamento tra enti normativi e di rimborso riguardo ai requisiti probanti per il sarcoma e altri tumori rari

- Disponibilità, per il pubblico, di un portale nazionale che comprenda tutti gli studi clinici in corso



Perché questo è importante?

- **Non è opportuno che i dati richiesti per la registrazione e per il rimborso siano gli stessi sia per i tumori rari che per i tumori più comuni.** Va infatti considerata la difficoltà di ottenere i dati degli studi clinici sui tumori rari.
- **La partecipazione dei pazienti affetti da sarcoma alle procedure HTA e ad altri processi decisionali è un fattore chiave per garantire che la valutazione di nuovi trattamenti per un tumore raro come il sarcoma sia basata su ciò che conta di più per i pazienti** e che venga data priorità ai trattamenti che fanno la maggiore differenza nella cura del paziente. Idealmente, i pazienti dovrebbero anche essere coinvolti nella fase di progettazione degli studi clinici.
- **I pazienti affetti da sarcoma non sono spesso consapevoli della possibilità di partecipare agli studi clinici.** Ad esempio, nel Regno Unito un'indagine nazionale sul sarcoma ha riscontrato che alla maggior parte dei pazienti intervistati (67%) non era stato chiesto dal proprio medico se volessero partecipare a uno studio clinico e che, tra quelli che avevano ricevuto tale proposta, l'adesione era stata piuttosto esigua (22%).¹¹



A che punto è la situazione in Europa?

- **L'Agenzia europea per i medicinali (EMA) riconosce l'esigenza di una maggiore flessibilità nei percorsi normativi sui farmaci.** Verrebbe così accelerato l'accesso ai trattamenti innovativi da parte di pazienti per i quali non esistono terapie alternative. Ciò comporta la promozione di studi clinici di minore ampiezza e di progetti di sperimentazione adattati ai tumori rari,²³ nonché lo snellimento delle procedure di revisione, autorizzazione all'immissione in commercio condizionata e concessione della licenza, a seconda delle necessità.^{13 18 24}
- **Purtroppo, nella maggior parte dei paesi, questa flessibilità non è sempre riscontrabile negli enti preposti al rimborso e alla valutazione delle tecnologie sanitarie.** Ciò, in molti paesi, determina spesso grandi ritardi o persino il mancato consenso all'accesso dei pazienti alle terapie necessarie.^{8 13 14 18}
- In diversi paesi, alcuni **gruppi di pazienti** si stanno impegnando per ridurre le disuguaglianze esistenti nell'accesso ai trattamenti per i tumori rari. Tuttavia, a parte il Regno Unito, i pazienti non vengono coinvolti nelle procedure HTA o nelle decisioni sull'accesso ai farmaci.
- **Sebbene in molti paesi esistano programmi per l'accesso precoce alle terapie o per l'uso compassionevole dei farmaci, non sempre tali programmi sono stati applicati al sarcoma.**
- **In tutti i paesi sono disponibili informazioni sugli studi clinici relativi al sarcoma.** Tuttavia, la partecipazione a questi studi è spesso limitata ai pazienti che vengono curati nei centri di riferimento per il sarcoma.

Conclusioni

Nonostante i progressi degli ultimi anni sul piano terapeutico, della gestione dei pazienti e della ricerca clinica, i pazienti affetti da sarcoma riferiscono ancora la peggiore esperienza di cura tra tutti i pazienti malati di tumore.¹¹

Il presente rapporto propone cinque aree chiave in cui sono necessari dei progressi nella politica sanitaria per poter porre rimedio a questa situazione. Tutti i pazienti affetti da sarcoma dovrebbero avere accesso alle cure specialistiche in centri di riferimento designati. I legami tra centri di riferimento e **tutti gli operatori sanitari locali rilevanti al percorso sanitario del paziente** devono essere rafforzati, in modo che i pazienti possano contare su diagnosi e trattamenti di alta qualità durante l'intero percorso terapeutico. I requisiti normativi e di accesso alle terapie dovrebbero essere adattati per riflettere la specificità dei sarcomi, tenendo conto, ad esempio della difficoltà di ottenere i dati degli studi clinici di grandi dimensioni. Infine, i nuovi promettenti trattamenti dovrebbero essere disponibili ai pazienti nel modo più rapido ed equo possibile in tutti i paesi europei.

Queste raccomandazioni sono in gran parte applicabili anche ad altri tumori rari, e possono perciò essere estese per migliorare anche la situazione di quei tumori. Poiché i pazienti affetti da tumore raro rappresentano il 22% dei casi di tumore in Europa,¹ l'urgenza di migliorare la terapia e gli esiti di questi pazienti dovrebbe essere una priorità essenziale per tutti i sistemi sanitari europei.



Parte 2

Profili dei singoli paesi



Questa sezione contiene i profili sul sarcoma di sei paesi, quali: Francia, Germania, Italia, Spagna, Svezia e Regno Unito.

Questi profili esaminano il livello di attuazione, in ciascun paese, delle cinque raccomandazioni chiave definite dal Sarcoma Policy Checklist Expert Group nell'Agenda strategica sul sarcoma.

I sarcomi in **Francia**



Ogni anno, in Francia, viene diagnosticato un sarcoma dei tessuti molli e viscerali a 3.526 persone, e un sarcoma osseo a 521 persone (dati del 2013).²⁵

1

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



Esistono **28 centri di riferimento** per il sarcoma.²⁶ Tre sono centri di coordinamento nazionale, nove sono centri specializzati designati e 16 sono centri di riferimento.²⁷ I settori di patologia e oncologia prevedono centri di riferimento distinti, organizzati nelle rispettive reti. I centri di riferimento di oncologia sono organizzati nella **Rete clinica francese di riferimento per i sarcomi viscerali e dei tessuti molli (NetSarc)** e nella **Rete francese di riferimento per il sarcoma osseo e i tumori ossei rari (ResOs)**.^{25 28}

Il modello **NetSarc** si è dimostrato efficace, poiché i pazienti curati da chirurghi esperti e oncologi nella rete NetSarc hanno beneficiato di esiti migliori rispetto a quelli curati al di fuori di questa rete.²⁹ I rappresentanti dei pazienti fanno parte del comitato NetSarc e forniscono suggerimenti migliorativi sulle diverse aree tematiche.

I centri di riferimento di patologia sono organizzati nella **Rete francese di riferimento patologico per il sarcoma (RRePS)**.²⁸ La RRePS garantisce il secondo parere di un esperto mediante la revisione patologica, per confermare o meno la diagnosi di tutti i sarcomi dei tessuti molli. RESOS è una rete sia clinica che di patologia per i tumori ossei.^{26 28} Più del 90% dei pazienti ha beneficiato di una seconda lettura del proprio referto patologico presso le reti RRePS e RESOS.²⁶ Oltre il 40% delle prime diagnosi istologiche è stato modificato dopo la seconda lettura e ha consentito un percorso terapeutico alternativo.^{30 17}

L'accreditamento dei centri di riferimento avviene per autovalutazione e con un giudizio esterno indipendente.^{25 27} Non esiste alcun sistema di monitoraggio attivo e i centri possono mantenere l'accreditamento anche se, ad esempio, uno degli esperti principali del sarcoma decide di abbandonare la struttura. Inoltre, l'accreditamento è in gran parte basato sulla competenza del centro in oncologia clinica, non chirurgica, e la qualità della chirurgia del sarcoma varia notevolmente tra i centri di riferimento.

In Francia sono presenti pochi chirurghi specializzati nel sarcoma, e molti pazienti affetti da sarcoma sono curati da chirurghi generici che non hanno competenze in materia di sarcoma. Per questo motivo, si discute attualmente sull'opportunità di sviluppare una rete nazionale per la chirurgia del sarcoma. Ciò consentirebbe di espandere la comunità dei chirurghi del sarcoma, garantendo che i pazienti affetti da sarcoma siano operati solo nei centri di riferimento e da chirurghi specializzati nel sarcoma.³¹



Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.



In Francia esistono delle **linee guida per il trattamento del sarcoma**, ma la consapevolezza professionale di queste linee guida è carente, specialmente nelle zone rurali. Le linee guida di radiologia e patologia richiedono che tutti i pazienti con sospetto sarcoma siano inviati presso un comitato oncologico e curati in un centro di riferimento.³¹ Non esistono linee guida ufficiali per la chirurgia del sarcoma.

Il **programma generale degli studi di medicina** non comprende una formazione sui tumori rari, ma sono in corso discussioni sull'opportunità di una riforma in questo senso. Gruppi di pazienti stanno lavorando a stretto contatto con le strutture sanitarie per migliorare le opportunità formative sul sarcoma.

