

Gestione dei pazienti con Idrosadenite Suppurativa e Miastenia Gravis nel Servizio Sanitario Nazionale

Documento di sintesi della giornata di lavoro multi-stakeholder

SDA Bocconi School of Management

1. Mandato e impianto metodologico della giornata

La giornata di lavoro è stata promossa da SDA Bocconi con il supporto di UCB Italia con l'obiettivo di co-generare, in una cornice multi-stakeholder, soluzioni concrete e sostenibili per il Servizio Sanitario Nazionale, finalizzate a migliorare la gestione dei pazienti con Idrosadenite Suppurativa (HS) e Miastenia Gravis (MG) nel contesto ospedaliero e nel raccordo con il territorio. L'iniziativa ha coinvolto clinici, farmacisti ospedalieri e direzioni sanitarie, rappresentanti dell'industria e referenti accademici (SDA Bocconi).

L'impianto metodologico si è articolato in quattro fasi sequenziali:

1. Una fase di inquadramento del contesto di riferimento e dei percorsi attuali di gestione dei pazienti per le due patologie oggetto di analisi;
2. un primo livello di tavoli mono-stakeholder, organizzati per competenze (clinici; farmacisti e direzioni; industria) e per ciascuna delle due patologie, finalizzati alla lettura dei temi dal punto di vista di ciascun attore;
3. un secondo livello di tavoli multi-stakeholder, per il confronto e l'integrazione delle prospettive intorno a ciascuna patologia;
4. una sessione plenaria di restituzione, dedicata alla validazione e all'allineamento sulle proposte operative emerse.

Il contesto di riferimento, richiamato in apertura dei lavori, è quello di una disegualità strutturale del SSN: innovazione, invecchiamento e cronicità crescono più rapidamente delle risorse disponibili. La domanda istituzionale non è dunque se introdurre criteri di selezione, ma come selezionare in modo equo, efficiente e sostenibile, spostando il focus analitico dal costo della singola tecnologia al valore complessivo prodotto lungo l'intero percorso di cura.

2. Inquadramento delle due patologie

2.1 Idrosadenite Suppurativa

L'Idrosadenite Suppurativa è una malattia cronica infiammatoria, di natura non primariamente infettiva, caratterizzata da noduli, ascessi e fistole in sedi anatomiche critiche (ascelle, inguine, regione genitale e pieghe cutanee). La sua prevalenza è stimata intorno all'1% della popolazione, con una quota minoritaria (dell'ordine del 10%) rappresentata dalle forme gravi: dimensione che non permette il riconoscimento come malattia rara, ma che produce un impatto clinico, sociale ed economico marcatamente sproporzionato rispetto ai numeri.

L'inquadramento clinico presentato in apertura dei lavori ha sottolineato alcuni elementi distintivi. In primo luogo, l'esistenza di una finestra di opportunità terapeutica: l'avvio precoce delle terapie disease-

modifying riduce il rischio di progressione e di interventi maggiori. In secondo luogo, l'associazione frequente con fattori di rischio modificabili (tabagismo nel 95% circa dei pazienti, obesità) e con comorbidità metaboliche, cardiovascolari e dermatologiche (inclusa la psoriasi). In terzo luogo, l'errore sistemico di interpretazione della malattia come infezione ricorrente: i pazienti ricevono cicli ripetuti di antibiotici prima del referral specialistico, con ritardi diagnostici nell'ordine di anni e un consumo di prestazioni non appropriato rispetto al fabbisogno reale. Sul piano gestionale, il razionale terapeutico richiede l'integrazione tra terapia biologica e chirurgia (*deroofing*, drenaggi, chirurgia maggiore nelle forme severe), un pathway dedicato al *pain management* e una presa in carico multidisciplinare che coinvolga dermatologia, chirurgia, centro antifumo, endocrinologia/metabolismo, ginecologia o proctologia, supporto psicologico e assistenza infermieristica territoriale per le medicazioni quotidiane, oggi prevalentemente a carico dei pazienti.

