

# EX

RIVISTA DELL'ASSOCIAZIONE EMOFILICI E TALASSEMICI DI RAVENNA

ANNO XLVII N. 10/11 - NOVEMBRE/DICEMBRE 2021

In caso di mancato recapito, rinviare all'Uff. 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/C LEGGE 662/96 - FILIALE DI RAVENNA



# UNITED

Thalassemia • Drenanocitosi • Anemie Rare

presenta



## DONAVITA

a project by UNITED

**Al via la campagna di sensibilizzazione  
per la raccolta di sangue e di fondi a favore delle talassemie**

**APPROVATO DAL SENATO  
IL TESTO UNICO DELLE MALATTIE RARE**

**Alle pag. 6/9 l'appello di United e di Fedemo**





di fermarci.

Abbiamo affrontato un periodo particolare un po' tutti quanti in Italia però vogliamo partire da subito in maniera tale che già nel 2021 ci sia una progettualità, un'organizzazione, una programmazione migliore per i nostri ragazzi che possano avere le loro terapie trasfusionali senza intralci o ritardi, senza dimenticare la parte clinica.

Ringrazio, parlando della parte clinica, il dott. Gianluca Forni, ex presidente SITE, la Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie, che ci sostiene quotidianamente per quelle che sono le soggettività che presenta ciascuno di noi nella propria patologia.

Ringrazio il presidente della FIDAS l'avvocato Giovanni Musso, il presidente dell'AVIS Giampietro Briola ed il signor Vincenzo Manzo presidente della FRATES con il quale abbiamo vari progetti. Ringrazio la Federazione Internazionale della Talassemia che ci è vicina.

Confermo che l'unione non deve essere più né regionale né nazionale ma dobbiamo camminare tutti quanti in sinergia sullo stesso percorso per il benessere dei pazienti.

A rappresentare il FIT ci sarà Loris Brunetta.

Non posso non ringraziare il nostro testimone il signor Andrea Caschetto, con il quale abbiamo avuto modo di parlare in questi giorni e mi ha colpito molto la sua sensibilità, il suo modo di agire, di parlare e trasmetterlo in modo ben preciso con il cuore.

Ringrazio i nostri supereroi, i nostri sportivi che scaleranno in Monte Bianco all'insegna non solo della loro sfida personale ma della sfida di United di arrivare in cima.

E qual è la cima di United?

Il benessere clinico con tutte le terapie trasfusionali perché non viviamo solo di sangue.

Il sangue è importante ma viviamo altrettanto di un sostegno clinico. Di conseguenza loro accanto a noi e noi a loro, cercheremo insieme di vincere questa sfida".

**Andrea Caschetto (a sinistra), testimonial della campagna, insieme a Giorgio Vindigni, paziente drepanocitico**



Ha spiegato come la campagna coinvolge organi istituzionali, associazioni di donatori e di pazienti e organizzazioni di volontariato, per lanciare un messaggio semplice ai cittadini sparsi in tutto il territorio nazionale, affinché comprendano come un gesto semplice come la donazione di un flacone del proprio sangue possa permettere di vivere una vita più tranquilla a tutti i talassemici del nostro Paese.

### FACCIAMO IN MODO CHE DIVENTI UN GESTO ABITUALE

"Donare - ha continuato - non costa nulla, ma può salvare la vita a molte persone.

Ed è vero, sia se si diventa donatori di sangue, sia se con una firma sulla dichiarazione dei redditi si dona il 5 per mille alla ricerca scientifica, impegnata nei laboratori per la messa a punto di nuove e più efficaci cure, sia diffondendo i contenuti

sui social per promuovere la donazione.

L'importante è che il dono, diventi un gesto di solidarietà, abituale e diffuso.

Per questo, la campagna ha scelto di raccontare la malattia con il linguaggio semplice della normalità, della voglia di vivere, scevro di sensazionalismi e di elementi compassionevoli che facciano leva sul dolore e sulla sofferenza per commuovere il pubblico.

Non a caso i promotori hanno puntato sul sorriso di Andrea Caschetto, che sarà il testimonial della campagna, per veicolare questo messaggio".

### Le diverse azioni del "Donavita eProject"

"Per cominciare - ha proseguito testualmente Vindigni - uno spot televisivo rivolto ai giovani, trasmesso sulle principali reti nazionali e sui social media.

A seguire, il "Donavita Challenge": una maratona della donazione sui social network, lanciata dal testimonial della campagna che coinvolgerà altri vip e personaggi pubblici del cinema, della moda, della televisione e dello spettacolo.

Con il "Donavita Real life docu-fiction" le telecamere entreranno nei Centri trasfusionali per raccontare, attraverso la voce dei protagonisti - giovani pazienti, medici, ricercatori - la loro vita reale, le esperienze quotidiane, i sogni, le paure, i progetti e le ambizioni, ma anche gli effetti della malattia, le cure e le





**segue da pagina 3**

speranze legate ai progressi della medicina.

Per la giornata mondiale della Talassemia (8 maggio 2022) il "Donavita Scuola Tour", in collaborazione con il Ministero dell'Istruzione, proietterà nelle aule scolastiche di tutta Italia un documentario per informare e sensibilizzare i più giovani su queste tematiche.

Infine, il "Donavita Sport" prevede la scalata del Monte Bianco da parte di due alpinisti, Dario Sparacino e Saro Iaconinoto: un incitamento a superare i propri limiti, perché nulla è impossibile.

La campagna ambisce a coinvolgere anche il mondo delle imprese, e in particolare le case farmaceutiche e le aziende multinazionali, perché sostengano la ricerca di base attraverso sponsorizzazioni e libere donazioni.

Donare non solo migliora la qualità della vita degli altri.

Ma ci rende più umani e ci fa sentire fratelli".

## **UNO SPOT TELEVISIVO RIVOLTO SOPRATTUTTO AI GIOVANI**

Il progetto si basa su uno spot televisivo rivolto ai giovani che sarà trasmesso su reti tv e social network.

Poi Andrea Caschetto, il testimonial, farà partire il "Donavita Challenge", una vera e propria maratona che, sempre in ambito social, dovrà coinvolgere altri personaggi pubblici, del cinema o dello spettacolo.

Con "Donavita Real life docu-fiction", invece, le telecamere entreranno nei centri trasfusionali per raccontare le esperienze, i progetti e le sensazioni di coloro che, ogni giorno, ne sono i protagonisti: dai giovani pazienti ai medici e ai ricercatori.

Ma non solo.

"L'8 maggio si celebra la Giornata mondiale della talassemia - ha concluso il presidente di UNITED - e per quella occasione con il "Donavita Scuola Tour", grazie alla collaborazione con il ministero dell'Istruzione, verrà proiettato un documentario che serva per informare le nuove generazioni sull'importanza di questi argomenti.

Infine "Donavita Sport", attraverso l'impresa degli alpinisti Dario Sparacino e Saro Iaconinoto che scaleranno il Monte Bianco, servirà a rilanciare la sfida per superare i propri limiti, perché niente è impossibile".

## **LETTERA APERTA A TUTTE LE ASSOCIAZIONI CHE RAPPRESENTANO I TALASSEMICI E DREPANOCITICI ITALIANI**

*"Far parte di un'organizzazione complessa ed averne cura significa anzitutto imparare.*

*Per qualcuno può significare imparare ad essere più paziente per rispettare i tempi degli altri, proprio come per altri può significare imparare ad essere più veloci per stare al passo.*

*Per altri può significare mettersi in gioco di più come allo stesso modo per alcuni può significare limitare il proprio ego e la propria indole per lasciare spazio ad altri.*

*Per alcuni essere più produttivi, per altri più riflessivi. Per alcuni prepararsi meglio e per altri impegnarsi di più.*

*Ciò che accomuna però in modo fondamentale i membri di un'organizzazione complessa è la condivisione degli obiettivi.*

*L'obiettivo di una Federazione di Associazioni di patologia è quello di rappresentare a livello nazionale ed internazionale i pazienti nei confronti del Ministero e delle Istituzioni e delle Società scientifiche e delle Companies farmaceutiche.*

*In Italia esiste la Federazione UNITED per le Associazioni di persone con talassemia e drepanocitosi che rappresenta tutti i pazienti nei confronti delle istituzioni nazionali ed Internazionali.*

*Io ne sono stato il presidente per i primi quattro anni di attività.*

*Ora, non tutti forse sono a conoscenza del fatto che nel settembre del 2022 l'attuale Consiglio Direttivo di UNITED andrà a scadenza, e che pertanto si terranno un'Assemblea dei Soci (le Associazioni aderenti ad UNITED) e successivamente le nuove elezioni per il rinnovo del Consiglio Direttivo.*

*UNITED ha da sempre la vocazione a rappresentare tutte le Associazioni esistenti, in quanto il suo scopo ed obiettivo primario è la rappresentanza di TUTTI i pazienti.*

*Pertanto è chiaro come la nostra speranza sia, per questi mesi che ci separano dalla nuova Assemblea elettiva, che le Associazioni che sono rimaste fuori dalla Federazione UNITED vogliano federarsi ad essa, soprattutto per far sentire più forte la voce dei pazienti a livello istituzionale, ma anche eventualmente per contribuire a cambiare e a migliorare l'attività della Federazione stessa, laddove ci possano essere margini per innovare e modificare in senso più efficace l'attività di UNITED.*

*Lancio quindi un appello a tutti i presidenti delle Associazioni che sono ancora fuori dalla Federazione UNITED ad associarsi prima della nuova Assemblea per far contare il proprio voto in quella sede e per avanzare proposte per le modifiche statutarie che possano rendere migliore e più efficace e rappresentativa UNITED, l'unica voce delle associazioni a livello nazionale che possa dialogare in modo costante e produttivo con le Istituzioni per la propria stessa natura di Federazione di Associazioni liberamente eletta e rappresentativa.*

*L'attuale Consiglio si è da reso disponibile a valutare tutte le azioni necessarie ed ascoltare le richieste delle Associazioni esterne ad UNITED per poter ampliare la base associativa.*

*Credo siano sufficienti i prossimi sei mesi per avanzare eventuali proposte ed arrivare all'Assemblea con l'adesione di TUTTE le Associazioni presenti sul territorio nazionale e iniziare dal maggio 2022 un percorso democratico di condivisione per rispondere sempre meglio alle tante necessità dei pazienti.*

*Con il rinnovo del C.D. della S.I.T.E. è il momento ora di risolvere con l'aiuto degli attuali dirigenti UNITED e di quelli futuri, le questioni che ancora ci rendono la vita complicata, come l'organizzazione dei Centri, la disponibilità costante del sangue per le trasfusioni, le nuove terapie e le sfide che queste comportano, in senso positivo ma anche di cautela.*

*Non perdiamo tempo".*

**Marco Bianchi**



E' ENTRATO IN VIGORE DAL 23 NOVEMBRE

# E' OPERATIVO IL REGISTRO UNICO DEL TERZO SETTORE

**Attenzione per le associazioni che non sono mai state iscritte ai registri pubblici**

Dal 23 novembre 2021 il Registro Unico del Terzo Settore è diventato operativo.

A partire da quella data sono entrate in vigore le nuove regole che avranno conseguenze pratiche e concrete sulla vita degli ETS.

Scopriamo insieme alcune delle novità che l'entrata in vigore del RUNTS comporterà per gli Enti di Terzo Settore.

## • Inizia il procedimento di trasmigrazione

Dal 23 novembre 2021 avrà inizio il procedimento di "trasmigrazione" di ODV e APS dai "vecchi" registri di settore. Ovviamente solo le associazioni che risultano già iscritte in quei registri prima del 22 novembre 2021. Sempre a partire da tale data non sarà possibile più fare domanda di iscrizione nei registri di ODV e APS né all'anagrafe delle ONLUS.

## • Completamento del processo di trasmigrazione

Entro il 21 febbraio 2022 il procedimento di trasmigrazione dei dati e degli atti, dai "vecchi" registri di settore al "nuovo" Registro, dovrà concludersi.

3) Termine entro il quale gli ETS possono adeguare gli statuti con assemblee ordinarie

Entro il 31 maggio 2022 gli ETS costituiti prima del 3 agosto 2017 possono adeguare i propri statuti alla riforma sfruttando le sole Assemblee ordinarie anziché le assemblee in forma straordinaria.

4) Verifica dei requisiti per l'iscrizione e la permanenza al RUNTS

Entro il 21 agosto 2022 gli uffici regionali del RUNTS devono verificare la sussistenza dei requisiti per l'iscrizione delle Associazioni nel RUNTS. La trasmigrazione, infatti, è sì un procedimento che si avvia d'ufficio, ma non per questo conduce all'iscrizione "in automatico" degli enti in esso coinvolti. Se l'Ufficio non si pronuncia espressamente entro questa data, opera il meccanismo del silenzio assenso.

Questo termine potrà tuttavia essere sospeso in presenza di informazioni incomplete o di motivi ostativi all'iscrizione nel RUNTS. In tal caso, il procedimento potrà prolungarsi, ma potrà ancora chiudersi positivamente con l'iscrizione dell'ente nel RUNTS qualora le informazioni siano fornite o i motivi ostativi all'iscrizione vengano superati (ad esempio, modificando gli statuti o accettando di essere iscritti in una diversa sezione del RUNTS).

Bisogna poi prestare attenzione anche ad altre due tipologie di situazioni.

1. Per le associazioni che non sono mai state iscritte nei registri pubblici

A decorrere dal 24 novembre 2021 potranno formulare domanda d'iscrizione al RUNTS tutte le altre Associazioni che non sono mai state iscritte precedentemente nei registri pubblici.

2. Procedura per le ONLUS

Le ONLUS iscritte alla relativa Anagrafe al 22 novembre 2021 accedevano al RUNTS non già per trasmigrazione né mediante una nuova iscrizione come tutti gli altri enti, bensì secondo una particolare procedura. Questa prevede l'intervento nella fase iniziale dell'Agenda delle Entrate, che dovrà comunicare al RUNTS i dati degli enti iscritti all'Anagrafe secondo modalità specifiche concordate col Ministero del lavoro. Il decreto direttoriale rinvia ad una successiva comunicazione per l'individuazione di queste modalità (art. unico, comma 7, decr. direttoriale n. 561/2021). Sarà necessario dunque attendere questa comunicazione per conoscere il termine a partire dal quale le ONLUS potranno fare domanda di iscrizione al RUNTS. Il termine entro cui ciò dovrà avvenire è invece già da tempo noto e coincide con il 31 marzo del periodo d'imposta successivo all'autorizzazione della Commissione europea di cui all'articolo 101, comma 10 (art. 34, comma 3, d.m. 106/2020).

# EX

PERIODICO DELL'ASSOCIAZIONE EMOFILICI  
E TALASSEMICI DI RAVENNA

fondata 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

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 10 dicembre 2021.

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



CSL Behring



KEDRION  
BIOPHARMA





IN DATA 11 NOVEMBRE 2021

# APPROVATO DAL SENATO IL TESTO UNICO DELLE MALATTIE RARE

Ora manca soltanto la pubblicazione del Decreto Legge nella Gazzetta Ufficiale e l'elenco dei decreti attuativi



## La dodicesima Commissione ed il Senato hanno approvato il Decreto Legge sulle malattie rare

Il testo passato è lo stesso già approvato dalla Camera.

