



RIVISTA DELL'ASSOCIAZIONE  
EMOFILICI E TALASSEMICI  
DI RAVENNA

ANNO LII - N. 8 - MAGGIO 2026

Trasparenza

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



## IN QUESTO NUMERO

**Pagina 3**  
GME 2026 - GENERAZIONE

**Pagina 5**  
MEDICINA CONTEMPORANEA  
a cura della Dott.ssa  
VERONICA GRIPPA

**Pagina 6**  
I CENTRI MEC IN ITALIA  
Intervista alla Dott.ssa  
VALDRÈ, al Prof. BRIGATI

**Pagina 14**  
UOC DI RAVENNA  
IMMUNOEMATOLOGIA E  
MEDICINA TRASFUSIONALE  
Intervista alla Dott.ssa CINZIA  
MORETTI

**Pagina 14**  
AUTONOMIA NELLA SALUTE  
a cura della Dott.ssa  
VERONICA GRIPPA

**Pagina 16**  
LA FEDERAZIONE NAZIONALE  
PER LE TALASSEMIE ED  
EMOGLOBINOPATIE UNITED  
RILANCIA LA SUA AGENDA:  
LAVORO DI SQUADRA

**Pagina 20**  
HEMO-NAR-QoL  
(Hemophilia Narrative Quality  
of Life Instrument)  
a cura della Dott.ssa  
VERONICA GRIPPA e del Dott.  
ALESSANDROGRINGERI

**Pagina 23**  
ELLA: UN'INTELLIGENZA  
CHE APPARTIENE A EX

E se provassimo a guardarci allo specchio con gli occhi degli altri? Siamo certi che le nostre intenzioni, parole, toni, sguardi tengano conto dell'altro?

Riusciamo ad esprimere con pudore e rispetto un pensiero, senza preoccuparci di ferire, colpire o mentire?

Siamo consapevoli di quante verità per noi certe, siano in realtà lettura di una verità diversa?

Quanta onestà intellettuale guida le nostre scelte, azioni, progetti e rapporti con l'altro?

Quanto siamo trasparenti?

Va bene, non è questo lo spazio più idoneo per affrontare l'astratto; la vita ci chiede di essere concreti, ad un'ideazione deve corrispondere un'azione, che non è solo un mezzo per ottenere un fine, ma ciò che dà senso alla politica, quindi pensiero che diventa progetto attuabile, non fine a sé stesso, bensì pensato per la realizzazione di un cambiamento.

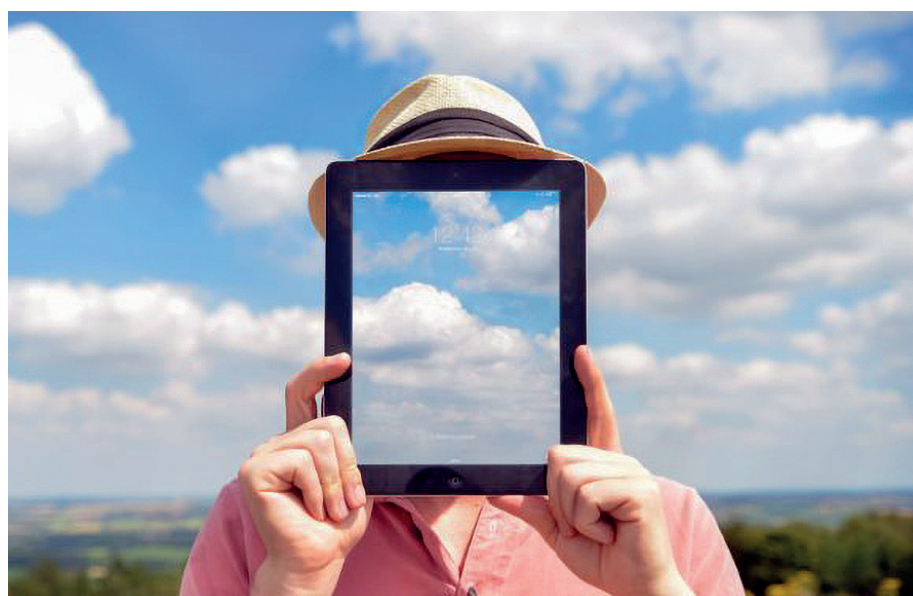
Questo è guardarsi con gli occhi dell'altro, con trasparenza, ma è pur vero che è molto difficile. Siamo più abili a raccontarci storie, per cercare consensi, giustificare i nostri bisogni, raggiungere gli obiettivi che sono solo nostri.

Raccontiamo storie per sentirci grandi in un meccanismo più grande di noi che ci trascina e ci lasciamo usare per comodità, o anche solo per pigrizia intellettuale.

Siamo obbedienti come soldatini di piombo alle leggi che ci chiedono di applicare qualcosa che a noi fa comodo, perché ci libera dall'intruso che vuole invadere il nostro spazio. E allora mancano la volontà e la capacità di mettere in discussione una norma che ci esclude, in nome di un'alleanza che è solo nelle parole, ma non negli intenti. Dobbiamo rifarci ad un modello di reciprocità che scaturisce dall'essere in accordo con sé stessi, che viene prima della ricerca del consenso da parte degli altri.

Nel Gorgia, Platone fa dire a Socrate: " ..personalmente credo, ottimo amico, sia meglio per me avere la lira scordata e suonare stonato, anche con tutto il coro di cui sono corista e che la maggior parte degli uomini sia in disaccordo con me e pensi il contrario di ciò che io penso, piuttosto che non essere in sintonia con me stesso e contraddirmi"

*Maria Serena Russo*



# GME 2026 - GENERAZIONE

## Il Valore della formazione nelle malattie Emorragiche Congenite

Il Valore della formazione nelle malattie Emorragiche Congenite, questo il tema in occasione della ricorrenza della GME, svoltasi a Roma. Come sempre momento di incontro, scambi e dibattiti.

Tra i relatori, il Dott. Castaman presidente della Siset, ha espresso come "negli ultimi anni stiamo assistendo ad un paradosso: arrivano più farmaci innovativi, di elevata qualità, che richiedono conoscenze specifiche e una gestione accurata. Questi trattamenti vanno capiti, monitorati, utilizzati con appropriatezza. Al tempo stesso, però, si registra una progressiva carenza di figure dedicate all'ambito dell'emofilia. Sempre meno giovani vengono avviati a un percorso esclusivo su diagnosi e gestione delle MEC.

Per questo è nata anche l'iniziativa della Siset di creare la figura dell'esperto di emostasi e trombosi, un professionista che possa diventare punto di riferimento almeno nelle principali realtà ospedaliere italiane. Il vero problema è l'assenza di un modello uniforme a livello nazionale. Solo alcune regioni, come Lombardia ed Emilia Romagna, hanno reti strutturate e riconosciute.

C'è inoltre il problema dei laboratori specializzati, fondamentali per la diagnosi e il monitoraggio, sono sempre meno. Così si rischia di perdere un'expertise essenziale, proprio mentre i nuovi farmaci richiedono test specifici, interpretazioni accurate e un monitoraggio adeguato con pazienti cronici, che devono essere seguiti per tutta la vita e che nel tempo cambiano approccio terapeutico."

In maniera molto esplicita il dott. Miscusi, Dir. Gen. per le Specializzazioni sanitarie, i dottorati di Ricerca e altra formazione post-universitaria del Ministero dell'Università e della Ricerca, ha affermato: "produciamo diplomi non competenza" evidenziando che "bisogna fare un percorso formativo per definire meglio le scuole di specializzazione razionalizzando i percorsi formativi con un Diploma Supplement, creato dalla Commissione Europea e dal Consiglio d'Europa, che è un documento aggiuntivo al diploma di specializzazio-



ne che certifichi competenze specifiche maturate dallo specializzando durante il percorso, per avere un bollino di competenza nella sub-specialità. Altra direttrice riguarda le Clinical Fellowship post-specializzazione, percorsi avanzati che consentono ai medici già specialisti di acquisire competenze ultra-specialistiche".

Questo in risposta alla richiesta di Fedemo di creare un percorso formativo riconosciuto sulle competenze in emostasi e trombosi, "che intercetta pienamente una criticità reale del nostro sistema. L'assenza oggi di un riconoscimento formale di questa figura professionale, che rende difficile attrarre giovani specialisti nei Centri Emofilia e trattenerli nel tempo.

Il Dott. Miscusi ha inoltre sottolineato che "affinché la riforma dia risultati e funzioni necessita di un dialogo tra mondo accademico, gli ordini professionali, le società scientifiche e le associazioni dei pazienti. In questa direzione va la proposta di Fedemo di individuare una figura specialistica che attualmente manca e che è essenziale per garantire sia continuità di cura nei Centri Emofili, sia attrattività per i giovani medici che desiderano intraprendere questo percorso altamente specializzato".

Tutto riporta essenzialmente alla responsabilità delle singole parti: clinici, istituzioni, associazioni dei pazienti e aziende, devono insieme semplificare un percorso che rischia di allontanare, nonostante l'abuso del termine "alleanza", da taluni menzionato con leggerezza.

Vogliamo pensare che le provocazioni emerse nel corso della giornata lasceranno non solo un ricordo sbiadito, bensì una riflessione su quanto in realtà è possibile costruire, condividendo sforzi, lavoro e impegno. Possibilmente insieme nella stessa stanza, non in quella accanto. In una commedia che si rispetti gli attori sono tutti sul palco.

# DATI SOLIDI, SCELTE IMPLICITE: ETICA DELLA COSTRUZIONE DELL'EVIDENZA IN EMOFILIA

A cura della Dott.ssa VERONICA GRIPPA



Nell'emofilia contemporanea disponiamo di dati sempre più solidi, derivati da studi metodologicamente rigorosi, endpoint ben definiti e analisi statistiche raffinate. La medicina basata sull'evidenza ha contribuito in modo decisivo a trasformare la storia naturale della malattia, rendendo disponibili opzioni terapeutiche efficaci e sempre più orientate alla personalizzazione del trattamento.

**Eppure, proprio questa crescente precisione rischia di generare un equivoco: considerare l'evidenza come una fotografia completa e neutrale della realtà. Ogni dato, anche il più robusto, è il risultato di una costruzione che implica scelte: quali pazienti includere, quali outcome misurare, quali tempi osservare, quali risultati privilegiare nella comunicazione finale. In altre parole, l'evidenza**

**non è solo ciò che emerge, ma anche ciò che viene selezionato per emergere.**

**Questo non mette in discussione la validità metodologica degli studi né il ruolo centrale dell'evidenza scientifica, ma invita a riconoscerne i limiti intrinseci nella rappresentazione della complessità clinica.**

Negli studi clinici in emofilia, gli endpoint sono spesso chiari, condivisi e misurabili: il tasso annualizzato di sanguinamenti, i livelli di fattore, la necessità di trattamento. Indicatori fondamentali, senza dubbio. Ma ogni scelta metodologica comporta anche un'esclusione.

**Ciò che viene definito come centrale acquisisce peso clinico e orienta le decisioni; ciò**

**che resta secondario, o non viene misurato, tende progressivamente a perdere rilevanza anche nella pratica quotidiana.**

La riduzione del bleeding rate esaurisce davvero il concetto di efficacia terapeutica? Oppure stiamo progressivamente identificando ciò che è importante con ciò che è più facilmente misurabile?

**Il rischio, in questo senso, non è metodologico ma epistemologico: confondere la precisione con la completezza.**

I dati, inoltre, non parlano mai da soli. Vengono organizzati, interpretati, narrati. In un contesto in cui più opzioni terapeutiche risultano efficaci, la differenza non risiede solo nei risultati, ma nel modo in cui questi vengono costruiti e presentati.



L'enfasi può spostarsi sulla riduzione dei sanguinamenti, sulla stabilità farmacocinetica o su indicatori di qualità di vita. Nessuna di queste prospettive è scorretta. Ma nessuna è neutrale.

