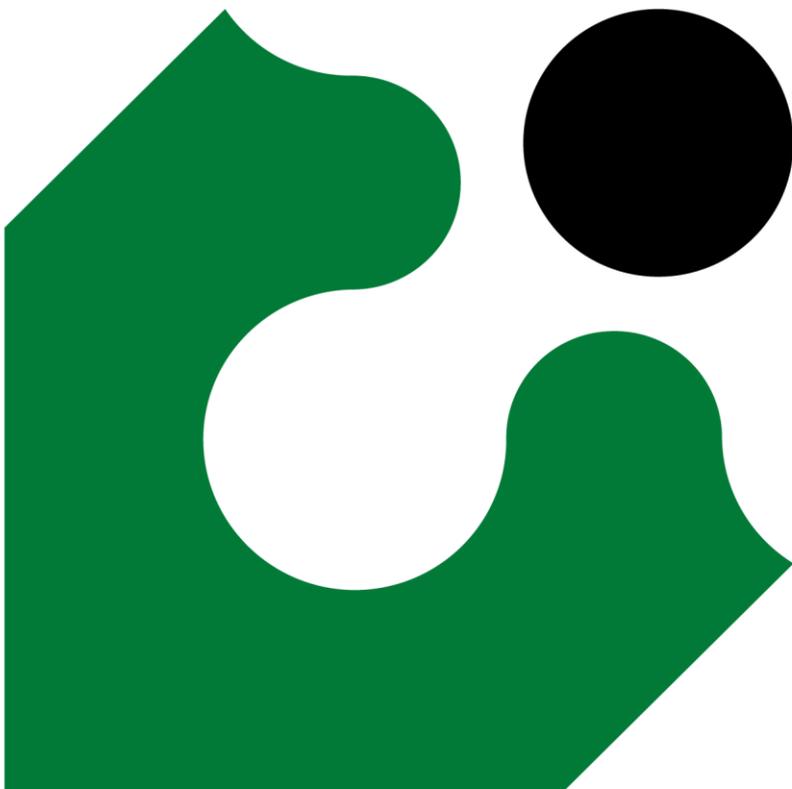


**Le malattie croniche in età pediatrica e la  
“transitional care”: la drepanocitosi come  
modello di integrazione tra reparti pediatrici  
e degli adulti**

**Autore: Dr. Lucia Dora Notarangelo**

**Corso di formazione manageriale  
per Dirigenti di Struttura Complessa  
2019-2021**





Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

## **Corso di formazione manageriale per Dirigenti di Struttura Complessa**

Codice corso: UNIMI-DSC 1901/AE

Università degli Studi di Milano

### **AUTORE: Dr. Lucia Dora Notarangelo**

Dirigente Medico, Direzione Medica, Presidio Ospedale dei Bambini, ASST Spedali Civili di Brescia, [luciadora.notarangelo@asst-spedalivicivi.it](mailto:luciadora.notarangelo@asst-spedalivicivi.it)

### **DOCENTE DI PROGETTO: Prof. Federico Lega**

Professore Ordinario, Dipartimento di Scienze Biomediche per la Salute, Università Statale di Milano

### **IL RESPONSABILE DIDATTICO SCIENTIFICO: Prof. Federico Lega**

Professore Ordinario, Dipartimento di Scienze Biomediche per la Salute, Università Statale di Milano

Publicazione non in vendita.  
Nessuna riproduzione, traduzione o adattamento  
può essere pubblicata senza citarne la fonte.  
Copyright® PoliS-Lombardia

**PoliS-Lombardia**  
Via Taramelli, 12/F - 20124 Milano  
[www.polis.lombardia.it](http://www.polis.lombardia.it)

Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

# INDICE

INDICE.....	6
INTRODUZIONE.....	8
ANALISI DI CONTESTO: LA REALTA DELLA DREPANOCITOSI NELLA REALTA DEL PRESIDIO PEDIATRICO DEGLI SPEDALI CIVILI DI BRESCIA.....	11
OBIETTIVI STRATEGICI E SPECIFICI DEL PROGETTO.....	13
DESTINATARI/BENEFICIARI DEL PROGETTO.....	14
METODOLOGIA ADOTTATA.....	15
DESCRIZIONE DEL PROGETTO, IMPLEMENTAZIONE DEL PROCESSO, FASI E TEMPISTICHE	16
ANALISI DEI COSTI DI IMPLEMENTAZIONE O REALIZZAZIONE.....	18
RISULTATI ATTESI.....	19
CONCLUSIONI.....	22
RIFERIMENTI NORMATIVI.....	23
BIBLIOGRAFIA .....	24

Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti



## INTRODUZIONE

Il processo di transizione (transitional care) del paziente pediatrico cronico si definisce come il passaggio pianificato da un modello di cura centrato sul bambino/adolescente a quello di presa in carico orientata sui bisogni, clinici e psicologici, propri dell'età adulta [Blum et al, 1993]. Tale passaggio è spesso associato ad un peggioramento delle condizioni cliniche, ad una mancata aderenza al programma di follow up e a una maggiore insorgenza di complicanze nei casi in cui esso avvenga in modo non corretto. Le motivazioni di tale insuccesso risiedono il più delle volte nella impossibilità per l'adolescente e i suoi familiari di stabilire un rapporto fiduciario diretto con la nuova équipe sanitaria, in una scarsa flessibilità organizzativa delle strutture per adulti e in una non adeguata comunicazione tra i due servizi, pediatrico e dell'adulto [Campbell F et al, 2016]. La transizione è, infatti, un concetto totalmente differente dal “trasferimento”, che per definizione è un processo momentaneo che si svolge in un'unità di tempo molto breve.