Ora è necessaria la pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale affinché il testo diventi Legge.

il Sottosegretario alla Sanità Pierpaolo Sileri, lo ha definito: "un vero e proprio passaggio di svolta, la base per declinare interventi concreti a pieno sostegno dei due milioni di malati rari del nostro Paese e per dare attuazione ad una assistenza che sia espressione della centralità del paziente e di cure personalizzate".

## UN ATTO DOVUTO A TUTTI COLORO CHE CONVIVONO CON MALATTIE RARE

La Senatrice Paola Binetti, relatrice al Senato di questi Decreto legge ha affermato che "...è una notizia bellissima perché il Testo Unico per le Malattie rare è frutto di un grande sforzo volto a superare punti di vista diversi e legittimi, nell'interesse esclusivo dei pazienti.

Consapevoli che l'ottimo è nemico del buono e ritenendo che sia tempo di trasformare la teoria in concretezza.

Un atto dovuto a tutte le famiglie che convivono con le malattie rare e sono in attesa di risposte".

La stessa senatrice, aveva avuto occasione di intervenire sull'argomento anche in occasione del recente incontro organizzato dall'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare, che presiede, e nel corso del quale le oltre 280 associazioni che fanno parte dell'Alleanza Malattie Rare avevano presentato un documento di analisi di questo testo fortemente atteso.

In quell'occasione aveva affermato: "Questa legge costituisce un importante passo avanti per venire incontro alle esigenze dei malati rari, sia sul piano dell'assistenza che sul piano della ricerca: non a caso la sfida che pone ha richiesto molti anni prima di poter giungere a un testo sostanzialmente condiviso, non perfetto, ma

nessuno lo pretende, anche se oggettivamente rappresenta il miglior testo possibile in un momento come questo. Oggi questo Testo Unico rappresenta una rarità nel panorama del nostro Servizio Sanitario Nazionale perché è riuscito a sfidare l'inerzia con cui non sembrava mai giunto il momento per la sua approvazione.

Stiamo per concludere un iter estremamente faticoso e questo merita il giusto riconoscimento, perché saranno i successivi decreti attuativi a colmare lacune e a reindirizzare certe decisioni.

Non dimentichiamo che se i malati sono rari, le malattie rare sono tantissime e ognuna ha un suo specifico bagaglio di esperienze accumulate nel tempo e un pacchetto di richieste specifiche da far valere. Insisteremo con il Ministero perché sia tempestivo nella pubblicazione dei decreti attuativi e ancor più nella pubblicazione del Piano Nazionale.

È il nostro impegno ulteriore, in parte tradotto in una serie di Ordini del Giorno e in parte legato alla consapevolezza che non possiamo tradire i malati rari, in questo ultimo passaggio chiave".

## IL TESTO UNIFICATO DELLE PROPOSTE DI LEGGE

Il testo unificato delle proposte di legge fornisce una cornice normativa completa per rendere uniforme il trattamento delle malattie rare su tutto il territorio italiano e per l'avanzamento della ricerca nel campo delle malattie rare, preservando le buone pratiche e tutti i percorsi sviluppati negli ultimi anni.

Prevede l'attuazione del Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato, che comprende trattamenti sanitari e dispositivi essenziali a carico del Servizio Sanitario Nazionale e garantisce anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta, diventando il riferimento per la presa in carico dei pazienti.

Per superare le disparità regionali nell'accesso ai farmaci il testo preve-

de che, una volta approvati dall'AI-FA, siano resi immediatamente disponibili dalle Regioni.

Prevede inoltre l'istituzione di un fondo di solidarietà, necessario per favorire l'istruzione e l'inserimento lavorativo e sociale delle persone affette da malattie rare.

## SARA' ISTITUITO UN COMITATO NAZIONALE

L'istituzione di un Comitato nazionale dovrà invece assicurare la partecipazione di tutti gli attori istituzionali nazionali, quelli regionali, le professioni, le associazioni dei pazienti, le società scientifiche e gli enti di ricerca per definire le linee strategiche.

Una particolare attenzione viene data, nel Testo, al finanziamento e agli incentivi per la ricerca che vengono incrementati in modo da favorire la realizzazione di progetti pubblici e privati in ottica di investimento. In occasione dell'incontro organizzato dall'Intergruppo Parlamentare delle malattie rare di cui si parla, Fortunato Nicoletti e Giorgia Tartaglia in rappresentanza dell'Alleanza Malattie Rare avevano affermato che "La premessa da fare, d'obbligo, è che questo DDL rappresenta un riconoscimento importante per tutti i pazienti con malattia o tumore raro e per le loro famiglie in quanto racchiude tutte le disposizioni prodotte nel corso del tempo, conferendo sistematicità e organicità alle stesse.

Esprimiamo, quindi, il nostro gradimento per il lavoro svolto fino ad ora. Il Testo Unico sarà il riferimento futuro per il legislatore che potrà implementarlo e anche verificarne l'attuazione.

Riteniamo, però, che a seguito della sua approvazione potrebbe essere opportuno perfezionarlo, migliorarlo nei contenuti per ottimizzare i risultati, attraverso decreti attuativi o con vere e proprie modifiche legislative.

Così come sarà determinante trovare le risorse economiche aggiuntive per le malattie rare, visto che nemmeno il piano nazionale malattie rare ha mai avuto una sua dotazione economica".



Cercheremo qui di analizzare tre articoli che riteniamo fondamentali.

## PIANO DIAGNOSTICO TERAPEUTICO ASSISTENZIALE PERSONALIZZATO

### Articolo 4

Parla del Piano Diagnostico Terapeutico Assistenziale personalizzato e Livelli Essenziali di Assistenza per le malattie rare comprenderebbe due criticità emerse dalla modalità con cui è stato formulato l'articolo stesso. La prima riguarda la possibilità che non ci sia uniformità, su tutto il territorio, di accesso alle terapie farmacologiche per le malattie rare.

L'articolo riporta un chiaro richiamo ai farmaci classificati in fascia A e H escludendo ogni possibilità di riferimento, anche in via interpretativa, ai farmaci classificati in fascia C, talvolta essenziali per il trattamento di alcune patologie rare.

In via generale questi farmaci, se inseriti nel Piano Terapeutico personalizzato del paziente con la dicitura "indispensabile e insostituibile", sono erogati e forniti in regime di esenzione.

Il problema, però, si pone per le Regioni sottoposte a piano di rientro le quali non possono erogare questo tipo di prestazioni in regime di esenzione in quanto considerate extra LEA (Livelli Essenziali di Assistenza - n.d.R.).

Il Ministero della Salute, in risposta ad alcune Regioni, ha confermato che per l'assegnazione di farmaci in fascia C (in casi del tutto eccezionali) le famiglie possono presentare una specifica istanza alla ASL per l'emanazione di un provvedimento ad hoc a seguito di una valutazione clinica.

In realtà, anche se così facendo la problematica potrebbe sembrare risolta, non in tutte le ASL presenti sul territorio nazionale questa strada risulta essere percorribile e quando lo è comporta un faticoso impegno da parte delle famiglie per ottenere i farmaci in questione.

La seconda criticità riguarda l'aggiornamento dei LEA e, di conseguenza, l'individuazione delle malattie rare ai fini dell'esenzione.

Con la legge di stabilità 2016 è stata istituita la "Commissione per l'aggiornamento dei LEA e la promozione dell'appropriatezza nel Servizio Sanitario Nazionale" presso il Ministero della Salute, tenuta a formulare annualmente una proposta di aggiornamento.

Con l'articolo 4 viene individuata una ulteriore procedura secondo la quale, nelle more del perfezionamento della procedura di aggiornamento dei LEA, il Ministro della Salute, di concerto con il Ministro dell'Econo-

# UN COMITATO PER LA PARTECIPAZIONE DI TUTTI GLI ATTORI ISTITUZIONALI E REGIONALI

mia e delle Finanze, è tenuto "ad aggiornare l'elenco delle malattie rare individuate sulla base della classificazione orphan code presente nel portale Orphanet, dal Centro nazionale per le malattie rare dell'Istituto Superiore di Sanità, nonché le relative prestazioni necessarie per il trattamento delle malattie rare".

Il timore è che questo meccanismo alternativo, pur essendo stato individuato per ovviare al ritardo della procedura principale, potrebbe solo rappresentare un elemento aggiuntivo di complicazione e incertezza. Molto meglio sarebbe individuare strumenti meno complessi in grado di velocizzare l'attuale procedura di revisione periodica dei LEA.

## ASSISTENZA FARMACEUTICA E DISPONIBILITÀ DI FARMACI

### Articolo 5

Descriva l'assistenza farmaceutica e le disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani, rischia di non risolvere concretamente le criticità già esistenti sulle tempistiche di accesso alle nuove terapie farmacologiche per i pazienti con patologie rare.

L'articolo 10, comma 5, del decreto legge 158/2012 stabilisce che le Regioni e le Province Autonome di Trento e di Bolzano sono tenute ad aggiornare, con periodicità almeno semestrale, i prontuari terapeutici ospedalieri e ogni altro analogo strumento regionale. L'esperienza, però, insegna che tale termine non viene sempre rispettato, in quanto non considerato perentorio, determinando una dilazione dei tempi accesso diversa da regione a regione.

Perciò sarebbe opportuno, al fine di garantire non solo la tempestività nell'accesso alle nuove terapie ma anche l'uniformità su tutto il territorio nazionale, ed esclusivamente per i farmaci orfani, rendere il termine per l'aggiornamento dei prontuari terapeutici regionali o locali perentorio e inferiore a sei mesi.

## L'ISTITUZIONE DI UN FONDO DI SOLIDARIETÀ

### Articolo 6

Parla della Istituzione del Fondo di solidarietà per le persone affette da malattia rara e prevede l'istituzione del Fondo di solidarietà per le persone con malattie rare destinato al finanziamento delle misure per il sostegno del lavoro, di cura e di assistenza, con una percentuale di invalidità pari al 100% o disabilità con connotazione di particolare gravità, ai sensi dell'articolo 3, comma 3 della legge n. 104 del 1992.

Il dubbio che sorge, in questo caso, si riferisce all'ammontare delle risorse destinate al fondo che sarebbero di 1 milione di euro l'anno.

Tale somma, seppur importante dal punto di vista simbolico, potrebbe non essere sufficiente a soddisfare le necessità per le quali nasce.

A questo proposito, al fine di rispondere a tutte esigenze indicate, sarebbe opportuno prevedere un adeguato incremento della somma indicata.

Per l'Articolo 9 che prevede il finanziamento del Piano Nazionale per le Malattie Rare, sempre l'Alleanza Malattie Rare ha notato l'assenza di un finanziamento che sia stabilito per legge, identificato e costante nel tempo e ciò potrebbe causare le stesse difficoltà riscontrate fino a oggi.

È vero che il Piano attuale, scaduto nel 2016, contiene una serie di principi di natura organizzativa a beneficio delle persone con malattia rara, ma l'assenza di un finanziamento a esso dedicato non ha consentito di dare concreta applicazione a tutto ciò in esso contenuto.

Per questa ragione l'Alleanza ha ribadito la necessità di un finanziamento chiaro e stabile nel tempo, in modo da dare concreta applicazione alle disposizioni in esso contenute.



# UNA LETTERA DI FEDEMO E UNITED SUL TESTO UNICO DELLE MALATTIE RARE

**Alla Senatrice Annamaria Parente Presidente  
della XII Commissione Igiene e Salute Senato della Repubblica**

**segue da pagina 7**

*“Gentile Presidente, in occasione della prima discussione in Senato del Testo Unico sulle malattie rare nell’interesse di FedEmo (Federazione delle associazioni degli emofilici) e di UNITED (Federazione Italiana delle Associazioni per la Talassemia, la Drepanocitosi e le Anemie Rare) siamo a rappresentare a Lei e ai membri tutti della XII Commissione (ai quali Le chiediamo di illustrare la presente nota) le nostre perplessità rispetto ad alcuni contenuti della normativa in esame, per le ragioni che dettagliamo qui di seguito.*

## **FEDEMO Federazione delle Associazioni Emofiliche**

*In qualità di organismo di rappresentanza dei pazienti italiani affetti da Malattie Emorragiche Congenite (MEC) desideriamo richiamare la Sua attenzione e quella dei membri della Commissione che Lei presiede in merito a una criticità relativa al processo di riordino dell’assistenza ai malati rari attualmente in essere. Valutiamo l’iniziativa di razionalizzare e accorpate sotto un unico ombrello assistenziale le molteplici malattie rare (che riguardano nella grande maggioranza dei casi un numero molto ristretto di pazienti e che spesso sono ancor oggi orfane di farmaci dedicati) un valido e importante passo nella direzione dell’impegno a rispondere ai bisogni di pazienti che allo stato attuale non possono contare su punti di riferimento specialistici per la gestione della propria condizione.*

*Al contempo però riteniamo che le specificità che caratterizzano l’ambito di patologia di cui la nostra Federazione si occupa, emofilia e altre malattie emorragiche congenite, all’interno del panorama ampio delle malattie rare, necessitano di un inquadramento differenziato.*

*Infatti, benché rientranti nell’ambito delle Malattie rare, le MEC interessano ad oggi un gran numero di pazienti, oltre 11.000 nel nostro Paese (dati del registro di patologia dell’Istituto Superiore di Sanità), che godono di una propria rete*

*assistenziale dedicata, già presente da tempo sul territorio, strutturata in Centri regionali di riferimento e Centri spoke con personale medico altamente specializzato, in grado di assicurare in maniera efficiente la necessaria assistenza a tutti i pazienti.*

*Questo modello, costruito nell’arco dei decenni e dimostratosi altamente efficace, non può venire disperso all’interno di una riorganizzazione generalista delle Malattie rare.*

*Unitamente a ciò, grazie alla circostanza che è oggi fortunatamente disponibile un elevato numero di farmaci in grado di assicurare un’efficace e personalizzata cura per tutti i pazienti italiani con una malattia emorragica congenita, la presenza degli ematologi esperti, formati nel corso degli anni attraverso la pratica clinica all’interno dei Centri Emofilia, non può essere sostituita da personale medico privo di un’adeguata competenza, senza che ciò non vada a riflettersi in maniera pesantemente negativa sull’assistenza ai pazienti e sulla qualità delle cure a loro prestate.*

*Inoltre, ricordiamo che nel nostro Paese è in vigore l’Accordo sulle MEC, elaborato su impulso della Federazione e sottoscritto da Governo, Regioni e Province autonome di Trento e Bolzano, pubblicato su Gazzetta Ufficiale della Repubblica in data 9 maggio 2013 (in allegato), che disciplina e definisce in maniera estremamente dettagliata l’organizzazione delle reti assistenziali specificatamente dedicate ai pazienti MEC in Italia.*

*L’Accordo, è stato recepito da tutte le Regioni ed è attualmente in fase di attuazione a livello locale.*

*Per tutte queste peculiarità, è a nostro giudizio indispensabile un trattamento specifico per l’ambito delle MEC all’interno del testo unico sulle Malattie rare e siamo certi che Lei e i membri della Commissione vorranno valutare le opportune misure che garantiscano il mantenimento di uno standard assistenziale adeguato a rispondere alle necessità dei pazienti che rappresentiamo.*

*Siamo altresì disponibili in qualunque momento ad essere auditi dinanzi la vostra Commissione o a fornire*

*ogni genere di approfondimenti o informazioni che i membri della stessa ritenessero utili e necessari.*

*Ringraziandola per l’interesse che vorrà dedicare a questa nostra richiesta, trasmettiamo a Lei e ai membri della Commissione i più cordiali saluti da parte della nostra comunità”.*

La lettera continua con l’intervento del presidente dei talassemici

## **UNITED: Federazione Nazionale talassemici e drepanocitici**

*La scrivente Federazione Nazionale rappresentante le famiglie di pazienti affetti da talassemia ed emoglobinopatie, stimati in circa 10.000 soggetti in tutta Italia,*

*Le chiede di verificare la fattibilità della Rete Nazionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie discendente dall’Art. 1 Comma 437 della Legge 27 dicembre 2017, n.205, il cui DM attuativo predisposto dal Ministero della Salute giace in un limbo presso la Conferenza delle Regioni in conseguenza di incomprensibili prese di posizione del Coordinamento delle Malattie Rare della stessa Conferenza, nonostante i pareri favorevoli della vostra Commissione Trasfusione, il parere positivo unanime di tutte le Società Scientifiche afferenti alla nostra categoria di patologie e la nostra piena condivisione al progetto di Rete definita dal Ministero in accoglimento di molte delle nostre istanze segnalate nel gruppo di lavoro istituito ad hoc dallo stesso. L’unico organismo che ha avuto da obiettare è stata per l’appunto il Coordinamento delle Malattie Rare, giacché Talassemia ed Emoglobinopatie ne facevano parte, e dunque certamente non serena per affrontare imparzialmente tale argomento, proponendo uno stravolgimento del Decreto Ministeriale definito dal Ministero che oltre a non avere per nulla la nostra condivisione, stravolge il voler del legislatore addirittura secondo noi profilando un Decreto contra legem in quanto la norma sancisce “sic et simpliciter” la istituzione della Rete Nazionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie, senza*





possibilità di manipolazioni come quelle proposte dal Coordinamento delle Malattie Rare per l'appunto, che vorrebbe mantenere il controllo e la governance sulla nostra Rete. A questo punto ci chiediamo: "cui prodest"?