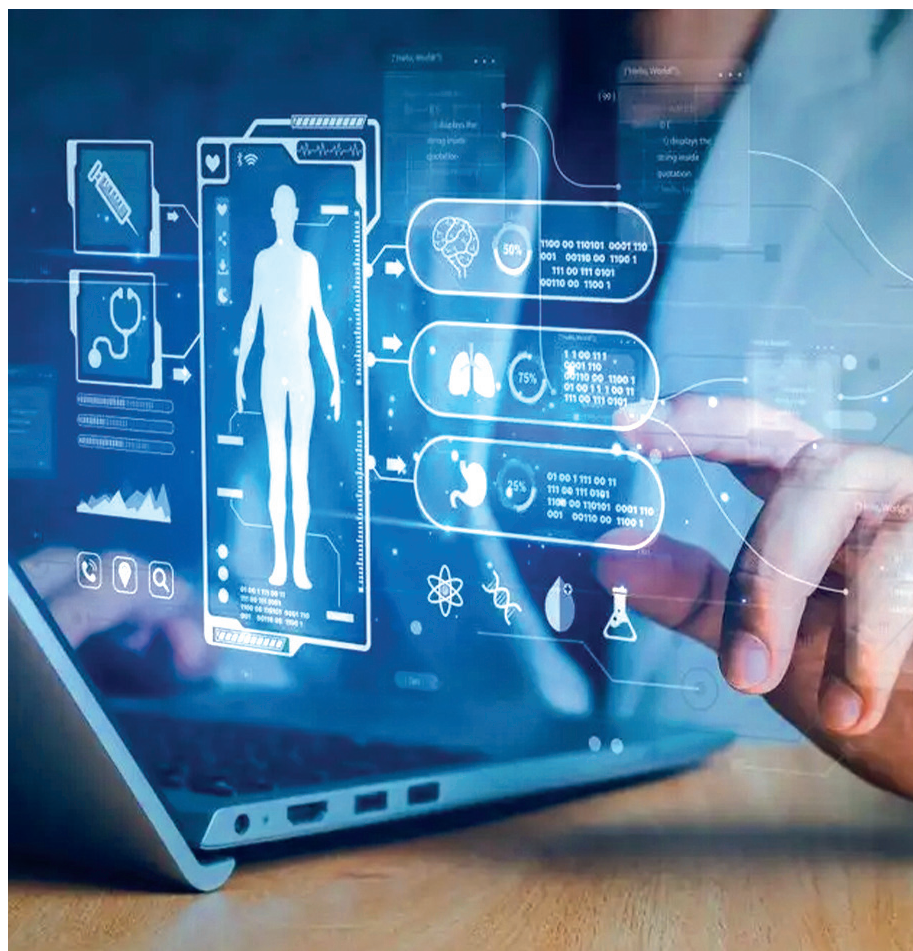
In questo senso, **la ricerca clinica non distorce i dati, ma li organizza secondo priorità che non sono mai completamente esplicite. È qui che emerge una dimensione etica spesso sottovalutata: non quella della correttezza metodologica, generalmente garantita, ma quella della selezione e della rappresentazione.**

**Il punto non è identificare distorsioni, ma riconoscere che ogni processo di produzione scientifica implica scelte che meritano di essere condivise e discusse.**

Il clinico, a sua volta, non si confronta con dati "puri", ma con evidenze già strutturate. La decisione terapeutica diventa quindi un processo di mediazione complesso: tra dati aggregati e singolo paziente, tra evidenza disponibile e contesto reale, tra efficacia dimostrata e rilevanza individuale.

Quanto siamo consapevoli del fatto che ogni scelta clinica si fonda su evidenze già orientate? E quanto il processo decisionale è realmente guidato dai dati, rispetto a come quei dati sono stati costruiti e comunicati?

In questo passaggio si delinea una responsabilità condivisa. Da un lato, quella della ricerca, chiamata a rendere sempre più trasparenti non solo i risultati, ma anche le scelte che li hanno resi possibili. Dall'altro, quella del clinico, che non può limitarsi a recepire l'evidenza, ma deve interpretarla criticamente, riconoscendone i limiti.



**In un'epoca caratterizzata da una crescente complessità terapeutica, la qualità metodologica, pur essenziale, non è più sufficiente a garantire una comprensione piena della realtà clinica. Si apre così uno spazio di riflessione che non può essere eluso. In questo scenario diventa sempre più evidente la necessità di rafforzare, all'interno della comunità scientifica, la dimensione etica, il senso di responsabilità e la trasparenza nella costruzione dell'evidenza. Il rigore metodologico, pur essenziale, quindi, non è sufficiente se non accompagnato dalla consapevolezza delle scelte che ne guidano l'impostazione e la comunicazione.**

**Proprio perché l'emofilia rappresenta oggi uno dei campi più avanzati nella produzione**

**di evidenze, essa costituisce anche un contesto privilegiato per interrogarsi criticamente su come tali evidenze vengono costruite e utilizzate.**

Forse la questione centrale non è solo produrre più dati, ma interrogarsi su come vengono costruiti, selezionati e utilizzati.

**L'emofilia è oggi uno degli ambiti in cui la medicina ha raggiunto risultati straordinari. Ma proprio per questo, il livello della riflessione deve evolvere. Non basta chiedersi se i dati siano solidi. Occorre chiedersi cosa rappresentano, cosa escludono e come orientano le decisioni.**

**Perché, in ultima analisi, l'evidenza non è mai solo un risultato scientifico. È anche un atto di scelta. E ogni scelta, anche quando implicita, porta con sé una responsabilità.**

**Continuiamo il nostro viaggio nei centri MEC. Siamo a Bologna per conoscere la realtà emiliana.**

## Assetto della rete MEC in Emilia Romagna. Si prosegue a Bologna

**Intervista alla Dott.ssa LELIA VALDRÈ, al Prof. ROBERTO BRIGATI presidente di Assemobo Bologna**



DOTT.SSA LELIA VALDRÈ

**Buongiorno Dott.ssa Valdrè, Responsabile Centro Emofilia, Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna, Policlinico S.Orsola-Malpighi, Prof. Brigati, presidente di Assemobo Bologna e Dott. Borrelli, presidente dell'Associazione del Lazio AEL.**

**BRIGATI** - Io dico solo grazie per l'opportunità, è bella questa serie, l'ho seguita.

**Domanda** *La ringrazio, credo che le cose vadano fatte finché hanno un senso e mi sembra che finora siano emersi aspetti molto interessanti in questo viaggio attraverso l'Italia delle MEC. Quindi cominciamo subito con la dottoressa Valdrè per sapere come il suo centro è riconosciuto all'interno dell'ospedale in cui opera che è il Sant'Orsola.*

**VALDRÈ** - Anche da parte mia grazie per questa bella occasione. Con il professor Brigati non ci siamo coordinati prima, ma cercheremo ora di costruire insieme un percorso condiviso.

Per rispondere alla domanda: all'interno del nostro ospedale, che è un IRCCS e azienda ospedaliero-universitaria, il Centro



DOTT. ROBERTO BRIGATI

MEC è configurato come struttura semplice dipartimentale, con una propria autonomia sia in termini di personale sia di attività. L'autonomia organizzativa e gestionale è un concetto cruciale. Traducendo concretamente: siamo una realtà piccola — composta da due medici e due infermieri — ma interamente dedicata all'assistenza delle MEC.

La nostra attività si articola fondamentalmente in due ambiti. Il primo è rivolto all'utenza esterna ed è rappresentato dall'Ambulatorio Prima Diagnosi. Qui possono essere inviati, dal medico curante o da qualsiasi specialista dell'ospedale o di altre strutture, pazienti con sospetta MEC, alterazioni della coagulazione o quadri clinici caratterizzati da segni di sanguinamento.

La persona viene valutata sia dal punto di vista clinico sia laboratoristico, con l'obiettivo di stabilire se sia effettivamente presente una malattia emorragica oppure se si possa escludere una patologia di nostra competenza. Nel momento in cui si giunge a una diagnosi di MEC, il paziente viene preso in carico dal Centro MEC, organizzato come day ser-

vice. Qui viene avviato il percorso di monitoraggio e trattamento terapeutico personalizzato.

**Le chiedo quali sono i rapporti che lei ha con i colleghi degli altri reparti, non solamente nel suo ospedale ma anche a livello regionale e, eventualmente, con altre regioni italiane.**

**VALDRÈ** - Come Centro MEC siamo punto di riferimento per l'AVEC, l'Area Vasta Emilia Centro. Questo significa che ogni sospetto diagnostico o paziente da indagare o prendere in carico nell'area di Bologna e Ferrara — per semplificare, a livello provinciale — viene indirizzato a noi. All'interno dell'ospedale svolgiamo attività di consulenza per tutti i reparti del Policlinico che si trovano a gestire problematiche della coagulazione, anche acquisite, e supportiamo la presa in carico dei pazienti con MEC che devono accedere alle diverse specialità presenti. Per quanto riguarda il versante emorragico della coagulazione, forniamo anche consulenze agli altri ospedali dell'area AVEC.

L'Ambulatorio MEC opera secondo un modello multidisciplinare e orientato alla presa in carico globale del paziente. I pazienti in genere accedono una o due volte l'anno per visite di follow-up programmate, e ogni volta che sia necessaria una valutazione urgente o un trattamento preventivo in vista di procedure invasive. Ogni accesso prevede inizialmente un triage infermieristico, durante il quale vengono raccolti i dati amministrativi e svolta una prima valutazione clinico-assistenziale, comprensiva degli esami ematici di routine e dell'in-

dividuaione di eventuali bisogni aggiuntivi, incluso il supporto psicologico.

Segue la visita medica, focalizzata sulla valutazione dello stato di salute generale, sull'aggiornamento anamnestico e sul monitoraggio dello stato osteo-articolare, che viene sistematicamente approfondito tramite ecografia. Qualora emergano necessità di ulteriori accertamenti o consulenze specialistiche, queste vengono programmate direttamente dal Centro e svolte all'interno del Policlinico di Sant'Orsola, in stretto raccordo con gli specialisti coinvolti.

Il Centro MEC collabora stabilmente con il Servizio di Psicologia Clinica, con cui è attivo un percorso dedicato, e con il Servizio di Genetica, che consente di affrontare in modo strutturato

Per rispondere ai bisogni emersi dai pazienti, è stato recentemente attivato un servizio di televisita, utilizzato per le valutazioni intermedie e per rafforzare la continuità assistenziale.

Per quanto riguarda i pazienti con diagnosi di MEC già in carico al Centro, la presenza di un percorso di day service consente di attivare qualsiasi consulenza specialistica disponibile all'interno dell'IRCCS in cui operiamo.

È inoltre attivo un percorso interaziendale dedicato con gli Istituti Ortopedici Rizzoli per la gestione delle problematiche muscoloscheletriche. In questo ambito è stato definito un PDTA per il monitoraggio dell'artropatia emofilica: possiamo prenotare direttamente su agende dedicate presso lo IOR, dove il paziente viene valutato dai fisia-

sa funzionano bene e anche il percorso con l'istituto Rizzoli ha un'ottima fluidità, i tempi sono veloci, l'esperienza dalla parte dei pazienti è molto buona.