L'importanza di una transizione corretta dalle cure pediatriche alla medicina dell'adulto è ribadita anche dal Piano Sociosanitario Integrato Lombardo 2019-2023, Art 4 Legge Regionale 33/2009 (Deliberazione N° X1/2498 del 26/11/2019), laddove riconosce che *“La transizione delle cure pediatriche alla medicina dell'adulto rappresenta un aspetto peculiare e tuttora critico dell'assistenza all'adolescente. E' un delicato processo multidimensionale e multiprofessionale, volto non solo alla necessità di cura, ma anche agli aspetti psico-sociali, educativi e professionali, la cui strutturazione risulta non ancora adeguata. L'età della transizione deve avvenire in modo flessibile, non solo in rapporto al raggiungimento dell'età adulta, ma anche alle condizioni cliniche, della maturità raggiunta e della capacità di auto gestione dell'adolescente. Si tratta pertanto di un processo individualizzato, realizzabile con differenti modelli operativi”* (Pag. 42). Lo stesso Piano incoraggia la promozione di iniziative di sensibilizzazione e formazione integrata di tutti gli operatori coinvolti, con l'obiettivo di creare percorsi adeguati in grado di garantire la qualità e la continuità dell'assistenza; inoltre, nelle sue premesse, viene indicato come prioritario *“l'investire sulle relazioni di cura, dando centralità alla dimensione fiduciaria negli scambi tra cittadino e offerta”* (Pag. 2).

Gli Spedali Civili di Brescia sono centro di riferimento per Regione Lombardia di numerose malattie rare; tra queste, molte esordiscono in età pediatrica e si prolungano nell'età adulta, grazie al miglioramento delle cure. Il progettare e pianificare, quindi, una *transitional care* adeguata diventa un aspetto prioritario. Lo scopo di questo Project Work è pertanto quello di delineare un modello possibile di transizione, partendo da una condizione cronica quale la Drepanocitosi.

Essa comprende un gruppo di anemie croniche ereditarie caratterizzate dalla presenza di un'emoglobina anomala denominata emoglobina S (HbS) conseguente a una variante genetica [Kato et al, 2018 ] e rappresenta la più comune malattia monogenica al mondo [Rees et al, 2010]. La sua distribuzione geografica è correlata prevalentemente a due fattori:

- a) ha un'alta prevalenza nelle zone malariche, in quanto si ritiene che lo stato di portatore (quindi non affetto) di emoglobina S sia protettivo nei confronti dell'infezione da *Plasmodium Falciparum* [Luzzato et al, 2012; Piel et al, 2010]
- b) segue in parte i flussi migratori. La sua prevalenza è infatti maggiore nelle zone dell'Africa subsahariana (15-25%), nel bacino del mediterraneo (1-15%), nel medio oriente e in India (10%), [Piel

et al, 2010] ma i fenomeni migratori hanno condotto a una diffusione mondiale della drepanocitosi, in particolare nel nord America e nell'Europa occidentale [Piel et al, 2013] tanto da rappresentare una patologia di sempre più frequente riscontro nelle nostre regioni, con un alto impatto sanitario. I pazienti affetti necessitano infatti di un follow up complesso, volto a prevenire le complicanze e il danno d'organo nonché a minimizzare il rischio infettivo, principale causa di mortalità nei paesi a risorse economiche limitate.

Le emoglobinopatie rappresentano un problema rilevante dal punto di vista sanitario in più di 2/3 delle nazioni del mondo. Come riportato dal WHO nel 2008, si calcola che il 7% della popolazione mondiale sia portatore di patologia emoglobinica pur con notevoli differenze geografiche, che ogni anno nascano 275.000 bambini affetti da SCD con una prevalenza variabile tra 0.1/1000 in paesi non endemici e 20/1000 in Africa e che le emoglobinopatie in generale si rendano responsabili del 3.4% dei decessi in bambini al di sotto dei cinque anni di età.

Attualmente, la maggior parte dei neonati con drepanocitosi nasce in Nigeria, Repubblica Democratica del Congo e India, ma il progressivo aumento dei soggetti affetti riguarda sia i paesi occidentali sia quelli a risorse economiche limitate, anche per motivi non legati strettamente ai flussi migratori. Nei primi, infatti, provvedimenti di politica sanitaria come l'introduzione dello screening neonatale, l'utilizzo della profilassi antibiotica sin dalla diagnosi, la prevenzione primaria dello stroke con follow up clinico e strumentale adeguato e il trattamento con idrossiurea (HU), hanno contribuito, negli ultimi 40 anni, ad aumentare l'aspettativa di vita dei soggetti affetti, con una mortalità infantile quasi sovrapponibile a quella della popolazione generale [Le PQ et al, 2015] e una sopravvivenza media oltre i 60 anni, sia pure non paragonabile ancora a quella della popolazione di riferimento [Wong et al, 2014]; nei paesi a risorse economiche limitate, la progressiva e generale riduzione della mortalità infantile negli ultimi 20 anni ha contribuito ad aumentare il numero degli affetti che raggiungono l'età adulta, anche se in alcuni paesi africani, laddove mancano un programma di screening neonatale così come strategie vaccinali efficaci, la mortalità dei bambini affetti di età inferiore ai 5 anni può ancora raggiungere il 90% [Grosse et al, 2011].