2.2 Miastenia Gravis

La Miastenia Gravis è una patologia autoimmune anticorpo-mediata della giunzione neuromuscolare. Nel 96–97% dei casi è sieropositiva, con anticorpi diretti contro il recettore dell'acetilcolina, anti-MuSK o altri target; una quota residua del 3% circa rimane sieronegativa. Pur classificata come malattia rara, è tra le più frequenti, con incidenza in aumento e un'epidemiologia in evoluzione: l'esordio si sta spostando verso l'età avanzata, con una mediana intorno ai 65 anni. Il tratto clinico distintivo è la fluttuazione dei sintomi, che rende difficile sia la quantificazione della disabilità sia la programmazione lavorativa del paziente. Forme apparentemente limitate, come la forma oculare con diplopia, possono determinare una perdita pressoché totale della capacità lavorativa in attività di prossimità informatica, pur non essendo riconosciute come gravemente invalidanti da alcuni sistemi di valutazione.

Tra le malattie neurologiche la MG è una di quelle a maggior rischio di ospedalizzazione, in ragione della possibilità di crisi miastenica con insufficienza respiratoria, indotta da infezioni, sostituzioni farmacologiche inappropriate o peggioramenti non sempre interpretabili. La gestione tradizionale, basata su corticosteroidi e immunosoppressori, produce costi nascosti rilevanti (osteoporosi, glaucoma, ipertensione, diabete, obesità, eventi psichiatrici, riduzione dell'aspettativa di vita per terapia steroidea cronica) e tempi di onset terapeutico lunghi, fino a 3–12 mesi per gli immunosoppressori. L'aggiornamento delle raccomandazioni italiane, pubblicato a marzo, riflette l'innovazione del periodo 2021–2025: alle terapie tradizionali si affiancano oggi le classi anti-complemento e anti-FcRn, accompagnate da requisiti specifici di sicurezza (ad esempio, copertura vaccinale ampia per i batteri capsulati nei trattati con anti-complemento; monitoraggio delle immunoglobuline per gli anti-FcRn). L'accesso effettivo al farmaco è strettamente condizionato dalla disponibilità e dalla rimborsabilità dei test diagnostici di selezione: alcune metodiche di riferimento richiedono ancora marcatori radioattivi e strutture dedicate, i test cell-based offrono prospettive promettenti ma non sono pienamente standardizzati e non tutti gli anticorpi dispongono di codici adeguati nel nomenclatore tariffario. A questo si aggiunge il tema dell'uso appropriato di immunoglobuline e plasmaferesi, ancora poco omogeneo tra centri e regioni.

Filo conduttore. HS e MG condividono un nodo strutturale: il vero burden non è descritto dal costo del farmaco. In particolare, HS è una malattia infiammatoria cronica gestita come sequenza di infezioni acute; MG è una malattia rara ma trattabile, intercettata tardivamente

da specialisti non neurologi, gestita in modo frammentato e valutata sul solo costo dell'innovazione, ignorando crisi, ricoveri e tossicità della terapia steroidea cronica.

3. Le sei convergenze del lavoro multi-stakeholder

Pur lavorando in autonomia su patologie e angoli di osservazione differenti, i quattro tavoli multi-stakeholder hanno espresso un consenso sostanziale su sei messaggi, proposti come architettura di riferimento per la rielaborazione successiva. Il passaggio chiave è la transizione, esplicita e condivisa, da una logica di prestazione a una logica di percorso: nessuna delle componenti tecniche (test diagnostico, farmaco, specialista, centro di riferimento) è di per sé sufficiente in assenza di una filiera che colleghi diagnosi, eleggibilità, accesso, trattamento, follow-up, supporto al paziente e misurazione degli esiti.

3.1 Riconoscere e standardizzare il percorso

La prima convergenza riguarda la necessità di rendere visibile e istituzionale ciò che oggi esiste in modo informale, riducendo la dipendenza dalla maturità del singolo centro o dalla disponibilità del singolo professionista. I tavoli hanno richiamato il valore di un PDTA interdisciplinare, di una rete *hub-and-spoke* formalizzata, di centri di riferimento riconosciuti, di criteri di invio e canali fast-track. L'istituzionalizzazione del percorso favorisce, a sua volta, l'accumulo di competenze, la confrontabilità tra centri e la riduzione della variabilità regionale.

