Standard Europei di *Cura*

per bambini e adolescenti affetti da tumore

2025

Childhood Cancer International EUROPE

SIOP Europe
the European Society for Paediatric Oncology

Ringraziamenti

Desideriamo esprimere la nostra più sincera gratitudine alla Fondatioun Kriibskrank Kanner per avere finanziato generosamente la progettazione grafica e l'impaginazione della versione finale del documento. Il loro sostegno ha contribuito a rendere la versione aggiornata degli *Standard europei di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore* accessibile in tutta Europa.

Grazie a Fiagop ETS, e ad Aieop per la revisione scientifica, per aver reso possibile la traduzione e distribuzione di questo importante documento.

La traduzione in italiano degli **Standard Europei di Cura per bambini e adolescenti affetti da tumore** è stata realizzata da FIAGOP (Federazione Italiana Associazioni genitori e Guariti Oncoematologia Pediatrica) grazie al finanziamento del Fondo del Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali a favore dei bambini affetti da malattia oncologica - Avviso 1/2024 progetto **"Insieme per Crescere - Strategie per lo sviluppo degli interventi delle associazioni di oncoematologia pediatrica italiane"**

Cofinanziamento

Lo sviluppo di questo documento è stato cofinanziato dall'Unione Europea.

Co-funded by the European Union

Cofinanziato dall'Unione Europea. Le opinioni e i punti di vista espressi sono esclusivamente degli autori e non riflettono necessariamente quelli dell'Unione Europea né dell'Agenzia Esecutiva Europea per la Salute e il Digitale (HaDEA). Né l'Unione Europea né l'autorità che ha concesso i finanziamenti possono essere ritenute responsabili per tali contenuti.

Informazioni

Childhood Cancer International – Europe

Childhood Cancer International – Europe (CCI-E, o CCI Europe) rappresenta associazioni di genitori e guariti da tumori pediatrici, e altre organizzazioni europee dedicate ai tumori pediatrici: ne fanno parte oltre 63 organizzazioni in 34 Paesi europei.
CCI Europe collabora con tutti gli stakeholder rilevanti per lo stesso obiettivo: aiutare tutte le persone che hanno avuto un tumore pediatrico a crescere al meglio e senza impatti duraturi.
www.ccieurope.eu – office@ccieurope.eu

Società Europea di Oncologia Pediatrica (SIOPE)

La Società Europea di Oncologia Pediatrica (SIOPE, o SIOP Europe) è l'unica organizzazione europea che rappresenta tutti i professionisti che lavorano nel campo dei tumori pediatrici. Con oltre 2.700 membri in 36 Paesi, SIOP Europe è il punto di riferimento per garantire la migliore assistenza possibile e i migliori risultati per tutti i bambini e adolescenti affetti da tumore in Europa.
www.siope.eu – office@siope.eu

Dati editoriali

Editori:

Childhood Cancer International – Europe (CCI Europe)
www.ccieurope.eu
office@ccieurope.eu
Lerchenfelderstrasse 74/3/2
A-1080 Vienna, Austria

European Society for Paediatric Oncology (SIOPE)
www.siope.eu
office@siope.eu
Clos Chapelle-aux-Champs 30
1200 Bruxelles, Belgio

Redazione:
Despina Freri, Barbara Brunmair, CCI Europe

Traduzione Italiana:
a cura di Viviana Di Fabrizio - FIAGOP - Traduttrice

Revisione:
Angela Mastronuzzi - Presidente AIEOP
Laura Diaco - FIAGOP

Revisione linguistica:
Vicky Ghionis
Managing Partner, Red Owl

Progetto grafico e impaginazione:
The Graphic Society

Vienna, 2025

Standard Europei di *Cura*

per bambini e adolescenti affetti da tumore

2025

Prefazione

Affrontare una patologia oncologica è un'esperienza che nessun bambino e nessuna famiglia dovrebbe vivere in solitudine. Ogni bambino ha inoltre il diritto di accedere ai più elevati standard di cura. In Europa, negli ultimi decenni, i tassi di sopravvivenza e la qualità della vita dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore sono migliorati in modo significativo, grazie agli straordinari progressi nel trattamento dei tumori pediatrici.
Tali risultati sono stati resi possibili da una intensa collaborazione tra professionisti sanitari, ricercatori, rappresentanti dei pazienti e decisori politici. Tuttavia, ancora troppi bambini nel nostro continente continuano a subire disuguaglianze nell'accesso alle cure, alle risorse e ai servizi di supporto di cui hanno bisogno. →

"Nonostante i significativi miglioramenti nel trattamento dei tumori pediatrici e nella sopravvivenza, persistono in tutto il continente disparità nell'accesso alle cure di alta qualità. È in questo contesto che l'iniziativa degli *Standard europei di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore* emerge come una risposta al tempo stesso tempestiva ed essenziale."

Uta Dirksen

Nel 2008, la Società Europea di Oncologia Pediatrica (SIOPE) introdusse i primi Standard europei di cura per bambini affetti da tumore, un'iniziativa pionieristica volta ad allineare i servizi di oncologia pediatrica in tutta Europa. Da allora, i progressi nella medicina, nella tecnologia e negli approcci centrati sul paziente hanno evidenziato l'urgente necessità di aggiornare e ampliare tali standard. Insieme a Childhood Cancer International – Europe, e grazie all'esperienza collettiva di medici, infermieri e professionisti psicosociali, dei guariti e delle loro famiglie, abbiamo sviluppato gli Standard europei di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore, un set di standard, revisionati e basati sulle evidenze scientifiche, che riflettono le realtà di oggi e le prospettive future.

Gli Standard europei di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore affrontano 11 ambiti fondamentali dell'assistenza, coprendo ogni fase del percorso oncologico: dalla diagnosi e trattamento, alla sopravvivenza, alle cure palliative e alla collaborazione transfrontaliera.

Questi standard si fondano sull'eccellenza medica, ma anche sull'umanità: garantiscono che il benessere psicosociale, la tutela dei diritti, l'educazione e la cooperazione a livello di sistema siano parte integrante dell'esperienza di cura. Rappresentano inoltre uno strumento di cambiamento, concepito non solo per orientare la pratica clinica, ma anche per influenzare le politiche nazionali e ridurre le disuguaglianze nell'assistenza tra i diversi Paesi.

"Gli *Standard europei di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore* sono stati sviluppati grazie a una stretta e proficua collaborazione tra rappresentanti dei pazienti e professionisti sanitari. Questo garantisce che tutti gli aspetti dei tumori pediatrici siano affrontati in modo globale."

Anita Kienesberger

Siamo orgogliosi di presentare questo lavoro come impegno condiviso tra professionisti e rappresentanti dei pazienti.

Ciò riflette la nostra visione comune: che ogni bambino e adolescente affetto da tumore in Europa, indipendentemente da dove viva, abbia diritto a una diagnosi tempestiva, un trattamento multidisciplinare e un supporto per tutto l'arco della vita.

Questo documento rappresenta al tempo stesso una riflessione su ciò che abbiamo raggiunto e una tabella di marcia per ciò che resta da fare. Invita tutti i portatori di interesse — professionisti sanitari, istituzioni, governi e società civile — a impegnarsi per un futuro in cui ogni bambino affetto da tumore in Europa riceva il più elevato standard di assistenza, in ogni fase del percorso di cura.

Che il progetto ESCALIER possa essere il fondamento per i futuri progressi dell'oncologia pediatrica, costruiti su principi di equità, compassione ed eccellenza.

Uta Dirksen
Presidente della Società Europea di Oncologia Pediatrica (SIOPE)

Anita Kienesberger
Presidente di Childhood Cancer International – Europe (CCI Europe)

Indice

Introduzione 10

1. Organizzazione delle unità di oncologia pediatrica 13
1.1 Requisiti minimi di una unità di oncologia pediatrica 14
1.2 Team raccomandato nel reparto di oncologia 17
1.3 Assistenza condivisa 19
1.4 Procedure operative standard 20

2. Erogazione del trattamento e assistenza ... 23
2.1 Diagnosi 24
2.2 Trattamento 25
2.3 Comunicazione 29
2.4 Copertura dei costi 30

3. Assistenza psicosociale 33
3.1 Aspetti generali dell'assistenza psicosociale 34
3.2 Fatigue 36
3.3 Riabilitazione e risocializzazione 37

4. Terapie di supporto 39
4.1 Introduzione 40
4.2 Complicanze infettive 41
4.3 Terapie di supporto ematologiche e trasfusioni 43
4.4 Nausea e vomito durante la chemioterapia 44
4.5 Problemi gastrointestinali 44
4.6 Igiene orale, rischio e gestione della mucosite 45
4.7 Supporto nutrizionale 45
4.8 Gestione del dolore 46

5. Cure palliative pediatriche 49
5.1 Introduzione 50
5.2 I 5 principi delle cure palliative pediatriche 51
5.3 Introduzione precoce delle cure palliative pediatriche 54
5.4 Modelli di erogazione delle CPP 56
5.5 Pianificazione anticipata delle cure ... 59
5.6 Scelte di fine vita 60

6. Assistenza ai lungo-viventi e pratiche di transizione 63
6.1 Introduzione 64
6.2 I lungo-viventi e il follow-up a lungo termine 65
6.3 Piani di cura per i lungo-viventi 67
6.4 Transizione 68
6.5 Effetti tardivi somatici 69
6.6 Funzionamento psicosociale 72
6.7 Iniziative legislative 74
6.8 Nuovi farmaci 74
6.9 Conclusioni 75

7. Ruolo dei rappresentanti dei pazienti e advocacy 77
7.1 Advocacy dei pazienti nel campo dei tumori pediatrici 78
7.2 Le organizzazioni di pazienti e il loro ruolo 80
7.3 Advocacy dei pazienti in tutte le fasi .. 81
7.4 Advocacy congiunta: esempi di collaborazioni di successo tra stakeholder 85

8. Organizzazione nazionale delle reti tra i centri di oncologia pediatrica 87
8.1 Organizzazione dell'oncologia pediatrica a livello nazionale 88
8.2 Rete nazionale e internazionale per l'accesso a terapie innovative 91
8.3 Accreditamento 93

9. Oncologia pediatrica a livello nazionale 95
9.1 Introduzione 96
9.2 Le società nazionali di ematologia e oncologia pediatrica 97
9.3 Collaborazione tra organizzazioni di pazienti a livello nazionale 99
9.4 Piano nazionale per i tumori pediatrici 100
9.5 Registri nazionali dei tumori pediatrici 102

10. Cure e ricerca transfrontaliere 105
10.1 Perché le cure transfrontaliere? 106
10.2 Rete di riferimento europea per i tumori pediatrici (ERN PaedCan) 107
10.3 Processi terapeutici e sfide 108
10.4 Sicurezza dei pazienti, rischi e risultati 109

11. Istruzione e formazione in oncologia pediatrica 111
11.1 Priorità formative in oncologia pediatrica per i professionisti sanitari 112
11.2 Sviluppo professionale continuo in oncologia pediatrica 118
11.3 Opportunità di formazione in oncologia pediatrica 119
11.4 Mentorship e supervisione 120
11.5 Rispondere ai bisogni educativi di bambini e adolescenti affetti da tumore 121
11.6 Formazione per i caregiver 124
11.7 Requisiti formativi per i rappresentanti dei pazienti 125

12. Bibliografia 126

Autori

Maria Otth
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Division of Hematology/ Oncology, Children's Hospital of Eastern Switzerland, St. Gallen, Switzerland
/ Faculty of Medicine and Health Science, University Lucerne, Lucerne, Switzerland
/ Department of Oncology, University Children's Hospital Zurich, Zurich

Yasmeen Alomari
/ Department of Paediatric Oncology and Haematology, Nottingham University Hospitals NHS Trust, Nottingham, United Kingdom

Natalie Alvarez Tapia
/ Department of Paediatrics and Adolescent Medicine, Johannes Kepler University Linz, Austria

Evangelia Antoniou
/ Paediatrics III, University Hospital Essen, Essen, Germany

Andishe Attarbaschi
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Department of Pediatric Hematology and Oncology, St. Anna Children's Hospital, Medical University of Vienna, and St. Anna Children's Cancer Research Institute, Vienna, Austria

Theodora Armenkova
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Foundation "Gold", Sofia, Bulgaria

Iuliana-Crina Balaban
/ Spitalul Clinic de Urgenta pentru Copii Brasov, Romania

Irina Čepinac Ban
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ "Zvončica" Childhood Cancer Parent Organization, Belgrade, Serbia

Tiene Bauters
/ Pharmacy Department, Pediatric Hemato-Oncology and Stem Cell Transplantation, Ghent University Hospital, Ghent, Belgium

Luisa Basset-Salom
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Federación Española de Familias de Cáncer Infantil, Spain
/ Department of Continuum Mechanics and Theory of Structures, Universitat Politècnica de València, Spain

Madalina Bota
/ Department of Pediatrics II, University of Medicine and Pharmacy "Iuliu Hatieganu" Cluj-Napoca, Romania
/ Department of Hematology and Oncology, Pediatrics Clinic no 2, Emergency Hospital for Children, Cluj-Napoca, Romania

Anna Campello
/ Pediatric Onco-hematology Department, Regina Margherita Children's Hospital, Turin, Italy

Sara Colomer-Lahiguera
/ Institute of Higher Education and Research in Healthcare - IUFRS, University of Lausanne (UNIL), Lausanne University Hospital (CHUV), Switzerland

Bianca-Andreea David
/ Department of Pediatric Oncology and Hematology, CHU Liège, Liège, Belgium

Uta Dirksen
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Paediatrics III, University Hospital Essen, Essen, Germany
/ German Consortium for Translational Cancer Research (DKTK), German Cancer Research Centre, Essen, Germany

Melek Erdem
/ Division of Pediatric Hematology and Oncology, Istınye University Faculty of Medicine, Istanbul, Turkey

Anne Goeres
/ Childhood Cancer International—Europe (CCI Europe), Vienna, Austria

Matej Jelic
/ University Hospital Center Zagreb, Department of Pediatrics, Division of pediatric hematology and oncology, Zagreb, Croatia

Lejla Kamerić
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Heart for Kids with Cancer, Bosnia & Herzegovina

Pam Kearns
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ University of Birmingham, Birmingham, United Kingdom

Anita Kienesberger
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria

Georgia Kokkinou
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Floga Parents Association of Children with Cancer, Greece

Kerstin Krottendorfer
/ Department of Pediatrics and Adolescent Medicine, Medical University of Vienna, Austria

Ana Lacerda
/ Department of Pediatrics, Portuguese Institute of Oncology, Lisbon Centre, Portugal

Alice Lawford
/ Department of Paediatric Oncology, Great Ormond Street Hospital for Children NHS Foundation Trust, London, UK

Ulrike Leiss
/ Department of Pediatrics and Adolescent Medicine, Comprehensive Center for Pediatrics, Medical University of Vienna, Vienna, Austria

Miguel Vieira Martins
/ Department of Pediatrics, Portuguese Institute of Oncology, Lisbon Centre, Portugal

Katalin Mudra
/ Pediatric Center, Semmelweis University, Budapest, Hungary

Marianne Naafs-Wilstra
/ Vereniging Kinderkanker Nederland, De Bilt. Netherlands

Marko Ocokoljić
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria

Elisabeth Ørskov Rotevatn
/ Division of Pediatric Hematology and Oncology, Children and Youth Clinic, Haukeland University Hospital, Bergen, Norway

Cormac Owens
/ Paediatric Haematology/Oncology, Children's Health Ireland, Crumlin, Dublin, Republic of Ireland

Verena Paulsen
/ Department of Pediatric Oncology and Hematology, Children's Hospital, University of Cologne, Cologne, Germany

Robert Phillips
/ Centre for Reviews and Dissemination, University of York, United Kingdom
/ Department of Haematology and Oncology, Leeds Teaching Hospital NHS Trust, Leeds, United Kingdom

Carmelo Rizzari
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Pediatric Hematology-Oncology Unit IRCSS Foundation San Gerardo dei Tintori, Monza, Italy
/ Department of Pediatrics, University of Milano-Bicocca, Monza, Italy.

Lucija Ruzman
/ Department of Pediatrics, Division of Hematology, Oncology and Clinical Genetics, University Hospital Center Rijeka, 51000 Rijeka, Croatia

Harun Šabić
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Heart for Kids with Cancer, Bosnia & Herzegovina

Sabine Sarnacki
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Service de Chirurgie Pédiatrique Viscérale, Urologique et Transplantation, Hôpital Necker-Enfants Malades, APHP-GHU Centre, Paris, France
/ Université de Paris-Cité, Paris, France

Linea Natalie Toksvang
/ Department of Pediatrics and Adolescent Medicine, University Hospital Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark

Zuzana Tomášiková
/ Childhood Cancer International - Europe (CCI Europe), Vienna, Austria
/ Childhood Cancer Switzerland, Basel, Switzerland

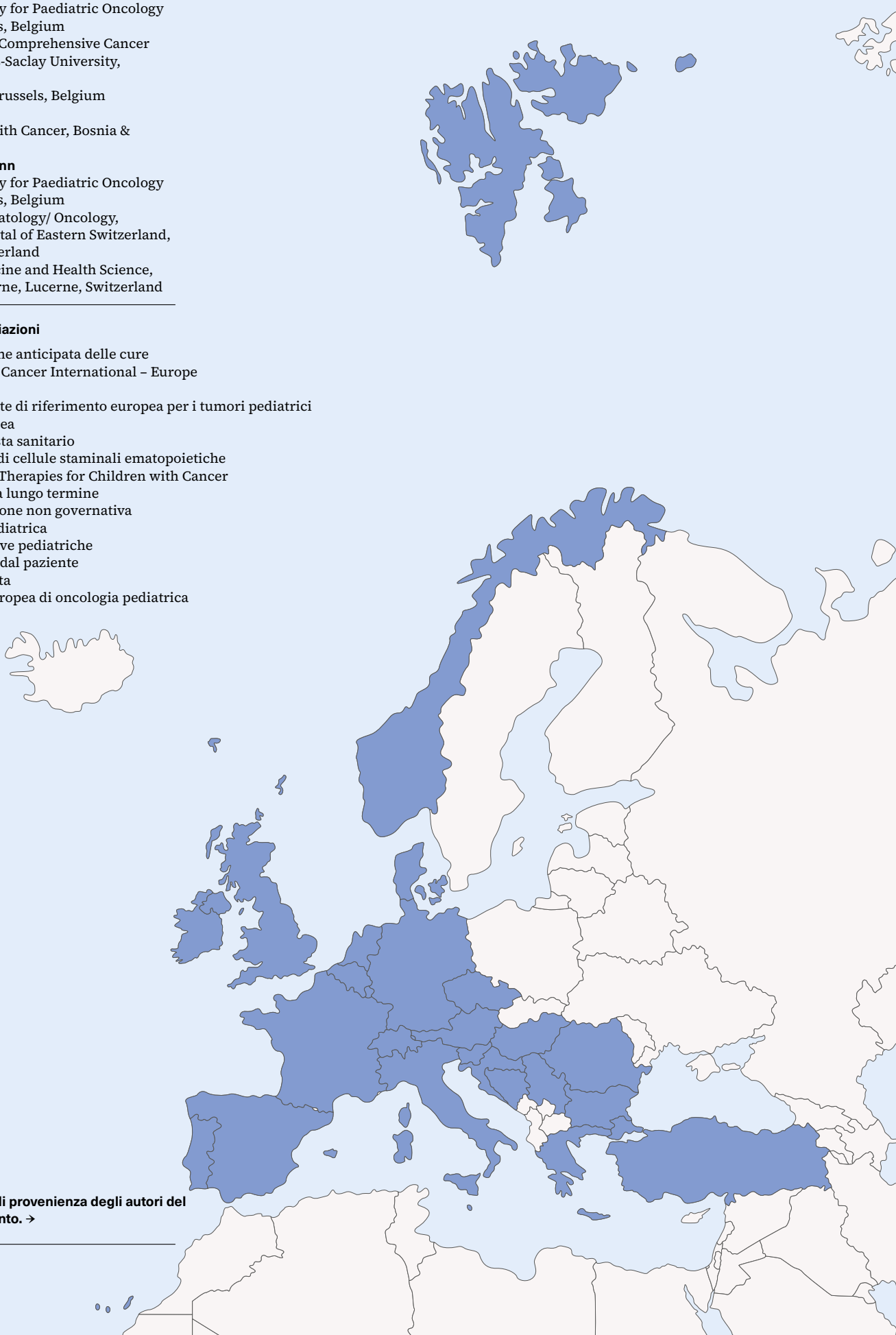
Eugenia Trigoso
/ University and Polytechnic Hospital LA FE, Valencia, Spain

Alice S. van Velzen
/ New affiliation: Department of Paediatric Haematology, Emma Children's Hospital, Amsterdam University Medical Centre, Amsterdam, the Netherlands

GillesVassal
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Gustave Roussy Comprehensive Cancer Centre and Paris-Saclay University, Villejuif, France
/ ACCELERATE, Brussels, Belgium
Jasna Vatreš
/ Heart for Kids with Cancer, Bosnia & Herzegovina
Katrin Scheinemann
/ European Society for Paediatric Oncology (SIOPE), Brussels, Belgium
/ Division of Hematology/ Oncology, Children's Hospital of Eastern Switzerland, St. Gallen, Switzerland
/ Faculty of Medicine and Health Science, University Lucerne, Lucerne, Switzerland

Lista delle abbreviazioni

ACP: Pianificazione anticipata delle cure
CCI-E: Childhood Cancer International – Europe
EoL: Fine vita
ERN PaedCan: Rete di riferimento europea per i tumori pediatrici
UE: Unione europea
HCP: Professionista sanitario
HSCT: Trapianto di cellule staminali ematopoietiche
ITCC: Innovative Therapies for Children with Cancer
LTFU: Follow-up a lungo termine
ONG: Organizzazione non governativa
PO: Oncologia pediatrica
CPP: Cure palliative pediatriche
PRO: Esiti riferiti dal paziente
QoL: Qualità di vita
SIOPE: Società europea di oncologia pediatrica



Mappa dei paesi di provenienza degli autori del presente documento. →

Introduzione

Autori:
Theodora Armenkova
Irina Čepinac Ban
Lejla Kamerić
Georgia Kokkinou
Maria Otth
Katrin Scheinemann

In rappresentanza di SIOP Europe e CCI Europe
Gruppo di coordinamento del progetto ESCALIER

Questo documento rappresenta il risultato principale di ESCALIER, un'iniziativa collaborativa promossa da SIOP Europe e CCI Europe. Il nome «ESCALIER», che in francese significa "scala", simboleggia un percorso: come una scala collega due realtà, quali professionisti sanitari e pazienti, e contribuisce a colmare le disparità tra l'Europa orientale e quella occidentale, così questo documento mira a superare tali differenze. Siamo entusiasti di presentare il risultato di questo progetto quadriennale: la revisione degli *Standard di cura per bambini e adolescenti affetti da tumore.*

In Europa sono stati compiuti progressi significativi nel trattamento dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore. Tali progressi sono stati - e continuano ad essere - possibili solo grazie alla stretta collaborazione tra i diversi soggetti coinvolti nell'oncologia pediatrica (quali professionisti sanitari, rappresentanti dei pazienti e dei genitori, decisori politici) all'interno e tra i vari Paesi. Alcuni aspetti devono tuttavia essere soddisfatti affinché tali attori possano collaborare al fine di garantire la parità di accesso alle cure ai bambini e agli adolescenti affetti da tumore. Si tratta di questioni relative alle infrastrutture, al personale e agli aspetti medici.

Nel maggio 2008, il Consiglio della European Society for Paediatric Oncology (SIOPE) deliberò la redazione di un rapporto sullo stato attuale e sugli standard adottati dai centri di oncologia pediatrica in Europa. A tale scopo, fu predisposto un questionario, successivamente inviato agli oncologi pediatrici di tutta Europa. Sulla base dei risultati emersi dal sondaggio, il Consiglio SIOPE organizzò una conferenza per definire gli «European Standards of Care for Children with Cancer». Dal 2008, tuttavia, il contesto è profondamente cambiato, rendendo necessario un aggiornamento di questi standard di cura.

Sulla base della precedente edizione degli Standard europei di cura, sono stati individuati 11 ambiti principali da sviluppare nella versione aggiornata. Ciascuno di essi è trattato in uno specifico capitolo del presente documento.

Il gruppo di redazione di ciascun capitolo è composto da almeno un oncologo pediatra senior con esperienza nel relativo ambito, un membro di "Young SIOPE" e un rappresentante dei pazienti o dei genitori della sezione europea di Childhood Cancer International (CCI-E). A ogni team di redazione è stato richiesto di definire gli aspetti chiave relativi al proprio tema, sulla base delle evidenze scientifiche e delle linee guida più aggiornate.

Gli standard di cura sono concepiti per essere utilizzati da professionisti sanitari e rappresentanti dei pazienti di tutta Europa, e costituiscono uno strumento a supporto delle attività di advocacy nei confronti dei decisori politici a livello europeo e nazionale. Nel loro complesso, mirano a eliminare le disparità nelle cure dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore, contribuendo a creare un contesto più equo per i giovani pazienti oncologici in Europa.

Autori:
Natalie Alvarez Tapia
Iuliana-Crina Balaban
Irina Čepinac Ban
Marianne Naafs-Wilstra
Maria Otth
Katrin Scheinemann

© istock

1. Organizzazione delle unità di oncologia pediatrica

Punti chiave

- Ogni unità di oncologia pediatrica deve disporre di servizi e strutture sanitarie e psicosociali adeguati, nonché di un'appropriata organizzazione strutturale.
- Sono fondamentali team multidisciplinari e multiprofessionali, che garantiscano un regolare scambio di informazioni e una comunicazione continua (ad esempio attraverso riunioni settimanali).
- Devono essere definite procedure operative standard per migliorare e mantenere la qualità dell'assistenza, affinché situazioni specifiche vengano gestite in modo uniforme e secondo le migliori evidenze scientifiche disponibili.

1.1 Requisiti minimi di una unità di oncologia pediatrica

Un'unità di oncologia pediatrica è una struttura dedicata alla diagnosi, al trattamento e al follow-up di bambini e adolescenti affetti da patologie oncologiche ed ematologiche maligne. Le unità di oncologia pediatrica possono far parte di ospedali pediatrici, di ospedali oncologici per adulti oppure costituire strutture autonome dedicate esclusivamente alle malattie emato-oncologiche pediatriche. La popolazione pediatrica è generalmente definita come la fascia di età compresa tra 0 e 18 anni (1).

I tumori pediatrici si suddividono in tre categorie principali: leucemie e linfomi, tumori solidi e tumori del sistema nervoso centrale. Le competenze relative a tutte e tre le categorie devono essere disponibili all'interno dell'unità oppure garantite attraverso la collaborazione con altre unità, a livello nazionale o internazionale (1, 2).

I requisiti minimi per l'assistenza ai bambini e adolescenti affetti da tumore comprendono diversi ambiti:
1) medico (vedi gli elementi chiave riportati nella *Tabella 1*);
2) strutturale (ad esempio ubicazione geografica, ospedale di riferimento, spazi per pazienti e famiglie, camere di isolamento protettivo, assistenza ambulatoriale);
3) psicologico e sociale (ad esempio aree di relax, spazi gioco, supporto psicosociale e finanziario).

Se in un Paese è presente più di un'unità o centro di oncologia pediatrica, si raccomanda di scegliere inizialmente il centro più vicino alla residenza permanente del paziente, purché soddisfi tutti i requisiti e sia in grado di fornire le cure mediche necessarie. Ciò consente di ridurre i costi legati agli spostamenti e all'assistenza, sia a livello familiare sia ospedaliero, aumenta il comfort del paziente e favorisce una maggiore aderenza al follow-up dopo il trattamento. Tuttavia, la prossimità non deve mai andare a scapito della qualità delle cure e del trattamento: le procedure altamente specialistiche, quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche, dovrebbero essere centralizzate (1).

Un altro aspetto importante è la disponibilità di spazi riservati alle famiglie, aree dedicate al relax e ambienti progettati e arredati appositamente per adolescenti e giovani adulti affetti da tumore.

Per quanto riguarda l'allestimento delle camere di degenza, le stanze dovrebbero essere dotate di non più di due posti letto, oltre ai servizi igienici ad uso esclusivo. Inoltre, per ogni posto letto assegnato al paziente deve essere previsto un letto per un genitore oppure, qualora disponibile, una camera familiare, completa di tutti i servizi necessari (letto, bagno privato, ecc.). È importante sottolineare che al genitore che accompagna il paziente dovrebbe essere consentito di rimanere accanto al proprio figlio in ogni momento (1).