Dobbiamo attingere al latino, Illustrissimo Presidente, in quanto siamo stati tacciati di essere "popolari" dai "soloni" presenti nel Coordinamento delle Malattie Rare (che però non hanno mai visto o curato un solo talassemico o emoglobinopatico) solo perché abbiamo voluto loro rappresentare con parole chiare e semplici le carenze sanitarie vissute sulla propria carne viva da parte dei nostri assistiti, soprattutto in alcune regioni d'Italia per le solite disegualianze che attanagliano il nostro Paese, e che ci fa dire che oggi in Italia ci sono Talassemici di Serie A, B, C e forse anche D.

Crediamo ancora che prima delle categorie di malati e dei parametri statistici (convenzioni stabilite dagli uomini e come tali imperfette) che in Europa definiscono la talassemia e le emoglobinopatie malattie rare, ma certamente in Italia ne fanno una delle patologie croniche ereditarie più diffuse e con numeri in grande crescita negli ultimi anni (in considerazione anche dei grandi flussi migratori), esistano più esattamente donne e uomini ammalati in carne e ossa.

In sanità (pandemia Covid-19 docet) non possiamo permetterci un approccio medievale e barocco, ma attento, pragmatico e con lo sguardo rivolto all'innovazione.

Ci stupisce che proprio da una certa parte scientifica ci siano tali pregiudizi, ma forse è per l'appunto essere di parte che offusca il giudizio.

Vorremmo soltanto che la Rete della Talassemia e delle Emoglobinopatie potesse ricevere lo stesso percorso che il DM 70/2015 ha definito chiaramente per tutte le Reti ad oggi esistenti.

Da parte nostra nulla contro le Regioni ma certamente con le Regioni.

Se, infatti, ci ascoltaste attentamente comprendereste che la nascita della Rete della Talassemia e delle Emoglobinopatie è anche nell'interesse delle Regioni.

Facciamo infatti presente che diverse regioni hanno manifestato apertura verso la bozza proposta dal ministero.

Sicuro di un Suo riscontro, colgo l'occasione per porgerLe Cordiali Saluti".

Roma, 06 settembre

**Il Presidente FedEmo**  
Cristina Cassone

**Il Presidente UNITED**  
Vindigni Raffaele



## APPELLO DI FEDEMO ALLE ISTITUZIONI SUL TESTO UNICO DELLE MALATTIE RARE

**La Federazione delle Associazioni Emofilici - che rappresenta oltre 11.000 pazienti nel nostro Paese secondo i dati del registro dell'Istituto Superiore di Sanità - si rivolge alle Istituzioni per garantire la prosecuzione dell'Accordo relativo alle Malattie Emorragiche congenite (MEC) e la tutela dei Centri e delle reti già in essere.**

Roma, 11 novembre 2021 - "Appare indispensabile un trattamento specifico per l'emofilia e in generale per tutte le malattie emorragiche congenite (MEC) all'interno del testo unico sulle Malattie rare.

Infatti, se da una parte l'iniziativa di razionalizzare e accorpate sotto un unico ombrello assistenziale le molteplici malattie rare rappresenta un importante passo per rispondere ai bisogni di molti pazienti e caregivers, dall'altra le specificità che caratterizzano l'emofilia e le altre MEC esigono un inquadramento differenziato".

E' l'appello lanciato da FedEmo-Federazione delle Associazioni Emofilici alle Istituzioni a pochi giorni dall'approvazione in Senato del Testo Unico sulle Malattie rare.

Le MEC, infatti, pur rientranti nell'ambito delle malattie rare, interessano a oggi un gran numero di pazienti, oltre 11.000 nel nostro Paese secondo i dati del registro dell'Istituto Superiore di Sanità e godono di una propria rete assistenziale dedicata, già presente da tempo sul territorio, strutturata in Centri regionali di riferimento e Centri con personale medico altamente specializzato, in grado di assicurare in maniera efficiente la necessaria assistenza a tutti i pazienti.

A questo scopo, nel nostro Paese è in vigore l'Accordo sulle MEC, elaborato su impulso della FedEmo e sottoscritto da Governo, Regioni e Province autonome di Trento e Bolzano nel 2013 che disciplina e definisce in maniera estremamente dettagliata l'organizzazione delle reti assistenziali specificatamente dedicate ai pazienti in Italia.

L'Accordo è stato recepito da tutte le Regioni ed è attualmente in fase di attuazione a livello locale.

"Riteniamo l'approvazione del Testo Unico delle Malattie Rare uno strumento necessario ma non sufficiente a dare risposte concrete a tutti i malati rari e soprattutto alle persone affette da Malattie Emorragiche Congenite - ha dichiarato Cristina Cassone, Presidente FedEmo - Abbiamo già chiesto alla XII Commissione del Senato, durante l'iter parlamentare per l'approvazione della legge, la salvaguardia e la tutela delle reti assistenziali già esistenti, che possono anche rappresentare un esempio virtuoso per quelle che sono le altre patologie e non solo per la cura delle persone con emofilia. Per la nostra specificità e per la nostra storia, chiediamo pertanto di essere auditi come pazienti durante l'iter di approvazione dei decreti attuativi di questo Testo Unico, in modo da garantire la prosecuzione dell'Accordo MEC e la tutela dei centri e delle reti MEC già in essere".

Questo modello, costruito nell'arco dei decenni e dimostratosi altamente efficace, non può venire disperso all'interno di una riorganizzazione generale delle Malattie rare.

Infatti, la figura di ematologi esperti all'interno dei Centri di riferimento non può essere sostituita tout court da personale medico privo di un'adeguata formazione, senza contare che è oggi già disponibile un elevato numero di farmacia in grado di assicurare un'efficace e personalizzata terapia per tutti i pazienti.

Un punto di vista, quello della Federazione delle Associazioni Emofilici, su cui concorda anche la senatrice Paola Boldrini, vicepresidente della XII Commissione permanente Igiene e Sanità del Senato che afferma: "L'approvazione da parte della Commissione Sanità del Senato del Testo unico sulle malattie rare è un passo avanti molto importante e atteso da tanti pazienti. Ma, per le patologie che godono già di organizzazioni e di centri di riferimento con sanitari e pazienti non si tratterà di ricominciare da zero. Un ordine del giorno specifico a mia firma prevede infatti di fare tesoro di tutte le eccellenze già presenti sul territorio, come per esempio per l'emofilia e la talassemia. Le reti già esistenti continueranno la loro preziosa attività e potranno coordinarsi con la nuova struttura per beneficiare di aiuti concreti".

Per tutte queste peculiarità è, a giudizio di FedEmo, indispensabile un trattamento specifico per l'ambito delle MEC all'interno del testo unico sulle Malattie rare, oltre che auspicabile valutare le opportune misure che garantiscano il mantenimento di uno standard assistenziale adeguato a rispondere a tutte le necessità dei pazienti.



## TERAPIE INNOVATIVE E NUOVI TRAGUARDI

### Comprendere le nuove aspettative attraverso il linguaggio delle nuove generazioni

Per chi, come il sottoscritto, svolge da quasi mezzo secolo, il mestiere di giornalista attraverso questa testata, partecipare agli eventi legati all'informazione delle persone alle quali siamo rivolti è non solo un dovere ma un obbligo morale, soprattutto per contribuire ad una maggiore chiarezza sulla cura, quale sia la conoscenza della patologia da parte delle famiglie, come viene vissuta e come viene affrontata con il cambiamento di età dei figli e soprattutto con il miglioramento dei farmaci.

Nel caso specifico si è parlato di emofilia, sul come la si affronta, discutendo e partecipando attraverso appunto l'informazione. Il 2020 ed anche il 2021, "colpevole" la pandemia da Covid, ha rappresentato un'occasione per migliorare ed approfondire queste informazioni.

Devo in questo caso rivolgere un plauso a tutte le aziende che si sono fatte carico dell'organizzazione di questi eventi, iniziando, o meglio, concludendo con questo, al quale ho partecipato ed era il sesto della serie di "Emofilia A – il dialogo continua", il titolo al quale faccio riferimento ricordando che gli incontri erano iniziati il 26 settembre 2020.

I temi svolti erano stati:

“I trattamenti dell'emofilia A: cosa posso aspettarmi dalle terapie innovative;

il 7 novembre incentrato sulle domande ai medici su “Il dolore nelle età del paziente emofilico”;

il 21 novembre “Comorbilità ed effetti collaterali”

Nel 2021, il 29 maggio il tema era stato: “La donna nel mondo “maschile” dell'emofilia”;

il 24 giugno “Come ottenere il massimo dalle terapie innovative ed avere uno stile di vita dinamico”.

In questi incontri, molto del successo e dell'interesse che si crea dipende anche dalla conduzione affidata ad una persona che conosca bene il suo mestiere ed anche la patologia della quale si parla.

In questo caso parlo di Silvia Malosio di SMC media che ha voluto destare l'attenzione attraverso un momento iniziale nel quale ha rivolto alcune domande a tre emofilici di età diverse: dal diciottenne, al trentenne, al sessantenne.

In apertura poi ha chiarito che durante l'incontro si sarebbe chiesto alle nuove generazioni di far comprendere in quale direzione vogliono andare e quali nuove tecnologie possano essere al passo con le loro aspettative.

“Ma avremo bisogno di alcuni “traduttori” – aveva detto testualmente – perché abbiamo capito che ad età diverse corrispondono linguaggi diversi. Parleremo anche della transizione dal pediatra ai Servizi Sanitari”.

### UN DIBATTITO CON IL COINVOLGIMENTO DEI PAZIENTI

Una premessa che comunque è stata in qualche modo disattesa (a beneficio del dialogo che si sarebbe sviluppato) uscendo come suol dirsi in gergo, dal seminato (il tema specifico dell'incontro) ma ha creato i presupposti per interventi ed un dibattito su un problema sempre attuale e cioè come si affronta la malattia, da parte della famiglia, del paziente e del medico.

Alle domande rivolte ai due adulti, Marco Bianconi componente del Direttivo di Fedemo, Alessandro Marchello presidente di ACE, l'Associazione Coagulopatici ed Emofilici di Milano e Giovanni Bisceglia un giovane emofilico marchigiano, si sono evidenziati alcuni aspetti di quanto sia cambiato nel tempo l'approccio alla malattia.

Dalla risposta del giovane che afferma come il suo sport preferito sia il calcio a quella del più anziano che non è mai andato in bicicletta.

Dal non ricordo di episodi traumatici del più giovane, ai drammatici ricoveri ospedalieri soprattutto notturni, del più anziano.

Infine il rapporto e l'informazione con le famiglie, naturalmente con il medico per la completezza delle informazioni.

Le famiglie appunto e per questo anche il vostro cronista si permette di stravolgere quella che è stata la “scaletta” degli interventi, partendo da quanto ha affermato il dott. Giancarlo Castaman direttore del Dipartimento Malattie Emorragiche dell'Azienda Ospedaliera Universitaria Careggi dell'Università degli Studi di Firenze.



*“È importante per noi medici – ha esordito – la capacità per ogni famiglia di trovare i tempi per parlare, per esprimere, per comunicare ma soprattutto per costruire un percorso. Cerchiamo di mettere insieme famiglie e medici che devono trovare il tempo di voler comunicare con il paziente per coinvolgerlo e fargli comprendere quanto siano importanti le esperienze.*

*Abbiamo attualmente una rappresentanza di emofilici che seguiamo che vanno dal bambino all'adulto e la comprensione e la capacità di affrontare la malattia si acquisisce attraverso non solo dalla cura ma nel dialogo.*

*Questo per affrontare per tempo l'informazione che è legata alle possibili complicanze quando sono legate alla non assidua osservanza della terapia.*

*Cerco di semplificare, parlando dei linguaggi, che devono essere diversi, appunto per le diverse età che si affrontano.*

*“Ecco che abbiamo in mente il fatto che l'emorragia si trattava esclusivamente in ospedale – ha proseguito – ed ora invece si può gestire anche da casa attraverso la profilassi.*

*Ma la profilassi a sua volta ha messo in luce un altro aspetto che garantisce più autonomia e la possibilità a lungo termine di costruire un aspetto di qualità fisica ben diverso dal passato, ma non deve da questo punto di vista far venir meno il fatto che il colloquio continuo anche con i medici e gli psicologi del Centro sia mantenuto.*

*L'emofilia oggi si basa soprattutto nell'andare oltre l'aspetto prettamente del singolo evento emorragico, del prevenire l'artropatia ecc.. ma si guarda a 360° a quella che è la qualità della vita che viene espressa in diverse direzioni.*

*Pazienti che prima di tutto sono persone e come tali hanno bisogno di tutto quello che è associato al fatto di essere persona umana.*

*Poi c'è l'aspetto un po' più tecnico ma anche più affascinante dal mio punto di vista, ovvero di costruirsi la relazione della malattia cronica che è anche genetica e qui ci sono tanti altri aspetti da considerare e anche di relazione, per esempio con la madre. Sensi di colpa che ancora oggi vedo presente in molte madri di pazienti che hanno 40-50 anni e che accompagnano figli ai check-up.*

*Per dirvi come in passato siano state costruite e siano state di necessità un po' deviate questo tipo di rapporto anche tra genitore e figlio, ancora oggi la grande maggioranza dei genitori che si sono presi cura dei figli che hanno una certa età, sono madri sostanzialmente e anche questo vuol dire molto perché il linguaggio materno è ben diverso dal linguaggio paterno.*