3.2 La diagnosi come snodo critico

La seconda convergenza colloca la diagnosi al primo posto nell'agenda di *policy*. Velocità diagnostica, standardizzazione delle procedure, disponibilità e rimborsabilità dei test, formazione dei professionisti “sentinella” sono stati temi ricorrenti in tutte le restituzioni. Per la MG la standardizzazione dei test anticorpali (radioimmunologici, cell-based, di conferma) condiziona direttamente l'eleggibilità ai nuovi farmaci, ponendo una questione regolatoria oggi non pienamente risolta: la possibilità di rimborsare una terapia in assenza di un test di selezione adeguatamente codificato. Per l'HS lo snodo si colloca a monte, nella capacità del sistema di distinguere una malattia infiammatoria cronica da un quadro infettivo ricorrente. In entrambi i casi, l'innovazione terapeutica rischia di essere svalutata se non è preceduta da un'innovazione diagnostica e organizzativa.

3.3 Dalla prescrizione alla continuità terapeutica

La terza convergenza sposta il ragionamento dal farmaco disponibile al farmaco effettivamente gestibile. I tavoli hanno richiamato la continuità ospedale-territorio, l'accesso alle terapie infusionali e sottocutanee, il ruolo dell'*home delivery*, della presa in carico domiciliare, del *case manager* infermieristico, dell'infermiere dedicato, del supporto amministrativo al medico e del monitoraggio digitale. Tale dimensione è particolarmente sensibile nei passaggi tra ricerca clinica, uso compassionevole e disponibilità commerciale, e nella gestione dei pazienti in mobilità interregionale, oggi affidata a interlocuzioni informali tra centri.

3.4 Burden of disease oltre il costo della terapia

La quarta convergenza chiede un ampliamento esplicito del perimetro valutativo. Il costo della terapia, isolato dal percorso, è un indicatore parziale e potenzialmente fuorviante: deve essere letto in rapporto al costo evitato della cronicità, delle riacutizzazioni, dei ricoveri, della plasmaferesi e delle

immunoglobuline, degli eventi avversi della terapia steroidea cronica, degli accessi ripetuti e dei trattamenti antibiotici inappropriati, della perdita di produttività e del carico sui caregiver. Sul piano metodologico, ciò richiede di affiancare al budget impact del farmaco una valutazione di impatto complessivo sul percorso e sulla società, includendo costi sanitari, sociali e pubblici non sanitari (ad esempio, i trasferimenti economici associati alla condizione come la previdenza sociale).

3.5 Dati e digitalizzazione come condizioni abilitanti

La quinta convergenza qualifica i sistemi informativi, i registri, la cartella condivisa, il monitoraggio remoto, i PRO (Patient-Reported Outcome), i PREM (Patient-Reported Experience Measures) e i CROM (Clinician-Reported Outcome Measures) come strumenti di governance, non come elementi tecnologici accessori. Il SSN dispone di una profondità di dato comparativamente elevata: il limite all'utilizzo non è prevalentemente tecnico o regolatorio (gli strumenti esistono), ma culturale. Restituire il dato a chi lo produce, integrarlo tra fonti amministrative, cliniche e di esperienza del paziente, e analizzarlo in luoghi competenti (incluso il livello accademico, attraverso accordi di scambio dati) è una condizione per spostare il sistema da un governo dichiarato a un governo misurato.

3.6 Il paziente come parte attiva del percorso

La sesta convergenza riconosce il cambiamento di paradigma dell'innovazione: dal solo guadagno di sopravvivenza al guadagno congiunto di sopravvivenza e qualità della vita. In condizioni come HS e MG, in cui la quotidianità del paziente è plasmata dal dolore, dalle medicazioni, dalla fluttuazione dei sintomi e dall'impatto sulla capacità lavorativa, il paziente non può essere solo destinatario della terapia: deve essere co-produttore della gestione, sostenuto da educazione, partecipazione della famiglia, strumenti digitali, PRO e semplificazione dell'accesso.