Per quanto riguarda l'allestimento dell'unità di oncologia pediatrica, è necessario tenere conto dei periodi di immunosoppressione grave e prolungata (ad esempio dopo il trapianto di cellule staminali ematopoietiche), durante i quali sono necessarie specifiche misure. Per garantire condizioni ottimali sotto il profilo igienico-assistenziale, devono essere previste camere di isolamento protettivo (ad esempio dotate di filtri HEPA), accessibili esclusivamente al personale sanitario e ai genitori, adeguatamente formati ed equipaggiati (2–4).

Tutti i protocolli e i piani di trattamento prevedono periodi di degenza e di assistenza ambulatoriale. Per ottimizzare l'erogazione delle prestazioni in day hospital e dell'assistenza nel follow-up, si raccomanda che le unità di oncologia pediatrica dispongano di spazi dedicati, progettati appositamente per l'assistenza ambulatoriale (day hospital) (1–5).
Un altro aspetto importante è la disponibilità di spazi riservati alle famiglie (ad esempio per incontrarsi, giocare e preparare i pasti), aree dedicate al relax e ambienti progettati e arredati appositamente per adolescenti e giovani adulti affetti da tumore.

Inoltre, i bambini e i loro genitori dovrebbero avere accesso ad almeno un'area giochi. Possono essere definite regole di accesso a tale area, affinché i pazienti possano beneficiare di momenti di socializzazione, di attività ludico-terapeutiche e di supporto psicologico, individualmente, insieme ai genitori o anche in gruppi di pazienti. Ciò è particolarmente rilevante per le famiglie al momento della diagnosi, poiché consente loro di entrare più facilmente in contatto con le associazioni di genitori, di ricevere informazioni e, se necessario, di essere accolte nelle case per genitori (1, 4, 6).

Servizi obbligatori	Requisiti	Compiti
Farmacia	Personale appositamente formato nella preparazione dei trattamenti citostatici. Almeno un farmacista clinico	Partecipazione del farmacista clinico al team multidisciplinare per definire l'applicazione ottimale dei trattamenti (2)
Laboratorio/patologia	Capacità di eseguire tecniche diagnostiche specialistiche: esami citologici del sangue/midollo osseo, esame istopatologico di campioni bioptici, immunoistochimica, citogenetica, biologia molecolare, citologia del liquido cerebrospinale, determinazione della concentrazione di antibiotici e farmaci antineoplastici, ecc. (5)	Qualora un singolo laboratorio non sia in grado di eseguire tutte le analisi necessarie alla diagnosi e al follow-up del paziente, è essenziale l'instaurazione di una stretta collaborazione tra i reparti di oncologia pediatrica per consentire l'invio e l'analisi dei campioni necessari (4)
Centro trasfusionale	Disponibilità dell'intera gamma di prodotti sanguigni (globuli rossi, piastrine, plasma fresco congelato)	Le trasfusioni devono essere disponibili sia per procedure programmate sia per emergenze (2, 4)
Accesso a servizi correlati	Accesso ai servizi di terapia intensiva, chirurgia pediatrica e anestesia (7)	Accesso ai servizi di terapia intensiva per procedure programmate, ma anche in situazioni di emergenza. I servizi chirurgici possono includere neurochirurgia e ortopedia (2, 4)
Servizi di imaging	Accesso a radiografia, ecografia, tomografia computerizzata (TC), risonanza magnetica (RM) (7)	Possibilità di eseguire gli esami al letto del paziente quando necessario. Per l'imaging specializzato, il reparto di oncologia pediatrica deve collaborare con il centro più vicino in grado di eseguirlo (2, 4)

Tabella 1: Servizi obbligatori per le unità di oncologia pediatrica (non esaustiva)

Le associazioni locali e nazionali di genitori e pazienti svolgono un ruolo importante nel fornire supporto psicologico e, in alcuni casi, anche finanziario ai pazienti e alle loro famiglie. Queste associazioni mirano a contribuire al miglioramento della qualità delle cure e della qualità di vita dei bambini e delle loro famiglie. Per lo svolgimento delle loro attività, anche all'interno degli ospedali, è importante che dispongano di uno spazio dedicato dove possano organizzarsi, confrontarsi con medici e professionisti sanitari coinvolti nell'assistenza dei pazienti e mantenere un costante rapporto di collaborazione con il settore sanitario(4, 6) → VEDI CAPITOLO 7.

1.2 Team indicato per il reparto di oncologia

Al fine di garantire la migliore qualità delle cure ai bambini e agli adolescenti, dovrebbe essere previsto un livello minimo raccomandato di personale, definito in base all'attività media annua, organizzato come team multidisciplinare (8, 9). In ogni centro di oncologia pediatrica dovrebbe essere disponibile durante l'orario di lavoro un team multidisciplinare di base (2, 8). Il team multidisciplinare deve comprendere oncologi pediatrici, infermieri, psicologi, altri professionisti sanitari (HCP), chirurghi e neurochirurghi pediatrici, intensivisti e anestesisti pediatrici, oltre a ulteriori specialisti in base alle esigenze dei pazienti (8).

Oncologi pediatrici e medici di supporto

È necessario un numero sufficiente di oncologi ed ematologi pediatrici per garantire un'assistenza completa ai pazienti. Ciò include medici reperibili 24 ore su 24, 7 giorni su 7, nonché medici in formazione assegnati al reparto (2, 8).
Essi sono responsabili della registrazione dei dati relativi alla diagnosi, della classificazione, della stadiazione della malattia, della stratificazione del rischio e dell'arruolamento negli studi clinici. Devono arruolare il bambino in uno studio clinico nazionale o internazionale appropriato e, qualora questo non sia disponibile, devono definire un piano terapeutico individuale basato sulle migliori evidenze scientifiche e sull'esperienza clinica → VEDI CAPITOLO 2. Il medico responsabile è inoltre incaricato di coordinare la comunicazione tra il paziente, i genitori e i professionisti sanitari (2, 8).

Infermieri

Per gestire il carico di lavoro è necessario disporre di un numero adeguato di infermieri specificamente formati. A seconda dell'organizzazione locale, il personale infermieristico può includere anche un infermiere di collegamento, che funge da tramite tra l'unità assistenziale, i genitori e il pediatra o il medico di base di riferimento (1, 8).

Psicologi
Il supporto psicologico e l'intervento degli specialisti del benessere psicosociale sono necessari e dovrebbero essere attivati quanto prima dopo la diagnosi di tumore. Per garantire un'assistenza psicologica adeguata, è necessario un team di almeno due psicologi (1, 8). → VEDI CAPITOLO 3

Altri professionisti sanitari
Dovrebbero inoltre essere disponibili fisioterapisti, terapisti occupazionali, logopedisti, nutrizionisti e farmacisti (1, 8). → VEDI CAPITOLI 3 E 4

Assistenti sociali
Dovrebbero essere disponibili assistenti sociali, insegnanti di reparto e operatori specializzati nelle attività di gioco terapeutico, comprese le attività musicali e artistiche, per aiutare i pazienti e le loro famiglie a gestire la situazione nel modo migliore possibile (1, 8). → VEDI CAPITOLO 4

Personale amministrativo
Segretari medici e data manager sono necessari per supportare i medici nell'attività clinica e nella gestione delle sperimentazioni cliniche (1, 8).

Specialisti della riabilitazione
Gli specialisti della riabilitazione sono necessari per il recupero sia a breve sia a lungo termine. È fondamentale monitorare i pazienti per identificare i possibili effetti tardivi dei trattamenti oncologici, nonché per eventuali recidive della malattia, e fornire ai lungo-viventi un supporto completo che li aiuti a condurre una vita sana e soddisfacente dopo la fine del trattamento (1, 8).

Team per le terapie di supporto
Un centro di oncologia pediatrica deve disporre di un team per le terapie di supporto, operativo e dedicato alla qualità della vita e alle cure palliative (1, 8). → VEDI CAPITOLI 3 E 4

Grazie alle competenze e ai contributi di tutti i membri del team multidisciplinare, è possibile garantire un approccio globale alla cura che comprende gli aspetti medici, psicologici e sociali. Le riunioni regolari del team, denominate tumour board o incontri multidisciplinari, consentono di discutere i casi clinici e raggiungere un consenso sulle decisioni di trattamento, garantendo che l'assistenza fornita sia basata sulle evidenze e conforme alle linee guida più recenti (1, 2, 8).

1.3 Assistenza condivisa

Se un centro di oncologia pediatrica si trova troppo lontano, è possibile ricorrere all'assistenza condivisa. Un centro di assistenza condivisa è una struttura in cui possono svolgersi fasi del trattamento meno complesse e ben circoscritte, sotto la supervisione di un centro di oncologia pediatrica.
La struttura si attiene alle linee guida che definiscono i casi in cui è necessario consultare il centro di oncologia pediatrica per la gestione del paziente (4).
L'assistenza condivisa offre i seguenti vantaggi:

- il bambino e i genitori possono ricevere una parte del trattamento più vicino al proprio domicilio;
- è garantito un rapido accesso a un ospedale nelle vicinanze in caso di complicazioni acute, consentendo un intervento iniziale tempestivo, fondamentale in queste situazioni;
- è garantito un rapido accesso a un ospedale vicino nella fase palliativa e quando gli spostamenti comportano difficoltà pratiche (ad esempio affaticamento fisico, costi, impegni lavorativi o la necessità di coinvolgere familiari e/o amici).

È importante che il bambino e i genitori mantengano il contatto con i professionisti del centro di assistenza condivisa.

1.4 Procedure operative standard

Per garantire un'attuazione efficace e standardizzata dell'attività medica all'interno di un'unità di oncologia pediatrica, devono essere definite procedure operative standard (SOP) per le diverse situazioni. Le SOP consentono di descrivere chiaramente i processi e le modalità operative da seguire, assicurandone un'applicazione uniforme. Un esempio di SOP è la gestione della neutropenia febbrile.

Il team multidisciplinare che si occupa dell'assistenza dei pazienti in oncologia pediatrica è responsabile della definizione e dell'attuazione delle SOP (4). Queste devono essere elaborate e adattate in base ai protocolli di cura in uso e alle risorse disponibili di cui dispone il reparto di oncologia pediatrica. Tra gli ambiti che richiedono specifiche SOP rientrano, ad esempio, la diagnosi iniziale, la biopsia del midollo osseo, la somministrazione di emocomponenti, la somministrazione di agenti chemioterapici, le emergenze mediche e le complicanze (ad esempio della neutropenia febbrile), nonché l'organizzazione dell'accoglienza dei genitori (2).

Le SOP devono essere elaborate e adattate in base ai protocolli di cura in uso e alle risorse disponibili di cui dispone il reparto di oncologia pediatrica.

Autori:
Katalin Mudra
Verena Paulsen
Lejla Kameric
Marko Ocokoljic
Pam Kearns
Cormac Owens

© istock

2. Erogazione del trattamento e assistenza

Punti chiave

- La diagnosi deve essere formulata tempestivamente e confermata da parte di un centro di eccellenza o con competenze specialistiche.
- I pazienti dovrebbero essere arruolati in studi clinici, ove disponibili; in caso contrario, il trattamento deve essere conforme alle raccomandazioni terapeutiche consolidate.
- Tutti i bambini e gli adolescenti affetti da tumore dovrebbero avere accesso ai medicinali antitumorali essenziali.
- I pazienti e le loro famiglie dovrebbero avere accesso garantito alle terapie di supporto, al sostegno psicosociale e, quando necessario, alle cure palliative. → VEDI CAPITOLI S 3, 4, 5
- L'assicurazione sanitaria pubblica dovrebbe coprire completamente il trattamento dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore, inclusi i medicinali utilizzati al di fuori delle indicazione autorizzate (off-label) e l'assistenza transfrontaliera.

2.1 Diagnosi

La diagnosi di un tumore pediatrico deve essere formulata tempestivamente e deve essere confermata da parte di un centro di eccellenza o di riferimento in oncologia pediatrica, per garantire le migliori possibilità di guarigione e il pieno recupero. Per la conferma della diagnosi è opportuno avvalersi delle competenze dei laboratori di riferimento e dei servizi di patologia. Una volta confermata la diagnosi, il paziente dovrebbe essere inserito nel registro dei tumori pediatrici, ove disponibile → VEDI CAPITOLO 9.

Tempi di attesa prolungati possono causare la progressione della malattia o avere un impatto negativo sull'efficacia delle cure e sulla sicurezza del paziente. Una revisione recentemente pubblicata ha evidenziato un'associazione tra un ritardo di quattro settimane nell'avvio del trattamento oncologico e un aumento della mortalità negli adulti (10). L'impatto del tempo di attesa tra la diagnosi di tumore pediatrico e l'inizio del trattamento è stato oggetto di diversi studi, ma la sua valutazione è resa complessa dall'eterogeneità delle diverse tipologie di tumore e dalla variabilità osservata all'interno di ciascuna di esse.

2.2 Trattamento

I pazienti dovrebbero essere arruolati in studi clinici, ove disponibili; in caso contrario, il trattamento dovrebbe essere conforme alle raccomandazioni terapeutiche consolidate. Gli studi clinici o le raccomandazioni dovrebbero essere elaborati da team di esperti, tenendo conto dei risultati delle precedenti ricerche cliniche e degli studi disponibili, delle attuali conoscenze sulla biologia dei tumori, della farmacocinetica e delle tossicità note nei bambini.

Devono essere istituiti percorsi strutturati dai centri di trattamento più piccoli verso quelli più grandi, dotati di chirurghi, neurochirurghi, anestesisti e radioterapisti pediatrici con competenze specifiche nel trattamento oncologico pediatrico.

Anche se non tutti i Paesi dispongono di una società o di un gruppo nazionale di ematologia e oncologia pediatrica → VEDI CAPITOLO 9, ogni unità dovrebbe avere accesso a una rete di ricerca dedicata ai tumori pediatrici, in grado di raccomandare il protocollo di trattamento più appropriato per ciascun tipo di tumore e di aggiornarlo regolarmente sulla base dei risultati emergenti della ricerca. ERN PaedCan costituisce una rete virtuale che rende ampiamente accessibili competenze specialistiche e regimi terapeutici salvavita in oncologia pediatrica, organizzando tumour board virtuali e offrendo supporto nell'erogazione dell'assistenza sanitaria transfrontaliera → VEDI CAPITOLO 10.

Per il trattamento e il follow-up a lungo termine è necessario un team multidisciplinare → VEDI CAPITOLO 1. I farmaci antitumorali essenziali, così come i farmaci per le cure di supporto e gli emocomponenti, dovrebbero essere sempre disponibili. Oltre a garantirne la disponibilità, è necessario disporre di personale adeguatamente formato per assicurarne una gestione sicura. La chirurgia e la radioterapia rappresentano ulteriori modalità terapeutiche fondamentali nell'oncologia pediatrica. Devono essere istituiti percorsi strutturati dai centri di trattamento più piccoli verso quelli più grandi, dotati di chirurghi, neurochirurghi, anestesisti e radioterapisti pediatrici con competenze specifiche nel trattamento oncologico pediatrico→ VEDI CAPITOLI 1 E 8.

I pazienti e le loro famiglie dovrebbero avere accesso senza restrizioni al supporto psicosociale e, se necessario, alle cure palliative → VEDI CAPITOLI 3, 4 E 5. Anche i professionisti sanitari dovrebbero avere accesso al supporto psicosociale. Inoltre, devono essere garantiti servizi educativi per bambini e adolescenti durante il trattamento, al fine di favorirne il reinserimento scolastico e sociale dopo la conclusione del trattamento oncologico→ VEDI CAPITOLI 3 E 11.

2.2.1 Farmaci

Un'indagine europea ha evidenziato che, in Europa, il 35% dei 68 farmaci antitumorali inclusi nell'analisi veniva somministrato off-label (11). L'indagine ha inoltre evidenziato che solo 30 dei 68 farmaci antitumorali erano disponibili in modo continuativo in oltre il 90% dei Paesi partecipanti (11). I risultati di questa indagine e le evidenti disuguaglianze riscontrate hanno portato allo sviluppo del progetto paneuropeo Essential Anticancer Medicines Project (12). Tale progetto ha portato all'identificazione di 66 farmaci antitumorali e di 5 farmaci per le cure di supporto come essenziali per il trattamento di bambini e adolescenti affetti da tumori. Questi medicinali fanno parte degli attuali protocolli standard per il trattamento di prima linea o delle recidive e dovrebbero essere disponibili in modo continuativo (12–14). Questo elenco europeo può contribuire a facilitare l'approvazione regolatoria e l'accesso a tali medicinali.

Una delle criticità dell'oncologia pediatrica è il frequente utilizzo di farmaci off-label. Le raccomandazioni terapeutiche consolidate comprendono molti farmaci autorizzati esclusivamente per l'uso negli adulti e non nei bambini, ma impiegati con successo in oncologia pediatrica per molti anni. Le ragioni dell'uso off-label possono includere la somministrazione secondo modalità diverse rispetto alla formulazione o al dosaggio approvati, oppure l'impiego di medicinali non autorizzati per una specifica indicazione. I medicinali vengono autorizzati sulla base della qualità, della sicurezza e dell'efficacia. Quando un farmaco autorizzato per gli adulti viene impiegato in ambito pediatrico, devono essere presi in considerazione aspetti quali la diversa composizione corporea, nonché le differenti capacità di metabolizzazione ed escrezione nei bambini (15). Poiché la popolazione pediatrica è spesso numericamente ridotta, il mercato è meno attrattivo per l'industria farmaceutica, che di conseguenza investe meno nella conduzione di studi dedicati.

2.2.2 Altre modalità terapeutiche

Il trattamento dei tumori pediatrici si basa su approcci terapeutici multimodali e sulle cure di supporto. Oltre alla chemioterapia, i pilastri del trattamento sono la radioterapia, la chirurgia e, per alcuni tipi di tumore, il trapianto di cellule staminali ematopoietiche. Grazie ai progressi nelle tecniche diagnostiche, trattamenti

innovativi quali l'immunoterapia e le terapie mirate molecolari sono sempre più disponibili e rappresentano lo standard di cura. Tuttavia, queste terapie innovative potrebbero non essere disponibili in tutti i Paesi. Attraverso la collaborazione tra i professionisti sanitari (HCP), i trattamenti non disponibili a livello locale dovrebbero essere resi accessibili, mediante l'assistenza sanitaria transfrontaliera, a tutti i bambini e gli adolescenti affetti da tumore e dovrebbero essere coperti dai sistemi sanitari pubbl → SEE CHAPTER 10.

La centralizzazione delle cure può migliorare gli esiti clinici nei singoli Paesi. Tra gli altri fattori che possono influenzare gli esiti rientrano la presenza di team multidisciplinari, gli audit, i tumour board locali o internazionali, l'utilizzo di protocolli condivisi e l'esistenza di una rete formale o informale a livello nazionale e internazionale → SEE CHAPTERS 8 AND 10 (16).

2.2.3 Studi clinici

I tumori pediatrici sono patologie rare: in Europa, il tasso di incidenza complessivo standardizzato per età è pari a 140 casi per milione nei bambini di età compresa tra 0 e 14 anni e a 157 casi per milione nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 0 e 19 anni. (17). Un elemento chiave del successo nel trattamento dei tumori pediatrici è rappresentato dalla collaborazione nazionale e internazionale tra ematologi e oncologi pediatrici e dall'arruolamento dei pazienti negli studi clinici. L'obiettivo principale di questi studi clinici è la raccolta di dati relativi ai trattamenti, alle tossicità e alle complicanze correlate al trattamento, alla sopravvivenza e agli esiti a lungo termine. Queste collaborazioni hanno reso possibile l'ampliamento delle conoscenze, con conseguente miglioramento dei trattamenti e sviluppo di nuove strategie terapeutiche e di nuovi farmaci. Proprio grazie a questi progressi, è fondamentale che ogni bambino e adolescente con diagnosi di tumore venga arruolato, al momento della diagnosi, in uno studio clinico, in uno studio di ottimizzazione del trattamento o in un registro clinico.

Un elemento chiave del successo nel trattamento dei tumori pediatrici è rappresentato dalla collaborazione nazionale e internazionale tra ematologi e oncologi pediatrici e dall'arruolamento dei pazienti negli studi clinici.

La maggior parte degli studi clinici è condotta a livello multinazionale, su iniziativa dei ricercatori e sponsorizzata da istituzioni accademiche. Tutti gli studi clinici sono condotti nel rispetto delle normative europee (18), quali:

- il Regolamento generale sulla protezione dei dati (GDPR) (19);
- le Norme di buona pratica clinica (Good Clinical Practice, GCP) (20);
- la Dichiarazione di Helsinki (21);
- la Direttiva europea 2001/20 sulla sperimentazione clinica (22).

Tali linee guida sono recepite nella legislazione nazionale dei Paesi dell'Unione europea, con conseguente adozione di modalità applicative differenti.

La maggior parte degli studi clinici è costituita da studi di fase avanzata, finalizzati all'ottimizzazione del trattamento e condotti da gruppi di studio nazionali o internazionali. Oltre a migliorare gli esiti terapeutici, l'obiettivo è definire trattamenti meno tossici per migliorare la sopravvivenza dei pazienti e la loro qualità di vita (QoL). Gli studi clinici di fase precoce, finalizzati allo sviluppo di nuovi farmaci, sono per lo più sponsorizzati dall'industria farmaceutica.

Per promuovere e coordinare lo sviluppo di farmaci pediatrici nel rispetto delle normative regolatorie e in collaborazione con le industrie farmaceutiche, è stato fondato il consorzio Innovative Therapies for Children with Cancer (ITCC) (https://www.itcc-consortium.org). Le principali banche dati degli studi clinici finanziati con fondi privati o pubblici sono www.clinicaltrials.gov (a livello mondiale) e www.clinicaltrialsregister.eu (a livello europeo). I registri clinici, tuttavia, non sono inclusi in queste banche dati. Sono inoltre disponibili banche dati nazionali, come il Registro tedesco degli studi clinici (Deutsches Register Klinische Studien, DRKS, www.drks.de).

2.2.4 Linee guida europee di riferimento per la pratica clinica

Il progetto European Standard Clinical Practice (ESCP) è una collaborazione tra la Rete europea di riferimento per l'oncologia pediatrica (ERN PaedCan), i Gruppi europei per gli studi clinici SIOPE (ECTGs) e Childhood Cancer International Europe (CCI-E). L'obiettivo di questa iniziativa è sviluppare raccomandazioni cliniche basate sulle evidenze per ciascuna delle principali tipologie di tumore pediatrico e armonizzare l'erogazione delle cure in tutta Europa. Le raccomandazioni sono definite da esperti europei dei rispettivi settori con l'obiettivo di garantire l'accesso ai migliori trattamenti standard per tutti i pazienti pediatrici affetti da tumore, qualora nel loro Paese non sia disponibile uno studio clinico. Queste raccomandazioni possono inoltre contribuire a ridurre le disuguaglianze negli esiti di sopravvivenza tra i diversi Paesi. Attualmente sono disponibili oltre 20 raccomandazioni per i membri della SIOPE, tra cui protocolli per la leucemia mieloide acuta, la leucemia linfoblastica acuta, diverse tipologie di tumori cerebrali e i sarcomi (23).

2.3 Comunicazione

Al momento della diagnosi di tumore, all'inizio del trattamento e durante l'intero percorso terapeutico, è essenziale garantire colloqui regolari con i pazienti e le loro famiglie.
La comunicazione dovrebbe essere trasparente e adeguata all'età e al livello di comprensione del paziente. La famiglia dovrebbe ricevere informazioni complete, sia sugli aspetti medici sia su quelli psicosociali, e avere sempre la possibilità di porre domande e chiarire eventuali dubbi. Nei momenti chiave, ad esempio all'inizio del trattamento o in caso di progressione o recidiva, è consigliato un colloquio approfondito tra il medico curante, la famiglia e un membro del team psicosociale.

Ouyang et al. hanno pubblicato una revisione integrativa sulla comunicazione prognostica in oncologia pediatrica. I genitori hanno sottolineato l'importanza di una comunicazione aperta e continua, che includa la verifica della loro comprensione (24). Mack et al., in un'indagine, hanno riportato che la maggior parte dei genitori desiderava ricevere informazioni sulla prognosi. Anche se queste risultavano sconvolgenti, erano percepite come importanti per il processo decisionale (25). La comprensione numerica della prognosi era importante per l'85% dei genitori e la maggior parte di essi (73%) ha ricevuto queste informazioni. Tuttavia, più di un terzo dei genitori avrebbe voluto ricevere maggiori informazioni sulla prognosi rispetto a quelle effettivamente fornite (25).

Sebbene i genitori o i tutori legali siano i rappresentanti legali dei minori, la gravità della diagnosi e del trattamento richiede il coinvolgimento attivo del bambino o dell'adolescente nella comunicazione e nel processo decisionale terapeutico. Il Commento generale n. 12 del Comitato delle Nazioni Unite, relativo alla Convenzione sui Diritti del Fanciullo, stabilisce: "I bambini, inclusi i bambini piccoli, dovrebbero essere inclusi nei processi decisionali, in maniera coerente con le loro capacità in evoluzione. Dovrebbero ricevere informazioni sui trattamenti proposti e sui loro effetti e risultati, anche in formati appropriati e accessibili ai bambini con disabilità." (26)

2.4 Copertura dei costi

Ogni Paese adotta modalità differenti di erogazione dell'assistenza sanitaria. In generale, lo Stato, gli enti di assicurazione sociale o gli altri soggetti finanziatori dovrebbero rimborsare integralmente i costi connessi al trattamento, in conformità al protocollo terapeutico raccomandato. Poiché, fino a tempi recenti, la registrazione dei farmaci per i pazienti di età inferiore ai 18 anni è stata piuttosto limitata in Europa, i farmaci utilizzati off-label potrebbero non essere sempre direttamente rimborsabili dall'assicurazione sanitaria. Per ottenere il rimborso, possono rendersi necessarie lettere o richieste specifiche predisposte dai professionisti sanitari e indirizzate all'assicurazione sanitaria. L'accesso ai farmaci off-label dovrebbe essere agevolato a livello nazionale e internazionale, ad esempio sensibilizzando le assicurazioni sanitarie pubbliche sulle problematiche specifiche dei tumori pediatrici. Qualora alcuni componenti del trattamento non siano disponibili a livello locale, lo Stato dovrebbe farsi carico dei costi dell'assistenza transfrontaliera necessaria per accedere a tali prestazioni.

Al congresso annuale della Società internazionale di oncologia pediatrica (SIOP) del 2016, SIOP e CCI hanno raccomandato di migliorare l'accesso globale ai farmaci per il trattamento dei tumori pediatrici, includendo l'espansione della copertura assicurativa pubblica per i medicinali essenziali al loro trattamento (27). Nella loro revisione integrativa sullo stato socioeconomico, Tran et al. hanno dimostrato un'associazione tra la copertura assicurativa e la sopravvivenza (28). Nell'indagine europea condotta da Vassal et al., il 32% dei genitori intervistati ha riportato di aver sostenuto totalmente o parzialmente i costi del trattamento del proprio figlio (11).

Qualora alcuni componenti del trattamento non siano disponibili a livello locale, lo Stato dovrebbe farsi carico dei costi dell'assistenza transfrontaliera necessaria per accedere a tali prestazioni.

Oltre a una copertura sanitaria completa, il supporto finanziario alle famiglie è fondamentale. Lo Stato dovrebbe fornire assistenza economica alle famiglie di bambini e adolescenti affetti da tumore e coprire i costi aggiuntivi correlati al trattamento, comprese le spese per attrezzature, viaggi e altre necessità legate al percorso di cura, in particolare per le famiglie a medio e basso reddito. Le famiglie dovrebbero inoltre essere informate sulle organizzazioni di supporto disponibili, in grado di fornire un'assistenza completa, attraverso supporto finanziario, emotivo, educativo e di altro tipo.

Autori:
Yasmeen Alomari
Bianca-Andreea David
Lejla Kamerić
Jasna Vatreš
Robert Phillips
Ulrike Leiss

© istock

3. Assistenza psicosociale

Punti chiave

- L'assistenza psicosociale, erogata secondo linee guida internazionali, deve essere fornita dagli ospedali e/o dalle associazioni di pazienti per promuovere il benessere complessivo dei pazienti affetti da tumore in età pediatrica e delle loro famiglie, rispondendo ai bisogni emotivi, psicologici, sociali e fisici.
- L'assistenza psicosociale deve essere parte integrante del percorso di cura e del follow-up.
- Il disagio psicologico dovrebbe essere alleviato attraverso un supporto appropriato, interventi mirati e lo sviluppo di strategie di coping al fine di promuovere il benessere mentale.
- Devono essere agevolati il contatto con gruppi di supporto, le interazioni tra pari e il reinserimento scolastico.