La criticità che andrebbe forse rilevata si trova prima di arrivare al centro MEC, e segnatamente nell'urgenza, nei PS distribuiti sul territorio. Il problema del pronto soccorso ovviamente non è solo di Bologna, è un problema della regione: lo sappiamo bene anche perché noi, come associazione di Bologna, lavoriamo in coordinamento con le altre associazioni della regione, quindi con la federazione delle associazioni regionali FedRed, di cui noi siamo attivamente membri. Sulla fluidificazione del percorso e sulla presa in carico dei pazienti MEC nell'ambito del PS ci si sta battendo da anni. Ma rimane una criticità, perché ci sono resistenze dalla parte della Regione Emilia-Romagna. C'è un atteggiamento fortemente difensivo da parte delle istituzioni, in particolare sulla questione della privacy, con argomentazioni più centrate sulla protezione della struttura che sul bene del paziente. Il risultato è che un paziente emorragico che arriva in PS, particolarmente in strutture periferiche, può aspettare dei tempi inaccettabili prima di essere preso in carico in termini specialistici. E questo nonostante che "in teoria" tutti riconoscano quanto è cruciale il tempo di intervento nelle nostre sindromi. In sintesi, c'è uno scollamento tra un centro MEC che funziona benissimo, e un percorso di accesso precedente che registra dei blocchi.

**La mia domanda successiva è: come viene gestita l'emergenza al Sant'Orsola?**

**VALDRÈ** - Vorrei innanzitutto sottolineare che la nostra Regione ha riconosciuto e approvato un progetto regionale dedicato alla gestione dell'emergenza. Questo dimostra che il tema è stato portato all'attenzione delle istituzioni e che si è cercato, insieme ai clinici e alle associazioni, di individuare una risposta condivisa.

Il progetto è attivo da giugno 2022. Prevedeva una prima fase sperimentale della durata di un



gli aspetti genetici delle MEC, offrendo ai pazienti e alle famiglie un adeguato counselling genetico.

Sono inoltre attivi percorsi condivisi con l'Istituto Ortopedico Rizzoli, con l'Odontoiatria, e un percorso specifico dedicato alle donne con MEC, realizzato in collaborazione con il Servizio di Ginecologia e Ostetricia, che accompagna la paziente nelle diverse fasi della vita, dalla pubertà alla gravidanza e al parto.

A supporto dell'approccio multidisciplinare vengono organizzati incontri periodici con gli specialisti coinvolti, per discutere casi complessi, gestire criticità e valutare complessivamente l'attività del Centro.

tri e ortopedici di riferimento e, se necessario, avviato a follow-up o a procedure diagnostiche o terapeutiche.

**BRIGATI** - Confermando quello che ha detto la dr.ssa Valdrè, posso dire che anche dalla parte associativa la visione del funzionamento del centro MEC è molto buona. Noi abbiamo un rapporto storico con il centro, la nostra associazione fra poco festeggia i 50 anni e siamo sempre stati in strettissimo rapporto con le varie strutture del Sant'Orsola che si sono evolute in quello che oggi è il centro MEC e la collaborazione va avanti molto bene.

I percorsi di diagnosi e presa in carico all'interno del Sant'Orsola che ha illustrato la dottores-



anno. In concreto, è stato messo a disposizione dei Pronto Soccorso un numero telefonico collegato a un centralino, che indirizza la chiamata al Centro di riferimento competente per l'area in cui si trova il paziente. Quest'ultimo riceve così una consulenza dedicata, anche con il supporto del Fascicolo Sanitario Elettronico.

Si trattava, a mio avviso, di un ottimo punto di partenza. Il problema è stato ciò che è accaduto successivamente: a fronte di alcune criticità emerse, non si è riusciti a proporre un'evoluzione o un miglioramento strutturato del progetto. La situazione attuale, infatti, non può ancora dirsi ottimale.

Per quanto riguarda la nostra esperienza, posso evidenziare ciò che abbiamo cercato di fare, sia nei punti di forza sia nelle difficoltà.

Abbiamo puntato molto sull'accesso diretto del paziente al Centro MEC in caso di evento emorragico "semplice". Come ricordava il professor Brigati, nei giorni feriali il paziente può essere accolto direttamente, con accesso rapido alla valutazione clinica, alla terapia e agli accertamenti diagnostici necessari.

Un altro aspetto su cui stiamo lavorando costantemente è la consapevolezza del paziente e dei familiari. Cerchiamo di favorire la disponibilità di una scorta

minima domiciliare del farmaco, affinché il paziente possa presentarsi in Pronto Soccorso — o persino al 118 — già con la terapia disponibile. Questo riduce significativamente i tempi di trattamento e può incidere in modo determinante sulla prognosi. Sono due ambiti su cui possiamo intervenire direttamente e nei quali ci stiamo impegnando con continuità.

Per quanto riguarda il Pronto Soccorso, abbiamo riscontrato alcune difficoltà, che comprendiamo bene: il turnover del personale, i carichi di lavoro e l'organizzazione dei turni rendono complesso garantire una formazione costante su una patologia rilevante ma comunque rara. In questo contesto, abbiamo cercato di facilitare il riferimento diretto al Centro MEC. Esiste un percorso interno che consente al Pronto Soccorso di indirizzarci il paziente e abbiamo attivato un numero aziendale dedicato, attraverso il quale possiamo essere contattati. Questo è fondamentale non solo per i Pronto Soccorso, ma anche per gli altri reparti interni, considerando che la nostra è un'organizzazione prevalentemente ambulatoriale e quindi non siamo presenti fisicamente in ospedale in tutte le fasce orarie.

Sul piano più sistemico, le nostre proposte si sono orientate verso

soluzioni supportate dalla tecnologia: sistemi di alert e modalità automatiche di connessione tra Pronto Soccorso e Centro MEC. In un contesto in cui l'intelligenza artificiale offre strumenti sempre più avanzati, riteniamo che queste soluzioni siano realisticamente percorribili.

Stiamo imparando a utilizzare in modo sempre più efficace il Fascicolo Sanitario Elettronico, ma potrebbero essere sviluppati ulteriori strumenti a supporto, con l'obiettivo di garantire un primo contatto immediato con il Centro MEC nel momento in cui il paziente accede a una struttura ospedaliera per un'urgenza. L'idea è individuare una soluzione tecnica integrata negli strumenti sanitari già in uso per tutti i cittadini, così da assicurare equità di accesso e applicabilità universale.

### **Lei, professor Brigati, ha qualcosa da aggiungere a proposito?**

**BRIGATI** - Sono perfettamente d'accordo, anche se mantengo un certo scetticismo sulla previsione dei tempi, cioè quanto ci vorrà per mandare a regime una cosa di questo genere. Sappiamo che spesso, anche se le possibilità tecniche ci sono, poi per qualche motivo le cose si arenano. Ho l'impressione che la volontà politica, che almeno a parole è presente, faccia fatica a tradursi in pratica, specialmente quando ci sono resistenze e opposizioni a livello "micro". Credo sia un'esperienza comune a molte realtà anche nel contesto nazionale.

**VALDRÈ** - Io sono ottimista per natura. Un altro aspetto che mi preme sottolineare è che, insieme all'associazione, abbiamo realizzato un tesserino tipo bancomat, sul quale sono riportati i riferimenti con i loghi aziendali, i dati identificativi del paziente e i numeri di urgenza da contattare. Abbiamo inoltre inserito il numero della nostra disponibilità telefonica per le emergenze.

Questo è uno strumento che consegniamo al paziente da utilizzare al momento dell'accesso in Pronto Soccorso. È un ulteriore piccolo tassello, perché probabil-

mente non esiste una soluzione unica e ideale, ma un sistema che deve essere costruito attraverso molteplici interventi complementari.

**BORRELLI** - A questo punto volevo aggiungere che noi dal 2018 siamo riusciti ad avere una delibera regionale che regola in tutti i dettagli le situazioni di urgenza e emergenza per gli emofilici, a partire dalla chiamata del 118 sino all'arrivo al pronto soccorso, con una serie di sequenze logiche.

Con l'arrivo al pronto soccorso, per esempio, c'è un salto di un triage. Nella delibera viene indicata la possibilità del riconoscimento del paziente, già dal 118 dal momento che questi è sempre dotato di con un tesserino, redatto con le indicazioni del nostro Centro di riferimento MEC, che è simile al vostro. Questo tesserino riporta un QR code, che dà accesso con qualsiasi telefonino ad una sintetica pagina del Centro, specificamente dedicata all'emofilico in Urgenza Emergenza in cui, nel caso fosse necessario il medico del Pronto soccorso può accedere ad ulteriori informazioni.

In pratica qualsiasi pronto soccorso della regione, sono 48, deve conoscere questa delibera, ed ha tutti i riferimenti e secondo prassi deve procedere secondo le procedure indicate, ed è prescritto che se necessario chiami il centro di riferimento per avere istruzioni o consulenza. La delibera è stata riportata su un bollettino regionale.

Uno dei vantaggi per il paziente è appunto il salto di triage, l'altro è la possibilità di portare con sé il farmaco firmando una liberatoria (il cui formato è inserito sempre nella delibera) quando il paziente è cosciente ed ha con sé il farmaco o viene successivamente supportato da un parente o un familiare. Quello che non siamo riusciti ad ottenere è avere i ricombinanti nei pronto soccorso, avendo scelto di dotare tutti i 48 pronto soccorso di un farmaco di emergenza. In questo caso la soluzione è stata trovata garantendo

almeno la presenza di un emoderivato. Non entro nello specifico, non solo fattore VIII ma sono state previste garanzie di poter assistere tutti.

Proprio oggi ho avuto un ulteriore incontro con la regione e stiamo adesso in una fase un po' più avanzata perché stiamo parlando di fascicolo sanitario elettronico e di scheda di urgenza e emergenza da inserire nel fascicolo sanitario. In più si comincia a parlare della possibilità di avere un ricombinante nel pronto soccorso, che sia anche un solo



tipo o che sia, quello più diffuso o quello più facilmente reperibile, ma è un processo ancora da studiare in maniera molto oculata.

Fortunatamente gli accessi al pronto soccorso sono pochi e quindi una scorta di farmaci va un po' studiata per stimare al meglio le giacenze

Ecco questa è a grandi linee la nostra esperienza. sento che in molte regioni ci sono ancora delle cose da fare in questo senso, ma devo dire che proprio avendo questa consapevolezza, non perdo occasione per raccontare quanto realizzato nel Lazio nella speranza che possa essere, non dico un modello ma almeno un utile riferimento. Infine mi piace aggiungere anche che poi ogni regione deve sempre riferirsi alla realtà locale probabilmente dovuta a sicure diversità di carat-

tere organizzativo, ma sarebbe auspicabile e molto interessante mettere a confronto un po' tutte queste esperienze e arrivare a una soluzione ottimale comune.

**BRIGATI** - Grazie di questo contributo alla discussione. Posso chiedere un chiarimento? Questo voi l'avete ottenuto lavorando come associazione di Roma?

**BORRELLI** - Sì come associazione di concerto con i nostri clinici di riferimento, il responsabile locale del 118 e del servizio di urgenza emergenza e gli organi regionali

sanitari sino ad ottenere una delibera regionale.

In una recente riunione abbiamo anche cercato un po' di stabilire se il sistema funziona e in effetti, ripeto fortunatamente gli accessi sono molto bassi, così sino ad ora non sono pervenute lamentele o reclami o cose del genere che di solito quando avvengono non mancano di essere segnalate all'Associazione da parte dei pazienti. Possiamo dire che il sistema in un certo modo ha retto.

**VALDRÈ** - Io ero molto interessata, al punto che qui da noi è considerato l'anello più fragile della catena, cioè il riconoscimento del paziente. Come viene gestito questo aspetto presso la vostra struttura?

**BORRELLI** - Allora avviene secondo le prassi dei medici del pron-

to soccorso se il paziente non è cosciente o, se è cosciente, è lui stesso che mostra il tesserino, il famoso tesserino di cui ho accennato che riporta innanzitutto la patologia (es. Emofilia A grave, se di questo si tratta, oppure ad es. Emofilia B grave ecc. indicando anche il caso di presenza di inibitore... poi riporta ovviamente i dati identificativi, poi il tipo di fattore da somministrare in emergenza, i contatti del Centro di riferimento e anche il tel. di un familiare da contattare eventualmente. È scritto sia in italiano che in inglese. Questo a grandi linee! Il tesserino tipo credit card praticamente lo realizziamo noi come associazione ma viene validato e consegnato formalmente dai clinici di riferimento.