4. Cinque priorità operative condivise

Le sei convergenze si traducono in cinque priorità operative su cui i tavoli hanno espresso un consenso ampio. Ciascuna priorità è formulata in termini di output atteso ai fini di alimentare il confronto istituzionale con Regioni, aziende sanitarie, società scientifiche e associazioni dei pazienti.

Priorità	Output atteso:
1 Formalizzare la rete e il percorso Costruire o rafforzare una rete riconosciuta, con centri esperti, <i>spoke</i> territoriali, ruoli e responsabilità chiare, criteri di invio e canali rapidi. Per la MG significa rafforzare i collegamenti tra oculisti, neurologi, pronto soccorso, laboratori, rianimazione e centri esperti; per l'HS collegare dermatologia, chirurgia, territorio, medicazioni, dolore, metabolismo, ginecologia o proctologia e assistenza infermieristica. Il livello di governo è regionale e sovra-aziendale, con regia nazionale (Istituto Superiore di Sanità, società scientifiche) e dimensione almeno provinciale per garantire massa critica statistica.	PDTA o modello di rete formalizzato, con ruoli, criteri di invio e responsabilità prescrittive esplicite.
2 Anticipare la diagnosi e la presa in carico Ridurre il <i>time-to-diagnosis</i> attraverso la formazione dei professionisti sentinella, l'accesso ai test, la standardizzazione diagnostica e l'attivazione di canali fast-track. Per la MG i nodi sentinella sono oculisti, geriatri, internisti,	Algoritmo di sospetto e <i>referral</i> , programmi

gastroenterologi, pronto soccorso e medici di medicina generale; per l'HS si aggiungono dermatologi generalisti, chirurghi, ginecologi e farmacie di comunità. È stato richiamato il potenziale dei sistemi informativi predittivi, basati sui flussi di consumo sanitario (ad esempio cicli antibiotici ripetuti, codici DRG e procedure ricorrenti), per intercettare popolazioni potenzialmente eleggibili a screening proattivo.	FAD/ECM dedicati, criteri di standardizzazione dei test diagnostici.
3 Garantire un accesso appropriato e omogeneo all'innovazione L'innovazione è riconosciuta come valore, ma subordinata a criteri di appropriatezza, eleggibilità, monitoraggio e sostenibilità. Il quesito non è innovazione sì o no, ma per quale paziente, in quale fase, con quale obiettivo, con quale monitoraggio e con quale responsabilità prescrittiva. Sono stati richiamati: il legame tra disponibilità del test diagnostico e accesso effettivo al farmaco, l'integrazione tra biologico e chirurgia in HS, l'ottimizzazione della terapia steroidea in MG e l'esigenza di superare la disomogeneità nei tempi di contrattualizzazione regionale (PTO e PTOR, modalità ambulatoriale vs chirurgia a bassa intensità, rendicontazione dei farmaci in file F) e nella gestione della mobilità interregionale, oggi spesso affidata a interlocuzioni informali.	Criteri condivisi di eleggibilità, sequenziamento e rivalutazione; misure correttive sui flussi amministrativi della mobilità.
4 Integrare assistenza territoriale, domiciliare e digitale Portare la gestione fuori dalla sola visita specialistica: assistenza infermieristica domiciliare, <i>home delivery</i> o somministrazione domiciliare ove appropriata, monitoraggio remoto, canali rapidi di comunicazione con il centro, <i>case management</i> infermieristico e supporto amministrativo dedicato. I <i>Patient Support Program</i> (PSP), oggi spesso ereditati dalla fase di sperimentazione clinica, devono trovare un perimetro contrattuale chiaro nei capitolati di gara, definendo responsabilità clinica, qualità del servizio e continuità nel passaggio tra ricerca, uso compassionevole e assistenza.	Modello di continuità assistenziale, con regole esplicite per i PSP e per i passaggi regolatori.

5. Misurare il percorso attraverso un cruscotto minimo di KPI condivisi

Tutti i tavoli convergono sulla necessità di un cruscotto minimo. Misurare significa governare: in assenza di indicatori condivisi e accessibili (registri non solo come gate di accesso, ma come fonte di restituzione del dato), il percorso non è valutabile e l'innovazione non è valorizzabile.