3.1 Aspetti generali dell'assistenza psicosociale

Ricevere una diagnosi di tumore ha un impatto profondo sui bambini e le loro famiglie e altera significativamente la vita quotidiana. Per questo è fondamentale offrire un supporto che vada oltre il trattamento oncologico, con il coinvolgimento di un team psicosociale, al fine di garantire la migliore esperienza di cura possibile lungo l'intero percorso oncologico del paziente e di ridurre al minimo il rischio di conseguenze psicologiche e/o sociali della malattia. Il team psicosociale multidisciplinare può includere assistenti sociali, psicologi, terapisti del gioco e insegnanti. In alcuni casi può essere necessario un supporto aggiuntivo, da parte di psichiatri, psicoterapeuti o consulenti spirituali (29).

È essenziale valutare regolarmente il tipo e l'intensità dei bisogni di assistenza psicosociale dei pazienti e delle loro famiglie. Devono essere considerati sia i fattori di rischio correlati alla malattia sia quelli indipendenti dalla malattia, compresi i fattori di stress e le risorse dei pazienti e delle loro famiglie. La maggior parte dei pazienti e delle famiglie beneficia di un approccio di base, a carattere preventivo, mentre una piccola parte, in particolare i pazienti con condizioni preesistenti e numerosi fattori di rischio, richiede un'assistenza psicosociale più intensiva. L'obiettivo è potenziare e mantenere il supporto necessario per garantire la migliore qualità di vita (QoL) possibile e il benessere complessivo. Per raggiungere questi obiettivi generali, devono essere affrontati i seguenti bisogni:

- Valutare eventuali difficoltà sociali e finanziarie preesistenti e fornire informazioni sulle misure di supporto disponibili. Assistenti sociali e associazioni di pazienti svolgono un ruolo cruciale nel mettere in contatto i professionisti sanitari con le famiglie, fornire supporto nella gestione delle pratiche burocratiche, facilitare la partecipazione ad attività e affrontare problemi sociali.

- Valutare bisogni psicologici/emotivi, fattori di stress e risorse disponibili, distinguendo le reazioni appropriate alla malattia dai disturbi psicologici. Se necessario, è essenziale formulare una diagnosi accurata per avviare interventi psicosociali adeguati. Può inoltre rendersi necessaria una terapia psicologica, insieme a un supporto esteso alla famiglia.

- Facilitare interventi di tipo spirituale per sostenere il benessere e ridurre il disagio spirituale nei pazienti oncologici e nelle loro famiglie.
- Promuovere una comunicazione chiara, onesta e adeguata all'età e al livello di sviluppo del bambino o dell'adolescente, per ridurre l'ansia e favorire decisioni informate.
- Supportare pazienti e famiglie prima, durante e dopo le procedure mediche mediante interventi psicoeducativi, volti ad esempio a ridurre ansia, trauma e dolore e a migliorare la collaborazione, l'alfabetizzazione sanitaria e l'autoefficacia.
- Incoraggiare bambini e adolescenti a svolgere attività fisica e sport durante il trattamento.
- Valutare e affrontare in modo continuativo gli aspetti legati al coinvolgimento sociale e alle modalità organizzative per garantire la continuità scolastica, in particolare durante la fase acuta (ad esempio istruzione in ospedale e soluzioni abitative per le famiglie durante le lunghe degenze) al fine di ridurre il carico assistenziale e creare un ambiente di supporto.
- Offrire terapie complementari.
- Fornire supporto ai pazienti e alle famiglie nella fase terminale e dopo la perdita → VEDI CAPITOLO 4.
- Affrontare e gestire le limitazioni dello stile di vita, considerando in particolare le esigenze uniche e le sfide degli adolescenti affetti da tumori (ad esempio salute sessuale e privacy) e garantendo che i loro bisogni specifici siano presi in considerazione.
- Mettere a disposizione interpreti per superare le barriere linguistiche, quando necessario, garantendo che i pazienti e le loro famiglie comprendano chiaramente il percorso di cura.

È essenziale valutare regolarmente il tipo e l'intensità dei bisogni di assistenza psicosociale dei pazienti e delle loro famiglie.

3.2 Fatigue

I professionisti sanitari devono essere consapevoli della fatigue correlata al tumore pediatrico, sia nella fase acuta del trattamento sia durante il follow-up a lungo termine, e mettere in atto interventi di prevenzione e supporto (30, 31). Un rischio maggiore di fatigue è stato riscontrato nei pazienti trattati con radioterapia e in quelli che hanno manifestato disagio psicologico, effetti tardivi legati al tumore, dolore cronico o recidiva. È necessario un approccio multidisciplinare per mettere in atto misure in grado di ridurre la fatigue, quali l'attività fisica programmata, le tecniche di rilassamento e la mindfulness. Pazienti e famiglie devono essere informati sul rischio di fatigue durante o dopo il trattamento oncologico e ricevere istruzioni su come gestirne i sintomi (30).

3.3 Riabilitazione e risocializzazione

La riabilitazione è una componente fondamentale dell'assistenza e non riguarda solo i pazienti con evidenti sequele fisiche o neurologiche (ad esempio dopo un tumore cerebrale o un intervento chirurgico a un arto), ma dovrebbe essere disponibile per tutti i bambini e gli adolescenti, al fine di favorire il recupero della fiducia in sé stessi. A partire dal momento della diagnosi e per tutta la durata del trattamento, è necessaria una riabilitazione tempestiva per ridurre al minimo gli effetti fisici degli interventi terapeutici. Anche dopo il completamento delle cure, la riabilitazione continuativa è importante per affrontare la tossicità a lungo termine.

Fisioterapisti e terapisti occupazionali dovrebbero essere disponibili per ridurre al minimo le conseguenze a lungo termine del trattamento, mediante interventi quali esercizi terapeutici, supporto nel recupero da condizioni come miopatia e neuropatia e assistenza nell'uso di protesi. Un'attenzione particolare dovrebbe essere rivolta alle specifiche esigenze riabilitative dei bambini con tumori cerebrali. È importante che ogni organizzazione garantisca la disponibilità di servizi adeguatamente finanziati. Inoltre, la riabilitazione comprende non solo la valutazione fisica, ma anche gli aspetti psicologici e sociali. Per questo motivo, coinvolge l'intera famiglia nel processo di reintegrazione e risocializzazione, fondamentale dopo il completamento del trattamento oncologico. È fondamentale riconoscere l'importanza di sostenere le famiglie durante questa fase e, in alcuni Paesi europei, viene offerta una riabilitazione orientata alla famiglia.

A partire dal momento della diagnosi e per tutta la durata del trattamento, è necessaria una riabilitazione tempestiva per ridurre al minimo gli effetti fisici degli interventi terapeutici.

Autori:
Yasmeen Alomari
Bianca-Andreea David
Lejla Kamerić
Jasna Vatreš
Robert Phillips
Ulrike Leiss

© istock

4. Terapie di supporto

Punti chiave

- Migliorare il benessere generale dei pazienti pediatrici affetti da tumore e delle loro famiglie attraverso l'erogazione di cure di supporto conformi alle linee guida internazionali.
- Garantire ai pazienti un accesso senza restrizioni ai farmaci essenziali per le cure di supporto, inclusi gli emoderivati.
- Assicurare l'accesso ai programmi di riabilitazione per tutti i bambini e gli adolescenti, al fine di ridurre gli effetti fisici e psicosociali della malattia e del trattamento.
- Migliorare l'aderenza al trattamento identificando e affrontando le potenziali barriere e fornendo un supporto personalizzato.

4.1 Introduzione

La capacità di prevenire e gestire gli effetti collaterali del trattamento oncologico svolge un ruolo fondamentale nella presa in carico dei bambini e degli adolescenti con diagnosi di tumore. L'obiettivo principale delle terapie di supporto è migliorare la qualità di vita dei pazienti e delle loro famiglie lungo l'intero percorso di cura.
È essenziale che ogni centro di oncologia pediatrica offra un sistema di supporto completo e centrato sui bisogni del paziente, volto ad alleviare gli effetti collaterali legati al trattamento, gestire il dolore e migliorare il benessere generale. Inoltre, le terapie di supporto forniscono sostegno emotivo, aiutando bambini, adolescenti e famiglie ad affrontare le difficoltà emotive che emergono durante il percorso oncologico. L'integrazione delle terapie di supporto nell'assistenza erogata dai centri di oncologia pediatrica consente ai pazienti e alle loro famiglie di ricevere conforto e assistenza nell'affrontare gli aspetti

4.2 Complicanze infettive

Gestione della febbre neutropenica (32)
La febbre neutropenica è la complicanza più comune nei bambini e negli adolescenti sottoposti a trattamento oncologico. Sebbene molti episodi siano lievi, possono insorgere complicanze gravi e potenzialmente letali, che mettono a rischio il benessere del paziente e la prosecuzione del trattamento. L'obiettivo principale dovrebbe essere quello di ridurre al minimo l'insorgenza di tali complicanze. A tal fine, è necessario adottare una stratificazione del rischio validata nella gestione del paziente e trattare ciascun episodio sulla base dei patogeni più comuni a livello locale, della storia di resistenza antimicrobica del paziente e delle linee guida nazionali.

Infezioni del catetere venoso centrale (32)
I cateteri venosi centrali (ad esempio Port-a-Cath e cateteri di Broviac) sono ampiamente utilizzati nelle unità di oncologia pediatrica. La batteriemia e le infezioni correlate ai cateteri venosi centrali rappresentano una quota significativa delle infezioni correlate all'assistenza e sono associate a elevati tassi di mortalità. L'obiettivo deve essere la prevenzione, il monitoraggio, l'identificazione tempestiva e la gestione rapida di qualsiasi sospetta infezione del catetere venoso centrale. A tal fine, è fondamentale che il personale infermieristico riceva una formazione adeguata sull'uso corretto, il fissaggio, la manutenzione e la rimozione dei cateteri venosi centrali.
In caso di sospetta infezione, si raccomanda di prelevare emocolture da tutti i lumi del catetere venoso centrale. È inoltre indicato prelevare emocolture periferiche, poiché aumentano la probabilità di identificare una batteriemia rispetto al solo utilizzo di campioni prelevati dal catetere venoso centrale. Quando indicato, il catetere venoso centrale dovrebbe essere rimosso. L'adozione di queste misure contribuisce a ridurre il rischio di infezioni associate ai cateteri venosi centrali, migliorando gli esiti per i pazienti.

Infezioni da *Clostridium difficile* (33)

Le infezioni da *Clostridium difficile* rappresentano un rischio significativo per i bambini e gli adolescenti sottoposti a ospedalizzazione prolungata, chemioterapia o trattamento antibiotico. Secondo le raccomandazioni più recenti, le infezioni da *Clostridium difficile*, sia non gravi sia gravi, possono essere trattate efficacemente con antibiotici per via orale. È essenziale effettuare una valutazione individualizzata del paziente per determinare la gravità dell'infezione, il rischio di recidiva e il potenziale beneficio delle opzioni profilattiche e terapeutiche, al fine di individuare il percorso di cura più appropriato.

Ruolo della profilassi delle infezioni (34, 35)

Sono state sviluppate linee guida per la profilassi delle infezioni al fine di ridurre la batteriemia e il rischio di infezioni invasive nei bambini e negli adolescenti immunocompromessi affetti da tumore. In base alla diagnosi, al grado e alla durata dell'immunosoppressione, può essere indicata una profilassi antibatterica, antivirale, antifungina o nei confronti della polmonite da *Pneumocystis jirovecii*.

4.3 Terapie di supporto ematologiche e trasfusioni (36)

Nei pazienti pediatrici affetti da tumore, la gestione trasfusionale è fondamentale per garantire la sopravvivenza.

Nei pazienti pediatrici affetti da tumore, la gestione trasfusionale è fondamentale per garantire la sopravvivenza. La necessità di trasfusioni di emocomponenti dipende dal tipo di tumore, dal trattamento, dalle caratteristiche del paziente e dalle linee guida locali.
Possono essere trasfusi globuli rossi, piastrine o plasma. Le soglie trasfusionali dipendono dall'età del paziente, dalla situazione clinica e dalla velocità di riduzione dei valori ematici.

Esistono raccomandazioni nazionali e internazionali che disciplinano le pratiche trasfusionali e la preparazione degli emocomponenti. In passato venivano trasfusi globuli bianchi, in particolare granulociti; oggi la produzione di questi ultimi può essere incrementata mediante l'uso del fattore stimolante le colonie granulocitarie. L'indicazione al loro impiego dipende dalla diagnosi e dalle condizioni cliniche. Nel follow-up a lungo termine, è necessario considerare il volume cumulativo (ml/m^2) di globuli rossi trasfusi e i conseguenti livelli di ferritina, poiché ciò può determinare un sovraccarico di ferro.

4.4 Nausea e vomito durante la chemioterapia

La nausea e il vomito sono tra gli effetti collaterali più comuni del trattamento antitumorale e richiedono interventi mirati per garantirne un controllo efficace, migliorando così la qualità di vita del paziente e l'esperienza complessiva del trattamento (37). I professionisti sanitari dovrebbero attenersi alle linee guida di pratica clinica, che consentono di selezionare il tipo e il dosaggio appropriati di farmaci antiemetici in base al trattamento previsto (38).

La nausea e il vomito possono manifestarsi in diverse fasi: prima del trattamento, come sintomi anticipatori, immediatamente dopo il trattamento, come sintomi acuti, oppure dopo il trattamento, come sintomi ritardati. I sintomi che non rispondono al trattamento sono definiti refrattari. L'intensità del trattamento antiemetico è classificata in minima, bassa, moderata e alta, in base all'emetogenicità prevista dei farmaci chemioterapici. È raccomandato l'uso di farmaci antiemetici anche durante la radioterapia, in particolare nei pazienti sottoposti a irradiazione all'addome o al cervello.

4.5 Problemi gastrointestinali

I problemi gastrointestinali possono manifestarsi in varie forme, che vanno dalle alterazioni dell'alvo, come stipsi o diarrea, a condizioni più gravi, quali ragadi anali profonde o ostruzioni intestinali, che richiedono attenzione medica. Queste condizioni possono essere fonte di grande disagio sia per i bambini sia per le loro famiglie, poiché possono influenzare in modo significativo il benessere generale del bambino.

4.6 Igiene orale, rischio e gestione della mucosite

La mucosite orale è un effetto collaterale molto comune della chemioterapia e/o della radioterapia. Una gestione adeguata della mucosite orale migliora il benessere generale del paziente, il controllo del dolore e l'alimentazione per via orale, e riduce il rischio di batteriemia. Possono essere prese in considerazione alcune misure profilattiche per prevenire la mucosite, come l'utilizzo della fotobiomodulazione intraorale nello spettro della luce rossa (620–750 nm) nei pazienti ad alto rischio di mucosite (ad esempio quelli sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche o a radioterapia del distretto testa-collo).

4.7 Supporto nutrizionale

Un buono stato nutrizionale è correlato a una migliore tolleranza alla chemioterapia, a un minor numero di ritardi nel trattamento, a una riduzione delle infezioni, a una migliore sopravvivenza globale e a una migliore qualità di vita (39). I problemi nutrizionali, come sottopeso e sovrappeso, possono essere correlati sia al tumore sia al suo trattamento. L'integrazione della valutazione del profilo di rischio individuale con le raccomandazioni relative alla dieta neutropenica potrebbe migliorare il benessere generale dei bambini e adolescenti affetti da tumore. I professionisti sanitari e i nutrizionisti, in collaborazione con i genitori, dovrebbero prestare particolare attenzione a tali aspetti, mediante una valutazione sistematica del rischio e dello stato nutrizionale del paziente, fornendo raccomandazioni dietetiche aggiornate e un supporto nutrizionale adeguato all'evoluzione del suo profilo di rischio.

Esistono diverse opzioni per migliorare l'apporto nutrizionale nei bambini e negli adolescenti affetti da tumore: integratori orali, nutrizione enterale, ossia alimentazione tramite sondino, oppure nutrizione parenterale. Per quanto riguarda la dieta neutropenica in questa popolazione, sono state sviluppate e sono attualmente disponibili linee guida internazionali specifiche.

4.8 Gestione del dolore

L'obiettivo principale della gestione del dolore è migliorare la qualità di vita (QoL). I trattamenti oncologici, tra cui la chemioterapia, la radioterapia e la chirurgia, possono causare diversi tipi di dolore e disagio (40).

- Dolore acuto— Si manifesta improvvisamente, è spesso associato a procedure mediche (ad esempio interventi chirurgici, punture lombari, aspirati midollari) ed è una delle esperienze di dolore più comuni nei pazienti oncologici. L'adozione di protocolli appropriati per la gestione del dolore, che prevedano l'uso di farmaci adeguati, come analgesici e sedativi, nonché di tecniche quali i blocchi nervosi, può alleviare efficacemente il dolore acuto; per alcune procedure dolorose (ad esempio puntura lombare e aspirato midollare) dovrebbe essere presa in considerazione l'anestesia.
- Dolore cronico— È persistente e può derivare dal tumore stesso, dal trattamento o da altre condizioni mediche. Questo tipo di dolore può influenzare in modo significativo il benessere fisico ed emotivo. Per una gestione efficace del dolore cronico, dovrebbe essere sviluppato un piano di trattamento completo, che può includere una combinazione di farmaci, fisioterapia, supporto psicologico e terapie complementari, come l'agopuntura o le tecniche di rilassamento.
- Dolore neuropatico— È frequentemente riscontrato nei pazienti oncologici, in particolare a causa di danni ai nervi indotti dal trattamento (ad esempio neuropatia da vincristina). Può manifestarsi con sensazioni di bruciore, dolore lancinante o formicolio e la sua gestione può essere complessa. L'uso di farmaci specifici per il dolore neuropatico (ad esempio alcuni anticonvulsivanti o antidepressivi) può fornire sollievo e migliorare il benessere del paziente.

La psicoeducazione svolge un ruolo significativo nella gestione del dolore e dei sintomi. Essa consiste nel favorire la comprensione della natura del dolore e dei sintomi, nonché nell'insegnare strategie di coping.

La psicoeducazione svolge un ruolo significativo nella gestione del dolore e dei sintomi. Consiste nel favorire la comprensione della natura del dolore e dei sintomi, nonché nell'insegnare strategie di coping. Fornire ai pazienti informazioni sulla propria condizione e sulle strategie disponibili per gestirla può aiutarli ad affrontare meglio le difficoltà che incontrano.

La comunicazione tra pazienti, genitori e professionisti sanitari (ad esempio oncologi, specialisti del dolore, neurologi, anestesisti, radioterapisti, chirurghi e psicologi) è fondamentale per garantire un'adeguata gestione del dolore. La comprensione dell'esperienza individuale del dolore del paziente consente ai professionisti sanitari di personalizzare il piano terapeutico. Valutazioni regolari e l'adeguamento del piano di gestione del dolore in base alla risposta del paziente sono essenziali per ottenere risultati ottimali.

Autori:
Anna Campello
Alice van Velzen
Georgia Kokkinou
Kerstin Krottendorfer
Theodora Armenkova
Ana Lacerda

© istock

5. Cure palliative pediatriche

Punti chiave

- Le cure palliative pediatriche si fondano sulla presa in carico attiva e globale del bambino o dell'adolescente con una condizione potenzialmente letale o che limita la vita, e della sua famiglia; dovrebbero essere introdotte precocemente, garantite lungo tutto il percorso di cura e non limitate esclusivamente alla fase di fine vita.
- Non esiste un modello unico valido per tutti per l'erogazione delle cure palliative pediatriche; ogni struttura dovrebbe individuare il modello più adatto alle proprie esigenze, alle risorse disponibili e al contesto culturale.
- Dovrebbe essere promossa la pianificazione anticipata delle cure, fondata su una comunicazione efficace e sulla costruzione di un rapporto di fiducia tra i professionisti sanitari, il bambino o l'adolescente e la sua famiglia.
- Nella fase di fine vita, a ogni bambino o adolescente affetto da tumore e alla sua famiglia devono essere offerte opportunità di scelta riguardo all'intensità del trattamento, al luogo dell'assistenza e al luogo del decesso.

Gli autori ringraziano i membri del comitato direttivo del Gruppo di Lavoro sulle Cure Palliative della SIOPE (Maria Avillez Martinez, Finella Craig, Benoit Dumont, Ulrike Leiss e Katrin Scheinemann) per le proficue discussioni che hanno accompagnato la preparazione del manoscritto.

5.1 Introduzione

Le cure palliative pediatriche (CPP) sono definite come un approccio volto a prevenire e alleviare la sofferenza del bambino o dell'adolescente affetto da una malattia potenzialmente letale o che limita la vita, nonché quella della sua famiglia, attraverso un'assistenza multidisciplinare, in grado di rispondere in modo integrato ai bisogni fisici, psicologici, spirituali e sociali. Le cure palliative sono esplicitamente riconosciute come un diritto umano dall'Organizzazione mondiale della sanità (41).

In questo capitolo vengono illustrati, per tutti i portatori di interesse, cinque aspetti chiave delle cure palliative pediatriche nel contesto dell'oncologia pediatrica, con l'obiettivo di supportare i professionisti sanitari nello sviluppo e nella diffusione di tali servizi in Europa.

5.2 I 5 principi delle cure palliative pediatriche

Le cure palliative pediatriche (CPP) forniscono un'assistenza attiva e globale al bambino o all'adolescente con una condizione potenzialmente letale o che limita la vita e alla sua famiglia, lungo tutto il percorso di cura, e non devono essere limitate esclusivamente alla fase di fine vita (EoL).

I 5 principi delle cure palliative pediatriche sono (42–44):

1) adottare un approccio integrato e multidisciplinare, incentrato principalmente sulla qualità di vita e sulla fase di fine vita, nel senso più ampio del termine;
2) sostenere l'intero nucleo familiare, prestando attenzione al contesto culturale;
3) migliorare la gestione del dolore e degli altri sintomi;
4) favorire la comunicazione tra professionisti sanitari e le famiglie;
5) promuovere la pianificazione anticipata delle cure (Advance Care Planning, ACP).

Per essere efficaci, le cure palliative pediatriche richiedono un approccio multidisciplinare, coordinato e integrato e devono includere la famiglia.

I professionisti sanitari devono possedere le conoscenze, le competenze e l'atteggiamento adeguati per supportare bambini e adolescenti e le loro famiglie, tenendo presenti questi cinque principi.

Per essere efficaci, le cure palliative pediatriche richiedono un approccio multidisciplinare, coordinato e integrato e devono includere la famiglia.
Il team può comprendere oncologi pediatrici, medici di base, infermieri ospedalieri, domiciliari e di hospice, medici e/o infermieri specializzati in CPP, psicologi, assistenti sociali, membri della famiglia, operatori per il supporto spirituale o pastorale. L'elenco non è esaustivo, poiché i membri del team dipendono dalle risorse disponibili, dai bisogni e dalle preferenze della famiglia (43, 45).
A ogni bambino o adolescente e alla sua famiglia dovrebbe essere assegnato un case manager, ossia un professionista sanitario che coordina l'erogazione delle cure palliative pediatriche fin dalla diagnosi e che rappresenta il primo punto di contatto per la famiglia. Il case manager organizza incontri tra i membri del team

e la famiglia, crea il collegamento tra l'assistenza domiciliare e quella ospedaliera, quando necessario, e coordina tutti gli aspetti dell'erogazione delle cure palliative pediatriche.

Le cure palliative pediatriche richiedono che siano affrontati tutti gli aspetti dell'assistenza, non solo quelli medici. Di conseguenza, i professionisti sanitari dovrebbero prestare attenzione a quattro aree principali:

Sollievo dal dolore e dai sintomi (43, 44)

- Integrare nella pratica clinica quotidiana gli esiti riferiti dal paziente (Patient Reported Outcomes, PRO) per valutare e monitorare i sintomi. Ciò può aiutare i professionisti sanitari a identificare e affrontare in modo efficace il carico sintomatologico e gli effetti collaterali, nonché a supportare il processo decisionale condiviso, incorporando i valori, le preferenze e gli obiettivi del paziente (44).
- Al momento della prescrizione di farmaci o trattamenti, fornire informazioni su aspettative realistiche, tempi di miglioramento, possibili effetti collaterali e modalità di gestione.
- Fornire indicazioni sull'autocura e su interventi complementari e alternativi (ad esempio dieta, rilassamento, esercizi di respirazione e aromaterapia).
- Valutare e misurare adeguatamente il dolore, utilizzando scale di valutazione, quando disponibili (ad esempio scala delle faccine, scala FLACC).
- Quando si prescrivono farmaci per il dolore cronico, non dimenticare di includere le dosi di soccorso e di fornire indicazioni su come gestire gli effetti collaterali più frequenti degli oppioidi (stipsi, nausea e vomito, sonnolenza, ecc.).
- Coinvolgere uno specialista del dolore, quando disponibile.

Bisogni psicologici e spirituali (44, 46, 47)

- Non presumere, in qualità di professionista sanitario, di sapere cosa sia meglio e, soprattutto, non fare supposizioni sulle decisioni dei pazienti e delle loro famiglie.
- Rispettare il diritto dei pazienti e delle loro famiglie di scegliere consapevolmente di non voler ricevere determinate informazioni, offrendo comunque uno spazio qualora desiderino approfondire.
- Valutare se il bambino/adolescente o la famiglia desiderino parlare con qualcun altro riguardo alle proprie credenze e ai propri valori.

- Discutere con i pazienti e le loro famiglie se le loro convinzioni religiose o filosofiche debbano essere prese in considerazione nell'assistenza, in particolare nel processo decisionale sulle opzioni terapeutiche.
- Essere consapevoli che in molte culture il benessere psicologico del bambino/adolescente è considerato più importante della verità e che, per motivi religiosi, può essere difficile per i genitori accettare l'interruzione del trattamento.

Fiducia e comunicazione (44, 45, 48)

- Presentare i membri del team di cure palliative pediatriche precocemente nel percorso oncologico, poiché ciò aiuta a costruire un rapporto di fiducia con i pazienti e le loro famiglie.
- Garantire che tutti i membri del team abbiano esperienza e formazione nella comunicazione di cattive notizie (quali diagnosi, recidiva, evento potenzialmente letale o incurabilità), poiché la comunicazione è uno degli strumenti più importanti del team di cure palliative pediatriche.
- Essere consapevoli che l'uso di una terminologia inappropriata o affermazioni poco chiare possono generare fraintendimenti. È raccomandato l'uso di un linguaggio aperto, onesto, chiaro e semplice, nonché della comunicazione non verbale, come l'ascolto attivo e la dimostrazione di empatia e supporto.

Processo decisionale condiviso (43, 44, 49)

- Ricordare che la fiducia reciproca costituisce una base fondamentale per il processo decisionale condiviso ed è particolarmente importante nelle fasi di fine vita e nella fase terminale.
- Spiegare chiaramente i vantaggi e gli svantaggi delle possibili opzioni terapeutiche al momento di prendere decisioni sul trattamento.
- Includere l'opzione di attendere e osservare e l'opzione di non perseguire ulteriori trattamenti curativi o di supporto vitale, concentrandosi invece pienamente sul comfort e sulla qualità di vita.
- Offrire ai pazienti e alle loro famiglie l'opportunità di porre domande su tutte le opzioni e di condividere idee, esperienze, desideri e aspettative.
- Chiedere ai bambini/adolescenti e alle famiglie quali siano le loro preferenze e, se richiesto, spiegare anche la propria preferenza.
- Essere consapevoli che il processo decisionale condiviso non si esaurisce in un unico incontro, ma può richiedere più colloqui. Gli incontri dovrebbero svolgersi preferibilmente in presenza e solo eccezionalmente tramite mezzi digitali.

5.3 Introduzione precoce delle cure palliative pediatriche

Una diagnosi di tumore in età pediatrica comporta sempre incertezza, carico emotivo e sofferenza, e l'introduzione precoce delle cure palliative pediatriche (CPP) può aiutare ad affrontare questi aspetti.

Le CPP dovrebbero essere introdotte quanto prima in seguito alla diagnosi di una condizione potenzialmente letale o che limita la vita, in parallelo ai trattamenti curativi o di prolungamento della vita (42, 43). È stato dimostrato che l'avvio del supporto palliativo in una fase precoce migliora la qualità di vita e riduce il carico dei sintomi. Tale approccio è stato associato a degenze ospedaliere più brevi, a un minore ricorso alle cure intensive e a un numero complessivamente inferiore di ricoveri. I caregiver riferiscono livelli più elevati di soddisfazione e una riduzione dell'ansia e della depressione. L'integrazione precoce delle CPP favorisce inoltre un rapporto di maggiore fiducia tra i professionisti sanitari e le famiglie, migliorando così il processo decisionale lungo l'intero decorso della malattia (43, 48).