**VALDRÈ** - Per noi non è sufficiente; quello che cercavamo era un passaggio aggiuntivo, indipendente dal fatto che il paziente presenti un tesserino. L'idea era che l'anagrafica del paziente, il fascicolo sanitario, qualcosa di completamente indipendente, potesse garantire il riconoscimento corretto e ridurre errori. Sì, il tesserino può non esserci, essere smarrito o cancellato, e in quel momento l'infermiere non lo prende in mano.

**BORRELLI** - Sì, ma questo è il passo immediatamente successivo, il tesserino è comodo e poi comunque ci sarebbe la tessera sanitaria con microchip, però quello a cui si può accedere con la tessera sanitaria è praticamente il fascicolo sanitario, quindi si deve operare sul fascicolo sanitario. La Regione Lazio ci sta lavorando, adesso operativamente non so se sia già consultabile, però ha inserito una scheda di emergenza per le malattie rare, per tutti i malati rari, però ovviamente essendo tale e tanta la differenza tra le malattie rare è una scheda molto generica, quindi loro sono disposti a aggiungere, una scheda di emergenza specifica per l'emofilia e sarà compito dei clinici ovviamente, fornire un'analogia scheda che possa indirizzare immediatamente il medico di Pronto Soccorso, ad agire.

So che ci sono molte storie sul fatto della privacy, ma lei come medico quindi può aprire il fascicolo sanitario del paziente e, quando lo apre trova tutte le ricette del paziente. Ora se lo apre un medico e vede le prescrizioni mediche, può individuare esattamente che cosa ha, per cui dov'è la privacy?

**VALDRÈ** - Ma guardi, credo che dal lato del paziente e del medico sia facile da comprendere; penso che sia più complicato dal lato burocratico. Tuttavia, mi conferma in parte il nostro pensiero: qui si tratta di individuare una soluzione tecnica che si integri con gli strumenti sanitari già in uso per tutti i cittadini, perché questo garantisce equità e applicabilità universale per tutti i pazienti. Inoltre, utilizzando uno strumento come il Fascicolo Sanitario Elettronico, l'informazione può essere condivisa con tutti coloro che accedono alla gestione sanitaria del paziente. Se invece ci si basa su strumenti specifici, spesso questi non rientrano nei sistemi principali o non vengono consultati, creando difficoltà operative. Secondo me, la tecnologia deve essere il nostro supporto principale, e progetti specifici, come il PNRR o altri analoghi, potrebbero esplorare questa strada, fornendo uno strumento anche esportabile, perché non è accettabile che tutti ragionino su questo tema senza riuscire a trovare una soluzione universale.

**BORRELLI** - lo spero che nei prossimi mesi nel Lazio saremo

in grado di farlo proprio oggi ne parlavamo e c'è la volontà di aggiungere al fascicolo la specifica scheda di urgenza emergenza di cui tra l'altro un formato è già inserito nella delibera di cui parlavo.

**VALDRÈ** - Grazie. In caso di urgenza, c'è anche il Fascicolo Sanitario, che permette al medico di assumersi la responsabilità di accedervi anche al di là del consenso del paziente, per motivi di necessità assoluta. Questi non rappresentano i veri ostacoli.

**BORRELLI** - Che io sappia, ma non giurerei perché non sono competente in materia amministrativa, questo problema della privacy, sapevo che era stato superato recentemente in quanto era stata invertita la cosa, cioè è il paziente che può chiedere di non mettere la diagnosi ma di fatto viene messa per tutti.

Se uno chiede di non metterla, la si toglie o non la si mette.

Quindi è un problema che non esiste. Credo che ad un certo punto ce lo siamo inventati noi in certo senso

Questa è la mia esperienza ma ripeto non conosco nei dettagli gli estremi legislativi imposti in ogni regione.

**BRIGATI** - Mi fa piacere avere questo scambio perché credo che si possano anche copiare delle buone pratiche tra contesti diversi.

**BORRELLI** - La delibera nostra la posso anche fornire, anzi la invierò a Serena



**BRIGATI** - Ci sono due parole chiave che sono state usate in questa discussione e che secondo me è importante focalizzare: una è la parola riconoscimento e l'altra è la parola equo, equità. Qualcuno potrebbe pensare che sono in contraddizione. Ad esempio mi è stato riferito che talvolta, a livello di negoziati con le amministrazioni, ci è stato detto che noi ricerchiamo un "trattamento di favore", e questo urterebbe col principio d'equità.

Ma è il contrario. Equo vuol dire trattare ciascuno secondo la sua specificità e quindi riconoscere in che cosa è diverso dagli altri. Non trattare tutti in modo uguale, ma trattare tutti secondo la modalità che è relativa alla loro situazione. E questo si può fare soltanto se circolano le informazioni giuste su questa situazione. In questo senso il tipo di delibera adottato dal Lazio potrebbe essere un buon strumento, o un buon inizio, per farle circolare.

**Ecco, lei mi ha dato uno spunto adesso, professore, perché ogni volta che facciamo le interviste viene sempre fuori qualche cosa così, una piccola sorpresa sempre molto interessante. E questo tema dell'equità è molto interessante, diventerà spunto anche questo di un approfondimento.**

**Dottoressa Valdrè, come le nuove terapie hanno cambiato la finalità del trattamento, ma dal punto di vista soprattutto del paziente? E quindi il suo ruolo, come clinica, di portarlo a ragionare su quella che può essere la scelta migliore.**

**VALDRÈ** - Il punto iniziale è che ogni persona è diversa e quindi ciascuno può affrontare questo passaggio in modo estremamente variabile, con più o meno competenza, consapevolezza e fiducia nel mondo sanitario, cioè nei medici che lo seguono ma anche nell'intero sistema salute. Per questo motivo è difficile generalizzare. Ritengo però che oggi viviamo in un mondo estremamente fluido. Un tempo, quando mi sono af-



facciata al mondo delle malattie emorragiche, esisteva il dogma della continuità terapeutica, che imponeva di difendere la dicotomia tra paziente e farmaco.

Oggi è completamente diverso e credo sia uno degli obiettivi più importanti raggiunti negli anni: grazie alle numerose opzioni terapeutiche, la terapia può essere adattata e modificata rispetto al trattamento iniziale.

È proprio la terapia, o meglio la cura, che segue la persona, perché la persona stessa cambia nel corso della vita. Può essere un bambino, un giovane adulto con intensa attività fisica, o poi una persona anziana; può vivere momenti di maggiore fragilità o momenti di maggiore tranquillità rispetto all'espressione della sua condizione.

Oggi esiste quindi una notevole elasticità e fluidità, e per noi c'è la necessità di una competenza completa su tutte le possibilità terapeutiche.

Perché io, al mio paziente Mario, cosa posso offrire? Oggi, per fortuna, posso fare un elenco: può esserci questa terapia, questa, questa. La persona dall'altra parte deve riflettere sulla propria situazione: in alcuni momenti potrebbe essere difficile aderire a una terapia infusionale, in altri potrebbe necessitare di

maggiore protezione, o vivere un conflitto con la malattia e la cura. Bisogna quindi trovare insieme un equilibrio tra tutte queste variabili.

**Professor Brigati ha qualcosa da aggiungere?**

Sì, aggiungo che proprio questo è uno dei punti su cui il livello associativo può veramente lavorare insieme a quello clinico, perché l'associazione può svolgere questo lavoro di educare all'ascolto, educare alla fiducia. Non che manchi la fiducia nel nostro centro MEC, ma l'associazione può dare quella spinta in più che porta le persone a dialogare, ad aprirsi a questo lavoro estremamente personalizzato, quasi "consulenziale" (per chiamarlo impropriamente), che ha disegnato la dottoressa nel suo intervento.

**Per quanto riguarda la terapia genica, quali soluzioni sono state introdotte per spiegare ai pazienti le finalità, quello che la terapia genica oggi significa, anche perché siamo arrivati anche da poco a due somministrazioni di T.G. a persone con emofilia B?**

**VALDRÈ** - Sì, credo che questo riprenda in parte quanto abbiamo appena detto. Sulla terapia genica è stato necessario lavorare su diversi livelli. Il primo livello

ha riguardato l'organizzazione e l'accesso, e qui va riconosciuto il grande impegno della nostra Regione.

Poi c'è stato un lavoro importante di informazione al paziente; mi rifaccio anche al discorso sottolineato dal professor Brigati: è fondamentale che le persone sappiano cosa sta succedendo, che esistono nuove terapie e quali sono le loro caratteristiche.

Successivamente, entra in gioco il tema della personalizzazione, particolarmente rilevante nella terapia genica, una terapia molto particolare sia per il carico terapeutico — si somministra una sola volta — sia per il suo effetto trasformativo sulla persona.

Qui è necessario approfondire nello specifico il singolo caso, e in questo aiuta molto il percorso costruito negli anni, fatto di conoscenza e dialogo, perché bisogna comprendere la realtà del singolo paziente e della sua famiglia, e valutare se questa terapia possa essere una scelta appropriata. Credo che oggi sia corretto dire che da un punto di vista scientifico siamo ancora in fase di osservazione e attesa di dati più completi.

Per noi è stata un'esperienza importante e formativa anche come professionisti sanitari, e credo di poter dire che è stata positiva per i pazienti, che l'hanno affrontata con grande consapevolezza.

Devo sottolineare la fiducia e la consapevolezza che ho trovato nei pazienti nel seguire questo percorso insieme a noi. Questo



rimane un vero e proprio gioco di squadra.

**BRIGATI** - Perché evidentemente siete riuscite a creare un rapporto per cui i pazienti si sentono partecipi di un progetto.

**L'azienda farmaceutica che produce il farmaco per la terapia genica per l'emofilia A ha comunicato il ritiro del farmaco dal mercato: un suo commento?**

**VALDRÈ** - Nell'ambito delle malattie rare, la forza dei numeri spesso rappresenta un ostacolo per le logiche economiche delle aziende profit, che quindi devono conseguire un risultato.

Si è creato un problema di accesso al farmaco, ma ci tengo a sottolineare che non è mai stato legato alla sicurezza né all'efficacia. In maniera semplificata, la terapia genica è stata presentata come una "cura", ma in realtà gli studi clinici non hanno mai parlato di cura.

Quando abbiamo avuto la disponibilità del farmaco, l'obiettivo non era la cura, perché ciò che oggi questa terapia ha dimostrato è la possibilità di raggiungere l'espressione di una certa quantità del fattore carente per un periodo di tempo definito.

Questo era l'esito atteso, quindi non c'è stato alcun passo indietro rispetto ai risultati previsti; si sapeva che il risultato sarebbe stato parziale, e così è rimasto.

Secondo me, si può fare una riflessione: così come per la gestione dei pazienti in un Centro MEC è necessaria un'organizzazione complessa, anche per le aziende farmaceutiche che gestiscono questi farmaci serve una struttura solida che conosca le dinamiche del mondo delle MEC e delle malattie rare in generale.

Serve una competenza altamente specialistica, strutture dedicate, disponibilità costante negli orari di apertura e nella gestione delle urgenze, perché può presentarsi un'emergenza in qualsiasi momento. Servono inoltre competenze collegate, la possibilità di accedere ai laboratori di genetica o ad altre strutture, e la capacità di gestire studi clinici.

Il Centro MEC è quindi fondamentale anche per le aziende farmaceutiche: non basta produrre una buona molecola e ottenere risultati validi; è necessario gestire l'accesso e tutti gli aspetti correlati. Non si tratta di una "pillola sul mercato", ma di una terapia che richiede cura, gestione e presentazione più complessa rispetto ai farmaci tradizionali.