## UN DIALOGO APERTO VERSO LE NUOVE GENERAZIONI DI EMOFILICI

*Anche da questo punto di vista si crea un sistema di relazioni che non è sempre facile da decifrare. Quindi dal nostro punto di vista la continuità del rapporto con il paziente e l'endurance familiare è importantissimo, non dimentichiamolo.*

*Ricordiamoci sempre che dare piena autonomia non vuol dire svincolare da un rapporto con medici cui molte volte i pazienti stessi chiedono la valutazione “psicologica”, sociologica ecc.*

*Molte volte giocando insieme costruiamo anche le regole e qui vuol dire che dobbiamo continuamente avere anche l'umiltà di ascoltare, parlare e capire meglio proprio in relazione ad ogni singolo paziente, ogni singola famiglia che possono essere completamente diversi, proprio perché anche loro sviluppano una loro dinamica di rapporti familiari che sono completamente diversi da quando si presentano magari al centro a discutere di salute.*

*È chiaro che la prima responsabilità è del medico è quella di essere adeguatamente aggiornato e informato di quelle che sono le attualità terapeutiche anche in relazione alle singole esigenze dei pazienti perché abbiamo detto che possono essere completamente diverse, cioè parlare di un paziente che ha 40 anni o uno di 10 anni è una cosa completamente diversa.*

*Da questo punto di vista dobbiamo avere tempo sufficiente e volontà di dialogare con i pazienti, far capire meglio perché si vorrebbe scegliere una terapia piuttosto che un'altra o comprendere quella che è l'aspettativa del paziente ma anche gli strumenti di conoscenza che ha.*

*Ricordiamoci anche che molte volte i pazienti comunicano tra di loro su siti diversi e si creano aspettative che possono essere errate in relazione al proprio stato personale di salute.*

*È tornò al fatto di come si costruisce il rapporto fin da subito, laddove la famiglia arriva dopo aver consultato, girato tutti i siti internet e arrivati con ansia e angoscia, oppure famiglie che sono completamente prive di ogni strumento perché non si pensava che il bambino fosse affetto da questa patologia e quindi fin da su-*

*bito si cerca di costruire un rapporto che sia realmente propositivo ma anche condiviso non solo dall'aspetto terapeutico ma poi in relazione a tutti gli altri problemi, cioè inserimento all'asilo nido, inserimento a scuola, cosa potrà o non potrà fare, se è giusto andare ad esempio al campo estivo in Romagna ecc.*

*Quindi è una pedagogia continua per noi perché impariamo sempre di più in relazione a quello che esprimono i pazienti e imparano a capire meglio perché si sceglie una terapia piuttosto che un'altra. È un lavoro continuo non bisogna mai dare un messaggio che sia esaustivo in una singola occasione ma va costruito nel tempo”.*

### COINVOLTA NEL DIBATTITO L'ESPERIENZA DELLA VACANZA IN ROMAGNA

Silvia Malosio, prendendo spunto dall'affermazione del dott. Castaman, se sia giusto per l'esperienza dei giovanissimi, al di fuori dell'ambiente familiare, partecipare ad esempio alla Vacanza in Romagna, ha subito coinvolto Alessandro Marchello che ne coordina l'organizzazione ed è rivolta ad una fascia di età abbastanza critica, dai nove ai 13 anni.

*“In diciassette anni abbiamo visto più di trecento ragazzi – ha affermato – che poi diventano adolescenti perché da noi vengono piccoli e spesso sono alla loro prima esperienza di distacco dalla famiglia lasciando idealmente la mano dei genitori.*

*Poi li abbiamo visti crescere perché coinvolti da più grandicelli a far parte del campo estivo in una maniera diversa e cioè dalla parte di chi gestisce i più piccoli.*

*Riteniamo questo un passaggio fondamentale di generazione perché arrivano a volte intimoriti e diventano quelli che osservano poi il comportamento dei più piccoli.*

*Questo ci permette sostanzialmente di osservare il cambiamento in riferimento alla conoscenza ed alla consapevolezza della loro situazione in funzione di come viene trasmessa dalla famiglia.*



## I RACCONTI DEI PROGETTI FEDEMO VERSO I GIOVANI

### segue da pagina 11

Abbiamo notato negli anni che la vera difficoltà è che non avendo un'esperienza diretta della malattia, come ci si ammala ad esempio, non sono in grado di determinarne l'insorgenza e la possibile gravità. Perché chi non ha mai avuto un ematoma traumatico molto doloroso oppure un ematoma allo psoas che blocca una persona per mesi, fatica a immaginare il collegamento con la terapia ed il conseguente benessere. A seconda di come questa notizia viene loro inculcata, crescono ed il campo estivo per noi e soprattutto per loro diventa un'esperienza totalizzante per sette giorni, ventiquattro ore su ventiquattro, giorno dopo giorno.

Dopo essere arrivati, detto in modo non certo critico, dipendenti dai genitori, quello spazio nel quale li facciamo stare e li accompagniamo in questo luogo di esperienza, permette loro anche di osservare ciò che succede agli altri, come ad esempio il vedere ed il provare l'auto-infusione oppure, in questo caso quelli un po' più grandi di 12 o 13 anni che hanno un rapporto più diretto con la terapia.

Offrire delle possibilità e quindi far fare loro esperienza dirette di sicuro è molto più efficace che inculcare loro le stesse cose a parole.

La cosa bella dell'infusione è che quando i bambini vedono gli altri bambini infondersi molto spesso desiderano imparare.

Quindi il momento magico della vacanza è che c'è un momento in cui provano, sperimentano l'infusione lontano da casa, cioè non con i genitori che li guardano, gli tengono la mano ecc, sono in un ambiente di gioco e imparano, non diventano esperti subito ma provano.

Poi chiamano a casa ed è il momento più bello, forse più frustrante per qualche genitore ma più bello perché è l'inizio dell'indipendenza.

Succede spesso che quando i bambini soprattutto quelli di nove anni che non sono mai stati lontani dai genitori hanno il coraggio, magari a qualcuno viene imposte il coraggio di farlo, o qualcun altro si prende il

coraggio di farlo e lo porta fino in fondo, al punto che noi specifichiamo che vorremo gestire il contatto con i genitori in maniera contenitiva non espansiva come vorrebbero quasi tutti i genitori che magari vorrebbero stare lì con loro in vacanza, molti di questi bambini preferiscono dirci che non vogliono sentire i genitori perché altrimenti si sentirebbero un poco agitati; per questo chiedono a noi di chiamare i genitori e dire loro che va tutto bene. Ci rendiamo conto che questo è un affronto clamoroso nei confronti dei genitori, però questa è una grande possibilità che si prendono e chi la coglie è felice.

Questa è senz'altro una possibilità di offerta diversa dalla routine quotidiana".

### L'IMPORTANZA DEL PROGETTO PUER DI FEDEMO

Ed a proposito delle esperienze maturate negli anni ha voluto per completezza di informazione raccontare un episodio abbastanza lontano dai giorni nostri.

"Alla fine degli anni '90 - ha affermato testualmente - la Federazione delle Associazioni degli Emofiliaci ha fatto un progetto che si chiamava PUER (Progettiamo Un'Esperienza Ripetibile - n.d.R.).

Era l'occasione per mettere insieme persone coordinate da una mediatrice che faceva da facilitatore e c'erano i genitori di bambini piccoli che si trovavano e mettevano sostanzialmente a disposizione la loro esperienza; quindi con figli di diverse fasce di età e si parlava di tante cose, del port-a-cath (E' un dispositivo per l'accesso venoso centrale permanente, ovvero che può rimanere in sede nella vena senza limiti di tempo - n.d.R.) che a quei tempi era un grande must; poi c'era la fistola, c'erano anche le profilassi.

Si parlava dei temi principali con angoscia, con leggerezza a seconda del grado di esperienza che ogni genitore aveva acquisito nel frattempo. A un certo punto durante uno di questi incontri che si sono svolti in tutta Italia e che hanno coinvolto i genitori che entravano in questi gruppi

degli adulti e quindi vedevano manifestarsi davanti a loro il futuro così angosciante del loro figlio era già un grande sollievo.

La cosa che successe allora ad un certo punto in uno di questi episodi era che noi eravamo nell'oratorio di una Chiesa e i genitori venivano con i bambini che venivano tenuti da qualcuno lontani dai genitori e sentirsi dire quanto fosse difficile vivere con loro.

Ad un certo punto si è sentita una grande esplosione di rumori, di grida di gioia.. tutti si sono affacciati dalla finestra e hanno guardato di sotto e hanno visto i loro figli che giocavano, correvano, giocavano a pallone ed erano estremamente felici.

Un momento di una semplicità imbarazzante ma che per loro, quando si sono rigirati e messi a sedere sulle loro sedie, è come se si fossero svuotati, tranquillizzati".

Un genitore responsabile di associazione che ha vissuto l'esperienza attraverso il figlio ed in riferimento anche al racconto di Marchello ha confermato che la capacità di poter provare sul campo l'esperienza con altri ragazzi è per il piccolo emofilico enormemente a suo vantaggio. Ha poi continuato testualmente:

"Le terapie sono cambiate e non è pensabile mettere il ragazzo sotto una campana di vetro.

La capacità che i genitori dovrebbero avere nell'approcciarsi ai figli quando ci sono le prime avvisaglie attraverso ematriti o quant'altro è fondamentale perché lui, assolutamente prende coscienza in tranquillità delle sue problematiche.

Il "non... non lo dovevi fare" peggiora di sicuro la situazione anche perché magari la seconda volta lo fa e non ti fa partecipe.

Naturalmente la padronanza di poter gestire la sua patologia soprattutto poi nei rapporti con il medico o l'infermiere del Centro che diventano persone quasi di famiglia con le quali condivide tutti i momenti del suo percorso di cura".

La discussione è continuata ormai proprio su questo argomento e



Silvia Malosio ha voluto ascoltare anche il parere del dott. Pollio, del Servizio di Immunoematologia e Medicina Trasfusionale del Dipartimento di Diagnostica della Città della Salute e della Scienza di Torino, il quale facendo riferimento ai rapporti con le famiglie ha affermato testualmente:

*“... Ho visto per quanto riguarda i genitori che c'è un continuo apprendimento sull'emofilia anche se il momento della diagnosi appare a volte traumatico.*

*Poi alla comunicazione della diagnosi e man mano che i mesi passano e che si convive con la malattia, imparano a distinguere ad esempio, gli emartri.*

*L'emofilia amplifica quello che qualsiasi genitore deve imparare, cioè capire quanto devo essere protettivo e quanto devo dare libertà al figlio.*

*È un equilibrio che ognuno di noi deve sviluppare come genitore e che in fondo l'emofilia amplifica un po'. E l'aderenza è un problema che riguarda soprattutto l'aver capito l'importanza delle terapie nel mantenere uno stato di salute con i genitori e soprattutto il momento dell'infusione, il sentire il bimbo piangere, una volta che il genitore impara a superare questo ostacolo avendo presente il beneficio ultimo che non è tangibile nell'immediato e l'aderenza sarà garantita.*

*L'importante è far capire ai genitori il ruolo e il valore della profilassi per garantire la salute del proprio bambino”.*

## **I MODELLI DI RIFERIMENTO PER I BAMBINI**

Il dott. Pier Calo Salari, Pediatra, operativo a Milano, dove si occupa di Pediatria generale, nutrizione e prevenzione e lavora nel campo della ricerca di laboratorio e clinica sia alla divulgazione medico-scientifica e alla formazione/aggiornamento professionale si è inserito parlando del bambino in generale e dei suoi modelli di riferimento.

*“Il bambino fino ad una certa età – ha affermato - ha bisogno di modelli di riferimento e spesso il suo comportamento è lo specchio di quello che vede in famiglia: genitori attenti, precisi, meticolosi trasmettono questo valore perché non c'è migliore esempio del proprio comportamento / stile di vita che il bambino possa avere.*

*Il vero problema nasce con l'adolescenza perché l'adolescente è tendenzialmente ribelle, ha bisogno di conquistarsi una propria autonomia, una propria dimensione e sicuramente il dialogo diventa anche più complesso se il pediatra o in questo caso lo specialista è riuscito*

# **“Il bambino ha bisogno fino a una certa età di modelli di riferimento”**

*nel frattempo a costruire, a investire nella comunicazione, a creare un rapporto empatico.*

*Sicuramente diventa un riferimento prioritario rispetto a quello che può essere una figura genitoriale nei cui confronti l'adolescente spesso manifesta comunque conflittualità ed è insito nella sua indole e fa parte di un percorso di crescita.*

*Parlando dell'aderenza va detto che riguarda almeno il 30% di tutti i pazienti cronici quindi non è soltanto un aspetto dell'età evolutiva ma è una problematica seria a livello clinico e siccome purtroppo le malattie croniche sono quelle che oggi maggiormente preoccupano, diventa per il medico un impegno notevole quello di vigilare e caldeggiare l'assunzione ai farmaci.*

*Il linguaggio deve essere calibrato alla singola situazione, non c'è una regola precisa, dipende molto dalla sensibilità umana dell'operatore e dalla capacità di instaurare un rapporto che non sia puramente tecnico ma quasi affettivo/empatico con il paziente.*

*Il bambino recepisce quello che i genitori gli trasmettono riguardo le regole che devono essere rispettate. Il medico di fronte a questo si trova in una duplice veste cioè far conoscere i sintomi ed allo stesso tempo sensibilizzare soprattutto il fatto che il rispetto delle regole si trasforma in una cura preventiva perché si evitano le possibili complicanze legate al non rispetto delle regole di cura.*

*Linguaggio diretto quindi migliorato anche attraverso immagini. Spiegargli che lo star bene è una conquista e non un impegno noioso”.*

Si è inserito nel dialogo ancora una volta il dott. Pollio parlando dell'aderenza alla terapia.

*“Abbiamo discusso della complessità dell'aderenza che ha tanti aspetti. – ha affermato - Con il range di terapie di cui disponiamo oggi una variabile che bisognerà considerare sempre di più è quanto le terapie sono in grado di semplificare que-*

*sta complessità perché ad un certo punto se io ho due soluzioni per risolvere lo stesso problema e una soluzione è più semplice dell'altra a parità di efficacia è un mio dovere scegliere quella più semplice perché è quella che ha più probabilità di essere seguita.*

*Diventa proprio un ragionamento matematico ed in un futuro, secondo me, dovrà essere anche un nuovo modo di pensare anche di tutti noi operatori perché poi la scelta terapeutica è condivisa fra tutti”.*

La conduttrice poi riporta in primo piano l'argomento della frequentazione delle famiglie con i piccoli emofilici che è abbastanza complesso. La transizione dal pediatra allo specialista che si occupa del paziente adulto diventa un cambiamento a volte problematico.

Ma, si chiede: esiste una età del cambiamento? Domanda rivolta al dott. Pollio il quale ne parla facendo un esempio.