Un aspetto particolare relativo alla presa in carico del paziente pediatrico con drepanocitosi riguarda il passaggio in cura (*transitional care*). La necessità di attuare dei percorsi di passaggio in cura pediatrico/adulto è ampiamente riportata in letteratura [Cirillo et al, 2020; Roberts et al, 2020; de Hosson et al, 2020; De Baun et al, 2012]. Viene inoltre riconosciuto come tale processo, se non adeguatamente formulato, può comportare una perdita di fiducia nei confronti dei medici di riferimento, mancata aderenza al follow up previsto per le singole patologie, mancata aderenza ai trattamenti prescritti e aumento della morbilità [Coyne et al, 2019; Stollon et al, 2015; Bemrich-Stolz et al, 2015; Sadak et al, 2020]. E' inoltre necessario valutare sempre il vissuto e la prospettiva dei pazienti, al fine di assicurare una continuità di cura ottimale [Coyne et al, 2019; Sadak et al, 2020]

Mentre per alcune patologie già note nel mondo dell'adulto la *transitional care* è almeno in parte strutturata (es. diabete), per altre condizioni essa è carente nei modi e nei tempi. Il passaggio in cura dovrebbe infatti prevedere: una progressiva consapevolezza da parte dell'adolescente della sua condizione clinica, un aumento delle sue capacità di autogestione, l'acquisizione di sicurezza e fiducia nei Medici che lo prenderanno in cura, adattamento del paziente alla nuova realtà di presa in carico (*readiness* della letteratura anglosassone).

Dal punto di vista pratico, la mancanza di percorsi di continuità di cura tra il mondo pediatrico e quello dell'adulto implica la permanenza di soggetti > 18 anni presso i reparti pediatrici, con:

## Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

- difficoltà di gestione in acuto, in parte legata, in alcune realtà, all'accoglimento dei pazienti con età > 15 anni presso il P.S. adulti; ciò comporta una gestione non sempre ottimale, a volte poco chiara, con ricorso a consulenti che non conoscono il paziente. Inoltre, questo si riverbera sulla difficoltà di reperire posti letto idonei e sulla non chiara attribuzione delle competenze;
- affidamento al Collega dell'adulto con modalità non idonea; quasi sempre il “passaggio in cura” si limita alla consegna di una relazione clinica e di un'impegnativa;
- non corretta valutazione del grado di consapevolezza del paziente;
- non corretta preparazione delle famiglie, anche in caso di ragazzi maggiorenni.

I dati della letteratura, a tale proposito, sono molto chiari. Per “transitional care” si intende quel processo che comprende la fase precedente, lo svolgimento e il “dopo” di tale percorso, con definitivo affidamento del paziente ai Medici dell'adulto; ciò comporta anche un cambiamento culturale e di approccio da parte dello staff sanitario globalmente inteso ed è la fase in cui l'adolescente prende consapevolezza della propria condizione clinica, si allontana gradualmente dal modello di cura guidata esclusivamente dai genitori e diventa progressivamente in grado di gestire la propria condizione cronica [van Stata et al, 2011]. La fase successiva al passaggio in cura, con la definitiva presa in carico da parte dei Medici dell'adulto, rappresenta inoltre un momento critico in quanto è il periodo in cui l'aderenza al follow up è minore, le complicanze legate alla malattia aumentano ma non necessariamente per la cronicità in sé della condizione, con aumento dei costi in termini sociali e sanitari. Il ricorso a servizi sanitari, anche in emergenza, risulta infatti più alto durante la fase di transitional care (18-30 anni) [Brousseau et al 2010]. Ciò è in parte dovuto a difetti nella pianificazione e nel coordinamento assistenziale che portano a interruzioni nella continuità dell'assistenza e impediscono il raggiungimento di outcome clinici ottimali [Nolan et.al, 2018]. Un lavoro americano del 2013 relativo a più di 3.000 soggetti affetti inseriti nel regime di assistenza Medicaid, ha analizzato tali fenomeni registrando un minore ricorso a trasfusioni e farmaci dopo il passaggio in cura, con un netto aumento delle complicanze. Sebbene questo ultimo aspetto possa essere messo in relazione con la natura cronica della malattia, esso non è, a giudizio degli autori, sufficiente a giustificarlo. Una non corretta fase di transizione si riverbera quindi sui costi sociali e sanitari che la patologia cronica comporta [Blinder et al, 2013]. Diversi sono i modelli di attuazione proposti per la *transitional care* in altre patologie croniche [Cirillo et al, 2020; Roberts et al, 2020] e tale aspetto riguarda anche la drepanocitosi, nonostante essa sia ampiamente diffusa nel mondo; tra i diversi modelli adottati, quello della “co-location system” consiste nell'avviare tale processo utilizzando figure sanitarie e strutture allocate nella medesima sede ospedaliera [Nolan et al, 2018]; altri modelli hanno utilizzato elementi, in parte immodificabili, per giudicare del pieno raggiungimento della maturità psicologica degli adolescenti e giovani adulti (Adolescent and Young Adult, AYA) al fine di una transizione adeguata. Tale modello definito SMART (Socio-Ecological Model of AYA Readiness for Transition), prende in considerazione elementi immodificabili quali lo stato socio-demografico, la cultura di appartenenza, la situazione clinica all'atto della transizione, e gli aspetti neuro-cognitivi (questi ultimi in parte legati a pregressi stroke palesi o silenti) e altri modificabili come la conoscenza relativa alla propria condizione clinica, le capacità di gestione della malattia, le aspettative e i propri progetti di vita. Tale modello prevede l'integrazione e la cooperazione del paziente, dei genitori e dei medici di riferimento [Stollon et al, 2015]

## ANALISI DI CONTESTO: LA REALTÀ DELLA DREPANOCITOSI NEL PRESIDIO PEDIATRICO DEGLI SPEDALI CIVILI DI BRESCIA

Presso il Presidio Pediatrico degli Spedali Civili di Brescia, il numero di bambini affetti da drepanocitosi ha subito, negli ultimi decenni, un progressivo incremento legato all'aumento dei flussi migratori, diventando di fatto una delle patologie croniche più frequenti e certamente quella che ha presentato il più rapido incremento in termini numerici in un arco temporale breve. Da un'analisi retrospettiva, risultano essere stati valutati 103 pazienti in un periodo compreso tra gennaio 1995-maggio 2019; come si evince dalla Fig. 1, la quasi totalità dei pazienti è di provenienza africana.