Probabilmente, alcune aziende non sono state in grado di gestire questa complessità. L'accesso al farmaco, l'iter per le procedure EMA, nazionali e regionali è estremamente complesso, e senza un supporto strutturato non si può gestire efficacemente.

Secondo me, questo è il punto principale; dal punto di vista me-

dico o del paziente, può emergere il dubbio che in futuro possa essere difficile per molte aziende affrontare queste aree così complesse, mentre il contesto sanitario tradizionale appare più semplice e meno vincolato.

**Restando nell'ambito delle malattie rare, spesso si sente dire che siamo una categoria piuttosto protetta perché disponiamo di una gamma ampia di farmaci. Voi ritenete invece che sia possibile fare ancora di più, migliorare ulteriormente l'assistenza o altri aspetti del nostro settore?**

**VALDRÈ** - Un punto molto importante, secondo me, è la sostenibilità del sistema. Da un lato, oggi disponiamo di numerose opzioni terapeutiche e farmaci, e bisogna usarli in modo ragionevole, ottimizzando le risorse disponibili, che purtroppo sono limitate. Questo riguarda la cura globale

Oggi, qui a Bologna, abbiamo un centro ben strutturato che garantisce buona assistenza, ma, per esempio, siamo solo due medici, quindi è fondamentale pensare a come rendere sostenibile il servizio in futuro.

Per lavorare sul futuro, è necessario partire fin da subito. Queste sono quindi due condizioni chiave: l'uso lungimirante delle risorse e la pianificazione dei servizi per una sostenibilità nel tempo.

**BRIGATI** - Voglio sottolineare che non si tratta di pretendere, non stiamo pretendendo qualcosa, noi stiamo cercando di razionalizzare l'utilizzo delle risorse. L'utilizzo delle risorse che noi chiediamo diventa quello che oggi si chiama un win-win, cioè si traduce in un risparmio generale nel sistema. Perché trattare quando è tardi, trattare in emergenza, trattare in maniera inadeguata significa spendere di più nel futuro. Quindi, se guardiamo al fu-

**spostarsi verso Cesena e Bologna. Tutto questo è stato fatto nell'ottica di collaborazione e responsabilizzazione, anche da parte associativa, affinché le attività vengano realizzate con progettualità comune e obiettivi chiari.**

**C'è qualche domanda, invece, che vi sareste aspettati che facessi e che non ho posto?**

**VALDRÈ** - Un'ultima riflessione riguarda l'importanza dell'aspetto umano, del "non detto".

La scorsa settimana, prima di una visita, sono passata in corridoio e non so sinceramente a cosa stessi pensando. In sala d'attesa c'era una signora che poi sarebbe venuta in visita. Entrando, mi ha chiesto: "Dottoressa, tutto bene? L'ho vista con un volto così scuro mentre passava, mi sono preoccupata."

Devo essere sincera, quella domanda mi ha fatto riflettere. In sala d'attesa ci sono molti pazienti: chi aspetta la prima visita, i bambini... e io mi sono detta: "Porca miseria, in quel momento ero nel mio mondo e non stavo pensando alla persona che era lì in attesa."

E invece, c'era una persona con tante paure e pensieri rispetto alla visita, che percepiva il mio sguardo come un possibile segnale di ulteriore preoccupazione. Questo può sembrare un dettaglio insignificante, ma è incredibilmente importante, perché la percezione di un volto sereno può tranquillizzare, mentre un volto torvo aumenta tensione e ansia.

Dopo tanti discorsi altisonanti non possiamo dimenticare che anche solo passare in corridoio con un camice bianco può trasmettere un messaggio!

**BRIGATI** - Esatto, ci sono cose che la tecnologia non può sostituire, una di queste è l'apporto umano, la qualità umana. E su questo voi siete fortunate ma anche noi siamo fortunati.

**l'intervista finisce qui, ringrazio tutti i presenti e continuiamo il nostro cammino, augurando buon lavoro a tutti noi.**



della persona, perché chi ha l'emofilia spesso presenta anche altre patologie, e quindi usare bene le risorse contribuisce alla salute complessiva del paziente.

Sicuramente, come sanitari dobbiamo guidare un uso intelligente delle risorse. Questo non significa dare tutto a tutti, ma offrire la miglior cura possibile, valutando anche eventuali risparmi, perché se è possibile risparmiare, siamo tenuti a farlo per tutelare la salute più ampia delle persone.

Un altro aspetto è la sostenibilità del sistema a lungo termine.

turo ci rendiamo conto che le nostre richieste non sono fatte per scardinare il sistema: quello che stiamo chiedendo è una razionalità del sistema.

**Questo corrisponde in realtà a quanto successo in Emilia-Romagna, perché anni fa si è deciso di creare tre centri di macro-aree per concentrare il maggior numero di pazienti. È stato necessario anche il sostegno dell'associazione per far comprendere ai pazienti di Ravenna e Ferrara la necessità di**

# UOC DI RAVENNA IMMUNOEMATOLOGIA E MEDICINA TRASFUSIONALE

**Intervista alla Dott.ssa CINZIA MORETTI, Direttore Responsabile dell'UOC di Immunoematologia e Medicina Trasfusionale nell'ospedale di Ravenna**



**Domanda** Dott.ssa Moretti lei dirige l'UOC di Immunoematologia e Medicina Trasfusionale nell'ospedale di Ravenna, dove è attualmente identificato il centro per la cura dei pazienti emoglobinopatici nell'ambito di Ravenna, oltre ad essere centro di riferimento aziendale per la donazione di midollo osseo e ciò comporta una mole di lavoro non indifferente. Come è strutturato il suo centro?

**MORETTI** - La mia Unità Operativa svolge in effetti tante attività diverse e accanto a quelle da lei citate, vi sono anche la donazione del sangue, i laboratori per la consegna di emocomponenti agli ospedali dell'ambito di Ravenna, la raccolta di cellule staminali, gli ambulatori di medicina trasfusionale. In un ambito così variegato di attività, la difficoltà maggiore è garantire sempre la presenza di personale adeguatamente formato e in possesso delle competenze necessarie a garantire sicurezza e qualità delle cure per tutti, pazienti e donatori. Nel 2026 ho promosso la istituzione nell'ambito del Servi-

zio Trasfusionale di Ravenna, di una area organizzativa esplicitamente dedicata alla gestione delle Emoglobinopatie (Struttura Semplice di terapia trasfusionale ed Emoglobinopatie) affidata nella sua conduzione alla Dott.ssa Patrizia Albertini, nel tentativo di strutturare maggiormente questa specifica attività, che richiede il possesso di competenze mediche peculiari. Per questo motivo ci siamo mossi nel corso del 2025 per potenziare innanzitutto la formazione. Ravenna è stata sede di un percorso formativo rivolto agli operatori di AUSL Romagna coinvolti nella cura dei pazienti affetti da emoglobinopatie, che ha registrato la presenza di 40 partecipanti medici e infermieri, multiprofessionali (pediatrie, servizi trasfusionali, medicina interna, ematologia, pronto soccorso) e che si è avvalso della docenza di nomi illustri del panorama scientifico nazionale, che anche in questa occasione desidero ringraziare.

**Dott.ssa Moretti ci spiega com'è regolamentata l'organizzazione dei centri di cura per le emoglobinopatie a livello nazionale?**

**MORETTI** - Con apposito decreto del Ministero della Salute è stata regolamentata in Italia, a partire dal 2023, la organizzazione dei centri di cura e presa in carico dei pazienti affetti da Emoglobinopatie, affidandone alle regioni la realizzazione. Gli elementi cardine su cui si articola il decreto si possono riassumere in: riconoscimento dei centri di riferimento e definizione dei compiti ad essi attribuiti, identificazione degli ulteriori centri ospedalieri /territoriali in grado di provvedere alla adeguata assistenza in tutto l'am-

bito regionale, mantenimento di flussi informativi che supportino decisioni strategiche per il miglioramento continuo. Questo decreto si aggiunge alla normativa già in essere per tutte le malattie rare in Italia a partire dal 2001 e rappresenta senz'altro un'importante opportunità per il miglioramento della assistenza alle persone affette da Talassemie e Drepanocitosi.

**Per quanto riguarda la regione Emilia Romagna come è attuato il modello Hub&Spoke?**

**MORETTI** - In Emilia Romagna è attiva fin dal 2005 una rete regionale per la assistenza e presa in carico dei pazienti affetti da Emoglobinopatie, basata su un modello organizzativo Hub&Spoke, nell'ambito del quale il centro di riferimento ( per esperienza, competenza, disponibilità di servizi diagnostici specifici ) è stato identificato nell' Ospedale di Ferrara e presso tutte le aziende sanitarie regionali sono stati identificati altrettanti centri territoriali per la gestione dei pazienti adulti e pediatrici. Nel complesso, l'attività sanitaria svolta nella nostra regione ruota da anni intorno ai programmi di pianificazione quadriennale e ai protocolli clinici condivisi, che offrono il contenuto culturale su cui disegnare i percorsi di presa in carico e assistenza in tutti i centri regionali. Fino ad ora items cardine sono stati la gestione del sovraccarico marziale nelle Talassemie in tutte le sue sfaccettature (diagnostica clinica e strumentale- terapia- percorsi organizzativi), adozione di corretti intervalli di trasfusione e scambio eritrocitario, controllo di complicanze a lungo termine.

In AUSL ROMAGNA i centri identificati nell'ambito della Rete Regionale sono situati presso gli Ospedali di Ravenna-Cesena-Rimini, comprendendo le Unità Operative di Pediatria e i Servizi Trasfusionali per la cura dei pazienti adulti. In totale sono un centinaio i pazienti emoglobinopatici che risiedono in suolo romagnolo e di questi circa 50 afferiscono all'ospedale di Ravenna

### ***In tutta questa attività qual è il ruolo delle Associazioni?***

**MORETTI** - Parte importante della rete regionale è senz'altro attribuita alle associazioni dei pazienti, componenti stabili della rete per le Emoglobinopatie e promotori degli eventi annuali organizzati proprio per favorire l'incontro con i professionisti del settore. L'ultimo di questi incontri si è svolto a Bologna il 29 novembre scorso proprio con il titolo **TALASSEMIA E DREPANOCITOSI: CONOSCERE PER VIVERE MEGLIO: "IL FUTURO INIZIA DALL'ASCOLTO"**. Anche in AUSL ROMAGNA, in risposta alle proposte operative della rete, negli ultimi tempi si stanno intensificando le iniziative di formazione e di collaborazione con le associazioni quali agli incontri annuali, previsti da programmazione regionale.

***Parlando della situazione di Ravenna le sono particolarmente grata per il lavoro che sta svolgendo, non solo dal punto di vista clinico, quanto anche per il tentativo di riavvicinare il paziente all'associazione, ricostruendo quello che negli ultimi anni si era frantumato, a discapito di tutte le parti.***

**MORETTI** - Il Servizio Trasfusionale di Ravenna si occupa da tanti anni della assistenza ai pazienti affetti da talassemia tanto da avere sviluppato una vera e propria vocazione per questa attività, mantenuta nel tempo grazie alla presenza di medici esperti nella materia, che hanno preso a cuore questa malattia e hanno prestato il loro impegno lavorativo per sostenere l'impatto che essa comporta,

pur nella dinamica organizzativa di un ambulatorio di Medicina Trasfusionale e di un Servizio Trasfusionale con tante attività diverse tra loro. Al Dott. Mancino è seguita la Dott.ssa Macchi, alla quale è seguita a sua volta la Dott.ssa Albertini presente tutt'ora. L'approccio con i pazienti e le relative associazioni è mutato nel corso del tempo in tutti gli ambiti sanitari trasformandosi da una forma di relazione quasi amichevole basata essenzialmente sulla volontà dei singoli operatori sanitari in un requisito standard della assi-



stenza sanitaria, assolutamente significativo per il miglioramento professionale. Questa evoluzione si è verificata anche nella nostra realtà ed oggi la nostra linea operativa comprende, accanto ad una maggior strutturazione dell'attività rivolta ai pazienti affetti da Emoglobinopatie, anche lo sviluppo di forme di interazione e collaborazione con l'associazione pazienti. A tal proposito nel 2026, porteremo avanti alcune iniziative, in collaborazione con gli altri centri AUSL, quali l'implementazione di strumenti già in uso in sanità per valutare la qualità sanitaria offerta e percepita dai nostri pazienti in ambito romagnolo, la strutturazione di modalità e forme per rendicontare l'attività svolta, il proseguimento degli incontri medici-pazienti presso i diversi centri.

