

FACULTIES

ANDREA BUZZI, *Presidente Fondazione Paracelso*
MONICA CALVI, *Direttore UOC Farmacia IRCCS Policlinico S. Matteo Pavia*
RITA CURSANO, *Direttore UOC Farmacia ASST Melegnano Martesana*
MASSIMO FRANCHINI, *Direttore Servizio Immunoematologia e Medicina Trasfusionale ASST Mantova*
GIULIO GALLERA*, *Assessore Welfare Regione Lombardia*
ROBERTA GUALTIEROTTI, *Dirigente Medico Centro Emofilia IRCCS Policlinico MI*
ANNA MALESCI, *Direttore UOC Farmacia ASST Sette Laghi*
ALESSANDRO MARCHELLO, *Presidente ACE - Associazione Coagulopatici ed Emofilici ONLUS di Milano*
GIOVANNA MONINA, *Presidente CoDiFO*
EMANUELE MONTI*, *Presidente III Commissione Sanità Regione Lombardia*
LUCIA NOTARANGELO, *Referente Emofilia U.O. Oncoematologia pediatrica, ospedale dei Bambini, Spedali Civili di Brescia*
FLORA PEYVANDI, *Direttore UOC Medicina Generale, Emostasi e Trombosi IRCCS Policlinico di Milano*
PATRIZIO PIACENTINI, *Responsabile delle relazioni istituzionali e comunicazione CoDiFO*
MARCELLO SOTTOCORNO, *Direttore UOC Farmacia IRCCS Policlinico di Milano*
TULLIO ELIA TESTA, *Direttore UOC Farmacia ASST Spedali Civili di Brescia*

**invitato a partecipare*

TARGET

MEDICO CHIRURGO (EMATOLOGIA)
FARMACISTA (FARMACIA TERRITORIALE E OSPEDALIERA)

N° ID ECM: 6042-299491 Ed. 1 N° CREDITI: 6 (sei) | TARGET: 30 partecipanti

Per iscriversi, è necessario inviare i propri dati all'indirizzo info@altis-ops.it.
Per ogni informazione, contattare ALTIS allo 02-49538300.



In osservanza delle disposizioni vigenti in tema Covid-19, si segnala che in sala sarà necessario rispettare il distanziamento sociale di 1 metro. Si invitano inoltre i partecipanti a volersi munire degli appositi dispositivi di protezione individuale.

Provider ECM e
Segreteria organizzativa

ALTIS
Omnia Pharma Service

Con il contributo non condizionato di


novo nordisk



Workshop: LA PATOLOGIA EMOFILICA IN LOMBARDIA

NUOVE SFIDE NEL TRATTAMENTO GLOBALE DEL
PAZIENTE EMOFILICO IN ETÀ PEDIATRICA E ADULTA

16 SETTEMBRE 2020

RESPONSABILE SCIENTIFICO: TULLIO ELIA TESTA

Promosso da



MILANO
ANDREOLA CENTRAL HOTEL
VIA DOMENICO SCARLATTI, 24

RAZIONALE

L'**emofilia** è una malattia rara di origine genetica legata alla coagulazione del sangue: si manifesta solo nei maschi, mentre le donne possono essere portatrici sane. Questo perché si eredita, in modalità recessiva, attraverso il cromosoma X (X-linked) ed è caratterizzata dalla carenza di uno specifico fattore della coagulazione. Nel Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite, risultano in Italia più di 5.000 persone con emofilia. Più precisamente, nell'ultima rilevazione 2017, sono 4.179 i pazienti affetti da emofilia A e 898 quelli affetti da emofilia B. In base ai dati ISTAT sulla popolazione italiana, risulta che la prevalenza per l'emofilia A è di 6,9/100.000 abitanti e per l'emofilia B di 1,5/100.000 abitanti. Le persone con emofilia provengono quasi sempre da famiglie con una familiarità verso la malattia e questo rende più facile la diagnosi nel caso in cui si manifestino emorragie di una certa entità con lenta risoluzione e si riscontrino un allungamento dell'aPTT in corso di esami ematochimici. In genere, le persone affette da emofilia, oltre alle problematiche tipiche dello stato emorragico, presentano anche altre complicanze correlate alla malattia.