L'output atteso è un cruscotto minimo integrato tra dati amministrativi, clinici, PRO/PREM e flussi di farmacovigilanza, con possibilità di analisi accademiche su accordi di scambio dati. Il cruscotto sintetizza gli indicatori più ricorrenti nelle restituzioni dei tavoli, articolati per patologia e per dimensione (tempi di percorso, appropriatezza, esiti clinici e PRO, equità di accesso). È pensato come set minimo replicabile a livello regionale e sovra-aziendale, da integrare con flussi amministrativi esistenti e con i dati dei registri AIFA.

Dimensione	Idrosadenite Suppurativa (HS)	Miastenia Gravis (MG)
Efficienza / tempestività del percorso diagnostico	Tempo medio dal primo sintomo alla diagnosi	Tempo dal primo sintomo a diagnosi e a centro esperto
Appropriatezza diagnostica	Numero di cicli antibiotici prima del <i>referral</i>	Quota di pazienti con anticorpi testati correttamente
Burden assistenziale e ospedalizzazioni	Accessi al pronto soccorso per anno e per paziente	Numero di ricoveri e crisi miasteniche per anno
Gestione assistenziale e continuità di cura	Quota di pazienti con piano di medicazione strutturato e assistenza infermieristica domiciliare	Dose cumulativa di steroidi ed eventi avversi iatrogeni
Appropriatezza terapeutica	Pazienti con valutazione chirurgica quando indicata; integrazione biologico-chirurgia	Quota di pazienti con piano vaccinale prima di anti-complemento
PRO ed equità	PRO su dolore, qualità di vita e giornate lavorative perse	PRO su fatigue, diplopia, capacità funzionale; differenze regionali di accesso a test e farmaci

6. Barriere identificate

I tavoli hanno ricondotto le barriere a quattro famiglie, che operano in modo trasversale rispetto alle due patologie.

- **Amministrative e regolatorie.** Eterogeneità nei tempi di contrattualizzazione regionale dell'innovazione (PTO/PTOR, codici di prestazione ambulatoriale vs BIC, flusso F, file F); modalità non omogenee di gestione dei pazienti in mobilità; registri AIFA usati come adempimento più che come strumento di governance; criticità nel passaggio dalla ricerca clinica e dall'uso compassionevole alla disponibilità commerciale; assenza di codici di rimborso adeguati per alcuni test diagnostici di selezione.
- **Organizzative.** Carenza di personale dedicato (case manager, supporto amministrativo al medico), difficoltà a costruire e mantenere team multidisciplinari, integrazione fragile tra ospedale e territorio, vincoli logistici (spazi ambulatoriali, locali di stoccaggio) di fronte alla crescente complessità terapeutica e all'aumento della platea di pazienti.
- **Informative.** Frammentazione dei flussi, assenza di un dato di patologia condiviso, scarsa interoperabilità tra sistemi regionali, registri non sempre restituiti al sistema, difficoltà di estrazione e analisi dei dati per programmazione sanitaria e ricerca.
- **Culturali e professionali.** Scarsa conoscenza delle patologie nei nodi di primo contatto (MMG, oculisti, farmacisti, pronto soccorso); sottovalutazione del burden reale, in particolare per i

sintomi fluttuanti o socialmente invalidanti; resistenze al cambio di paradigma terapeutico; difficoltà del sistema a guardarsi attraverso i dati.

7. Stakeholder da coinvolgere nel seguito

I lavori hanno fatto emergere come per dare seguito alle proposte sia opportuno ampliare la platea da coinvolgere: oltre agli attori già rappresentati durante il workshop, le Regioni e gli Assessorati alla Salute, le Direzioni generali aziendali e le Centrali Uniche di Committenza, i Medici di Medicina Generale e gli ordini provinciali, le farmacie dei servizi e Federfarma, le società scientifiche, le associazioni dei pazienti, l'Istituto Superiore di Sanità come potenziale regia nazionale e i partner tecnologici per i sistemi informativi e per il monitoraggio digitale.