Le unità cliniche di Medicina Trasfusionale e Pediatria della AUSL Romagna che gestiscono

i pazienti affetta da Emoglobinopatia residenti, recepiscono le indicazioni del Tavolo Tecnico regionale in collaborazione con le Associazioni Pazienti. Visto il ruolo ormai riconosciuto ai pazienti, nel miglioramento della qualità delle cure e nell'intento di rendere efficace la connessione con le associazioni quali partnership per la assistenza sanitaria, queste iniziative si propongono di raccogliere informazioni sull'attuale offerta della AUSL Romagna, anche ai fini di miglioramento.

La collaborazione tra i centri di AUSL Romagna, la connessione con le associazioni di riferimento territoriale, il rispetto delle indicazioni clinico-operative proposte dal tavolo regionale rappresentano gli strumenti giusti per mantenere gli standard di cura adeguati alle necessità dei nostri pazienti. Allo stesso modo, recuperare le competenze già presenti nei centri identificati in Romagna per l'assistenza ai pazienti emoglobinopatici, favorendo sempre più l'integrazione ed il confronto, sarà senz'altro di aiuto per incrementare ed omogeneizzare il potenziale di assistenza sanitaria. Non dimentichiamo che l'AUSL della Romagna ha una estensione e una struttura che obbligatoriamente richiedono la presenza di tanti punti di assistenza capillari sul territorio, ma necessitano anche di forme organizzative che garantiscano la uniformità di assistenza in tutto il territorio.

## LA FEDERAZIONE NAZIONALE PER LE TALASSEMIE ED EMOGLOBINOPATIE UNITED RILANCIA LA SUA AGENDA: LAVORO DI SQUADRA, DIALOGO CON I TERRITORI E NUOVI STRUMENTI PER LA TUTELA DEI PAZIENTI.

**Dalla donazione del sangue alla presa in carico nei centri, dal monitoraggio su farmaci ed emocomponenti ed approcci innovativi, fino al rilancio del dialogo associativo: la nuova fase della federazione punta su inclusione, competenze diffuse e continuità istituzionale.**

**A cura di MARIA PRETE presidente UNITED e DARIO MARTINO vicepresidente UNITED**

C'è una parola che, più di altre, attraversa la nuova fase di UNITED: **condivisione**. Condivisione delle responsabilità, delle competenze, delle priorità e anche del metodo di lavoro. A pochi mesi dal rinnovo del direttivo, avvenuto il 18 ottobre, la federazione italiana impegnata nella rappresentanza delle persone con Talassemia, Drepanocitosi ed Emoglobinopatie prova a ridefinire il proprio assetto e a rilanciare la propria azione, tenendo insieme continuità e cambiamento.

A raccontare questa fase sono la presidente **Maria Prete** e il vicepresidente **Dario Martino**, in un confronto che restituisce l'immagine di una federazione intenzionata a consolidare il grande lavoro svolto negli anni, ma anche ad affrontare i temi ancora aperti: il rapporto con le federate, l'importanza della corretta rappresentatività, il dialogo con le associazioni oggi fuori da UNITED, la continuità delle relazioni istituzionali e la gestione di questioni cruciali per la vita quotidiana dei pazienti, prime tra tutte la disponibilità di sangue, l'accesso ai farmaci, la presa in carico e lo sviluppo delle terapie avanzate.

Per **Maria Prete**, il punto di partenza è chiaro: il nuovo direttivo rappresenta un cambiamento, certamente non una rottura col passato. Infatti l'avvio di un modo diverso di intendere il



MARIA PRETE

volontariato e la responsabilità associativa è chiaro: **“Quando parlo di cambio generazionale non intendo un discorso anagrafico”, spiega. “Intendo un cambiamento nel modo di fare volontariato e di approcciarsi al mondo associativo”**. Un cambiamento che nasce anche dalla realtà concreta di chi oggi anima le associazioni: persone con lavoro, famiglie, impegni e responsabilità, che non per questo rinunciano a portare avanti un impegno strutturato, affidandosi ove necessario a professionisti.

Il messaggio, in questo senso, è duplice. Da una parte, dare continuità al lavoro svolto da chi ha guidato la federazione in passato, dall'altra trasmettere ai pazienti più giovani che partecipare è possibile, anche senza dedicare tutta la propria vita all'associazionismo. **“La cosa fondamentale è lavorare in gruppo”**, osserva Prete, sottolineando come, nei primi mesi di



DARIO MARTINO

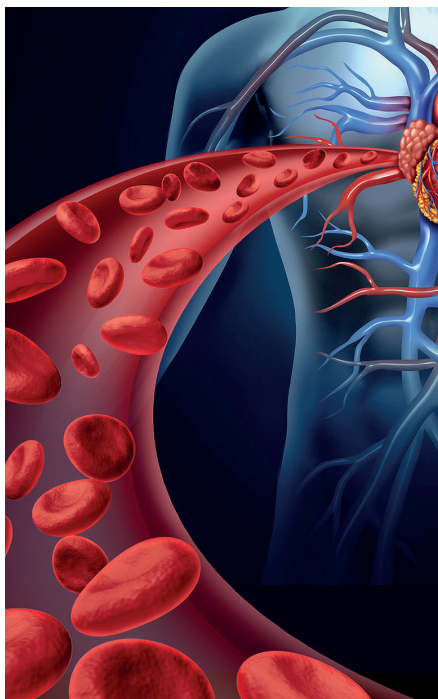
attività del nuovo consiglio direttivo, le iniziali perplessità abbiano lasciato rapidamente spazio a una dinamica di coesione e collaborazione costante.

La stessa Presidente, che aveva già ricoperto il ruolo di tesoriere di UNITED tra il 2015 e il 2018, evidenzia un elemento che giudica distintivo di questa fase: **“La sinergia che sto incontrando adesso non l'avevo incontrata quando ero già stata all'interno del consiglio direttivo di UNITED”**. Non si tratta, nelle sue parole, di un giudizio generale su tutte le esperienze passate, ma del riconoscimento di una modalità di lavoro che oggi appare più condivisa, più partecipata, più orientata al confronto interno.

Su questo punto condivide anche **Dario Martino**, che legge l'attuale configurazione del direttivo come il segno di una federazione più moderna nella distribuzione delle funzioni. In passato, osserva, si puntava

maggiormente su figure capaci di presidiare quasi da sole gli ambiti dell'associazione, fondamentale in una fase storica ove con questa modalità si sono ottenuti tantissimi obiettivi. Oggi, invece, il modello sembra spostarsi verso una struttura più organizzata: **“Si lavora molto di più come un team, un po' come in una azienda che però ovviamente non pensa al profitto quanto alla tutela delle comunità che rappresenta. Forse in passato alcune cose sfuggivano alla piena condivisione all'interno del direttivo; oggi invece c'è una distribuzione dei ruoli, più in linea con le grosse organizzazioni non profit”**.

È un punto non secondario, soprattutto in un settore dove spesso il valore della rappresentanza viene fatto coincidere con la riconoscibilità di una singola figura. Eppure, per il nuovo vertice di UNITED, la sfida è



proprio evitare una struttura eccessivamente centrata sul solo presidente. **“In un ente moderno non dovrebbe esserci una struttura in cui il presidente è costretto a fare public affai-**

**rs, parti tecniche, stakeholder engagement, assieme alla parte burocratica. Grande stimolo per chi è riuscito o riesce ad oggi a farlo, ma non è un modello sempre sostenibile”**, osserva Martino. La Presidente, in questa visione, resta il legale rappresentante e il riferimento politico della federazione, ma è sostenuto da un insieme di figure che concorrono, ciascuna secondo competenze e funzioni specifiche, alla tenuta complessiva del sistema.

È una logica che, secondo i vertici della federazione, dovrebbe rafforzare non solo l'operatività interna, ma anche la capacità di presidiare ambiti diversi: dalle relazioni istituzionali nazionali al dialogo con gli stakeholder, fino alla proiezione europea e internazionale. Proprio questo, infatti, è uno dei terreni sui quali UNITED intende crescere nei prossimi anni. Martino trova importante la ripresa dei rapporti istituzionali e l'avvio di un lavoro anche sulla dimensione internazionale, finora rimasta più sullo sfondo: una scelta coerente per una realtà che si occupa dell'Italia, con il fatto che i percorsi decisionali che toccano la vita dei pazienti non si fermano ai confini nazionali, ma coinvolgono anche strutture e processi europei, il recente statement inviato dalla Federazione ad EMA ne è un esempio.

Il piano del nuovo direttivo, in ogni caso, parte da esigenze molto concrete. Nel primo incontro in presenza, il consiglio ha definito gli obiettivi del triennio. Tra questi, la presidente indica con chiarezza due priorità: **formazione e sensibilizzazione alla donazione del sangue**. Due temi storicamente centrali per il mondo della talassemia e delle altre emoglobinopatie, ma che oggi richiedono, secondo la federazione, una rinnovata capacità di progettazione.

Da un lato continueranno i convegni divulgativi e formativi rivolti ai pazienti, considerati un patrimonio consolidato di UNITED. Dall'altro, si vuole investire anche su percorsi di formazione medico-scientifica rivolti a professionisti giovani o non specialisti che, pur lavorando in settori collegati, non sempre dispongono di una conoscenza approfondita delle patologie e delle loro implicazioni. Cardiologia, endocrinologia, pronto soccorso, reparti non specialistici: sono tutti contesti nei quali il paziente con Talassemia e Drepanocitosi può transitare e nei quali una competenza non adeguata rischia di tradursi in una presa in carico meno efficace.

**“Non sempre c'è una conoscenza approfondita della patologia in tutti i contesti di cura”**, sottolinea Prete, richiamando la necessità di accompagnare con strumenti formativi anche i professionisti che incontrano questi pazienti fuori dai centri specialistici. È una visione che amplia il concetto di presa in carico, spostandolo dal solo ambito altamente specialistico a quello più ampio del sistema sanitario.

Sul fronte della donazione del sangue, l'obiettivo è altrettanto esplicito: lavorare sulla cultura del dono in modo più strutturato, con particolare attenzione ai giovani, oggi individuati come la fascia che dona meno ed al tempo stesso ricettiva alle tematiche sociali. La federazione intende sviluppare progetti di sensibilizzazione che aiutino a superare la logica emergenziale, ribadendo che la donazione non può essere evocata solo nei momenti di crisi, perché esistono pazienti cronici che necessitano di trasfusioni in modo continuativo, oltre che esserci un tema di sicurezza strategica per la salute della popolazione generale. In questo senso, il tema

sangue non è solo organizzativo, ma culturale e di sanità pubblica.

In parallelo, UNITED sta lavorando alla creazione di un **Comitato scientifico** interno.

Absolutamente non una società scientifica autonoma o concorrente rispetto a quelle già esistenti, ma un organismo della federazione utile a rafforzarne la capacità di interlocuzione tecnica. **“UNITED deve avere un proprio nucleo di competenza interno”**, spiegano Prete e Martino, **“che consenta di valutare innovazioni, strutture e percorsi in maniera autonoma”**. L'obiettivo è dotarsi di uno strumento che permetta alla federazione di parlare con linguaggio adeguato nei contesti tecnico-scientifici e istituzionali, senza rinunciare alla propria autonomia di valutazione.

