# EMATOLOGIA IN REGIONE LOMBARDIA: STRATEGIE REGIONALI PER L’INNOVAZIONE

21 Luglio 2025
Palazzo Lombardia
Belvedere 38/39
Piazza Città di Lombardia 1
Milano

# CONTESTO

- Negli ultimi anni, l'ematologia ha vissuto una profonda trasformazione, grazie al progresso scientifico e all'introduzione di nuove terapie che hanno rivoluzionato l'approccio alla cura di patologie complesse come il mieloma multiplo. Questo cambiamento, se da un lato ha ampliato le prospettive di trattamento per i pazienti, dall'altro **richiede un'evoluzione del sistema sanitario regionale**, affinché possa **garantire l'accesso all'innovazione in modo equo, sostenibile e appropriato.**

- Regione Lombardia ha già avviato importanti iniziative, come **l'istituzione della Rete Ematologica Lombarda (REL) e dell'Intergruppo consiliare** dedicato ai bisogni dei pazienti oncologici e onco-ematologici, con **l'obiettivo di definire Percorsi Diagnostico-Terapeutici Assistenziali (PDTA) per tutte le patologie oncologiche, promuovendo un modello di presa in carico più vicino ai bisogni reali delle persone e più integrato con il territorio**. Tuttavia, la crescente complessità dei percorsi terapeutici, l'impatto delle terapie avanzate e l'esigenza di razionalizzare le risorse disponibili rendono necessaria una riflessione condivisa tra tutti gli attori del sistema

# TERAPIE AVANZATE: tra innovazione e accesso alle terapie

- La ricerca nel campo farmaceutico ha prodotto soluzioni terapeutiche innovative per il trattamento di molte patologie che progressivamente giungeranno sul mercato e che impongono alle Istituzioni un ripensamento degli attuali modelli di rimborso per permettere l'accesso dei pazienti e tutelare la sostenibilità del Sistema Sanitario Nazionale

- Nuovi modelli di governance delle risorse possono essere sperimentati e valutati trasversalmente, a partire dallo strumento contabile con i relativi vincoli di bilancio, l'utilizzo dei dati in termini di monitoraggio e misurazione delle performance e di programmazione delle politiche di finanziamento per garantire sostenibilità ed accesso alle terapie innovative

# L'INNOVAZIONE DEI PRODOTTI E DEI PROCESSI RICHIEDE MODELLI REGOLATORI INNOVATIVI

- La ricerca ha già rivoluzionato molte terapie e quelle personalizzate rappresentano ormai più del 40% dei farmaci in sviluppo (il 73% in oncologia), con la possibilità di dare risposte più efficaci ai bisogni di salute dei singoli individui, ridurre gli effetti collaterali e i costi connessi

- Il nuovo paradigma è la salute di precisione, un processo continuo e interconnesso, nel quale i farmaci non sono più solo un prodotto, ma parte di un percorso assistenziale, combinati con prevenzione, combinazioni tra farmaci, device e tecnologie digitali, assistenza

- I cambiamenti che derivano da scienza e tecnologie devono essere accompagnati da un'evoluzione parallela dei modelli gestionali, e quindi della governance complessiva del sistema, che dovrà orientarsi a misure il valore totale del percorso diagnostico, terapeutico e assistenziale, non solo il costo dei singoli fattori, e quindi:

- Considerare anche i costi evitati da terapie appropriate nelle altre voci di spesa di welfare

- Misurare e integrare con adeguati schemi finanziari i costi sostenuti in un anno e i risultati di salute lungo tutto l'arco della vita, con le prestazioni sanitarie viste come investimento

- Innovare le regole anche della finanza pubblica, perché quelle attuali non si adattano più a una realtà sanitaria, industriale e sociale che è cambiata e richiede nuovi metodi di classificazione della spesa e tra corrente e conto capitale

# L’INDUSTRIA FARMACEUTICA E’ IN FASE DI GRANDE INNOVAZIONE

- Tra il 2023 e il 2028 le aziende farmaceutiche investiranno in R&S 1.600 miliardi di dollari e altrettanti per impianti produttivi ad alta tecnologia, rafforzando il loro primato per R&S, nella quale investono il 16% del fatturato rispetto a 5% della media di tutti i settori

- La pipeline (insieme dei farmaci in fase di sviluppo da parte di un'azienda, dalla ricerca iniziale fino alla potenziale commercializzazione) di ricerca globale è ai massimi storici con 20.000 prodotti in sviluppo (circa 50% di sintesi chimica e 50% biotech) e nell’ultimo triennio sono stati lanciati 79 nuovi farmaci rispetto a 50 in media nei cinque anni precedenti

- Gli studi clinici di vaccini m RNA sono cresciuti da 7 nel 2017 a 65 nel 2022

- La next generation therapeutics (che includono terapie geniche, cellulari somatiche, di ingegneria tissutale) aumentano del 20% all’anno

- Un’accelerazione esponenziale che cresce con la OPEN INNOVATION delle imprese, al centro di un ecosistema composto da una pluralità di attori

- Contesto di grande progresso: in Italia la mortalità è diminuita del 28% in venti anni e del 40% per le patologie croniche; in dieci anni le persone che sopravvivono dopo una diagnosi di tumore sono 1 milione in più; 260.000 persone sono guarite grazie ai farmaci innovativi contro l’epatite C

# Rete Ematologica Lombarda (REL)

- La Rete Ematologica Lombarda (REL) è un sistema organizzativo che permette la condivisione di informazioni cliniche e la comunicazione tra i medici e le Strutture sanitarie che attuano prevenzione, assistono e curano persone affette da patologie ematologiche come leucemie, linfomi, mielomi, malattie emorragiche e trombotiche. **La REL è finalizzata a migliorare l'appropriatezza dei percorsi diagnostici, terapeutici, assistenziali per questa tipologia di patologie**

- OBIETTIVI REL:

•Garantire la accessibilità alle cure con la stessa qualità delle prestazioni a tutti i pazienti ematologici su tutto il territorio regionale;

• Consentire la accessibilità, su tutto il territorio regionale, alle prestazioni ad elevato contenuto tecnologico;

• Assicurare la continuità assistenziale attraverso la realizzazione di percorsi integrati tra le diverse strutture ospedaliere e la medicina territoriale;

• Coniugare la appropriatezza delle cure con la sostenibilità economica.

# Le nuove armi terapeutiche a disposizione

- In Italia le nuove diagnosi di tumori del sangue sono ogni anno 30mila. Di queste, circa 1.100 riguardano bambini e adolescenti. **Complessivamente sono 500mila le persone che convivono con i diversi tipi di neoplasie ematologiche** e per questi pazienti la ricerca ha fatto passi da gigante per fornire cure sempre più efficaci, in particolare grazie all'immunoterapia e ai trapianti di midollo osseo

- Un ruolo chiave lo giocano gli anticorpi bispecifici, cioè anticorpi bidirezionali che da un lato legano la cellula tumorale e dall'altro il linfocita T, uno dei pilastri del sistema immunitario, e le terapie CAR-T. “Gli anticorpi bispecifici favoriscono il contatto diretto tra le cellule tumorali e i linfociti T, capaci di riconoscerle e distruggerle. Inoltre, è disponibile un'altra immunoterapia molto importante: le **CAR-T**