

Simposio

22 novembre 2022

Il paziente pediatrico al bivio tra terapie cardiovascolari avanzate e prospettive di vita

Moderatore: Rachele Adorisio

La metodologia integrata come strumento di valutazione (Sintesi)

R. Adorisio

Lo scompenso cardiaco è una sindrome clinica ben caratterizzata sul piano clinico, sia in età pediatrica che in età adulta ed è oggetto di una notevole attenzione per il rilevante impatto economico sui costi di salute pubblica. Sebbene tale diagnosi sia meno considerevole nel mondo pediatrico, tale sindrome necessita di costi molto superiori a quelli rilevati per l'età adulta, per il maggior ricorso a presidi chirurgici e/o interventistici e al trapianto cardiaco.

È da considerare che il numero di pazienti affetti è destinato ad aumentare per l'aumento di incidenza di scompenso cardiaco nel gruppo di pazienti operati per cardiopatia congenita. L'analisi del beneficio sul trattamento in età pediatrica è assolutamente a favore della produttività: infatti gli anni di vita salvata e le potenzialità che il bambino può esprimere sono teoricamente illimitate e pertanto dalla analisi costo-beneficio essa va in favore del beneficio in termini di anni di vita guadagnata.

Dal punto di vista organizzativo, la strategia identificata nell'esperienza internazionale è stata quella di creare un'area con personale esperto dell'argomento e che prenda in carico i pazienti, sia nella fase di ricovero che extraospedaliera, in modo da intercettare le

fasi di riacutizzazione della sindrome e stabilire strategie preventive. Nella popolazione adulta i programmi di gestione dello scompenso cardiaco rappresentano una componente chiave della gestione, di impatto equiparabile a quello terapeutico: hanno ridotto le reospedalizzazioni, conducendo un aumento di aderenza alle Linee Guida, e migliorato la sopravvivenza. Questi programmi variano da Centro a Centro ma sono tutti basati su un approccio ad ampio raggio che includa diverse strategie mediche (precoce programmazione della dimissione e precoce rivalutazione, follow up intenso condotto da personale medico ed infermieristico esperto, valutazione domiciliare e ricorso ai servizi sociali), sia quelle terapeutiche (ottimizzazione della terapia farmacologica) che un esteso programma di educazione (clinica, alimentare, abitudini di vita) al paziente ed alla sua famiglia. In alcune patologie pediatriche, i programmi così comprensivi hanno dimostrato di essere efficaci sul miglioramento della prognosi della malattia. Dal 2010 ad oggi molti progressi sono stati compiuti anche nel campo dell'assistenza ventricolare meccanica e si è andato definendo un nuovo gruppo di pazienti con scompenso. In altri centri con lo stesso livello di complessità di patologia, esiste la definizione di un'area che in modo organico,

è responsabile dell'iter diagnostico e terapeutico del paziente dalla fase di scompenso fino al trattamento sostitutivo (trapianto cardiaco o sistemi di assistenza ventricolare meccanica).

Nell'Ospedale Bambino Gesù è stata creata una Unità Complessa che si occupa del percorso del paziente con scompenso cardiaco, trapianto e assistenza ventricolare meccanica. A questa afferisce una specifica unità che è dedicata alle Terapie Cardiovascolari avanzate. Tale unità ha messo a punto un percorso multidisciplinare che si occupa di valutare il paziente nella sua interezza. Innanzitutto partendo dalla problematica cardiaca, attraverso un approccio multiparametrico si stima il rischio di mortalità individualizzato. Tale approccio multiparametrico considera l'età del paziente, le caratteristiche anatomiche, tissutali ed emodinamiche. Viene inclusa la capacità di rispondere ai farmaci ed ai test funzionali. Ugualmente importante è la valutazione psicologica, sociale che sono poi lo spunto della discussione per eventuali implicazioni etiche che la scelta terapeutica comporta. Ognuno di tali punti viene affrontato in discussioni collegiali che coinvolgono un team multidisciplinare. Il team multidisciplinare è costituito quindi da diverse figure professionali, non solo mediche e chirurgiche in ambito cardiovascolare ma anche lo psicologo, l'assistente sociale ed il bioeticista. L'attuale evoluzione del trattamento del paziente con cardiopatie congenite e la progressiva cronicizzazione sia di queste patologie che delle cardiomiopatie pongono il focus su questi pazienti cronici che necessitano di adeguata presa in carico. Alcuni di questi bambini si presentano sin dalla nascita con progressive e multiple insufficienze d'organo oppure queste ultime si manifestano progressivamente con l'età, caratterizzando così un quadro di fragilità clinica peculiare. Queste condizioni di fragilità rappresentano scenari nei quali il progressivo carico sintomatologico e l'ingravescente condizione