Il tema dell'innovazione terapeutica emerge in modo netto quando si affronta la questione della **terapia genica**. Dopo il via libera di AIFA e l'indicazione dei centri da parte delle Regioni, la situazione viene descritta come aperta ma ancora complessa. Maria Prete spiega che i centri sono stati designati, ma il percorso è tutt'altro che pienamente operativo. **“Stiamo lavorando con alcune associazioni e con altri portatori di interesse per monitorare gli sviluppi e l'avvio effettivo di questo percorso”**, afferma, mettendo l'accento su alcuni dati di realtà: i posti sono pochi, i criteri di eleggibilità sono molto rigidi, la platea dei pazienti candidabili è per ora limitata.

Per la federazione, dunque, il compito è duplice: da un lato accompagnare e monitorare un percorso che per alcuni pazienti rappresenta una possibilità concreta; dall'altro evitare che l'attenzione sulle terapie avanzate faccia perdere di vista i bisogni quotidiani della maggioranza.

Martino lo dice con chiarezza: gene editing e terapie avanzate sono importanti, ma riguardano oggi una quota ridotta di pazienti e continueranno a farlo ancora per anni. Per questo, le priorità restano la disponibilità di emocomponenti, la continuità terapeutica, la gestione dei farmaci e la qualità dei percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali.

È in questa cornice che si collocano anche i rapporti con **AIFA, Centro Nazionale Sangue** e strutture regionali. Sul piano normativo e istituzionale, UNITED ha ripreso il lavoro attorno alla proposta di legge presentata il 10 febbraio 2025 dall'onorevole Malavasi. Il cambio delle cariche ha imposto una ripartenza dei contatti, ma la linea, assicurano i vertici, è quella della continuità. Il ruolo della federazione viene rivendicato come apartitico: proprio per questo, spiega la Presidente Prete, il dialogo deve essere trasversale e rivolto a tutti gli interlocutori utili a far avanzare gli obiettivi di tutela.

Consapevole dei tempi della legislazione, UNITED ha scelto anche una strada più pragmatica: scorporare in questa fase alcuni contenuti della proposta di legge e riproporli sotto forma di emendamenti. Alcuni sono già stati presentati e sono in fase di lavorazione; uno, viene riferito, è attualmente in riformulazione. Il segnale che la federazione intende dare è chiaro: mantenere aperti i canali politici e istituzionali, senza rinunciare ad un approccio operativo.

Altro capitolo centrale è quello degli **emocomponenti** e della loro disponibilità, soprattutto nei periodi e nelle aree in cui si registrano criticità più marcate. UNITED ha recentemente incontrato la Professoressa Teofili, nuovo direttore del Centro Nazionale Sangue, e sta lavorando alla costituzione di gruppi

di lavoro dedicati sia agli emocomponenti sia alla politica del farmaco. Il nodo, anche qui, è la disomogeneità territoriale.

Sul farmaco, la federazione rileva differenze tra aree in cui alcune formulazioni sono disponibili e altre in cui non lo sono, con ricadute dirette sulla stabilità dei percorsi terapeutici. Sugli emocomponenti, il problema riguarda soprattutto la capacità di monitorare e prevenire le carenze. **“Saranno proprio le federate a fornirci dati e segnalazioni in modo strutturato”**, spiega Prete, indicando un modello di raccolta strutturata delle informazioni da riportare poi agli organi competenti. L'idea è trasformare la rete associativa in uno strumento di osservazione capillare, in cooperazione con le istituzioni ed i centri, utile a costruire una programmazione più efficace grazie ad un flusso informativo solido.

Martino richiama il valore strategico dell'autosufficienza nazionale italiana sugli emocomponenti, distinguendo dalla situazione del globulo rosso con autosufficienza a carattere nazionale ma con carenze locali, da quella del plasma ove permane una criticità importante a livello nazionale ed europeo, e insiste sulla necessità di avere una misura quantitativa e qualitativa dei fenomeni: dove si verificano le carenze, con quale frequenza, con quali conseguenze. Solo una panoramica strutturata delle necessità, osserva, può consentire alla federazione di agire con solidità verso CNS, AIFA e altri livelli decisionali. In questa prospettiva, vi sono già modelli in fase di studio per costruire una rete più sistemica. Ma la nuova fase di UNITED non riguarda solo le politiche sanitarie e i dossier tecnici. Riguarda anche il perimetro stesso della rappresentanza associativa.



Uno dei temi più delicati emergenti nel confronto è la volontà di rafforzare la collaborazione con organizzazioni che oggi non fanno parte della federazione. La presidente non nasconde la difficoltà del percorso, ma indica con nettezza la direzione: **“UNITED deve essere una realtà di dialogo ed inclusione”**. L'obiettivo, spiega, è riaprire un dialogo con quelle associazioni che, per vicende del passato, si sono allontanate.

Il punto è politico e culturale allo stesso tempo. Da una parte, la consapevolezza che restare fuori dalla federazione non giova né alle associazioni né alla capacità complessiva di interlocuzione con le istituzioni. Dall'altra, il riconoscimento che esistono ostacoli reali: orgogli, rigidità, fratture storiche, diffidenze sedimentate. Eppure, per il nuovo gruppo dirigente, la strada resta quella della costruzione dei ponti.

La Presidente ed il Vicepresidente vedono in UNITED, l'unica federazione in Italia, come la realtà oggi più rappresentativa del contesto nazionale, con una copertura quasi completa del territorio. **“un punto di riferimento per le tutte le realtà all'estero, che guardano la federazione italiana come un modello di riferimento”** sottolinea Martino che ha delega sugli affari esteri. Proprio per questo,

sottolinea Prete, è un peccato che alcune realtà locali o territoriali ne restino fuori. L'inclusività, in questa visione, non è un fatto simbolico, ma una responsabilità coerente con la natura stessa della federazione: rappresentare l'intero ecosistema, con tutte le sue differenze.

Allo stesso modo, il direttivo riconosce la necessità di affrontare il tema della **partecipazione e della rappresentanza territoriale** all'interno degli organi federativi. Sul tavolo ci sono proposte di revisione statutaria che riguardano, tra l'altro, la distribuzione delle componenti nel consiglio direttivo e il rapporto tra peso delle associazioni e rappresentanza delle macro-aree. La questione è nota: regioni con una maggiore concentrazione di associazioni possono esprimere più voti, mentre altre rischiano di risultare meno incisive.

Maria Prete afferma di condividere l'esigenza di una distribuzione equa e annuncia che le proposte saranno portate in assemblea per essere valutate con tutte le federate. Sottolinea anche un altro aspetto: la revisione statutaria va letta non solo in chiave di equilibrio rappresentativo, ma anche di maggiore operatività. Alcuni vincoli regolamentari, osserva, finiscono oggi per rallentare procedure e momenti di confronto che po-

trebbero invece essere resi più snelli, anche alla luce degli strumenti digitali disponibili.

Anche su questo punto il messaggio del direttivo è improntato alla prudenza ma non all'immobilismo. Martino parla di piena consapevolezza delle criticità e della volontà di prenderle in carico, chiarendo che una modifica statutaria di questa portata richiede tempi, passaggi e più assemblee. Non si tratta di una soluzione immediata, ma di un processo da avviare assolutamente e da accompagnare correttamente, nella tutela di tutti.

In controluce, da tutto il confronto emerge un'altra convinzione: la tenuta della federazione dipenderà sempre meno dalla centralità di una singola persona e sempre più dalla capacità di costruire una leadership diffusa, tematica, plurale. Non a caso, oltre al Comitato tecnico-scientifico, UNITED sta lavorando alla creazione di **gruppi di lavoro per aree tematiche**, che vedranno la partecipazione delle federate, dagli affari esteri, ad un gruppo giovani e altri ambiti specifici, con l'intento di distribuire meglio carichi, responsabilità e competenze, ma anche di offrire a federate e associati nuove occasioni di partecipazione attiva.

È forse qui che si condensa il messaggio politico e associativo più forte di questa nuova fase. Lo esplicita Maria Prete con una formula destinata a segnare il tono del mandato: **“UNITED non è una persona sola, ma un gruppo di persone con ruoli specifici, insieme alle federate”**. In una fase segnata da transizione, attese, resistenze e inevitabili tensioni, la sfida della federazione sembra essere proprio questa: trasformare il pluralismo interno da elemento di possibile fragilità a motore di potente costruzione comune. ■

# HEMO-NAR-QOL (HEMOPHILIA NARRATIVE QUALITY OF LIFE INSTRUMENT)

A cura della Dott.ssa **VERONICA GRIPPA** e del Dott. **ALESSANDRO GRINGERI**

## “Development and Validation of the HEMO-NAR-QoL: A Structured Narrative Instrument for Assessing Quality of Life in Contemporary Hemophilia”

### RAZIONALE

L'emofilia è una patologia cronica rara il cui paradigma terapeutico ha subito, negli ultimi anni, una trasformazione sostanziale.

L'introduzione di fattori a emivita prolungata, terapie non-fattoriali con modalità di somministrazione semplificate (sottocute) e la concreta prospettiva della terapia genica hanno modificato

profondamente la gestione clinica e l'esperienza quotidiana della malattia.

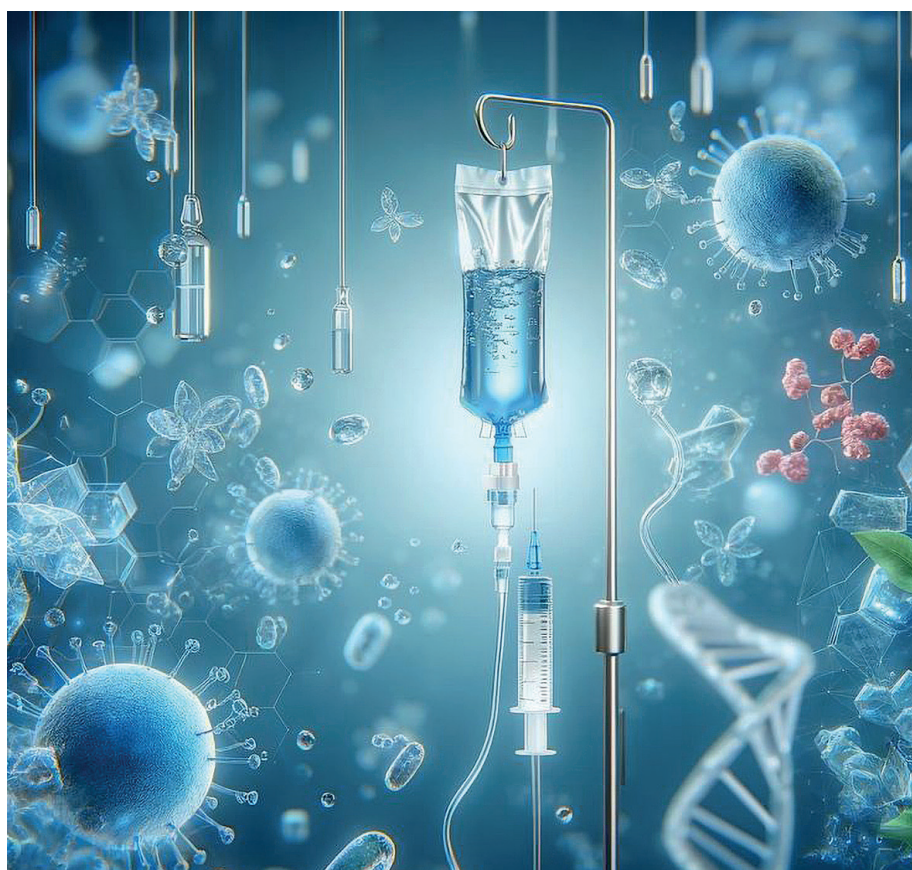
La qualità di vita (QoL) rappresenta un costrutto complesso, multidimensionale e fortemente dipendente dal significato soggettivo attribuito all'esperienza di malattia. In tale ambito, la Medicina Narrativa costituisce un approccio metodologicamente appropriato, in

quanto consente di esplorare in modo strutturato il vissuto della persona, superando i limiti intrinseci delle scale auto-compilate nel cogliere trasformazioni identitarie, aspettative e cambiamenti percepiti nel tempo.