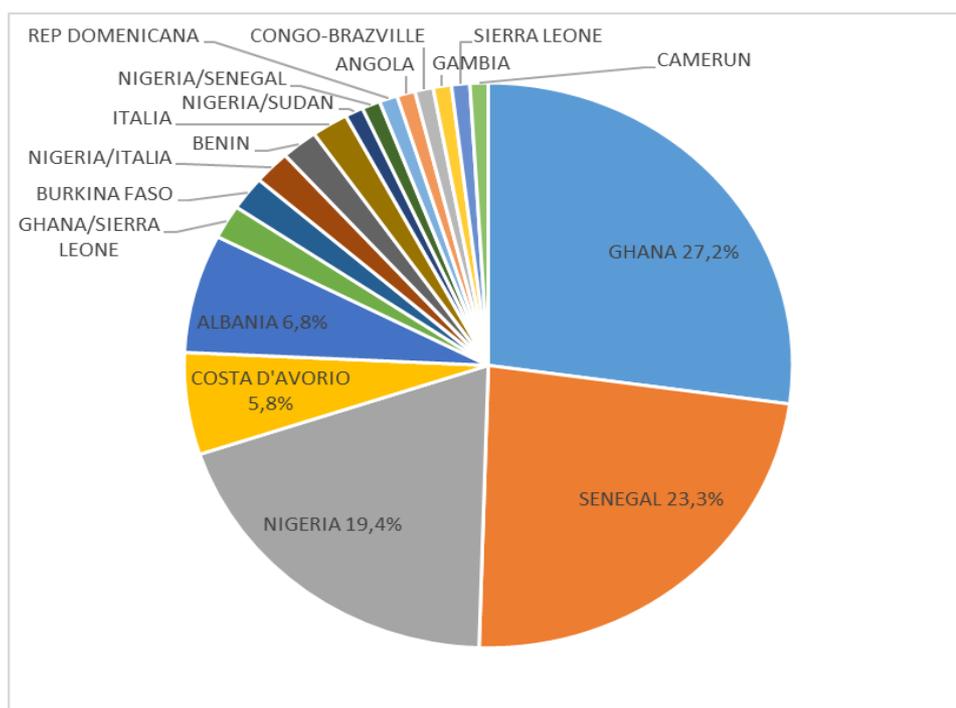


Fig. 1 Provenienza geografia dei pazienti afferiti presso l'U.O. Oncoematologia Pediatrica

Mediamente i pazienti sono stati seguiti per 7.8 anni (mediana 7.3 anni, SD  $\pm$  5.8 anni) e quelli tuttora in carico sono 82. Spesso l'interruzione della presa in carico è dipesa dalla scarsa aderenza del paziente alle visite di controllo o dal trasferimento delle famiglie verso altri paesi europei. La sopravvivenza globale della coorte è pari al 98% mentre la sopravvivenza mediana libera da eventi è pari a 27 mesi (range 1-168 mesi). Da ciò si evince quanto gli eventi clinici siano precoci e riguardino la maggior parte

## Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

dei pazienti affetti da drepanocitosi, con un alto impatto in termini di costi sanitari (patologia ad alta e frequente morbilità).

I pazienti che attualmente hanno un'età > 14 anni compiuti sono 25; di questi, 17 hanno un'età > 18 anni. I controlli vengono effettuati in regime ambulatoriale, con visite periodiche ed esecuzione di esami di laboratorio e strumentali comprendenti:

1. l'educazione prima dei genitori e poi del paziente stesso alla gestione della propria malattia (gestione delle crisi dolorose a domicilio, gestione della febbre, aderenza alle prescrizioni mediche, ai controlli regolari, al calendario vaccinale);
2. l'esecuzione di esami laboratoristici di controllo;
3. le valutazioni cliniche e strumentali regolari;
4. la profilassi antibiotica continuativa, vaccinazioni ed eventuale trattamento delle manifestazioni cliniche;
5. la sorveglianza delle complicanze.

Una strategia di cura e prevenzione così complessa richiede il coinvolgimento di diverse figure specialistiche (cardiologo, auxologo, pneumologo, chirurgo, medico trasfusionista, genetista, psicologo tra le principali),

Anche in riferimento ad altre patologie croniche seguite presso il nostro Presidio, la drepanocitosi offre elementi di diversità in quanto:

a) è prevalente nella popolazione immigrata, con difficoltà legate a fattori socio economici e necessità di organizzare percorsi assistenziali ad hoc per quanto concerne il follow up (es. organizzazione delle visite e degli esami strumentali da parte del personale ospedaliero, e non direttamente dal paziente, per la prevenzione delle complicanze d'organo);

b) presenta ulteriori aspetti di natura sociale come la necessità di coinvolgere i mediatori culturali per superare le barriere linguistiche;

Più in dettaglio, ci si è progressivamente resi conto del fatto che la mancanza di mezzi propri (auto), la lontananza dall'Ospedale e la barriera linguistica avrebbero potuto comportare un ritardo diagnostico nelle fasi acute (rischio di sepsi, con possibile letalità) e una scarsa aderenza al follow up. In alcune occasioni specifiche, sono stati pertanto coinvolti sia i servizi sociali sia il personale volontario di associazioni private (ABE, Associazione Bambino Emopatico) per cercare, almeno in parte e soprattutto nelle fasi iniziali, di sopperire a tali difficoltà.

Altre problematiche riscontrate sono legate alla gestione del paziente con drepanocitosi nel caso di eventi acuti in quanto l'accesso al Pronto Soccorso pediatrico è limitato a soggetti di età inferiore ai 15 anni; è pertanto frequente l'arrivo di pazienti affetti presso il P.S. degli adulti, anche se in carico alla pediatria, con problematiche legate alle consulenze e alla collocazione di ragazzi presso reparti non pediatrici. A ciò si aggiungono i seguenti elementi:

- a) difficoltà di approccio al paziente critico con drepanocitosi in P.S. per il mancato utilizzo di protocolli condivisi;
- b) scarsa fiducia da parte dei ragazzi affetti e delle loro famiglie nei confronti delle figure mediche verso le quali non hanno familiarità.