È stato avviato un **programma di e-learning** dall'Istituto Gustave Roussy per approfondire la formazione relativa al sarcoma di radiologi, medici generici, chirurghi generici e chirurghi meno esperti. Tale programma comprende moduli attinenti a tutti i tipi di sarcoma, con lezioni teoriche online e video tecnici, nonché sessioni di domande e risposte con la partecipazione di esperti. Inoltre, la scuola di formazione oncologica (EFEC) offre a tutti gli operatori sanitari un corso di sviluppo professionale sul sarcoma.³²

È inoltre disponibile un **corso di formazione chirurgica** sui sarcomi, denominato “**e-surge**”. Il corso prevede una formazione in aula e sessioni di chirurgia dal vivo sul sarcoma e sul GIST, ed è ospitato da varie strutture. Il suo scopo è formare chirurghi esperti all'interno della rete Netsarc.³³



3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Le linee guida della Società Europea di Oncologia Medica (ESMO) rappresentano la base delle linee guida per il sarcoma in Francia.²⁵ Linee guida multidisciplinari sono anche elaborate e divulgate dalla rete NetSarc.^{25 34}

Non esiste una definizione della composizione minima di un TMD a livello nazionale, e la possibilità che ai pazienti sia assegnato formalmente un operatore sanitario dedicato dipende dal centro di trattamento. Tuttavia, i pazienti ricevono un piano di terapia personalizzato, e i casi difficili sono spesso discussi negli incontri interregionali del comitato multidisciplinare di esperti.³⁴

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



Il Database nazionale del sarcoma raccoglie dati clinici da pazienti esaminati dai **comitati multidisciplinari del sarcoma (RCP)** nei centri **NetSarc**.^{25 28} Il database è utilizzato dal **Gruppo francese per il sarcoma – Gruppo di studio sul sarcoma osseo (GSF-GETO)** per la ricerca sul sarcoma. Inoltre, le reti di patologia **RRePS e RESOS** dispongono di una banca di tessuti che consente una ricerca traslazionale.²⁶

I suddetti database sul sarcoma raccolgono **dati standardizzati** sulle caratteristiche dei pazienti e dei tumori, nonché sulla terapia e il follow-up. Spesso, i dati sulla sopravvivenza non vengono registrati, a parte la data del decesso. È stato stabilito un programma di garanzia della qualità, e viene pianificato un controllo esterno.²⁵

Grazie alla quantità di dati disponibili attraverso queste reti, la Francia svolge attualmente progetti di ricerca sul sarcoma inclusi nei progetti internazionali sulla genomica dei tumori.³⁵ Ad esempio, in Francia sono stati avviati o sono in corso 142 studi traslazionali sui tumori rari, e il 49% di questi studi si svolge all'interno della rete NetSarc (dato 2013).²⁵

Info Sarcomes fornisce anche un finanziamento annuale di 15.000 euro per sostenere la ricerca sul sarcoma.³¹

5

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



Sono stati stabiliti percorsi normativi e di accesso specifici dei tumori rari. Sono disponibili alcuni programmi di accesso precoce ai trattamenti, come l'ATU (Autorisation Temporaire d'Utilisation) per patologie che possono avere esito letale e/o per le quali non esistono alternative terapeutiche. Potrebbe inoltre essere data priorità alle proposte di autorizzazione per i farmaci che (a) rappresentano una nuova modalità terapeutica, (b) rispondono ad importanti esigenze finora insoddisfatte, (c) hanno dimostrato efficacia e tollerabilità.³⁶ L'accordo ATU può essere concesso dall'autorità competente francese su richiesta di un medico, per un singolo paziente (nominativo ATU) o per un determinato gruppo di pazienti (coorte ATU).

I dati degli studi clinici di fase 2 o a braccio singolo non sono riconosciuti come prova sufficiente per ottenere il rimborso dalle autorità nazionali preposte alla fissazione dei prezzi ed ai rimborsi.

I pazienti non vengono coinvolti nella valutazione delle tecnologie sanitarie o nelle decisioni sui percorsi di accesso ai trattamenti. Tuttavia, alcuni gruppi di pazienti (Info Sarcomes) stanno cercando di ottenere l'accesso a queste decisioni.

Esiste un registro degli studi clinici organizzato dall'Istituto nazionale francese dei tumori (INCA) e denominato Rete clinica sperimentale NETSARC.²⁵ La rete NetSarc-ResOs consente di accedere agli studi clinici nazionali. Tuttavia, è ancora limitato l'accesso agli studi clinici per i pazienti che non vengono curati in un centro di riferimento sul sarcoma.

Link utili

Info Sarcomes: <http://www.infosarcomes.org/>

SOS Desmoide: <http://www.sos-desmoide.asso.fr/>





I sarcomi in Germania



Nel 2013 si sono verificati 3.940 nuovi casi di sarcoma dei tessuti molli (STS), 860 casi di sarcoma osseo e circa 1.200 casi di GIST. Sempre nel 2013, i decessi sono stati 385 a causa di sarcomi ossei e 1.575 in seguito a STS.³⁷

1

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



In Germania sono presenti diversi centri ad alto afflusso che curano i pazienti affetti da sarcoma. Due centri per il sarcoma, a Mannheim e ad Essen, hanno presentato domanda di ingresso nella **Rete di Riferimento Europea (ERN)** per tumori rari solidi, inclusi i sarcomi.

Attualmente è in via di sviluppo un sistema di accreditamento formale per i centri di riferimento relativi agli STS. Tale sistema sarà organizzato secondo il processo di certificazione OnkoZert della Deutsche Krebsgesellschaft (DKG, Associazione tedesca contro il cancro). I primi accreditamenti sono attesi per la primavera del 2018. Tuttavia, non esiste ancora un processo di accreditamento formale per designare i centri di riferimento nazionali per il GIST e il sarcoma osseo. Ciò significa che qualsiasi ospedale può istituire un centro per il sarcoma e che esperti del sarcoma potrebbero non necessariamente lavorare in un centro per il sarcoma, rendendo difficile per i pazienti l'accesso alla terapia appropriata.

Per questa ragione, le organizzazioni di pazienti hanno assunto un ruolo attivo nell'aiutare i pazienti a individuare i centri nazionali di trattamento del sarcoma e i relativi specialisti. In particolare, l'associazione **Das Lebenshaus** raccomanda un elenco di centri ad alto afflusso di pazienti e di esperti che seguono un approccio terapeutico multidisciplinare.³⁸

2

Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.



Non esiste un protocollo nazionale di indirizzamento dei pazienti affetti da sarcoma che informi gli operatori sanitari sui sintomi da "red flag" o che definisca la procedura di conferma della prima diagnosi e i casi in cui è necessario un ulteriore indirizzamento.

I tumori rari non fanno parte del programma generale degli studi di medicina. Si rileva inoltre una **scarsa consapevolezza professionale del sarcoma e delle procedure che ne consentono la diagnosi corretta.** In uno studio tedesco sull'accuratezza della diagnosi del sarcoma, la percentuale di errore della diagnosi originaria era di oltre il 60% tra i dipartimenti di patologia non specialistici.³⁹ Purtroppo, in Germania la diffusione delle conoscenze sui sarcomi e i tumori rari attraverso la formazione del personale sanitario non è attualmente una priorità nazionale.

Si registra anche l'assenza di opportunità di formazione specialistica sul sarcoma per gli oncologi e gli altri specialisti.

Nel 2011 è stata istituita in Germania una **Conferenza annuale sul sarcoma** (www.sarkomkonferenz.de) per rafforzare l'attuale comunità di esperti del sarcoma appartenenti all'area geografica di lingua tedesca (Austria, Germania e Svizzera). Scopo di questa iniziativa è soprattutto fornire a medici esperti, rappresentanti dei pazienti e delle aziende sanitarie una piattaforma che consenta di condividere informazioni e competenze con una particolare enfasi sulla formazione, anche in una prospettiva di cambiamento delle priorità politiche a livello nazionale.⁴⁰

3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Sono disponibili, in Germania, le **linee guida nazionali** per il trattamento del sarcoma infantile dei tessuti molli (STS)⁴¹ e dei sarcomi uterini.⁴² Tra il 2017 e il 2019 verranno inoltre sviluppate le linee guida nazionali per il trattamento degli adulti affetti da STS.

Attualmente non è specificata la composizione minima di un TMD per il sarcoma, e l'organizzazione della terapia nei TMD varia da un centro all'altro. Tuttavia, il trattamento presso un TMD specializzato in sarcomi diventerà in futuro un criterio chiave per l'accreditamento dei centri di riferimento nazionali per il sarcoma.