*“A Torino esistono un Centro pediatrico e tre Centri per gli adulti. E qui la transizione riguarda anche i clinici perché in altre parti d'Italia sappiamo che nella maggior parte dei casi l'ematologo si occupa sia del bambino che dell'adulto. In ogni caso il passaggio dall'adolescenza alla vita adulta è una transizione che comporta dei cambiamenti ai quali sarebbe sempre bene prepararsi in maniera non casuale ma strutturarla.*

*I genitori devono rendersi conto che devono fare un passo indietro perché il figlio è diventato adulto e diventa automaticamente responsabile della propria terapia.*

*È una sorta di processo di apprendimento dal fatto di essere eccessivamente protettivi.*

*Allo stesso tempo il ragazzo deve diventare autonomo. Mi piacerebbe che a questo proposito, che dall'AICE (L'Associazione dei Centri Emofilia) scaturisse un progetto di creazione di un referto condiviso fra tutti i Centri di cura.*

*So che AICE stessa ha lavorato ad*



## “Gli adolescenti emofilici non differiscono dagli altri adolescenti”

### segue da pagina 13

*un progetto di consenso informato per la somministrazione dei farmaci. Secondo me potrebbe essere utile anche un modello di referto che agevoli la comunicazione e quando avvengono i cambiamenti. E potrebbe riguardare il passaggio dal centro pediatrico a quello dell'adulto. Referti soprattutto esauritivi in considerazione che potrebbero essere letti da un medico di pronto soccorso in regime di urgenza”.*

La dottoressa Chiara Biasoli responsabile del Centro Emofilia della Romagna con sede presso l'ospedale Bufalini di Cesena e responsabile medico della Vacanza in Romagna ha voluto sottolineare che: “...Questo incontro è stato dedicato ai pazienti però deve essere anche un messaggio che io mando alla comunità medico-scientifica.

Dopo 17 anni di questa esperienza della quale vi ha illustrato i risultati e la finalità Alessandro, vi posso assicurare che ogni anno imparo qualcosa e lo imparo sotto due profili. Si è parlato del tema della terapia, dei cambiamenti che hanno permesso questi trattamenti e le opportunità che hanno questi ragazzi di giovare.

Come medico vedo sul campo la vera vita reale.

Chi può avere un'occasione di stare insieme dalla mattina alla sera e vedere le loro necessità cliniche, non dettate da studi fatti in ambulatori con poco tempo a disposizione?

In età pediatrica diciamo sempre che la famiglia per il paziente è molto importante ma non dimentichiamo che per un bambino di 11-12 anni il suo esempio non sono i coetanei ma i genitori per cui molte volte trattiamo molto, ma trattiamo la famiglia e dobbiamo giustamente farlo ma non dimentichiamoci l'alleanza terapeutica che dobbiamo avere con lui.

L'altra parte che imparo come medico è proprio nella comunicazione. Credo che sia un'opportunità per tutti ma anche per chi li deve seguire bene. E qui mi rivolgo ai miei colleghi dicendo loro, quando lavorate negli ambulatori di estraniarsi un attimo e pensare a quelle che sono le necessità di questi ragazzi oltre alla famiglia. Questo è molto importante”.

In conclusione la conduttrice affronta il tema che è ricorso in questo incontro e cioè che noi continuiamo a chiedere ai giovani emofilici il peso delle loro aspettative.

Ha cercato di rispondere Elena Urso, psicopedagogista esperta della comunicazione, delle relazioni umane e dei processi di formazione.

“Gli adolescenti emofilici (soprattutto allo stato attuale) NON differiscono molto dagli adolescenti generali. L'oscillazione dell'umore e dei comportamenti è tipica dell'età adolescenziale: il rifiuto delle imposizioni, delle regole da seguire, dell'orientamento dettato dagli adulti (ivi comprese le cure mediche) fa parte del percorso evolutivo. Percorso fatto di sperimentazione che tende a raggiungere il distacco dalla famiglia e dagli adulti di riferimento per trovare, attraverso innumerevoli tentativi, la propria strada autonoma e originale.

I ragazzi ignorano le esperienze pregresse delle persone malate prima di loro, pertanto tali esperienze sono una motivazione debole, che influisce poco sul loro comportamento.

Anche il senso della propria cura deve trovare una dimensione personale, non necessariamente collegata o derivante dalle esperienze altrui sconosciute e astratte dal punto di vista dei ragazzi. Ecco perché risulta molto più efficace una condivisione delle esperienze sia in modo diretto (es. iniziativa di Alessandro) sia attraverso la narrazione delle storie degli altri. In questo modo i ragazzi recepiscono meglio i messaggi, perché viene escluso ogni giudizio e ogni aspettativa.

Le aspettative degli altri sono l'altro punto delicato da considerare. Perché i ragazzi possano esprimere i propri desideri, le proprie aspirazioni e individuare le proprie aspettative, è necessario che vengano sollevati dal peso delle proiezioni degli altri, siano essi familiari, medici o altri malati. Ciò che un ragazzo desidera o si aspetta dal futuro, anche in termini di qualità di vita o di progresso nelle cure, può essere espresso sia a livello di pensiero sia di parola soltanto se si evita ogni forma di condizionamento e di determinazione di un certo standard da rispettare.

Le aspirazioni personali NON possono sostenere il peso delle esperienze altrui. Inoltre, la proiezione nel futuro è come forzare una cosa che i ragazzi non sono in grado dal punto di vista emotivo. Si chiede loro di sostenere qualcosa che in quel momento non sono in grado di fare perché sono molto presi dal presente, anche semplicemente capire come sono fatti fisicamente. Per questo ha molto valore l'augurio di Giovanni che dice “Spero di continuare così”. L'altro aspetto quindi da snellire è la pretesa che i ragazzi oggi mantengano, per esempio, una costante aderenza alle cure in virtù di un senso di gratitudine verso le generazioni precedenti, che hanno consentito di approdare agli attuali miglioramenti in campo medico e di conseguenza esistenziale. Chiediamo loro di determinare il loro comportamento in base a qualcosa che non conoscono e di cui NON hanno esperienza. Perciò impossibile da fare.

La motivazione sarà una motivazione interiore, più efficace e duratura, se verrà costruita attraverso la propria esperienza personale e secondo la propria sensibilità e volontà.

In più, la capacità di esprimere ciò che sento, ciò che desidero e ciò verso cui aspiro si acquisisce nel tempo, partendo dall'infanzia.

Se i bambini sono accolti nelle loro emozioni (tutte!) si sentiranno liberi di esprimerle e autorizzati a comunicarle. E questo sarà utile anche nell'adolescenza e nell'età adulta.

Sarebbe opportuno anche offrire loro un linguaggio ricco e vario che consenta loro di mettere in parola ciò che sentono.

Fondamentale ancora in questo delicato percorso è accogliere le ansie, le paure, le insicurezze dei genitori, soprattutto durante l'infanzia.

Sosteniamo loro in modo che possano contenere eventuali paure, angosce, rabbie...dei propri figli.

Formuliamo con loro possibili scenari in cui potranno trovarsi insieme con i figli. E rassicuriamoli del fatto che ogni reazione dei figli, soprattutto dei bambini, è legittima.

Questo li solleverà molto anche da un loro eventuale senso di inadeguatezza”.



## APPROVATA IN ABRUZZO LA LEGGE SULL'AUTOINFUSIONE PER LE MALATTIE EMORRAGICHE CONGENITE

**Le parole del presidente dell'associazione AMaRE Angelo Lupi:  
"Approvata una legge essenziale affinché la gestione della patologia non gravi sulla vita del malato"**

Garantire alle persone affette da malattie emorragiche congenite (MEC) non solo autonomia e indipendenza dai presidi ospedalieri durante gli eventi di sanguinamento, ma anche tempestività di intervento e, dunque, maggiore efficacia del trattamento.

E' questo l'obiettivo della delibera n. 714 della Giunta regionale dell'Abruzzo, approvata lo scorso 15 novembre su proposta dell'assessore alla Salute Nicoletta Verì, che detta le linee di indirizzo per l'organizzazione di corsi di addestramento finalizzati al rilascio dell'autorizzazione al trattamento infusionale domiciliare e rivolti ai pazienti con MEC e ai loro famigliari.



La notizia che abbiamo letto anche nella stampa locale è importante ed è stata anche "corredata" dalla spiegazione del cosa sia no le malattie emorragiche congenite

*"Le malattie emorragiche congenite - si legge nell'articolo - come ad esempio l'emofilia, sono patologie rare ed ereditarie caratterizzate dal deficit di una proteina plasmatica necessaria per la coagulazione del sangue".*

### STRUTTURE DEDICATE PRESSO GLI OSPEDALI DI PESCARA E CHIETI

Nella rete delle malattie rare della regione Abruzzo, le MEC sono in carico a strutture dedicate negli ospedali di Pescara e Chieti, che hanno anche il compito dell'educazione sanitaria dei propri assistiti.

*"Questo compito - ha spiegato l'assessore Verì - include anche l'addestramento dei pazienti (o dei loro caregiver), al trattamento infusionale domiciliare, che si basa sulla somministrazione endovenosa da parte del paziente stesso, senza la presenza di personale medico o infermieristico.*

*La capacità di auto-trattamento rappresenta un elemento di sicurezza per la precocità dell'intervento, oltre a una grande conquista di libertà e fiducia in sé stesso per chi è colpito dalle MEC".*

I percorsi formativi gratuiti saranno predisposti dai presidi della rete, sulla base delle determinazioni di un'apposita commissione costituita nella ASL.

### SI SVOLGERANNO CORSI PER I PAZIENTI TENUTI DA MEDICI E PARAMEDICI

Il corso sarà svolto da personale medico e paramedico esperto in malattie della coagulazione e in tecniche trasfusionali.

Soddisfazione per questa iniziativa da parte di Angelo Lupi, presidente della Onlus abruzzese AMaRE (Associazione Malattie Rare Ematologiche).

*"Garantire il diritto alla salute a tutti i malati rari, a prescindere dalla Regione di nascita, è da sempre l'obiettivo di AMaRE.*

*Questa è una legge essenziale per le malattie emorragiche congenite, un vero e proprio percorso di insegnamento, presa in carico della propria malattia rara e autoinfusione del proprio farmaco salva-vita.*

*La Regione Abruzzo colma finalmente una mancanza nella gestione delle malattie rare ematologiche".*

### E' FONDAMENTALE PER UNA GESTIONE TEMPESTIVA E CORRETTA DELL'EMOFILIA

*La nostra associazione - ha concluso il presidente Lupi - ha sempre sostenuto che l'autoinfusione per le malattie rare congenite come l'emofilia è il punto principale per una gestione della patologia che non gravi sulla vita del malato.*

*Vuol dire meno accessi in ospedale, migliore gestione in caso d'emergenza e aumento dell'importanza della profilassi.*

*Sono davvero onorato di dare questa bella notizia ai malati ematologici e sono convinto che con l'assessore Verì riusciremo a portare avanti altri obiettivi utili per i malati rari e a diffondere le buone pratiche a beneficio dei bambini e delle loro famiglie.*

*A nome della comunità emofilica e delle persone con malattia emorragica rara ringrazio la Dott.ssa Nicoletta Verì e il Direttore dell'Agenzia Sanitaria Regionale Abruzzo, Dott. Pierluigi Cosenza, per l'impegno nel promuovere una legge che è fondamentale per il diritto alla salute".*



CONVEGNO DI FERRARA DEL 25-26 SETTEMBRE



## TEMI CRUCIALI IN TALASSEMIA ED EMOGLOBINOPATIE: I PAZIENTI SI AGGIORNANO

**Tanti i temi trattati nelle due giornate. Abbiamo scelto per questo primo servizio il tema delle terapie e la presa in carico dei pazienti talassemici attraverso le interviste dei partecipanti**

A Ferrare due convegni di portata nazionale sulla talassemia. Due giornate di congresso organizzate dall'associazione ALT "Rino Vullo" per affrontare le tematiche legate alle emoglobinopatie sabato 25 e domenica 26 settembre all'interno dell'aula magna del polo ospedaliero universitario Sant'Anna di Ferrara a Cona.

Tanti i temi trattati nelle due giornate.

Abbiamo scelto per questo primo servizio il tema delle terapie e la presa in carico dei pazienti talassemici.

Tematiche importanti affrontate dai medici ricercatori, clinici, arrivati da tutte le regioni d'Italia, professionisti che seguono i loro pazienti nei Centri di talassemia di Piemonte, Veneto, Campania, Calabria, Puglia, Sicilia, Sardegna ed Emilia Romagna.

Il primo tema trattato:

### **Aggiornamenti e dibattito su fasi salienti dal Congresso Site a favore dei pazienti: dalla chelazione alla Rete Nazionale"**

hanno partecipato i medici: Forni, Maggio, Barella, Longo, Gentile, Putti, Cecinati, Origa, Tartaglione, Ferrero, Sofritti, Frigato, De Michele e Maria Rita Gamberini in qualità di padrona di casa.

Non poteva mancare, perché di stretta attualità, un aggiornamento ed un dibattito sul

### **coinvolgimento Covid per le emoglobinopatie ed epatopatie.**

In questo caso descrive le esperienze ferraresi in ospedale e in campo nazionale al quale hanno partecipato i medici Libanore, Gamberini, Forni e Mang.

Interessante poi il dibattito con

### **l'interazione dei pazienti sulla tematica delle diagnostiche a confronto per la sorveglianza della malattia epatica**

al quale hanno partecipato i medici. Righi, Fusetti, Simone, Grasso, Longo, Maggio.

Altro argomento più che mai di attualità:

### **Come affrontare le problematiche ormonali in talassemia con l'avanzare dell'età**

illustrato dal dott. Ambrosio con interventi dei pazienti..

Si è poi aperto un dibattito su

### **dalla gravidanza alla menopausa cosa aspettarsi**

moderato dal dott. P. Greco

Non poteva mancare l'esperienza del centro di Ferrara sugli

### **aspetti nefrologici.**

Hanno partecipato i medici Storari, La Torre e Battaglia.

Il tema delle **terapie innovative** è stato affrontato dai medici Piga e De Franceschi

Infine il prof. Franco Locatelli ha parlato dello **stato dell'arte in terapia genica e Gene editing**.

Volendo in questo caso uscire dai soliti articoli sui convegni con la descrizione delle relazioni, abbiamo preferito ascoltare direttamente dalla viva voce degli intervenuti (con l'aiuto del servizio completato da Telestense sull'argomento "Sanità e Benessere") un resoconto di ciò di cui si è parlato ma soprattutto delle impressioni fornite anche dai dibattiti.

Per dovere di ospitalità non potevamo che iniziare dalla dottoressa **Antonella Ghirotti**, direttore medico dell'azienda ospedaliera universitaria Sant'Anna di Ferrara, ricordando che è il Centro Hub dell'Emilia-Romagna per le emoglobinopatie che comprende otto Centri Spoke.

*"Il nostro - ha affermato - è certamente punto di riferimento per quanto riguarda gli aspetti di tipo clinico assistenziale ma anche per quanto riguarda l'ambito della ricerca. Ricordo che abbiamo al momento nove protocolli attivi, sia per quanto riguarda l'aspetto terapeutico che l'aspetto diagnostico.*

*Vorrei ricordare anche che siamo un punto di riferimento per quanto riguarda la definizione dei percorsi, quindi documenti che riguardano la corretta presa in carico del paziente per un'adeguata terapia e soprattutto per la prevenzione delle complicanze".*

### **NOVITA' PER QUANTO RIGUARDA LE NUOVE TERAPIE**

In questa giornata sono emersi diversi aspetti legati alle nuove terapie. Ci sono però delle novità per quanto riguarda il Day Hospital Talassemia del Sant'Anna che ha annunciato ai pazienti talassemici in sala dei quali chiediamo notizia. *"Per noi è un Centro di eccellenza - ha continuato - e come tale vogliamo che rimanga rivolto alle sfide del futuro. Intanto però puntiamo sulle risorse umane in personale soprattutto quello medico con l'acquisizione di un ematologo, però con specifiche competenze e conoscenze sulla talassemia.*





Anche il campo della ricerca che rimarrà certamente un nostro punto di eccellenza.