Le cure palliative pediatriche possono essere integrate fin dalle prime fasi del percorso di cura. Dopo la comunicazione della diagnosi, il team di oncologia pediatrica può avviare un colloquio volto a esplorare le preoccupazioni, le speranze, le aspettative e gli aspetti psicosociali della famiglia. Ciò aiuta ad allineare il trattamento e l'assistenza del paziente agli obiettivi e ai valori della famiglia lungo tutto il percorso di cura. Qualora sia disponibile un team dedicato alle CPP, questa discussione contribuirà a porre le basi per il suo coinvolgimento (49).

Le barriere che più frequentemente ostacolano l'introduzione precoce delle CPP includono (46, 48, 50):

- Credenze culturali locali e idee errate che associano le CPP esclusivamente alle cure di fine vita, sia da parte dei genitori sia da parte dei professionisti sanitari. La definizione di «cure palliative» è spesso associata alla sofferenza e alla morte.

Allo stesso tempo, i contesti culturali, spirituali e religiosi possono rendere difficile l'integrazione delle CPP, soprattutto nei casi in cui parlare di morte rimane un tabù.

- La carenza di specialisti in CPP e la formazione limitata dei professionisti sanitari in questo ambito, inclusa una scarsa consapevolezza dei potenziali benefici e competenze comunicative insufficienti. Esiste una correlazione positiva tra conoscenza e atteggiamento nei confronti delle CPP, ma specifici programmi formativi nazionali sulle cure palliative pediatriche in oncologia sono ampiamente carenti. Per affrontare queste criticità, sono incoraggiate iniziative locali e nazionali volte a sostenere la diffusione di informazioni a livello sociale e a promuovere consapevolezza e atteggiamenti positivi tra pazienti, genitori e famiglie riguardo al ruolo e agli obiettivi delle cure palliative nell'oncologia pediatrica, come parte integrante del trattamento (46, 50).

Le cure palliative pediatriche dovrebbero essere introdotte quanto prima in seguito alla diagnosi di una condizione potenzialmente letale o che limita la vita, in parallelo ai trattamenti curativi o di prolungamento della vita.

Dovrebbero inoltre essere promosse indagini condotte dai reparti di oncologia pediatrica o dalle Società nazionali di ematologia e oncologia pediatrica su come le diverse appartenenze etniche e i valori religiosi e culturali influenzano l'invio ai servizi di cure palliative pediatriche e/o la loro accettazione. Ad esempio, il team locale di cure palliative pediatriche può essere presentato al paziente e alla famiglia come «team per il controllo dei sintomi», «team di cure di supporto» o «team dedicato al comfort», per rendere più chiaro il suo ruolo nel massimizzare il comfort e la qualità di vita (46, 48).

È necessaria una maggiore formazione per i professionisti sanitari, in particolare sulla comunicazione. Tale formazione dovrebbe includere modalità di apprendimento interattive tra professionisti di diverse discipline e nazionalità, al fine di migliorare la collaborazione e il benessere dei pazienti, integrando differenti prospettive sociali e culturali (42, 43, 50).

5.4 Modelli di erogazione delle CPP

Non esiste un modello unico valido per tutti per l'erogazione delle CPP in oncologia pediatrica: ogni centro di cura dovrebbe individuare quello che meglio si adatta alle proprie esigenze, alle risorse disponibili e al contesto culturale.

È incoraggiata l'adozione di politiche e linee guida locali e/o nazionali per definire criteri di presa in carico e relativi percorsi organizzativi, nonché per ridurre le disuguaglianze e la frammentazione dei servizi all'interno di ciascun Paese (50). La definizione di criteri di eleggibilità per la presa in carico nell'ambito delle CPP nei bambini e adolescenti affetti da tumore può contribuire a garantire che cure appropriate siano fornite a coloro che ne hanno maggiore necessità. Inoltre, consente ai centri di identificare i servizi specifici richiesti e di allocare correttamente le risorse finanziarie e di personale (43). I centri di oncologia pediatrica sono fortemente incoraggiati a utilizzare i criteri delle "green lights" (*Tabella 1*) per individuare quando è opportuno ricorrere a servizi dedicati di CPP (43). Altri strumenti specifici, come la Paediatric Palliative Screening Scale (PaPaS) o la scala ACCAPED, possono assistere nella valutazione della complessità dei bisogni e nella determinazione del livello appropriato di intervento di CPP (51, 52).

Questi strumenti non dovrebbero sostituire la valutazione clinica individuale dei bisogni specifici di ciascun bambino o

Alla diagnosi	Durante il trattamento	In relazione a bisogni complessi
– Malattia potenzialmente letale (es. glioma cerebrale esteso) o tumore in stadio avanzato (es. neuroblastoma stadio IV; tumore solido metastatico). – Diagnosi di un tumore con stima di sopravvivenza libera da eventi <40% con le terapie attuali.	– Malattia metastatica progressiva. – Malattie recidivanti o resistenti, anche dopo insufficienza d'organo. – Tossicità maggiori durante il trattamento. – In caso di ospedalizzazione prolungata (>3 settimane) o di ricovero prolungato in unità di terapia intensiva (>1 settimana) senza segni di miglioramento. – In caso di tre o più ospedalizzazioni non programmate per gravi problemi medici entro un periodo di 6 mesi.	– Difficoltà nella gestione dei sintomi, in particolare del dolore. – Stress psicosociale significativo o supporto sociale limitato. – Introduzione di nuovi dispositivi (gastrostomia o tracheostomia) che richiedono cure complesse durante la transizione dall'ospedale al domicilio. – Difficoltà nei processi decisionali o di comunicazione.

Tabella 1: Criteri suggeriti per l'invio ai servizi di CPP nei bambini e adolescenti affetti da tumore ("Green Lights Criteria"— utilizzati con il permesso di *Benini F, et al Pediatric Palliative Care in Oncology: Basic Principles. Cancers 2022*)

adolescente e della sua famiglia, inclusi l'intensità del carico sintomatologico, la durata del trattamento, il coordinamento dell'assistenza e i desideri e le preferenze personali.

Nell'organizzazione delle CPP, le strutture sanitarie devono distinguere tra l'integrazione dei principi delle cure palliative pediatriche (CPP primarie) e il ricorso a consulenze specialistiche. I due approcci non si escludono reciprocamente e possono essere integrati a diversi livelli di complessità lungo tutto il decorso della malattia. Pertanto, sono ampiamente riconosciuti tre modelli di erogazione delle CPP in oncologia pediatrica (*Figura 1*) (42, 43, 53):

1) Modello di assistenza di base— Tutti i professionisti sanitari possono affrontare con i pazienti e le loro famiglie aspetti correlati alle CPP, come speranze, paure, supporto e comprensione della situazione. Oncologi pediatrici, infermieri o professionisti dell'area psicosociale possono condurre questa valutazione, consentendo un'identificazione precoce dei bisogni della famiglia. Questo primo modello può essere implementato con successo anche in contesti con risorse limitate.

2) Modello con competenze specialistiche integrate— I professionisti sanitari con una formazione specifica in CPP fungono da collegamento tra il team di oncologia pediatrica, il paziente e la famiglia. Questo approccio garantisce che le CPP siano integrate senza soluzione di continuità nel piano terapeutico complessivo. Tuttavia, il numero limitato di professionisti sanitari dell'oncologia pediatrica con formazione specifica in CPP può rappresentare un ostacolo alla diffusione di questo modello.

3) Modello di cure integrate— Le CPP specialistiche sono erogate da un team interdisciplinare in un contesto dedicato, che costituisce l'approccio ideale. Entrambi i team (CPP e oncologia pediatrica) lavorano in stretta collaborazione per fornire un ulteriore livello di supporto e competenza nella gestione dei sintomi complessi, delle difficoltà psicosociali e dei processi decisionali affrontati dai pazienti e dalle loro famiglie. Il team di CPP effettua valutazioni periodiche e offre orientamento e supporto continuativi.

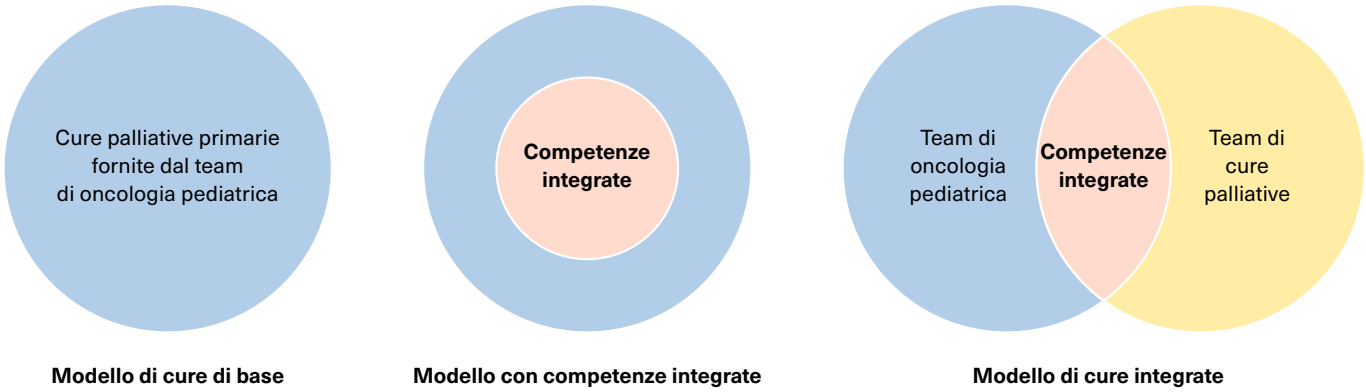


Figura 1: Possibili modelli di erogazione delle CPP in oncologia pediatrica (utilizzati con il permesso di *Lacerda A, et al., Embracing paediatric palliative care in paediatric oncology from diagnosis onwards. Ped Blood Cancer 2023*).

Quando necessario, dovrebbero essere offerte consulenze di telemedicina, che possono migliorare la disponibilità e l'accessibilità delle CPP e contribuire ulteriormente a ridurre le disuguaglianze sociali nell'assistenza sanitaria, superando le barriere legate alla distanza, ai trasporti e alle difficoltà economiche. La telemedicina può inoltre ridurre la necessità di visite ospedaliere e di ricoveri, limitando le interruzioni della routine quotidiana del paziente e migliorando, in ultima analisi, la qualità di vita (53, 54).

L'assistenza globale ai pazienti di oncologia pediatrica dovrebbe essere estesa ai genitori, ai fratelli e agli altri familiari significativi. L'introduzione precoce dei servizi psicosociali per genitori e fratelli dovrebbe costituire una componente integrante dell'assistenza centrata sulla famiglia e proseguire anche nel periodo di lutto, in caso di decesso del bambino o dell'adolescente (44, 47).

I gruppi nazionali e/o locali di oncologia pediatrica e di CPP dovrebbero individuare il modello che meglio bilancia vantaggi e criticità in relazione alla propria organizzazione, tenendo conto delle norme, delle risorse e del contesto culturale a livello nazionale e istituzionale (53). Qualunque sia il modello adottato, deve promuovere l'integrazione precoce delle CPP (42).

5.5 Pianificazione anticipata delle cure

La pianificazione anticipata delle cure (ACP), basata sulla comunicazione e sulla costruzione di un rapporto di fiducia tra i professionisti sanitari, il bambino o l'adolescente e la sua famiglia, contribuisce a garantire un'assistenza di eccellenza in oncologia pediatrica.

L'ACP dovrebbe essere una componente standard dell'oncologia pediatrica, poiché consente ai pazienti e ai genitori di esprimere i propri valori, obiettivi e preferenze per le cure future e di discuterli tempestivamente con i clinici e i familiari (43, 45, 48). Si tratta di un processo continuo e dinamico, che richiede di rivalutare e, quando necessario, aggiornare valori, obiettivi e preferenze nel tempo (42).

L'ACP dovrebbe essere una componente standard dell'oncologia pediatrica, poiché consente ai pazienti e ai genitori di esprimere i propri valori, obiettivi e preferenze per le cure future.

Offrire tempo e spazio per ripetuti colloqui di ACP fin dalla diagnosi contribuisce a costruire fiducia e a migliorare la qualità di vita e, quando necessario, la qualità delle cure di fine vita. I risultati di questi colloqui dovrebbero essere documentati nella cartella clinica e il piano, comprese le successive revisioni, condiviso con tutti i professionisti sanitari coinvolti.

5.6 Scelte di fine vita

Nella fase di fine vita (EoL), a ogni bambino o adolescente affetto da tumore e alla sua famiglia devono essere offerte opportunità di scelta riguardo all'intensità dei trattamenti, al luogo di cura e al luogo del decesso.

Le cure di fine vita possono essere fornite in diversi contesti, tra cui il domicilio, l'ospedale, i servizi ambulatoriali e gli hospice pediatrici. La scelta del contesto assistenziale dovrebbe essere commisurata alla gravità clinica e alla complessità dei bisogni, tenendo conto anche delle preferenze dei pazienti e delle loro famiglie, nonché delle risorse disponibili (43). È inoltre importante garantire alle famiglie la possibilità di modificare le proprie scelte, anche negli ultimissimi momenti (42).

L'assistenza domiciliare dovrebbe essere presa in considerazione, in quanto può rispettare maggiormente le preferenze della famiglia, interferire meno con le attività quotidiane e favorire il coinvolgimento dei familiari e un'assistenza maggiormente personalizzata (42, 43, 48).

Dove disponibili, gli hospice pediatrici offrono un ambiente a misura di bambino e centrato sulla famiglia e possono alleggerire il carico assistenziale dei familiari. Tuttavia, queste strutture sono ancora poco diffuse in Europa (43, 53).

È inoltre importante garantire alle famiglie la possibilità di modificare le proprie scelte, anche negli ultimissimi momenti.

Dopo il decesso di un bambino, è fondamentale fornire un supporto adeguato alla famiglia in lutto. Un incontro con il team di CPP e/o il team di oncologia pediatrica dovrebbe essere programmato in base alla volontà e alla disponibilità della famiglia, permettendo ai familiari di condividere i propri pensieri, discutere il decorso della malattia del bambino, le cure di fine vita ed eventuali domande o rimpianti. Questo supporto dopo il decesso contribuisce al percorso di lutto della famiglia e offre un'opportunità per condividere le emozioni e favorire una graduale elaborazione dell'esperienza (42, 44).

Per favorire una migliore integrazione delle CPP e come risorsa potenziale per i professionisti sanitari e le famiglie, SIOPE ha istituito un Gruppo di Lavoro sulle CPP (https://siope.eu/SIOPE-Palliative-Care-WG), il cui obiettivo è aumentare la consapevolezza tra tutti gli stakeholder, creare opportunità formative, migliorare la qualità delle cure per i bambini affetti da tumore in tutti i contesti assistenziali, sostenere la ricerca sulle CPP e favorire la comunicazione e la collaborazione tra i professionisti che erogano CPP nell'ambito dell'oncologia pediatrica in tutta Europa.

Autori:
Alice Lawford
Lucija Ruzman
Theodora Armenkova
Harun Šabić
Maria Otth
Katrin Scheinemann

© pexels / Alexander Dummer

6. Assistenza ai lungo-viventi e pratiche di transizione

Punti chiave

- Il follow-up deve essere garantito ai lungo-viventi per tutto l'arco della vita, in considerazione del rischio e dell'impatto degli effetti tardivi.
- Ogni paziente ha il diritto di ricevere un riepilogo del trattamento, comprensivo delle dosi cumulative, al termine della terapia o prima di lasciare i servizi di oncologia pediatrica.
  Deve essere fornito un piano di assistenza personalizzato per i lungo-viventi e deve essere facilitata la transizione ai servizi sanitari per adulti, al fine di garantire un follow-up a lungo termine in conformità alle linee guida internazionali.
- Il follow-up a lungo termine, così come il processo di transizione, deve essere globale, multidisciplinare, coordinato, accessibile e adeguato all'età del paziente.
- I lungo-viventi, i caregiver e i professionisti sanitari devono essere informati e formati sugli effetti tardivi, sui rischi per la salute, sulla promozione della salute e sulle strategie di intervento precoce.
- Gli oncologi pediatrici non dovrebbero concentrarsi solo sul miglioramento dei tassi di sopravvivenza, ma anche sulla riduzione del rischio di effetti tardivi e sul miglioramento della qualità di vita dei lungo-viventi; pertanto, è fondamentale garantire il monitoraggio e la gestione a lungo termine degli effetti tardivi nei lungo-viventi che hanno avuto un tumore in età pediatrica.

6.1 Introduzione

I successi nelle terapie e nelle cure di supporto per bambini e adolescenti affetti da tumore hanno portato a un aumento della popolazione dei lungo-viventi; in Europa si stima che il loro numero sia compreso tra 300.000 e 500.000, pari a 1 ogni 1.000 abitanti. Con tassi di sopravvivenza ai tumori pediatrici che raggiungono l'80–90% nei Paesi con sistemi sanitari altamente sviluppati, l'attenzione nell'assistenza si concentra sempre più sulla qualità della vita dei lungo-viventi, compresa l'identificazione di eventuali effetti tardivi derivanti dai trattamenti ricevuti. Ciò è fondamentale, poiché gli effetti tardivi identificati precocemente possono essere trattabili e avere implicazioni significative sulla morbidità a lungo termine, ad esempio in relazione alla fertilità, agli esiti fisici e psicologici e alla mortalità precoce. È quindi imprescindibile comprendere, riconoscere e affrontare le esigenze specifiche di questa crescente popolazione di guariti da tumore pediatrico.

Sono in corso numerosi studi volti a migliorare e standardizzare la qualità dell'assistenza ai lungo-viventi a livello globale. Nel presente documento, si fa riferimento alle linee guida basate sulle evidenze pubblicate a oggi, consapevoli che ulteriori aggiornamenti saranno disponibili con la pubblicazione di nuove evidenze scientifiche.

6.2 I lungo-viventi e il follow-up a lungo termine

La maggior parte dei bambini e degli adolescenti trattati per un tumore entrerà nella popolazione dei lungo-viventi e richiederà un'assistenza di follow-up a lungo termine, talvolta per tutta la vita. I lungo-viventi sono definiti come coloro che hanno completato il trattamento da almeno 5 anni. L'obiettivo fondamentale del follow-up è ridurre l'impatto degli effetti tardivi mediante la prevenzione, l'individuazione precoce e il trattamento tempestivo, nonché migliorare la qualità di vita dopo il trattamento di un tumore pediatrico.

Per il follow-up a lungo termine (LTFU) deve essere applicato un approccio semplice e clinicamente praticabile. Le modalità del follow-up devono essere adattate al tipo di tumore e al trattamento ricevuto. La maggior parte dei Paesi adotta un approccio stratificato in base al rischio per definire le modalità e la frequenza della sorveglianza, considerando fattori demografici, stato di salute attuale e stile di vita.

Il team responsabile del follow-up deve coordinare le cure con altri specialisti, quali cardiologi, endocrinologi e specialisti della fertilità, e devono essere definiti in modo chiaro i percorsi di presa in carico verso questi servizi.

Il LTFU dovrebbe essere erogato da un team multidisciplinare composto da clinici esperti in oncologia pediatrica e nella gestione degli effetti tardivi, infermieri con competenze avanzate, psicologi, assistenti sociali e altri specialisti in base ai bisogni dei lungo-viventi pediatrici (ad esempio fisioterapisti, specialisti della fertilità, cardiologi ed endocrinologi). In ciascun Paese dovrebbe essere definita in modo chiaro la struttura del percorso di follow-up, dal quinto anno dopo il completamento del trattamento fino alla transizione ai servizi per adulti. Tale percorso deve essere aggiornato ogni qualvolta siano disponibili nuove evidenze, al fine di standardizzare l'assistenza, tenendo conto anche delle risorse del sistema sanitario nazionale.

A seconda del livello di rischio del bambino o dell'adolescente di sviluppare effetti tardivi, il paziente dovrebbe essere visitato almeno ogni uno o due anni. La responsabilità di questa assistenza deve essere definita in base all'organizzazione sanitaria di ciascun Paese, che può prevedere la gestione da parte del medico di medicina generale o del pediatra, un modello in cui è il centro oncologico stesso a gestire la sorveglianza, oppure un modello di assistenza condivisa.

Indipendentemente dal modello adottato, sono necessarie collaborazione e comunicazione trasparente tra i professionisti per garantire un monitoraggio continuo. Il team responsabile del follow-up deve inoltre coordinare l'assistenza con gli altri specialisti (ad esempio cardiologi, endocrinologi e specialisti della fertilità) e devono essere definiti in modo chiaro i percorsi di accesso verso questi servizi. In caso di follow-up al di fuori del centro oncologico pediatrico, deve essere mantenuta una comunicazione continua e uno scambio di informazioni con i servizi oncologici pediatrici, che continueranno a svolgere un ruolo centrale di consulenza.

La telemedicina può rappresentare un'ulteriore modalità di assistenza ai lungo-viventi. In questo ambito, promuovere l'autogestione del proprio stato di salute e l'empowerment costituisce una componente importante dell'assistenza di follow-up a lungo termine. Oncompass è un esempio di strumento di salute digitale a supporto di tali obiettivi (https://oncompassmedicine.com/).

6.3 Piani di cura per i lungo-viventi

Ogni lungo-vivente dovrebbe avere una documentazione riassuntiva dei trattamenti, il cosiddetto piano di assistenza per i lungo-viventi. Questo piano include tutti gli agenti chemioterapici e i rispettivi dosaggi ricevuti, la radioterapia con l'indicazione delle sedi irradiate e delle dosi somministrate, gli interventi chirurgici, il trapianto di midollo osseo e le eventuali complicanze clinicamente rilevanti. Un piano di assistenza individualizzato dovrebbe essere predisposto alla fine del trattamento e all'inizio del percorso di follow-up a lungo termine.

Tutti i piani di cura per i lungo-viventi hanno l'obiettivo di facilitare la comunicazione e la trasparenza tra i professionisti sanitari e di favorire l'empowerment dei lungo-viventi.

Esistono diversi strumenti per creare i piani di assistenza per i lungo-viventi (ad esempio, il Passport for Care negli Stati Uniti, lo SmartCard Tool e il PanCare Survivorship Passport in Europa, nonché strumenti locali in uso presso St. Jude Children's Research Hospital). Indipendentemente dal nome o dal Paese in cui sono sviluppati, tutti questi strumenti condividono lo stesso contenuto e la medesima struttura: informazioni personali del paziente, dati sulla diagnosi e sul trattamento ricevuto, elenco dei potenziali effetti tardivi e degli organi interessati a seguito dei trattamenti ricevuti, e le relative raccomandazioni per il LTFU, ad esempio la frequenza dei controlli cardiaci o renali. Tutti i piani di cura per i lungo-viventi hanno l'obiettivo di facilitare la comunicazione e la trasparenza tra i professionisti sanitari e di favorire l'empowerment dei lungo-viventi. I piani di cura dovrebbero essere pienamente accessibili, preferibilmente online, a tutti i professionisti sanitari coinvolti, inclusi quelli per adulti quando necessario, e allo stesso lungo-vivente, con un chiaro riferimento alle linee guida basate sulle evidenze per il suo monitoraggio specifico.

Il piano di cura dovrebbe essere concordato con il paziente, la famiglia e il team dedicato di oncologia pediatrica, nonché rivisto e aggiornato a ogni consulto successivo. Deve essere garantita una comunicazione continuativa riguardo al rischio di effetti tardivi rilevanti, fin dalle fasi iniziali e proseguita gradualmente lungo tutto il percorso terapeutico. Questo approccio favorirà una transizione efficace verso il follow-up a lungo termine (LTFU) e, successivamente, ai servizi sanitari per adulti.

6.4 Transizione

È stato dimostrato che l'aderenza al follow-up diminuisce con il tempo trascorso dal completamento del trattamento, proprio nel periodo in cui il monitoraggio è più importante, poiché è in questa fase che molti effetti tardivi tendono a manifestarsi (55, 56). Questi pazienti meritano un'assistenza ottimale che prosegua fino all'età adulta. Pertanto, la transizione ai servizi sanitari per adulti rappresenta un momento critico da gestire in maniera efficace. La transizione è definita come un "processo attivo, pianificato, coordinato, globale e multidisciplinare che consente ai lungo-viventi di trasferirsi in modo efficace e armonioso dai sistemi sanitari centrati sul bambino a quelli orientati agli adulti" (57).

Il processo di transizione dovrebbe essere affrontato durante l'intero percorso di follow-up a lungo termine (LTFU) dei lungo-viventi e integrato nella loro assistenza, in modo che siano informati e preparati al passaggio ai servizi per adulti.

A causa della varietà di sistemi sanitari e delle risorse disponibili in ciascun Paese europeo, non è possibile adottare un unico modello di transizione. Di conseguenza, è fondamentale garantire un follow-up ben pianificato, definito e prontamente accessibile, per gestire e ridurre la morbidità e la mortalità correlate al trattamento. La continuità assistenziale verso la medicina degli adulti deve essere assicurata tramite una sorveglianza adeguata da parte di team esperti e l'accesso a trattamenti specialistici in contesti appropriati all'età. Il coordinamento di questa assistenza ha inizio sin dall'avvio del percorso di follow-up a lungo termine (LTFU), con il coinvolgimento del team multidisciplinare, il rinvio agli specialisti, la comunicazione con i servizi sanitari di assistenza primaria e secondaria, e successivamente la collaborazione con i servizi sanitari per adulti (58, 59).

Il processo di transizione dovrebbe essere affrontato durante l'intero percorso di LTFU dei lungo-viventi e integrato nella loro assistenza, in modo che siano informati e preparati al passaggio ai servizi per adulti. Il LTFU, e in particolare la transizione, richiedono un'assistenza globale; i complessi bisogni fisiologici e psicologici dei lungo-viventi pediatrici devono essere pienamente considerati al momento della transizione.

La documentazione clinica deve essere facilmente accessibile ai professionisti sanitari dei servizi per adulti, così come ai servizi di comunità, sotto forma di piano di cura per i lungo-viventi. È fondamentale mantenere una comunicazione aperta tra il team di oncologia pediatrica e quello dei servizi per adulti (60).

La transizione armonizzata verso i servizi per adulti rappresenta un ambito ancora in evoluzione, attualmente oggetto di numerose attività di ricerca in corso. Sono attesi ulteriori sviluppi e nuove linee guida su questo tema (https://pancarefollowup.eu/).

6.5 Effetti tardivi somatici

Gli effetti tardivi sono esiti fisici o psicosociali, cronici o a insorgenza ritardata, che si sviluppano o persistono oltre 5 anni dalla diagnosi di tumore (61). Il rischio cumulativo di sviluppare un qualsiasi esito avverso per la salute a 45 anni dalla diagnosi varia dal 21% al 69%, a seconda della stratificazione del rischio (62). Dosi più elevate di trattamento aumentano generalmente il rischio, mentre un intervallo di tempo più lungo dal termine delle cure è associato a una maggiore prevalenza di effetti tardivi. Gli effetti tardivi possono variare da lievi a gravi e comprendono numerose condizioni fisiche, dello sviluppo, comportamentali ed emotive.

Gli effetti tardivi possono essere da lievi a gravi e comprendono numerose condizioni fisiche, dello sviluppo, comportamentali ed emotive.

Per il follow-up si raccomanda l'adozione di linee guida standardizzate e basate sulle evidenze. Si suggerisce di utilizzare le raccomandazioni di PanCare (63) come punto di partenza e le linee guida del Children's Oncology Group (COG) e dell'International Guideline Harmonization Group (IGHG) per una trattazione più completa e indicazioni gestionali più dettagliate (64, 65). Ogni Paese può disporre di proprie pubblicazioni; tuttavia, al fine di standardizzare l'assistenza ai lungo-viventi in Europa, sono essenziali linee guida accessibili a tutti i Paesi, ai professionisti sanitari e ai lungo-viventi stessi.

Le linee guida qui citate si basano su revisioni sistematiche delle evidenze disponibili e sono facilmente consultabili. Come già sottolineato, è fondamentale mantenere l'attenzione sulle pubblicazioni più recenti e sono attesi a breve nuovi documenti del progetto PanCareFollowUp.

Gli effetti tardivi possono interessare qualsiasi organo o apparato. Tra questi rientrano malattie cardiovascolari, alterazioni endocrine, compromissione della fertilità, deficit neurocognitivi, disfunzioni respiratorie, ototossicità e neoplasie secondarie. Non si limitano tuttavia agli aspetti fisici: difficoltà psicologiche, comportamentali, sociali, scolastiche e lavorative possono essere altrettanto gravose e devono essere valutate e affrontate (61). I principali effetti sono descritti di seguito.

