

# EX

RIVISTA DELL'ASSOCIAZIONE EMOFILICI E TALASSEMICI DI RAVENNA

ANNO XLVI N. 10/11 - NOVEMBRE/DICEMBRE 2020

In caso di mancato recapito, rinvviare all'Ufficio Postale di Ravenna CPO, detentore del conto, per la restituzione al mittente, che si impegna a pagare la relativa tariffa. / Taxe Perçue - Tassa pagata - SPED. IN ABB. POST. COMMA 20/G LEGGE 662/96 - FILIALE DI RAVENNA

## **ENTRA IN VIGORE NEL 2021 IL REGISTRO UNICO DEL TERZO SETTORE**





## IN QUESTO NUMERO

### Pagine 2/3

Registro Unico del Terzo Settore

### Pagine 4/7

Assemblea di FEDEMO

### Pagine 8/11

Intervista alla prof.ssa  
Flora Pejvandi  
del Centro Emofilia di Milano

### Pagina 12/13

La gestione delle complicanze  
muscolo scheletriche dell'emofilia

### Pagina 14

"E-muoviti"  
il primo passo verso  
un nuovo inizio

### Pagina 15

L'importanza dell'aderenza al  
trattamento in emofilia

### Pagine 16/18

Passato, presente e futuro  
delle associazioni talassemiche

### Pagina 19

Many, un'infermiera speciale

### Pagina 20

Editing del genoma per  
correggere la talassemia

### Pagina 22

Lanciata la campagna  
"Blood Artists"

### Pagina 23

Assistenza domiciliare  
per le persone con malattia rara

ENTRERA' IN VIGORE NELLA PRIMAVERA DEL 2021

# IL REGISTRO UNICO NAZIONALE DEL TERZO SETTORE

Tutte le associazioni di volontariato che non lo hanno ancora fatto devono adeguare i loro statuti pena l'esclusione

Il 2021 sarà l'anno durante il quale entrerà in vigore il RUNTS che è il Registro Unico Nazionale del Terzo Settore e che consentirà a tutti i cittadini di conoscere le caratteristiche fondamentali degli iscritti e alle organizzazioni di godere delle agevolazioni previste.

L'iscrizione è obbligatoria.

Abbiamo fatto nostre le anticipazioni dell'avvocato Cristina Muzzioli per chiarire a tutte le associazioni come si dovranno comportare

Lo abbiamo fatto perché l'avvocato Muzzioli si occupa di tematiche inerenti al diritto civile, al diritto di famiglia e al terzo settore, in collaborazione con l'omonimo studio di commercialisti.

Abbiamo cercato di sintetizzare il suo intervento affinché sia comprensibile per tutti, responsabili e non, di associazioni di volontariato.

## QUANDO SARA' OPERATIVO IL REGISTRO

Innanzitutto sarà operativo almeno 180 giorni dopo l'emanazione del decreto ministeriale, in modo da dar tempo alle Regioni e alle Province autonome di individuare le strutture operative cui affidare i compiti degli Uffici locali del RUNTS.

Il Decreto è stato emesso nel mese di settembre di quest'anno.

Il 3 dicembre, comunque, con la pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale del D.L di proroga dello stato di emergenza per Covid-19, è stata formalizzata anche la proroga al 31 marzo 2021 dei termini ultimi previsti per l'adeguamento degli statuti di APS, ODV e ONLUS in genere alle disposizioni previste dal nuovo Codice del Terzo Settore.

## IL REGOLAMENTO OPERATIVO

Il regolamento operativo è importante perché l'iscrizione nel Registro unico sarà l'elemento costitutivo dell'identità degli enti del terzo settore in base alla riforma.

Quindi non ci si potrà definire un ente del terzo settore se non iscritti nell'ambito di questo registro unico. Sarà il luogo digitale e telematico in cui si potranno reperire le seguenti informazioni sull'Ente (ETS):

- la denominazione
- la forma giuridica
- la sede legale o le eventuali sedi secondarie
- la data di costituzione
- l'oggetto dell'attività di interesse generale
- il codice fiscale o la partita iva
- il possesso della personalità giuridica





dica e il patrimonio minimo le generalità dei rappresentanti legali le generalità dei soggetti che ricoprono cariche sociali e tutte le modifiche agli atti fondamentali dell'ente.

### COME CI SI ISCRIVE

Il Codice del Terzo Settore stabilisce che per la generalità delle organizzazioni il rappresentante legale presenta un'istanza all'Ufficio del Registro Unico Nazionale della Regione o della Provincia autonoma in cui l'ente ha la sede legale, con deposito di una serie di documenti tra i quali l'atto costitutivo e lo statuto.

Nell'istanza l'ente deve indicare la sezione nella quale intende essere iscritto.

Decorsi 60 giorni dalla presentazione della domanda essa si intende accolta.

Entro quel termine, l'ufficio competente può rifiutare l'iscrizione oppure chiedere all'ente integrazioni o correzioni all'istanza.

Per il periodo transitorio, le APS e le ODV saranno iscritte d'ufficio mediante la trasmigrazione dei dati acquisiti dai registri locali delle APS e delle ODV.

Entro i 180 giorni successivi alla trasmigrazione e all'operatività del RUNTS gli uffici locali potranno chiedere informazioni supplementari alle APS e alle ODV.

L'uscita del regolamento non significa che esiste già il registro, perché al momento siamo ancora nella situazione precedente, cioè che continuano ad esistere il Registro del Volontariato, il Registro delle Associazioni di Promozione Sociale e l'Anagrafe delle onlus.

Tutti questi registri spariranno quando sarà effettivamente operativo il registro unico.

Il quando non si sa ancora, nel senso che nell'ambito del regolamento del registro si parla di una data di operatività che verrà formalmente comunicata dal Ministero attraverso i suoi funzionari.

A partire da questa data non ci si potrà più iscrivere nei registri esistenti.

In pratica si "congela" la situazione a quel momento, non si potrà più chiedere di essere iscritti all'albo delle ONLUS, al registro del volontariato, al registro delle APS.

Finiranno in istruttoria soltanto le domande che saranno pendenti in quel momento e da quel momento inizieranno a decorrere i vari termini di trasmigrazione per le associazioni di volontariato e le associazioni di promozione sociale esistenti e i termini per fare domanda

# IL REGOLAMENTO, COME CI SI ISCRIVE, QUANDO SARA' IN VIGORE

d'iscrizione per il registro unico per le onlus, visto che l'anagrafe delle onlus è invece destinato a sparire e non ha la previsione di questo meccanismo della trasmigrazione.

Quindi sulla data di inizio presumibilmente dovrebbe essere nella primavera del 2021 (come scritto nella Gazzetta Ufficiale del 3 dicembre sarebbe il 31 marzo) però non siamo sicuri. Questa data di operatività deve essere comunicata formalmente dal Ministero del lavoro e delle politiche sociali.

Il Registro è articolato in sezioni che in parte ricalcano i soggetti già regolati dalla precedente normativa.

Ci sarà una sezione per le associazioni del volontariato ed uno per quelle di Promozione sociale.

Ci sarà una sezione per le associazioni di mutuo soccorso, una per le reti associative quelle in pratica di secondo livello che hanno dei compiti di coordinamento di più associazioni.

Poi ci sarà quella degli enti filantropici che è una novità, quegli enti che hanno lo scopo di raccogliere fondi ed erogarli per attività di interesse generale.

E' prevista anche la possibilità, se la caratteristica dell'ente cambia aspetto, di passare da una sezione all'altra.

Non si potrà comunque essere iscritti agli enti del terzo settore se non si è iscritti nel Registro Unico. Soltanto le reti associative possono essere iscritte in più sezioni e cioè gli organismi di secondo livello che operano in più regioni, al momento della domanda possono chiedere di essere iscritte ad una sezione che è tenuta dall'ufficio nazionale del Registro Unico del terzo settore e contemporaneamente di essere iscritto ad un'altra sezione.

Come è organizzato a livello territoriale il Registro Unico perché regolerà allo stesso modo tutte le associazioni e ci saranno due uffici, quello nazionale ed i vari uffici a livello regionale.

I registri attuali rimangono in vita soltanto fino alla operatività com-

pleta del Registro Unico

L'iscrizione è necessaria per potersi definire nel terzo settore ed avere la disciplina prevista ed avere sia le detrazioni fiscali ed anche la possibilità di avere contributi pubblici previsti ed anche essere iscritti per la ripartizione del 5 per mille.

Per chi è già iscritto ai Registri regionali il passaggio sarà automatico e gli uffici competenti avranno sei mesi di tempo per controllare le documentazioni.

### Personalità giuridica

Per chi ha personalità giuridica o la vuole acquisire, innanzitutto è giusto spiegare che questa consente alle associazioni di avere un'autonomia patrimoniale, ovvero si determina la separazione del patrimonio dell'ente da quello dei soci, che agiscono in nome e per conto dell'ente.

Questo significa che le responsabilità di tipo economico derivanti da attività svolte dall'associazione ricadono solo sull'associazione e non sui patrimoni delle singole persone che la compongono o degli amministratori.

Le associazioni riconosciute possono usufruire di particolari benefici previsti dalla legge, come la possibilità di richiedere contributi da parte di enti pubblici.

Hanno la possibilità di ricevere eredità e donazioni o di comprare immobili.

Per ottenere il riconoscimento della personalità giuridica è necessario stanziare un capitale che rimarrà vincolato: non potrà essere utilizzato per altri scopi dall'associazione, proprio perché rappresenta la garanzia della solvibilità dell'associazione stessa, in caso di obbligazioni verso terzi.

Se una associazione attualmente non ce l'ha e la vuole acquisire deve fare una domanda alla Prefettura o alla Regione ed iscriversi contemporaneamente nel Registro Unico.



## L'ASSEMBLEA STRAORDINARIA DELLA FEDERAZIONE DELLE ASSOCIAZIONI DEGLI EMOFILICI

**Lo svolgimento dell'assemblea è avvenuto on line il 5 dicembre ed hanno partecipato 25 associazioni**

L'assemblea che descriveremo della Federazione delle Associazioni degli Emofilici, si è svolta, visti i tempi di Corona virus, il 5 dicembre in video conferenza. E siccome il nostro mestiere, come quello di tutti i giornalisti, è informare, per farlo dobbiamo innanzitutto comprendere bene la materia o i fatti dei quali stiamo scrivendo.

L'assemblea di cui parleremo è "figlia" a nostro parere di tutta una serie di discussioni e di scontri che si protraggono ormai da diversi anni, sui rapporti e sul ruolo della Fondazione Paracelso con la Federazione degli Emofilici Italiani. Ed a questo proposito pregheremmo i nostri lettori di andarsi a rileggere l'editoriale del mese di giugno 2019 dal titolo: "La casa brucia" nel quale si raccontano il più democraticamente possibile i fatti come si sono svolti.

Il tutto era nato all'assemblea di Roma del mese di aprile durante la quale Anna Fragomeno, segretario generale di Fedemo era stata incaricata dal Consiglio Direttivo di illustrare alcuni punti che secondo la relazione evidenziavano manchevolezze o errori da parte della Fondazione Paracelso.

### L'INCONTRO CON IL PREFETTO

L'11 luglio si era tenuto presso l'Ufficio Persone Giuridiche della Prefettura di Milano, un incontro tra i membri del Consiglio di Amministrazione uscente di Fondazione Paracelso e il Consiglio di Presidenza di FedEmo, alla presenza dei rispettivi legali, volto al superamento dello stallo nella ricostituzione del Consiglio di Amministrazione.

I componenti del Consiglio direttivo di FedEmo avevano motivato la propria opposizione alla riconferma degli attuali amministratori, nella convinzione che il Consiglio di Amministrazione di Fondazione Paracelso dovesse, per l'appunto, essere rinnovato e non riconfermato.

Al termine, i presenti erano stati invitati a raggiungere un "compromesso" sulla nomina del Consiglio di Amministrazione entro la fine di settembre 2019, in considerazione del bene comune degli associati e poter garantire la piena operatività di Fondazione Paracelso.

Per agevolare l'accordo era stato suggerito di procedere con le seguenti modalità: - due membri da nominarsi su indicazione del Consiglio di Amministrazione uscente di Fondazione Paracelso; - due membri da nominarsi su indicazione del Consiglio di Presidenza di FedEmo, da individuare, ovviamente, in armonia con l'assemblea; - il rimanente membro su indicazione del Presidente uscente di Fondazione Paracelso.

Il Consiglio di Presidenza di FedEmo si era impegnato ad indicare una rosa di candidati sottoposti al vaglio assembleare.

L'autorità prefettizia aveva inoltre suggerito al Consiglio di Amministrazione di Fondazione Paracelso di tenere in considerazione le esigenze (di rinnovamento) manifestate da FedEmo, volte al raggiungimento di una convergenza su una soluzione differente da quella propugnata dal Consiglio di Amministrazione stesso, vagliando anche "soluzioni terze".

In conseguenza di questo il giorno 7 settembre, a Roma si era svolta un'assemblea per sottoporre la rosa di nomi dei candidati alle cariche in rinnovo del CdA di Fondazione Paracelso espressi da FedEmo ed erano stati eletti i due nuovi membri.

Il 5 dicembre di quest'anno inoltre si è svolta appunto un'assemblea consultiva per "raccolgere il parere delle Associazioni in merito ad una nuova proposta di modifica del proprio statuto presentata da Fondazione Paracelso. In proposito, in un documento di Fedemo si affermava che: "...Come è stato già precedentemente spiegato e come peraltro si rileva anche dal verbale della Prefettura di Milano relativo all'ultimo incontro tra FedEmo e Fondazione tenutosi presso quella sede, allo stato attuale non vi è alcun pericolo rispetto a un possibile commissariamento e tantomeno a una liquidazione della Fondazione, come ribadito dal CDA di Fondazione Paracelso.

Non vi è neppure la necessità e l'urgenza di apportare modifiche allo statuto vigente, al di là di quelle a cui tutti noi siamo tenuti per soddisfare la nuova normativa del Terzo settore".

### LO SVOLGIMENTO DELL'ASSEMBLEA

Ribadiamo ancora che questa assemblea era stata organizzata perché Fondazione Paracelso senza una preliminare discussione o accordo, lo scorso mese di ottobre, aveva trasmesso alla Federazione e per conoscenza alla Prefettura di Milano una proposta di modifica del proprio statuto, chiedendo di ricevere il parere di FedEmo (che è vincolante rispetto all'introduzione di ogni eventuale modifica statutaria di Paracelso) relativamente a una sua possibile approvazione.

All'assemblea sono risultate presenti 25 Associazioni:

Bari (Arpe Teo Ripa); Bologna (ASS.EMO.BO); Brescia (A.E.B. Ravasio Passeri); Campania (A.R.C.E.); Castelfranco Veneto (L.A.G.E.V.); Catania (A.S.E.); Cosenza (ICORE); Ferrara (A.P.E.C.); Lazio (A.E.L.); Liguria (A.R.L.A.F.E.); Milano (A.C.E.); Padova (A.B.G.E.C.); Parma (A.V.E.S.); Pavia (A.T.C.); Abruzzo (A.M.A.R.E.); Piemonte (A.C.E.P.); Ravenna (A.E.T. Russo Serdoz); Salerno (A.E.S.A.); Taranto (A.B.C.E.); Toscana (A.T.E.); Trentino (A.E.T.); Friuli Venezia Giulia (A.E.T.F.V.G.); Umbria (A.U.A.F.E.); Verona (A.E.V.); Vicenza (A.V.E.C.).

