

DALLE TRASFUSIONI ALLE TERAPIE AVANZATE:



prospettive future nelle emoglobinopatie

19 MAGGIO 2021



Background e razionale

I disordini ereditari dell'emoglobina costituiscono, nel mondo¹, le più frequenti malattie dovute ad alterazione di un singolo gene.

Tra questi, le talassemie sono caratterizzate da una produzione ridotta o assente delle catene proteiche (α o β) che costituiscono l'emoglobina, con conseguente riduzione della stessa all'interno dei globuli rossi.¹

Le manifestazioni cliniche della malattia possono essere molto variabili, da forme paucisintomatiche a quadri sintomatologici caratterizzati da grave anemia cronica, incompatibile con la vita se non curata.^{1,2}

Attualmente, i pazienti vengono classificati sulla base della loro necessità di ricevere trasfusioni, suddividendoli in pazienti affetti da talassemia trasfusione-dipendente (TDT) e talassemia non-trasfusione-dipendente (NTDT).^{3,4}

La β -talassemia è la forma più diffusa nel bacino del Mediterraneo, anche se i dati epidemiologici sono tuttora incompleti: in attesa della disponibilità di dati del Registro Nazionale della Talassemia e delle altre Emoglobinopatie, istituito nel 2017, il numero di soggetti talassemici trasfusione-dipendenti in Italia può essere stimato intorno a 6.500-7.000.^{5,6} Il trattamento attuale di tali pazienti comprende regolari trasfusioni di sangue, la terapia ferrochelante per il controllo del sovraccarico marziale (indotto dalle trasfusioni e dall'aumentato assorbimento intestinale di ferro) e la splenectomia (meno frequente che in passato).

Sulla terapia trasfusionale non esistono, allo stato attuale, analisi economiche approfondite. I dati riportati in letteratura generalmente sono stati calcolati includendo solo i costi



dei prodotti da trasfondere ed eventualmente dei test di compatibilità pretrasfusionali, ma, prendendo in considerazione tutti i processi associati alla trasfusione (inclusi l'uso di risorse ospedaliere, i costi di laboratorio, le unità non utilizzate, ecc.), il costo risulta essere decisamente maggiore.⁸⁻¹⁰

Inoltre, è necessario considerare anche i costi non sanitari e quelli indiretti sostenuti dai pazienti e dalle loro famiglie per la terapia trasfusionale.¹¹ Quello della catena trasfusionale è un processo complesso, in ragione anche della natura del Servizio Sanitario Nazionale Italiano, basato sul ruolo fondamentale delle Regioni e delle Province Autonome.

Pertanto, anche con un singolo quadro normativo nazionale, le differenze regionali nell'organizzazione del processo trasfusionale, potrebbero emergere numerose, con diversi livelli di centralizzazione che possono riflettersi in differenze di costo anche rilevanti.

Il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT)² rappresenta ad oggi l'unico approccio terapeutico approvato in grado di curare la malattia, ma non tutti i pazienti possono beneficiarne a causa della difficoltà nel reperimento di un donatore compatibile. Inoltre, l'HSCT espone a numerosi rischi: mortalità, con un rischio a due anni al 12%⁷, fallimento del trattamento² e graft-versus-host-disease (GVHD).²

Risultati positivi sono stati ottenuti con la terapia genica che, utilizzando cellule staminali ematopoietiche autologhe, offre una possibilità curativa alternativa all'HSCT.² Questo approccio, attualmente al vaglio di AIFA, modifica radicalmente il paradigma terapeutico, non agendo sui sintomi, ma eliminando la causa genetica della patologia.

Questi temi saranno trattati durante il webinar, con l'obiettivo di valutare la situazione dei pazienti talassemici, l'attuale organizzazione della catena trasfusionale e le possibilità offerte dalle terapie innovative prossimamente disponibili.

DALLE TRASFUSIONI ALLE TERAPIE AVANZATE:



prospettive future nelle emoglobinopatie

19 MAGGIO 2021



Programma Scientifico

SESSIONE 1 - Moderazione di Laura Caresia, Direttore Medico di McCann Health Italia

17.00 - 17.20



Inquadramento clinico della talassemia.