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



Non esiste, in Germania, alcun **registro nazionale del sarcoma** che comprenda tutti i tipi di sarcoma. Tuttavia, si stanno compiendo i primi sforzi per cambiare questa situazione. Il registro nazionale si concentra sui tipi di tumore più comuni, ma non contiene una buona documentazione sui casi di sarcoma.

Esistono diversi gruppi di studio e di ricerca nazionali sul sarcoma. Il **Gruppo di lavoro interdisciplinare per il sarcoma dei tessuti molli (IAWS)** dell'**Associazione tedesca contro il cancro** è impegnato nell'elaborare linee guida cliniche, condurre ricerche, incoraggiare la partecipazione ai registri, fornire formazione e collaborare con gruppi internazionali di ricerca sul sarcoma (specialmente **Rare Cancers Europe**).⁴³ Anche il **German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG)** è impegnato in tutte queste iniziative, ma si concentra sull'avvio di studi clinici nazionali e sulla partecipazione a studi clinici internazionali.⁴⁴ Anche il **Gruppo di lavoro sul sarcoma della Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie (AIO, Gruppo di lavoro di oncologia internistica)**, che comprende oncologi clinici, è impegnato nel coordinamento e nello sviluppo di studi clinici.

In complesso, nonostante gli sforzi della ricerca, in Germania sono necessari maggiori finanziamenti per la ricerca di base sul sarcoma, per poter comprendere meglio la storia naturale del sarcoma e presiedere allo sviluppo di trattamenti efficaci.

5

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



I rappresentanti dei pazienti non vengono coinvolti nei processi di valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA). Non esistono percorsi di accesso speciali per i farmaci orfani. Tuttavia, non viene richiesto un intero dossier di rimborso, e i farmaci orfani sono concessi per legge con un assegno previdenziale aggiuntivo.

Il **German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG)** pubblica online i dati delle sperimentazioni cliniche sui sarcomi, provenienti sia da studi completati che da studi ancora in corso, e queste informazioni sono facilmente accessibili ai pazienti.⁴⁵ Informazioni online sugli studi clinici vengono fornite anche da gruppi di sostegno dei pazienti come **Das Lebenshaus** e **SOS Desmoid**.^{46 47} Tuttavia, per poter essere reclutati negli studi clinici, i pazienti devono essere curati in un centro di riferimento per il sarcoma. Per questo motivo, l'accesso dei pazienti alle sperimentazioni può rivelarsi problematico.⁴⁸

Link utili

Das Lebenshaus: www.daslebenshaus.org

SOS Desmoid: www.sos-desmoid.de

German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG): www.gisg.de

AIO Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie / STS:
www.aio-portal.de/index.php/ueber-uns-294.html

Deutsche Krebsgesellschaft – Gruppo di lavoro IAWS:
www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html

Conferenza tedesca sul sarcoma – Sarkomkonferenz: www.sarkomkonferenz.de



I sarcomi in **Italia**



I sarcomi di ogni tipo hanno un tasso di incidenza annuale di 6 casi ogni 100.000 persone, ed ogni anno si verificano 5883 nuovi casi stimati (2015). Questi casi sono suddivisi in 4072 sarcomi dei tessuti molli, 499 sarcomi ossei, 386 tumori stromali gastrointestinali (GIST) e 927 sarcomi di Kaposi.⁴⁹

1

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



Circa **10 centri di riferimento per il sarcoma** sono stati selezionati in Italia per entrare a far parte della **Rete di Riferimento Europea (ERN) per i tumori rari solidi dell'adulto, inclusi i sarcomi**.⁵⁰

La Rete Italiana Tumori Rari è una rete clinica professionale che collega i centri di riferimento per i sarcomi. Essa si basa sulla collaborazione volontaria dei centri partecipanti e attualmente raggiunge la media di 1000 pazienti ogni anno.⁵¹ La rete manca finora di un sistema ufficiale di accreditamento, tuttavia si stanno compiendo alcuni sforzi in questa direzione.^{49 51} **Ad esempio, la Società Italiana di Chirurgia Oncologica (SICO)** sta lavorando con diverse società oncologiche per definire i criteri di idoneità dei centri di riferimento della Rete Italiana Tumori Rari e per creare una serie di **indicatori di qualità**. Tuttavia, la domanda su chi sarà responsabile dell'accREDITAMENTO e della valutazione dei centri di riferimento resta ancora senza risposta.⁵²

Nel 2016 è stato organizzato un **gruppo di lavoro** che ha visto la partecipazione del **Ministero della Salute** e dei rappresentanti di 20 regioni per stabilire le migliori modalità di inclusione ufficiale della Rete Italiana Tumori Rari nel Servizio Sanitario Nazionale.⁵¹ Sono ancora in corso discussioni al riguardo, ma la finalità principale è il riconoscimento formale della Rete Italiana Tumori Rari tra gli obiettivi della politica sanitaria nazionale.⁵⁰

2

Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.



Nel complesso, le **linee guida di pratica clinica** per i diversi tipi di sarcoma (sarcoma di Ewing,⁵³ osteosarcoma,⁵⁴ STS e GIST⁵⁵) raccomandano l'indirizzamento a centri specialistici per un trattamento e una diagnosi istologica appropriata.

Non esiste una formazione standard per i tumori rari (incluso il sarcoma) nel **programma generale degli studi di medicina** o **nella specializzazione oncologica**, ma si stanno compiendo sforzi per creare programmi di formazione più ufficiali.^{50 52}

Un **programma di formazione chirurgica specialistica** per i sarcomi è offerto dalla **European School of Soft Tissue Sarcomas** che ha sede in Italia.⁵⁶ Questo è importante poiché in Italia i chirurghi sono spesso il primo interlocutore di riferimento per i pazienti affetti da sarcoma. Esiste un certo numero di altri programmi di scambio.^{50 57} È inoltre disponibile un corso sulle patologie muscolo-scheletriche all'Istituto Ortopedico Rizzoli di Bologna.⁵⁸

3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Attualmente, l'assistenza multidisciplinare non è obbligatoria o monitorata in Italia, e la composizione di team multidisciplinari per il sarcoma non è definita chiaramente. Tuttavia, è in corso l'inclusione di una serie di standard di cura e linee guida multidisciplinari fra i criteri di accreditamento necessari per designare i centri di riferimento della **Rete Italiana Tumori Rari**.⁵² L'organizzazione della terapia nei TMD è inoltre diventata un prerequisito per l'ammissione dei centri nella **Rete di Riferimento Europea (ERN)** per i tumori rari solidi dell'adulto, che sarà operativa nel 2017.⁵⁰

I pazienti possono ottenere un piano terapeutico personalizzato e un operatore sanitario dedicato che dipendono dalle risorse dell'ospedale, ma questa prassi non è stata resa obbligatoria a livello nazionale.

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



L'**Associazione Nazionale Italiana dei Registri Tumori (AIRTUM)** raccoglie i dati sul sarcoma a livello della popolazione (incidenza, prevalenza e sopravvivenza) da 40 registri dei tumori generici e cinque registri dei tumori specializzati.⁴⁹ Tali dati hanno coperto il 50% della popolazione italiana nel 2013 e consentono lo svolgimento di studi collaborativi sull'epidemiologia dei tumori in Italia.⁴⁹ Tuttavia, il database dell'AIRTUM non sempre fornisce informazioni dettagliate sulla patologia e sugli esiti dei pazienti. **La Rete Italiana Tumori Rari** ha un proprio database di tutti i casi clinici in tele-consultazione, ma questo database non è rappresentativo di tutti i casi di sarcoma.⁵⁰

Servono perciò **dati prospettici, basati sulla pratica ospedaliera** e relativi alla diagnosi, alla gestione e agli esiti dei pazienti affetti da sarcoma. Attualmente solo due centri (Milano e Bologna) forniscono questo genere di dati. È necessario includere l'obbligatorietà della raccolta di dati prospettici fra i criteri di accreditamento per l'ERN.⁵²

Il Gruppo Italiano Sarcoma coordina attività di ricerca e di raccolta dei dati sul sarcoma in Italia. Significativo è anche l'impegno nella ricerca sui sarcomi infantili.^{59 60}

5

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



In Italia non esistono meccanismi di semplificazione dell'accesso ai farmaci orfani per i tumori rari. L'uso di trattamenti innovativi per patologie per le quali non esiste una terapia alternativa è stabilito da un decreto legge (648/96).^{61 62} In teoria esiste un limite di 100 giorni per l'accelerazione della procedura di fissazione del prezzo e negoziazione del rimborso. Tuttavia questo limite non viene sempre rispettato. Inoltre, il suddetto decreto non è stato ancora applicato ai farmaci per i tumori rari.