Ogni Associazione avrebbe potuto esprimersi in senso favorevole o contrario su ciascuno dei passaggi della richiesta espressa da Fondazione Paracelso.

Era presente in collegamento anche l'avvocato Andrea Vené, che disponibile ad intervenire alla fine della consultazione per chiarire eventuali passaggi tecnici o rispondere a richieste di approfondimento da parte delle associazioni.

Ci sembra utile per la corretta informazione elencare tutti gli articoli dei quali si richiedeva la modifica e le relative votazioni.



## ARTICOLO 8

L'articolo 8 del quale si doveva votare nella attuale versione recita quanto segue:

“I componenti del Consiglio di Amministrazione vengono nominati nel seguente modo: I 5 componenti del Consiglio d'Amministrazione eleggeranno in concerto con i cinque membri del Consiglio di Presidenza della Federazione delle Associazioni Emofilici – ONLUS”.

La nuova versione richiesta da Fondazione Paracelso verrebbe così corretta:

**“I componenti del Consiglio di Amministrazione vengono nominati nel seguente modo: (i) 3 (tre) componenti sono nominati dal Consiglio di Amministrazione uscente;**

**(ii) 1 (un) componente nominato dell'Associazione Italiana dei Centri Emofilia – AICE con sede legale a Milano in Via Privata Vasto n. 4;**

**(iii) 1 (un) componente nominato dall'assemblea della Federazione delle Associazioni Emofilici – FEDEMO Onlus”**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

un'Associazione (Verona) si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe;

le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica proposta.

## ARTICOLO 9

Questa voce nell'articolo 9, non esisteva nel vecchio statuto.

Inoltre non era neppure stata sottolineata l'ultima parte, quella che parte da: Il Consiglio di Amministrazione può attribuire...

Questa la nuova voce:

**“Il consiglio di Amministrazione, ove lo ritenga opportuno, può delegare parte dei poteri a un Comitato Esecutivo.**

**Il Comitato Esecutivo è composto dal Presidente e da altri 2 (due) Consiglieri.**

**Le adunanze e il funzionamento del Comitato Esecutivo sono disciplinati, in quanto compatibili, dalle medesime**

# LE MODIFICHE RICHIESTE PER LO STATUTO DELLA FONDAZIONE PARACELSO

**norme applicabili al Consiglio di Amministrazione.**

**Il Consiglio di Amministrazione può attribuire a uno o più dei suoi membri oppure, a estranei (mediante apposite procure) il potere di compiere determinati atti o categorie di atti in nome e per conto della Fondazione”.**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

un'Associazione (Verona) si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe;

le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica proposta.

L'Associazione ARLAFE, aveva chiesto che venisse messo a verbale che la votazione avrebbe potuto di fatto essere ritenuta inutile, in quanto non era stato verificato che l'attuale CDA della Fondazione, avesse approvato le modifiche proposte allo statuto con la maggioranza dei quattro quinti dei suoi componenti, come espressamente richiesto dallo Statuto in vigore.

Riteneva che il direttivo avrebbe dovuto operare questa verifica, prima ancora di recarsi all'incontro con Fondazione Paracelso in prefettura e che, in ogni caso, questa verifica avrebbe dovuto essere fatta e l'esito della stessa comunicato alla prefettura e alle associazioni.

## ARTICOLO 10

Si passa a questo punto alla proiezione e alla lettura del testo relativo all'articolo 10 dello statuto, che regola le convocazioni e le

delibere del Consiglio di Amministrazione e che recitava:

“Per la validità delle deliberazioni sulle seguenti materie è necessario il voto favorevole di tutti i Consiglieri in carica: acquisto o vendita di beni immobili; assunzione di qualsiasi finanziamento e mutuo passivo di qualsiasi durata ed importo; rilascio di qualsiasi fideiussione, cauzione e garanzia; scioglimento della Fondazione nei casi previsti dall'art. 16).

La nuova versione richiesta da Fondazione Paracelso recita:

**“Per la validità delle deliberazioni sulle seguenti materie è necessario il voto favorevole di 4**

**(quattro) Consiglieri: - acquisto o vendita di beni immobili; - assunzione di qualsiasi finanziamento e mutuo passivo di qualsiasi durata ed importo; rilascio di qualsiasi fideiussione, cauzione e garanzia; - scioglimento della Fondazione nei casi previsti dall'Art. 18).**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

un'Associazione (Verona) si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe;

le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica proposta.

## ARTICOLO 12

Nell'attuale statuto la voce recita:

“I membri effettivi e supplenti vengono nominati dal Consiglio

**segue a pagina 6**



segue da pagina 5

di Presidenza della Federazione delle Associazioni Emofilici - ONLUS”.

La nuova versione richiesta da Fondazione Paracelso recita:

**“I membri effettivi e supplenti vengono nominati come segue:**

**(i) 1 (un) membro effettivo e 1 (un) membro supplente sono nominati dalla Associazione Italiana dei Centri Emofilia - AICE con sede legale a Milano in Via Privata Vasto n. 4;**  
**(ii) 1 (un) membro effettivo e 1 (un) membro supplente sono nominati dalla Federazione delle Associazioni Emofilici - FEDEMO ONLUS, con sede legale a Roma in via Tor Sapienza n. 86;**

**(iii) 1 (un) membro effettivo e 1 (un) membro supplente, che assumerà la carica di Presidente dell'Organo di Controllo, è nominato dal Presidente dell'Ordine dei Dottori Commercialisti di Milano”.**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

un'Associazione (Verona) si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe;

le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica proposta.

### ARTICOLO 13

Questa voce non è presente nello statuto attuale.

La nuova versione richiesta da fondazione Paracelso così recita:

**“Il Revisore è nominato dall'Organo di Controllo nell'ambito di una rosa di 3 (tre) nominativi individuati dal Consiglio di Amministrazione”.**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

un'Associazione (Verona) si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe;

# LA MAGGIORANZA DELLE ASSOCIAZIONI RESPINGE LE MODIFICHE RICHIESTE

le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica proposta.

### ARTICOLO 18

**Per deliberazione del Consiglio di Amministrazione, adotta con il voto favorevole di almeno 4 (quattro) consiglieri.**

**Vedi art. 10 Statuto vigente: voto di tutti i consiglieri**

**“Per la modifica dello statuto è necessaria una maggioranza di quattro Consiglieri su cinque del Consiglio di Amministrazione e previo parere, obbligatorio ma non vincolante, debitamente motivato, del Consiglio di Presidenza della Federazione delle Associazioni Emofilici - ONLUS, da esprimere entro 30 (trenta) giorni dalla richiesta formulata dal Consiglio di Amministrazione della Fondazione”.**

5 Associazioni si pronunciano a favore della modifica (Brescia, Milano, Padova, Pavia e Trentino);

L'associazione di Verona si astiene ritenendo che sia mancato un confronto tra le due parti, che la potesse mettere nella condizione di esprimere un parere alla luce delle posizioni espresse da entrambe.

Le restanti 19 Associazioni si dichiarano contrarie alla modifica.

In conclusione la presidente Cassone aveva precisato che è apparsa chiara, attraverso i pareri formulati dai delegati la volontà dell'Assemblea sul tema del parere vincolante di FedEmo per l'approvazione delle modifiche statutarie della della Fondazione.

*“Quella di oggi è stata un'assemblea esplorativa su un tema ristretto e potranno esserci ulteriori momenti in futuro dedicati ad illustrare l'attività intrapresa da FedEmo, soprattutto quella molto rilevante in ambito istituzionale, in particolare sul tema della non equivalenza terapeutica, sulla possibilità di utilizzare le misure governative di sostegno sull'emergenza da Covid-19 per cercare spazi a favore dei ristoranti per gli emofilici danneggiati.”*

Rispetto a quanto accaduto, Cassone, ha comunicato che FedEmo avrebbe riportato a questo punto all'ufficio prefettizio, il parere dell'Assemblea, espresso attraverso le indicazioni ricevute da parte di tutte le Associazioni sui passaggi affrontati.

*“Tali indicazioni - aveva concluso - sono state chiare e quelle indicazioni e niente di più sarà ciò che verrà esplicitato nella risposta della Federazione alla prefettura”.*

### IL DOVERE DI CRONACA ED IL DIRITTO DI CONOSCERE I FATTI

La redazione del giornale “EX” intende chiarire due punti riguardanti questo servizio sull'assemblea di Fedemo ricordando che sia il dovere di cronaca che, soprattutto, il diritto di conoscere i fatti precisi da parte di tutti, sono obblighi che intendiamo rispettare.

Abbiamo discusso, litigato, ricevute e rivolte offese, cercate alleanze, ma visto che siamo tifosi di una squadra senza capitano, cerchiamo la logica nel delirio di cose dette o scritte a vuoto.

Ognuno con le proprie ragioni e convinzioni, forse è tempo che si concluda questa lunga vicenda che sta sottraendo a tutti la forza che andrebbe utilizzata per battaglie ben più dure e utili.



## LA LETTERA DI FEDEMO ALLA FONDAZIONE PARACELSO E ALL'UFFICIO DEL PREFETTO

Dobbiamo riconoscere nei fatti che non si è perso tempo nel documentare tempestivamente delle risultanze dell'assemblea perché in data 14 dicembre la Fondazione Paracelso, e per conoscenza l'Ufficio Prefettizio, oltre alla documentazione dell'assemblea, hanno ricevuto una lettera firmata dal presidente Cristina Cassone, nella quale si legge:

**Oggetto: parere dell'Associazione FedEmo in relazione alla proposta avanzata da Fondazione Paracelso di modifica delle norme statutarie.**

*“Spettabile Consiglio di Presidenza di Fondazione Paracelso, facendo seguito a quanto stabilito nel corso dell'incontro del 21.10.2020 presso la Prefettura di Milano, nella mia qualità di Presidente del Consiglio di Presidenza della Federazione delle Associazioni Emofilici, sono a significare quanto segue.*

*Premesso che è utile precisare, rispetto a quanto riportato nel verbale della Prefettura n. 0242158 del 21 ottobre u.s., che non è stata FedEmo ad investire la Prefettura della questione delle modifiche statutarie, bensì la stessa Fondazione Paracelso in data primo ottobre, senza aver mai preventivamente coinvolto la Federazione delle Associazioni Emofilici al riguardo, nel merito osserviamo che:*

*a) FedEmo, attraverso il proprio Consiglio di Presidenza, approva gli adeguamenti statuari di Fondazione Paracelso relativi e conseguenti all'entrata in vigore del d.lgs. n. 117 del 2017.*

*In particolare, quelli di cui agli articoli 1, 2, 5, 6, 7, 10 (nella sola parte in cui viene disciplinata la convocazione del Consiglio) e 13 (limitatamente a quanto concerne l'istituzione della figura del Revisore legale dei conti, ma non rispetto ai criteri che vengono indicati per la sua nomina);*

*b) FedEmo, attraverso il proprio Consiglio di Presidenza, sentito il parere contrario delle Associazioni locali italiane dei pazienti, espresso a larga maggioranza dalle stesse in sede di Assemblea, non approva le modifiche suggerite da Fondazione Paracelso agli articoli 8, 9, 10 (nella parte in cui si propone di modificare, la composizione e il quorum deliberatorio del Consiglio di Amministrazione della Fondazione), 12 (laddove si propone di modificare il criterio di nomina dell'organo di controllo) e 18 (laddove si propone di modificare la maggioranza necessaria per lo scioglimento della Fondazione ed eliminare il parere vincolante della Federazione sulle modifiche statutarie).*

*Riteniamo che sussistano altresì ben fondati motivi a sostegno di quanto da noi sopra deliberato, basati su dati di fatto oggettivi e inconfutabili, ovvero:*

*1- Paracelso è una Fondazione di partecipazione creata da FedEmo;*  
*2- Ad oggi, Fondazione Paracelso possiede un proprio organo amministrativo indipendente e nel pieno dei propri poteri, recentemente nominato nel settembre 2019 e non vi è alcun rischio di mancato perseguimento dell'oggetto fondativo.*

*3- La comunità italiana dei pazienti emofilici - attraverso FedEmo che tale comunità rappresenta e della quale raccoglie le istanze - ha sempre garantito l'autonomia funzionale di Fondazione Paracelso e ha ribadito anche in questa circostanza che tale autonomia continuerà a garantire in futuro, senza per questo ritenere tuttavia possibile una modifica della governance della Fondazione così come viene oggi proposta da Paracelso, dal momento che laddove la stessa venisse accettata risulterebbero di fatto ignorati e totalmente stravolti gli originali principi fondatori sulla base dei quali Fondazione Paracelso prese vita”.*

# EX

PERIODICO DELL'ASSOCIAZIONE EMOFILICI  
E TALASSEMICI DI RAVENNA

fondato da VINCENZO RUSSO SERDOZ  
Aut. Trib. Ravenna 10-7-1974 n. 587

DIRETTORE  
**BRUNELLO MAZZOLI**

DIRETTORE RESPONSABILE  
**ANGELA VENTURINI**

SEGRETARIA DI REDAZIONE  
**CORINNA CANÈ**

RESPONSABILE DEI RAPPORTI  
CON LE ASSOCIAZIONI  
**MARIA SERENA RUSSO**

COMITATO DI CONTROLLO  
**ROBY VERITÀ**  
**GIOVANNI BENEDETTINI**  
**SERENA GUZZARDI**

DIRETTORE MEDICO  
**Dr. ANTONINO MANCINO**

IN COLLABORAZIONE CON  
FEDERAZIONE ASSOCIAZIONI EMOFILICI  
FONDAZIONE PARACELSO  
**ALESSANDRO MARCHELLO**  
**ALBA PISCONE**

REDAZIONI ESTERNE E COLLABORATORI  
**LORIS BRUNETTA**  
**ENRICO FERRI GRAZZI**  
**LORENZO GHIRARDI**

REDAZIONE E DIREZIONE

**VIA PASTORE 1 (Zona Bassette)**  
**48123 RAVENNA**  
Cell. 335.6154812 - Fax 0544.451720

Sito Internet: <http://www.emoex.it>

E-mail: [bruno1940@libero.it](mailto:bruno1940@libero.it)

**QUOTA ASSOCIATIVA A EX:**

**ORDINARIA € 10,00**  
**SOSTENITORE € 20,00**  
**BENEMERITO € 50,00**

per sottoscrivere una quota versamento in

**C.C.P. 1008927293**

oppure in

CONTO CORRENTE BANCARIO 000002842663  
PRESSO UNICREDIT BANCA / AGENZIA DI RAVENNA  
IBAN: IT 59 Q 02008 13120 000002842663

ASSOCIATO A



UNIONE STAMPA PERIODICA ITALIANA

STAMPA EDIZIONI MODERNA - RAVENNA

Soc. Coop. p.a.  
Via G. Pastore, 1 - Tel. 0544.450047  
48123 Ravenna

Consegnato all'ufficio postale per la spedizione  
il 30 dicembre 2020

Questo numero del giornale è pubblicato con il contributo non condizionato di



CSL Behring



KEDRION  
BIOPHARMA

## CONOSCIAMO IL CENTRO EMOFILIA “ANGELO BIANCHI BONOMI” DI MILANO

Il Centro Emofilia e Trombosi “Angelo Bianchi Bonomi” di Milano è uno dei più importanti Centri italiani ed europei per la cura dell'emofilia. In questi ultimi tempi è stato oggetto di notevoli cambiamenti; nostro dovere di informatori era, quindi, rivolgere alcune domande a Flora Peyvandi, primario della Unità Operativa Complessa (U.O.C.) di Medicina Generale – Emostasi e Trombosi presso la Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico di Milano, professore ordinario di Medicina Interna presso l'Università degli Studi di Milano e direttore del Centro, per fare il punto sull'attuale situazione del Centro Emofilia e Trombosi.