8. Considerazioni di sintesi e prossimi passi

Il messaggio centrale della giornata, formulato dal coordinamento accademico SDA Bocconi in chiusura dei lavori, è netto. Per HS e Miastenia Gravis l'innovazione terapeutica è necessaria, ma non sufficiente: il valore si genera solo se il farmaco entra in un percorso capace di diagnosticare precocemente, prendere in carico in modo multidisciplinare, garantire continuità, monitorare gli esiti e ridurre la variabilità di accesso. La sfida che ne deriva non è solo clinica e non è solo economica: è una sfida di governance del percorso.

All'interno di questa lettura assumono particolare rilievo tre direttrici di lavoro:

1. Il superamento del costo della terapia come indicatore guida: l'attenzione va spostata sul burden complessivo della malattia e sul ruolo che le terapie hanno nel modificarlo, includendo l'impatto sui caregiver, sulle imprese e sulla spesa pubblica non sanitaria.
2. L'attivazione di una governance del dato che superi le resistenze culturali e che permetta al sistema di guardarsi allo specchio anche attraverso analisi indipendenti, accademiche o di terze parti: la disponibilità di dato in Italia è comparativamente elevata e va valorizzata.
3. Il pieno riconoscimento del paziente come co-produttore di valore, in coerenza con il cambiamento di paradigma dell'innovazione, che ha esteso la disponibilità a pagare del sistema dal solo guadagno di sopravvivenza al guadagno congiunto di sopravvivenza e qualità della vita.

Sintesi finale. Il lavoro dei tavoli esprime una transizione esplicita: da una logica di prestazione a una logica di percorso. Non basta avere il test, il farmaco, il centro o lo specialista; serve una filiera integrata che colleghi diagnosi, eleggibilità, accesso, trattamento, follow-up, supporto al paziente e misurazione degli esiti. Il valore — clinico, organizzativo, sociale — si genera lungo la filiera, non in un singolo passaggio.

Prossimi passi

1. Identificazione di una o due Regioni pilota per la sperimentazione del modello di rete formalizzata e del cruscotto minimo di KPI, su dimensione almeno provinciale per garantire massa critica statistica.
2. Avvio di progettualità locali a coppia ASL — centro di riferimento, finalizzate a dimostrare su un perimetro circoscritto il valore del modello e a produrre il dato di cui il livello regionale necessita per scalare gli interventi.

3. Apertura di un tavolo tecnico sui flussi amministrativi (file F, mobilità interregionale, codici di prestazione, codici di rimborso dei test diagnostici di selezione) per ridurre l'accumulo di eccezioni regolamentari e allineare la regolazione alla gestione attuale delle tecnologie.

ELENCO DEGLI AUTORI

- Monica Otto, SDA Bocconi
- Francesco Costa, SDA Bocconi
- Patrizio Armeni, SDA Bocconi
- Michele Bonaga, UCB Pharma
- Salvatore Borghese, UCB Pharma
- Piero Andrea Cutaia, UCB Pharma
- Saverio Giliberti, UCB Pharma
- Gianpaolo Magnano, UCB Pharma
- Paola Marcolin, UCB Pharma
- Paolo Oldani, UCB Pharma
- Ruggero Cascio Ingurgio, Dermatology Unit, IRCCS Humanitas Research Hospital
- Giovanni Genovese, Ambulatorio Immunopatologia Cutanea e Idrosadenite Suppurativa Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico
- Alvino Biseco, Dipartimento di Scienze Mediche e Chirurgiche Avanzate - Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli" - Napoli
- Paolo Emilio Alboini, Department of Advanced Medical and Surgical Sciences School of Medicine and Surgery University of Campania Luigi Vanvitelli
- Alessio De Luca, UOC Farmacia interna-ospedale isola Tiberina-Gemelli Isola
- Adriano Cristinziano, Farmacia Ospedale Monaldi A.O. Ospedali dei Colli - Napoli
- Luisa Gervasio, Farmacia Ospedaliera Fondazione Istituto Neurologico Nazionale Casimiro Mondino
- Angela Pasquariello, S.S. Farmacia Ospedaliera Fondazione IRCCS Istituto Neurologico "Carlo Besta"
- Ignazio Del Campo, Direttore Amministrativo ASP Palermo