In Italia i pazienti non vengono coinvolti nelle procedure HTA o nelle decisioni sul percorso di accesso ai trattamenti.

Sono in corso sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle terapie per i tumori rari. **L'Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM)** ha elaborato delle raccomandazioni per migliorare l'accesso al trattamento dei pazienti affetti da sarcoma, e sta attualmente lavorando con l'**Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)** per ridurre i tempi e la complessità delle procedure necessarie per introdurre nuovi farmaci.⁴⁹

Riguardo all'accesso agli studi clinici, il **Gruppo Italiano Sarcoma** fornisce un elenco di tutti gli studi clinici in corso in Italia. Inoltre, un elenco completo di tali studi è disponibile sul sito web dell'Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM).^{63 64}

Link utili

Gruppo Italiano Sarcoma: <http://www.italiansarcomagroup.org/>



I sarcomi in Spagna



Si stima che in Spagna l'incidenza del sarcoma dei tessuti molli (STS) sia di 3,1 casi su una popolazione di 100.000 persone (2015).⁶⁵

1

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



Il Ministero della salute spagnolo ha promosso l'ingresso di **Cinque centri di riferimento (CSUR)** nella Rete Europea di Riferimento (ERN) per i tumori rari solidi dell'adulto, inclusi i sarcomi: due in Catalogna, due a Madrid e uno a Siviglia.^{66 67 68}

Questi centri sono stati selezionati sulla base dei seguenti criteri: visitano **un numero minimo di pazienti** ogni anno (80 casi per il sarcoma dei tessuti molli, 10 per il sarcoma retroperitoneale e 10-12 per il sarcoma osseo);⁶⁷ dispongono di **strutture multidisciplinari** appropriate, alle quali collaborano chirurghi, radiologi, patologi e oncologi clinici, che elaborano insieme i piani di trattamento; includono un **reparto di patologia** per la diagnosi.⁶⁶

Non è attualmente presente un **sistema di monitoraggio**. Sono stati discussi dei piani per sviluppare un nuovo sistema di accreditamento, ma non è chiaro a chi sarà assegnata la responsabilità di effettuare le valutazioni.⁶⁷ Inoltre, l'implementazione di questo sistema è rallentata da ostacoli di natura finanziaria (vedere caso di studio).



CASO DI STUDIO:

mancanza di finanziamenti per i centri di riferimento in Spagna

Nonostante l'ufficializzazione dei centri di riferimento nazionali per il sarcoma in Spagna, la mancanza di finanziamenti è un continuo problema, e nessun budget aggiuntivo è stato assegnato per creare e gestire équipe multidisciplinari e relativi servizi all'interno di questi centri.⁶⁶

I pazienti spesso devono spostarsi in un'altra regione (Comunidad Autonoma) per ricevere un trattamento appropriato. Le spese accessorie, ad esempio per il viaggio, spesso non sono rimborsate, costringendo i pazienti a pagare di tasca propria. Gli oncologi possono presentare domanda di rimborso per i propri pazienti, ma questa procedura è spesso lenta e non fornisce garanzie di approvazione.⁶⁷





Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.

Esistono, in Spagna, delle linee guida nazionali di pratica clinica che indicano i **sintomi da “red flag”, in base ai quali si rende necessario un indirizzamento dei pazienti** ai centri di riferimento del sarcoma. Queste linee guida consigliano inoltre un preciso percorso dei pazienti dai centri primari ai centri specializzati nel sarcoma.⁶⁹ Tuttavia, l'indirizzamento non è obbligatorio e, di conseguenza, i pazienti sono spesso curati al di fuori di questi centri.

In Spagna il **programma generale degli studi di medicina** varia a seconda dell'università. Perciò, non tutti i laureati in medicina ricevono una formazione sui tumori rari (inclusi i sarcomi), per non parlare dell'oncologia in generale.⁶⁷ In Spagna esistono dei **corsi di formazione sul sarcoma**, disponibili ad oncologi e chirurghi. Inoltre, i gruppi di tutela dei pazienti affetti da sarcoma stanno lavorando per migliorare la consapevolezza di questa patologia tra gli operatori sanitari (vedere il caso di studio).^{70 71}



CASO DI STUDIO:

impegno per una formazione alla consapevolezza del sarcoma

L'Associazione spagnola dei pazienti affetti da sarcoma (AEAS) e la Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC) stanno guidando gli sforzi per realizzare una formazione alla consapevolezza del sarcoma a livello nazionale. A questo scopo, hanno anche avviato un programma di diagnosi precoce dei sarcomi, destinato ai medici di base. **L'AEAS e la FMPJC favoriscono** l'indirizzamento dei pazienti a specialisti esperti di sarcoma per una seconda opinione ai fini della diagnosi⁷² e del trattamento. La **FMPJC** assegna annualmente borse di studio e donazioni che promuovono la formazione dei medici e dei ricercatori sul sarcoma.^{73 74}

3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Sono state elaborate delle linee guida multidisciplinari per tutte le tipologie di sarcoma. L'ultimo aggiornamento dei dati sulle linee guida di pratica clinica multidisciplinare per il sarcoma dei tessuti molli è stato pubblicato nel 2016 dal **Gruppo di ricerca spagnolo sui sarcomi (GEIS)** e dal **Gruppo spagnolo di oncologia (SEOM)**.⁷⁵ Secondo le linee guida, i team multidisciplinari dovrebbero includere almeno patologi, radiologi, chirurghi, oncologi clinici e radioterapisti.⁶⁹ Attualmente è in corso l'aggiornamento delle linee guida sui sarcomi GIST e ossei.

L'assegnazione di un operatore sanitario dedicato e di un **piano di terapia personalizzato** ai pazienti affetti da sarcoma non è attualmente una priorità a causa delle risorse limitate. Inoltre, questa prassi varia da un ospedale all'altro. I piani di terapia personalizzati tendono ad essere informali e dipendono dal personale sanitario.⁶⁷

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



In Spagna non esiste un registro nazionale del sarcoma ed è improbabile che sia una priorità per il governo, a causa delle limitazioni finanziarie. Non è prevista l'obbligatorietà della raccolta dei dati tra i centri specializzati nel sarcoma.

Tuttavia, sono in corso collaborazioni a ricerche nazionali e internazionali sul sarcoma, condotte dal **Gruppo spagnolo per la ricerca sul sarcoma (GEIS)**.^{73 76 77} Tali iniziative favoriscono la cooperazione tra lo staff medico e i ricercatori, sia in Spagna che a livello internazionale. Vi partecipano 70 centri, diffusi in tutto il territorio spagnolo, nei quali si svolgono attualmente più di 20 studi clinici collaborativi. Il GEIS promuove anche la ricerca di base e traslazionale sul sarcoma.^{73 76 77}

È stato inoltre avviato il **Progetto sul sarcoma raro**, per determinare il carico dei sarcomi rari in Spagna. I dati raccolti includono epidemiologia, tipo di trattamento, campioni di tessuto, referti patologici e biotipici. Questi dati verranno utilizzati per migliorare i percorsi di trattamento dei pazienti.⁶⁷

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



Non esistono criteri specifici di valutazione delle tecnologie sanitarie per i farmaci orfani. Tuttavia, esiste una **richiesta di uso compassionevole** dei farmaci che ancora non è stata approvata e che è disponibile in alcuni ospedali.⁶⁷ In genere, l'accesso ai farmaci orfani è limitato: un'indagine relativa a 60 farmaci orfani ha riscontrato che solo un terzo era disponibile in Spagna rispetto al 90% in Francia, Paesi Bassi e Danimarca.⁷⁸

Generalmente, in Spagna i pazienti non vengono coinvolti nella valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA) e nei percorsi di accesso ai trattamenti. Tuttavia hanno potuto partecipare a tali procedure in numerosi casi relativi a farmaci orfani. Le associazioni dei pazienti hanno inoltre creato una piattaforma congiunta e promosso iniziative per contribuire a migliorare l'accesso ai farmaci per il sarcoma. Ad esempio, la **Fundación Mari Paz Jiménez Casado** mette a disposizione dei pazienti un gruppo di esperti in materia legale che fornisce consigli sui problemi di accesso ai trattamenti.⁶⁷

Dopo l'approvazione nazionale del prezzo e del rimborso, i nuovi trattamenti devono essere inclusi in ognuno dei 17 formulari regionali, dopodiché i singoli ospedali possono effettuare o meno la propria valutazione. Questo sistema di approvazione dei farmaci può comportare notevoli ritardi e disparità tra le diverse regioni nell'accesso ai nuovi trattamenti da parte dei pazienti.