Prima di rivolgerle alcune domande, abbiamo ritenuto importante presentare l'attività diagnostica e terapeutica svolta presso il Centro.

Il Centro Emofilia e Trombosi “Angelo Bianchi Bonomi” rivolge la sua attività ambulatoriale di cura e trattamento a persone di tutte le età, partendo dall'età neonatale e dal bambino passando attraverso l'età adulta fino ad arrivare all'anziano. E' uno dei più importanti centri in Europa per la diagnosi e la cura delle malattie emorragiche, in grado oggi di fornire un ampio ventaglio di prestazioni, sia diagnostiche che terapeutiche per intervenire direttamente sulle malattie emorragiche, come l'emofilia e la trombosi.

Dispone di laboratori specialistici per la diagnosi di coagulopatie, sia attraverso test biochimici che analisi genetiche dei fattori della coagulazione.

Vengono ottimizzate e validate nuove metodologie per lo studio delle diverse patologie trattate, non solo a fini assistenziali, ma anche a scopo di ricerca. Si svolgono inoltre sperimentazioni cliniche volte allo studio delle basi molecolari e dei meccanismi fisiopatologici della malattia, dei fattori di rischio, dell'ottimizzazione della terapia medica e delle complicanze delle malattie emorragiche e trombotiche.

L'alta specializzazione dell'équipe consente di attivare percorsi specifici per: la diagnosi, l'identificazione e la caratterizzazione della malattia, indagandone le cause genetiche e/o acquisite; la somministrazione, il tipo e la durata della terapia, dando indicazioni per l'eventuale trattamento profilattico; l'eventuale estensione delle indagini ai familiari.

I pazienti sono seguiti mediante visi-



te di follow-up periodiche a carattere multidisciplinare mirate ad affrontare i vari aspetti e complicanze della malattia. Sono coinvolti specialisti ematologi, ortopedici, fisioterapisti, pediatri, ginecologi, epatologi, infettivologi, cardiologi e chirurghi.

Il Centro fornisce un servizio di consulenza genetica e un supporto per la diagnosi di portatrice, per la diagnosi prenatale, e per la diagnosi genetica di preimpainto.

In caso di necessità i pazienti possono essere ricoverati presso il reparto di Medicina Generale Emostasi e Trombosi.

Gli ematologi, i biologi e i tecnici di laboratorio del Centro garantiscono un servizio di reperibilità 24 ore su 24, 365 giorni all'anno per i pazienti affetti da coagulopatie a carattere emorragico o trombotico, per i pazienti in terapia anticoagulante orale (TAO) e per i pazienti con patologie di pertinenza specifica, effettuando anche consulenze diagnostiche e terapeutiche ad altri reparti e ospedali.

### Ricerca e formazione

Già dalla fine degli anni '60, quando è stato fondato dai professori Nicola Dioguardi e Pier Mannuccio Mannucci, il Centro ha ottenuto eccellenti risultati in tutti i suoi ambiti con il raggiungimento di importanti obiettivi. Ne sono testimonianza le numerosissime pubblicazioni sulle maggiori riviste scientifiche internazionali di medicina inter-

na e di ematologia fra cui Lancet, New England Journal of Medicine, Annals of Internal Medicine e Blood.

Il Centro è impegnato nella formazione di medici in diverse specialità, biologi, biotecnologi e tecnici di laboratorio grazie alle convenzioni esistenti con le scuole di Specializzazione in Medicina interna, Ematologia, Geriatria, Allergologia e Immunologia Clinica dell'Università degli Studi di Milano, oltre alle attività di tutoraggio per lo svolgimento di tesi di Laurea e tirocini in Medicina e Chirurgia, Biotecnologie, Biologia, Tecniche di laboratorio biomedico e dottorati di ricerca.

Un Master universitario in Ricerca Clinica è attivo già da alcuni anni, ha una durata di 12 mesi, per il quale è garantito un servizio di tutor ai partecipanti. In qualità di centro collaboratore della Federazione Mondiale dell'Emofilia (WFH) si occupa, inoltre, della formazione di medici e laboratoristi provenienti da tutto il mondo all'interno del programma di Gemellaggio (Twinning program).

Il Centro ospita anche medici e laboratoristi all'interno dei programmi di formazione promossi da Società scientifiche internazionali di emostasi e trombosi, quali la Società Internazionale di Emostasi e Trombosi (ISTH) di cui la Prof.ssa Peyvandi è presidente-eletto e collabora con l'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS) per i programmi di standardizzazione del controllo di laboratorio per la terapia anticoagulante orale.







## IL CENTRO EMOFILIA “ANGELO BIANCHI BONOMI” DI MILANO

# INTERVISTA ALLA PROF.SSA FLORA PEYVANDI PRIMARIO DELL'UNITA' OPERATIVA DI MEDICINA GENERALE

**Professoressa Peyvandi può descrivere ai nostri lettori la situazione attuale del Centro da lei diretto?**

*“Premetto che recentemente il nostro Centro ha vissuto dei cambiamenti notevoli.*

*Due persone di grande valore e che svolgevano la loro attività clinica al centro da diversi anni, le dottoresse Elena Santagostino ed Elisa Mancuso hanno scelto nuove strade. La Dr.ssa Santagostino ha iniziato la sua attività presso un'azienda farmaceutica e la Dr.ssa Mancuso ha cambiato struttura ospedaliera, andando in una struttura privata, interessandosi sempre di emofilia (La struttura è la Humanitas, ospedale privato convenzionato con il Servizio Sanitario Nazionale dove si curano anche le malattie emorragiche ereditarie - n.d.R.).*

*Come tutti i cambiamenti, questa nuova situazione ci ha permesso di capire cosa mancava, cosa poteva essere migliorato e come potevamo sopperire alla conoscenza che le due nostre colleghe avevano sviluppato in tutti gli anni della loro permanenza al Centro. La prima cosa che dovevo fare era quella di trovare un aiuto per il coordinamento di tutta l'attività ambulatoriale del Centro e anche del personale. Un aiuto l'ho trovato nella dottoressa Ida Martinelli che è esperta di trombosi ma è anche un'ematologa di fama internazionale e che presta la sua attività presso il nostro centro ormai da molti anni e quindi ha una conoscenza approfondita di tutte le necessità del Centro.*

*La partenza della Dr.ssa Santagostino ha cambiato il mio approccio verso il centro. Prima vivevo indirettamente tramite Elena, tutto quello che avveniva al Centro. Ora, sono molto più presente all'interno del Centro, per esempio tutti i martedì visito i pazienti emofilici, che vengono per i check-up o per il piano terapeutico e l'eventuale passaggio a farmaci nuovi. Comunque, i pazienti sanno che in qualunque momento possono avere un colloquio con me previo appuntamento.*

*Nell'attuale struttura del centro, ho inserito una figura accademica che è quella della dottoressa Roberta Gual-*

*tierotti, un'internista con un background reumatologico. Questa mia scelta è avvenuta ancora prima che avvenisse il cambiamento perché secondo me il mondo dell'emofilia sta cambiando e cambierà ancora moltissimo nel futuro, con l'arrivo dei nuovi farmaci e con la terapia genica. Gli eventi emorragici, per fortuna, saranno sempre di meno, quindi siamo obbligati ad avere una visione evolutiva del Centro emofilia. I pazienti devono e dovranno essere valutati in modo differente. Quindi avevo bisogno di una figura professionale che fosse esperta nella valutazione dello stato infiammatorio delle articolazioni, che sono l'organo bersaglio degli eventi emorragici spontanei nei pazienti emofilici. L'assunzione della dottoressa Roberta Gualtierotti è stato un passo fondamentale perché è una figura universitaria che fra pochi anni diventerà professore associato di medicina interna. Esegue unitamente a me le visite ambulatoriali valutando tramite ecografia le articolazioni dei pazienti che principalmente sono curati con i nuovi farmaci, verificandone l'efficienza e verificando che le micro emorragie siano completamente scomparse e che conseguentemente i pazienti siano completamente protetti. Ho un progetto che voglio sviluppare insieme a ortopedici, fisiatristi, fisioterapisti e neurochirurghi e un gruppo di matematici e informatici per cercare di fare una valutazione del paziente in modo personalizzato e digitale.*

*Cosa vuol dire questo? Abbiamo già eseguito centinaia di ecografie per verificare la presenza/assenza di micro sanguinamenti a livello articolare. Poi in collaborazione con gli informatici e con aziende della telecomunicazione stiamo sviluppando un'applicazione per smartphone che funzioni come “ecografo” per essere utilizzato direttamente dal paziente sull'articolazione dolorante e trasmettere in tempo reale le immagini al medico referente che valuterà l'eventuale sanguinamento. Purtroppo, la pandemia COVID ha ulteriormente posticipato questo progetto che avevo pianificato 2/3 anni fa. Ora sto cercando di accelerare l'attuazione di questo progetto, coin-*

*volgendo il nostro ortopedico di riferimento, il Dott. Solimeno, conosciuto dai nostri pazienti e molto apprezzato a livello mondiale come esperto di chirurgia ortopedica in pazienti emofilici, i suoi collaboratori, tra cui il Dott. Aquati e la nostra fisioterapista Elena Bocalandro. Tutto ciò per formare un gruppo di lavoro sul versante muscolo-scheletrico*

*Inoltre, sto lavorando insieme alla dottoressa Roberta Gualtierotti con gli informatici dell'università di Milano per spingere molto sull'aspetto della medicina a distanza e cercare con la telecomunicazione di migliorare la diagnosi e la cura.*

*Attualmente, il team del centro comprende la dottoressa Eugenia Biguzzi, esperta della malattia di von Willebrand ma che, essendo una brava ematologa si sta interessando anche ai pazienti emofilici e alle loro visite di check-up; inoltre nello staff c'è anche la dottoressa Simona Siboni, ematologa che da anni lavora nel nostro Centro con una grande esperienza nella cura delle malattie emorragiche. Un altro medico del centro è il dottor Andrea Artoni che si interessa particolarmente delle prime visite che coinvolgono bambini che sperimentano le loro prime manifestazioni emorragiche ed il dottor Simon Braham che lavora con noi da alcuni anni e che si interessa particolarmente di check up e farmaci nuovi.*

*C'è poi un team di internisti e laboratoristi che svolgono un'attività fondamentale sia di assistenza che di ricerca. Sappiamo bene quale sia il ruolo importantissimo del monitoraggio di laboratorio per la valutazione dell'efficacia della terapia durante il sanguinamento acuto e per la valutazione della farmacocinetica quando si passa ad un farmaco nuovo.*

*Da non dimenticare poi che il nostro centro offre un servizio di reperibilità in tutto l'arco delle 24 ore durante il quale un medico ematologo e un laboratorista sono disponibili per qualunque emergenza ed urgenza e in grado di eseguire test specifici per la diagnosi delle coagulopatie.*

**segue a pagina 10**



## segue da pagina 9

Dal 1996, mi sono occupata di malattie emorragiche e di emofilia in Italia e in tutto il mondo anche a livello decisionale collaborando con istituzioni quali la società internazionale di emostasi e trombosi (ISTH, la federazione mondiale di emofilia (WFH e il consorzio europeo di emofilia (EHC) E grazie a queste collaborazioni sono tantissimi i progetti a livello europeo che si stanno sviluppando e che vorrei applicare anche in Italia ed in special modo nel nostro Centro.

Dicendo questo mi preme ricordare che il Centro Emofilia oggi è in piena efficienza e di questo devo ringraziare ancora una volta le dottoresse Elena Santagostino ed Elisa Mancuso che comunque hanno dato modo al Centro di essere sempre aggiornato e allo stesso tempo ai pazienti emofilici che sono oltre un migliaio e provengono da tutte le regioni italiane e che richiedono un approccio multidisciplinare e assistenza tra le più disparate.

Tra queste vi è anche la diagnosi genetica di portatrice che permette alle donne di effettuare una diagnosi prenatale per capire se il feto sarà affetto da emofilia. Inoltre, recentemente, il nostro laboratorio di genetica è in grado di offrire anche la diagnosi genetica di preimpianto”.

**Tra le vostre diverse attività, nella sua esposizione risalta il Master Universitario in Ricerca Clinica.**

**Può spiegarci in breve di che cosa si tratta?**

“La ricerca clinica è un settore in rapido sviluppo ed evoluzione che richiede personale specializzato con adeguate conoscenze e competenze professionali. Il Master è svolto in collaborazione con l'Istituto Mario Negri. Dà la possibilità di far crescere varie figure professionali di medici, biologi, biotecnologi, farmacisti, infermieri, informatici e bioinformatici, che siano interessati ad acquisire conoscenze e una formazione specifica per diventare operatori a vari livelli e nei diversi ruoli che sono previsti nell'ambito degli studi utilizzati nella ricerca clinica. Lo scopo del corso è quello di fornire le basi teoriche e pratiche per impostare il razionale di uno studio clinico, scegliere la metodologia più appropriata, pianificare un protocollo di ricerca, coordinare le diverse fasi di uno studio clinico, interpretare e diffondere correttamente i risultati degli studi clinici.

La cosa importante della quale sono molto fiera, è che il 100% delle persone che hanno partecipato al master hanno già trovato il lavoro ancora prima che il master sia finito.

Potremmo farne una nuova forma educativa coinvolgendo i medici

## “Un Centro in piena efficienza per un migliaio di pazienti provenienti da tutte le regioni”

dell'AICE proprio per l'emostasi e la trombosi”.

Il colloquio con la prof.ssa Peyvandi, come di prammatica in questo periodo, si è svolto attraverso un collegamento via skype al quale erano presenti varie persone.

Una di queste, il dott. Antonino Mancino, direttore medico del nostro giornale, le ha rivolto una domanda specifica ed è questa:

**Moltissimi medici ematologi responsabili di Centri Emofilia della mia età (parliamo dagli anni 70 in poi) si sono formati alla scuola del Policlinico. Questa funzione di guida potrebbe appunto ripartire di qui, attraverso sue indicazioni. Sappiamo che AICE, che ne sarebbe preposta, non lo sta facendo o ha tentato di farlo ma non ha ottenuto grossi risultati. E le associazioni e gli stessi pazienti quale ruolo devono avere a suo parere nei confronti del Centro stesso e dei medici?**

“Innanzitutto abbiamo necessità di completare l'accreditamento dei Centri, soprattutto in relazione all'attività che si svolge nei singoli centri nei confronti dei pazienti e che non sia solo una cosa scritta sulla carta.