Fertilità
Tutti i bambini e gli adolescenti con diagnosi di tumore dovrebbero ricevere una consulenza sulla fertilità e, quando indicato, sulla possibilità di preservarla prima dell'inizio del trattamento oncologico, se è disponibile un metodo appropriato e validato. Si tratta di discussioni delicate e permangono ancora numerosi aspetti da chiarire. Non è possibile stabilire con certezza il potenziale riproduttivo di ciascun lungo-vivente, ma è possibile valutarne il rischio; pertanto, un invio tempestivo a uno specialista della riproduzione è fondamentale. Sono disponibili linee guida del COG e dell'IGHG specifiche per le donne (66, 67) e per gli uomini (68, 69), a sostegno delle decisioni cliniche.

Effetti tardivi indotti dalla radioterapia
Questi effetti interessano, in modo dose-dipendente, gli organi situati nel campo di irradiazione (65). Ne consegue la necessità di un follow-up mirato, che comprende, ad esempio, lo screening per il tumore della mammella dopo radioterapia che coinvolga il torace, la sorveglianza delle neoplasie successive e delle disfunzioni ormonali dopo radioterapia cranica, nonché il monitoraggio del carcinoma tiroideo differenziato dopo irradiazione della tiroide o terapia con ^{131}I-MIBG (64, 70).

Cardiotossicità correlata al trattamento
I lungo-viventi esposti ad antracicline (daunorubicina, doxorubicina, mitoxantrone, idarubicina, epirubicina) e/o a radioterapia toracica sono a rischio di cardiomiopatia e di altri eventi cardiovascolari, quali aritmie, ipertensione, valvulopatie e malattie coronariche. È raccomandato uno screening regolare secondo un approccio stratificato in base al rischio, come indicato dall'IGHG e dal COG (64, 65).

Crescita e tossicità endocrina
Tutti i lungo-viventi dopo un tumore pediatrico dovrebbero essere sottoposti a esame obiettivo e una valutazione generale del benessere ogni anno, durante ciascun consulto di follow-up a lungo termine (LTFU). L'altezza e il peso devono essere misurati e riportati sulle curve di crescita OMS fino al raggiungimento dell'altezza finale (64, 65). All'inizio del follow-up a lungo termine, per ciascun lungo-vivente dovrebbero essere valutati, documentati e monitorati lo stato puberale e nutrizionale.

I lungo-viventi a più alto rischio di deficit di ormone della crescita sono quelli trattati prima di raggiungere l'altezza adulta, sottoposti a radioterapia encefalica o spinale (soprattutto dosi

>30 Gy), irradiazione corporea totale (TBI) e chirurgia cerebrale, in particolare nella regione soprasellare (71). In tutti questi bambini la crescita deve essere monitorata a intervalli regolari. Se un bambino mostra una velocità di crescita ridotta, deve essere inviato a un endocrinologo pediatrico per una valutazione completa dell'asse ipotalamo-ipofisario.

I lungo-viventi che hanno ricevuto radioterapia al collo, alla colonna, al cervello, TBI o alte dosi di MIBG dovrebbero essere sottoposti al monitoraggio della funzione tiroidea (TSH, T4) e sottoporsi a palpazione del collo al termine del trattamento e almeno annualmente per tutta la vita, poiché i problemi tiroidei possono comparire molti anni dopo. Le lungo-viventi a rischio di problemi tiroidei dovrebbero essere informate sull'importanza di un monitoraggio accurato prima e durante la gravidanza (65, 72).

A seconda del trattamento ricevuto, possono verificarsi deficit di altri assi endocrini, oltre a quello della crescita e della tiroide, che devono essere monitorati.

Sindrome metabolica

I lungo-viventi dopo un tumore pediatrico, in particolare quelli trattati con alte dosi di steroidi (ad esempio nella leucemia linfoblastica acuta), o con irradiazione del pancreas, del cuore o della regione carotidea, presentano un rischio maggiore di complicanze cardiovascolari e di sviluppare la sindrome metabolica (65). Durante il LTFU, questi lungo-viventi dovrebbero ricevere educazione sanitaria e supporto per l'adozione di uno stile di vita sano, incluso evitare fattori di rischio aggiuntivi come il fumo. Nei pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo, i tipici segni di aumento del BMI possono non essere evidenti. Una raccomandazione IGHG è in fase di sviluppo.

Secondi tumori

A seconda del trattamento ricevuto, soprattutto dopo la radioterapia, i lungo-viventi dopo un tumore pediatrico presentano un rischio aumentato, per tutta la vita, di sviluppare una successiva neoplasia primaria. Per questo motivo, è fondamentale garantire un'adeguata informazione ai lungo-viventi, mantenere un elevato livello di vigilanza clinica e una soglia più bassa per il ricorso ad approfondimenti diagnostici da parte dei professionisti sanitari (61).

6.6 Funzionamento psicosociale

Quasi un terzo dei lungo-viventi e delle loro famiglie riferisce difficoltà personali, familiari e sociali che influenzano l'autostima, le relazioni interpersonali, il rendimento scolastico e l'attività lavorativa. Tuttavia, questi effetti tardivi psicosociali sono spesso meno riconosciuti rispetto agli effetti fisici. Una diagnosi di tumore cerebrale, le terapie dirette al SNC e la radioterapia costituiscono fattori di rischio noti per esiti psicosociali sfavorevoli.

Problemi di salute mentale

Molti lungo-viventi considerano il benessere psicologico più importante della qualità della vita fisica. Possono sperimentare isolamento emotivo, difficoltà di adattamento e stress, non solo durante il trattamento attivo, ma anche dopo il ritorno alla vita quotidiana. I lungo-viventi possono presentare una riduzione del benessere psicologico, un aumento dei problemi comportamentali, ansia, depressione e, talvolta, sintomi significativi di stress post-traumatico, compresa l'ideazione suicidaria.

Deficit neurocognitivi

Deficit dell'attenzione, della memoria, dell'organizzazione percettiva e di altre funzioni neurocognitive interessano principalmente i lungo-viventi con pregressa diagnosi di tumore cerebrale e quelli trattati con radioterapia cranica o metotrexato intratecale, incluso il trattamento della leucemia linfoblastica acuta (64). È in fase di sviluppo una raccomandazione IGHG. Uno screening neuropsicologico regolare è quindi essenziale per monitorare questi effetti tardivi, che possono manifestarsi in qualsiasi momento dopo il trattamento (29). Aspetti emotivi come paura, gratitudine e acquisizione di una prospettiva positiva possono influenzare non solo la qualità della vita quotidiana, ma anche l'aderenza al follow-up a lungo termine e la transizione ai servizi per adulti.

Fatigue correlate al tumore
Questa condizione può persistere anche anni dopo il completamento del trattamento, con un impatto negativo su molti aspetti della vita. Si raccomanda uno screening longitudinale periodico attraverso l'anamnesi e la valutazione con scale specifiche per la fatigue. Sebbene le opzioni terapeutiche efficaci siano limitate, l'informazione, l'attività fisica, gli interventi di terapia esperienziale e le tecniche di rilassamento possono offrire qualche beneficio (30) → VEDI CAPITOLO 3.2.

Benessere generale
Per tutti i lungo-viventi dopo un tumore pediatrico, le visite di LTFU rappresentano un'occasione per promuovere uno stile di vita sano. È importante discutere e sottolineare l'importanza di seguire una dieta equilibrata, praticare esercizio fisico, mantenere un peso adeguato, non fumare, evitare sostanze stupefacenti, dormire a sufficienza e gestire lo stress.

Difficoltà sociali, scolastiche e occupazionali
La qualità della vita a lungo termine dei lungo-viventi si riflette anche nei risultati scolastici e occupazionali. I lungo-viventi, in particolare quelli con tumori del SNC, sono a rischio di difficoltà scolastiche, mancato conseguimento di titoli di studio superiori o universitari e disoccupazione. È quindi consigliata una valutazione periodica, durante le visite di LTFU, della situazione educativa e occupazionale dei lungo-viventi. Il monitoraggio dei risultati scolastici dovrebbe iniziare dalla diagnosi e continuare lungo tutto il percorso di LTFU fino al completamento dell'istruzione. La pianificazione professionale e il monitoraggio dell'occupazione dovrebbero iniziare durante l'adolescenza ed essere rafforzati durante la transizione ai servizi per adulti.

Per i lungo-viventi che riportano difficoltà, è necessario il coinvolgimento di psicologi, assistenti sociali, specialisti dell'istruzione e/o servizi per la disabilità. Programmi educativi speciali, formazione professionale e supporto all'inserimento lavorativo possono ridurre le disuguaglianze. Tuttavia, anche in presenza di fattori di rischio e delle numerose difficoltà affrontate, la maggior parte dei lungo-viventi completa con successo il percorso scolastico e accede alla vita professionale.

6.7 Iniziative legislative

Molti lungo-viventi continuano a subire discriminazioni socioeconomiche a causa della loro precedente malattia. Ad esempio, l'accesso a servizi finanziari, come mutui, prestiti, assicurazioni sulla vita o di viaggio, può risultare difficile.
Per questo, alcuni Paesi hanno adottato specifiche iniziative legislative sul diritto all'oblio, considerate misure efficaci per ridurre il rischio di discriminazione dei lungo-viventi. Tali normative prevedono che, dopo un certo periodo di tempo, i lungo-viventi non siano più obbligati a dichiarare la loro malattia e possano quindi accedere ai servizi finanziari senza restrizioni.
Si tratta di un ambito ancora in fase di evoluzione, e i gruppi europei di lungo-viventi stanno attivamente promuovendo l'adozione di misure legislative a livello europeo. Tutti i Paesi dell'UE dovrebbero avviare programmi dedicati, con il supporto dei decisori politici, volti a favorire la piena reintegrazione sociale e professionale dei lungo-viventi nella società. La disponibilità di informazioni scritte sui problemi socioeconomici, messe a disposizione dai centri sanitari o dalle associazioni di pazienti, soprattutto durante il processo di transizione, unitamente alla possibilità di un confronto aperto su questi temi, può offrire un supporto significativo.

6.8 Nuovi farmaci

Attualmente, le evidenze sugli effetti tardivi dei nuovi medicinali, ad esempio imatinib, blinatumomab, dinutuximab, sono ancora scarse. Per questo motivo, è necessario il follow-up a lungo termine (LTFU) dei lungo-viventi trattati con questi nuovi farmaci, non solo per valutarne l'efficacia e la tossicità, ma anche per identificare eventuali effetti tardivi. Ulteriori studi sono necessari per ampliare le conoscenze in questo ambito.

6.9 Conclusioni

Gli oncologi pediatrici non dovrebbero concentrarsi esclusivamente sul miglioramento della sopravvivenza, ma anche sulla riduzione del rischio di effetti tardivi e sul miglioramento della qualità di vita dei lungo-viventi. Il monitoraggio e la gestione degli effetti tardivi durante l'intero arco della vita dei lungo-viventi sono di massima importanza. L'assistenza dovrebbe essere multidisciplinare, coordinata, accessibile e adattata alle diverse fasi della vita, secondo un approccio globale. I lungo-viventi e i professionisti sanitari devono essere formati sulle problematiche legate alla sopravvivenza, sui rischi sanitari specifici, sulla promozione della salute e sulle strategie di intervento precoce. Una comunicazione e una collaborazione efficaci tra le diverse discipline e le organizzazioni internazionali (come SIOPE, PanCare e CCI Europe) sono fondamentali per rafforzare la standardizzazione delle pratiche e garantire che i lungo-viventi possano mantenere il miglior stato di salute possibile nel lungo periodo e realizzare pienamente il proprio potenziale. Le linee guida saranno aggiornate regolarmente alla luce delle più recenti evidenze scientifiche.

Gli oncologi pediatrici non dovrebbero concentrarsi esclusivamente sul miglioramento della sopravvivenza, ma anche sulla riduzione del rischio di effetti tardivi e sul miglioramento della qualità di vita dei lungo-viventi.

Autori:
Theodora Armenkova
Georgia Kokkinou
Lejla Kamerić
Irina Ban
Marko Ocokoljic

© Survivors Austria

7. Ruolo dei rappresentanti dei pazienti e advocacy

Punti chiave

- La promozione dei diritti dei bambini e degli adolescenti affetti da tumori richiede un approccio multidisciplinare e una solida collaborazione con tutti gli stakeholder.
- I genitori/caregiver, i pazienti, i lungo-viventi e le loro associazioni possono svolgere un importante ruolo di advocacy.
- I rappresentanti dei pazienti possono contribuire significativamente all'intero percorso di cura: dalla diagnosi al trattamento attivo, alla terapia di mantenimento, al follow-up, nonché all'assistenza transfrontaliera, allo sviluppo di normative e interventi legislativi nazionali e internazionali, alla ricerca e all'innovazione.
- Le organizzazioni di pazienti sono enti senza scopo di lucro incentrati sui bisogni dei pazienti, che si occupano di formazione e sviluppo delle competenze per pazienti e famiglie, forniscono supporto tra pari, contribuiscono alla ricerca e all'innovazione e influenzano le politiche sanitarie.
- La diversità culturale, politica ed economica tra i Paesi europei comporta sfide differenti, che richiedono attività di advocacy mirate a rispondere ai bisogni specifici, a sostenere le famiglie e a promuovere il cambiamento.

7.1 Advocacy dei pazienti nel campo dei tumori pediatrici

L'advocacy dei pazienti nel sistema sanitario significa migliorare l'accesso alle cure di qualità e fornire supporto ai pazienti, ai genitori/caregiver e ai lungo-viventi, permettendo loro di esprimere opinioni, desideri e di far valere i propri diritti. Il ruolo dei rappresentanti dei pazienti nelle politiche sanitarie e nelle attività di advocacy comprende, tra gli altri aspetti, l'apporto della prospettiva di pazienti, genitori e lungo-viventi, la condivisione della loro esperienza vissuta, la promozione di una loro adeguata rappresentanza nei sistemi sanitari e la difesa dei loro diritti, nel rispetto della privacy, della riservatezza e del diritto al consenso informato. I rappresentanti dei pazienti sono persone che possiedono competenze ed esperienza necessarie a supportare una più ampia popolazione di pazienti affetti da una specifica malattia (73). Solitamente si tratta di genitori, lungo-viventi e professionisti che operano come rappresentanti delle organizzazioni di pazienti. Esistono programmi di formazione dedicati ai rappresentanti dei pazienti, volti a potenziarne le competenze e le conoscenze→ → VEDI CAITOLO 11.7.

Nel campo dei tumori pediatrici, il ruolo dell'advocacy e dei rappresentanti dei pazienti è particolarmente importante, in quanto offre a pazienti e genitori l'opportunità di unire la propria voce e le proprie prospettive, basate sull'esperienza e la conoscenza, e di condividerle a beneficio di tutti i pazienti e dell'intero sistema sanitario. I rappresentanti dei pazienti svolgono questo ruolo partecipando a forum e discussioni pubbliche relative alla sanità, sensibilizzando l'opinione pubblica, interagendo con decisori politici e autorità regolatorie e collaborando con professionisti sanitari e altri esperti nel campo dei tumori pediatrici.

L'advocacy dei pazienti affetti da tumori pediatrici richiede un approccio multidisciplinare e una solida collaborazione con tutti gli stakeholder. I suoi obiettivi principali includono:

I rappresentanti dei pazienti sono persone che hanno conoscenza ed esperienza sufficienti per supportare una più ampia popolazione di pazienti affetti da una specifica malattia.

- Sensibilizzazione— Incrementare la consapevolezza pubblica sull'impatto dei tumori pediatrici sui pazienti e sulle loro famiglie, ad esempio diffondendo informazioni sui tipi di tumore pediatrico, sulle modalità di trattamento, sull'importanza della diagnosi precoce e sugli ostacoli emotivi e socioeconomici affrontati da famiglie e pazienti.
- Promozione e finanziamento della ricerca— Sostenere iniziative volte a incrementare i fondi per la ricerca e l'assistenza nell'ambito dei tumori pediatrici, ad esempio supportando progetti per sviluppare trattamenti innovativi, migliorare la diagnostica e ampliare la conoscenza complessiva dell'oncologia pediatrica, ma anche partecipando attivamente a progetti di ricerca (80).
- Miglioramento dell'accesso alle cure— Garantire che bambini e adolescenti affetti da tumore ricevano cure mediche tempestive e appropriate, tra cui l'accesso a centri specializzati, trial clinici e servizi di supporto psicologico e cure palliative.
- Supporto alle famiglie— Promuovere iniziative che forniscano supporto emotivo, risorse e assistenza alle famiglie che affrontano un tumore pediatrico. Ciò può includere gruppi di supporto, programmi di assistenza finanziaria e risorse informative.
- Influenza sulle politiche sanitarie— Collaborare con i decisori politici a livello locale, nazionale e internazionale per contribuire alla definizione, all'introduzione e all'attuazione di politiche che assicurino risorse sostenibili e migliorino la qualità delle cure, della ricerca e dell'accesso ai trattamenti per bambini e adolescenti affetti da tumore.
- Empowerment di pazienti e famiglie— Fornire a pazienti, famiglie e caregiver le conoscenze necessarie per diventare advocate, ad esempio offrendo informazioni sui trattamenti disponibili, sui diritti del paziente e su come orientarsi nel sistema sanitario.
- Promozione della collaborazione— Assicurare che pazienti, genitori e lungo-viventi lavorino insieme a professionisti sanitari, ricercatori e istituzioni per creare un fronte comune nell'affrontare le sfide poste dai tumori pediatrici.

7.2 Le organizzazioni di pazienti e il loro ruolo

Le organizzazioni di pazienti sono enti senza scopo di lucro incentrati sui bisogni dei pazienti. In queste organizzazioni, pazienti, lungo-viventi e/o caregiver (questi ultimi quando i pazienti non sono in grado di rappresentarsi da soli) costituiscono la maggioranza dei membri degli organi direttivi. Esse si distinguono tra le organizzazioni della società civile per la duplice natura del loro focus e della loro composizione. Mentre le ONG in altri ambiti operano a favore di una più ampia comunità o della società in generale, i membri delle organizzazioni di pazienti sono molto spesso pazienti/lungo-viventi, i loro caregiver o altri familiari, che operano prevalentemente su base volontaria. Molte organizzazioni di pazienti aderiscono a linee guida o principi che ne attestano l'affidabilità quali partner affidabili. In particolare, l'European Patients' Forum definisce cinque criteri che garantiscono che un'organizzazione sia "bona fide" (https://www.eu-patient.eu/members/what-is-a-patient-organisation/).

Le organizzazioni più solide ed efficaci nel campo dei tumori pediatrici nascono solitamente da gruppi di genitori impegnati, lungo-viventi o altri specialisti coinvolti nell'assistenza ai bambini e agli adolescenti affetti da tumore. Questi gruppi mobilitano reti e risorse per promuovere cambiamenti, diffondere le best practice e favorire un trattamento e un'assistenza integrati. Alcune organizzazioni colmano lacune nel sistema sanitario e finanziano servizi che altrimenti non verrebbero erogati, ad esempio supporto psicosociale, miglioramento dell'ambiente ospedaliero, case di accoglienza per i genitori, raccolte fondi per farmaci, studi clinici e test specifici, supporto sociale, assistenza alle famiglie nell'accesso a consulenze legali.
Altre organizzazioni si occupano della tutela dei diritti di bambini e famiglie e del miglioramento delle politiche sanitarie. Alcune operano a livello locale o regionale, mentre altre sono attive a livello nazionale, europeo o internazionale. Come enti indipendenti, queste organizzazioni svolgono un ruolo importante nell'influenzare le politiche sanitarie, soprattutto quando è necessario promuovere attività di advocacy per rivedere la legislazione e la regolamentazione, migliorare i trattamenti, ottimizzare l'ambiente sanitario e rafforzare il supporto sociale (76).

7.3 Advocacy dei pazienti in tutte le fasi

Nel campo dei tumori pediatrici, pazienti e famiglie condividono bisogni e problematiche comuni. Tuttavia, la diversità culturale, politica ed economica tra i Paesi europei determina esigenze specifiche a livello nazionale, che richiedono interventi di advocacy mirati. Ne deriva un'ampia varietà di pratiche di advocacy a livello locale, nazionale, regionale ed europeo.

7.3.1 Diagnosi, trattamento attivo e terapia di mantenimento

Le organizzazioni di genitori/pazienti hanno un ruolo cruciale in questa prima fase. Tra le principali iniziative di advocacy vi sono il diritto del bambino di rimanere con i genitori in ospedale, la garanzia dell'accesso all'istruzione durante il trattamento, la fornitura di informazioni sulla malattia e sul percorso terapeutico, nonché la garanzia della gestione del dolore e delle cure palliative. Le organizzazioni di pazienti, lavorando a stretto contatto con ospedali, professionisti sanitari e pazienti, possono identificare e affrontare le problematiche specifiche che interessano le famiglie e i pazienti nel loro contesto locale e nazionale (77). Le organizzazioni di pazienti contribuiscono anche a migliorare il sistema sanitario e a rispondere a bisogni non soddisfatti dalle istituzioni pubbliche, ad esempio migliorare le condizioni ospedaliere, affrontare carenze di farmaci, fornire supporto psicologico e sociale, sopperire alla mancanza di personale, finanziare programmi di formazione per i professionisti sanitari, donare attrezzature, farmaci e materiali di consumo.

7.3.2 Follow-up a lungo termine (LTFU)

Il follow-up a lungo termine è organizzato in modo diverso nei vari Paesi europei. Un LTFU ben strutturato è essenziale per il benessere dei lungo-viventi. L'istituzione di programmi di follow-up richiede sforzi comuni da parte di tutti gli stakeholder, inclusi rappresentanti dei pazienti, professionisti sanitari, centri di cura, genitori, lungo-viventi e organizzazioni di pazienti.

7.3.3 Assistenza sanitaria transfrontaliera

L'assistenza sanitaria transfrontaliera può garantire un migliore accesso ai trattamenti standard per tutti i bambini e gli adolescenti affetti da tumori, ma rappresenta un processo complesso che coinvolge molti settori. Richiede competenze mediche specifiche, un quadro normativo adeguato, risorse finanziarie e collaborazione tra diversi centri. Tutte le parti interessate hanno un ruolo nella corretta organizzazione di questo processo e devono partecipare attivamente alla sua realizzazione. I rappresentanti dei pazienti dovrebbero lavorare insieme per definire criteri e procedure per l'accesso all'assistenza sanitaria transfrontaliera. ERN PaedCan è un buon esempio di come la cooperazione tra stakeholder possa migliorare l'accesso e ridurre le disuguaglianze → VEDI CAPITOLO 10.

7.3.4 Quadro normativo nazionale e internazionale

Attraverso la rappresentanza e la mobilitazione, l'advocacy consente ai pazienti e ai loro rappresentanti di essere agenti di cambiamento nel dibattito politico e nelle decisioni operative. Ciò è già riconosciuto dai decisori politici nelle istituzioni dell'UE e dall'OMS Europa, che chiedono esplicitamente un maggiore coinvolgimento dei pazienti. Il Libro Bianco della Commissione Europea "Together for Health: A Strategic Approach for the EU 2008–2013" sottolinea che la partecipazione e l'empowerment dei cittadini e dei pazienti devono essere considerati valori fondamentali in tutte le attività sanitarie a livello dell'UE. Sulla base di questo lavoro, le politiche sanitarie comunitarie devono assumere come punto di partenza fondamentale i diritti dei cittadini e dei pazienti, promuovendone la partecipazione ai processi decisionali e la possibilità di influenzarli, nonché le competenze necessarie per il benessere e l'alfabetizzazione sanitaria (78).

I rappresentanti dei pazienti possono essere partner attivi e contribuire significativamente alle politiche sanitarie in quanto:

- comprendono le priorità e l'esperienza dei pazienti;
- promuovono la prospettiva degli utenti finali nella progettazione dei servizi sanitari;
- rappresentano la voce dei pazienti in modo coerente in un approccio "Health in All Policies";
- possono contribuire allo sviluppo delle politiche sanitarie in tutte le fasi.

Per promuovere meglio i diritti dei pazienti, i rappresentanti possono unirsi e costruire reti integrate di professionisti sanitari, pazienti, genitori e lungo-viventi. Per quanto riguarda la revisione e il miglioramento di regolamenti e leggi, l'advocacy congiunta a livello nazionale o internazionale supporta:

- la raccolta, la gestione e l'analisi dei dati e la diffusione della conoscenza, favorendo l'accesso agli studi clinici e l'implementazione delle linee guida internazionali;
- la promozione di un adeguato sostegno finanziario per ricerca e trattamento;
- lo sviluppo di buone pratiche e la promozione dell'implementazione e del loro finanziamento da parte dei governi;
- il miglioramento del quadro normativo per rispondere a bisogni medici insoddisfatti, sviluppare e mantenere registri dei tumori pediatrici, migliorare l'accesso a farmaci antitumorali essenziali e innovativi, favorire lo sviluppo precoce di farmaci pediatrici e di nuove terapie sperimentate per la prima volta nei pazienti pediatrici, promuovere cure transfrontaliere (79).

7.3.5 Ricerca e sviluppo: salute e farmaci

I rappresentanti dei pazienti contribuiscono anche in diversi modi alla ricerca e allo sviluppo. Possono essere partner attivi nei progetti di ricerca, supportando la raccolta di dati, aiutando a orientarsi nei processi regolatori, assistendo nella raccolta fondi e nel finanziamento della ricerca, e sollevando questioni rilevanti per la comunità dei pazienti. Possono inoltre partecipare alla co-progettazione, allo sviluppo, all'applicazione e al monitoraggio di innovazioni di forte impatto nel settore sanitario.

Questo ruolo attivo nella ricerca può concretizzarsi attraverso l'adozione del modello di coinvolgimento e partecipazione dei pazienti e del pubblico nella ricerca (Patient and Public Involvement and Engagement, PPIE), sviluppato dal UK National Institute for Health Research, per indicare una ricerca condotta con il contributo attivo dei pazienti e dei cittadini, o direttamente da loro promossa, anziché una ricerca in cui essi siano soltanto oggetto di studio, destinatari dell'analisi o benefi ciari fi nali (80). L'obiettivo è promuovere l'empowerment dei pazienti, in modo che possano contribuire attivamente tramite la loro esperienza vissuta e le conoscenze acquisite.

L'obiettivo è promuovere l'empowerment dei pazienti, in modo che possano contribuire attivamente attraverso la loro esperienza vissuta e le conoscenze acquisite.

Oltre ai singoli pazienti/caregiver e ai rappresentanti dei pazienti, il PPIE include anche pazienti esperti. Si tratta di ex pazienti/caregiver che, oltre a possedere competenze specifiche sulla malattia, hanno anche conoscenze tecniche in ricerca e sviluppo e/o in ambito regolatorio, acquisite tramite formazione o esperienza (73).

Nell'ambito dei tumori pediatrici, il PPIE può essere ulteriormente definito come Patient and Parent Involvement and Engagement, poiché il ruolo di rappresentante dei pazienti o di paziente esperto è spesso ricoperto dai genitori di bambini e adolescenti affetti da tumore (75).

Il PPIE prevede tre modalità di coinvolgimento:
(a) partecipazione, cioè prendere parte a studi o trial clinici come soggetti dello studio, direttamente o indirettamente, ad esempio tramite questionari;
(b) sensibilizzazione, cioè diffondere informazioni e conoscenze relative alla ricerca;
(c) collaborazione, cioè stabilire una partnership attiva tra ricercatori e pazienti esperti, dove questi ultimi diventano membri a pieno titolo del processo di cura e ricerca, dalla definizione congiunta delle domande di ricerca fino alla diffusione dei risultati della ricerca collaborativa (80).

È stato dimostrato che il PPIE apporta molteplici benefici (75):
- migliora la trasferibilità dei risultati della ricerca;
- aumenta il reclutamento negli studi;
- garantisce che le domande di ricerca, il disegno del trial e la diffusione dei risultati siano incentrati sui pazienti e sulle famiglie.

Si consiglia di incoraggiare il coinvolgimento dei rappresentanti dei pazienti nelle prime fasi della ricerca e dello sviluppo.

7.4 Advocacy congiunta in azione: esempi di collaborazioni di successo tra stakeholder

Su scala europea, la partnership tra CCI-E e SIOPE rappresenta un eccellente esempio di cooperazione efficace, che riunisce tutti gli stakeholder in un impegno paneuropeo.

Oltre al presente progetto per la revisione degli Standard europei di cura, diversi altri progetti europei sono dedicati al miglioramento del trattamento e della qualità dell'assistenza:
- ERN PaedCan;
- OCEAN (Organisation of Care & rEsearch for children with cANcer in Europe);
- EU-CAYAS-NET;
- PanCareSurPass;
- PanCareFollowUp;
- ExPO-r-Net (European Expert Paediatric Oncology Reference Network for Diagnostics and Treatment);
- ACCELERATE (Platform for European Cancer Research);
- ALADDIN.