L'Organizzazione Mondiale della Sanità, nel report “Cultural Contexts of Health: The Use of Narrative Research in the Health Sector” (Greenhalgh), ha riconosciuto la ricerca narrativa come metodologia integrabile alla medicina basata sulle evidenze, in grado di contribuire alla comprensione dei significati attribuiti alla malattia e al miglioramento dei servizi sanitari. Il documento sottolinea inoltre che la ricerca narrativa deve rispondere ai criteri generali della ricerca qualitativa, includendo sistematicità del disegno, trasparenza analitica, attendibilità attraverso confronto tra ricercatori, riflessività critica e collegamento delle narrazioni con altre fonti di dati clinici.

Se in passato l'impatto sulla qualità di vita era fortemente correlato a:

- frequenza infusionale
- sanguinamenti ricorrenti
- progressione artropatica



il contesto attuale è caratterizzato da:

- migliore controllo emorragico
- riduzione del burden terapeutico tradizionale
- ampliamento delle possibilità di vita attiva
- ridefinizione delle aspettative personali e professionali
- emergere di nuove dimensioni legate all'innovazione terapeutica.

La QoL, in quanto costruito multidimensionale e dinamico, è intrinsecamente dipendente dal contesto storico-terapeutico. Gli strumenti specifici per l'emofilia sviluppati negli anni precedenti hanno rappresentato un avanzamento fondamentale per la standardizzazione della misurazione e hanno contribuito in modo determinante alla ricerca clinica e agli studi osservazionali. Tuttavia, tali strumenti sono stati costruiti in un'epoca caratterizzata da:

- maggiore frequenza di sanguinamenti
- maggiore invasività del trattamento
- minore aspettativa di normalizzazione funzionale
- assenza di opzioni terapeutiche innovative attualmente disponibili.

In questo senso, pur mantenendo validità strutturale e utilità comparativa, essi potrebbero presentare una parziale obsolescenza concettuale, intesa non come perdita di validità metodologica, ma come potenziale ridotta aderenza alle dimensioni emergenti dell'esperienza contemporanea. L'evoluzione terapeutica ha infatti introdotto nuovi elementi rilevanti per la QoL, tra cui:

- percezione di libertà e autonomia rispetto alla malattia ("free-mind")

- ridefinizione dell'identità di "persona con emofilia"
- aspettative e incertezze legate alle terapie innovative
- trasformazione della relazione con il centro di cura
- nuove modalità di gestione del rischio e del controllo.

Nonostante l'ampia disponibilità di strumenti specifici per l'emofilia, allo stato attuale non risultano modelli concettuali aggiornati che riflettano in modo sistematico l'impatto delle terapie innovative sull'identità, sull'autonomia percepita e sulla progettualità di vita della persona, generando una potenziale discrepanza tra evoluzione terapeutica e strumenti di valutazione disponibili.

L'aggiornamento del modello concettuale della QoL attraverso metodologia narrativa non rappresenta esclusivamente un esercizio esplorativo, ma un passaggio necessario per garantire che le future valutazioni patient-reported siano realmente ancorate all'esperienza contemporanea della malattia.

In questa prospettiva, la fase qualitativa costituisce il fondamento per una possibile integrazione futura con strumenti quantitativi già validati, secondo un approccio di triangolazione metodologica coerente con le raccomandazioni internazionali sulla ricerca patient-centered.

Il presente progetto nasce dalla necessità di affrontare questa transizione concettuale attraverso una fase qualitativa esplorativa, finalizzata ad aggiornare il modello concettuale della QoL nell'emofilia contemporanea mediante metodologia narrativa strutturata.

La ricerca narrativa sarà condotta secondo i criteri di qualità indicati dall'OMS per gli studi qualitativi. La progettazione, conduzione

e reporting dello studio seguiranno inoltre gli Standards for Reporting Qualitative Research (SRQR) al fine di garantire completezza descrittiva, esplicitazione del paradigma di ricerca, trasparenza del processo analitico e documentazione delle tecniche utilizzate per garantire la credibilità e la trasferibilità dei risultati. L'obiettivo non è sostituire in modo acritico gli strumenti storici né trasformare la metodologia narrativa in una scala quantitativa, ma contribuire a un'evoluzione concettuale della valutazione della QoL, integrando la dimensione del significato soggettivo con i domini già consolidati nella ricerca clinica.

Il progetto è concepito fin dall'origine con l'intento di essere sottoposto alla valutazione e approvazione del Comitato Etico competente, al fine di garantire piena conformità ai principi di tutela dei partecipanti, qualità metodologica e trasparenza scientifica.

L'obiettivo finale è sviluppare un modello concettuale aggiornato della qualità di vita nell'emofilia contemporanea, metodologicamente rigoroso, clinicamente significativo e potenzialmente integrabile nei percorsi di ricerca clinica, nei trial e negli studi osservazionali, in coerenza con l'evoluzione terapeutica della malattia.

#### Bibliografia:

**1.** Greenhalgh T. *Cultural Contexts of Health: The Use of Narrative Research in the Health Sector*. WHO Regional Office for Europe.

**2.** O'Brien BC, Harris IB, Beckman TJ, Reed DA, Cook DA. *Standards for Reporting Qualitative Research (SRQR): A Synthesis of Recommendations*. *Acad Med*. 2014;89(9):1245-1251.



## PROGETTO PER L'ORGANIZZAZIONE DI WEEKEND FORMATIVI E DI TEAM BUILDING PER ADOLESCENTI CON MEC

La Federazione delle associazioni emofilici dell'Emilia Romagna (FedRed), forte dell'esperienza ventennale maturata dall'associazione Emofilici e Talassemici di Ravenna con i soggiorni estivi per la fascia 9-13 anni presso Madonna di Pugliano (RM) e in linea con le raccomandazioni internazionali della World Federation of Hemophilia, intende ampliare l'offerta formativa.

L'idea nasce dall'osservazione di modelli internazionali (associazioni estere come Norvegia, Repubblica Ceca e Austria) che utilizzano i "Summer Camp" o "Weekend Lunghi" rivolti alla fascia d'età adolescenziale, spesso scoperta dai programmi tradizionali.

Il progetto mira a favorire la responsabilizzazione nei confronti della gestione della patologia e del trattamento, nonché promuovere la consapevolezza rispetto alle sfide della transizione e al supporto per la formazione di giovani referenti associativi che siano in grado anche di garantire un futuro all'attività di advocacy.



**Durata:** Weekend lungo (Venerdì-Domenica), ripetibile su due eventi annuali.  
**Partecipanti:** n. 10-15 adolescenti (14-18 anni).

# ELLA: UN'INTELLIGENZA CHE APPARTIENE A EX



**ELLA - EMOEX Life and Learning Assistant**



Nel panorama attuale, siamo circondati da intelligenze artificiali generaliste, strumenti capaci di attingere a informazioni globali, spesso vastissime, ma non sempre pertinenti al contesto specifico dell'utente. Ella nasce da una scelta radicalmente diversa. È un sistema di intelligenza artificiale verticale e contestuale, progettato per operare esclusivamente all'interno dell'ecosistema EX.

Non accede al web, non cerca fonti esterne, non integra informazioni non validate dal sito. Questo significa che ogni risposta fornita da Ella è costruita su contenuti presenti e verificati all'interno di EX, è coerente con la linea editoriale e informativa della piattaforma e mantiene un alto livello di affidabilità e controllo. Dal punto di vista tecnico, Ella non è limitata: è deliberatamente focalizzata, ed è proprio questa architettura chiusa e specializzata a garantirne la qualità. Chi arriva su EX porta con sé una domanda.

A volte è chiara, altre volte è solo una sensazione di bisogno. Navigare tra contenuti, articoli e approfondimenti può non essere immediato. Ella interviene esattamente qui. Non si limita a fornire risposte: interpreta la richiesta e guida l'utente tra le risorse disponibili, creando un ponte diretto tra domanda e contenuto. In termini funzionali, possiamo definirla come un motore di ricerca semantico interno, un

assistente conversazionale contestualizzato, un sistema di supporto alla navigazione editoriale. Ma, nella pratica, è qualcosa di più semplice e immediato: è qualcuno che sa dove portarti.

In ambito sanitario e informativo, la qualità delle fonti è fondamentale. Una delle criticità delle intelligenze artificiali generaliste è proprio la possibilità di mescolare contenuti di diversa origine, con livelli variabili di attendibilità. Ella supera questo problema alla radice.

Operando esclusivamente all'interno del sito EX, elimina il rischio di informazioni non coerenti, valorizza il patrimonio informativo già costruito e garantisce un'esperienza sicura e controllata. È una tecnologia che non solo informa, ma protegge il contesto informativo in cui si inserisce.

Ella è unica non perché sa tutto, ma perché sa dove stare. In un mondo in cui le intelligenze artificiali cercano di espandersi ovunque, Ella ha scelto un perimetro preciso: EX.

E dentro questo spazio, è diventata competente, affidabile, riconoscibile. Non è un'intelligenza globale. È un'intelligenza che appartiene. E forse è proprio questo che la rende così preziosa: non sostituisce il mondo, ma migliora concretamente il luogo in cui vive.



PERIODICO DELL'ASSOCIAZIONE EMOFILICI E TALASSEMICI DI RAVENNA

fondato da **VINCENZO RUSSO SERDOZ**

Aut. Trib. Ravenna 10-7-1974 n. 587

DIRETTORE RESPONSABILE  
**ANGELA VENTURINI**

RESPONSABILE DI REDAZIONE E DEI RAPPORTI CON LE ASSOCIAZIONI  
**MARIA SERENA RUSSO**

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

DIRETTORE MEDICO  
**Dott.ssa CHIARA BIASOLI**

IN COLLABORAZIONE CON  
**FEDERAZIONE ASSOCIAZIONI EMOFILICI  
ALESSANDRO GRINGERI**

PROGETTO GRAFICO E REDAZIONE  
**MASSIMILIANO MONTANARI**

REDAZIONI ESTERNE E COLLABORATORI  
**ERNESTO BORRELLI  
VERONICA GRIPPA  
ENRICO FERRI GRAZZI**

REDAZIONE E DIREZIONE

**Via B. Buozzi, 19a (Zona Bassette)  
48123 RAVENNA  
Cell. 339.4699910**

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

E-mail:  
[assemoravenna.ex@gmail.com](mailto:assemoravenna.ex@gmail.com)

### ABBONAMENTO A EX:

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

per sottoscrivere una quota versamento presso  
**SOLUTION BANK**  
IBAN:  
**IT 82 R 03273 13100 000409800558**

Sostieni l'Associazione devolvendo il 5 x 1000 inserendo il Codice Fiscale  
**92035250395**

ASSOCIATO A



Unione Stampa Periodica Italiana

UNIONE STAMPA PERIODICA ITALIANA

STAMPA GRUPPO MODERNA - RAVENNA  
Via B. Buozzi, 19a - 48121 Ravenna

Consegnato all'ufficio postale per la spedizione il 15 MAGGIO 2026



**World  
Hemophilia  
Day April 17**  
Recognizing all bleeding disorders

# Diagnosis

**First step to care**



#WHD2026

[wfh.org/whd](http://wfh.org/whd)