**COMUNICATO STAMPA**

**L’8 maggio la Giornata Mondiale di sensibilizzazione. In Italia oltre 5000 persone colpite dalle forme più gravi**

**Beta-talassemia: Luspatercept può ridurre di oltre il 30% le trasfusioni di sangue. La nuova terapia dona più tempo ai pazienti**

***La malattia ereditaria costringe a frequenti accessi nei centri specialistici. La nuova molecola può diminuire il fabbisogno trasfusionale e le complicanze dell’accumulo di ferro nell’organismo. La pratica clinica quotidiana conferma i risultati dello studio registrativo BELIEVE***

*Roma, 6 maggio 2022* – Cambia la vita dei pazienti con beta-talassemia trasfusione dipendente, malattia genetica del sangue che causa una grave anemia e che colpisce oltre 5000 persone in Italia. La loro esistenza è condizionata dai frequenti accessi ai centri specialistici, ogni 2-3 settimane, per soddisfare il fabbisogno trasfusionale. La disponibilità di una nuova molecola, luspatercept, da dicembre 2021 rimborsata anche in Italia, può consentire oggi di allungare gli intervalli tra le varie sedute o di diminuire le unità di sangue da trasfondere. Nello studio internazionale BELIEVE, pubblicato sul ‘New England Journal of Medicine’ e che ha coinvolto 336 pazienti affetti da talassemia trasfusione dipendente, il 70% dei pazienti trattati con luspatercept ha ottenuto una riduzione del 33% del fabbisogno trasfusionale in un qualsiasi intervallo di tempo di 12 settimane. Questi risultati hanno condotto all’approvazione della molecola da parte dell’agenzia regolatoria europea a giugno 2020. Si stima, anche nella pratica clinica quotidiana, una riduzione di oltre il 30% del fabbisogno trasfusionale. È immediato l’effetto sulla qualità di vita con meno accessi ospedalieri, quindi più libertà e normalità. Inoltre la nuova terapia, quando si dimostra efficace, consente di ridurre l’accumulo di ferro dovuto alle trasfusioni, che può danneggiare organi vitali come cuore, fegato e pancreas, e le possibili complicanze legate agli effetti collaterali dei farmaci ferrochelanti, assunti quotidianamente proprio per eliminare il ferro in eccesso. All’innovazione nella cura della beta-talassemia è dedicata oggi una conferenza stampa a Roma, promossa da Celgene ora parte di Bristol Myers Squibb.

“La trasfusione di sangue è la terapia d’elezione per i pazienti affetti dalle forme più gravi di beta-talassemia, malattia ematologica ereditaria, causata da un difetto di produzione delle catene globiniche, che costituiscono la struttura dell’emoglobina, la proteina responsabile del trasporto di ossigeno in tutto l’organismo – afferma **Gian Luca Forni**,Direttore Ematologia Centro della Microcitemia e delle Anemie Congenite, Ospedali Galliera di Genova, Centro che ha partecipato allo studio BELIEVE -. L’Italia è uno dei Paesi al mondo più colpiti e sono circa 3 milioni i portatori sani del difetto talassemico. È pari al 25% la probabilità che nasca un bambino malato da due portatori sani. Si prevede un aumento dei nuovi casi nei prossimi anni”. “La vita dei pazienti con beta-talassemia trasfusione dipendente resta ancora oggi un ‘percorso a ostacoli’, caratterizzato da appuntamenti ogni 2-3 settimane con il centro di cura, a cui si aggiungono le visite di controllo – sottolinea Gian Luca Forni -. Poiché il nostro organismo non è in grado di eliminare il ferro in eccesso portato dalle trasfusioni, questi pazienti sono costretti ad assumere ogni giorno una terapia ferrochelante, per evitare i danni causati dall’accumulo di ferro, che possono manifestarsi a livello cardiaco, endocrino, epatico o pancreatico”.

Fino agli anni Sessanta, le persone affette da beta-talassemia major, la forma più grave, non sopravvivevano oltre i 10/15 anni. “Oggi, con la combinazione della terapia trasfusionale e ferrochelante, la loro aspettativa di vita è drasticamente migliorata, si parla infatti di ‘prognosi aperta’ – spiega **Roberto Lisi**,Responsabile Unità Operativa Dipartimentale Talassemia ARNAS Garibaldi di Catania -. Un obiettivo un tempo impensabile, raggiunto grazie alla modifica dell’apporto trasfusionale, che è stato ridotto, e ai nuovi farmaci chelanti orali. Siamo in grado di controllare sia la patologia sia le comorbidità. Pur avendo una migliore aspettativa di vita rispetto al passato, questi pazienti rimangono strettamente condizionati dal frequente fabbisogno trasfusionale e dai continui esami strumentali necessari per il monitoraggio della malattia. Luspatercept, che riduce l’eritropoiesi inefficace responsabile della grave anemia e consente la produzione di globuli rossi maturi, cambia radicalmente le prospettive”. “La cosiddetta ‘real life’, cioè la pratica clinica quotidiana, ha confermato le evidenze dello studio registrativo BELIEVE – afferma il dott. Lisi -. Va inoltre considerato che i pazienti ‘real life’ non sono selezionati e spesso presentano complicanze. La riduzione del fabbisogno trasfusionale determina una serie di conseguenze positive a cascata. Meno sangue trasfuso si traduce in una minore quantità di ferro accumulata e in una riduzione rapida della ferritina sierica, la proteina che svolge la funzione di deposito del ferro, come già emerso dallo studio BELIEVE. Diminuire il numero di trasfusioni significa ridurre anche le possibili complicanze legate agli effetti collaterali dei farmaci ferrochelanti e i rischi determinati dalle continue stimolazioni del sistema immune. Ad ogni seduta vi è infatti la possibilità di sviluppare una reazione trasfusionale”.