Sul **sito web del GEIS** e dell'**Associazione spagnola dei pazienti affetti da Sarcoma (AEAS)** i pazienti possono accedere ai dati degli studi clinici relativi a sarcomi e GIST.⁷⁹

Link utili

Associazione spagnola dei pazienti affetti da sarcoma (AEAS):

<http://www.aesarcomas.org/>

Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC):

<http://www.fundacionmaripazjimenez.org/>

Gruppo spagnolo per la ricerca sul sarcoma (GEIS):

<http://www.grupogeis.org/>



I sarcomi in Svezia



Si stima che in Svezia il sarcoma venga diagnosticato annualmente a circa 300 pazienti. Tuttavia, si ritiene che questo numero sia più alto (400-500 casi) a causa di un'incompleta registrazione dei casi di tumore stromale gastrointestinale (GIST).⁸⁰ Analizzando le singole tipologie, si calcolano 70-100 casi di sarcomi ossei, 50 casi di sarcomi viscerali e retroperitoneali e circa 180-250 casi di altri sarcomi dei tessuti molli (STS), per anno. Il GIST rientrerebbe tra i casi di sarcomi viscerali, ma poiché l'incidenza stimata del solo GIST è di 12 casi per milione di persone all'anno, la Svezia conta circa 120 nuovi casi di questo tipo di sarcoma, che forma perciò una categoria distinta. Inoltre, i sarcomi rappresentano circa il 10% di tutti i tumori che interessano bambini e giovani adulti.^{80 81}

1

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



La Svezia prevede una cura del sarcoma centralizzata in cinque delle sei regioni sanitarie. Sono presenti centri di riferimento per il sarcoma nelle regioni di Göteborg, Linköping, Lund, Stoccolma e Umeå.⁸² La regione di Uppsala è l'unica regione sanitaria che non è ancora riuscita a centralizzare la cura del sarcoma in un centro di riferimento. Ciò è dovuto all'assenza di un comitato oncologico multidisciplinare e di chirurghi ortopedici nella regione. Per questo motivo, i pazienti di Uppsala fanno riferimento a Stoccolma per la chirurgia, mentre altri trattamenti sono decentralizzati.

Sebbene non esista un sistema ufficiale per l'**accreditamento e il monitoraggio** dei centri di riferimento, esiste una tradizione di lunga data riguardo l'indirizzamento dei pazienti affetti da sarcoma verso questi centri.

Il monitoraggio della qualità della cura per i sarcomi delle estremità e della parete del tronco avviene tramite trasmissione dei dati online. Il tempo che trascorre dall'indirizzamento alla diagnosi e dalla diagnosi al trattamento viene registrato a livello nazionale, così come i dati sulle decisioni terapeutiche prese dai team multidisciplinari e i dati sui margini chirurgici R0.⁸³ Un ulteriore monitoraggio viene svolto all'interno di ciascun centro di riferimento per il sarcoma. Ad esempio, a Lund, un gruppo direttivo multidisciplinare si riunisce almeno tre volte l'anno per discutere questioni relative alla qualità della terapia e alle possibili soluzioni per tutti i pazienti affetti da sarcoma (ad esempio, numero di specialisti, formazione, risorse, ecc.).





Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.

Sebbene **la formazione sui tumori rari** non sia una parte obbligatoria del programma di studio degli oncologi, il programma di specializzazione in ortopedia comprende un corso sui tumori ossei e dei tessuti molli, incentrato sui segnali di allarme dei sarcomi e sul procedimento diagnostico iniziale.

La Svezia è stata la prima tra i paesi scandinavi ad elaborare delle **semplici linee guida per l'indirizzamento dei pazienti affetti da STS**.⁸⁴ Queste linee guida informano gli operatori sanitari sui sintomi da **“red flag”** dei sarcomi e delineano **chiaramente la procedura di indirizzamento dei pazienti** ai centri di riferimento per il sarcoma. Se si sospetta un sarcoma, si raccomanda agli operatori sanitari di indirizzare i pazienti direttamente al centro di riferimento prima di eseguire la biopsia e l'intervento.

Questa **pratica di indirizzamento** consente ai pazienti un accesso rapido alla terapia specialistica del sarcoma, e ha dimostrato di migliorare le percentuali di indirizzamento, riducendo i costi associati alla recidiva locale e assicurando migliori esiti e risultati chirurgici per i pazienti.^{84 85} A seconda della tipologia di sarcoma, i casi indirizzati ai centri di riferimento prima dell'intervento vanno dall'80 al 100%.^{86 87}

Purtroppo, i modelli di indirizzamento sono stati meno efficaci per i **sarcomi addominali**. Tuttavia, si riscontrano già dei miglioramenti in seguito alla decisione di operare, da ora in poi, i pazienti affetti da sarcoma retroperitoneale in tre ospedali specialistici. Analogamente, i pazienti affetti da GIST ricevono spesso trattamenti chirurgici e oncologici al di fuori dei centri di riferimento per il sarcoma.

Lo **Scandinavian Sarcoma Group (SSG)** ha lo scopo di collegare i professionisti scandinavi e produrre collettivamente protocolli, linee guida e raccomandazioni in modo collaborativo con contributi multidisciplinari.^{88 89} I centri di riferimento svedesi sono collegati ai centri di riferimento della Norvegia (Oslo, Bergen, Trondheim e Tromsø) e in minor misura ai centri di riferimento in Finlandia e Danimarca.

3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Si stima che il 90% dei pazienti affetti da sarcoma venga curato da un team multidisciplinare.

Percorsi nazionali standardizzati per i sarcomi sono attualmente in via di sviluppo presso comitati interregionali denominati **Regional Cancer Centres (RCC)**, in collaborazione con **l'Associazione dei comuni e delle regioni svedesi (SKL)**. Tuttavia, l'implementazione non è affiancata da un aumento del personale sanitario che consenta di raggiungere gli obiettivi previsti.

Il Registro svedese dei tumori raccoglie i dati su tutti i pazienti affetti da sarcoma in Svezia. Comprende informazioni che specificano se i piani di trattamento sono stati decisi o meno da un **comitato oncologico multidisciplinare**, se al paziente è stato assegnato o meno un **infermiere di riferimento**, e indicano il momento in cui il paziente è stato messo al corrente del **piano di trattamento iniziale**.⁸¹ Nel registro vengono inoltre raccolti i dati sui modelli di indirizzamento, i tempi delle procedure e le caratteristiche del tumore.

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



I dati dei pazienti presenti in tutti i centri di riferimento per il sarcoma vengono raccolti a livello nazionale nel registro qualitativo dei sarcomi INCA come parte del **Registro svedese dei tumori**. La piattaforma INCA ha una copertura nazionale su tutte le regioni. È attualmente in discussione la possibilità di collegare i dati dei pazienti svedesi affetti da sarcoma con i dati di altri paesi nordici. Tale integrazione risulterebbe particolarmente facile, trattandosi dello stesso tipo di dati. Dal 2017 verrà presentata una relazione annuale congiunta di tutti i paesi scandinavi sulla cura del sarcoma.

Il Gruppo scandinavo del sarcoma (SSG) guida collaborazioni in attività di ricerca nazionali e internazionali sul sarcoma in Scandinavia.⁹⁰ Ha avuto un ruolo importante nel migliorare la qualità della diagnosi, dell'analisi patologica,⁸¹ del trattamento e dell'assistenza complessiva riguardo al sarcoma, creando una piattaforma per coordinare la ricerca di base e gli studi clinici in tutti i paesi partecipanti.⁸⁸

5

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



Non esistono specifici criteri di valutazione delle tecnologie sanitarie per i farmaci orfani, e i pazienti non sono coinvolti in queste procedure. Tuttavia, sono in corso discussioni sull'opportunità di accettare un più elevato rapporto costo/QALY (Quality Adjusted Life Year: anno di vita ponderato per qualità), nonché livelli superiori di incertezza nelle evidenze cliniche relative ai farmaci orfani, a causa della gravità della malattia e delle notevoli esigenze insoddisfatte.

La maggior parte dei farmaci ospedalieri (ad esempio gli antitumorali per infusione) non vengono rimborsati dall'autorità nazionale competente, cioè l'Agenzia svedese per le agevolazioni farmaceutiche (TLV). Le questioni relative all'accesso vengono invece valutate attraverso un **nuovo percorso guidato**, che mira a ridurre le disparità nell'accesso ai farmaci in tutti i 21 consigli regionali.

Questo nuovo percorso è ora sottoposto alla valutazione dell'Agenzia svedese per l'analisi dei servizi sanitari (Vårdanalys). L'ente valuterà l'intero processo dalla prospettiva del paziente, esaminando, ad esempio, la trasparenza, la prevedibilità e l'efficacia). Le conclusioni della relazione finale di tale indagine verranno inserite nell'indagine governativa, annunciata di recente, sulla fissazione dei prezzi dei farmaci e sui relativi finanziamenti. L'indagine, la cui bozza di relazione verrà presentata nel novembre 2017, terminerà alla fine del 2018.

