RELATORI

Dr. Mattia **Algeri** - *Roma*

Prof.ssa Maria Domenica **Cappellini** - *Milano*

Prof.ssa Raffaella **Origa** - *Cagliari*

Prof. Silverio **Perrotta** - *Napoli*

Dr. Michele **Pizzuti** - *Potenza*

Dr. Oronzo **Scarciolla** - *Matera*

INFORMAZIONI GENERALI

ACCREDITAMENTO ECM

Sulla base del regolamento applicativo approvato dalla CNFC, la Allmeetings Srl (Provider 2828), assegna alla presente attività ECM (2828-396315) **Ed. 1 n. 6,0 crediti formativi per n. 100 Partecipanti**: **Medici Chirurghi** *specializzati in Ematologia, Genetica medica, Medicina interna, Medicina trasfusionale*, **Biologi**, **Infermieri**.

Obiettivo formativo: Contenuti tecnico-professionali (conoscenze e competenze) specifici di ciascuna professione, di ciascuna specializzazione e di ciascuna attività ultraspecialistica, ivi incluse le malattie rare e la medicina di genere.

L'assegnazione dei crediti formativi è subordinata a:

- corrispondenza professione/disciplina a quelle per cui l'evento è accreditato;
- partecipazione ad almeno il 90% della durata dell'evento;
- compilazione della scheda di valutazione dell'evento;
- superamento della prova di apprendimento (questionario, almeno 75% risposte esatte).

L'iscrizione è gratuita ed obbligatoria.

È possibile iscriversi accedendo al sito **www.allmeetingsmatera.it** ed inviando la scheda di iscrizione via e-mail a ***segreteria@allmeetingsmatera.it*** oppure via fax al numero 0835 256.592.

Sarà rilasciato attestato di partecipazione.

RESPONSABILI SCIENTIFICI

Dr.ssa Angela **Ciancio**
Dr. Oronzo **Scarciolla**

SEDE DEL CONVEGNO

Auditorium Ospedale **Madonna delle Grazie**
Contrada Cattedra Ambulante | **MATERA**

Allmeetings

PROVIDER NAZIONALE E.C.M. 2828
Allmeetings S.r.l. - Matera

SEGRETERIA ORGANIZZATIVA
Allmeetings S.r.l.
Sede legale: via Passarelli, 137/bis
Sede operativa: via della Croce, 6
75100 Matera - Tel./Fax 0835 256.592
www.**allmeetingsmatera**.it
✉ ***segreteria@allmeetingsmatera.it***

CON LA SPONSORIZZAZIONE NON CONDIZIONANTE DI

Bristol Myers Squibb™

VERTEX
THE SCIENCE of POSSIBILITY

con il patrocinio di

AIL Matera

AZIENDA SANITARIA LOCALE DI MATERA

OMCeO

TALASSEMIA 2023

RESPONSABILI SCIENTIFICI
Dr.ssa **Angela Ciancio**
Dr. **Oronzo Scarciolla**

MATERA | 18 NOVEMBRE 2023
Auditorium Ospedale **Madonna delle Grazie**

TALASSEMIA 2023

PRESENTAZIONE

Dal 2010, ogni 2 anni fino al 2018, l'Ematologia di Matera ha organizzato eventi sul tema della Talassemia con la partecipazione dei massimi esperti e anche dei pazienti, durante i quali venivano trattati argomenti di grande attualità. Dopo una pausa forzata, causa pandemia da COVID-19, nell'anno in corso si rinnova questa tradizione.

La Talassemia è una malattia ereditaria caratterizzata da un'anemia cronica dovuta alla sintesi ridotta o assente di una delle catene polipeptidiche (alfa o beta) presenti nell'emoglobina, proteina responsabile del trasporto di ossigeno nel nostro organismo.

In Italia la beta talassemia, malattia diffusa soprattutto nelle zone mediterranee, ha una notevole rilevanza clinica ed epidemiologica: le persone affette da talassemia trasfusione dipendente (nota anche come morbo di Cooley o talassemia maior) sono almeno 7 mila ed i portatori sani sono oltre 3 milioni.