Questi elementi sono riconosciuti, anche in base a dati di letteratura, come peggiorativi dell'outcome clinico e responsabili di un maggior ricorso alle cure in acuto [Renedo et al, 2020].

## OBIETTIVI STRATEGICI E SPECIFICI DEL PROGETTO

L'obiettivo è quello di costruire un percorso di *transitional care* per la drepanocitosi stabile e condiviso con gli ematologi dell'adulto, in modo da renderlo automatico e non "operatore dipendente", basato su conoscenze o disponibilità momentanea dei Colleghi, così da offrire agli adolescenti affetti da drepanocitosi una continuità di cura, preparandoli adeguatamente ad affrontare la vita da adulti in modo consapevole. Requisito indispensabile alla riuscita del progetto è quello di favorire un processo di acquisizione progressiva, da parte degli ematologi dell'adulto, di piani assistenziali per pazienti con drepanocitosi. I centri italiani che si occupano di emoglobinopatie in generale (e di drepanocitosi in particolare) sono pochi, a fronte di numerosi centri di vera eccellenza sparsi su tutto il territorio nazionale ma prevalentemente orientati verso l'ematologia oncologica (leucemie e linfomi) o insufficienze midollari. La drepanocitosi è infatti di recente comparsa nel mondo dell'adulto e tale problematica non è esclusivamente italiana, tanto che è stata segnalata in letteratura la necessità di identificare le strutture minime essenziali, in termini di personale esperto e servizi (alcuni dei quali trasversali alle varie Unità Operative, come ad esempio i Servizi trasfusionali e i laboratori) che rappresentassero la base minima per poter definire un centro come idoneo ad occuparsi di drepanocitosi, con la delineazione di vari modelli, dal "Classic Comprehensive Center" fino al modello "Hub and Spoke" [Kanter et al, 2020].

La specificità del progetto, rispetto ad altre malattie croniche del bambino, risiede:

- nel tipo di popolazione di riferimento che appartiene quasi esclusivamente ad altre etnie;
- nella necessità frequente della figura del mediatore culturale;
- nella difficoltà negli spostamenti e a barriere linguistiche in quanto i pazienti sono quasi esclusivamente accompagnati dalle madri, con mancanza di mezzi propri di locomozione e scarsa comprensione della lingua italiana;
- nella necessità di facilitare i percorsi intra ospedalieri per visite multispecialistiche ed esecuzione di esami strumentali;
- nella molteplicità delle manifestazioni cliniche in quanto la drepanocitosi è una patologia ad alta morbilità;
- nel follow up complesso, con visite frequenti e necessità di esecuzione di numerosi esami strumentali;
- nel coinvolgimento di più figure professionali, mediche e infermieristiche;
- nel coinvolgimento del Pediatra di libera scelta /Medici di medicina generale per la presa in carico territoriale.

Essendo una malattia genetica, è inoltre necessario attivare stabilmente un processo di counseling per illustrare il rischio di ricorrenza. Tale aspetto è spesso sottovalutato e risulta molto limitata la consapevolezza, anche da parte dei genitori, del rischio riproduttivo. Prova ne sia il fatto che almeno 1/3 della nostra popolazione di riferimento è costituita da fratelli e che i genitori, particolarmente quelli di recente migrazione, non conoscevano la natura genetica, e quindi trasmissibile, della malattia.

## DESTINATARI/BENEFICIARI DEL PROGETTO

“... quando vedo la Dr.ssa X che arriva in pronto soccorso già il dolore diminuisce...”

“...la cosa che mi spaventa di più è il trovarmi in un ambiente che non conosco, con medici che non sanno chi sono e infermieri che mi chiedono come mi chiamo perché non mi hanno mai incontrato....”

“... non mi sento bene quando sono in una stanza con anziani....io sono un ragazzo....”

“...dottoressa X, devo dirti una cosa nell’orecchio....non c’è posto in pediatria? Qui ho paura che non sappiano curarmi....”

Queste frasi sono state dette realmente da pazienti affetti da drepanocitosi, seguiti presso il nostro Dipartimento, in vari contesti: PS adulti, stanze di degenza di Medicina per adulti e in occasione del progetto “Luna”, laboratorio creativo condotto dall’equipe di psicologia Onco-ematologica e coadiuvato dai medici che hanno in carico i pazienti con drepanocitosi. Tali frasi, così come anche i risultati del progetto Luna, hanno messo in evidenza ciò che già emergeva dai dati di letteratura in relazione alla necessità di creare un progetto trasversale che rappresenti un “continuum” dalle cure pediatriche a quelle dell’adulto. I destinatari del progetto sono quindi:

- i pazienti affetti da drepanocitosi (idealmente a partire dai 14 anni) e le figure parentali, almeno nelle fasi iniziali;
- equipe medica e infermieristica del Presidio pediatrico; equipe medica e infermieristica dell’U.O. Ematologia dell’adulto;
- altre figure trasversali: servizio di psicologia degli Spedali Civili servizio trasfusionale, servizio di genetica medica.

## METODOLOGIA ADOTTATA

I pazienti e i loro genitori, nel corso delle varie visite, hanno imparato a familiarizzare con l'equipe medico-infermieristica del centro dal quale sono seguiti; per tale motivo è frequente che dimostrino riluttanza, paura e senso di abbandono quando si introducono soggetti nuovi nel percorso di cura. Questo aspetto (che è uno dei motivi di fallimento di una transizione non ben condotta) è già descritto in letteratura [de Montalembert M et al, 2013] e richiede pertanto il costruire una metodologia di *transitional care* che rispetti i tempi dei ragazzi e delle loro famiglie. Da questo punto di vista, il creare sinergia con figure professionali che lavorino nell'ambito della stessa struttura sanitaria (co-location model) offre numerosi vantaggi.