Un Centro deve avere delle caratteristiche peculiari che devono essere chiare soprattutto in relazione alla capacità dei singoli professionisti, paramedici compresi, devono essere in grado di fare diagnosi e soprattutto di avere le conoscenze adeguate in relazione ai nuovi farmaci. Sono questi i punti fondamentali che devono attualmente esserci in ogni Centro.

L'assistenza all'interno del Centro non deve basarsi soltanto su un singolo medico ma deve fondarsi su una cultura che si è formata negli anni in quel Centro e di un gruppo di medici interscambiabili che possano rispondere prontamente alle esigenze dei pazienti.

Se noi ci basiamo sul singolo medico che si sposta da solo, cosa può fare? Poco o niente, perché è necessario che ci sia una scuola alle spalle. Il Centro Emofilia Angelo Bianchi Bonomi consta di sessanta persone in totale

che prestano la loro attività. Nel caso di un paziente che ha un'emorragia acuta, noi dobbiamo essere sicuri che venga trattato immediatamente e che gli vengano offerte le migliori cure possibili.

Il paziente che deve eseguire un intervento vuole essere operato da un esperto e non da uno sconosciuto e seguito da un gruppo di medici e laboratoristi che lavorino in armonia.

Un Centro di riferimento deve avere delle caratteristiche ben specifiche ecco perché l'accreditamento è importante.

Ogni Regione deve stabilire quale Centro ha le caratteristiche giuste per essere un Centro emofilia di riferimento che collabora però anche con tutti gli altri centri.

Alla base c'è un problema di informazione delle associazioni in primis e dei pazienti dopo.

Nel caso in cui il paziente sia consapevole di quello che gli serve, lui basa le sue conoscenze esclusivamente su quello che gli dice il medico.

Mentre, nel caso di un paziente inconsapevole, capisci bene che se non sa cosa gli serve, non sa neanche come cercarlo, non essendo supportato e informato e non sa valorizzare quello che ha a disposizione non essendone a conoscenza.

Una volta i pazienti erano molto informati sulla loro patologia perché vivevano sulla loro pelle le conseguenze disastrose della malattia quando non c'erano le terapie adeguate.

Adesso che i pazienti hanno un'ampia scelta di farmaci, hanno i medici specialisti in vari campi che li seguono, ma è necessario che cerchino di avere un'informazione consapevole sul loro stato.

Ho collaborato come responsabile medico nell'European Hemophilia Consortium (EHC) e li ho imparato veramente tanto perché c'era un rapporto diretto e costruttivo con i pazienti che mi ha fatto crescere professionalmente. Mi farebbe molto piacere se si instaurasse sempre questo tipo di rapporto con pazienti e associazioni perché è solo uniti e consapevoli che si può crescere ed essere più forti.

Quando ho ricominciato a visitare i pazienti, ho pensato di cambiare



strategia, e rendere sempre il paziente consapevole di farmaco gli viene somministrato, quali sono i suoi benefici e i suoi eventuali effetti collaterali. Quello dell'emofilia, è un mondo che sta mutando velocemente, ed è nostro dovere raccontare tutto questo nel modo più completo, compiuto e semplice possibile.

E lo stiamo facendo da mesi, attraverso incontri web che affrontano temi diversi ogni volta, e lo facciamo di persona ogni volta durante le visite.

Ho lavorato con Brian O'Mahony, presidente del European Hemophilia Consortium, e lavorando in sintonia abbiamo fatto arrivare i prodotti long-acting in Europa senza che costassero un centesimo di più rispetto ai prodotti standard e così abbiamo fatto in Irlanda, Inghilterra e ci siamo quasi riusciti anche in Italia.

Però non sono mai riuscita a fare azioni simili in Italia e sarebbe utile che venissi "usata" come un'esperta internazionale".

**Sentiamo parlare di diversi casi di emorragie, di ictus emorragici, ictus ischemici.**

**In genere l'emofilico è soggetto a ictus emorragico però sta succedendo anche il contrario. Ci chiediamo, si fa abbastanza, e se ne parla abbastanza di questi rischi emorragici nel paziente emofilico? O forse è un argomento che non viene trattato abbastanza bene?**

**Forse non tutti sono pronti o capaci a riconoscere o sapere come comportarsi, perché noi abbiamo visto purtroppo situazioni drammatiche di assistenza che non si è agito per tempo.**

*"Questo è uno degli argomenti oggi molto discussi e importanti.*

*Purtroppo l'emorragia cerebrale è ancora la causa più frequente della morte nel paziente emofilico.*

*Abbiamo cercato di analizzare questi dati a livello internazionale sulla mortalità del paziente che utilizza farmaci nuovi e sarebbe utile lo si facesse anche in Italia.*

*Stiamo cercando di fare un monitoraggio corretto delle emorragie e degli effetti collaterali, quali gli eventi trombotici o non trombotici dopo l'uso sia di farmaci nuovi che precedenti e di capire se l'efficacia di tutti quanti è come viene riportato oppure inferiore e se hanno una maggior protezione. I primi 2/3 anni di vita del paziente emofilico sono molto importanti ma non dobbiamo dimenticarci l'età adulta è uno dei periodi da tenere in maggior considerazione.*

*Per la valutazione a lungo termine degli eventuali eventi avversi ai nuovi farmaci abbiamo anche sviluppato una app, chiamata mAPPHemo che è disponibile per tutti i pazienti"*

## ***"Un vademecum per i pazienti per saper affrontare l'emergenza Covid nella condivisione che il Centro è sempre a loro disposizione"***

**Andiamo alla stretta attualità.**

**Ha parlato della disponibilità di una grande varietà di farmaci; però abbiamo anche la famosa questione sempre più dibattuta dell'equivalenza terapeutica. Cosa mi risponde in proposito?**

*"Credo che nessuna terapia è equivalente all'altra, ma non solo per l'emofilia, anche per l'ipertensione, il diabete ecc. Ogni corpo reagisce in modo diverso rispetto al farmaco.*

*Noi per 30-40 anni abbiamo utilizzato i prodotti sostitutivi che abbiamo conosciuto bene nell'arco degli anni e abbiamo capito come possiamo utilizzarli nel modo migliore e come possiamo misurarli.*

*Adesso che stiamo entrato nell'era dove i prodotti rimangono in circolo più a lungo, dobbiamo monitorarli nel tempo in modo che non creino danni, abbiamo anche prodotti che rafforzano il sistema emostatico ma non sono equivalenti al fattore VIII e IX, è un nuovo modello dell'attivazione della coagulazione di cui ancora dobbiamo capire bene il modo di azione e la sua efficacia.*

*Per questo motivo io vi ho raccontato all'inizio che per me la valutazione e la salute articolare sono fondamentali perché io vorrei essere certa di dare ai pazienti la possibilità di passare da una sintomatologia grave a una lieve con l'uso dei nuovi farmaci e quindi dobbiamo esser sicuri dell'efficacia di questi prodotti innovativi.*

*Quindi capire di più e personalizzare di più la cura".*

Alla responsabile del Centro di Milano che è in primo piano nel panorama dell'assistenza poniamo un ultimo quesito, o meglio alcuni quesiti legati alla pandemia che stiamo subendo.

**1) Quando i medici specialisti saranno meno pressati dall'emergenza, sarà importante cercare di raccogliere quante più informazioni possibili per rispondere alle numerose incognite riguardanti COVID-19 e i pazienti con MEC?**

*"Siamo tutti impegnati in un enorme sforzo per far sì che l'emergenza Covid non cancelli tutto il resto dei bisogni*

*dei pazienti con malattie rare e per questo il Centro Emofilia di Via Pace non si ferma, anzi, prosegue il suo lavoro per garantire a tutti la massima assistenza possibile. Purtroppo, le difficoltà correlate all'emofilia, e alle altre malattie della coagulazione, non fanno pause.*

*Non si fermano a causa del Covid. Siamo sempre attenti alla cura dei nostri pazienti e abbiamo da poco stilato anche un vademecum sulla gestione dell'eventuale malattia COVID-19 diretto ai nostri pazienti e contestualmente abbiamo anche iniziato un progetto per la valutazione della frequenza di COVID-19 in pazienti con coagulopatie e del suo impatto.*

*Questo progetto prevede proprio da parte dei pazienti la compilazione di un questionario disponibile sul nostro sito (<https://cetbianchibonomi.it/ancora-questionario-covid-19-e-coagulopatie-emorragiche-o-trombotiche/>) e sempre all'interno del progetto ci stiamo attrezzando anche per la somministrazione di test sierologici in questi pazienti".*

**2) Il Centro Emofilia deve continuare a rimanere il primo punto di riferimento per agire prontamente, se necessario, o per ridurre l'accesso in ospedale dove non ci fosse la necessità?**

*"Assolutamente sì, ed è per questo che abbiamo pensato proprio di stilare il vademecum di cui sopra diretto ai nostri pazienti perché sappiano come affrontare questa emergenza e perché sappiano che siamo sempre il loro punto di riferimento".*

**3) La pandemia può essere un'opportunità per riflettere su un cardine della gestione del soggetto con emofilia e cioè l'infusione domiciliare?**

*"Assolutamente sì. E' da sempre un nostro obiettivo e molto si sta facendo a livello europeo per l'attuazione della terapia domiciliare e in questo si inserisce anche la E-health, la terapia digitale per la gestione di determinate problematiche anche a distanza".*



Associazione Regionale Ligure Affiliata alla Federazione Emofilici (F.A.E.)



**Il 19 novembre 2020 si è svolto il webinar “La gestione delle complicanze muscolo-scheletriche dell'emofilia: dalle esigenze quotidiane delle persone con emofilia al registro nazionale delle protesi articolari”.**

**L'iniziativa nasce dal suggerimento delle associazioni ARLAFE di Genova e ASE di Catania, in collaborazione con alcuni eminenti ematologi patrocinato dall'Associazione Italiana dei Centri Emofilia, dalla Federazione delle Associazioni Emofilici e con il Certificato della Società Italiana di Ortopedia e Traumatologia (SIOT).**

Nelle oltre due ore di evento, sono stati trattati in modo sintetico, ma omnicomprensivo, aspetti ematologici, ortopedici e sociali, con spunti sulla parte riabilitativa.

Una sessione è stata dedicata alla parte tecnico-chirurgica con proposta di creazione di un registro nazionale sugli interventi protesici articolari, svolti in gran numero nei centri di riferimento, ma anche in altre realtà che stanno acquisendo ottime competenze nella gestione ortopedica dei soggetti con malattia emorragica.

E' stato registrato un numero inatteso di partecipanti, appartenenti a vari profili sanitari e non: medici specialisti in ortopedia e traumatologia, in fisioterapia, in ematologia ed altre specialità cliniche, fisioterapisti, persone con emofilia, rappresentanti di associazioni di



pazienti, informatori scientifici del farmaco.

Al di là dell'ottimo feedback sulle relazioni e sul format scelto per l'evento, abbiamo avuto prova dell'interesse suscitato dal tema e da tutte le figure coinvolte attraverso le numerose domande che ogni relatore ha ricevuto.

Vediamo innanzitutto di chiarire brevemente che l'emofilia è la più frequente sindrome emorragica per quanto catalogata come malattia rara, e risulta molto invalidante soprattutto dal punto di vista ortopedico.

Sebbene il moderno trattamento ematologico abbia risolto le più gravi complicanze della malattia, il dolore e la limitazione funzionale per l'importante coinvolgimento articolare determinano un negativo impatto sulla qualità della vita nei soggetti colpiti, in gran parte molto giovani.

Pertanto, la valutazione ortopedica periodica ed i trattamenti correlati rappresentano gli aspetti cruciali della cura dei soggetti con emofilia.

Ci sono nel territorio nazionale molti Centri Emofilia che capillarmente assistono i pazienti in modo adeguato: tuttavia, pochi ortopedici ancora si occupano di questo tipo di problematiche, nonostante la loro grande preparazione ed adeguata capacità tecnica.

## GLI OBIETTIVI DELL'INCONTRO

Questo webinar si proponeva i seguenti obiettivi:

- diffondere la conoscenza delle problematiche muscolo-scheletriche in emofilia e le possibilità terapeutiche che in questo ambito l'ortopedia moderna offre;
- valutare l'opportunità di creare un registro nazionale degli interventi protesici in questa popolazione, dati gli indubbi vantaggi che questo determinerebbe;
- comprendere le esigenze dei pazienti e delle loro associazioni nelle aree in cui Collegi ortopedici potrebbero essere coinvolti.

L'incontro è stato introdotto dal dott. Giancarlo Castaman Direttore del Centro Malattie Emorragiche dell'Azienda Sanitaria di Careggi, Firenze, il quale ha dato la parola in apertura al prof. Christian Carulli del Centro Traumatologico Ortopedico Universitario di Careggi.

Abbiamo scelto proprio questa relazione, molto dettagliata, "condita" anche da una serie di immagini che hanno permesso anche visivamente di seguire il suo intervento.

*“Cosa succede - ha esordito - quando avviene un sanguinamento a livello di una articolazione?”*



*Il sangue si sparge ed agisce attraverso un meccanismo diretto ed indiretto sulla sinovia determinando una infiammazione.*

*Agisce negativamente anche sulla cartilagine articolare innescando quel processo cronico che chiamiamo "artropatia".*

*Ci si è sempre chiesti se bastasse un singolo emartro a determinare questa artropatia: in realtà non è così, perché sappiamo che i micro-sanguinamenti che si realizzano nel tempo producono i danni maggiori, soprattutto nei soggetti che non fanno profilassi o con inibitori.*

*Una volta dal punto di vista ortopedico, si eseguiva la sinoviectomia per trattare la sinovite ed il paziente effettivamente stava meglio, ma spesso a breve termine: rigenerandosi la sinovia, fondamentale per il funzionamento di una articolazione, era possibile che i nuovi sanguinamenti determinassero una recidiva di sinovite, portando il soggetto all'intervento di chirurgia protesica.*

*Talvolta, il processo artropatico era talmente grave che non c'era alternativa alla "artrodosi" (fusione articolare o anchilosi chirurgica).*

*Oggi, in base all'attuale trattamento di profilassi, è raro ricorrere a questo intervento perché oltre alla terapia sostitutiva con la profilassi, esistono anche altre possibilità terapeutiche, come la terapia analgesica, l'uso di tutori e bendaggi, la fisioterapia e il ricorso alle infiltrazioni intra-articolari.*

*Che tipo di infiltrazioni?*

*Quelle di acido ialuronico, per cui il nostro gruppo di Firenze è particolarmente attivo (ma non siamo gli unici ad utilizzarlo*



## ***“L’obiettivo moderno dell’ortopedico è di limitare e prevenire il danno articolare e la sinovite”***

*in territorio nazionale ed internazionale) servono a ridurre i sintomi, a limitare la sinovite e a ritardare l'evoluzione dell'artropatia.*

*La sinoviortesi chimica (cioè l'infiltrazione di farmaci antibiotici come la rifampicina che agiscono direttamente sulla sinovite) è indicata quando la sinovite è molto più aggressiva e persistente, determinando frequentemente emartri. Trattamento analogo è la radio-sinoviortesi, ovvero il trattamento della sinovite con un prodotto a base radioattivo ("radio colloidale"), di cui i dott. Solimeno e Pasta sono molto esperti.*

*Ci sono stati in passato dei dubbi sulla possibilità che i radio colloidali determinassero un aumentato rischio tumorale, soprattutto in soggetti in accrescimento: in realtà, sono stati singoli case reports (ovvero casi isolati pubblicati in letteratura) e come tali non considerabili una regola, per cui ad oggi possiamo dire che questo problema non sussiste.*