Generalmente, l'accesso dei pazienti agli studi clinici è soddisfacente, con alcune eccezioni nella regione di Uppsala, a causa della mancanza di centri di riferimento. Tutti i centri di riferimento vengono messi al corrente di tutte le sperimentazioni cliniche avviate dal gruppo SSG.

Link utili

Gruppo scandinavo del sarcoma: <http://www.ssg-org.net/>

Scandinavian Sarcoma Group for Nurses and Physiotherapists:
<http://www.ssg-nurses-physiotherapists.org/>



I sarcomi nel **Regno Unito**



Ogni anno, **nel Regno Unito, viene diagnosticato un sarcoma a 3.800 pazienti:** tale dato è pari all'1% di tutte le diagnosi di tumore.¹¹

In ogni paese dovrebbe essere presente almeno un centro di riferimento designato per i sarcomi.



Nel Regno Unito sono presenti dei centri di riferimento per tutti i tipi di sarcoma. In Inghilterra sono circa 15 i centri specialistici per il sarcoma. Il Sud del Galles dispone di un centro specialistico per i sarcomi dei tessuti molli, mentre tutti i pazienti gallesi affetti da altri tipi di sarcoma vengono inviati in Inghilterra per il trattamento. L'Irlanda del Nord dispone di tre ospedali che curano i pazienti affetti da sarcoma, mentre la Scozia ne comprende in totale cinque, che lavorano come un'unica rete.^{91 92}

Non esiste un sistema di accreditamento nazionale ufficiale per i centri di riferimento per il sarcoma, e al momento l'accreditamento si basa su un meccanismo di deleghe specialistiche. Gli standard vengono fissati da pubblicazioni chiave del National Institute for Health and Care Excellence (NICE, Istituto nazionale per la salute e l'eccellenza clinica), come **“Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual (2006) e Sarcoma Quality Standards” (2014)** (vedere il riquadro).^{8 12 93} Ogni gruppo competente di specialisti, denominato “Clinical Commissioning Group” (CCG) è responsabile di garantire che i centri di riferimento siano accessibili ad ogni individuo del Regno Unito e che operino in conformità con i suddetti standard nazionali.⁹⁴

Non esiste un sistema di monitoraggio ufficiale per la valutazione continua della qualità terapeutica nei centri di riferimento per il sarcoma. Tuttavia, sta per essere sviluppato un programma di sorveglianza della qualità basato sulla pubblicazione **“Sarcoma Measures” (Provvedimenti sul sarcoma)** dei gruppi di esperti **National Cancer Peer Review - National Cancer Action Team.**⁹³

Gli standard di qualità relativi al sarcoma, fissati dal NICE, prevedono i seguenti requisiti per la qualità terapeutica nei centri per il sarcoma.⁹³

Articolo 1. I gruppi consultivi per il sarcoma e i team multidisciplinari (TMD) seguono percorsi preordinati di indirizzamento e diagnosi per le persone con sospetto sarcoma.

Articolo 2. Gli adulti, i bambini e i giovani con sarcoma osseo e gli adulti con sarcoma dei tessuti molli possono beneficiare di un piano di terapia personalizzato, confermato da un TMD per il sarcoma, nonché di un trattamento somministrato tramite i servizi designati dal gruppo consultivo per il sarcoma.

Articolo 3. I team multidisciplinari per il sarcoma pubblicano informazioni sui propri percorsi e attività comuni, nonché sugli esiti dei pazienti, incluse le informazioni sui sarcomi localizzati.

Articolo 4. Le persone affette da sarcoma retroperitoneale, prima di ricevere qualsiasi trattamento, vengono indirizzate in un centro di cura del sarcoma, che include specialisti esperti nella gestione di tale tipo di tumore.

Articolo 5. I chirurghi che eseguono resezioni pianificate dei sarcomi sono membri primari o aggiunti di un TMD per il sarcoma.

Articolo 6. Le persone affette da sarcoma sono assistite da un operatore dedicato, dotato di una conoscenza specialistica dei sarcomi e del loro trattamento.



Tutti gli specialisti competenti dovrebbero ricevere una formazione sui sarcomi, e la formazione sui tumori rari dovrebbe essere inclusa nel programma generale degli studi di medicina.

Per tutti i sarcomi sono stati stabiliti dei **criteri di indirizzamento dei pazienti**. Tali criteri consentono agli operatori sanitari di riconoscere i **sintomi da “red flag” del sarcoma** e prevedono l'indirizzamento dei pazienti a un centro di riferimento.^{91 95 96} Inoltre, l'importanza di una diagnosi precoce del tumore è sottolineata in diverse pubblicazioni chiave del NICE.^{8 12 97}

Il **programma generale degli studi di medicina** non include moduli sul sarcoma o sui tumori rari, e la formazione su questi argomenti dipende molto dagli studi individuali. Tuttavia, nel Regno Unito è disponibile un'ottima formazione specialistica sul sarcoma, con diversi corsi frequentati anche dall'estero.

Una maggiore formazione dei medici andrebbe comunque a beneficio dei pazienti con sarcoma, considerando che nel Regno Unito permangono ritardi ed errori nelle diagnosi. Secondo un'indagine sui pazienti affetti da sarcoma, solo al 20% di questi pazienti era stato comunicato dal medico di base o dal medico del pronto soccorso la possibilità di un sarcoma. Inoltre, il 27% dei pazienti visitati dal medico di base aveva iniziato a ricevere un trattamento per un'altra patologia o gli era stato detto che non si trattava di sintomi seri.¹¹

Due iniziative intraprese per migliorare la consapevolezza dei sintomi del sarcoma tra i medici di base e per favorire un indirizzamento tempestivo dei pazienti, comprendono la campagna “On the ball” (vedere il caso di studio) e il programma “Consapevolezza e sospetto del sarcoma”, che è accreditato dal British Medical Journal e insegna ai medici come diagnosticare correttamente i sarcomi.



CASO DI STUDIO:

sensibilizzazione sui sarcomi con la campagna “On the ball” di Sarcoma UK

La campagna di sensibilizzazione pubblica “On the ball”, promossa dall'associazione Sarcoma UK, mira a istruire i medici di base nell'identificazione precoce dei sarcomi.⁹⁸

I pacchetti “On the ball” contengono un portachiavi con una pallina da golf che riporta il messaggio “è sarcoma?” e che funziona perciò come un promemoria visivo per i medici di base sui segni da “red flag” del sarcoma. Insieme al portachiavi viene fornito un kit diagnostico che comprende un foglio di informazioni cliniche sui sarcomi, l'elenco dei segni da “red flag” e le indicazioni sulla necessità di indirizzare i pazienti affetti da sarcoma direttamente ai centri specialistici per la diagnosi e il trattamento.^{92 99}

Finora sono stati consegnati oltre 1.600 pacchetti “On the Ball”.⁹⁹



3

La cura del sarcoma dovrebbe essere affidata ad un team multidisciplinare (TMD) che segua un percorso terapeutico guidato.



Nel Regno Unito esistono delle linee guida per il trattamento di tutti i tipi di sarcoma.^{91 95 96}

Queste linee guida specificano la necessità di disporre di équipe multidisciplinari, operatori sanitari dedicati per i pazienti, trattamenti basati sulle evidenze e praticati nei centri per il sarcoma, nonché piani di terapia personalizzati.^{91 95} È molto ampio il riconoscimento dell'importanza di un approccio basato su un team multidisciplinare, specialmente nel caso dei pazienti affetti da sarcoma.⁸ Nel 2015, nel Regno Unito, il 90% dei pazienti affetti da sarcoma è stato curato da un TMD.

Tuttavia, vanno apportati ancora dei miglioramenti per garantire che tutti i pazienti ricevano piani di terapia personalizzati. Secondo l'indagine sui pazienti affetti da sarcoma, solo il 48% dei pazienti ha ricevuto un piano che li informava di qualsiasi cosa dall'inizio alla fine del trattamento, mentre il 40% dei pazienti ha riferito di non aver ricevuto un piano di terapia personalizzato.¹¹

4

È necessario migliorare gli incentivi e gli investimenti nella ricerca sui sarcomi.