Grazie alla prevenzione l'incidenza della forma maior si è drasticamente ridotta e la prognosi della malattia, grazie alla ricerca, alle terapie farmacologiche ed alla disponibilità di sangue, è significativamente migliorata.

Parleremo di terapia.

L'unica terapia risolutiva per la beta talassemia è il trapianto di midollo osseo da donatore compatibile.

Causa la limitata disponibilità di donatori compatibili ed il discreto margine di rischio di tale procedura, soprattutto nei pazienti di età superiore ai 14 anni, spesso si opta per una terapia palliativa basata su ripetute trasfusioni di sangue.

L'apporto trasfusionale causa nel tempo un danno d'organo per l'accumulo di ferro nel cuore, nel fegato e nelle ghiandole endocrine; è pertanto necessario l'uso di farmaci chelanti del ferro, in grado di limitarne il deposito.

Dagli anni '70, per decenni, la desferoxamina è stato l'unico chelante del ferro disponibile; sicuramente ha determinato un prolungamento della vita dei pazienti talassemici ma con un maggiore disagio.

La somministrazione, infatti, viene eseguita sottocute con infusione lenta per cinque-sette giorni a settimana.

Dagli anni 2000 sono disponibili altri farmaci ferro chelanti, il deferiprone ed il deferasirox, somministrati per via orale.

A novembre 2021 l'AIFA ha approvato la rimborsabità di Luspatercept nei pazienti adulti dipendenti da trasfusione di sangue, nella beta talassemia e nella sindrome mielodisplastica

È questo un farmaco biologico con un meccanismo d'azione innovativo; agisce, in particolare, sull'eritropoiesi inefficace, uno dei principali meccanismi fisiopatologici dell'anemia nella talassemia.

Tale terapia innovativa, riducendo il fabbisogno trasfusionale, può limitare l'accumulo di ferro e quindi le comorbilità conseguenti.

Le nuove speranze per la talassemia: la terapia genica. Come si realizza? Si prelevano cellule staminali del paziente, in laboratorio il gene patologico di queste cellule viene sostituito da una copia funzionante del gene ed infine tali cellule, così modificate, sono poi reinfuse al paziente.

L'attenzione sarà poi focalizzata sulle ultime novità terapeutiche, molte ancora in fase sperimentale, che potranno incidere positivamente sulla qualità di vita dei pazienti.

Al termine un confronto con i pazienti ed i loro familiari che potranno esporre agli esperti quesiti in tema di cure e, più ampiamente, di gestione della talassemia.

PROGRAMMA

08.30/08.45 **Registrazione Partecipanti**

08.45/09.00 **Saluto delle Autorità**
*Dr. **A. Fragasso***
Presidente A.I.L. Matera
*Sig.ra **C. Vesia***
Presidente Associazione Lucana Lotta contro Emopatie

09.00/09.15 **Introduzione e presentazione del Convegno**
*Dr. **M. Pizzuti***

09.15/09.45 ***Lettura Magistrale***
Update delle sindromi talassemiche
*Prof.ssa **M. D. Cappellini***

SESSIONE ANTIMERIDIANA

09.45/10.25 **Luspatercept: nuova frontiera della talassemia**
*Prof. **S. Perrotta***

10.25/11.10 **Non solo Luspatercept;**
uno sguardo alle altre terapie in studio
*Prof.ssa **R. Origa***

11.10/11.30 **Coffee break**

11.30/12.10 **Terapia genica in talassemia**
*Dr. **M. Algeri***

12.10/12.50 **Luspatercept in talassemia: esperienza materana**
*Dr. **O. Scarciolla***

12.50/13.00 **Discussione sui temi trattati**

13.00/14.30 **Light lunch**

SESSIONE POMERIDIANA

14.30/16.00 **Incontro Esperti e Pazienti**
*Dr. **M. Algeri,** Prof.ssa **M. D. Cappellini***
*Prof.ssa **R. Origa,** Prof. **S. Perrotta***

16.00/16.15 **Conclusioni**

16.15/17.00 **Questionario ECM e discussione**

17.00 **Chiusura Lavori**