Per queste ragioni, la metodologia che si intende adottare è dinamica (cioè diluita nel tempo) in quanto si ritiene non adeguata la modalità che si limiti alla presentazione della nuova equipe, con consegna della documentazione clinica (cross sectional event).

La metodologia che si intende applicare prevede:

- valutazione iniziale (idealmente verso i 14 anni) del grado di comprensione da parte dell'adolescente della sua malattia;
- utilizzo di un questionario;
- visite condivise con un medico di riferimento che prenderà in carico il paziente;
- adozione di linee guida condivise (AIEOP Associazione Italiana Ematologia, Oncologia Pediatrica, SITE Società Italiana Talassemie, Emoglobinopatie) per la gestione del paziente in acuto e per il follow up;
- descrizione del modello in un Percorso Diagnostico Terapeutico Assistenziale (PDTA).

## DESCRIZIONE DEL PROGETTO, IMPLEMENTAZIONE DEL PROCESSO, FASI E TEMPISTICHE

Il progetto prevede diverse fasi a seconda dell'età dell'adolescente. Teoricamente, la *transitional care* dovrebbe cominciare in ambiente esclusivamente pediatrico verso i 14 anni in occasione delle visite; per giudicare del grado di consapevolezza del ragazzo e della progressiva capacità di gestire la malattia e le sue complicanze si prevede di utilizzare un questionario, così formulato:

- Conosci la malattia da cui sei affetto?
- Sai come si trasmette?
- Sai perché a volte hai dolore?
- Sai cosa fare quando hai dolore?
- Sai quali medicine devi prendere quando hai dolore e come puoi prenderle?
- Conosci l'importanza della profilassi antibiotica?
- Sai qual è il tuo livello basale di emoglobina?
- Sai perché è importante presentarsi agli appuntamenti previsti?
- Conosci le complicanze possibili della tua malattia?
- Hai mai avuto priapismo (nei pazienti maschi)?

Tale questionario dovrebbe prevedere un punteggio (da 1 a 5) che lo renda misurabile nel tempo e andrebbe poi somministrato almeno una volta all'anno per verificare la capacità da parte dell'adolescente di gestire la malattia con progressiva autonomia.

A partire dai 14 anni, si prevede di dedicare una parte del tempo di visita, all'inizio limitatamente (5 minuti), per colloqui esclusivamente con il paziente e senza la presenza dei genitori. A tale colloquio si prevede che partecipi l'Infermiere professionale dedicato alle problematiche ematologiche del bambino. Tali colloqui, già adottati in alcune realtà [de Montalembert M et al, 2013], sono utili al fine di avere reale percezione della *readiness* e per permettere all'adolescente di porre domande in libertà, senza che la presenza del genitore possa rappresentare una limitazione.

Nella fascia di età 15-17, il piano prevede l'inserimento delle figure mediche, e possibilmente anche infermieristiche, attraverso visite congiunte con i Colleghi ematologi dell'adulto, in modo che il paziente e la sua famiglia possano:

- conoscere le figure che lo seguiranno;
- comprendere che la modalità di gestione della malattia è univoca in quanto dettata da linee guida condivise;
- familiarizzare con eventuali differenze organizzative tra un reparto e l'altro.

La durata dell'intero processo di transizione è all'incirca di 4 anni (fascia 14-18). Nella Tab 1 vengono declinate le tempistiche del progetto.

I vantaggi derivanti da un processo che avviene nella stessa struttura ospedaliera (co-local model) permettono un passaggio graduale del paziente dall'ambiente pediatrico a un ambiente diverso che impara a conoscere, con progressiva presa in carico da parte dei Colleghi dell'Ematologia adulti; ciò facilita inoltre la conoscenza del paziente da parte dei Colleghi dell'ematologia adulti, soprattutto per quanto concerne gli accessi in PS adulti di soggetti di età > 15 anni, anche se seguiti nel Presidio

pediatrico. La co-local model potrebbe inoltre permettere di creare un “ambulatorio della transizione”, fisicamente separato dalle due Unità Operative, ad uso di diverse unità operative, con agende specifiche.

Attività	2021	2022	2023	2024	2025
Individuazione e creazione dell'equipe mista pediatrico/adulti					
Creazione di un PDTA condiviso equipe mista (strutturazione intero percorso)					
Individuazione dei soggetti beneficiari del progetto (fascia 14 anni)					
Visite congiunte strutturate medico/infermieristiche (fascia 15-17 anni)					
Completamento del processo di transizione, con affidamento definitivo a medici dell'adulto					
Somministrazione annuale del questionario (elementi misurabili per valutazione della <i>readiness</i> )					
Condivisione di linee guida di Società Scientifiche (AIEOP, SITE) e relativi aggiornamenti					
Implementazione di corsi di formazione condivisi, con coinvolgimento di Medici Specializzandi in formazione					

Tab. 1 Tempistica e fasi del progetto di Transitional Care

Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

## **ANALISI DEI COSTI DI IMPLEMENTAZIONE O REALIZZAZIONE**

I costi sono relativi al fattore umano, e relativamente alla disponibilità di tempo da parte dei Colleghi ematologi dell'adulto in occasione delle visite condivise.

## RISULTATI ATTESI

Come indicatori di processo si ritiene utile avvalersi di elementi misurabili come: compliance alle visite programmate e agli esami ematochimici e strumentali prescritti, numero di ricoveri effettuati, giornate di scuola perse a causa della malattia di base nel periodo pre e post transizione (dati della letteratura anche recenti confermano un peggioramento dell'outcome subito dopo la transizione se non eseguita correttamente). Tali dati sono facilmente reperibili attraverso la documentazione sanitaria ambulatoriale o relativa ai ricoveri; ciò rappresenta anche un indicatore di esito.