Non esiste un **registro dei sarcomi che copra l'intero territorio del Regno Unito.** Tuttavia, il National Cancer Registration and Analysis Service (NCRAS) coordina 8 registri regionali sui tumori. La registrazione è obbligatoria per tutti gli ospedali del servizio sanitario nazionale, ma non per i trattamenti forniti privatamente. Esiste un database nazionale per il sarcoma, nel quale vengono raccolti i dati sui trattamenti, come chemioterapia e radioterapia. Tutti i dati sono associati ai dati nazionali sui decessi, in modo da poter dare un quadro completo, che comprenda il momento della diagnosi, la modalità di cura dei pazienti e la data del decesso.

Non esistono incentivi statali per la ricerca sulle malattie rare.⁹⁴ Tuttavia, Sarcoma UK finanzia diversi progetti di ricerca, e dal 2009 ha assegnato oltre 1 milione di sterline in borse di studio medico-scientifiche finalizzate a una migliore conoscenza dei sarcomi.¹⁰⁰

L'investimento del terzo settore nella ricerca sul sarcoma supera i 4 milioni di sterline all'anno e continua a crescere. Esistono **collaborazioni di ricerca** tra lo Stato e organizzazioni caritative, università, unità cliniche, organizzazioni non governative (Cancer Research UK, Sarcoma UK, Bone Cancer Research Trust), con finanziamenti disponibili attraverso il National Institute for Health Research (NIHR) e il Medical Research Council (MRC).⁹⁴

5

Dovrebbero essere compiuti degli sforzi a livello nazionale per migliorare l'accesso alle cure da parte dei pazienti affetti da sarcoma e per ridurre le disparità nell'accesso ai nuovi trattamenti.



Sono stati stabiliti degli specifici percorsi normativi e di accesso per i tumori rari. La procedura del NICE per i farmaci ultra-orfani è stata sviluppata basandosi sulla valutazione dei farmaci per il sarcoma. Tuttavia i recenti trattamenti per il sarcoma sono stati approvati mediante il Cancer Drugs Fund.^{94 101 102} I pazienti affetti da sarcoma possono essere coinvolti nel processo di controllo e valutazione farmaceutica stabilito dal NICE, e ciò è normalmente avvenuto finora.⁹⁴

Gli studi clinici sul sarcoma e gli studi clinici aperti alla partecipazione di pazienti con sarcoma sono accessibili online attraverso il portale UK Clinical Trials Gateway.¹⁰³ Tuttavia, non sempre i pazienti affetti da sarcoma **ricevono informazioni adeguate sulle opzioni di partecipazione alle sperimentazioni cliniche: nella già menzionata indagine sui pazienti affetti da sarcoma**, il 67% dei pazienti intervistati ha riferito di non aver ricevuto una richiesta di partecipazione ad uno studio clinico. Inoltre, tra i pazienti che hanno ricevuto tale richiesta, solo il 22% ha assicurato la propria adesione.¹¹

Link utili

Sarcoma UK: <https://sarcoma.org.uk/>





Bibliografia:

1. Gatta G, Van der Zwan JM, Casali PG, *et al.* Rare cancers are not so rare: The rare cancer burden in Europe. *European Journal of Cancer* 2011;47(17):2493-511.
2. Rare Cancers Europe (RCE). About rare cancers 2016. Available from: <http://www.rarecancerseurope.org/About-Rare-Cancers>
3. Rare Cancers Europe (RCE). Joint Action on Rare Cancers Kick Off Meeting 2016. Available from: <http://rarecancerseurope.org/Events/Joint-Action-on-Rare-Cancers-Kick-Off-Meeting>
4. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
5. Cancer Research UK. About Sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/about/about-sarcomas#YxpbR62XBff7D1h4.97>
6. Stiller CA, Trama A, Serraino D, *et al.* Descriptive epidemiology of sarcomas in Europe: report from the RARECARE project. *European Journal of Cancer* 2013;49(3):684-95.
7. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. *BMC Cancer* 2013;13(1):1-21.
8. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.
9. Zagars GK, Ballo MT, Pisters PWT, *et al.* Prognostic factors for patients with localized soft-tissue sarcoma treated with conservation surgery and radiation therapy. *Cancer* 2003;97(10):2530-43.
10. Cancer Research UK. Survival statistics for soft tissue sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/treatment/statistics-and-outlook-for-soft-tissue-sarcoma>
11. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
12. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Sarcoma Quality Standards. 2015:38.
13. European Society for Medical Oncology (ESMO). Improving Rare Cancer Care in Europe: Recommendations on Stakeholder Actions and Public Policies. 2010:10.
14. RARECARENet. Country Report Bulgaria 2016. Available from: http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/National_Conferences/RARECARENet_country_report_-_BULGARIA_-_TRANSLATED.pdf
15. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States 2011:13.
16. Rare Cancers Europe (RCE). Rare Cancer Patient Toolkit: Speak up for rare cancer. 2016:19.
17. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. *Annals of Oncology* 2012;23:2442-49.
18. European Society for Medical Oncology (ESMO). Statement on the council recommendation on rare diseases: ESMO, 2008.
19. Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN). Sarcoma Patient Pathway Analysis and Recommendations for Service Development. 2016. Available from: www.sarcoma-patients.eu
20. Andritsch E, Beishonb M, Bielack S, *et al.* ESMO Essential Requirements for Quality Cancer Care: Soft Tissue Sarcoma in Adults and Bone Sarcoma. A critical review. *Critical Reviews in Oncology/Hematology* 2017:94-105.
21. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Rare Disease European Reference Networks (RD ERNS). 2013:18.
22. The Council of the European Union. Council Recommendation of June 8 2009 on an action in the field of rare diseases: Official Journal of the European Union, 2009:7-10.
23. Ashley D, Thomas D, Gore L, *et al.* Accepting risk in the acceleration of drug development for rare cancers. *Lancet Oncology* 2015;16:4.
24. Casali PG, Bruzzi P, Bogaerts J, *et al.* Rare Cancers Europe (RCE) methodological recommendations for clinical studies in rare cancers: a European consensus position paper. *Annals of Oncology* 2015;26(2):300-6.
25. Institut National Du Cancer. French national networks for rare cancers in adults: review and outlook 2014. 2015.
26. Coindre JM, Ducimetiere F, Mathoulin-Péllissier S, *et al.* Management of soft tissue sarcoma in France - a retrospective analysis of the french clinical biological sarcoma database (GSF-GETO) [abstract]. 2015.
27. Dumont S. Epidémiologie des Sarcomes Réseaux de Référence, unpublished data on file. 2016
28. NetSarc-ResOs. Réseaux de référence Cliniques 2016. Available from: <https://netsarc.sarcomabcb.org/>
29. Blay JY, Le Cesne A, Penel N, *et al.* Improved Sarcoma Management in a National Network of Reference Centers: Analysis of the NetSarc Network on 13,454 Patients Treated Between 2010 and 2014. *Journal of Clinical Oncology* 2016;34.
30. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. *BMC Cancer* 2010;10(1):1-12.