“Con oltre 25 anni di esperienza nelle malattie ematologiche - spiega **Cosimo Paga**, Executive Country Medical Director, Bristol Myers Squibb -, abbiamo ottenuto progressi che hanno migliorato significativamente la sopravvivenza e la qualità di vita dei pazienti. Luspatercept è stato approvato anche nel trattamento delle sindromi mielodisplastiche, che sono neoplasie del sangue tipiche del paziente anziano. Il nostro impegno su malattie gravi come la beta-talassemia è testimoniato dall’attivazione di programmi compassionevoli che, grazie alla fornitura gratuita dei farmaci nel periodo di negoziazione con l’Agenzia Italiana del Farmaco, consentono di accedere alle terapie prima della commercializzazione sul territorio nazionale. In questo modo abbiamo reso disponibile luspatercept per 159 pazienti a partire da novembre 2020”.

“La beta-talassemia lega la persona al centro di cura: in media vengono trasfuse 2-3 unità di sangue ad ogni seduta in ospedale, che dura fino a 5 ore – evidenzia **Raffaele Vindigni**,Presidente United Onlus (Federazione Nazionale delle Associazioni, Talassemia, Drepanocitosi e Anemie Rare) -. Tutto questo influisce sulla quotidianità e determina un’invalidità che si ripercuote sulla qualità di vita e sullo stato psicologico dei pazienti e dei familiari: da qui l’importanza della disponibilità di una terapia innovativa come luspatercept, in grado di trasformare la loro vita. Vi sono però ancora discrepanze a livello regionale nell’accesso al nuovo farmaco, dovute a ritardi burocratici che vanno superati quanto prima. Inoltre, nel 2017, tramite un apposito dispositivo di legge, è stata istituita la Rete Italiana della Talassemia e delle Emoglobinopatie. Manca ancora il decreto attuativo per mettere in sicurezza la Rete, consentendole di continuare l’opera svolta in questi anni di diagnosi, cura, formazione e prevenzione. Non bisogna pensare alla talassemia limitandosi all’idea che sia sufficiente ricevere la sacca di sangue, perché la patologia richiede un’assistenza costante ed esami strumentali da eseguire a intervalli definiti. Per questo servono protocolli uniformi su tutto il territorio”. “La definizione delle funzioni della Rete attraverso il decreto attuativo – continua il dott. Forni – può inoltre garantire stabilità ai singoli centri. Questo provvedimento sarà utile anche per valutare le esigenze trasfusionali delle varie aree, così da segnalare difficoltà e sopperire alle carenze stagionali che, per le persone che hanno bisogno costante di sangue, rappresentano un problema rilevante”.

La Sicilia è virtuosa da questo punto di vista perché, dal 1984, ha attivato il Registro Siciliano Talassemia ed Emoglobinopatie (RESTE), essendo una delle Regioni più colpite dalla malattia. Infatti nell’isola sono 1167 i pazienti con beta talassemia major (al 31 dicembre 2019). “Dal 2011 è operativa anche la Rete Regionale della Talassemia e delle Emoglobinopatie (R.R.T.E.), che consente di gestire la malattia in modo uniforme sul territorio – conclude il dott. Lisi -. Durante la pandemia abbiamo affrontato numerose difficoltà nel reperire il sangue, con un grande sforzo delle associazioni di volontariato e dei centri trasfusionali per limitare le possibili conseguenze negative per i pazienti. Inoltre, è forte il coordinamento con il centro regionale sangue, perché, grazie al Registro che fornisce dati certi sul numero di pazienti che necessitano di trasfusioni, sappiamo esattamente quante unità di sangue servono in media nell’isola ogni anno. Ad esempio, nel 2021 nel centro di Catania, dove seguiamo 189 pazienti, abbiamo trasfuso circa 6000 unità di sangue”.

L’8 maggio si celebra la Giornata Mondiale della Talassemia, con l’obiettivo di sensibilizzare cittadini e Istituzioni sull’importanza del progresso scientifico per un’innovazione terapeutica che possa offrire ai pazienti una prospettiva di vita migliore.

Ufficio stampa

Intermedia

030.226105 - 3351892975 - 335265394

intermedia@intermedianews.it