



DESCRIZIONE DEL PROGETTO

Titolo del Progetto: **"Valutazione della presa in carico dei pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina (ATTR) con coinvolgimento neurologico e/o cardiaco"**, promosso dalla Unità Operativa Complessa Interaziendale Clinica Neurologica – Rete Metropolitana NEUROMET (Direttore: Prof.ssa Federica Provini) afferente all'IRCCS Istituto delle Scienze Neurologiche di Bologna ed all'IRCCS Azienda Ospedaliero Universitaria di Bologna-Policlinico di Sant'Orsola..

Responsabile Scientifico: Dott. Pietro Guaraldi - Medico Neurologo in convenzione

INDICATORE	DESCRIZIONE
1. Razionale	Lo scompenso cardiaco rappresenta oggi una delle principali sfide della medicina moderna, con un'incidenza e una prevalenza in costante aumento, sostenute dall'invecchiamento della popolazione e dalla diffusione di comorbidità croniche. Nonostante i progressi terapeutici, l'evoluzione clinica rimane spesso sfavorevole, con elevati tassi di riospedalizzazione e mortalità. Negli ultimi anni è emerso come lo scompenso cardiaco costituisca un contenitore eterogeneo di fenotipi fisiopatologicamente distinti, tra i quali l'amiloidosi cardiaca da transtiretina (ATTR) – sia nella forma wild-type sia nella forma ereditaria – rappresenta una causa ancora ampiamente sottodiagnosticata. Tuttavia, un elemento distintivo e spesso decisivo dell'amiloidosi ATTR è il suo coinvolgimento neurologico precoce e multisistemico, che precede o accompagna la compromissione cardiaca e che rappresenta un cruciale elemento diagnostico e prognostico. Centralità del coinvolgimento neurologico nell'amiloidosi ATTR Nelle forme ereditarie (ATTRv), l'interessamento del sistema nervoso periferico e autonomo è frequente e clinicamente rilevante. La neuropatia sensitivo-motoria assonale, simmetrica e progressiva può manifestarsi anni prima dell'esordio cardiologico, con sintomi quali: • ipoestesie distali, • perdita della sensibilità vibratoria e propriocettiva, • instabilità della marcia, • deficit motori progressivi. Ancora più frequentemente, e con un impatto clinico rilevante, è presente una neuropatia autonoma, che coinvolge: • regolazione pressoria (ipotensione ortostatica), • funzione gastrointestinale, • sudorazione, • controllo cardiovascolare (ridotta variabilità della frequenza cardiaca, intolleranza allo sforzo). Queste manifestazioni neurologiche contribuiscono in modo sostanziale alla disabilità, alla riduzione della qualità di vita e alla complessità gestionale del paziente, ma soprattutto rappresentano segnali clinici chiave per una diagnosi precoce, spesso non adeguatamente intercettati nei percorsi tradizionali cardiologici. Integrazione neurologica nei percorsi diagnostici La disponibilità di metodiche diagnostiche non invasive ad alta sensibilità ha migliorato significativamente l'identificazione dell'amiloidosi ATTR. Tuttavia, è sempre più evidente che l'integrazione strutturata della valutazione neurologica – clinica, neurofisiologica e autonoma – costituisce un elemento determinante per: • il riconoscimento precoce della malattia, • la corretta fenotipizzazione cardio-neurologica, • l'accesso tempestivo alle terapie disease-modifying.
2. Obiettivo e impatto atteso	L'obiettivo principale del progetto è la valutazione della presa in carico dei pazienti affetti da amiloidosi da transtiretina (ATTR) con coinvolgimento neurologico e/o cardiaco. Tale obiettivo verrà raggiunto tramite un processo di analisi che prevede la raccolta sistematica di dati clinici



Allegato A

	Obiettivi secondari del progetto sono: - miglioramento del percorso assistenziale diagnostico-terapeutico dei pazienti con ATTR - Determinare la numerosità della popolazione dell'area metropolitana bolognese che è sottoposta a terapie avanzate. Verranno valutati i seguenti indicatori - raccolta dati epidemiologici, sociali e assistenziali (quali accessi in PS, ricoveri, visite specialistiche) sulla popolazione di pazienti affetti da ATTR; - numero dei pazienti che necessitano di terapie avanzate - Numero di pazienti con comorbidità cardiache La frequenza di rilevazione sarà effettuata mensilmente. Tutti i pazienti saranno identificati attraverso un sistema di registrazione computerizzato. I dati raccolti verranno poi registrati e tabulati in un database appositamente creato in modo tale da agevolare l'extrapolazione dei dati. L'impatto atteso del progetto è: Incrementare le conoscenze relative alla gestione dell'ATTR nell'era delle terapie innovative. Garantire un percorso codificato per la presa in carico del paziente ATTR con coinvolgimento neurologico e/o cardiaco Garantire una presa in carico standardizzata, equa e tempestiva dei pazienti ATTR attraverso l'adozione dei protocolli terapeutici basati sull'evidenza scientifica.
3. Azioni e Tempi	- Predisposizione del piano attività e organizzazione delle risorse del Progetto [n° mesi = 1]. - Pianificazione e sviluppo di database ad-hoc di raccolta dati [n° mesi = 1]. - Raccolta sistematica, completa ed uniforme dei dati previsti secondo il processo di audit del PDTA [n° mesi = 20]. - Analisi e divulgazione dei risultati del progetto [n° mesi = 2].
4.Durata	24 mesi
5.Costi e Modalità di finanziamento del progetto	Il costo complessivo del progetto è pari a € 50.000,(cinquantamilaeuro) costituito dai seguenti fattori produttivi: - Costo personale. La sponsorizzazione viene svolta attraverso il finanziamento in denaro, per il costo complessivo del Progetto, o una parte di esso, al Fondo aziendale per la ricerca e l'innovazione, ed il successivo utilizzo nei termini sopra indicati.
6. Monitoraggio e rendicontazione	L'Azienda si impegna a fornire allo sponsor/agli sponsors una rendicontazione conclusiva dell'attività allo scadere del contratto, a cura del Responsabile Scientifico di Progetto.