Tali progetti, così come molti altri, devono il loro successo alla stretta collaborazione tra organizzazioni di pazienti, professionisti sanitari e mondo accademico.

Le consultazioni pubbliche della Commissione europea rappresentano un modello efficace di coinvolgimento dei rappresentanti dei pazienti nella definizione delle politiche sanitarie, nei processi normativi e nell'attuazione di cambiamenti finalizzati al miglioramento della qualità. Costituiscono, inoltre, un esempio di applicazione dell'approccio "Health in All Policies", volto a promuovere una comprensione globale della salute e a garantire che le politiche siano coordinate per sostenere comunità e popolazioni più sane.

Autori:
Linea Natalie Toksvang
Maria Otth
Georgia Kokkinou
Anita Kienesberger
Gilles Vassal
Carmelo Rizzari

© istock

8. Organizzazione nazionale delle reti tra i centri di oncologia pediatrica

Punti chiave

- Ogni Paese dovrebbe disporre di un sistema dedicato e completo per l'assistenza oncologica pediatrica, basato su un modello di assistenza condivisa e adattato alle proprie specificità.
- All'interno di ogni Paese, la collaborazione, la condivisione delle competenze e delle risorse tra i centri di oncologia pediatrica devono essere promosse e rafforzate.
- Deve essere garantito un accesso equo alle innovazioni terapeutiche, nel proprio Paese o all'estero.
- Occorre favorire il passaggio dall'identificazione dei fattori responsabili dei tumori alla messa a punto di potenziali terapie mirate, dando priorità ai modelli preclinici e alla collaborazione.
- È necessaria una maggiore standardizzazione dell'assistenza unitamente all'accreditamento dei centri di oncologia pediatrica che si occupano della cura di bambini e adolescenti affetti da tumore.

8.1 Organizzazione dell'oncologia pediatrica a livello nazionale

Tutti i tumori pediatrici sono rari e, per la maggior parte dei casi, esistono diversi protocolli e strategie terapeutiche basati su stadio, istologia, caratteristiche molecolari e risposta precoce al trattamento. Questi aspetti, uniti all'eterogeneità delle malattie, contribuiscono in modo significativo alla complessità della gestione di bambini e adolescenti con tumore, che può essere garantita solo attraverso un approccio multidisciplinare → VEDI CAPITOLO 1. I team dedicati a questi pazienti devono essere in grado di acquisire e mantenere conoscenze aggiornate e le competenze necessarie per il trattamento delle diverse tipologie di tumore pediatrico. Sia la complessità sia la rarità dei tumori pediatrici rendono difficile ottimizzare la qualità dell'assistenza e richiedono pertanto la presenza di centri nazionali dedicati all'oncologia pediatrica.

La maggior parte dei Paesi europei dispone di una Società Nazionale di Ematologia e Oncologia Pediatrica (NaPHOS). L'obiettivo generale di queste società è riunire tutti gli ematologi, gli oncologi e gli altri professionisti sanitari che operano nell'ambito dell'oncologia pediatrica. I compiti delle società nazionali possono variare e comprendono lo sviluppo e il mantenimento di linee guida nazionali o l'adozione di linee guida internazionali, l'assegnazione di specifiche modalità terapeutiche a centri selezionati (ad esempio trapianto di cellule staminali emato-poietiche, strategie immunoterapiche, studi di fase precoce), oppure la strutturazione di percorsi formativi dedicati. Tutti i Paesi europei sono stati fortemente incoraggiati a istituire una NaPHOS come piattaforma nazionale comune.

La centralizzazione dell'assistenza indica il processo attraverso cui decisioni e trattamenti vengono concentrati in un gruppo o in un'istituzione. Tuttavia, è importante sottolineare che la centralizzazione non riguarda necessariamente l'intero percorso di cura dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore, ma spesso solo alcune fasi del trattamento (ad esempio la chirurgia). In questo contesto, è quindi più appropriato parlare di infrastrutture dedicate e integrate per l'oncologia pediatrica, basate su un modello di assistenza condivisa.

La centralizzazione dell'assistenza per le patologie complesse, rare o ultra-rare, consente di riunire competenze ed esperti per la cura di questi pazienti e di accrescere le conoscenze e l'esperienza.

La centralizzazione dell'assistenza per le patologie complesse, rare o ultra-rare, consente di riunire competenze ed esperti per la cura di questi pazienti e di accrescere le conoscenze e l'esperienza, con un conseguente miglioramento degli esiti clinici.

La centralizzazione dell'assistenza facilita inoltre l'accesso a nuove modalità terapeutiche e agli studi clinici, che non possono essere attivati in ogni singolo centro, riduce le procedure burocratiche per l'implementazione di nuovi protocolli terapeutici e migliora le opportunità di formazione e aggiornamento. Consente inoltre di concentrare nello stesso centro un maggior numero di pazienti affetti dallo stesso tipo di tumore.

Secondo una recente revisione sistematica sui criteri di qualità in oncologia pediatrica, solo poche strategie e pubblicazioni nazionali hanno analizzato il numero di pazienti per centro (8). Secondo Knops et al., i centri con volumi più elevati, i professionisti con una maggiore casistica e i centri dedicati sono associati a esiti migliori in oncologia pediatrica (81). L'effetto del volume sembra essere più evidente per i tumori che richiedono un intervento chirurgico. Al contrario, Wilkes et al. hanno studiato l'associazione tra basso volume di casi e mortalità o ricovero in terapia intensiva nei pazienti pediatrici con leucemia linfoblastica acuta e non hanno riscontrato un'associazione tra casistiche inferiori e tassi più elevati di mortalità o ricovero (82). Analogamente, Wolff et al. non hanno evidenziato differenze nei tassi di sopravvivenza tra centri di maggiori e minori dimensioni nei pazienti di neuro-oncologia pediatrica (83).

Ad oggi, non è stato defi nito un numero minimo né una soglia standard di pazienti pediatrici oncologici per centro di cura; nel corso del tempo, i valori di riferimento sono progressivamente aumentati. Con ogni probabilità, il volume dei casi ha un impatto sugli esiti terapeutici, ma è importante considerare anche ulteriori parametri di qualità (8).

L'utilizzo e l'implementazione di tali parametri consentono di monitorare nel tempo la qualità dell'assistenza nei singoli centri, ma anche di confrontarla tra centri diversi (8). Entrambi contribuiscono verosimilmente al miglioramento della qualità dell'assistenza e l'uso di questi parametri è pertanto incoraggiato. Ulteriori informazioni sui parametri di qualità sono riportate nel Capitolo 1.

Sebbene la centralizzazione dell'assistenza, totale o parziale, debba rappresentare l'obiettivo, non esiste un modello unico valido per tutti i contesti. In alcuni Paesi la centralizzazione ha portato, o potrebbe portare in futuro, a un unico centro principale di eccellenza. Un livello così elevato di centralizzazione può essere più facilmente realizzabile nei Paesi di dimensioni geografiche ridotte. Nei Paesi più estesi, dove le grandi distanze comportano ulteriori difficoltà per pazienti e famiglie, la centralizzazione richiederà inevitabilmente più di un centro.

Tuttavia, alcune modalità terapeutiche selezionate e altamente specialistiche dovrebbero essere centralizzate (ad esempio trapianto di cellule staminali ematopoietiche, neurochirurgia, chirurgia ortopedica oncologica, studi di fase precoce). Una volta completato il trattamento principale o l'intervento chirurgico, alcune componenti meno complesse della terapia, dell'assistenza di supporto, del monitoraggio o della chemioterapia di mantenimento potrebbero essere erogate più vicino al domicilio del paziente, in ospedali designati, in costante comunicazione con il centro di riferimento. In questi casi, gli standard dovrebbero essere definiti preventivamente e dovrebbe essere attivo un processo di assicurazione della qualità. In ogni caso, la prossimità ai servizi sanitari non dovrebbe mai compromettere la possibilità per il paziente di ricevere il miglior trattamento e la migliore assistenza possibili.

8.2 Rete nazionale e internazionale per l'accesso a terapie innovative

Negli ultimi 20 anni, il consorzio European Innovative Therapies for Children with Cancer (ITCC) ha istituito una rete di competenze per la conduzione di studi di fase precoce volti a valutare terapie innovative per i bambini affetti da tumore (84). Poiché i tumori pediatrici sono biologicamente distinti e non completamente sovrapponibili a quelli dell'adulto, è importante non solo testare terapie innovative sviluppate in ambito adulto, ma anche sviluppare terapie antitumorali "first-in-child", ossia sperimentate per la prima volta nei bambini. Inoltre, è necessario sviluppare formulazioni di farmaci adatte all'età pediatrica (ad esempio compresse a dosaggi più bassi, formulazioni liquide) e raccogliere dati di sicurezza a lungo termine relativi alla crescita e allo sviluppo (84).

Poiché i tumori pediatrici sono biologicamente distinti e non completamente sovrapponibili a quelli dell'adulto, è importante sviluppare terapie antitumorali "first-in-child", ossia sperimentate per la prima volta nei bambini.

Prima di affrontare lo sviluppo di formulazioni farmacologiche adatte ai bambini, è necessario occuparsi della questione degli studi preclinici. L'identificazione degli agenti innovativi più promettenti per gli studi clinici di fase precoce dipende in larga misura da una solida organizzazione della valutazione preclinica in modelli pediatrici, come linee cellulari e xenotrapianti. Questo settore dovrebbe essere considerato prioritario e ampliato attraverso sforzi collaborativi multi-stakeholder tra industria biofarmaceutica, mondo accademico ed enti governativi (85).

Inoltre, le crescenti possibilità di caratterizzazione molecolare e genetica dei sottotipi tumorali richiedono strategie terapeutiche sempre più mirate e determinano un aumento del numero di pazienti eleggibili per studi specifici.trial.

La maggior parte degli studi con nuovi farmaci, per i quali solo pochi bambini e adolescenti risultano eleggibili, non può essere attivata in ogni centro che tratta pazienti oncologici pediatrici. Di conseguenza, la collaborazione tra centri e l'inclusione negli studi presso i centri ITCC diventano indispensabili e possono comportare l'invio dei pazienti presso altre strutture, all'interno del Paese o oltre confine.

Attualmente l'ITCC è presente in 62 centri distribuiti in 17 Paesi europei. Pertanto, la mobilità dei pazienti a livello nazionale e transfrontaliero è fondamentale per garantire l'accesso a terapie innovative a tutti i bambini e adolescenti con neoplasia recidivata/refrattaria o ad alto rischio (https://www.itcc-consortium.org/). Ogni centro ITCC è stato selezionato in base alle proprie competenze, all'esperienza e alle capacità di condurre studi di fase precoce.

Oltre alle terapie innovative per bambini e adolescenti con neoplasie recidivate/refrattarie o ad alto rischio, permane un bisogno insoddisfatto di terapie meno tossiche, a conferma della necessità di rafforzare e ampliare la collaborazione in questo ambito (86).

8.3 Accreditamento

Attualmente non esiste un processo comune di accreditamento europeo per i centri che forniscono assistenza a bambini e adolescenti affetti da tumore. In alcuni Paesi è possibile un processo di accreditamento gestito da una società di oncologia dell'adulto, applicabile anche in altri Paesi con la stessa lingua (ad esempio, la certificazione della Società Tedesca di Oncologia può valere anche in altri Paesi germanofoni). Tuttavia, una certificazione di questo tipo richiede criteri di qualità standardizzati che rispondano alle esigenze specifiche di bambini e adolescenti affetti da tumore e non dovrebbe limitarsi a un adattamento del sistema di accreditamento previsto per l'oncologia dell'adulto.

Una revisione sistematica sintetizza i criteri di qualità attualmente pubblicati per l'assistenza ai bambini e agli adolescenti affetti da tumore, suddividendoli in sei categorie principali: 1) strutture e reti; 2) team multidisciplinare e altri esperti; 3) cure di supporto; 4) trattamento; 5) assistenza a lungo termine; 6) volumi e casistiche (8).

Inoltre, esistono certificazioni in specifiche aree di competenza dell'oncologia pediatrica: ad esempio, il programma di certificazione per l'eccellenza nelle cure di supporto della Multinational Association of Supportive Care in Cancer e la certificazione dei centri di eccellenza infermieristica dell'American Nursing Credentialing Center (ANCC) Magnet Recognition Program®.

Autori:
Evangelia Antoniou
Matej Jelic
Gilles Vassal
Uta Dirksen
Irina Ban
Luisa Basset-Salom

© istock

9. Oncologia pediatrica a livello nazionale

Punti chiave

- Tutti i centri di ematologia e oncologia pediatrica devono soddisfare gli standard nazionali o essere certificati.
- Tutti i Paesi europei dovrebbero istituire una società nazionale di oncologia pediatrica.
- Una società nazionale di ematologia e oncologia pediatrica dovrebbe promuovere gli obiettivi clinici e formativi dell'intero team interdisciplinare.
- Dovrebbe essere promossa la collaborazione, a livello nazionale, tra genitori, lungo-viventi, associazioni di pazienti, altre ONG attive nell'ambito dell'oncologia pediatrica e la società nazionale di ematologia e oncologia.
- In ogni Paese dovrebbe essere elaborato, adottato e attuato un piano nazionale per i tumori pediatrici.
- Deve essere istituito un registro nazionale dei tumori pediatrici per raccogliere i dati relativi a bambini e adolescenti affetti da tumore.

9.1 Introduzione

Il basso numero di bambini e adolescenti affetti da tumore, unito alla grande eterogeneità di queste neoplasie, sottolinea l'importanza della cooperazione a livello nazionale. Pertanto, tutti i centri di oncologia pediatrica devono rispettare gli stessi standard, come indicato nel Capitolo 8.

Questa cooperazione a livello nazionale può essere realizzata in modi diversi. In primo luogo, l'istituzione di una società nazionale di ematologia e oncologia pediatrica dovrebbe rappresentare il requisito minimo in ciascun Paese. Una società nazionale attiva può offrire numerosi vantaggi, come una migliore formazione per i giovani oncologi e la discussione dei casi clinici più rilevanti nei tumor board nazionali.

Inoltre, deve essere sviluppato e attuato un piano nazionale per i tumori pediatrici. Il suo ruolo è cruciale per definire e dare visibilità ai cambiamenti essenziali e agli obiettivi del sistema sanitario nell'ambito dell'oncologia pediatrica. Infine, i registri nazionali dei tumori devono essere utilizzati per raccogliere i dati relativi ai nuovi casi di tumore in età pediatrica e adolescenziale. Questi elementi rappresentano le pietre miliari di una collaborazione efficace a livello nazionale.

9.2 Le società nazionali di ematologia e oncologia pediatrica

Le società o i gruppi nazionali di ematologia e oncologia pediatrica (NaPHOS) sono presenti nella maggior parte dei Paesi europei. L'obiettivo di queste società è migliorare l'assistenza ai bambini e agli adolescenti con tumore, promuovere la ricerca in questo ambito, sostenere la formazione e favorire le attività di advocacy. Per garantire una società nazionale ben strutturata e produttiva, è necessario considerare diversi aspetti organizzativi e funzionali.

L'obiettivo di queste società è migliorare l'assistenza ai bambini e agli adolescenti con tumore, promuovere la ricerca in questo ambito, sostenere la formazione e favorire le attività di advocacy.

L'adesione alle società di ematologia e oncologia pediatrica (PHO) dovrebbe essere aperta agli oncologi pediatrici, agli infermieri con esperienza in oncologia pediatrica e agli altri professionisti sanitari che lavorano in questo ambito. È inoltre essenziale disporre di una struttura ben definita: il presidente dovrebbe essere un ematologo o oncologo pediatrico esperto, supportato da un comitato direttivo composto da professionisti motivati e qualificati.

Il ruolo cruciale degli infermieri e degli altri professionisti sanitari deve essere adeguatamente rappresentato all'interno della società, e la loro partecipazione attiva è fortemente incoraggiata. Ad esempio, gli infermieri di ricerca rivestono un ruolo importante negli studi clinici e la loro esperienza può essere utile in diversi progetti della società, come i seminari formativi. Una comunicazione efficace tra i membri della società è fondamentale per il successo delle attività e può essere garantita attraverso la partecipazione attiva dei rappresentanti di tutti gli stakeholder interessati.

La società PHO dovrebbe garantire a tutti i membri un accesso agevole alle attività e agli eventi in programma.

La maggior parte delle società nazionali dispone di siti web accessibili nei quali queste informazioni sono disponibili. Le riunioni annuali dovrebbero inoltre costituire parte integrante delle attività, offrendo ai membri l'opportunità di interagire, presentare casi complessi e risultati di studi sperimentali o clinici e condividere informazioni sullo stato degli studi clinici in corso o di prossima attivazione. Potrebbero inoltre essere organizzati incontri virtuali per discutere problematiche della pratica clinica o per coordinare attività di interesse nazionale.

I giovani medici attivi e motivati dovrebbero essere incoraggiati a promuovere iniziative a livello nazionale, sotto la supervisione e con il supporto dei membri senior. Questi gruppi sono sempre più diffusi nei Paesi europei. Partecipare a un gruppo di giovani ematologi e oncologi pediatrici permette di condividere idee e affrontare problemi comuni e può portare a iniziative e progetti innovativi. La partecipazione dei giovani membri alle attività di SIOPE favorisce l'interazione con colleghi di altri Paesi europei, ad esempio attraverso corsi e conferenze.

La formazione rappresenta un tema importante per le società nazionali, con particolare attenzione alle specificità del proprio Paese. La formazione su un ampio spettro di argomenti rilevanti, indipendentemente dal Paese, costituisce un pilastro di SIOPE → VEDI CAPITOLO 11. I giovani medici che partecipano a conferenze, seminari o programmi di fellowship all'estero sono fortemente incoraggiati a condividere le conoscenze acquisite all'interno della propria istituzione al termine di tali esperienze.

9.3 Collaborazione tra organizzazioni di pazienti a livello nazionale

Le associazioni di genitori, lungo-viventi e pazienti, così come le altre ONG attive nell'ambito dei tumori pediatrici, devono impegnarsi a collaborare a livello nazionale. Ciò è particolarmente importante quando condividono obiettivi comuni in materia di politiche sanitarie, ricerca e innovazione o di altri temi di interesse comune.

Si raccomanda la costituzione di un'organizzazione ombrello che rappresenti tutte le realtà coinvolte. Tale organizzazione, insieme alle singole associazioni di genitori, lungo-viventi e pazienti, da un lato, e alla società nazionale di emato-oncologia pediatrica (PHO), dall'altro, dovrebbe collaborare nel modo più stretto possibile. Questa sinergia consente di sviluppare congiuntamente progetti, proposte e di esprimere una voce più forte e unitaria per promuovere cambiamenti nelle politiche, nella legislazione e nella regolamentazione, nonché nel dialogo con i decisori pubblici e gli altri stakeholder.

9.4 Piano nazionale per i tumori pediatrici

Dato il notevole successo ottenuto nel migliorare il tasso di guarigione dei tumori pediatrici, e tenendo conto delle disuguaglianze e delle differenze nell'accesso all'assistenza sanitaria e ai farmaci, cresce la necessità di includere l'ematologia e l'oncologia pediatrica nei piani nazionali di controllo dei tumori (NCCP). Secondo i sondaggi condotti da CCI-E e SIOPE, i tumori pediatrici sono presi in considerazione nei piani nazionali di controllo dei tumori o in documenti di politica sanitaria equivalenti nel 60–70% dei Paesi europei.

Il progetto NCCP di SIOPE è stato avviato nel 2022 con l'obiettivo di mappare i contenuti relativi ai tumori pediatrici presenti in tutti i piani nazionali di controllo dei tumori. Il progetto aveva inoltre l'obiettivo di analizzare i contenuti degli NCCP esistenti (87). Considerando le differenze tra i Paesi, sono stati individuati tre ambiti da approfondire; per ciascuno di essi sono stati illustrati gli aspetti principali e fornite indicazioni su come procedere al fine di favorire progressi concreti.

Il primo ambito riguarda l'organizzazione dell'assistenza sanitaria e la qualità. La diagnosi precoce è di fondamentale importanza e la società di ematologia e oncologia pediatrica dovrebbe sensibilizzare la popolazione ai relativi sintomi.
Il trattamento dovrebbe essere erogato secondo i principi della medicina basata sull'evidenza e, idealmente, dovrebbe essere adottato un modello di assistenza centralizzata, con l'obiettivo garantire un'assistenza uniforme su tutto il territorio nazionale. Gli effetti tardivi e l'assistenza ai lungo-viventi, così come la transizione ai servizi per adulti e l'assistenza agli adolescenti e giovani adulti (AYA), dovrebbero essere inclusi nel NCCP.

Il secondo ambito riguarda l'assistenza di supporto e i bisogni dei pazienti. È di fondamentale importanza considerare la riabilitazione, l'assistenza psicosociale e le cure palliative → VEDI CAPITOLI 3 E 4. Un approccio globale ai pazienti pediatrici e alle loro famiglie, che includa protezione sociale e reinserimento nella vita quotidiana dopo il trattamento, è un tema rilevante, che dovrebbe essere affrontato a livello nazionale e accompagnato da linee guida basate sulle risorse e sulle possibilità di ciascun Paese. Questo ambito è spesso sottovalutato e richiede maggiore attenzione.

Il terzo ambito comprende ricerca, innovazione e dati. Le disuguaglianze nell'accesso all'assistenza sanitaria, ai farmaci e alle diagnostiche innovative rappresentano un problema significativo in Europa, ed è necessario porlo tra le massime priorità. La legislazione relativa alla partecipazione agli studi clinici e l'onere amministrativo sono talvolta eccessivi, e i Paesi con popolazioni più piccole non sempre riescono a partecipare con successo. La medicina di precisione e la consulenza genetica dovrebbero essere sviluppate e dovrebbero essere create piattaforme nazionali, con l'obiettivo di implementare programmi preventivi per migliorare la diagnosi precoce dei bambini appartenenti a gruppi a rischio. La disponibilità dei dati, la digitalizzazione e i registri oncologici sono importanti per migliorare il controllo della qualità dell'assistenza oncologica pediatrica.

Tenendo conto delle disuguaglianze e del diverso accesso all'assistenza sanitaria e ai farmaci, cresce la necessità di includere l'ematologia e l'oncologia pediatrica nei piani nazionali di controllo dei tumori

9.5 Registri nazionali dei tumori pediatrici

I primi dati internazionali sull'incidenza delle neoplasie pediatriche furono pubblicati nel 1988 (88). Una raccolta accurata dei dati può essere realizzata solo attraverso banche dati ben organizzate a livello nazionale. La maggior parte dei Paesi europei dispone già di registri tumorali; in alcuni di essi vengono utilizzati più registri, il che comporta una raccolta non centralizzata dei casi. Lo scopo dei registri tumorali nazionali è raccogliere dati per il controllo delle patologie oncologiche, compresa l'analisi dell'eziologia delle neoplasie, la valutazione dei programmi di screening e il monitoraggio della qualità dell'assistenza oncologica e degli esiti, come i tassi di sopravvivenza e di recidiva (89). Questi obiettivi evidenziano l'importanza di registrare tutti i casi in tali registri.

Una volta istituita e resa operativa una banca dati nazionale, tutti i centri di oncologia pediatrica devono registrare i propri pazienti, previo consenso delle famiglie. Inoltre, i dati raccolti consentono di valutare l'aderenza dei centri alle linee guida cliniche. I registri tumorali nazionali potrebbero consentire di valutare la necessità di nuovi trattamenti a livello di popolazione e facilitare l'accesso a tali terapie (ad esempio, i nuovi farmaci sono spesso raccomandati come trattamento di seconda o terza linea e i dati sullo stadio della malattia potrebbero essere utilizzati per valutare l'accessibilità a tali farmaci in ciascun Paese).

I registri tumorali nazionali potrebbero consentire di valutare la necessità di nuovi trattamenti a livello di popolazione e facilitare l'accesso a tali terapie.

Un aspetto cruciale dei registri tumorali nazionali è la corretta registrazione delle informazioni. Per poter riassumere i dati relativi ai tumori in età pediatrica e adolescenziale a livello europeo o internazionale, le informazioni devono essere raccolte secondo criteri uniformi. Ad esempio, la classificazione dei tumori può seguire modalità molto diverse. L'OMS ha pubblicato la quinta edizione della Classificazione dei tumori pediatrici (90). In alcuni Paesi, come l'Ucraina, i casi di tumore pediatrico vengono registrati utilizzando i codici ICD-10, mentre in altri, come il Lussemburgo, le registrazioni sono allineate agli standard di Toronto (91).

L'utilizzo di queste informazioni dal livello nazionale a quello europeo comporta ulteriori aspetti da considerare. Per armonizzare le normative in materia di protezione dei dati in tutta Europa, è stato pubblicato il Regolamento generale sulla protezione dei dati (GDPR), in vigore da maggio 2018 (92).

Autori:
Melek Erdem
Elisabeth Ørskov Rotevatn
Anne Goeres
Anita Kienesberger
Harun Šabić
Maria Otth
Katrin Scheinemann

© freepik

10. Cure e ricerca transfrontaliere

Punti chiave

- Ogni bambino e adolescente affetto da tumore ha pari diritto di accesso alle cure e ai trattamenti più avanzati.
- La collaborazione e le cure transfrontaliere sono fondamentali per il trattamento dei bambini e degli adolescenti affetti da tumore, poiché non tutte le opzioni terapeutiche possono né devono essere disponibili in ogni Paese europeo, ma ogni bambino deve poter accedere a tutte le opzioni terapeutiche.
- Iniziative internazionali, come ERN PaedCan, possono favorire la collaborazione internazionale.

10.1 Perché le cure transfrontaliere?

La collaborazione internazionale nell'assistenza ai bambini e agli adolescenti affetti da tumore ha rappresentato una tappa importante nello sviluppo e nel continuo miglioramento dell'oncologia pediatrica. Poiché tutti i tipi di tumore in età pediatrica e adolescenziale sono rari, la cooperazione oltre i confini nazionali è stata fondamentale per acquisire esperienza e riunire un numero sufficiente di pazienti con caratteristiche simili, al fine di studiare gli effetti e gli esiti dei trattamenti.

Esempi di collaborazione internazionale comprendono:
1) lo sviluppo di protocolli terapeutici (ad esempio protocolli AIEOP-BFM per la leucemia linfoblastica acuta, studio PNET 5 per il medulloblastoma, registro INFORM per rispondere a quesiti biologici);
2) la ricerca su nuove strategie terapeutiche, su nuovi farmaci e sui loro esiti (incluse le tossicità acute e gli effetti tardivi);
3) la formazione dei professionisti sanitari;
4) l'accesso a tecniche di diagnostica avanzata;
5) la valutazione di casi clinici complessi in tumor board specialistici;
6) l'erogazione di cure altamente innovative (ad esempio irradiazione con protoni, CAR-T, terapie sperimentali);
7) la ricerca e la collaborazione nel follow-up a lungo termine.

Ogni Paese europeo ha un diverso sistema di organizzazione ed erogazione dell'assistenza sanitaria. Nonostante il costante sviluppo dei sistemi sanitari, permangono importanti differenze nell'accesso alle risorse diagnostiche e ai trattamenti per i bambini affetti da tumore (93). Di conseguenza, esistono disparità nei tassi di sopravvivenza tra centri oncologici e tra Paesi europei, con esiti fino al 20% inferiori nell'Europa orientale (94). Tali differenze possono essere influenzate dalle condizioni economiche dei diversi Paesi, dalla loro conformazione geografica, dal numero di abitanti e dalle modalità di finanziamento delle cure (94, 95). Tuttavia, tutti i bambini e gli adolescenti affetti da tumore dovrebbero avere accesso a una diagnosi tempestiva e alle migliori cure disponibili.

Per diagnosticare e trattare malattie rare, compresi i tumori pediatrici e, in particolare, i diversi sottotipi, è necessaria

un'infrastruttura specifica. A causa del basso numero di pazienti, non è possibile, né sempre necessario, rendere disponibile in ogni Paese europeo l'intero percorso diagnostico e terapeutico (ad esempio, la protonterapia). Oltre a infrastrutture e tecnologie dedicate, è necessario disporre anche di personale adeguatamente formato. Pertanto, l'esecuzione di procedure diagnostiche o l'erogazione di trattamenti all'estero può risultare più sostenibile, anche dal punto di vista economico, che renderli disponibili nel proprio Paese. Per questo motivo, è fondamentale sviluppare una rete internazionale efficace e ben funzionante → VEDI CAPITOLO 8.2.