di sofferenza psico-esistenziale e socio-economica che colpiscono malato e familiari/caregiver, richiedono un adeguato intervento complesso volto a garantire la migliore qualità di vita possibile.

Nonostante gli innegabili avanzamenti della Medicina, e la possibilità di modificare la storia naturale di questi pazienti (ad esempio intervento cardiocirurgico, impianto di dispositivo di assistenza meccanica, impianto di defibrillatori), i pazienti pediatrici con scompenso cardiaco presentano una storia clinica caratterizzata da riacutizzazioni intercorrenti, ciascuna seguita inevitabilmente da un globale, progressivo scadimento della qualità di vita. Così, nella traiettoria di malattia di questi pazienti è forse possibile individuare un punto in cui il livello di gravità rende più rare le fasi di remissione, ne abbrevia la durata e provoca un aumento del numero dei ricoveri e della durata della degenza. Questo aspetto sottolinea la necessità di puntare su un tema clinico assistenziale che permetta di definire anche con la famiglia il percorso di "appropriatezza clinica" ed "etica" di trattamento. Il decorso clinico è relativamente imprevedibile per il singolo paziente, con fasi di stabilità alternate a fasi di riacutizzazione della malattia che possono anche rappresentare l'evento terminale. Ciò nonostante, la doppia natura del trattamento – "life-prolonging" e "symptom relief" – potrebbe rappresentare lo standard di cura anche nei pazienti pediatrici con scompenso cardiaco. L'implementazione di strategie di cura è basata generalmente sulle evidenze e su algoritmi o modelli. Tali dati sono mancanti nei pazienti pediatrici con scompenso cardiaco sebbene suggeriti come indicazione di esperti nelle Linee Guida dello Scompenso Cardiaco nei pazienti con cardiopatie congenite. Tali analisi focalizzate sui bisogni insoddisfatti dei pazienti con malattie croniche mediante modelli multiparametrici potrebbero aiutare in futuro a comprendere quale modello può facilitare la tempestiva presa in carico. Allo stato

attuale, è quindi necessario focalizzare l'attenzione essenzialmente su due tematiche: il riconoscimento dei bisogni insoddisfatti dei pazienti e delle loro famiglie e l'efficacia delle cure intese in senso globale integrando anche le necessità psicologiche e spirituali.

BIBLIOGRAFIA ESSENZIALE

Choudhry S, Puri K, Denfield SW. An Update on Pediatric Cardiomyopathy. *Curr Treat Options Cardiovasc Med* 2019; 21: 36.

Dipchand AI, Kirk R, Naftel DC, et al. Ventricular Assist Device Support as a Bridge to Transplantation in Pediatric Patients. *J Am Coll Cardiol* 2018; 72: 402-15.

Stout KK, Broberg CS, Book WM, et al. Chronic Heart Failure in Congenital Heart Disease: A Scientific Statement From the American Heart

Association. *Circulation* 2016; 133: 770-801.

Wang T, Chen L, Yang T, et al. Congenital Heart Disease and Risk of Cardiovascular Disease: A Meta-Analysis of Cohort Studies. *J Am Heart Assoc* 2019; 8: e012030.

Webster G, Zhang J, Rosenthal D. Comparison of the epidemiology and co-morbidities of heart failure in the pediatric and adult populations: a retrospective, cross-sectional study. *BMC Cardiovasc Disord* 2006; 6: 23.

Prof.ssa Rachele Adorisio, Responsabile UOS Terapie Cardiovascolari Avanzate, U.O.C. Scopenso, Trapianto e Assistenza Meccanica Cardio respiratoria, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù- IRCCS

Per la corrispondenza:
rachele.adorisio@opbg.net