Un altro aspetto che ci interessa particolarmente è quello dei data manager che sono professionisti che dovranno gestire il Day Hospital della talassemia direttamente dall'interno per sviluppare ricerca e potenziarne anche il servizio che direttamente afferisce alla direzione generale, per assicurare più finanziamenti ed anche la possibilità di partecipare a progetti di livello internazionale.

Stiamo portando avanti da alcuni mesi un progetto soprattutto con le unità operative universitarie.

Ci sono diversi punti ed uno di questi è quello che riguarda la piastra di genetica molecolare con lo studio sui farmaci innovativi sulla farmacogenomica e di questo si avvantaggerà senz'altro il Day-Hospital della talassemia”.

#### ATTENZIONE ALLA SICUREZZA CON I NUOVI FARMACI

Con **Antonio Piga** Direttore del Centro di Torino abbiamo voluto fare leva innanzitutto sui suoi ricordi di giovane medico.

Infatti lui ha esordito così: “Non posso dimenticare che da giovane medico sono venuto a Ferrara ad imparare come si impostava un Centro ma soprattutto come si impostava il rapporto con le persone e tutto ciò che il prof. Vullo ha sviluppato tanti anni fa sono ancora nuove oggi perché c'è necessità di tornare al contatto umano con il paziente proprio perché siamo di fronte a cose nuove positive altrettanto interessanti”.

Inoltre, illustrando brevemente i temi di questa giornata ha affermato che: “...sta emergendo un concetto che non dobbiamo dimenticare e cioè che serve moltissimo equilibrio rispetto all'eccitazione di vedere tutto positivo rispetto alle novità di terapia incredibili che stiamo sperimentando e stanno diventando realtà pratica e disponibili.

Per il paziente sono necessarie la prudenza e l'attenzione rispetto al profilo di quello che noi medici definiamo di tollerabilità, cioè la sicurezza non solo nei primi mesi in cui proviamo qualche farmaco o terapia nuova ma sulla lunga distanza specie per le terapie cosiddette genetiche diventa fondamentale”.

#### UNO STUDIO SULLE PERSONE VACCINATE CHE HANNO CONTRATTO IL VIRUS COVID

Al convegno si è parlato inevitabilmente anche del Covid e del momento in cui stiamo vivendo.

**Alessandra Mangia** responsabi-

## “Serve equilibrio rispetto all'eccitazione di vedere tutto positivo rispetto alle novità di terapia”

le del reparto di epatologia della “Casa del Sollievo” di S. Giovanni Rotondo ci ha illustrato lo studio che stanno svolgendo in proposito.

“Stiamo conducendo uno studio – ha spiegato - sotto la guida del prof. Banfi responsabile scientifico del Galeazzi di Milano ed al San Raffaele e con il Bambin Gesù, abbiamo proposto al Ministero che lo ha finanziato, la ricerca finalizzata sul les technology assessment, cioè la diagnosi sierologica delle persone che sono vaccinate per il Covid ed hanno contratto l'infezione.

Lo studio si propone di individuare uno standard in cui tutti i test possano essere riferiti in modo che si possano comparare ed ottenendo un risultato del test si possa prevedere il potere neutralizzante e la risposta immunologica del singolo individuo.

E' stato fatto tanto lavoro in questo senso ed il nostro gruppo ha contribuito valutando tutti i casi.

Abbiamo visto l'andamento della risposta in quelli che avevano contratto il Covid rispetto a quelli che non l'avevano contratto ed anche i fattori preventivi di calo della risposta sierologica e umorale.

Abbiamo attraverso queste informazioni la visione per chi dovrà fare una terza dose di vaccino.

L'altro aspetto del nostro lavoro è valutare nei pazienti epatopatici quale sia la fragilità o il rischio che una risposta non sia efficace se la persona ad esempio è in uno stato di cirrosi scompensata o anche compensata o se ci sia in questa popolazione una necessità di fare una terza dose di vaccino”.

#### NUOVE TECNOLOGIE PER IL CONTROLLO DEL FEGATO

Inevitabilmente in un congresso sulla talassemia si è parlato dei problemi del fegato.

In questo caso ci siamo rivolti ad una vera esperta, la dott.ssa **Carla Serra** responsabile di Ecografia Diagnostica e interventistica del S. Orsola di Bologna, chiedendole come vede i progressi delle diagnostiche soprattutto sugli interventi sul fegato nei talassemici

“Oggi fra le varie tecniche diagnostiche – ha esordito - fondamentali per i pazienti talassemici, in particolare per le complicanze sul fegato, l'ecografia ha raggiunto livelli di avanzamento tecnologico molto elevati. Possiamo vedere non solo l'aspetto morfologico del fegato ma il suo andamento, la comparsa di possibili lesioni.

Possiamo anche sfruttare tecnologie che ci indicano quanto è l'evoluzione verso possibili patologie più gravi perché con tecniche che valutano l'elasticità del fegato siamo in grado di verificare il grado di fibrosi oltre a verificare l'altra componente che spesso possiamo trovare accumulata a livello epatico e cioè il grasso o steatosi.

Anche in questo caso oggi l'ecografia ha nuove tecnologie che ci permettono di quantificarlo.

Il contrasto ha cambiato, rivoluzionandola, l'ecografia, quindi in caso di lesione o alla prima osservazione o nel primo follow-up siamo in grado di caratterizzare la lesione in particolare distinguere fra lesione benigna o quant'altro.

Diagnostica a 360 gradi quindi e





### segue da pagina 17

poi modulare così la terapia perché oggi siamo in grado di guidare le tecniche ablativistiche attraverso l'ago per permettergli di arrivare all'interno della lesione, prendere un eventuale campione e poter fare i trattamenti appropriati che oggi sono diversi e ottimizzabili in base alla grandezza dell'eventuale tumore.

Tecniche al calore, radiofrequenza, microonde ed oggi si affacciano altre nuove tecnologie che ci permettono di trattare anche in posizioni ieri molto difficili.

Grande tecnologia quindi al servizio dei malati per poter permettere una sopravvivenza lunga, in caso di tumori”.

### LA METODICA SQUID PER IL CONTROLLO DEL FERRO NEGLI ORGANI

Ed a proposito del fegato la dottoressa **Filomena Longo** del reparto di Pediatria dell'ospedale di Orbasano, un Centro di eccellenza, ha ricordato una metodica in qualche modo “vecchia” e cioè lo “Squid” ed ha affermato testualmente:

“La metodica Squid la utilizziamo da ormai vent'anni e ci permette di misurare con estrema precisione quanto ferro c'è nel fegato che vi ricordo è l'organo in cui si può misurare il contenuto.

Questa metodica serve per poter ottimizzare al meglio la terapia chelante, quindi la terapia che rimuove il ferro dall'organismo.

È una tecnica come detto, relativamente vecchia che però continuiamo ad utilizzare quotidianamente in aggiunta a tutte le altre metodologie come la risonanza che sono nel frattempo venute a galla.

Utilizziamo anche una cartella elettronica dedicata a questa patologia e Torino in questo ha una grossa tradizione perché fin dagli anni '80 si era compresa l'importanza di avere degli strumenti di questo tipo e quindi abbiamo contribuito enormemente a sviluppare una cartella che si chiama “web thal” che è condivisa con moltissimi Centri italiani e anche stranieri, che ci permette di curare al meglio i nostri pazienti”.

La dottoressa Longo però ha voluto concludere con una importante osservazione.

“Nella giornata di oggi poi – ha affermato - alla quale hanno partecipato i migliori clinici e ricercatori medici mi ha particolarmente impressionato quella sorta di tavolo dove praticamente tutti hanno risposto alle tante domande dei pazienti.

Si sono fusi interesse ed entusiasmo, perché ne ho visto molto, sia in chi ha organizzato ma anche in chi ha

## “Credo che la partecipazione dei pazienti ad una alleanza terapeutica possa definirsi terapia”

partecipato.

Ho visto anche molti giovani, perché l'altro grosso problema di questo nostro campo è che dobbiamo continuare ad avere il backup di medici e operatori che siano interessati e motivati e quindi eventi di questo tipo secondo me aiutano tantissimo anche in questo senso”.

### UNA REALTA' POSITIVA RAPPRESENTATA DAI GIOVANI MEDICI

I giovani medici, un altro tema che diventa soprattutto una preoccupazione da parte dei pazienti che lo hanno espresso chiaramente in sede di dibattito.

Preoccupazioni sulla eventuale perdita di grandi professionalità.

Ecco quindi che un “vecchio” scienziato come il prof. **Aurelio Maggìo**, direttore dell'ematologia delle malattie rare dell'azienda ospedaliera universitaria “Cervello” di Palermo, ha voluto fare il punto su tante situazioni ma sicuramente anche su quella legata al così detto passaggio generazionale tra i medici che si occupano di questa patologia.

“Ci sono giovani medici che già lavorano da alcuni anni - ha esordito - presso alcuni Centri di talassemia e si è avviata anche recentemente con il nuovo Consiglio Direttivo della SITE appena votato che ha in sé persone più giovani ma che hanno già una certa esperienza nel settore talassemia.

Desidero lanciare un messaggio positivo ai pazienti che sono giustamente preoccupati di questo cambiamento.

Il processo si è avviato grazie anche al coinvolgimento, alla sensibilizzazione di tutti quelli, come me, più anziani che non vogliono lasciare questa tematica a persone inesperte quindi penso che ci sarà ancora da lavorare ma il processo si è già avviato ed è su un'ottima strada”.

### INFORMAZIONE: COME TERAPIA?

In questa giornata così intensa e partecipata si è parlato anche dell'importanza dell'informazione e questo tema lo abbiamo affrontato con la dottoressa **Susanna Barella**, Direttrice del Centro Talassemia all'ospedale Antonio Cao





di Cagliari, che lei ha definito una sorta di terapia aggiuntiva.

**“Credo che la capacità di comunicare con il paziente** – ci ha detto - *e farlo partecipare a questa alleanza terapeutica si possa definire una terapia e siano passi fondamentali perché in questo modo il paziente si fida di noi e soprattutto condivide le scelte terapeutiche nei casi in cui le terapie stesse possono essere difficili.*

*La comunicazione deve essere secondo me bi-direzionale addirittura tri o multi disciplinare perché in questa comunicazione c'è il rapporto medico paziente e non soltanto ma con gli infermieri che svolgono un ruolo fondamentale e tutti gli operatori sanitari che hanno un ruolo essenziale.*

*E non dimentichiamo mai anche il rapporto con la famiglia quando abbiamo dei bambini e poi con la famiglia che i pazienti stessi si creano.*

*Tutto questo perché la talassemia accompagnerà il paziente per tutta la vita ed è multiorgano e quindi richiede molti specialisti anche esterni alla struttura dove il paziente è seguito.*

*Un gruppo di professionisti che permetteranno al paziente di vivere una vita piena”.*

Da parte di tutti i professionisti con i quali c'è stata la possibilità di scambiare brevi incontri un vero e proprio coro unanime ha definito il target di oggi molto importante soprattutto perché legato al dibattito ed alla interazione con i pazienti sulle terapie.

#### L'IMPORTANZA DEL DIALOGO CON I PAZIENTI

Anche il dott. **Alberto Merighi** Direttore di Gastroenterologia di Ferrara ha voluto ribadire il concetto del come sia importante dialogare con i pazienti perché: *“... anche per noi si vedono le cose e le problematiche da punti di vista diversi e in qualche modo si torna ad imparare attraverso riflessioni su ciò che facciamo tutti i giorni.*

*È un aggiornamento per noi diverso dal solito dialogo che avviene fra professionisti soprattutto sulle nuove terapie”.*

#### MULTIDISCIPLINARIETA' E' IL NUOVO CONCETTO CHE RIGUARDA L'ASSISTENZA

Il Prof. **Greco Pantaleo** Direttore dell'Unità Operativa di ginecologia di Ferrara, un reparto importante per quanto riguarda la multidisciplinarietà del paziente talassemico

## La dichiarazione del prof. Franco Locatelli presidente del Consiglio Superiore di Sanità

# IL PUNTO SULLA TERAPIA GENICA

## L'industria che l'ha promossa ha deciso di interrompere le attività di sviluppo di commercializzazione in Europa

co perché deve affrontare anche le tematiche legate alla gravidanza e alla menopausa, un tema importantissimo per le pazienti donne ci ha detto che: *“...è un tema estremamente importante, noi seguiamo, insieme con il gruppo diretto dalla dott.ssa Gamberini che è il dominus di questa situazione, le donne sia per quanto riguarda la loro vita riproduttiva sia per quanto riguarda la gravidanza, sia per quanto riguarda il termine della vita riproduttiva.*

*Queste donne le seguiamo non solo per la gravidanza ma anche per la richiesta di contraccezione di qualsiasi tipo, poi ovviamente per la gravidanza, prima nella programmazione di quest'ultima quindi nell'epoca pre concezionale e poi durante la gravidanza per l'espletamento del parto, nel periodo del puerperio in particolare l'allattamento e poi nel proseguo della loro vita con la contraccezione e poi eventualmente terapia sostitutiva ormonale quando si giunge nella fase della vita della donna in cui l'attività ovarica si esaurisce”.*

Il **Professore Franco Locatelli**, presidente del Consiglio superiore di sanità e coordinatore del Comitato Tecnico Scientifico, gli abbiamo chiesto di fare il punto sulle nuove terapie soprattutto perché i

pazienti fanno domande.