10.2 Rete di riferimento europea per i tumori pediatrici (ERN PaedCan)

Le Reti di riferimento europee (ERN) sono un'iniziativa dell'Unione europea che mira a promuovere la cooperazione tra i sistemi sanitari nazionali. L'obiettivo di ERN PaedCan è quello di ridurre le disuguaglianze nella sopravvivenza ai tumori pediatrici, garantendo un'assistenza sanitaria transfrontaliera di elevata qualità, accessibile ed economicamente sostenibile, indipendentemente dal luogo di residenza di bambini e adolescenti.

ERN PaedCan ha il fine di riunire specialisti di tutta Europa e di facilitare lo scambio di competenze e conoscenze.

ERN PaedCan si propone di riunire specialisti di tutta Europa e di facilitare lo scambio di competenze e conoscenze. Tra gli obiettivi prioritari vi sono l'organizzazione di tumor board virtuali, che consentono di condividere competenze ed esperienze cliniche senza che i pazienti debbano spostarsi, la messa a disposizione di linee guida rivolte ai professionisti sanitari, l'erogazione di servizi diagnostici di riferimento (ad esempio stratificazione molecolare del rischio, anatomia patologica e imaging) e la garanzia dell'accesso a interventi altamente specializzati (ad esempio chirurgia complessa, protonterapia e trapianti).

Gli Stati membri possono richiedere il sostegno di ERN PaedCan per accedere a finanziamenti destinati all'erogazione di cure transfrontaliere e altamente specializzate. (www.paedcan.ern-net.eu).

10.3 Processi terapeutici e sfide

Le decisioni relative al trasferimento per le cure mediche richiedono reti cliniche e percorsi di riferimento, che possono includere collaborazioni tra centri clinici quando alcuni servizi non sono disponibili in un Paese (96). Sebbene il trattamento all'estero possa essere proposto dai medici curanti, i pazienti o i loro genitori possono scegliere di non intraprenderlo. Tra i principali fattori che influenzano questa decisione vi sono le differenze culturali, la lingua e la difficoltà di comunicare questioni mediche complesse, che possono costituire importanti barriere all'accesso alle cure all'estero.
L'assistenza transfrontaliera presenta inoltre criticità legate alla continuità delle cure e alla condivisione delle informazioni cliniche. Per questo motivo, è essenziale predisporre un piano assistenziale specifico e dettagliato, concordato tra i centri coinvolti, ossia il centro del Paese d'origine e quello estero. Anche il rientro del paziente nel proprio Paese, dopo un trattamento all'estero con esito sfavorevole, può presentare ulteriori criticità. Infine, anche l'esercizio del ruolo genitoriale durante il percorso di cura all'estero può risultare particolarmente impegnativo.

Una delle principali motivazioni che spingono pazienti e genitori a recarsi all'estero è la richiesta di un secondo parere sulla diagnosi o sul trattamento (97). Un'altra ragione è la possibilità di accedere a terapie non disponibili nel Paese d'origine. Tali terapie possono non essere approvate a livello nazionale, pur essendo utilizzate nella pratica clinica in altri Paesi, oppure rientrare nell'ambito di trattamenti sperimentali o studi clinici di fase precoce.

Le decisioni relative al trasferimento per cure mediche richiedono reti cliniche e percorsi di riferimento, che possono includere relazioni tra centri clinici quando alcuni servizi non sono disponibili in un Paese.

Si possono individuare tre modalità di trasferimento per cure:

1) pazienti che si recano autonomamente presso centri di trattamento, avvalendosi delle informazioni e dei contatti di conoscenti, familiari e amici;
2) pazienti formalmente inviati dal proprio medico curante e dal sistema sanitario di riferimento (sia per trattamenti standard sia per tecnologie emergenti);
3) persone che ricevono servizi all'estero, generalmente attività di screening, per le quali il trattamento non rappresenta la motivazione principale del viaggio (97).

È importante sottolineare che l'assistenza transfrontaliera non implica necessariamente lo spostamento del paziente all'estero. Anche l'invio di materiale tumorale per esami di riferimento o l'esecuzione di test non disponibili nel Paese d'origine (ad esempio test molecolari e test farmacologici) rientrano nell'assistenza transfrontaliera, così come la partecipazione a tumor board internazionali.

10.4 Sicurezza dei pazienti, rischi e risultati

Data la tempestività richiesta dai trattamenti oncologici, evitare interruzioni della terapia nel Paese di origine durante l'attesa dell'autorizzazione al trasferimento e del completamento degli adempimenti normativi necessari per continuare le cure all'estero rappresenta una sfida. Le interruzioni dovute ai viaggi, i ritardi nell'erogazione delle cure all'estero, così come i benefici derivanti dalla nuova situazione clinica, possono influenzare sia positivamente sia negativamente gli esiti.
Per alcuni Paesi e centri può risultare difficile garantire il follow-up a breve o a lungo termine dei pazienti che rientrano nel proprio Paese dopo il trattamento. Uno scambio continuo di informazioni tra il centro del Paese d'origine e quello estero che ha erogato le cure è fondamentale per acquisire dati ed esperienza nel lungo periodo (96).

Autori:
Miguel Vieira Martins
Madalina Bota
Tiene Bauters
Luisa Basset-Salom
Georgia Kokkinou
Sara Colomer-Lahiguera
Eugenia Trigoso
Sabine Sarnacki
Andishe Attarbaschi

© Max Kropitz

11. Istruzione e formazione in oncologia pediatrica

Punti chiave

- Tutti i bambini dovrebbero beneficiare di un programma educativo continuo e flessibile, sia in ospedale sia a domicilio; a tal fine è essenziale la collaborazione tra la famiglia, la scuola e il personale ospedaliero.
- I caregiver devono ricevere informazioni adeguate e una formazione sulle pratiche di assistenza necessarie per prendersi cura del bambino in sicurezza a domicilio, nonché le conoscenze necessarie per comprendere la diagnosi, il piano di trattamento e la prognosi del bambino.
- I professionisti sanitari e i rappresentanti dei pazienti devono seguire percorsi di aggiornamento e sviluppo professionale continuo.

11.1 Priorità formative in oncologia pediatrica per i professionisti sanitari

L'oncologia pediatrica è una specialità complessa che richiede non solo formazione e aggiornamento costanti, ma anche un approccio multidisciplinare. Il trattamento dei tumori nei bambini e negli adolescenti deve essere garantito da un team multidisciplinare composto da oncologi, chirurghi e radioterapisti pediatrici, infermieri specializzati, farmacisti clinici con esperienza in questo ambito, radiologi, patologi, psicologi, terapisti artistici e musicali, nutrizionisti, assistenti sociali e altre figure professionali.

11.1.1 Requisiti formativi in oncologia pediatrica

L'oncologo pediatrico è la figura di riferimento per il coordinamento del team oncologico. Effettua la prima visita, definisce la diagnosi e coordina il percorso terapeutico insieme al team multidisciplinare. Pertanto, sono indispensabili una formazione adeguata e un aggiornamento continuo. L'obiettivo di un programma formativo è quello di preparare specialisti che acquisiscano progressivamente le competenze necessarie per diagnosticare e trattare i tumori nei bambini e negli adolescenti. Il primo passo consiste nel garantire l'accesso a informazioni e competenze pratiche; il secondo nel consentire ai tirocinanti di esercitarsi sotto supervisione; il terzo nell'esercitare la professione in autonomia.

L'aggiornamento continuo è fondamentale per garantire diagnosi e trattamenti in linea con le più recenti evidenze scientifiche. L'acquisizione di conoscenze deve essere adattata alle specifiche patologie. Inoltre, l'interazione con il team multidisciplinare di riferimento deve essere modulata in base all'ambito specialistico: i neuro-oncologi e gli oncologi che trattano prevalentemente tumori solidi necessitano di un aggiornamento continuo su imaging, radioterapia e tecniche chirurgiche. Gli oncologi pediatrici devono mantenere un'interazione regolare con genetisti e professionisti dei laboratori diagnostici.

L'aggiornamento continuo è fondamentale per garantire diagnosi e trattamenti in linea con le più recenti evidenze scientifiche.

Il programma educativo SIOPE offre un'ampia gamma di percorsi formativi per i giovani membri di SIOPE (www.siope.eu/activities/education o https://siope.eu/young-siope/).

11.1.2 Requisiti formativi in chirurgia oncologica pediatrica

La chirurgia pediatrica comprende la cura chirurgica del bambino e dell'adolescente in fase di crescita, nonché la gestione perioperatoria e la riabilitazione. Solo i chirurghi con una formazione specifica in oncologia pediatrica possono raggiungere un elevato livello di competenza in questo ambito. Data la molteplicità degli ambiti di intervento della chirurgia pediatrica, anche quando sono disponibili competenze chirurgiche altamente specialistiche, è consigliata la collaborazione con altre specialità chirurgiche per la gestione di esigenze specifiche o di patologie rare.

È inoltre importante che i chirurghi abbiano una conoscenza approfondita della gestione non chirurgica dei tumori, valutando le opzioni chirurgiche nel contesto degli altri approcci terapeutici locali e sistemici.
Secondo i Requisiti Formativi Europei (European Training Requirements, ETR) dell'UEMS per la chirurgia pediatrica, i tirocinanti devono dimostrare competenza in diverse aree. In particolare, nell'ambito della chirurgia oncologica pediatrica, i tirocinanti devono essere in grado di svolgere attività professionali affidabili (Entrustable Professional Activities, EPA) relative a procedure quali il trattamento chirurgico del nefroblastoma, del neuroblastoma e del teratoma, con livello 3 di competenza, corrispondente a una supervisione indiretta reattiva (ossia con un supervisore immediatamente disponibile in caso di necessità).
Sono fortemente raccomandati processi di revisione centralizzata coordinati dai comitati di gestione locali dei rispettivi gruppi di studio, al fine di definire il miglior approccio chirurgico per i pazienti oncologici pediatrici. La formazione deve essere erogata da strutture riconosciute, o da reti di strutture, in grado di garantire un'esperienza specifica in chirurgia oncologica pediatrica all'interno di un contesto multidisciplinare.

11.1.3 Requisiti formativi in radioterapia oncologica pediatrica

Un programma di formazione in radioterapia oncologica dovrebbe fornire al tirocinante conoscenze approfondite sulle basi scientifiche e cliniche della radioterapia oncologica, al fine di raggiungere un adeguato livello di competenza in questo ambito. L'obiettivo principale di questa specialità è consentire l'acquisizione delle competenze necessarie per elaborare piani di gestione del paziente e definire strategie terapeutiche e programmi di follow-up per i lungo-viventi. Sono fortemente raccomandati processi di revisione centralizzata coordinati dai comitati di gestione locali dei rispettivi gruppi di studio, al fine di definire il miglior approccio radioterapico.

Secondo gli European Training Requirements (ETR) per la radioterapia oncologica approvati dall'UEMS, un tirocinante deve dimostrare un livello 2 di competenza nell'oncologia pediatrica e adolescenziale. Questo livello prevede una supervisione diretta e proattiva delle procedure terapeutiche da parte di un supervisore. Le attività professionali affidabili (Entrustable Professional Activities, EPA) in questo ambito richiedono conoscenze relative ai principali tumori pediatrici, quali tumori del sistema nervoso centrale, nefroblastoma, neuroblastoma, rabdomiosarcoma, sarcoma di Ewing, linfomi e leucemie.
Il sistema di valutazione è definito dalle società nazionali in conformità con la normativa vigente nei rispettivi Paesi.

11.1.4 Requisiti formativi in infermieristica oncologica pediatrica

La prestazione di cure infermieristiche specialistiche è di primaria importanza per garantire risultati ottimali nei bambini e negli adolescenti affetti da tumore. Secondo lo State of the World's Nursing Report dell'OMS, le azioni più importanti sono classificate in tre ambiti: investire nella formazione infermieristica, creare nuovi posti di lavoro per gli infermieri e rafforzare la leadership infermieristica (99).

La formazione infermieristica specializzata in oncologia pediatrica è essenziale per garantire cure sicure e di alta qualità,

migliorare i risultati e rafforzare complessivamente i servizi sanitari. Gli infermieri devono ricevere una formazione completa per gestire efficacemente la complessità della diagnosi, del trattamento e delle cure oncologiche pediatriche in contesti sanitari diversi, comprese le sale operatorie e le unità di terapia intensiva. Tale formazione implica conoscenze su procedure chirurgiche, tecniche di radioterapia, farmacologia pediatrica, gestione del dolore, cure palliative, supporto psicosociale e follow-up dei lungo-viventi. È importante sottolineare che i requisiti formativi per gli infermieri possono variare tra Paesi e sistemi sanitari. Le società nazionali e gli organismi regolatori hanno un ruolo cruciale nella definizione dei requisiti formativi specifici e nella valutazione della competenza degli infermieri secondo le normative locali (100).

La rotazione degli infermieri tra i reparti costituisce una barriera significativa allo sviluppo di competenza ed esperienza specialistica in oncologia pediatrica. La presenza di infermieri dedicati all'oncologia pediatrica, con competenze nella somministrazione della chemioterapia, nel monitoraggio degli effetti collaterali, nella gestione delle emergenze oncologiche e nell'educazione di pazienti e famiglie, è essenziale. La rotazione non strutturata comporta perdita di conoscenza ed esperienza, compromette la fidelizzazione del personale e rappresenta una sfida importante, specialmente durante l'attuale carenza acuta di personale infermieristico (100).

La collaborazione con altri professionisti sanitari e la partecipazione a programmi di formazione dedicati sono fondamentali affinché gli infermieri soddisfino i requisiti formativi e forniscano cure di qualità ai bambini e agli adolescenti affetti da tumore. Colmando le lacune nella formazione infermieristica specialistica e promuovendo la collaborazione multidisciplinare, i sistemi sanitari possono preparare meglio gli infermieri a erogare cure ottimali e migliorare i risultati nell'oncologia e nell'ematologia pediatrica.

11.1.5 Requisiti formativi per gli aspetti psicosociali (101, 102)

Bambini, adolescenti e famiglie affrontano momenti molto difficili alla diagnosi, durante la terapia, nel follow-up o nella fase di fine vita. Uno psicologo esperto, in grado di fornire supporto costante, riveste un ruolo fondamentale nel team

multidisciplinare ed è coinvolto in tutte le conversazioni clinicamente rilevanti tra il team medico, i pazienti e i genitori.

Sulla base delle competenze, dei principi e delle raccomandazioni delle linee guida psicosociali, i professionisti devono essere formati nelle competenze comunicative necessarie per: (a) supportare pazienti e caregiver nelle conversazioni complesse sulla diagnosi, sulla prognosi e sul trattamento (ad esempio la comunicazione di notizie cliniche sfavorevoli); (b) promuovere la collaborazione dei pazienti e caregiver attraverso una psicoeducazione adeguata all'età e allo sviluppo sul decorso della malattia e sulle procedure mediche; (c) contrastare meccanismi di difesa come negazione, aggressività o non aderenza tramite una comunicazione efficace; (d) rafforzare le competenze comunicative all'interno della famiglia e dell'intero team multidisciplinare.

I professionisti devono inoltre essere formati negli interventi da attuare in situazioni di crisi e nelle competenze diagnostiche necessarie per valutare il rischio psicosociale e attivare interventi precoci, distinguendo lo stress normale dai disturbi mentali. La formazione deve includere i fattori di stress correlati al tumore, gli interventi specifici per le diverse patologie, gli effetti tardivi e gli aspetti interculturali.

11.1.6 Requisiti formativi in farmacia clinica pediatrica

I pazienti pediatrici oncologici ricevono terapie farmacologiche complesse, che richiedono conoscenze approfondite dei meccanismi d'azione e degli effetti avversi della chemioterapia convenzionale, dell'immunoterapia, delle terapie cellulari e dei farmaci di supporto.

I farmacisti devono essere preparati per fornire consulenza sui farmaci, compresi i dati di compatibilità endovenosa, l'interpretazione delle interazioni farmacocinetiche e farmacodinamiche, e il monitoraggio terapeutico dei farmaci. Altre competenze comprendono: la gestione dei farmaci somministrati tramite sondino, la preparazione di formulazioni adatte all'età o alla condizione clinica, la promozione dell'uso appropriato e sostenibile dei farmaci, lo sviluppo e l'implementazione di linee guida terapeutiche, e la formazione di pazienti e personale.

Devono inoltre utilizzare sistemi di farmacovigilanza e individuare le reazioni avverse ai farmaci. I farmacisti possono contribuire alla ricerca e agli studi clinici, apportando un valore aggiunto grazie alla propria competenza farmacologica e assumendo ruoli di leadership nell'ambito della ricerca.

In Europa non esiste un programma formativo strutturato e ufficialmente riconosciuto per i farmacisti specializzati in oncologia pediatrica. In molti Paesi, la formazione rientra nel percorso universitario o nella specializzazione in farmacia clinica e ospedaliera, pur risultando spesso limitata, oppure viene acquisita attraverso programmi di formazione interna e di affiancamento a farmacisti senior. Le iniziative formative nazionali ed europee (ad esempio quelle promosse dalla European Society of Oncology Pharmacy), così come la partecipazione a congressi e corsi dedicati all'oncologia pediatrica, rappresentano un'importante opportunità di aggiornamento.

Tuttavia, è auspicabile che i farmacisti possano accedere a un programma formativo dedicato, a una specializzazione accademica ufficiale in oncologia pediatrica e a una piena integrazione nei team multidisciplinari. L'adozione di queste misure favorirebbe l'armonizzazione e la standardizzazione della formazione e della pratica professionale, contribuendo a migliorare la qualità dei servizi farmaceutici e dell'assistenza ai pazienti.

11.2 Sviluppo professionale continuo in oncologia pediatrica

Le opportunità di formazione dovrebbero essere disponibili fin dall'inizio del percorso di specializzazione, in particolare per i giovani oncologi. Lo sviluppo professionale continuo deve essere parte integrante della formazione sia per i giovani oncologi pediatrici sia per gli specialisti esperti, nonché per il personale in formazione. Le istituzioni sanitarie, le società scientifiche nazionali e le autorità europee dovrebbero promuovere adeguate opportunità di finanziamento, al fine di rafforzare la collaborazione multi-stakeholder in oncologia pediatrica.

Corsi di formazione, workshop e programmi di fellowship dovrebbero essere organizzati a livello nazionale e internazionale per favorire l'acquisizione di competenze specialistiche e l'accesso a esperienze cliniche qualificate, nonché l'approfondimento delle conoscenze scientifiche e cliniche. Lo sviluppo professionale continuo deve essere sostenuto attraverso la partecipazione a conferenze e incontri nazionali e internazionali. Inoltre, le istituzioni sanitarie e le società scientifiche, a livello locale ed europeo, dovrebbero incoraggiare la partecipazione a corsi di formazione tenuti da esperti del settore. I programmi formativi devono basarsi sulle più recenti evidenze relative alla diagnosi, al trattamento, alla prognosi e alla ricerca clinica, integrandole, dove necessario, con la discussione di casi clinici. Le limitate risorse destinate alla mobilità formativa rappresentano spesso un ostacolo e dovrebbero essere affrontate con il sostegno delle istituzioni sanitarie, delle società scientifiche e delle autorità europee. Le organizzazioni sanitarie devono garantire, per tutto il personale, tempo dedicato e risorse adeguate per la partecipazione ad attività formative ed educative. Anche le associazioni di genitori possono contribuire al finanziamento di tali iniziative, qualora le risorse istituzionali non siano sufficienti.

11.3 Opportunità di formazione in oncologia pediatrica

L'accesso a conoscenze e informazioni scientifiche aggiornate deve essere garantito dalle istituzioni locali attraverso la disponibilità della letteratura scientifica, l'accesso ai più recenti protocolli terapeutici e l'organizzazione di programmi formativi. Tali programmi possono essere organizzati a livello nazionale (ad esempio lezioni su tematiche di interesse nazionale e corsi finalizzati allo sviluppo di competenze pratiche) o a livello europeo (ad esempio webinar interattivi, corsi residenziali e attività di e-learning).

Programmi di fellowship clinica dovrebbero essere disponibili a livello nazionale e internazionale per offrire percorsi di formazione avanzata, consentire l'accesso a un più ampio spettro di patologie e favorire la collaborazione con professionisti di comprovata esperienza. I programmi di fellowship dovrebbero essere personalizzati in base agli obiettivi formativi del tirocinante e consentire l'approfondimento della specifica area di interesse. Dovrebbero inoltre essere disponibili programmi di formazione interculturale, considerate le differenze culturali che possono influenzare l'approccio ai pazienti e alle loro famiglie (103).

SIOPE è impegnata a sviluppare e consolidare importanti iniziative collaborative con la European School of Oncology (ESO) (ad esempio masterclass, programmi di e-learning e fellowship), con la European Society of Medical Oncology (ESMO), con ERN PaedCan attraverso raccomandazioni, webinar e altre iniziative formative, nonché con altri partner che perseguono obiettivi analoghi. Ulteriori opportunità di formazione sono offerte anche dalla International Paediatric Surgical Oncology Society (IPSO). IPSO mette a disposizione un forum attraverso il quale specializzandi e fellow possono ricevere informazioni sulle opportunità formative disponibili nei centri europei e ha recentemente pubblicato linee guida relative a un ampio spettro di tumori pediatrici, con particolare attenzione alla gestione chirurgica (https://ipso-online.org/guidelines-spg/).

11.4 Mentorship e supervisione

Lo sviluppo professionale è un processo in continua evoluzione che non si conclude con il completamento della formazione accademica formale. I programmi di mentorship mirano a fornire ai giovani medici il supporto di colleghi senior ed esperti del settore. Le evidenze suggeriscono che una rete professionale solida e una mentorship strutturata sono fattori determinanti per il successo accademico. I tirocinanti che possono contare su mentori esperti e attivamente coinvolti hanno maggiori probabilità di raggiungere un'elevata produttività scientifica e una maggiore crescita personale (104). Negli Stati Uniti, gruppi come COG (Children's Oncology Group) e ASPHO (American Society of Pediatric Hematology/Oncology) hanno implementato con successo programmi di mentorship nell'ambito della formazione in oncologia pediatrica e stanno sviluppando linee guida per i futuri mentori, al fine di supportare i tirocinanti nel raggiungimento di risultati professionali a breve e lungo termine (104). In Europa, fatta eccezione per l'ESO, programmi di mentorship strutturati nell'ambito della formazione in oncologia pediatrica non sono ancora diffusi in modo sistematico. Tuttavia, Young SIOPE sta attualmente lavorando allo sviluppo di un programma dedicato.

11.5 Rispondere ai bisogni educativi di bambini e adolescenti affetti da tumore

La scolarizzazione è importante per le famiglie e dovrebbe costituire parte integrante del percorso di cura del bambino o dell'adolescente (105). Il tumore e il suo trattamento possono influenzare l'adattamento scolastico in tre modi: riducendo la frequenza scolastica, causando effetti fisici e cognitivi e generando ripercussioni psicosociali (105). Gli interventi di supporto scolastico rivolti a bambini e adolescenti affetti da tumore sono associati a un miglioramento del rendimento scolastico e a una riduzione dei livelli di depressione, nonché a una maggiore conoscenza della malattia da parte dei compagni e a un atteggiamento più positivo della classe nei confronti del bambino o dell'adolescente affetto da tumore (105).

11.5.1 Alla diagnosi

Coinvolgere e preparare gli insegnanti fin dalla diagnosi favorisce un percorso scolastico positivo e contribuisce a ridurre le difficoltà nell'ambiente scolastico (106). La scuola dovrebbe essere informata della diagnosi e delle implicazioni educative del tumore infantile e del relativo trattamento, in modo da comprendere le esigenze del bambino e poter predisporre un piano educativo individualizzato adeguato alle diverse fasi della malattia (107). Anche i compagni di classe dovrebbero essere informati sul tumore e sulle sue implicazioni, al fine di promuovere empatia e comprensione (106). Ciò consente al bambino di ricevere il sostegno della scuola e di ridurre il rischio di isolamento e ritiro sociale. È inoltre importante che la scuola sappia a chi fare riferimento all'interno del team educativo ospedaliero per coordinare gli interventi (107). Le modalità e l'entità delle informazioni condivise con la scuola e con i compagni devono sempre essere concordate nel rispetto delle preferenze del bambino e della sua famiglia.

11.5.2 Durante il trattamento

Tutti i bambini dovrebbero beneficiare di un programma educativo continuo e flessibile sia in ospedale sia a domicilio (107). Le scuole ospedaliere svolgono un ruolo fondamentale nel garantire la continuità del percorso scolastico e nel favorire il benessere del bambino. Il gioco, le attività educative e la comunicazione con i coetanei contribuiscono a mantenere un senso di normalità e a ridurre lo stress. La possibilità di frequentare la scuola in ospedale dipende dallo stato di immunosoppressione; quando ciò non è possibile, deve essere garantito un adeguato supporto didattico individuale. Inoltre, devono essere compiuti tutti gli sforzi necessari per mantenere il contatto con la scuola di appartenenza, ad esempio attraverso lo svolgimento delle attività didattiche, videochiamate con la classe o altre modalità di apprendimento a distanza. Gli insegnanti possono inoltre incoraggiare i compagni a mantenere i contatti tramite lettere, videochiamate, disegni, fotografie e messaggi.

11.5.3 Rientro a scuola

Il bambino dovrebbe tornare a scuola il prima possibile e i medici dovrebbero incoraggiare il rientro nel contesto scolastico, soprattutto quando i genitori incontrano difficoltà ad affrontare questo passaggio. Tuttavia, è essenziale che il reinserimento scolastico avvenga in modo efficace e sicuro (106). Deve essere predisposto un piano scolastico personalizzato, che tenga conto degli aspetti pratici e dei bisogni specifici del bambino e preveda un monitoraggio regolare per favorire un reinserimento graduale. Prima del rientro a scuola, è importante informare le famiglie sulle possibili difficoltà cognitive e scolastiche correlate al trattamento, attivare strumenti di screening e sostenere bambini e famiglie nella comunicazione con la scuola e nella gestione delle eventuali difficoltà (108).

11.5.4 Collaborazione tra medici, scuola e famiglie

È necessario promuovere una stretta collaborazione tra la scuola e i centri oncologici, creando relazioni tra i due contesti per garantire un adeguato supporto educativo lungo tutto il percorso terapeutico (106). Può essere utile costituire un team di supporto educativo che si riunisca regolarmente, coinvolgendo famiglia, scuola e personale ospedaliero (107). Anche le associazioni di genitori possono offrire supporto e consulenza, e collaborare alla pianificazione e all'attuazione degli interventi.

La condivisione delle informazioni è fondamentale per garantire un adeguato supporto, ma rappresenta una sfida costante. Deve essere gestita con sensibilità, nel rispetto della riservatezza e della privacy del bambino, tenendo sempre conto di quanto il bambino conosca della propria condizione. Questa collaborazione deve proseguire anche durante il follow-up, poiché alcune difficoltà possono manifestarsi solo successivamente o diventare evidenti con il raggiungimento di nuove tappe dello sviluppo. Le misure di supporto dovrebbero successivamente favorire l'orientamento professionale.

11.6 Formazione per i caregiver

Assistere un bambino affetto da tumore comporta numerose sfide per i caregiver. I genitori riferiscono spesso difficoltà nella gestione della complessità delle informazioni e si sentono sopraffatti, in particolare per quanto riguarda le cure fisiche da prestare a domicilio (109). Informazioni adeguate e una formazione sulle pratiche assistenziali rafforzano la fiducia dei caregiver e li aiutano ad acquisire le competenze necessarie per assistere il bambino in sicurezza.

I caregiver devono ricevere una formazione su come (110):

- riconoscere le emergenze mediche e sapere chi contattare;
- riconoscere i più comuni effetti collaterali e gestirli in modo efficace;
- gestire il catetere venoso centrale, somministrare i farmaci (se necessario), prevenire le infezioni, trattare le ferite, gestire la dieta.

Devono inoltre acquisire le conoscenze necessarie per comprendere la diagnosi, il piano terapeutico e la prognosi del bambino, nonché gli strumenti per sviluppare adeguate strategie di coping, anche attraverso l'accesso al supporto psicosociale (110). La formazione deve iniziare fin dal momento della diagnosi e proseguire durante tutto il trattamento, assicurando che le informazioni siano fornite tempestivamente, ossia prima che diventino necessarie. Devono essere considerati anche fattori quali lo stato emotivo e il livello di alfabetizzazione sanitaria del caregiver (110). Le informazioni devono essere fornite sia oralmente sia per iscritto, con un linguaggio semplice e comprensibile (ad esempio mediante opuscoli sui sintomi e sulla loro gestione).