La valutazione del questionario somministrato almeno annualmente permette di valutare in modo obiettivo la progressiva acquisizione delle conoscenze e il grado di autonomia raggiunto da parte del paziente.

Come indicatori di processo sarebbe necessario valutare il miglioramento della gestione in P.S. adulti della fascia 15-18 anni, se già cominciato il processo di transizione, con i seguenti elementi misurabili:

- codice attribuito (le emoglobinopatie dovrebbero per definizione avere come attribuzione un codice giallo); ciò rende ragione del grado di conoscenza della malattia in ambiente adulti;
- tempi di attesa tra l'arrivo in P.S. e la presa in carico effettiva (cure somministrate come la terapia del dolore, acquisizione del posto letto);
- questionario relativo alla sensazione soggettiva di accoglimento da parte del paziente (da implementare).

Sono stati infine valutati possibili punti di forza/debolezza del progetto attraverso una SWOT analysis, illustrata nella Tab 2

Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

	<b>Positivi</b>	<b>Negativi</b>
<b>Ambiente interno</b>	<p><b>Punti di forza (Strengths)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- creazione di un modello con elementi facilmente misurabili, utile per valutare la propria modalità di lavoro (questionario);</li> <li>- riduzione del numero dei pazienti seguiti ma affidati dopo un percorso corretto;</li> <li>- riduzione delle chiamate in P.S. adulti per pazienti adolescenti/maggiorescenti;</li> <li>- collaborazione più stretta con l’equipe dell’adulto, con possibilità di estendere un modello di transizione anche ad altre patologie.</li> </ul>	<p><b>Punti di debolezza (Weakness)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- difficoltà nel trovare momenti comuni con i Medici dell’adulto;</li> <li>- Resistenza/difficoltà per possibili cambiamenti organizzativi dell’ambulatorio (orari/giornate)</li> </ul>
<b>Ambiente esterno</b>	<p><b>Opportunità (Opportunities)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- creazioni di gruppi di cura trasversali (anche coinvolgendo i Medici Specializzandi) che favorisca una visione “patient centered” e non basata su rigide divisioni organizzative (equipe mobile);</li> <li>- aumento delle conoscenze in una patologia relativamente nuova per Medici dell’adulto;</li> <li>- possibilità di produzione scientifica condivisa o di partecipazione a gruppi di lavoro nazionali.</li> </ul>	<p><b>Rischi (Threats)</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- sovraccarico di lavoro da parte dell’equipe Medico-infermieristico dell’adulto se isorisorse;</li> <li>- Impossibilità di strutturare momenti comuni di valutazione dei pazienti;</li> </ul>

Tab 2. SWOT analysis del progetto di *transitional care*

Più in dettaglio, le ricadute positive per l’U.O. pediatrica sono rappresentate dall’adottare un modello che possa offrire elementi misurabili della propria capacità nel favorire la crescita e consapevolezza individuale dei pazienti (questionario), in modo da poter eventualmente applicare dei correttivi nella comunicazione. Dal punto di vista pratico, inoltre, si prevede una riduzione del carico di pazienti affetti, ma affidati ai Medici dell’adulto in modo corretto. Aspetto non secondario riguarda inoltre le chiamate in P.S. adulti di adolescenti/giovani, ancora seguiti presso il Dipartimento pediatrico, con impatto rilevante sul lavoro ordinario e difficoltà di gestione in altri reparti (Medicine). Una diffusione delle conoscenze e la delineazione di protocolli condivisi di cura comportano sicuramente, nel tempo, un

minor ricorso alle richieste di consulenze rivolte al Pediatrico. Un punto di debolezza del progetto, così come un possibile rischio per la piena attuazione, è rappresentato da un lato dalla difficoltà nel trovare momenti comuni con i Medici dell'adulto, dall'altro dalla necessità eventuale di riorganizzare l'ambulatorio (orari/giornate); inoltre, un rischio possibile di mancata attuazione è rappresentato dall'indubbio aumento del carico di lavoro dei Colleghi dell'ematologia adulti, concernente la presa in carico di maggiorenni attualmente ancora seguiti nel Presidio pediatrico e dei minorenni destinatari del progetto, tenuto conto che le emoglobinopatie (almeno nella nostra realtà) non rappresentano un argomento di loro precipuo interesse scientifico, molto più orientato verso l'ematologia oncologica. Un possibile, loro coinvolgimento in gruppi di studio o pubblicazioni scientifiche potrebbe in parte ovviare a tale criticità, così come il creare gruppi di lavoro trasversali tra medici Specializzandi della Pediatria e dell'Ematologia su argomenti specifici relativamente alla drepanocitosi, in modo da creare conoscenza e interesse da parte dei Colleghi più giovani (opportunità). Un PDTA condiviso, ed eventualmente implementato/modificato in corso d'opera, si ritiene possa essere uno strumento utile di pianificazione del progetto.

Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

## CONCLUSIONI

I dati della letteratura concordano sulla necessità di prevedere un processo di *transitional care* per la drepanocitosi in quanto, pur essendo molto alta la sopravvivenza di questi pazienti nell'età pediatrica (nelle regioni del mondo a risorse economiche disponibili), la morbilità e mortalità aumentano nel passaggio dalle cure pediatriche a quelle dell'adulto. L'importanza di una transizione corretta dalle cure pediatriche alla medicina dell'adulto è ribadita anche dal Piano Sociosanitario Integrato Lombardo 2019-2023. Un percorso ben strutturato è pertanto necessario e non può prescindere dalla situazione locale; occorre quindi immaginare un percorso nell'ambito della propria realtà ospedaliera, verificandone l'efficacia con indicatori misurabili. E' inoltre importante adattare linee guida condivise. La strutturazione del percorso può essere descritto in un PDTA.