*Entrambe le strategie servono a stemperare in modo transitorio la sinovite, limitando sintomi ed emartri.*

*E quando tutto ciò non è sufficiente?*

*Bisogna ricorrere alla chirurgia! La mia trattazione si ferma all'artroscopia, che è un intervento mini-invasivo attraverso una telecamera e degli strumenti che passano attraverso dei piccoli portali cutanei.*

*Per quanto non sia un intervento risolutivo, in caso di sinovite persistente (senza miglioramenti ai trattamenti conservativi) o artropatia precoce che meccanicamente produce sintomi, può essere utile pulire l'articolazione, allo scopo di ritardare un intervento più importante.*

*Tutto ciò che ho detto in qualsi-*

*asi suo aspetto non prescinde da un'altra valutazione, che è quella riabilitativa, da parte dei fisioterapisti e fisioterapisti, che devono intervenire in maniera mirata conoscendo la malattia, la tipologia di articolazione ed artropatia, l'esistenza di altre articolazioni target e le caratteristiche del soggetto (età, livello funzionale, tipo di profilassi).*

*In conclusione, l'obiettivo moderno dell'ortopedico è quella di limitare e prevenire il danno articolare e la sinovite, attraverso la visita periodica multidisciplinare, che rappresenta la chiave più importante: con essa, e' possibile rilevare alterazioni precoci e trattarle efficacemente prima che il processo cronicizzi e determini danni gravi e permanenti.*

*Laddove vi sia necessità di un trattamento, è ragionevole partire con strategie conservative, farmacologiche o poco invasive. Laddove non ci siano indicazioni a queste o dove non si rilevino effetti adeguati, è chiaro che possiamo procedere con la chirurgia, che d'altra parte, assicura ottimi risultati clinici e funzionali”.*

-----  
All'incontro hanno partecipato e sono intervenuti:

il dott. **Luigi Solimeno**, direttore di Unità Complessa di Ortopedia al Policlinico di Milano che ha trattato l'argomento sui risultati della chirurgia protesica;

il dott. **Gianluigi Pasta** dirigente medico ortopedico al Policlinico S. Matteo di Pavia il quale ha illustrato l'utilità di un Registro della chirurgia protesica;

il prof. **Massimo Innocenti** Direttore del Centro Traumatologico Ortopedico di Firenze che ha trattato il tema della prevenzione, della tecnica e dei risultati della chirurgia.



*“Proprio nello sforzo enorme e coraggioso di vincere la fatica riusciamo a provare, almeno per un istante, la sensazione autentica di vivere.”*

Haruki Murakami.



## il primo passo verso un nuovo inizio!...

**Il progetto “E-MuOviti!”, insieme a voi, ha iniziato a muovere i primi passi.**

**Il Comitato Giovani di FedEmo desidera quindi ringraziarvi per la partecipazione ai webinar del 20 novembre e del 4 dicembre 2020.**

**Siamo consapevoli di essere solamente all’inizio di un percorso emozionante e ricco di sfide.**

**La nostra speranza é che questi incontri possano rappresentare un’occasione per metterci in discussione, per riflettere su una strategia comune e sulle prossime azioni a sostegno di tutta la comunità.**

**Abbiamo ancora bisogno di voi!**

**Il vostro aiuto sarà prezioso per definire le prossime tappe. Presto riceverete il link ad un questionario online su bisogni ed aspettative per il futuro. Sarà la base comune per E-MuOverci insieme.**

**Troverete ulteriori informazioni ed aggiornamenti riguardanti il progetto sul sito FedEmo e sulle pagine social “FedEmo Giovani”.**

**Il Comitato Giovani di FedEmo**

Il 20 Novembre ed il 4 Dicembre si sono tenuti i due webinar che hanno dato avvio al progetto E-muoviti, promosso e organizzato dal Comitato Giovani di Fedemo con il supporto dell’ormai imprescindibile Sergio Cabigiosu.

Gli incontri hanno visto la partecipazione di più di 80 membri di associazioni distribuite su tutto il territorio italiano.

Se purtroppo non rientri tra questi 80 fortunati, caro lettore, allora non puoi assolutamente evitare di addentrarti in queste poche righe di racconto delle serate.

Buona lettura!

### **COSA E’ SUCCESSO AL PATIENT ENGAGEMENT**

In amore e in guerra tutto è concesso. E nel Patient Engagement? Con questa massima, riproposta dal sottoscritto, potremmo riassumere la provocazione lanciata da Adriano Arati alla base del nostro primo intervento.

Arati, giornalista ed esperto in comunicazione, nonché stretto collaboratore del CSV Emilia e da anni vicino a realtà associative del terzo settore, decide di stimolare la

platea domandando se “la classica dicotomia tra sanità e serietà” sia ancora oggi efficace nel mondo della comunicazione.

Portando come esempio campagne pubblicitarie di note aziende, tra le quali McDonald’s e Durex, Adriano mostra come sempre più spesso l’efficacia comunicativa sia frutto di campagne provocatorie e ironiche.

Ovviamente non sarebbe corretto, tantomeno utile, paragonare la vendita di un hamburger a quelli che sono i nostri scopi.

Tuttavia è lecito chiedersi fino a che punto serietà, rigore ed etica vadano anteposti all’efficacia comunicativa.

Una risposta può esserci fornita da Emergency, realtà sicuramente più vicina al mondo dell’emofilia e del terzo settore in generale, che accompagna ad una comunicazione seria e istituzionale in ambito informativo, una più provocatoria e a forte impatto morale per quanto riguarda il people raising.

Emergency è senza dubbio un ottimo esempio nel mostrare come il lato etico della propria missione possa essere coadiuvato da un aspetto più provocatorio, che sti-

moli una reazione nello spettatore al fine di raggiungere il proprio scopo.

In conclusione è giusto che ognuno di noi, cari lettori, si chieda dove sia opportuno porre l’invalicabile linea rossa tra serietà e ironia, tra rigore ed efficacia comunicativa, affinché i nostri “utopici obiettivi” diventino conseguibili.

### **“La libertà è partecipazione (e comunicazione)”**

Perdonatemi se mi sono permesso di scomodare (e parafrasare) Giorgio Gaber, ma vi assicuro che non è stato fatto esclusivamente per meri scopi editoriali. Ritengo che le parole del Maestro siano perfette per riassumere il messaggio lanciato dalla nostra seconda relatrice, Anna Donegà.

La dottoressa Donegà, membro dell’ufficio stampa e comunicazione del Csv di Padova, ci ha illuminato su come stabilire una comunicazione efficace con i propri associati. Una comunicazione che quindi si rivolge principalmente ai soci interni, ma di cui non bisogna sottovalutare i risvolti verso l’esterno.

Tre sono i principi fondamentali alla base di una buona comunicazione interna e che rappresentano probabilmente le colonne portanti del mondo del volontariato: senso di appartenenza, protagonismo e partecipazione. Da tali elementi traspare un concetto che forse tendiamo spesso a sottovalutare, ovvero l’importanza di coinvolgere, coccolare e far sentire unico ogni nostro associato, affinché questo possa essere consapevolmente appagato e volenteroso di far parte di qualcosa di importante, riflettendo, di conseguenza, un’immagine positiva all’esterno del proprio ruolo e del mondo dell’associazionismo.

D’altra parte senza associati non esisterebbero le associazioni. Semplice.



## Tra il dire e il fare c'è di mezzo... il fare!

Siamo ormai agli sgoccioli del nostro incontro, ma c'è tempo ancora per un ultimo relatore.

Ad Alessandro Marchello, Presidente di A.C.E Milano e figura nota nel mondo dell'emofilia, l'onore e onere di chiudere la serata in bellezza raccontando al pubblico virtuale come si realizza un progetto di successo.

Marchello accompagna alle sue invidiabili capacità oratorie una "best practice" tutta italiana, il progetto "F.O.R.T.E".

Attraverso la presentazione della nascita e dello sviluppo di uno dei progetti senza dubbio più di successo degli ultimi anni nel mondo dell'emofilia, Marchello espone quelli che sono gli aspetti fondamentali per la riuscita di un buon progetto: idee, obiettivi, tempistiche, costi...

In particolare sono due i punti cardine sui quali si concentra Alessandro: la volontà di realizzare qualcosa per gli altri e l'importanza di ascoltare.

La prima deve essere necessariamente abbastanza forte da permetterci di non mollare alle prime difficoltà, ma anzi, di sfruttare i periodi difficili per mettere ancora più entusiasmo e determinazione in ciò che stiamo realizzando.

Con "ascolto" intendiamo invece non solo la capacità di condividere idee e comunicare con i nostri compagni di avventura, ma significa soprattutto prestare orecchio a coloro che vogliamo aiutare, i principali destinatari del nostro progetto. Ascoltare i loro bisogni, paure, necessità è essenziale: solo in questo modo possiamo capire se la direzione verso cui ci stiamo muovendo è quella giusta e se e quanto il nostro progetto sarà di successo.

Cari lettori, se siete giunti fin qui, vi ringrazio.

Mi auguro di essere riuscito, in poche righe, a riassumere quello che spero sia solo l'inizio di un percorso nuovo e stimolante, che permetterà a tutta la comunità di (E)muoversi ancora più unita e compatta verso le sfide che ci attendranno.

Vi lascio con una frase di Haruki Murakami, autore di "L'arte di correre", regalataci da Alessandro al termine del suo intervento che abbiamo usato nell'apertura del servizio

A presto!

**Lorenzo Ghirardi**

dal periodico

**PHARMASTAR**  
Il Giornale online sui Farmaci

## ***"L'aderenza al trattamento è importantissima e saltare le infusioni può comportare gravi rischi"***

**No della dott.ssa Biasoli al 'fai da te' nell'autosomministrazione della profilassi**

Un'infusione saltata o posticipata, per un paziente con emofilia in profilassi, può sembrare una leggerezza trascurabile e irrilevante. Ma per gli esperti non è così, e il messaggio è chiaro: no al 'fai da te', quando si parla di trattamento, perché si rischia di vanificare gli sforzi fatti per ricamare sul paziente una vera e propria terapia personalizzata.

*"Oggi abbiamo un armamentario terapeutico migliore di quello del passato, quindi è fondamentale costruire un trattamento personalizzato, che tenga conto delle caratteristiche individuali del nostro paziente, da quelle fisiche fino a quelle del fenotipo emorragico e della farmacocinetica, al fine di prevenire l'insorgenza di eventi emorragici evitando allo stesso tempo delle somministrazioni troppo frequenti - ha spiegato la dr.ssa Chiara Biasoli, responsabile del Centro Emofilia dell'AUSL di Cesena, nel corso del webinar che si è svolto lo scorso 30 ottobre - Noi sappiamo che l'emofilia di chi ha il fattore della coagulazione inferiore all'1% è considerata grave, ma le manifestazioni emorragiche non sono uguali per tutti i pazienti, e non tutti i pazienti gravi hanno la stessa espressione della gravità: c'è chi per avere un sanguinamento necessita di un evento traumatico un po' più significativo, quindi il fenotipo è molto importante. Poi c'è l'aspetto caratteriale: un bambino può essere più tranquillo e un altro più vivace. Quando cresce inizierà a praticare un'attività sportiva, poi entrerà nel mondo lavorativo, e non tutti lavorano alla scrivania davanti a un computer, oppure svolgono un'attività fisica intensa e pesante. Insomma, bisogna valutare e tenere presenti tante cose, fra le quali il contesto familiare, con l'obiettivo di cucire sul paziente la terapia più appropriata, mantenendo quei livelli di fattore che teoricamente ci dovrebbero dare la tranquillità di evitare sanguinamenti",* ha proseguito la dr.ssa Biasoli.

Ma se fino a qualche anno fa ci si accontentava di avere un livello di fattore almeno superiore all'1%, in modo da rendere i pazienti non più gravi ma moderati, ora, grazie alle nuove soluzioni terapeutiche a emivita prolungata, il target è cambiato: l'obiettivo è che il valore di fattore più basso (quello che i medici chiamano trough level) rilevato nel momento in cui si fa la somministrazione successiva alla prima in un regime di profilassi, sia fra il 2% e il 5%. Ogni singolo paziente, inoltre, non ha solo il suo fenotipo emorragico, ma anche una caratteristica di farmacocinetica molto individuale, che il medico deve verificare, non dando per scontato che tutti rispondano alla terapia nello stesso modo.

*"Siccome il trattamento con questi farmaci innovativi è molto personalizzato, l'aderenza è importantissima. Saltare delle somministrazioni può comportare il rischio di sanguinamenti non prevedibili - ha precisato la dr.ssa Biasoli - Mentre il paziente che è nato prima delle profilassi primarie ha il ricordo dell'evento emorragico, dell'emartro e del dolore, il paziente giovane, che ha potuto beneficiare della profilassi primaria, è raro che abbia avuto degli emartri così importanti da ricordargli il dolore e l'impotenza funzionale. Perciò il rischio è che pensi di stare bene e poter fare un'infusione in meno. Così può vanificare tutto lo studio che il medico ha fatto per trovare il trattamento più adeguato.*

*Ci accorgiamo che non c'è aderenza non tanto dai diari infusionali, ma dal fatto che non ci aspettiamo degli eventi emorragici che invece intercorrono. Finché si tratta di bambini, che sono in mano ai genitori, l'aderenza è quasi sempre adeguata, ma quando arrivano all'età dell'adolescenza, molte volte la mamma o il papà, per andare incontro al ragazzino, gli consentono di posticipare o evitare l'iniezione endovenosa, e quello è un grosso errore".*

Con l'epidemia di COVID-19 e il relativo lockdown, purtroppo, la situazione è peggiorata. Alcuni pazienti emofilici hanno pensato: 'dato che non posso uscire di casa e sto sempre sul divano, non gioco più a calcetto, non vado in bicicletta, non faccio neanche una passeggiata... allora posso anche non fare l'infusione'.

Un errore, per la dr.ssa Biasoli: *"Il danno articolare è sempre in agguato, perché l'organismo degli emofilici è privo del fattore, non è coperto: a volte, per avere un sanguinamento, è sufficiente camminare, fare dei movimenti obbligati o rimanere in una posizione fissa per lungo tempo. Questo è un messaggio che tutti i medici dei Centri Emofilia dovrebbero spiegare molto bene ai pazienti".*



Venerdì 13 novembre in diretta facebook

## LE ASSOCIAZIONI TALASSEMICHE: PASSATO, PRESENTE, FUTURO

Dibattito diretto da Tony Saccà al quale hanno partecipato, Valentino Orlandi, Giuseppe Masera, Antonino Mancino, Mazzoli Brunello, Loris Giambrone

Il 2020 sarà senz'altro ricordato come un anno bisestile targato "Covid 19", un virus che cambierà il mondo, anche se molti di noi non ne sono molto convinti, fermi come sono nella baldanza ossessiva del "profitto" e del "progresso".

Comunque l'obbligo di non potersi spostare ha aguzzato l'ingegno favorendo gli incontri virtuali, attraverso i sistemi di comunicazione come skype, facebook o altro.

In pratica ci si è incontrati da tutti gli angoli della penisola seduti comodamente a casa propria.