Informazioni adeguate e una formazione sulle pratiche assistenziali rafforzano la fiducia dei caregiver e li aiutano ad acquisire le competenze necessarie per assistere il bambino in sicurezza.

11.7 Requisiti formativi per i rappresentanti dei pazienti

Con il crescente ruolo del coinvolgimento dei pazienti, è importante che i rappresentanti dei pazienti sviluppino competenze specifiche per diventare sostenitori e consulenti efficaci in diversi ambiti quali la ricerca e lo sviluppo delle strategie terapeutiche e dei farmaci, la definizione delle politiche sanitarie e l'assistenza ai pazienti. La preparazione dei pazienti al processo di ricerca e la formazione necessaria per consentire loro di contribuire attivamente e di collaborare con il team di ricerca si sono dimostrate efficaci nel favorire il coinvolgimento dei pazienti. L'obiettivo non è trasformare i rappresentanti dei pazienti in ricercatori, ma fornire loro strumenti per comprendere meglio il processo di ricerca e il linguaggio scientifico, aumentando la loro capacità di partecipare con sicurezza alle discussioni (111).

Per sviluppare le proprie competenze, i rappresentanti dei pazienti possono:

- partecipare a corsi dedicati (ad esempio quelli organizzati da EUPATI, Eurordis e WECAN Academy);
- ricevere una formazione adeguata durante la partecipazione a progetti di ricerca, studi clinici e altre iniziative analoghe (112).

12. Bibliografia

1. Excellence NIFHAC. Guidance on cancer services : improving outcomes in children and young people with cancer - the manual 2005 [Available from: https://www.nice.org.uk/guidance/csg7/resources/improving-outcomes-in-children-and-young-people-with-cancer-update-pdf-773378893.
2. Knops RR, Hulscher ME, Hermens RP, Hilbink-Smolders M, Loeffen JL, Kollen WJ, et al. High-quality care for all children with cancer. Annals of oncology: official journal of the European Society for Medical Oncology. 2012;23(7):1906-11.
3. Belgium FOV. Koninklijk besluit houdende vaststelling van de normen waaraan het gespecialiseerd zorgprogramma voor pediatrische hemato-oncologie en het satellietzorgprogramma voor pediatrische hemato-oncologie moeten voldoen om te worden erkend 2014 [Available from: https://consultativebodies.health.belgium.be/sites/default/files/documents/frzv_d_585-2_-_advies_zp_hemato_onco_pedia.pdf.
4. Jeffrey Hord MSF, MD; Gary Crouch, MD; Gregory Hale, MD; Brigitta Mueller, MD; Zora Rogers, MD; Patricia Shearer, MD; Eric Werner, MD. Standards for Pediatric Cancer Centers. Pediatrics 2014;134 (2): 410–414.
5. (AIEOP) AIEOP. Check list for applying for a new Center or updating the characteristics of an existing AIEOP Center [Available from: https://www.aieop.org/web/chi-siamo/centri-aieop/.
6. Paediatric Integrated Cancer Service M, Australia. Victorian paediatric oncology care pathway: Providing optimal care for children and adolescents — Acute leukaemia, central nervous system tumours and solid tumours 2019 [Available from: https://cms.vics.org.au/wp-content/uploads/2024/07/PICS_Victorian-paediatric-oncology-care-pathways_2019.pdf
7. (GBA) GB. Richtlinie des Gemeinsamen Bundesausschusses über Maßnahmen zur Qualitätssicherung für die stationäre Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit hämato-onkologischen Krankheiten 2021 [Available from: https://www.g-ba.de/richtlinien/47/
8. Schladerer SP, Otth M, Scheinemann K. Quality criteria for pediatric oncology centers: A systematic literature review. Cancer medicine. 2023.
9. Halton JM, Hand J, Byron P, Strother D, Blanchette V. Establishing physician to patient ratios and predicting workforce needs for Canadian pediatric hematology-oncology programs. Pediatric blood & cancer. 2013;60(4):564-9.
10. Mullen CJR, Barr RD, Franco EL. Timeliness of diagnosis and treatment: the challenge of childhood cancers. British journal of cancer. 2021;125(12):1612-20.
11. Vassal G, Kozhaeva O, Griskjane S, Arnold F, Nysom K, Basset L, et al. Access to essential anticancer medicines for children and adolescents in Europe. Annals of oncology: official journal of the European Society for Medical Oncology. 2021;32(4):560-8.
12. Otth M, Brack E, Kearns PR, Kozhaeva O, Ocokoljic M, Schoot RA, et al. Essential medicines for childhood cancer in Europe: a pan-European, systematic analysis by SIOPE. The Lancet Oncology. 2022;23(12):1537-46.
13. Organization WH. WHO Model List of Essential Medicines for Children - 8th list 2021 [Available from: https://www.who.int/publications/i/item/WHO-MHP-HPS-EML-2021.03.
14. Organization WH. WHO Model List of Essential Medicines for Children - 9th list 2023 [
15. van den Berg H, Tak N. Licensing and labelling of drugs in a paediatric oncology ward. Br J Clin Pharmacol. 2011;72(3):474-81.
16. Gatta G, Botta L, Comber H, Dimitrova N, Leinonen MK, Pritchard-Jones K, et al. The European study on centralisation of childhood cancer treatment. European journal of cancer. 2019;115:120-7.
17. Grabow D, Kaiser M, Hjorth L, Byrne J, Alessi D, Allodji RS, et al. The PanCareSurFup cohort of 83,333 five-year survivors of childhood cancer: a cohort from 12 European countries. Eur J Epidemiol. 2018;33(3):335-49.
18. McMahon AD, Conway DI, Macdonald TM, McInnes GT. The unintended consequences of clinical trials regulations. PLoS medicine. 2009;3(11):e1000131.
19. Parliament E. General Data Protection Regulation 2016 [Available from: http://data.europa.eu/eli/reg/2016/679/oj.
20. Agency EM. Good Clinical Practice [Available from: https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/compliance/good-clinical-practice.
21. Helsinki Do. [Available from: https://www.wma.net/policies-post/wma-declaration-of-helsinki-ethical-principles-for-medical-research-involving-human-subjects/
22. Parliament E. Directive 2001/20 EC of the European parliament and the council of 4 April 2001 in the approximation of the laws, regulations and administrative provisions of the Member States relating to the implementation of good clinical practice in the conduct of clinical trials on medicinal products for human use 2001 [Available from: https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=celex%3A32001L0020.
23. European Standard Clinical Practice (ESCP) protocols [Available from: https://siope.eu/ESCP/members.
24. Ouyang N, Feder SL, Baker JN, Knobf MT. Prognostic Communication Between Parents and Clinicians in Pediatric Oncology: An Integrative Review. Am J Hosp Palliat Care. 2023:10499091231183107.
25. Mack JW, Wolfe J, Grier HE, Cleary PD, Weeks JC. Communication about prognosis between parents and physicians of children with cancer: parent preferences and the impact of prognostic information. Journal of clinical oncology: official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2006;24(33):5265-70.
26. Nations U. Committee on the Rights of the Child. General comment no. 12 (2009), The right of the child to be heard 2009 [Available from: https://www2.ohchr.org/english/bodies/crc/docs/AdvanceVersions/CRC-C-GC-12.pdf.
27. Denburg A, Arora B, Arora RS, Auste C, Bagai P, Barr R, et al. Access to essential medicines for children with cancer: a joint SIOP-CCI position statement. The Lancet Oncology. 2017;18(1):20-2.
28. Tran YH, Coven SL, Park S, Mendonca EA. Social determinants of health and pediatric cancer survival: A systematic review. Pediatric blood & cancer. 2022;69(5):e29546.

29. Marchak JG, Christen S, Mulder RL, Baust K, Blom JMC, Brinkman TM, et al. Recommendations for the surveillance of mental health problems in childhood, adolescent, and young adult cancer survivors: a report from the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group. The Lancet Oncology. 2022;23(4):e184-e96.

30. Christen S, Roser K, Mulder RL, Ilic A, Lie HC, Loonen JJ, et al. Recommendations for the surveillance of cancer-related fatigue in childhood, adolescent, and young adult cancer survivors: a report from the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group. Journal of cancer survivorship : research and practice. 2020;14(6):923-38.

31. Robinson PD, Oberoi S, Tomlinson D, Duong N, Davis H, Cataudella D, et al. Management of fatigue in children and adolescents with cancer and in paediatric recipients of haemopoietic stem-cell transplants: a clinical practice guideline. Lancet Child Adolesc Health. 2018;2(5):371-8.

32. Lehrnbecher T, Robinson PD, Ammann RA, Fisher B, Patel P, Phillips R, et al. Guideline for the Management of Fever and Neutropenia in Pediatric Patients With Cancer and Hematopoietic Cell Transplantation Recipients: 2023 Update. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2023;41(9):1774-85.

33. Diorio C, Robinson PD, Ammann RA, Castagnola E, Erickson K, Esbenshade A, et al. Guideline for the Management of Clostridium Difficile Infection in Children and Adolescents With Cancer and Pediatric Hematopoietic Stem-Cell Transplantation Recipients. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2018;36(31):3162-71.

34. Lehrnbecher T, Fisher BT, Phillips B, Alexander S, Ammann RA, Beauchemin M, et al. Guideline for Antibacterial Prophylaxis Administration in Pediatric Cancer and Hematopoietic Stem Cell Transplantation. Clin Infect Dis. 2020;71(1):226-36.

35. Lehrnbecher T, Fisher BT, Phillips B, Beauchemin M, Carlesse F, Castagnola E, et al. Clinical Practice Guideline for Systemic Antifungal Prophylaxis in Pediatric Patients With Cancer and Hematopoietic Stem-Cell Transplantation Recipients. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2020;38(27):3205-16.

36. Nellis ME, Goel R, Karam O. Transfusion Management in Pediatric Oncology Patients. Hematol Oncol Clin North Am. 2019;33(5):903-13.

37. Patel P, Robinson PD, Cohen M, Devine K, Gibson P, Holdsworth MT, et al. Prevention of acute and delayed chemotherapy-induced nausea and vomiting in pediatric cancer patients: A clinical practice guideline. Pediatric blood & cancer. 2022;69(12):e30001.

38. Patel P, Robinson PD, Phillips R, Baggott C, Devine K, Gibson P, et al. Treatment of breakthrough and prevention of refractory chemotherapy-induced nausea and vomiting in pediatric cancer patients: Clinical practice guideline update. Pediatric blood & cancer. 2023;70(8):e30395.

39. Joffe L, Dwyer S, Glade Bender JL, Frazier AL, Ladas EJ. Nutritional status and clinical outcomes in pediatric patients with solid tumors : A systematic review of the literature. Semin Oncol. 2019;46(1):48-56.

40. Loeffen EAH, Mulder RL, Font-Gonzalez A, Leroy P, Dick BD, Taddio A, et al. Reducing pain and distress related to needle procedures in children with cancer: A clinical practice guideline. European journal of cancer. 2020;131:53-67.

41. Organization WH. Integrating palliative care and symptom relief into paediatrics: a WHO guide for health-care planners, implementers and managers 2018 [Available from: https://www.who.int/publications/i/item/integrating-palliative-care-and-symptom-relief-into-paediatrics.

42. Lacerda A, Martínez MA, Dumont B, Leiss U, Kokkinou G, Scheinemann K, et al. Embracing paediatric palliative care in paediatric oncology from diagnosis onwards. Pediatric blood & cancer. 2023;70(10):e30561.

43. Benini F, Avagnina I, Giacomelli L, Papa S, Mercante A, Perilongo G. Pediatric Palliative Care in Oncology: Basic Principles. Cancers (Basel). 2022;14(8).

44. Snaman J, McCarthy S, Wiener L, Wolfe J. Pediatric Palliative Care in Oncology. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2020;38(9):954-62.

45. Benini F, Papadatou D, Bernadá M, Craig F, De Zen L, Downing J, et al. International Standards for Pediatric Palliative Care: From IMPaCCT to GO-PPaCS. J Pain Symptom Manage. 2022;63(5):e529-e43.

46. Saad R, Abu-Saad Huijer H, Noureddine S, Sailian SD. Pediatric palliative care through the eyes of healthcare professionals, parents and communities: a narrative review. Ann Palliat Med. 2022;11(10):3292-314.

47. Ananth P, Lindsay M, Mun S, McCollum S, Shabanova V, de Oliveira S, et al. Parent Priorities in End-of-Life Care for Children With Cancer. JAMA Netw Open. 2023;6(5):e2313503.

48. Kaye EC, Weaver MS, DeWitt LH, Byers E, Stevens SE, Lukowski J, et al. The Impact of Specialty Palliative Care in Pediatric Oncology: A Systematic Review. J Pain Symptom Manage. 2021;61(5):1060-79.e2.

49. Waldman ED, Levine JM. The Day Two Talk: Early Integration of Palliative Care Principles in Pediatric Oncology. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2016;34(34):4068-70.

50. Haines ER, Frost AC, Kane HL, Rokoske FS. Barriers to accessing palliative care for pediatric patients with cancer: A review of the literature. Cancer. 2018;124(11):2278-88.

51. Bergstraesser E, Hain RD, Pereira JL. The development of an instrument that can identify children with palliative care needs: the Paediatric Palliative Screening Scale (PaPaS Scale): a qualitative study approach. BMC Palliat Care. 2013;12(1):20.

52. Lazzarin P, Giacomelli L, Terrenato I, Benini F. A Tool for the Evaluation of Clinical Needs and Eligibility to Pediatric Palliative Care: The Validation of the ACCAPED Scale. J Palliat Med. 2021;24(2):205-10.

53. Brock KE, Snaman JM, Kaye EC, Bower KA, Weaver MS, Baker JN, et al. Models of Pediatric Palliative Oncology Outpatient Care-Benefits, Challenges, and Opportunities. J Oncol Pract. 2019;15(9):476-87.

54. Miller KA, Baird J, Lira J, Herrera Eguizabal J, Fei S, Kysh L, et al. The Use of Telemedicine for Home-Based Palliative Care for Children With Serious Illness: A Scoping Review. J Pain Symptom Manage. 2021;62(3):619-36.e6.

55. Rokitka DA, Curtin C, Heffler JE, Zevon MA, Attwood K, Mahoney MC. Patterns of Loss to Follow-Up Care Among Childhood Cancer Survivors. Journal of adolescent and young adult oncology. 2017;6(1):67-73.

56. Daly A, Lewis RW, Vangile K, Masker KW, Effinger KE, Meacham LR, et al. Survivor clinic attendance among pediatric- and adolescent-aged survivors of childhood cancer. Journal of cancer survivorship : research and practice. 2019;13(1):56-65.

57. Blum RW, Garell D, Hodgman CH, Jorissen TW, Okinow NA, Orr DP, 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. The Journal of adolescent health : official publication of the Society for Adolescent Medicine. 1993;14(7):570-6.

58. Otth M, Denzler S, Koenig C, Koehler H, Scheinemann K. Transition from pediatric to adult follow-up care in childhood cancer survivors-a systematic review. Journal of cancer survivorship : research and practice. 2020.

59. Marchak JG, Sadak KT, Effinger KE, Haardörfer R, Escoffery C, Kinahan KE, et al. Transition practices for survivors of childhood cancer: a report from the Children's Oncology Group. Journal of cancer survivorship : research and practice. 2023;17(2):342-50.

60. Mulder RL, van der Pal HJH, Levitt GA, Skinner R, Kremer LCM, Brown MC, et al. Transition guidelines: An important step in the future care for childhood cancer survivors. A comprehensive definition as groundwork. European journal of cancer. 2016;54:64-8.

61. Bhakta N, Liu Q, Ness KK, Baassiri M, Eissa H, Yeo F, et al. The cumulative burden of surviving childhood cancer: an initial report from the St Jude Lifetime Cohort Study (SJLIFE). Lancet. 2017.

62. Frobisher C, Glaser A, Levitt GA, Cutter DJ, Winter DL, Lancashire ER, et al. Risk stratification of childhood cancer survivors necessary for evidence-based clinical long-term follow-up. British journal of cancer. 2017;117(11):1723-31.

63. van Kalsbeek RJ, van der Pal HJH, Kremer LCM, Bardi E, Brown MC, Effeney R, et al. European PanCareFollowUp Recommendations for surveillance of late effects of childhood, adolescent, and young adult cancer. European journal of cancer. 2021;154:316-28.

64. International Guideline Harmonization Group for Late Effects of Childhood Cancer [Available from: http://www.ighg.org/.

65. [COG] CsOG. Long Term Follow-Up guidelines Version 5.0 2018 [Available from: http://www.survivorshipguidelines.org/pdf/2018/COG_LTFU_Guidelines_v5.pdf.

66. van Dorp W, Mulder RL, Kremer LC, Hudson MM, van den Heuvel-Eibrink MM, van den Berg MH, et al. Recommendations for Premature Ovarian Insufficiency Surveillance for Female Survivors of Childhood, Adolescent, and Young Adult Cancer: A Report From the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group in Collaboration With the PanCareSurFup Consortium. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2016;34(28):3440-50.

67. Mulder RL, Font-Gonzalez A, Hudson MM, van Santen HM, Loeffen EAH, Burns KC, et al. Fertility preservation for female patients with childhood, adolescent, and young adult cancer: recommendations from the PanCareLIFE Consortium and the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group. The Lancet Oncology. 2021;22(2):e45-e56.

68. Mulder RL, Font-Gonzalez A, Green DM, Loeffen EAH, Hudson MM, Loonen J, et al. Fertility preservation for male patients with childhood, adolescent, and young adult cancer: recommendations from the PanCareLIFE Consortium and the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group. The Lancet Oncology. 2021;22(2):e57-e67.

69. Skinner R, Mulder RL, Kremer LC, Hudson MM, Constine LS, Bardi E, et al. Recommendations for gonadotoxicity surveillance in male childhood, adolescent, and young adult cancer survivors: a report from the International Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group in collaboration with the PanCareSurFup Consortium. The Lancet Oncology. 2017;18(2):e75-e90.

70. Mulder RL, Hudson MM, Bhatia S, Landier W, Levitt G, Constine LS, et al. Updated Breast Cancer Surveillance Recommendations for Female Survivors of Childhood, Adolescent, and Young Adult Cancer From the International Guideline Harmonization Group. Journal of clinical oncology : official journal of the American Society of Clinical Oncology. 2020;38(35):4194-207.

71. van Iersel L, Li Z, Srivastava DK, Brinkman TM, Bjornard KL, Wilson CL, et al. Hypothalamic-Pituitary Disorders in Childhood Cancer Survivors: Prevalence, Risk Factors and Long-Term Health Outcomes. J Clin Endocrinol Metab. 2019;104(12):6101-15.

72. Clement SC, Kremer LCM, Verburg FA, Simmons JH, Goldfarb M, Peeters RP, et al. Balancing the benefits and harms of thyroid cancer surveillance in survivors of Childhood, adolescent and young adult cancer: Recommendations from the international Late Effects of Childhood Cancer Guideline Harmonization Group in collaboration with the PanCareSurFup Consortium. Cancer treatment reviews. 2018;63:28-39.

73. Hunter A, Facey K, Thomas V, Haerry D, Warner K, Klingmann I, et al. EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development: Health Technology Assessment. Front Med (Lausanne). 2018;5:231.

74. Ferrari A, Stark D, Peccatori FA, Fern L, Laurence V, Gaspar N, et al. Adolescents and young adults (AYA) with cancer: a position paper from the AYA Working Group of the European Society for Medical Oncology (ESMO) and the European Society for Paediatric Oncology (SIOPE). ESMO Open. 2021;6(2):100096.

75. Polanco A, Al-Saadi R, Tugnait S, Scobie N, Pritchard-Jones K. Setting international standards for patient and parent involvement and engagement in childhood, adolescent and young adult cancer research: A report from a European Collaborative Workshop. Cancer Rep (Hoboken). 2022;5(6):e1523.

76. Sienkiewicz D, C. vL. The Added Value of Patient Organisations. European Patients Forum; 2017.

77. Tsimicalis A, Arora RS, Bagai P, Ranasinghe N, Zubieta M. Patient-led research and Advocacy Efforts. Cancer Rep (Hoboken). 2022;5(6):e1657.

78. Commission E. Together for Health, A Strategic Approach 2007-2013. 2007.

79. Souliotis K, Agapidaki E, Peppou LE, Tzavara C, Samoutis G, Theodorou M. Assessing Patient Participation in Health Policy Decision-Making in Cyprus. Int J Health Policy Manag. 2016;5(8):461-6.

80. Weiler-Wichtl LJ, Leiss U, Gojo J, Kienesberger A, Hansl R, Hopfgartner M, et al. Good to know - This is PPIE! Development of a training tool for public and patient involvement and engagement in pediatric oncological research. Cancer Rep (Hoboken). 2023;6(6):e1835.

81. Knops RRG, van Dalen EC, Mulder RL, Leclercq E, Knijnenburg SL, Kaspers GJL, et al. The volume effect in paediatric oncology: a systematic review. Annals of oncology : official journal of the European Society for Medical Oncology. 2013;24(7):1749-53.

82. Wilkes JJ, Hennessy S, Xiao R, Rheingold S, Seif AE, Huang YS, et al. Volume-Outcome Relationships in Pediatric Acute Lymphoblastic Leukemia: Association Between Hospital Pediatric and Pediatric Oncology Volume With Mortality and Intensive Care Resources During Initial Therapy. Clin Lymphoma Myeloma Leuk. 2016;16(7):404-10.e1.

83. Wolff JE, Driever PH, Wolff B, Kramm CM, Kortmann RD, Pietsch T, et al. Pediatric neuro-oncology in small centers--quality control of network support: the HIT-GBM experience. Anticancer Res. 2011;31(2):661-4.

84. Zwaan CM, Kearns P, Caron H, Verschuur A, Riccardi R, Boos J, et al. The role of the 'innovative therapies for children with cancer' (ITCC) European consortium. Cancer treatment reviews. 2010;36(4):328-34.

85. Vassal G, Houghton PJ, Pfister SM, Smith MA, Caron HN, Li XN, et al. International Consensus on Minimum Preclinical Testing Requirements for the Development of Innovative Therapies For Children and Adolescents with Cancer. Mol Cancer Ther. 2021;20(8):1462-8.

86. Reaman G, Stancato L, Vassal G, Maris JM. Crossing Oceans: Preclinical Collaboration to Improve Pediatric Drug Development. Am Soc Clin Oncol Educ Book. 2020;40:1-8.

87. Prades J. KO, Otth M., Kearns P., Ladenstein R., Rizzari C., Heenen D., Dirksen U., Owens C., Lazarov D., Sheehan C., Borras JM., Vassal G. Do National Cancer Control Plans embrace children, adolescents, and young adult care and research? A review of the status, priorities, and recommendations in 41 European countries Lancet Reg Health Eur. 2024.

88. Parkin DM, Stiller CA, Draper GJ, Bieber CA. The international incidence of childhood cancer. International journal of cancer. 1988;42(4):511-20.

89. Zanetti R, Sacchetto L, Coebergh JW, Rosso S. To accelerate cancer prevention in Europe: Challenges for cancer registries. European journal of cancer. 2018;104:151-9.

90. Organization WH. WHO Classification of Tumours online 2022 [Available from: https://tumourclassification.iarc.who.int/welcome/#.

91. Gupta S, Aitken JF, Bartels U, Brierley J, Dolendo M, Friedrich P, et al. Paediatric cancer stage in population-based cancer registries: the Toronto consensus principles and guidelines. The Lancet Oncology. 2016;17(4):e163-e72.

92. Union E. Regulation (EU) 2016/679 of the European parliament and of the council of 27 April 2016 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data, and repealing Directive 95/46/EC (General Data Protection Regulation). 2016.

93. Otth MdR, T.; Rauwolf, KK.; Martins M.; Dirksen U.; Heenen D.; Kameric L.; Kearns P.; Ladenstein R.; Owens O.; Queiroz C.; Sullivan R.; Rizzari C.; Vassal G.; on behalf of the European Society of Pediatric Oncology (SIOPE). Differences in care delivery for children and adolescents with cancer in Europe—Results from the SIOPE OCEAN project. EJC PO. 2025;5.

94. Botta L, Gatta G, Capocaccia R, Stiller C, Cañete A, Dal Maso L, et al. Long-term survival and cure fraction estimates for childhood cancer in Europe (EUROCARE-6): results from a population-based study. The Lancet Oncology. 2022;23(12):1525-36.

95. Matthay KK, Hylton J, Penumarthy N, Khattab M, Soh SY, Nguyen HTK, et al. Global Neuroblastoma Network: An international multidisciplinary neuroblastoma tumor board for resource-limited countries. Pediatric blood & cancer. 2022;69(4):e29568.

96. Benedetti DJ, Golshan M, Kesselheim JC. Going the Distance: Ethical Issues Arising When Patients Seek Cancer Care From International Settings. J Glob Oncol. 2018;4:1-4.

97. Lunt N, Fung KW. Scoping the literature on patient travel abroad for cancer screening, diagnosis and treatment. Int J Health Plann Manage. 2022;37(1):66-77.

98. Al-Shamsi HO, Al-Hajeili M, Alrawi S. Chasing the Cure Around the Globe: Medical Tourism for Cancer Care From Developing Countries. J Glob Oncol. 2018;4:1-3.

99. Sullivan CE, Challinor J, Pergert P, Afungchwi GM, Downing J, Morrissey L, et al. Strengthening the global nursing workforce for childhood cancer. The Lancet Oncology. 2020;21(12):1550-2.

100. Pergert P, Sullivan CE, Adde M, Afungchwi GM, Downing J, Hollis R, et al. An ethical imperative: Safety and specialization as nursing priorities of WHO Global Initiative for Childhood Cancer. Pediatric blood & cancer. 2020;67(4):e28143.

101. Datta SS, Saha T, Ojha A, Das A, Daruvala R, Reghu KS, et al. What do you need to learn in paediatric psycho-oncology? Ecancermedicalscience. 2019;13:916.

102. Wiener L, Kazak AE, Noll RB, Patenaude AF, Kupst MJ. Standards for the Psychosocial Care of Children With Cancer and Their Families: An Introduction to the Special Issue. Pediatric blood & cancer. 2015;62 Suppl 5(Suppl 5):S419-24.

103. Nageswara Rao AA, Warad DM, Weaver AL, Schleck CD, Rodriguez V. Cross-Cultural Medical Care Training and Education: a National Survey of Pediatric Hematology/Oncology Fellows-in-Training and Fellowship Program Directors. J Cancer Educ. 2019;34(3):478-87.

104. Badawy SM, Black V, Meier ER, Myers KC, Pinkney K, Hastings C, et al. Early career mentoring through the American Society of Pediatric Hematology/Oncology: Lessons learned from a pilot program. Pediatric blood & cancer. 2017;64(3).

105. Delloso S GA, Roberts RM Maintaining Schooling for Children With Cancer During and Post Treatment: Parents' Perspectives of a Theory-Based Program. Contin Educ 2021.

106. Martinez-Santos AE, Fernandez-De-La-Iglesia JDC, Sheaf G, Coyne I. A systematic review of the educational experiences and needs of children with cancer returning to school. J Adv Nurs. 2021;77(7):2971-94.

107. Lum A, Donnan B, Wakefield CE, Fardell JE, Marshall GM. Establishing Australian school re-entry service guidelines for children diagnosed with cancer. J Paediatr Child Health. 2017;53(6):529-33.

108. Ruble K, Paré-Blagoev J, Cooper S, Jacobson LA. Pediatric oncology provider perspectives and practices: Supporting patients and families in schooling after cancer diagnosis. Pediatric blood & cancer. 2020;67(4):e28166.

109. Hockenberry M, Haugen M, Slaven A, Skeens M, Patton L, Montgomery K, et al. Pediatric Education Discharge Support Strategies for Newly Diagnosed Children With Cancer. Cancer nursing. 2021;44(6):E520-e30.

110. Landier W, Ahern J, Barakat LP, Bhatia S, Bingen KM, Bondurant PG, et al. Patient/Family Education for Newly Diagnosed Pediatric Oncology Patients. Journal of pediatric oncology nursing : official journal of the Association of Pediatric Oncology Nurses. 2016;33(6):422-31.

111. Easley J, Wassersug R, Matthias S, Tompson M, Schneider ND, O'Brien MA, et al. Patient Engagement in Health Research: Perspectives from Patient Participants. Curr Oncol. 2023;30(3):2770-80.

112. Kirwan JR, de Wit M, Frank L, Haywood KL, Salek S, Brace-McDonnell S, et al. Emerging Guidelines for Patient Engagement in Research. Value Health. 2017;20(3):481-6.

www.ccieurope.eu
office@ccieurope.eu

www.siope.eu
office@siope.eu

Childhood Cancer International EUROPE

SIOP Europe
the European Society for Paediatric Oncology