## **RIFERIMENTI NORMATIVI**

Piano Sociosanitario Integrato Lombardo 2019-2023, Art 4 Legge Regionale 33/2009

## BIBLIOGRAFIA

- Bailey K.D. (1995). *Metodi della ricerca sociale*. 2ª edizione italiana (Edizione originale: *Methods of social research*, New York, The Free Press, 1982). Il Mulino, Bologna.
- Dow D. (1964). *A history of the world*. 3ª edizione. Greenfield (s.l.).
- Dow D. (1964). *A history of the world*. 3ª edizione. (s.n.) Londra.
- Cutler R., Williams K. e Williams, J. (1986). *Keynes, Beveridge and Beyond*. Routledge & Keagan, Londra.
1. Bemrich-Stolz CJ et al. Exploring Adult Care Experiences and Barriers to Transition in Adult Patients with Sickle Cell Disease. *Int J Hematol Ther*. 2015 ; 1(1):
  2. Blinder MA et al. Age-Related Treatment Patterns in Sickle Cell Disease Patients and the Associated Sickle Cell Complications and Healthcare Cost. *Pediatr Blood Cancer* 2013;60:828–835
  3. Blum RW et al. Transition from child-centered to adult health-care systems for adolescents with chronic conditions. A position paper of the Society for Adolescent Medicine. *Journal of Adolescent Health* 1993;14(7):570–6
  4. Brousseau DC et al. Acute care utilization and rehospitalizations for sickle cell disease. *JAMA*. 2010;303(13):1288–1294)
  5. Campbell F et al. Transition of care for adolescents from paediatric services to adult health services. *Cochrane Database of Systematic Reviews* 2016, Issue 4. Art. No.: CD009794
  6. Cirillo et al. Consensus of the Italian Primary Immunodeficiency Network on transition management from pediatric to adult care in patients affected with childhood-onset inborn errors of immunity. *J Allergy Clin Immunol* 2020 Aug 19;S0091-6749(20)31165-9
  7. Coyne I et al. Healthcare transition for adolescents and young adults with long-term conditions: Qualitative study of patients, parents and healthcare professionals' experiences. *Clin Nurs* 2019 Nov;28(21-22):4062-4076
  8. DeBaun et al “Transition and Sickle Cell Disease. *Pediatrics* 2012;130:926–935
  9. De Hosson et al. Development of a transition program for adolescents with congenital heart disease. *Eur J Pediatr* 2020 Feb;179(2):339-348
  10. De Montalembert et al. Transition from paediatric to adult care for patients with sickle cell disease. *Br J Haematol*, 2014, 164, 630–635
  11. L. Luzzatto. Sickle cell anaemia and malaria. *Mediterr. J. Hematol. Infect. Dis.*, vol. 4, no. 1, p. e2012065, 2012.
  12. Kanter J et al. Building access to care in adult sickle cell disease: defining models of care, essential components, and economic aspects. *Blood advances*, 2020;4(16): 3804-12
  13. G. J. Kato et al. Sickle cell disease. *Nature Reviews Disease Primers*, vol. 4. Macmillan Publishers Limited, pp. 1–22, 2018.
  14. Grosse SD et al. Sickle cell disease in Africa: a neglected cause of early childhood mortality. *Am J Prev Med* 2011; 41: Supl 4: S398-S405.
  15. Le PQ et al. Survival among children and adults with sickle cell disease in Belgium: benefit from hydroxyure treatment. *Pediatr Blood Cancer* 2015;62:1956-61.
  16. Nolan et.al. Pediatric to adult care co- location transitional model for youth with sickle cell disease. *Am J Hematol*. 2018 Jan;93(1):E30-E32.

17. F. B. Piel et al. Global distribution of the sickle cell gene and geographical confirmation of the malaria hypothesis. *Nat. Commun.*, vol. 1, p. 104, Nov. 2010.
18. F.B. Piel et al. Global epidemiology of sickle haemoglobin in neonates: a contemporary geostatistical model-based map and population estimates.. *Lancet (London, England)*, vol. 381, no. 9861, pp. 142–151, Jan. 2013.
19. DC. Rees et al. Sickle-cell disease. *Lancet (London, England)*, vol. 376, no. 9757, pp. 2018–2031, Dec. 2010.
20. Roberts G et al. EAACI Guidelines on the effective transition of adolescents and young adults with allergy and asthma. *Allergy* 2020 Nov;75(11):2734-2752
21. Sadak K.T. et al. Identifying metrics of success for transitional care practices in childhood cancer survivorship: a qualitative interview study of survivors. *BMC Cancer* 2020 Sep 21;20(1):898
- 22 Stollon NB et al. Transitioning adolescents and young adults with sickle cell disease from pediatric to adult healthcare: Provider perspectives. *J Pediatr Hematol Oncol.* 2015 November ; 37(8): 577–583.
23. A.L. van Stata et al. Child: Crossing the transition chasm: experiences and recommendations for improving transitional care of young adults, parents and providers. *Care, health and development*, 2011: 37(6); 821-832
24. Wong TE, et al. Update on the use of hydroxyurea therapy in sickle cell disease. *Blood* 2014; 124:3850-3857.
25. Renedo A et al. Understanding the health-care experiences of people with sickle cell disorder transitioning from paediatric to adult services: *This Sickle Cell Life*, a longitudinal qualitative study. Southampton (UK): NIHR Journals Library; 2020 Nov.

Titolo: Le malattie croniche in età pediatrica e la “transitional care”: la drepanocitosi come modello di integrazione tra reparti pediatrici e degli adulti