Per quanto riguarda il mondo della talassemia il nostro giornale ha cercato di documentare al meglio e questo che descriveremo, nel quale siamo stati direttamente coinvolti però, organizzato il 13 novembre dall'Associazione di Ferrara e dall'Associazione Fasted di Catania dal titolo: **"Le associazioni talassemiche: passato, presente e futuro"**, ha avuto un sapore particolare perché ci si è raccontati come si era e come potrà essere il nostro futuro attraverso le parole di chi ha vissuto il passato e vive ancora presente.

L'argomento è stato introdotto da Valentino Orlandi presidente dell'Associazione di Ferrara il quale ha esordito dicendo che fare volontariato può sembrare impegnativo e e soprattutto quali potrebbero essere le motivazioni per impegnarsi.

*"Ad esempio il potenziamento - ha affermato - o il miglior funzionamento del Centro dove ci si cura e quindi avere a che fare con la Direzione generale, sanitaria, medica, dell'ospedale e se necessario anche dell'assessorato regionale della sanità.*

*Perché tutto quello che si riuscirà ad ottenere aiuta a rendere possibile al clinico avere gli strumenti o il personale per poter lavorare nelle condizioni migliori. Non abbiamo tempo o voglia di impegnarci? Allora dovremo accontentarci di ciò che il sistema ci offre o mette a disposizione ma poi non lamentiamoci perché non è detto che tutto ci sia dovuto senza un minimo impegno".*

*"Diventa fondamentale - ha continuato - in ogni ambito possibile, la nostra presenza, ad esempio ai tavoli regionali della rete delle emoglobinopatie nelle consultazioni regionali del sangue.*

*Avere continui confronti con organi istituzionali, ospedalieri, organizzazioni dei donatori, società scientifiche".*

Ha continuato poi insistendo sulla necessità di divulgare... informare...

rendere partecipi sulle norme di legge, sulle disposizioni che riguardano tutti. In definitiva il suo messaggio è stato che fare volontariato è un impegno per far sì che le cose vadano per il meglio. *"Ognuno di noi ha un suo meglio - ha concluso - ma è proprio lo scopo dell'Associazione far capire e indirizzare o aiutare affinché il meglio possibile si concretizzi.*

*Un'associazione deve cercare di essere presente, tenace e soprattutto concreta, darsi degli obiettivi e centrarli, sempre per il bene dei pazienti e del loro Centro di cura".*

### UNA STORIA LUNGA CINQUANT'ANNI

E proprio in questo caso, parlando di impegno nel volontariato, vale la pena mettere in risalto soprattutto un partecipante che ha aperto l'incontro, il prof. Giuseppe Masera ed un giornalista che si rispetti deve ricordare ai suoi lettori meno informati che si è laureato a Pavia nel 1962 e si è occupato dal 1965 di emato-oncologia pediatrica presso la Clinica Pediatrica dell'Università di Milano, promuovendo la creazione e lo sviluppo del Centro di Emato-Oncologia Pediatrica che dal 1984 ha proseguito la sua attività presso la Clinica Pediatrica di Monza.

Ha fondato nel 1984, e diretto fino al 2009, la Clinica Pediatrica di Monza presso la Facoltà di Medicina dell'Università di Milano-Bicocca. Inoltre, non si può dimenticare la Fondazione De Marchi, impegnata nella lotta alle più gravi malattie dell'infanzia quali tumori, leucemie, talassemie e altre malattie del sangue.

Dai lontani anni 70 esiste un volontariato attivo che si impegna anche nella formazione di volontari che si dedicano all'intrattenimento dei piccoli pazienti in cura presso il reparto di onco-ematologia pediatrica e che mettono a disposizione tempo e fantasia con lo scopo di non far sentire i bambini prigionieri dell'ospedale ma bambini che vivono anche momenti piacevoli e sereni durante il periodo di degenza.

Era importante raccontare questa realtà perché è proprio da questo punto che Giuseppe Masera ha iniziato il suo intervento ricordando che l'Associazione genitori era partita negli anni che vanno dal 1970 al 1972 a Milano con l'obiettivo di affrontare il problema della talassemia e tutte le malattie del sangue compresa la leucemia creando un'alleanza fra genitori.

*"... Perché allora - ha affermato testualmente - per certe malattie esistevano soltanto bambini, e quindi serviva l'approccio ad un problema che non era solo per raccogliere fondi attraverso i genitori ma per coinvolgerli ad affrontare tutti i problemi che ci si ponevano. Era nata una sorta di alleanza fra medici e famiglie dei pazienti".*

(Vogliamo ricordare che poi il prof. Masera diventerà un nostro editorialista e scriverà nel 1981 uno dei primi articoli sul trapianto di midollo nei bambini malati di leucemia - N.d.R.)

E qui, inaspettatamente, in questa alleanza si inserisce un personaggio che noi tutti abbiamo conosciuto e che Masera coinvolge affermando che:

*"...uno dei primissimi personaggi di spicco che venne a Milano per condividere la nostra esperienza fu il prof. Vullo con il quale nacque una collaborazione non soltanto con la zona di Ferrara ma anche con tutto il sud dell'Italia perché già in quel periodo molti talassemici dal sud andavano a Ferrara, stanti le notevoli difficoltà ad affrontare questa patologia legata sì alla trasfusione di globuli rossi ma soprattutto alle complicanze derivate in primis dall'accumulo di ferro nel sangue.*

*Abbiamo viaggiato per l'Italia ed in Sicilia conoscemmo Leonardo Giambrone, ma soprattutto la forza empatica di Rino Vullo di comunicare con i pazienti talassemici perché lui ci insegnò che dovevamo non solo curarli ma conoscerli come persone.*

*Infatti nei primi anni 90 avevamo fatto nostra una sua frase che così lo rap-*







presentava: "Ha saputo trasfondere nei talassemici non solo i globuli rossi ma soprattutto fiducia, ottimismo e forza d'animo".

Concludendo il suo intervento Giuseppe Masera ha ricordato come quelle parole siano state di stimolo per coloro che oggi guidano le associazioni e fanno sì che i diritti del talassemico vengano rispettati.

## UN ESEMPIO DA RICORDARE E DA SEGUIRE

Anche l'intervento del dott. Antonino Mancino è iniziato nel ricordo di quando è entrato in servizio da giovane medico nel 1974, in questo caso nella città di Ravenna e la difficoltà soprattutto da parte delle pediatrie nel seguire i bambini talassemici.

Il dott. Antonino Mancino, direttore medico del nostro giornale ha curato i talassemici per oltre trent'anni ed anche in questo caso molti non sanno che il suo pensionamento ha rappresentato un altro impegno nel mondo del volontariato che svolge tutt'ora.

"I bambini con talassemia - ha ricordato - erano ricoverati per tre giorni per fare una trasfusione di sangue ed il Primario di Pediatria aveva incontrato quello del Centro Trasfusionale dove io lavoravo ed aveva preso in considerazione la possibilità di organizzare un lettino al Centro per le trasfusioni in day hospital (parlo di day hospital ma allora non esisteva) e poi mandarli a casa.

Fu così che si iniziò a trattare con trasfusioni di globuli rossi i bambini talassemici".

A questo punto che rispunta ancora una volta dal ricordo di un giovane medico senza esperienza, per il quale era difficoltoso seguirli adeguatamente al di là delle trasfusioni, il prof. Rino Vullo.

"Sapevo che esisteva la clinica pediatrica di via Savonarola a Ferrara - ricorda - dove avrei avuto la possibilità di frequentare tutti gli specialisti.

In più, il prof. Vullo organizzava incontri che avevano una durata di un'intera settimana, rivolti ai medici che volevano occuparsi di questa patologia.

L'importanza della lezione poi non era tanto nell'apprendere come si curavano i talassemici al meglio ma il lato umano. Lui insisteva sul fatto che noi avevamo di fronte pazienti sì ma persone.

Ci insegnava ad essere in mezzo a loro ed a seguirli nell'intento di migliorare la loro qualità di vita.

Lui è stato per me e per molti medici un vero maestro di vita.

Anni certamente difficili legati anche a quello che era il farmaco salva vita e cioè il Desferal, con tutte le luci e le ombre che questo farmaco comportava. Certo parlare oggi di questo quando sappiamo che dagli anni 90 il cambiamento soprattutto per l'eliminazione del ferro a livello cardiaco e quindi il talassemico la sua vita è migliorata al punto che l'aspettativa di vita è sovrapponibile a tutta la popolazione e non si parla più di prognosi infausta, è importante soprattutto per ricordare ai giovani le grandi figure che hanno contribuito a migliorare la loro qualità di vita".

# CINQUANT'ANNI DI STORIA DELLA TALASSEMIA E DI PERSONAGGI STORICI NELLE PAROLE DEGLI INTERVENUTI

## INFORMAZIONE E PARTECIPAZIONE

Brunello Mazzoli, direttore del nostro giornale, ha aperto il suo intervento in modo alquanto pittoresco.

"Quando partecipo a questi incontri - ha esordito - spesso mi definisco un "infiltrato" perché faccio parte di quelle persone coinvolte, in questo caso delle cosiddette malattie rare, da un personaggio che di questo mondo fa parte perché ha una malattia genetica, nel mio caso l'emofilia prima e la talassemia poi.

Oggi stiamo parlando di volontariato, così detto informato

Le associazioni di categoria in Italia non hanno un equivalente in tutto il mondo per l'impegno e la determinazione che hanno messo e mettono, coprendo le manchevolezze di uno Stato che spesso è assente.

Queste associazioni hanno fatto la storia ed a me, infiltrato, hanno anche insegnato a vivere in un altro modo.

Il mio coinvolgimento è stato provocato da un altro grande uomo di nome Vincenzo Russo Serdoz e dopo aver fatto nascere questo giornale nel quale oggi scrivo e dirigo fin dal primo momento, uscito come me nel 1974, mi sono reso conto che oltre alla vita che vivevo normalmente con la mia famiglia, c'era un'altra vita, quella delle persone che combattevano giorno per giorno contro la malattia e parliamo ancora degli anni '70, quando la talassemia era ancora considerata una malattia molto grave e quindi si combatteva per la vita. Allo stesso tempo questo entusiasmo e questa volontà di entrare nella socie-

tà da persone normali mi ha talmente coinvolto che sono ancora qui dopo quasi 50 anni.

Qualcuno mi definisce la memoria storica ma io continuo a dire ed a scrivere che sono cresciuto con queste persone, le quali oltre a combattere la malattia combattono anche per migliorare la vita di tutti gli altri.

Quindi da questo "pulpito" vorrei lanciare un messaggio; come il dottor Mancino ha iniziato ad occuparsi di queste patologie nel 1974 da neo laureato, anch'io nello stesso anno sono diventato neo laureato... in questo caso alla vita.

E se lo faccio ancora oggi è perché c'è un momento di crisi soprattutto nei giovani. Ecco il punto ed il motivo di questo incontro voluto da Valentino Orlandi che ci dà la possibilità di lanciare un messaggio ai giovani.

Pensate quanto possa essere importante usare un po' del vostro tempo.

Se oggi la vita, la vostra e di tanti altri come voi, è comparabile alle persone normali lo si deve certo alla ricerca ai medici, agli scienziati ma anche all'impegno costante del volontariato.

Mai abbassare la guardia per i propri diritti. Inoltre noi del giornale EX e dell'Associazione di Ravenna sicuramente saremo al vostro fianco e continueremo a dare informazioni ma voi dovete affiancare lavorare insieme ai nostri medici e questo è un messaggio che continueremo a dare".

La presenza dell'architetto Loris Giambrone coordinatore di Fasted Sicilia, feci ricordare cosa rappresenta questo cognome per tutti i talassemici, quello del padre Leonardo.

Infatti ha iniziato il suo intervento parlando della sua famiglia che dalla Sicilia si era trasferita in Piemonte per lavoro, come tanti in quegli anni, dove nasce nel 1971 e gli viene diagnosticata la talassemia.

Poi, nel 1974, quando ha appena tre anni decidono di rientrare in Sicilia. Tornano a Caltanissetta, la loro città di origine e subito il padre si rende conto di quanto sia precaria la situazione dei talassemici in quella Regione.

Il gesto di Loris è quanto mai eloquente quando parla di come venivano trattati i pazienti talassemici attraverso una bottiglia di sangue per la quale spesso dovevano attendere anche molti giorni ed essere trasfusi in regime di ricovero ospedaliero.

**segue a pagina 18**





## segue da pagina 17

*“Spesso la bottiglia – ha affermato – veniva donata da un familiare o addirittura acquistata direttamente fuori dall’ospedale o dalla porta del Centro trasfusionale dove stazionavano i cosiddetti “aguzzini del sangue.*

*Mio padre non si è mai arreso alle difficoltà e non ha mai accettato che le cose dovessero rimanere come erano e in questo senso si è buttato a capofitto, cercando di radunare alcuni di questi genitori che erano distrutti dalle vicende dei propri bambini per creare la prima Associazione dei donatori di sangue.*

*In quegli anni parlare di associazione di donatori di sangue era quasi una bestemmia. Si scontrò con un mondo difficilissimo, un mondo in cui sia il sistema sanitario di allora sia la società civile erano refrattari e la Sicilia degli anni '70 non è quella di oggi.*

*Ci si doveva scontrare con un mondo intriso di sospetti e di avversione.*

*Nel 1974 costituì l'associazione dei donatori di sangue, nel 1977 l'associazione dei genitori con bambini talassemici ed anche in seguito quelli con anemia falciforme abbastanza numerosi in Sicilia anche in quell'epoca”.*

*A questo punto Loris fa un'affermazione che farà scalpore ma che illustra molto bene il clima nel quale si viveva. “Gli amici dell'ambiente della sanità gli avevano consigliato di non insistere nel voler istituire queste realtà associative che avrebbero creato problemi di organizzazione.*

*I fatti poi hanno dimostrato come mio padre non abbia mai accettato ed ha continuato a lavorare per formare associazioni sia di famiglie di talassemici e drepanocitici che di donatori di sangue ed in pochi anni l'assistenza nella nostra Regione è nettamente migliorata. Soprattutto le famiglie non si sentivano più sole e abbandonate e finalmente non ci si nascondeva più vergognandosi della malattia.*

*Ha combattuto l'indolenza delle strutture pubbliche a volte anche in modo violento.*

*Una delle battaglie più cruente poi l'ha combattuta contro i cosiddetti aborti terapeutici ma voleva già allora cercare il modo di debellarla attraverso le cure o i trapianti di midollo, perché già in quegli anni si parlava anche di questo. Finché nel 1985, durante un convegno lanciò uno slogan: “Dall'utopia alla speranza, dalla speranza alla..... quei puntini volevano dire guarigione ma era ancora prematuro fare di questi proclami quando ancora il vero problema era difendere la sopravvivenza.*

*Sempre lo stesso anno radunò i primi genetisti e si iniziò a parlare anche di terapia genica.*

*Ad inizio degli anni 90 istituì la “Fondazione per la Guarigione dalla Talassemia” attraverso la quale i talassemici conquistarono visibilità.*

*Per concludere devo ricordare poi che la talassemia italiana, pur essendo passata attraverso la Lega, non ha più avuto una vera e propria rappresentanza nazionale fino a pochi anni fa, grazie all'amico Orlandi e ad altri è nata UNITED. Terminando vorrei lanciare un appello per il futuro ed è che sarebbe piacevole*