*“Per quanto riguarda la terapia genica direi che ci sono due grandi filoni di traslazione clinica di grande interesse: la terapia genica e il così detto genome editing.*

*Entrambi stanno dando dei risultati decisamente molto interessanti. Le racconto che con la terapia genica a Roma abbiamo trattato 10 pazienti tutti 10 hanno smesso di ricevere trasfusioni e con il genome editing abbiamo trattato pure una dozzina di pazienti e tutti hanno risposto in maniera eccellente al trattamento.*

*Semmai la preoccupazione è per quel che riguarda la terapia genica, la Company l'industria che l'ha promossa ha deciso di interrompere le attività di sviluppo di commercializzazione in Europa.*

*Tutto questo crea preoccupazione in termini di disponibilità per i pazienti, anche italiani visto che siamo uno dei paesi europei e sui cui bisognerà fare il massimo per far rientrare questa decisione che è di fatto un'iniziativa di carattere politico rispetto alla quale anche ho già personalmente sensibilizzato in più di un'occasione il Ministro della Salute.*

*Peraltro di per sé è già lui molto sensibile a tutti coloro che soffrono in particolare al mondo dei talassemici”.*





**Abbiamo incontrato la dottoressa Raffaella Origa, una pediatra che svolge la sua attività presso l'ospedale Microcitemico dell'ARNAS Brotzu di Cagliari, ed è anche ricercatrice presso l'Università di Cagliari, neo presidente della SITE, durante la due giorni di convegni di Ferrara il 25 e 26 di settembre e le abbiamo rivolto alcune domande in relazione al suo impegno sia come ricercatrice che come medico che cura i talassemici sardi.**

*“Come ricercatrice – ha esordito - mi occupo di ricerca clinica sulle emoglobinopatie e principalmente sulla talassemia.*

*Da diversi anni sono la responsabile di diversi trials clinici che riguardano le nuove molecole per la gestione della talassemia stessa ed inoltre mi occupo di pensare quali possano essere le ricerche da investigare nell'ambito della talassemia e delle emoglobinopatie in genere.*

*La mia carriera universitaria è stata un poco frammentata ma dal marzo di quest'anno sono di nuovo ricercatrice ma continuo quotidianamente la mia attività assistenziale rivolta ai pazienti talassemici.*

*All'ospedale Microcitemico mi occupo principalmente di persone con beta talassemia trasfusione dipendente cioè talassemici major.*

*Il Centro ne segue circa 470 che trasfondono regolarmente ogni due-quattro settimane*

*Abbiamo anche qualche centinaio di pazienti che non sono dipendenti dalla trasfusione affetti da beta e alfa talassemia dei quali però io non mi occupo personalmente.*

*Da noi i pazienti, essendo numerosi, hanno un medico di riferimento ed io personalmente ne seguo 85, giornalmente, anche se in assenza dei colleghi mi occupo anche degli altri.*

*Siamo un bel gruppo coeso di medici che collaborano positivamente.*

*Per quanto riguarda pazienti con drepanocitosi da noi ne afferiscono circa una quindicina”.*

## INTERVISTA ALLA DOTTORESSA ORIGA DEL MICROCITEMICO DELL'ARNAS BROTZU DI CAGLIARI

**Neo eletta presidente della SITE (Società Italiana di Talassemia ed Emoglobinopatie) e ricercatrice dell'Università di Cagliari**

**Da neo presidente della SITE vorrebbe spiegare ai nostri lettori che cos'è?**

*“È una società scientifica nell'ambito delle emoglobinopatie e significa Società Italiana di Talassemia ed Emoglobinopatie.*

*Raccoglie figure professionali diverse. Medici di varie discipline ad esempio come me che sono pediatra, ma ci sono anche ematologi, internisti, infermieri, biologi e assistenti sociali.*

*In pratica tutti coloro che si occupano di prevenzione, di assistenza, di ricerca, di supporto ai pazienti, sia bambini che adulti, nell'ottica di una integrazione tra i vari professionisti ed anche di aggiornamento continuo che riteniamo poi sia la base per seguire al meglio tutti i pazienti”.*

**Sappiamo che nel nostro Paese le persone con talassemia sono seguite in moltissimi Centri, non tutti dedicati alla talassemia o alle emoglobinopatie, molti di piccole dimensioni sono alloggiati in reparti come i Centri trasfusionali o altro. Esiste uno scambio di notizie tra di voi sul modo di governare il sistema italiano o le comunicazioni non sono continue?**

*“L'assistenza al paziente nel nostro Paese è certamente di tipo cosiddetto eterogeneo ed esistono tante realtà piccole all'interno dei Centri trasfusionali o di altri Reparti (Pediatria, Oncoematologia etc.) che non hanno le emoglobinopatie come unica missione.*

*Considerando che la talassemia è una patologia complessa e che richiede una expertise specifica, numerosi specialisti che facciano rete intorno al talassemologo, e un continuo aggiornamento per le continue novità di questo periodo, una situazione ottimale non è certamente presente dappertutto.*

*Il primo passo che la SITE ha compiuto e ritengo sia molto importante in quest'ottica, è quello di un censimento che raccolga tutti i Centri di ogni dimensione e ne raccolga soprattutto le caratteristiche. Per il momento hanno aderito 131 Centri e già si nota chiaramente che ci sono pazienti che sono*

*seguiti in strutture che non hanno a disposizione tutto ciò che è necessario per essere seguiti in maniera completa e ottimale e questo fa certamente la differenza condizionando la prognosi in maniera determinante.*

*Quindi, come detto, stiamo proseguendo in questa indagine conoscitiva.*

*In questo nuovo ruolo mi sento di desiderare che la SITE non sia vista come una società elitaria ma vorrei che qualunque professionista in qualsiasi parte del nostro Paese ed anche in Centri piccolissimi, portasse le sue difficoltà e le sue richieste e mi piacerebbe coinvolgere sempre di più i professionisti che magari sino ad oggi sono rimasti nell'ombra.*

*Sono convinta che tutti possiamo dare un contributo e ritengo altrettanto che il coinvolgimento sia un passo essenziale per rinnovare l'interesse nella cura dei pazienti, soprattutto perché non possiamo accettare che esistano pazienti trattati in modo diverso e non idoneo”.*

**Sappiamo tutti della mancanza di sangue periodica ed a volte prolungata non soltanto stagionalmente, in quasi tutto il territorio nazionale.**

**Pensa che sia la SITE, magari in collaborazione con le associazioni dei pazienti, potrebbe mettere in atto azioni per uscire da questa situazione?**

*“Sarebbe certamente per me la più grande conquista ma francamente non so se ce la faremo anche se certamente, insieme, ci proveremo sia con le associazioni dei pazienti che con le istituzioni preposte.*

*A breve avremo una riunione con il Centro Nazionale Sangue ed è importante che le istituzioni conoscano la realtà e le dimensioni del problema.*

*Sono convinta e lo dico perché provengo da*

*una Regione, la Sardegna, che oltre che molti pazienti ha grandi problemi da questo punto di vista e sono convinta che si possano decisamente migliorare le cose con una migliore organizzazione a livello sia nazionale che regionale.*

*Mi rendo conto che non sarà facile ma la SITE si propone di entrare nel pro-*



blema su vari fronti, iniziando da quello della donazione.

Siamo decisamente al fianco dei pazienti e nella prima riunione del nuovo Consiglio Direttivo abbiamo istituito un gruppo di lavoro che si occuperà proprio delle iniziative sul territorio ed in particolare di quelle per promuovere sul territorio la donazione che poi è alla base di tutto perché possiamo avere tante e nuove terapie ma se manca il sangue tutto è vanificato per la qualità di vita dei pazienti che non arriveranno a guarigione completa”.

**A Ferrara, da dove stiamo parlando in questo momento, abbiamo visto molte facce nuove di giovani medici.**

**I pazienti da tempo temono per questa difficoltà nel ricambio generazionale.**

**Pensiamo soprattutto al rischio di perdita delle professionalità importanti.**

**Sappiamo però che la SITE sta facendo una politica di informazione basata su incontri con i nuovi medici.**

**Quali obiettivi vi prefiggete?**

“Questo è effettivamente un problema reale e non ancora risolto.

La cosiddetta crisi delle vocazioni in questo campo c'è ed in parte credo che dipenda dal fatto che un tempo, tradizionalmente il professionista che andava ad occuparsi di talassemia era il pediatra ed ora trovare dei pediatri che abbiano voglia ed interesse a seguire pazienti che oggi nella maggior parte dei casi bambini non sono più, non è semplice.

Penso che di talassemia possano occuparsi altrettanto bene pediatri o medici internisti o ematologi; l'importante che ci sia la passione e la consapevolezza che la talassemia non si può gestire da soli ma che si ha necessità di una serie di professionisti.

Per quanto riguarda la SITE è stata organizzata dal precedente Consiglio Direttivo una Master Class rivolta ai giovani interessati alla talassemia ed alle emoglobinopatie in genere.

Ci piacerebbe ripeterla ed affiancarla ad un'altra Master Class rivolta al personale infermieristico che non è certo di secondaria importanza.

Il paziente sa bene infatti quanta importanza abbia un personale infermieristico competente e soprattutto umanamente adatto a seguire questi pazienti che soffrono di una malattia cronica. Insisto nel rimarcare che non ci siano soltanto specialisti medici ma anche infermieri specialistici”.

**Lei è studiosa e ricercatrice di nuove molecole.**

**Come vede il futuro della cura, al di là naturalmente di avere il sangue sufficiente?**

## “Con passione e consapevolezza la talassemia si gestisce con una serie di professionisti”

**Quali sono le novità anche, quelle vere e non quelle che sentiamo spesso troppo esagerate, per quanto riguarda la terapia genica o meglio il miglioramento comunque di una qualità di vita che è già nettamente migliorata?**

“Come detto anche al congresso, la terapia genica con lentivirus, che ha prodotto risultati decisamente interessanti e aveva già ricevuto l'autorizzazione ad essere impiegata in Europa per un sottogruppo di pazienti con talassemia trasfusione-dipendente, ha avuto uno stop per problemi legati alla decisione sul prezzo.

Continuano ad andare avanti, e con risultati decisamente interessanti, gli studi sull'altro tipo di terapia genica, l'editing genomico, per il quale in Italia è coinvolto l'ospedale Bambin Gesù.

Per quanto riguarda le altre terapie, a Cagliari siamo coinvolti negli studi incentrati sul Luspatercept (è una molecola innovativa in grado di ridurre la necessità di trasfusioni - n.d.R.) che è la molecola decisamente più vicina ad essere utilizzata nella pratica clinica.

Stiamo aspettando che compaia sulla Gazzetta Ufficiale e siamo ragionevolmente certi che divenga disponibile entro qualche mese.

Ciò che mi aspetto non è una risposta miracolosa in tutti i pazienti e questo per l'esperienza ormai acquisita in questo campo e dai dati già presenti in letteratura.

Penso però che sia uno strumento valido che possa offrire un aiuto nel senso di migliorare ulteriormente la qualità di vita ed anche un aiuto nel senso della conseguente introduzione di una minore quantità di ferro e quindi un aiuto per quanto riguarda l'efficacia della chelazione.

Il problema è che ora abbiamo soltanto degli indizi e non troppe certezze relativamente a quello che sarà il paziente ideale per avere la massima risposta al Luspatercept. Per questo ci sarà da lavorare.

Negli studi clinici infatti come sempre ci si rivolge ad una popolazione molto selezionata e quindi bisognerà vedere che impatto avrà il luspatercept nella realtà clinica.

La SITE ha creato un gruppo di studio che si occuperà di aiutare il clinico a utilizzare questo farmaco nel modo migliore e per avere la massima risposta -cosa non scontata, anzi che richiede attenzione ed esperienza-.

Questo gruppo di lavoro cercherà anche di rispondere alla domanda su chi è il paziente ideale per ricevere luspatercept, analogamente a quanto fatto per la terapia genica.

Ripeto comunque che sono convinta che in una parte dei pazienti otterremo dei risultati significativi in quanto già lo vedo con il protocollo compassionevole che sta coinvolgendo molti Centri tra cui quello di Cagliari.

Ci sono molte altre molecole in studio, o ancora nella fase di sperimentazione sugli animali o nelle prime fasi sull'uomo.

Sono soprattutto molecole che agiscono sulla eritropoiesi (è il processo di formazione dei globuli rossi attraverso una serie di elementi cellulari immaturi - n.d.R.) o sull'assorbimento del ferro a livello gastrointestinale, che sono due processi tra loro legati.

Nessuna di loro sembra poter essere risolutiva, ma ciascuna potrebbe dare il suo contributo ed è possibile che la talassemia divenga come altre patologie, ovvero da affrontare attraverso una politerapia, con più farmaci che cooperano insieme agendo sia sul versante anemia che su quello dell'accumulo di ferro.

In questo modo sarà probabilmente possibile una gestione sempre migliore per quei pazienti, soprattutto adulti, che non saranno candidabili per la guarigione con la terapia genica e che se ne potranno avvantaggiare con notevoli benefici sulla qualità della vita.

In conclusione, abbiamo un enorme entusiasmo per quello che sarà il futuro, ma è importante, soprattutto per terapie che al momento hanno coinvolto un limitato numero di pazienti e per un periodo di tempo limitato, essere molto prudenti.

Possiamo prevedere per i prossimi anni un'altra era e sono fortemente ottimista in questo senso, però per il momento i piedi li teniamo ben fermi a terra”.



Un'intervista di OMAR ai ricercatori Sandrine Chamayou, Antonino Guglielmino e Aurelio Maggio

## STATO DELL'ARTE DELLA DIAGNOSI GENETICA PREIMPIANTO E LE DOMANDE SULLA TECNICA

L'approfondimento speciale con le interviste e le risposte degli esperti sulla tecnica, i costi e le possibilità alternative

La diagnosi genetica preimpianto (PGD) è una procedura che consente alle coppie "a rischio" di malattie geneticamente trasmissibili (quelle in cui entrambi i partner sono portatori sani del difetto genetico, come la talassemia e la fibrosi cistica), di evitare il rischio che il loro bambino nasca con la malattia genetica di cui sono portatori. Si tratta di una procedura attiva solo in pochissimi Centri di cura italiani a costi sostenuti e con esiti incerti. Per fare il punto su tutti questi aspetti della PGD, l'invio dell'Osservatorio Malattie Rare ha intervistato il dottor Antonino Guglielmino - Presidente Società Italiana Riproduzione Umana (SIRU), Ginecologo e Direttore Sanitario del Centro Hera di Catania e la dottoressa Sandrine Chamayou, embriologa e biochimica del medesimo Centro.

È stato intervistato anche il prof. Aurelio Maggio, Direttore del Campus di Ematologia "Franco e Piera Cutino" di Palermo, uno degli ematologi italiani con maggiore esperienza nel campo della Talassemia, per comprendere quanto oggi la PGD sia una reale opportunità per le coppie "a rischio" di anemia mediterranea.

**Dottor Guglielmino, iniziamo da lei. Qual è l'obiettivo della PGD per una coppia "a rischio" di talassemia?**

"L'obiettivo della diagnosi genetica preimpianto è, in generale, quello di iniziare una gravidanza con degli embrioni che siano stati testati dal punto di vista genetico - in questo caso la talassemia - per identificare la presenza della malattia genetica negli embrioni generati in vitro.

Così facendo si evita l'inizio di una gravidanza con un embrione affetto, ossia un embrione che svilupperà la malattia. Pertanto, si impianterà sia l'embrione sano, sia l'embrione portatore sano della malattia, nel nostro caso di talassemia.

Perché l'obiettivo non è eliminare il tratto genetico ma far in modo che il feto non sviluppi la malattia".

**Qual è il percorso che deve seguire una coppia "a rischio" di talassemia per accedere alla PGD?**

"Il percorso è il medesimo che segue una coppia infertile che accede ad un trattamento di procreazione medicalmente assistita (PMA) per permettere il recupero di ovociti da fertilizzare con gli spermatozoi del partner. Mentre nella coppia che ha un problema di infertilità l'embrione fecondato in vitro è trasferito direttamente nell'utero della donna - spiega il Presidente della SIRU - nel caso della coppia "a rischio genetico" l'embrione deve essere prima sottoposto ad una analisi molecolare per individuare la presenza delle mutazioni della malattia. Dopo la fertilizzazione, infatti, gli embrioni sono "coltivati" in vitro per raggiungere - tra il quinto e il sesto giorno - lo stato di sviluppo chiamato blastocisti. A questo stadio vengono prelevate qualche cellula del trofoblasto, le prime cellule che sviluppano la placenta. Quindi non si fa un intervento diretto sull'embrione, ma sulle cellule che poi costituiranno la placenta. Le cellule prelevate dal trofoblasto - circa cinque cellule - sono analizzate e processate al fine di determinare la presenza (o l'assenza) delle mutazioni causative. Pertanto, per le coppie "a rischio genetico" è previsto un passaggio in più rispetto alle coppie infertili".