31. Dumont S. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
32. Ecole de Formation En Cancérologie. Liste offre formations cancerologie 2017. Available from: http://www.efec.eu/wp-content/uploads/2016/10/EFEC-2017-LISTE-OFFRE-FORMATIONS-CANCEROLOGIE-DPC_Web.pdf
33. Connective Tissue Oncology Society (CTOS). Programme e-surge 2016. Available from: <https://www.ctos.org/Portals/0/PDF/Programme%20e-surge%20-%202016%20Final.pdf>
34. Ligier K, Maynou C, Leroy X, *et al.* Improvement of the initial management of sarcomas after the dissemination of evidence-based guidelines depends on the primary sarcoma location: a population-based study. *BMC Cancer* 2015;15:218.
35. International cancer genome consortium. Cancer genome projects - France 2016. Available from: <https://icgc.org/icgc/cgp/60/355/1002113>
36. Tordrup D. Autorisations temporaires d'utilisation (ATU). *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
37. Center for Cancer Registry Data - Federal Statistical Office. Report on Cancer in Germany 2016: Number of Cancer Neoplasms and Deaths in Germany 2013.P21.
38. Das Lebenshaus. Interdisziplinäre Sarkom-Zentren: Denn Sarkome gehören in Experten-Hände! Wissenswert, 2010:19-23.
39. Lehnhardt M, Daigeler A, Homann HH, *et al.* Importance of specialized centers in diagnosis and treatment of extremity-soft tissue sarcomas. Review of 603 cases. *Chirurg* 2009;80(4):341-7.
40. Sarkom Konferenz. Sarkomkonferenz 2016. Available from: <http://www.sarkomkonferenz.de/index.php/sarkomkonferenz-2017/zertifizierung>
41. Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie. Weichteilsarkome. Leitlinie der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie, 2011.
42. Deutsche Gesellschaft für Gynäkologie und Geburtshilfe. Leitlinienprogramm- Uterine Sarkome, 2015.
43. Deutsche Krebsgesellschaft. Interdisziplinäre AG Weichteilsarkome 2016. Available from: <https://www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html>
44. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). German Interdisciplinary Sarcoma Group. 2016.
45. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). Studien unter GISG. 2016.
46. Das Lebenshaus. Krebserkrankungen erforschen 2015. Available from: <http://www.daslebenshaus.org/studienallgemein>
47. SOS desmoid. 2016. Available from: <http://www.sos-desmoid.de/>
48. Rüsseler A, Brors B, Fischer T, *et al.* Molekularpathologie von Sarkomen- Erste Ergebnisse des Sarkomforschungsverbundes KoSar. *Der Pathologe* 2010;Suppl 2(31):211-14.
49. Busco S, Buzzoni C, Mallone S, *et al.* Italian cancer figures report 2015: The burden of rare cancers in Italy. *Epidemiologia & Prevenzione* 2016;40(1 Suppl 2):1-120.
50. Casali P. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
51. Trama A, Mallone S, Ferretti S, *et al.* The burden of rare cancers in Italy: the surveillance of rare cancers in Italy (RITA) project. *Tumori* 2012;98(5):550-8.
52. Gronchi A. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
53. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento del Sarcoma di Ewing 2010. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_ewing_.pdf
54. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento dell'Osteosarcoma 2009. Available from: http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_osteosarcoma.pdf
55. Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). Linee Guida per il trattamento di sarcomi dei tessuti molli e GIST, 2015.
56. European Society of Surgical Oncology (ESSO). European School of Soft Tissue Sarcoma 2016. Available from: <http://www.essoweb.org/european-school-of-sts/>
57. Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori. Struttura Semplice Chirurgia dei Sarcomi, Attività Didattica 2016. Available from: <http://www.istitutotumori.mi.it/modules.php?name=Content&pa=showpage&pid=792>
58. Istituto Ortopedico Rizzoli B, Italy. Course on Musculoskeletal Pathology 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/wp-content/uploads/2015/12/Preliminary-Program-XXIX-COURSE-2016.pdf>
59. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro - sarcomi delle parti molli 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/385>
60. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro, sarcomi ossei 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/386>
61. The Italian Medicines Agency (AIFA). Pricing and reimbursement 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement>
62. The Italian Medicines Agency (AIFA). Legge 648/96 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/legge-64896>
63. Italian sarcoma group. Studi clinici 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/studi-clinici/>
64. The Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). studi clinici 2016. Available from: <http://www.aiom.it/studi-clinici/1,108,1>,
65. Nersesyan K, Robinson D, Pomerantz D. Epidemiology and treatment of soft tissue sarcoma in the EU5. ISPOR 18th Annual European Congress 7-11 November 2015. Milan, 2015.
66. Valverde C. "Surgery remains the key in addressing sarcomas" *Gaceta Medica*; 2016. Available from: <http://www.gacetamedica.com/portada/la-cirurgia-sigue-siendo-la-clave-en-el-abordaje-de-los-sarcomas-HD489889#printAcUrlSection>

67. Valverde C. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
68. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Centres, Services and Units Reference (CSUR), 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/centros-de-referencia>
69. Garcia del Muro X, de Alava E, Artigas V, et al. Clinical practice guidelines for the diagnosis and treatment of patients with soft tissue sarcoma by the Spanish group for research in sarcomas (GEIS). *Cancer chemotherapy and pharmacology* 2016;77(1):133-46.
70. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Advanced Course Sarcomas. 2016
71. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Master's Degree in Musculoskeletal Tumors 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/actividad-cientifica/formacion/master-de-sarcomas>
72. Sarcoma Patients Euronet (SPAEN). 20th of September - Sarcoma National Day in Spain SPAEN; 2014. Available from: <http://www.sarcoma-patients.eu/index.php/28-spaen/home/259-20th-of-september-sarcoma-national-day-in-spain>
73. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Mission, vision and values 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/mision-vision-y-valores>
74. Angeles Diaz M. Together we stand, we learn, strengthen us. LillyPad; 2016. Available from: <https://lillypad.es/entry.php?e=162&n=entre-todos-nos-apoyamos-nos-informamos-nos-fortalecemos#>
75. López-Pousa A, Martin Broto J, Martinez Trufero J, et al. SEOM Clinical Guideline of management of soft-tissue sarcoma (2016). *Clinical and translational oncology* 2016;18:1213–20.
76. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). GEIS structure 2016. Available from: http://www.ctu.mrc.ac.uk/euramos/main_site_content_pages/images_and_documents/Bone%20Planning%20Meeting%20ESF/Presentations/Day2_b_GroupStructures/GEIS_Structure_MartinBroto.pdf
77. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Spanish Sarcoma Research Group Portal 2016. Available from: <http://www.geisgroup.org/>
78. Tordrup D, Tzouma V, Kanavos P. Orphan drug considerations in Health Technology Assessment in eight European countries. *International Journal of Public Health* 2014;1(3):15.
79. The Sarcoma Patients Spanish Association (AEAS). Clinical Trials 2016. Available from: <http://www.aesarcomas.org/es/ensayos-clinicos>
80. Styring E. Sarcoma Cancercentrum; 2016. Available from: <http://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/sarkom/>
81. Styring E. Manual. The national quality register for Sarcomas of the extremities and trunk wall.: Regional Cancercentrum I Samverkan, 2015.
82. Bauer HCF, Alvegard TA, Berlin O, et al. The Scandinavian Sarcoma Group Register 1986-2001,. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009
83. OCSYD. Kvalitetsuppföljning, RCC Syd, senast uppdaterad 2016-12-07 ocsyd; 2016. Available from: <http://www.ocsyd.se/kvalitetsdata/webrapport/>
84. Styring E, Billing V, Hartman L, et al. Simple guidelines for efficient referral of soft-tissue sarcomas: a population-based evaluation of adherence to guidelines and referral patterns. *The Journal of Bone & Joint Surgery* 2012;94(14):1291-6.
85. Trovik CS. Local recurrence of soft tissue sarcoma. A Scandinavian Sarcoma Group Project. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2001;72(300):1-31.
86. Alvegård TA, Bauer H, Blomqvist C, et al. The Scandinavian Sarcoma Group—background, organization and the SSG Register—the first 25 years. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2004;75(sup311):1-7.
87. Rydholm A. Centralization of soft tissue sarcoma. The southern Sweden experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 1997;273:4-8.
88. Alvegard T, Sundby Hall K, Bauer H, et al. The Scandinavian Sarcoma Group: 30 years' experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009;80(334):1-104.
89. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). Treatment protocols and recommendations - sarcoma 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/treatment-protocols-and-recommendations/ongoing>
90. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). BYLAWS 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/om>
91. Grimer R, Athanasou N, Gerrand C, et al. UK Guidelines for the Management of Bone Sarcomas 2010. Available from: https://sarcoma.org.uk/sites/default/files/bsg_bone_guideline_in_sarcoma.pdf
92. Sarcoma UK. Sarcoma Specialist Centres 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/health-professionals/sarcoma-specialist-centres>
93. National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team. Sarcoma Measures. In: Health, ed., 2011.
94. Wilson R. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
95. Grimer R, Judson I, Peake D, et al. Guidelines for the management of soft tissue sarcomas 2010. Available from: http://www.swscn.org.uk/wp/wp-content/uploads/2014/11/UK_Guidelines_For_The_Management_of_Soft_Tissue_Sarcomas.pdf
96. Reid R, Bulusu R, Carroll N, et al. Guidelines for the Management of Gastrointestinal Stromal Tumours (GIST) 2009. Available from: http://www.augis.org/wp-content/uploads/2014/05/GIST_Management_Guidelines_180809.pdf
97. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Suspected cancer: recognition and referral [Guidelines]. 2015. Available from: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng12/resources/suspected-cancer-recognition-and-referral-1837268071621>
98. Sarcoma UK. About 'On The Ball' 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/order-ball-pack/about-ball>
99. Sarcoma UK. Order your 'On the Ball' pack 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/about-ball/order-your-ball-pack>
100. Sarcoma UK. Research 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/research>
101. Tordrup D. NICE highly specialised technologies guidance. *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
102. NHS Commissioning Board. Interim Commissioning Policy: Individual funding requests, 2016.
103. National Institute for Health Research. UK Clinical Trials Gateway 2016. Available from: <https://www.ukctg.nihr.ac.uk>



L'agenda strategica sul sarcoma è stata sviluppata da un gruppo formato dai principali rappresentanti di organizzazioni di pazienti, esperti clinici e aziende del settore sanitario. Questo progetto è stato avviato e finanziato da Lilly.

Per avere una copia della relazione: www.sarcoma-patients.eu/