# L'IMPORTANZA DELL'IMPEGNO NEL COINVOLGIMENTO DEI GIOVANI E DELL'UNIONE FRA TUTTE LE REALTÀ ASSOCIATIVE

**Il messaggio non può essere ignorato da tutte le componenti che rappresentano i pazienti talassemici e drepanocitici**

*vedere in queste tavole rotonde spuntare ventenni e trentenni.*

*Sappiamo che se non continuiamo a imporre la nostra presenza perderemo quello che si è conquistato.*

*Bastano due colpi di penna da parte del legislatore per cui dormire sugli allori non si può.*

*È un suicidio pensare che domani potremmo vivere anche se le associazioni non ci sono più.*

*Ho la sensazione che i giovani non vogliono stare a contatto con il dolore. Avendo fatto insegnamento vedo che i ragazzi cercano di fuggire in tutti i modi da quello che presenta dolore e questo vale per mettersi un ago in braccio per donare sangue, vale per i talassemici giovani lo stare nell'associazione dove nel bene o nel male devi stare a contatto con la malattia, con le problematiche che essa comporta.*

*Questa giovane generazione vuole una vita quanto più spensierata possibile, che secondo me è un totale diritto però dobbiamo fare un lavoro di grande di-*

*dattica all'associazionismo.*

*Abbiamo la capacità di parlare ai giovani e dobbiamo trovare il linguaggio giusto e il modo giusto per farlo”.*

## APPELLO ALL'UNITÀ FRA TUTTE LE COMPONENTI ASSOCIATIVE

Tony Saccà, presidente di FASTED Sicilia, che ha condotto il dibattito, riprendendo l'appello del direttore del nostro giornale rivolto ai giovani ha affermato che: *“In questo periodo storico molto complicato che stiamo vivendo abbiamo ancora più necessità della vicinanza dei nostri fratelli per aiutarci tutti insieme. Solo uniti possiamo risolvere alcune battaglie come stiamo cercando di risolvere, ma siamo ancora pochi. C'è necessità dell'aiuto di tanti altri perché soltanto così riusciremo ad aprire certe porte chiuse. A scardinare quella burocrazia che ci sta limitando. Se restiamo insieme uniti allora possiamo riuscire a fare tanto”.*

## GIULIA VULLO SULLA SERATA DEL 13 NOVEMBRE

Una sorpresa piacevole ed importante, alla fine dell'incontro è stata rappresentata da questa lettera della quale pubblichiamo i passi salienti ed è stata scritta dalla signora Giulia Vullo.

*“Ho avuto il privilegio di poter assistere all'incontro su “Le Associazioni di Talassemia: passato, presente, futuro” che si è tenuto lo scorso venerdì 13 novembre. Mi rifaccio al concetto di “alleanza strategica”, citato dal prof. Masera, che ha orientato l'impegno di mio marito (Rino Vullo) quando – nel 1972 – è arrivato a Ferrara per assumere la direzione della Pediatria Ospedaliera e del Centro della Talassemia. Compresi immediatamente che, per cambiare le prospettive di vita (allora particolarmente severe e gravate da lunghi ricoveri) dei piccoli pazienti, era necessario promuovere una sinergia d'azione fra strutture sanitarie e famiglie nel ricercare concordemente le migliori condizioni per assicurare ai bambini malati una qualità di vita il più possibile “normale”.*

*Incontri regolari vennero promossi con i genitori per tenerli informati delle innovazioni che si intendevano affrontare e per favorire uno scambio di informazioni e di esigenze reciproche al fine di garantire ai pazienti le condizioni migliori per condurre una vita simile ai loro coetanei “sani”.*

*E' chiaro che, per ottenere questo risultato, era necessaria una solidarietà positiva fra famiglie e sanitari.*

*Il prof. Giuseppe Masera - che aveva già messo in atto, a Milano, questa “alleanza strategica” - fu, da allora, assieme a mio marito, un promotore della fondazione di “associazioni” di famiglie di pazienti con talassemia. Ciò, soprattutto al sud e in Sicilia dove numerosi erano i pazienti portatori di questa impegnativa malattia genetica e più precarie erano le condizioni assistenziali.*

*Ora i frutti dell'impegno comune di un tempo (loro e di altri) sono evidenti e i pazienti con talassemia conducono - pur con le difficoltà che la loro vita (e ogni vita) comporta - un'esistenza “normale” (o, meglio, un'esistenza con una “marcia in più” rispetto a quella dei loro coetanei “sani”).*

*Il testimone (un tempo nelle mani dei loro genitori) è passato direttamente nelle mani loro ed essi sono diventati i più diretti e competenti sostenitori della necessaria evoluzione e applicazione di “buone pratiche” a proprio favore, compatibilmente con le mutate situazioni contingenti.*



MANY UN ANGELO VENUTO DALLO STATO DEL KERALA

# I TALASSEMICI E UNA INFERMIERA SPECIALE

La sua storia ed alcune poesie scritte per lei dai ragazzi

Questo articolo nel quale si racconta la piccola storia di una grande infermiera non poteva esimersi dal ricordare ai nostri lettori che l'estensore, che leggiamo in questo numero del giornale alle pagine 16/18, è Giuseppe Masera, laureato a Pavia nel 1962.

Si è occupato dal 1965 di Emato-Oncologia Pediatrica presso la Clinica Pediatrica dell'Università di Milano, promuovendo la creazione e lo sviluppo del Centro di Emato-Oncologia Pediatrica che dal 1984 ha proseguito la sua attività presso la Clinica Pediatria di Monza.

Ha fondato nel 1984, e diretto fino al 2009, la Clinica Pediatrica di Monza presso la Facoltà di Medicina dell'Università di Milano-Bicocca.

In una intervista di qualche tempo fa il giornalista chiese a lui se si poteva guarire e tornare a vivere più forti di prima.

La risposta fu affermativa perché tra le scoperte che Masera aveva applicato dagli anni novanta c'era anche quella di un sostantivo un po' difficile ma oggi molto di moda: "resilienza".

*"È un concetto che deriva dalla fisica - aveva affermato - Quando un corpo investe un altro corpo, quest'ultimo controreagisce liberando energia. Gli psicologi hanno trasferito questo concetto alla reazione dell'uomo a un evento traumatico.*

*Molti nostri ragazzi ci hanno insegnato che la crescita positiva dopo il trauma della malattia esiste veramente: per loro è stato come rinascere una seconda volta, dando minore importanza alle cose banali e apprezzando maggiormente i valori della vita".*

E tra le sue tante "scoperte" c'è la persona di cui lui parla qui sotto: Rosanna Mathew, per gli amici ed i bambini: Many.

È per me un privilegio presentare una selezione di poesie che i giovani talassemici, i "suoi talassemici", hanno donato a Many, la loro infermiera.

Many (Rosanna Mathew) nasce in India, nello Stato del Kerala, nel 1947.

Completati gli studi liceali, e dopo un corso universitario, decide di diventare infermiera; nel 1970 si trasferisce in Inghilterra, consegue il diploma di infermiera professionale e quindi decide di specializzarsi in pediatria e neonatologia.

Nel 1977 si trasferisce a Milano e viene assunta presso gli Istituti Clinici di Perfezionamento, nel reparto di Patologia Neonatale.

Dopo due anni inizia l'attività presso la Clinica Pediatrica dell'Università di Milano nel reparto di Ematologia diretto dal sottoscritto. In tale reparto venivano curati in particolare bambini con talassemia, emofilia e leucemia.

Fin dall'inizio nasce un legame speciale tra Many e i talassemici.

*"Con i miei bambini prima, e poi i miei ragazzi che ora sono i miei amici, donne e uomini, chi mamma e papà.*

*Ho condiviso con loro confidenze, le gioie ed i dolori della loro vita.*

*Ho avuto un buon rapporto anche con i loro genitori, con alcuni dei quali ho tuttora un rapporto di amicizia.*

*Ho cercato di svolgere la mia professione con dedizione e professionalità e, perché no ... con amore.*

*Quel rapporto che ho avuto con loro continua a legarmi per tutta la vita".*

Nel 1990 due animatrici di gioco maestre della scuola elementare, animatrici di gioco, Maria Cardinale (Pupa) e Clotilde Pacinotti, creative e appassionate di poesia, durante la trasfusione si siedono

accanto ai bambini e li invitano a scrivere insieme una poesia dedicata a Many.

Questa raccolta è il regalo di Natale con il quale i "suoi" ragazzi esprimono la loro riconoscenza e il loro affetto.

Grazie Many per essere ancora oggi impegnata a seguire i "tuoi" talassemici in particolari momenti della loro vita.

Giuseppe Masera

**Delle poesie scritte dai ragazzi ne pubblichiamo tre per ragioni di spazio in questo numero ma ci ripromettiamo di continuare nei prossimi numeri del giornale.**

## L'Autunno

Amo nel bosco camminar  
sentir le foglie crocchiar  
sotto i passi leggeri negli stretti sentieri

Amo l'odor dell'erba  
che la terra conserva  
dopo che la pioggia, caduta,  
s'è tra le zolle perduta.

Stefano – anni 12

## Il Natale

Lenta cade la neve,  
cade sui tetti lieve,  
sui neri alberi stecchiti senza foglie.

Se tendi la mano cogli  
Bacche tonde e vermiglie.

È Natale, è Natale!  
Dai cuor la voce sale:  
è il tempo dell'amore  
aprite tutti il cuore!

Simona P. – anni 12

## Many

Il tuo passo è leggero,  
il tuo sguardo è assai fiero,  
le tue mani sottili  
son abili e gentili.

Il tuo viso è imperioso  
e talvolta gioioso.

Quando trovi il sentiero  
sei felice e, sincero,  
ti nasce sul viso  
un mirabile sorriso.

Angela – anni 18



## EDITING DEL GENOMA PER CORREGGERE LA TALASSEMIA

Dal periodico

**quotidiano**sanità.it  
Quotidiano online di informazione sanitaria

# TRATTATO AL BAMBINO GESU' IL PRIMO PAZIENTE ITALIANO

**L'editing del genoma con il sistema CRISPR-Cas9 è una tecnologia innovativa che funziona come un "correttore" del DNA**

Il paziente è un giovane adulto affetto da anemia mediterranea. L'editing del genoma con il sistema CRISPR-Cas9 è una tecnologia innovativa che funziona come un "correttore" del DNA ad altissima precisione.

I promettenti risultati della sperimentazione internazionale con il sistema CRISPR-CAS9 presentati al Congresso annuale della Società Americana di Ematologia.

L'editing del genoma per correggere la talassemia.

È stato trattato con questa tecnica innovativa all'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù il primo paziente italiano, un giovane adulto affetto da anemia mediterranea.

Il caso clinico si inserisce all'interno di una sperimentazione internazionale promossa da Vertex Pharmaceuticals e Crispr Therapeutics i cui primi promettenti risultati sono stati presentati al 62° Congresso della Società Americana di Ematologia (ASH), l'appuntamento annuale che raccoglie i contributi scientifici più qualificati al mondo nell'ambito delle malattie del sangue.

### L'editing del genoma

L'editing del genoma con il sistema CRISPR-Cas9 è una tecnologia innovativa che funziona come un "correttore" del DNA ad altissima precisione.

Il metodo si basa sull'impiego della proteina Cas9, una sorta di forbice molecolare che viene programmata per tagliare o modificare specifiche sequenze del DNA di una cellula, potendo così portare alla correzione di varie malattie.

CRISPR-Cas9 è un complesso di molecole biologiche formato da frammenti di RNA (acido ribonucleico) e da proteine: il segmento di RNA è la bussola che indica il bersaglio da colpire, la proteina Cas9 esegue il taglio o la modifica.

Le cellule prelevate dalla persona malata vengono "corrette" in laboratorio con questo approccio, poi vengono infuse nell'organismo

dove si riproducono al posto di quelle difettose.

### La sperimentazione internazionale

Nel 2019, Vertex Pharmaceuticals e Crispr Therapeutics hanno avviato due trial clinici internazionali per la cura di giovani adulti inizialmente e poi di adolescenti affetti da talassemia e da anemia falciforme attraverso la tecnica di editing del genoma con CRISPR-Cas9.

La sperimentazione, in corso di svolgimento, coinvolge l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù e altri 13 Centri statunitensi, canadesi ed europei per la selezione dei pazienti, la raccolta delle cellule da "editare" e la somministrazione del trattamento. Nei trial verranno arruolati 45 giovani con talassemia e 45 con anemia falciforme. Il Bambino Gesù è l'unico ospedale italiano coinvolto nella sperimentazione, il cui comitato scientifico internazionale è coordinato dal prof. Franco Locatelli, direttore del Dipartimento di Oncoematologia e Terapia Cellulare e Genica.

### Come funziona l'editing di talassemia e anemia falciforme

Talassemia e anemia falciforme sono due malattie del sangue causate dalle mutazioni dei geni coinvolti nella sintesi dell'emoglobina, la proteina dei globuli rossi che trasporta ossigeno nell'organismo. Normalmente, nei soggetti adulti, ogni molecola di emoglobina è formata da 4 catene proteiche: 2 catene alfa e 2 catene beta.

Nelle forme più gravi di talassemia il problema è l'assenza o la marcatamente ridotta produzione di catene beta e l'eccesso di catene alfa, uno squilibrio che rende necessarie regolari e periodiche trasfusioni di sangue in chi ne è affetto.

Nell'anemia falciforme, invece, è l'alterazione della struttura delle

catene beta che porta alla formazione di globuli rossi anomali, a falce, che ostacolano flusso sanguigno e ossigenazione nei capillari provocando crisi molto dolorose e infarti nei tessuti.

Esiste, tuttavia, un tipo diverso di emoglobina formato non da catene alfa-beta, ma da catene alfa-gamma. È quella presente nel feto (emoglobina fetale) e che viene progressivamente sostituita a partire dalla nascita, quando si attiva un meccanismo, guidato dal gene BCL11A, che blocca la sintesi delle catene gamma con produzione di catene beta.

Alcune persone continuano a produrre emoglobina fetale (alfa-gamma) per tutta la vita, la condizione si chiama persistenza ereditaria di emoglobina fetale.

Tra loro anche persone con talassemia e anemia falciforme: in questi casi - è documentato - le manifestazioni della malattia sono molto attenuate.

Il trattamento sperimentato nei due trial internazionali si basa proprio sul ripristino della sintesi dell'emoglobina fetale tramite l'editing del genoma.

Le cellule staminali emopoietiche prelevate dai pazienti vengono modificate in appositi laboratori con il complesso CRISPR-Cas9 programmato per "spegnere" il gene BCL11A e far ripartire la produzione di emoglobina fetale.

Dopo questa manipolazione genetica, le cellule così modificate vengono infuse nei pazienti che nel frattempo sono stati sottoposti a una terapia farmacologica per "distruggere" il midollo, in modo da fare spazio alle nuove cellule staminali ingegnerizzate che si moltiplicheranno correggendo la malattia.

### I risultati della sperimentazione

I risultati del trattamento sperimentale sul gruppo di pazienti



già sottoposti alla procedura sono molto promettenti: i talassemici arrivano a produrre elevatissime quantità di emoglobina fetale che consente loro di ottenere l'indipendenza da trasfusioni di sangue in ragione dell'effetto terapeutico derivante dalle cellule "edite".