**Quali sono le percentuali di successo della PGD?**

"Come prima cosa, dobbiamo distinguere due fasi - spiega la Dr.ssa Chamayou - La fase preparativa alla diagnosi genetica di preimpianto vera e propria e la fase (successiva) della fecondazione in vitro. Per la prima fase - poiché per la PGD, come detto, l'obiettivo è quello di individuare gli embrioni non malati a differenza della diagnosi prenatale che ha l'obiettivo di rilevare la presenza del feto malato - innanzitutto è necessario conoscere esattamente gli alleli dei pazienti, ossia la sequenza genetica del gene, che si trovano nella stessa posizione su ciascun cromosoma omologo. Per farlo procediamo con un set molecolare, ossia chiediamo alla coppia, ma anche ai loro familiari più vicini, di eseguire un prelievo di sangue perché dobbiamo conoscere l'allele mutato non soltanto a livello del punto della mutazione, ma anche comprendere se attorno al punto della mutazione vi sono dei polimorfismi. Riuscendo a fare un set-up molecolare appropriato, come appena descritto, l'attendibilità della diagnosi dal

punto di vista molecolare è altissima, oltre il 95%. Per quanto riguarda la seconda fase, quella della percentuale di fecondazione, molto dipende dalla coppia. Se si tratta di una coppia giovane - tra i 20 ed i 35 anni - la riserva ovarica della donna è molto buona e la probabilità di avere delle blastocisti è attorno al 50-70%. Quando l'età della donna supera i 35 anni, la resa è decisamente più bassa. Gli embrioni devono avere la possibilità di raggiungere lo stato di blastocisti e in età avanzata la probabilità che lo raggiungano si abbassa. In questi casi il nostro Centro valuta le capacità delle coppie di eseguire un percorso di diagnosi preimpianto con buon esito."

Le procedure per la procreazione medicalmente assistita e per la diagnosi genetica preimpianto possono avere effetti collaterali?

"Più che di effetti collaterali parlerei di possibili complicanze - spiega Guglielmino - La prima riguarda la possibilità di avere una gravidanza plurima, caso in cui la patologia ostetrica aumenta notevolmente, tanto che spesso questa tipologia di gravidanze non arriva a conclusione. Ma questo aspetto con la diagnosi preimpianto viene eliminato poiché gli embrioni vengono crioconservati e trasferiti successivamente in utero uno per uno. L'altra complicanza potrebbe essere di carattere chirurgico, durante il prelievo ovocitario ci potrebbe essere uno stillicidio ematico che richiede un successivo intervento per chiudere il vaso rimasto aperto. Si tratta di casi estremamente rari, parliamo dello 0,5-0,6% dei casi. Inoltre, potrebbe esserci uno stato di discomfort della donna per l'iperstimolazione, ossia una eccessiva produzione di follicoli dovuti proprio alla procedura della DGP. Questo può produrre per la donna dei fastidi - seppur transitori, della durata di 10-15 giorni circa - come nausea, vomito, dissenteria".

**Qual è l'atteggiamento delle coppie "a rischio" di talassemia nei confronti della PGD?**

"Su questo argomento abbiamo realizzato nel 1998 uno studio relativo al grado di accettabilità della diagnosi genetica preimpianto da parte delle coppie "a rischio" di talassemia. I risultati dello studio pubblicato su Human Reproduction - spiega la Dr.ssa Chamayou - indicavano come quasi l'87% degli intervistati ritenesse accettabile praticare la PGD. Oggi, a distanza di



oltre 20 anni da quello studio, posso dirle che, per quello che è la nostra esperienza, eseguiamo moltissime diagnosi genetiche preimpianto per la fibrosi cistica, altra malattia geneticamente trasmissibile. Mentre realizziamo soltanto 15 cicli l'anno per talassemia. Questa differenza, a mio avviso, può essere spiegata in due modi: o la PGD è poco conosciuta tra le coppie "a rischio" di talassemia, o il miglioramento della qualità della vita dei pazienti con talassemia è stato tale, negli ultimi anni, da indurre le varie coppie a procedere con la gravidanza, anche se il feto risultasse affetto, senza intraprendere il percorso della diagnosi preimpianto".

**Qual è oggi la qualità e l'aspettativa di vita di un paziente con talassemia? Quanto questo può incidere sulla scelta di un percorso di PMA con diagnosi preimpianto?**

"La talassemia è una anemia ereditaria che comporta, per chi ne è affetto, la necessità di sottoporsi, ogni 15-20 giorni, a trasfusioni di sangue, fin dal sesto mese di vita e per tutta la vita. Il trattamento di questa malattia – spiega il Prof. Aurelio Maggio, Direttore del Campus di Ematologia "Franco e Piera Cutino" di Palermo – ha fatto notevoli progressi negli ultimi venti anni, in quanto alle trasfusioni di sangue si accompagnano le terapie chelanti, ossia quelle terapie che riducono il ferro in eccesso causato dalle continue trasfusioni evitando, in questo modo, le complicanze d'organo che l'accumulo di ferro produrrebbe. Le trasfusioni di sangue, tra l'altro, sono diventate notevolmente più sicure in termini di rischi infettivologici, poiché il sangue viene controllato per tutti i virus. Inoltre il sangue viene conservato in anticoagulanti che ne mantengono una vitalità dei globuli rossi molto prolungata. Quindi, sia l'aspettativa di vita – con pazienti che raggiungono oltre i 60 anni di età –, sia la qualità di vita – con pazienti che sono diventati nonni – sono nettamente migliorate. Con l'arrivo delle terapie innovative si potrebbe sperare ragionevolmente, in un recente futuro, in una guarigione".

**Quale ruolo ricoprono oggi, alla luce di quanto ci ha appena detto, la diagnosi prenatale e la diagnosi genetica preimpianto per le coppie "a rischio" di talassemia?**

"Il ruolo di queste due diagnosi è un po' cambiato rispetto al passato – prosegue l'ematologo – Oggi, considerando i miglioramenti della sopravvivenza dei pazienti di cui ho appena parlato, per l'anemia mediterranea si parla di malattia a prognosi aperta, quindi la coppia "a rischio" di talassemia deve poter decidere consapevolmente se effettuare o meno la diagnosi e per farlo è necessario che sappia che la sopravvivenza dei pazienti è più lunga, che è possibile controllare le complicanze e che è possibile sperare in terapie innovative che mirano concretamente alla guarigione. In questo ambito svolge un ruolo importante la consulenza genetica fatta alla coppia, questa consulenza deve essere ben calibrata in modo da prospettare con esattezza i tempi, la durata e la sto-

## LA RICERCA TENDE AD EVITARE IL RISCHIO CHE IL BAMBINO NASCA CON LA MALATTIA DEI GENITORI CHE SONO PORTATORI

**La coppia "a rischio" di talassemia deve poter decidere consapevolmente se effettuare o meno la diagnosi e per farlo è necessario che sappia che la sopravvivenza dei pazienti è più lunga**

ria della malattia non tralasciando le prospettive future, perché un bambino che nasce oggi con la talassemia ha davanti oltre 60 anni di vita e la prospettiva della guarigione".

**Qual è oggi in Italia la situazione normativa in merito alla diagnosi genetica preimpianto per le coppie a rischio di talassemia? Cosa prevede esattamente la legge?**

"Il quadro normativo in tema di PGD è mutato negli ultimi anni – spiega Guglielmino – Originariamente, con la cosiddetta legge 40 – la legge del 19 febbraio 2004, n. 40 – l'accesso alle tecniche di procreazione medicalmente assistita era riservato esclusivamente alle coppie infertili.

Successivamente, la Corte Costituzionale, con sentenza depositata il 5 giugno del 2015, ha dichiarato illegittimi quegli articoli della legge 40 che escludevano l'accesso alla procedura di procreazione medicalmente assistita alle coppie fertili portatrici di malattie genetiche trasmissibili certificate, ossia le cosiddette coppie "a rischio".

E grazie a questa sentenza della Corte Costituzionale che queste coppie – come ad esempio le coppie in cui i partner sono entrambi portatori sani di talassemia – possono accedere al percorso della PMA e della PGD."

**Sono molti i Centri in Italia, pubblici o privati, che eseguono la PGD?**

"Purtroppo no. I Centri italiani a cui le coppie possono rivolgersi sono soltanto quattro.

Si tratta di tre Centri privati ed uno pubblico. L'unico Centro pubblico in cui la procedura non ha alcun costo è quello di La Fratta di Cortona, in Toscana. Poi ci sono i Centri privati come Altamedica e Villa Mafalda a Roma e il Centro di Catania da me diretto. Va detto che, per svolgere l'analisi molecolare, quasi tutti questi Centri si avvalgono della collaborazione di laboratori esterni.

Abbiamo così un "viaggio" delle cellule che vengono prima prelevate nel laboratorio di fecondazione in vitro, poi congelate e spedite nel laboratorio esterno di genetica che farà l'analisi molecolare, per poi essere rispedite indietro insieme alla comunicazione di quali siano gli embrioni malati, non malati o portatori.

Questo aspetto – che avviene per mancanza di attrezzature adeguate e personale formato – può incidere sulla efficacia dell'intera procedura. Negli anni il nostro centro si è strutturato in modo da poter eseguire l'intera procedura al proprio interno, evitando il "viaggio" delle cellule e così assicurando una maggiore stabilità e qualità delle procedure".

**Parliamo dei costi della PMA e della PGD, quanto gravano per la coppia che desidera accedere a queste procedure?**

"Purtroppo i costi che ricadono sulla coppia sono certamente rilevanti – spiega la Dr.ssa Chamayou – Non esiste un prezzario unico, nel senso che i costi nei centri privati sono molto variabili. Per quanto riguarda il nostro Centro posso dirle con certezza che la PGD costa 2.700 euro, a cui si aggiunge un costo analogo per la tecnica di fecondazione in vitro. Ad oggi entrambi i costi sono esclusivamente a carico della coppia."

**Il Sistema Sanitario Nazionale in tal senso è del tutto assente e la situazione è uguale in tutta Italia?**

"La Corte Costituzionale nel 2015 ha di fatto consentito l'accesso alla PGD anche alle coppie fertili a "rischio" di trasmettere una malattia genetica al proprio figlio – spiega Guglielmino – Inoltre, dal 2017, i percorsi di riproduzione medicalmente assistita sono entrati a far parte dei livelli essenziali di assistenza (i cosiddetti LEA), quindi teoricamente il costo della tecnica della fecondazione in vitro non dovrebbe essere a carico della coppia, ma garantita dal sistema sanitario.

Di recente il sottosegretario alla Salute, Pierpaolo Sileri, ha dichiarato che entro il 2021 saranno stanziati i fondi necessari per garantire la gratuità della procedura. In questo momento in Sicilia il costo della riproduzione medicalmente assistita è interamente a carico della coppia, anche nei centri pubblici. Tra l'altro, essendo la Sicilia una regione con alta frequenza di coppie a "rischio" di talassemia, sarebbe auspicabile, a mio avviso, che l'Assessorato regionale alla Salute se ne facesse integralmente carico, consentendo così alle coppie un accesso totalmente privo di costi, sia per la PGD, sia per la fecondazione in vitro che, come appena detto, dovrebbe già esserlo".

# FISIOCAMP A CARAMANICO TERME



Si è svolto dal 14 al 19 settembre 2021 a Caramanico Terme, paese da sempre conosciuto per la struttura termale, il FisioCamp '21.

Nel corso degli ultimi "FisioCamp" l'associazione A.M.A.R.E. ha offerto agli emofilici di alcune Regioni Italiane e alle loro famiglie un'occasione informale di incontro con gli specialisti.

In tali occasioni gli emofilici hanno avuto la possibilità di essere sottoposti a screening articolari, riunioni di approfondimento dove poter formulare domande ai clinici chiarendo dubbi e aumentando la propria conoscenza della malattia, delle terapie attuali e della loro gestione.

Anche quest'anno il FisioCamp ha riunito Quattro Regioni, Abruzzo, Molise, Toscana e Campania, istaurando un rapporto ancora più saldo tra associazioni ed emofilici.

Nei cinque giorni si sono svolte attività fisioterapiche personali e di gruppo, seguiti dalla fisioterapista preparata a dovere sugli emofilici Alessia Orfanelli.

Allo stesso tempo un altro gruppo di emofilici si cimentava in piscina con esercizi di rilassamento e movimento accompagnati da un istruttore d'eccellenza Roberto Centurame.

Con l'aiuto del dott. Alberto Catalano gli emofilici si sono aperti a racconti ed esperienze sulla malattia e sulla necessità di aiuto anche psicologico, raccolti come una famiglia davanti al focolare.

Nel paesaggio incantevole di Caramanico Terme si intravedono percorsi che si inerpicano verso l'interno della montagna, occasione ideale per gli emofilici per dimostrare la loro forza d'animo e la sicurezza della profilassi.

Accompagnati dai nostri ematologi, la Dott.ssa Patrizia Di Gregorio e il Dott. Alberto Catalano, gli emofilici intraprendenti varcano l'inizio del sentiero che porta nella Valle dell'Orfento per poi risalire 156 gradini che riportano a casa dopo aver visitato posti incantevoli, cascate e pendii rocciosi.

Sabato nell'ex convento delle Clarisse, si è svolto il convegno sulle nuove terapie promosso da A.M.A.R.E. avvalendosi dei Centri Emofilia di Chieti e Pescara e delle dottoresse Patrizia Accorsi e Patrizia Di Gregorio, Direttori dei due Centri emofilia, si è svolto il programma dell'incontro ed un dibattito sulla collaborazione e sulla alvanguardia del paziente emofilico. Con la moderazione della dott.ssa

Paola Ranalli si sono avvicendate le relazioni del Dott. Raniero Malizia, della Dott.ssa Giovanna Summa, del Dott. Alberto Catalano, della Biologa Daniela Bruno. Ha partecipato il Prof. Christian Carulli con la relazione su "Artropatia e chirurgia ortopedica".

Il ritorno a casa ha dato più consapevolezza e ricchezza di informazioni positive sulla nostra patologia e con tanta voglia di stare ancora insieme.

## ROBERTO CENTURAME 2° CLASSIFICATO AL CAMPIONATO ITALIANO PARA CLIMBING

Sabato 22 maggio 2021, il Centro Tecnico Federale e di preparazione olimpica di Arco di Trento, ha ospitato il Campionato Italiano Paraclimbing. Il 2° classificato per la categoria RP3, è stato Roberto Centurame (The Change Climbing di Montesilvano), emofilico A grave e grande sportivo. Istruttore di nuoto e responsabile sportivo dell'Associazione A.M.A.R.E.

Con il suo risultato si vuol dimostrare che nulla è impossibile, dopo la maratona di New York e la camminata di Santiago de Compostela. Roberto risulta essere uno degli emofilici più attivi e preparati.

Un esempio da seguire?

Ci sia permesso un commento che faccia tenere i piedi ben piantati a terra a tutti gli emofilici che giustamente praticano sport, soprattutto per tenere il tono muscolare integro che in fondo è il vero grande risultato.

E voi avete mai pensato a come uno sport tanto estremo quanto l'arrampicata sportiva possa essere svolto anche da persone con disabilità?

Chi è emofilico non necessariamente deve rinunciare alla propria passione sportiva o ai propri sogni, però deve anche considerare i rischi che ogni attività sportiva comporta.

Il Paraclimbing può essere fonte di benessere fisico ed emotivo, fornendo attività educativa, rieducativa e terapeutica, però non tutti potranno permettersi di svolgerlo.

Bravo Roberto... Però attenzione a non andare oltre i propri limiti.