Il percorso del paziente trasfusione dipendente

Gian Luca Forni

17.20 - 17.45



La catena trasfusionale in Italia:

organizzazione e impatto socio-economico

Valeria Pinto, Gianpietro Briola

17.45 - 18.10



Opinioni a confronto:

**le differenze regionali nell'organizzazione della catena trasfusionale
e le ricadute sui pazienti talassemici**

Angelo Ostuni, Raffaele Vindigni

SESSIONE 2 - Moderazione di Annalisa Ancidei, Direttore Accesso di McCann Health Italia

18.10 - 18.50

Dalle trasfusioni alle terapie avanzate: prospettive future nelle emoglobinopatie

La tavola rotonda prevede la partecipazione di:

Gian Luca Forni, Corrado Sardella, Alessia Salvador

Rappresentanti delle Associazioni Pazienti regionali:

- Emilia Romagna: *Valentino Orlandi*
- Veneto: *Alberto Cattelan*

18.50 - 19.00

Conclusioni & Take Home Messages



Faculty

Annalisa Ancidei, Market Access Director McCann Health Italia

Gianpietro Briola, Presidente AVIS

Laura Caresia, Direttore Medico McCann Health Italia

Alberto Cattelan, Presidente Associazione Veneta Lotta alla Talassemia

Gian Luca Forni, Presidente SITE

Valentino Orlandi, Presidente Associazione Rino Vullo ALT Ferrara Lotta alla Talassemia, già Presidente UNITED

*Angelo Ostuni, Direttore struttura complessa "UO di Medicina Trasfusionale"
AOU Policlinico di Bari*

Alessia Salvador, Farmacista Ospedaliero, ULSS 3 Serenissima, Venezia

Valeria Pinto, Dirigente Medico presso l'SSD di Microcitemia, anemie congenite e dismetabolismo del ferro dell'Ente ospedaliero Ospedali Galliera di Genova

Corrado Sardella, Responsabile CRAT Veneto

Raffaele Vindigni, Presidente UNITED



Bibliografia

1. Taher AT, Weatherall DJ, Cappellini MD. Thalassaemia. *Lancet*. 2018;391(10116):155–167.
2. Cappellini MD, Porter JB, Viprakasit V, Taher AT. A paradigm shift on beta-thalassaemia treatment: How will we manage this old disease with new therapies? *Blood Rev*. 2018;32(4):300–311.
3. Cappellini MD, Cohen A, Porter J, Taher A, Viprakasit V. Guidelines for the Management of Transfusion Dependent Thalassaemia (TDT) [Internet]. Nicosia, Cyprus: Thalassaemia International Federation; 2014.
4. Taher A, Vichinsky E, Musallam K, Cappellini M, Viprakasit V. Guidelines for the management of non transfusion dependent thalassaemia (NTDT) [Internet]. Nicosia, Cyprus: Thalassaemia International Federation; 2013.
5. Scalone L, Mantovani LG, Krol M, et al. Costs, quality of life, treatment satisfaction and compliance in patients with beta-thalassemia major undergoing iron chelation therapy: the ITHACA study. *Curr Med Res Opin*. 2008;24(7):1905–1917.
6. Angelucci E, Antmen A, Losi S, Burrows N, Bartiromo C, Hu X. Direct Medical Care Costs Associated with α -Thalassemia Care in Italy. *Blood*. 2017;130 (Suppl 1):3368.
7. Baronciani D, Angelucci E, Potschger U, Gaziev J et al. Hemopoietic stem cell transplantation in thalassemia: a report from the European Society for Blood and Bone Marrow Transplantation Hemoglobinopathy Registry, 2000–2010 *Bone Marrow Transplant*. (2016) 51, 536–541.
8. Varney SJ, Guest JF. The annual cost of blood transfusions in the UK. *Transfus Med*. 2003;13(4):205–218.
9. Shander A, Hofmann A, Ozawa S, Theusinger OM, Gombotz H, Spahn DR. Activity-based costs of blood transfusions in surgical patients at four hospitals. *Transfusion*. 2010;50(4):753–765.
10. Abraham I, Sun D. The cost of blood transfusion in Western Europe as estimated from six studies. *Transfusion*. 2012;52(9):1983–1988.
11. Kacker S, Frick KD, Tobian AA. The costs of transfusion: economic evaluations in transfusion medicine, Part 1. *Transfusion*. 2013;53(7):1383–1385.