Il trattamento dell'emofilia avviene attraverso la somministrazione del farmaco (emoderivato o ricombinante) contenente il fattore coagulativo carente. I due principali regimi terapeutici per l'emofilia sono: **la terapia "on demand" (al bisogno, cioè al momento del sanguinamento) e la profilassi, che invece prevede la somministrazione costante del fattore carente per prevenire le emorragie gravi e proteggere i pazienti.** Si tratta di infusioni che devono essere effettuate circa 3 volte a settimana. Per quanto abbia decisamente rivoluzionato la qualità di vita degli emofilici, la terapia sostitutiva ha dei limiti: il principale evento avverso è che in un terzo dei casi può diventare inefficace a causa della formazione di anticorpi che riconoscono questi farmaci come "estranei" e di fatto ne annullano l'effetto. La presenza di inibitori rende inefficace il trattamento con la terapia sostitutiva convenzionale, con conseguente minor controllo degli episodi emorragici.

Nel 2017 - sottolinea l'Istituto superiore di sanità - 135 pazienti sono stati sottoposti ai trattamenti raccomandati in caso di inibitore, di questi l'85,2% è costituito da pazienti con emofilia A grave e il 7,4% da pazienti con emofilia B grave. Lo sviluppo degli anticorpi inibitori compromette la qualità della vita dei pazienti e ha un impatto significativo sulla gestione terapeutica del paziente, oltre a comportare un aumento marcato del costo della terapia". Oggi quindi la ricerca scientifica sull'emofilia è rivolta da una parte al miglioramento delle terapie esistenti, incluse quelle che hanno la funzione di modulare specifiche risposte immuni al fattore VIII, dall'altra alla terapia genica.

CoDiFO approfondisce nuovamente l'argomento Emofilia in quanto la gestione dei pazienti emofilici, affidata ai centri specializzati, ha nel rischio clinico, nel perseguimento dell'appropriatezza prescrittiva e nel governo della sostenibilità della spesa dell'innovazione, momenti che vedono coinvolti clinici, farmacisti ospedalieri, le istituzioni regionali e le associazioni dei pazienti. Ciò al fine di garantire un'adeguata presa in carico del paziente in tutto il territorio regionale, limitando differenze ed iniquità di accesso alla diagnosi, alle cure e ai trattamenti ottimali in base alle evidenze scientifiche.

In questo workshop CoDiFO discuterà e condividerà con tutti gli stakeholders best practice organizzative che possano servire al Sistema come modello di sviluppo ed implementazione dell'assistenza, per la governance della spesa sanitaria regionale e la salute dei pazienti emofilici.

PROGRAMMA

- 09.00-09.30 Registrazione dei partecipanti
- 09.30-10.00 **Apertura e Saluti istituzionali**
Giovanna Monina, Patrizio Piacentini, Giulio Gallera*, Emanuele Monti*
- SESSIONE I**
MODERATORI: Tullio Elia Testa, Giovanna Monina
- 10.00-10.30 **Nuove frontiere nel trattamento del paziente con emofilia A**
Flora Peyvandi
- 10.30-11.00 **La profilassi con terapia sostitutiva nei pazienti affetti da emofilia congenita. Quali peculiarità tra i fattori VIII ad emivita standard?**
Roberta Gualtierotti
- 11.00-11.30 **La gestione dei sanguinamenti intercorrenti nel paziente emofilico con inibitori: caso clinico**
Lucia Notarangelo
- 11.30-12.00 **Discussione**
- SESSIONE II**
MODERATORI: Anna Malesci, Rita Cursano
- 12.00-13.00 **Nuova generazione di fattori VIII ad emivita prolungata. Quali vantaggi a beneficio del paziente?**
✓ **Il punto di vista del clinico:** Massimo Franchini
✓ **Il punto di vista del farmacista ospedaliero:** Marcello Sottocorno
- 13.00-13.30 **Discussione**
- 13.30-14.30 **Light Lunch**
- SESSIONE III**
MODERATORI: Monica Calvi, Patrizio Piacentini
- 14.30-15.00 **Il modello organizzativo nell'assistenza farmaceutica con i farmaci innovativi: distribuzione diretta, distribuzione per conto (DPC) ed home delivery**
Tullio Elia Testa
- 15.00-17.00 **TAVOLA ROTONDA**
Aspettative ed esigenze del paziente emofilico in Regione Lombardia: Cosa è cambiato dopo due anni?
PARTECIPANO: Andrea Buzzi, Massimo Franchini, Alessandro Marchello
Lucia Notarangelo, Rita Cursano, Tullio Elia Testa
- 17.00-17.15 **Conclusioni e chiusura lavori**
Giovanna Monina, Patrizio Piacentini
- 17.15-17.30 **Compilazione questionario ECM**

**invitato a partecipare*