Nei pazienti con anemia falciforme la produzione di emoglobina fetale supera il 40%, un valore che consente loro di non avere più crisi vaso occlusive.

I dati della sperimentazione sono stati presentati al 62° Congresso della Società Americana di Ematologia (ASH) in corso in questi giorni (dal 5 all'8 dicembre) per via telematica.

L'appuntamento annuale riunisce i maggiori esperti mondiali nel campo dell'ematologia ed è l'occasione per presentare i contributi scientifici più qualificati e innovativi prodotti in questo ambito.

Inoltre, i dati relativi ai primi 2 pazienti inseriti nello studio, uno affetto da talassemia trasfusione-dipendente, l'altro da anemia a cellule falciformi con un follow-up di 18 e 15 mesi, rispettivamente, sono stati pubblicati sull'autorevole *New England Journal of Medicine*.

### Le prospettive

Spiega Franco Locatelli, direttore del Dipartimento di Oncoematologia del Bambino Gesù e coautore del manoscritto pubblicato sul *New England Journal of Medicine*: *"L'editing del genoma rappresenta potenzialmente una rilevante opzione curativa per i pazienti con emoglobinopatie, ovvero talassemia e anemia falciforme, accompagnata da un basso un profilo di rischio; certamente i risultati andranno verificati e confermati nel tempo. Normalmente questi pazienti trovano nel trapianto di midollo la loro principale soluzione terapeutica."*

*Il vantaggio dell'editing del genoma, che si affianca per profilo di sicurezza ed efficacia alla terapia genica, anch'essa assai innovativa e sviluppata con successo nel nostro Ospedale, è quello di poter essere applicato anche a chi non ha un donatore di midollo osseo o non può ricevere un trapianto a causa dell'età. Confidiamo che in futuro l'editing potrà essere utilizzato anche per il trattamento di altre malattie genetiche e per migliorare ulteriormente l'efficacia delle cellule CAR-T."*

### il ricordo di un amico



## Ciao Gigino...

È venuto a mancare all'affetto dei suoi cari e degli amici, Luigi Scarano (per tutti Gigino) membro dell'associazione Emofilici Campani, persona dinamica e disponibile con tutti, poeta e cantautore ufficiale dell'associazione.

Putroppo un maledetto male epatico lo ha disarcionato da questa vita terrena.

Voglio ricordarlo brevemente con queste poche righe avendo la necessità di trasmettere a tutti che persona era.

Ci conoscemmo più di 50 anni fa, ma non in un bar, dove comunemente è il luogo preposto per incontrarsi, bensì in ospedale, al "vecchio Pellegrini", "Pignasecca di Napoli" allora unico centro dove curavano gli emofilici della Campania.

Correvano gli anni 70, da lì nacque la nostra inossidabile amicizia.

Gigino raccontava spesso che le sue vacanze le trascorreva nelle tende da campeggio con suoi cari amici, amava l'avventura, sosteneva che la nostra malattia non gli doveva precludere assolutamente nulla e ricordiamoci che negli anni 70 l'emofilia non aveva molto spazio di cura.

Era un cultore della musica e della poesia, dedicando le sue composizioni alla sua famiglia a cui dimostrava un bene infinito.

In questa foto pubblicata, appare lui con la sua amata figlia, dove dedica questa poesia al compimento del suo 18° compleanno.

Di sicuro la sua presenza mancherà, ma ancor di più la sua vena poetica mista a quel sorriso spensierato.

Andrea Montuori

Quann tu nascist,  
 "cu chella faccia tonn"  
 Spiccar'n duje uocchi, "  
 e cchiu' bell ro' munn!"  
 Criscenn st'uocch tuoi,  
 cagnav'n culor  
 'A vvot er'n ciel,' a vvot er'n mar!  
 Quann tu si trist, so' trist pur lor,  
 ma song semp chiu' lucent 'e l'or!  
 Bionda bionda piccerell  
 Me 'pariv proprio na' bambulell!  
 Pazziann cu' te, 'o tiemp vulav!  
 M' so' truvat viecch, e no' ssapev!  
 Vuless esser nu' pittor  
 P' t pitta' che culur 'e l'ammor.  
 Ma n'è ncessario!  
 Già si armat 'e tant 'a bellezz!  
 e dint' 'o cor tien tanta dolcezz!  
 Sii fier 'e te!...  
 Riest semp 'a stess!





dal sito di:



A partire dal 2021 la prima tappa a Cagliari in Sardegna

## LANCIATA LA CAMPAGNA “BLOOD ARTISTS” PER GIOVANI COAGULOPATICI ATTRAVERSO LA STREET ART

Una iniziativa della casa farmaceutica Novartis

Tre storie, tre protagonisti e tre artisti per sensibilizzare sulla talassemia e l'anemia falciforme, due patologie che colpiscono migliaia di persone, e sull'importanza delle donazioni di sangue, che ancora oggi rappresentano una terapia salvavita per questi pazienti nonostante i progressi della ricerca.

Con questo obiettivo Novartis promuove la campagna “Blood Artists” che si rivolge a tutta la popolazione, e in particolare ai giovani, per far comprendere attraverso la street art cosa vuol dire convivere con queste patologie e quanto è grande il contributo che ognuno di noi può dare attraverso un semplice gesto, quello della donazione di sangue.

Il progetto è in collaborazione con Avis (Associazione Volontari Italiani del Sangue), Fondazione Italiana “Leonardo Giambone” per la Guarigione dalla Talassemia e Drepanocitosi, UNIAMO FIMR (Federazione Italiana Malattie Rare), UNITED Onlus (Federazione Nazionale delle Talassemie e della Drepanocitosi) e con il patrocinio di SITE (Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie) e Fondazione For Anemia.

L'iniziativa mette al centro i bisogni dei pazienti con anemia falciforme e talassemia che diventano protagonisti di opere di street art per raccontare la propria storia.

*“In questi anni sono stati fatti enormi passi avanti per allungare la vita di questi pazienti e migliorarne la qualità, ma non è abbastanza”.*

Gian Luca Forni, presidente della Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie (SITE) ha dichiarato: *“C'è ancora poca consapevolezza sul carico assistenziale che gravita su di essi. La forza di una campagna come Blood Artists è quella di sperimentare un linguaggio innovativo per parlare a tutti di queste malattie congenite del sangue ancora poco conosciute nonostante la larga diffusione che hanno in paesi come l'Italia”.*

Il progetto coinvolgerà sia le piazze virtuali, attraverso il canale Instagram dedicato @blood.artists, sia spazi fisici. La campagna farà tappa nel 2021 in altre città italiane.

Prima tappa in Sardegna, a Cagliari, una delle regioni italiane con il più alto tasso di incidenza di persone con talassemia.

Qui tre famosi street artists, Coquelicot

Mafille, Stereal e Napal, hanno interpretato la storia e la vita quotidiana di Giorgio Pio, Annarita e Costanza, persone che da anni convivono con la talassemia e l'anemia falciforme e protagonisti simbolici della storia di migliaia.

Le opere sono state realizzate sul muro della scuola primaria Via Flavio Gioia accanto alla sede Avis.

Una delle protagoniste simboliche di Blood Artists è Costanza, che convive con l'anemia falciforme ed è dipendente dalle trasfusioni.

Si è laureata, ha trovato un impiego che le dà soddisfazione, si è sposata e ha adottato due figlie.

Lavorando e facendo volontariato per l'associazione CFT (Comitato Famiglie Talassemici) ha chiesto l'aiuto di numerose associazioni e cercato di sensibilizzare nuovi donatori ad andare in ospedale per permettere ai pazienti di ricevere le migliori cure possibili anche durante la pandemia.

Fin da adolescente ha dovuto confrontarsi e imparare a convivere con le crisi dolorose, uno degli effetti più devastanti dell'anemia falciforme. Ma questo non solo non lo ha vissuto come un limite, ma come una determinazione ancora più forte per realizzare i suoi desideri.

In Italia, secondo le stime del 2019, il numero dei donatori rimane stabile rispetto agli scorsi anni.

Sono aumentati i pazienti trasfusi, che sono stati circa 638mila contro i 630mila del 2018.

Le trasfusioni sono state circa 3 milioni, ovvero una ogni 10 secondi.

Spiega Gianpiero Briola, Presidente Nazionale di AVIS, Associazione Volontari Italiani del Sangue:

*“Da sempre la promozione della donazione di sangue trova nell'arte una delle*

*sue massime espressioni: è attraverso la potenza evocativa delle immagini che l'animo umano si emoziona e coglie il significato più profondo di valori nobili come la solidarietà e la generosità.*

*Nel nostro Paese ogni giorno oltre 1.800 pazienti necessitano di trasfusioni di sangue e grazie all'apporto costante di oltre 1,6 milioni di donatori l'Italia si conferma un Paese autosufficiente nella raccolta di globuli rossi.*

*Un discorso diverso va fatto per le donazioni di plasma che, seppure in crescita, non sono ancora riuscite a sopperire le necessità interne.*

*Per questo è importante incentivare la donazione soprattutto tra i giovani, affinché possano farsi portavoce di quel messaggio di cittadinanza attiva che AVIS, da oltre novant'anni, diffonde in tutto il mondo”.*

Le associazioni che collaborano al progetto “Blood Artists” inviano un messaggio corale: *“il progetto Blood Artists, con il linguaggio della street art accende un faro “non convenzionale” sui bisogni di chi soffre di talassemia e anemia falciforme, patologie rare che richiedono ancora molti studi scientifici e clinici per una cura risolutiva.*

*Vogliamo aumentare l'attenzione, a partire da quella dei giovani, affinché i bisogni dei pazienti possano trovare soddisfazione anche attraverso la solidarietà dei ragazzi subito dopo la maggior età, mediante un atto di donazione”.*

L'innovazione terapeutica ha allungato la vita e migliorato la qualità per questi pazienti grazie a terapie più efficaci, grazie all'impegno dei medici e dei ricercatori.

Luigi Boano, General Manager di Novartis Oncology Italia ha commentato: *“Novartis è impegnata da oltre 50 anni nella ricerca di soluzioni terapeutiche sempre più innovative, affinché i pazienti con talassemia e anemia falciforme possano vivere più a lungo e con una migliore qualità di vita.*

*La ricerca ha compiuto passi avanti molto importanti per queste patologie genetiche ereditarie, ma deve crescere la conoscenza e la consapevolezza verso i bisogni di questi pazienti. È con questo obiettivo che lanciamo questa campagna per diffondere una più capillare informazione su queste malattie, coinvolgendo tutta la popolazione a partire dai giovani”.*





Una interrogazione parlamentare della senatrice Binetti

## ***“Il Governo consideri l’assistenza domiciliare strumento necessario a favorire le persone affette da patologia rara”***

**In una interrogazione la Presidente Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare senatrice Paola Binetti ha chiesto al Ministero della Salute quali siano le azioni che intende attuare per incentivare l’impiego di tale strumento, insieme al ricorso alla telemedicina e la teleassistenza.**

L’assistenza domiciliare e la telemedicina devono essere considerate strumenti necessari a garantire un adeguato monitoraggio dei pazienti con malattia rara, non solo durante la pandemia, ma anche in un contesto post emergenza sanitaria.

Ad oggi però questi strumenti non trovano la diffusione che dovrebbero e soprattutto vengono applicati in modo del tutto difforme sul territorio.

Per questo la Sen. Paola Binetti, Presidente Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare - XII Commissione “Igiene e Sanità” del Senato della Repubblica, ha depositato un’interrogazione parlamentare rivolta al Ministero della Salute, chiedendo di considerare l’assistenza domiciliare, ma anche la telemedicina e la teleassistenza, strumenti utili ad agevolare e supportare le persone affette da malattia rara evitando così spostamenti lunghi e difficoltosi verso ospedali o ambulatori.

Misure da tenere presente non solo adesso, nel pieno di una crisi epidemica e quindi in una situazione altamente rischiosa per circa 2 milioni di malati rari in Italia, ma anche successivamente, in una condizione di “normalità”.

La pandemia da Covid-19, in effetti, ha messo in evidenza la necessità di rafforzare l’assistenza socio-sanitaria e domiciliare dedicata ai malati rari i quali, per ragioni diverse, non hanno avuto accesso a molte strutture ospedaliere né a percorsi di Assistenza Domiciliare Integrata (ADI), con la conseguenza di una mancata somministrazione di terapie o di prestazioni sanitarie spesso essenziali per loro, generando così non pochi rischi di danni concreti sia in termini di aderenza terapeutica, sia di condizione di salute.

Eppure le cure domiciliari – come evidenziato dalla Relazione Programmatica dell’Intergruppo Parlamentare per le malattie rare, “Malattie rare come priorità di sanità pubblica: le cinque necessità inderogabili dei pazienti”, ma anche dal Position Paper dell’Alleanza Malattie Rare su “Cure Territoriali e Malattie Rare” – risultano essenziali non solo per i pazienti e le loro famiglie, ma anche per i Centri di riferimento che possono così avere sul territorio un punto certo con il quale poter interloquire e lavorare in modo integrato e sinergico.

*“La situazione è stata solo parzialmente risolta con la Determinazione di AIFA del 30 marzo 2020, che incentiva la somministrazione domiciliare delle terapie per un numero molto ampio*

*di patologie – ha spiegato la Senatrice Binetti – Infatti, grazie anche al supporto dei medici e con un’azione informativa da parte delle Associazioni di pazienti, molti hanno avuto la possibilità di avviare l’iter necessario per ottenere la terapia a casa. Ma la somministrazione delle terapie presso il domicilio dei pazienti non è uniforme su tutto il territorio nazionale: varia non solo da Regione a Regione ma anche nell’ambito della medesima.*

*Il Governo, dunque, ci indichi quali sono gli interventi che intende realizzare per una corretta, uniforme ed estesa presa in carico del paziente nell’intero Paese”.* Non è di certo una novità che alcune Regioni non abbiano autorizzato la somministrazione di terapie domiciliari né tramite l’attivazione di percorsi di ADI, né tantomeno usufruendo dei servizi privati messi a disposizione dalle aziende produttrici dei farmaci ERT.

Le persone con malattia rara, dunque, in un contesto già di per sé di grande incertezza, vivono la quotidianità con maggiore disagio come è emerso anche dalle testimonianze raccolte da Osservatorio Malattie Rare: una difficoltà che ha ripercussioni sulla loro qualità di vita con la mancata somministrazione delle terapie e delle prestazioni sanitarie considerate salvavita e in grado di rallentare il decorso degli effetti della patologia.

Ci sono, però, anche degli esempi positivi come quello della Regione Campania, che si sta organizzando al fine di monitorare ed individuare i bisogni dei pazienti con malattia rara con l’obiettivo di darvi risposta attraverso l’utilizzo dello strumento della telemedicina e dell’assistenza presso il domicilio dei malati.





# EX



Cari lettori,  
buon 2021 da parte nostra  
e di Media For Health,  
agenzia di comunicazione e marketing  
con la quale collaboriamo. Continuate  
a seguire la nostra pagina facebook  
che si arricchirà continuamente  
di nuovissimi contenuti  
anche il prossimo anno.

Vi invitiamo a mettere mi piace,  
commentare e condividere i nostri  
post con i vostri amici!

In collaborazione con

**M**  
MediaForHealth

