

Definizione di un modello di presa in carico del paziente portatore di malattie emorragiche congenite finalizzato alla prevenzione e riduzione dell'impatto socio-sanitario della malattia e delle sue complicanze

Istituto Superiore di Sanità, Roma, 11 luglio 2013



Le attuali criticità nell'assistenza delle Malattie Emorragiche Congenite

Romano Arcieri
Segretario Generale
FedEmo

FEDEMO DISCLOSURE



- 33 Associazioni locali
- 8800 PWH
- Direttivo: 5 componenti volontari
- 2,5 staff
- Budget 2011: € 425.000
- 5 Pharma Sponsor principali (75% entrate)
- Progetti pluriennali:
 1. DNA (bambini ed adolescenti)
 2. Safe Factor (Pronto Soccorso)
 3. Fisiocare (Ortopedia)
 4. Finestra Rosa (Le Donne)
 5. Progetti di ricerca/assistenza
 6. Progetti internazionali

Premessa



Il paziente affetto da MEC è protagonista attivo del percorso diagnostico terapeutico e protagonista imprescindibile dell'equipe assistenziale nell'ambito dei modelli di gestione delle malattie croniche

Premessa

I farmaci utilizzati nel trattamento sostitutivo dell'emofilia e delle MEC rientrano nella lista dei farmaci ritenuti quali essenziali dall'Organizzazione Mondiale della Sanità in quanto costituiscono "farmaci salvavita"



Aspettativa di vita

Table 1. Life expectancy among severe haemophilia patients.

Reference	Population	n	Calendar period	HIV status	Life expectancy (years)	
					Severe haemophilia	Overall male population
Darby <i>et al.</i> [4]	UK	2706	1977–1998	HIV–	63	78
Chorba <i>et al.</i> [5]	USA	2254*	1979–1982	All	55*	–
			1987–1990	All	41*	–
			1995–1998	All	46*	–
				HIV+	33*	–
Plug <i>et al.</i> [6]	The Netherlands	386	1972–1985	All	63	71
				1985–1992	All	61
			1992–2001	All	59	76
				HIV–	70	76
				All	61	74
Triemstra <i>et al.</i> [7]	The Netherlands	381	1986–1992	All	61	74
Rosendaal <i>et al.</i> [8]	The Netherlands	717	1973–1986	All	66	74
Larsson <i>et al.</i> [1]	Sweden	948*	1961–1980	All	57	76

*Figure includes all disease severities.

(–) No data provided.

Flow chart

Modello assistenziale

Terapia
sostitutiva

Disponibilità prodotti
plasmaderivati/ricombinanti
Terapia profilassi/on demand

TRATTAMENTO
DOMICILIARE

Migliore
prevenzione/trattamento
delle emorragie

Riduzione delle
complicanze
ortopediche

Miglioramento della Qualità della Vita

FedEmo



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI

Trattamento domiciliare

*I pazienti
si auto-somministrano
il farmaco nell'ambito
della terapia domiciliare
(laddove sia autorizzata)
ma
NON si auto-prescrivono i
farmaci!*



COGNOME NOME
VIA GARIBALDI
SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE
REGIONE EMILIA ROMAGNA
BRONCOVALEAS*NEBUL 15ML 500MG/ (Classe A)
«1 confezione»
Dr. G. ROSSI



Premessa

Legge Regionale Trattamento Domiciliare: status regionale (60%)

Regione (ordine alfabetico)	Legge Regionale
Calabria	30 maggio 1986, n. 22
Campania	04 marzo 2006, n. 288
Emilia – Romagna	20 aprile 1977, n. 17
Lazio	28 settembre 1979, n. 80
Liguria	07 gennaio 1980, n. 5
Lombardia	12 giugno 1975, n. 88
Piemonte	16 maggio 1979
Puglia	22 marzo 2012, n. 6
Sardegna	08 maggio 1984, n. 19
Toscana	24 maggio 1980, n. 62
Trentino-Alto Adige	24 giugno 2011, n. 1390
Veneto	31 luglio 1984, n. 37



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Haemophilia



Haemophilia (2010), 16, 437–446

DOI: 10.1111/j.1365-2516.2009.02188.x

ORIGINAL ARTICLE *Clinical haemophilia*

Mortality and causes of death in Italian persons with haemophilia, 1990–2007

A. TAGLIAFERRI,* G. F. RIVOLTA,* A. IORIO,† E. OLIOVECCHIO,† M. E. MANCUSO,‡
M. MORFINI,§ A. ROCINO,¶ M. G. MAZZUCCONI,** M. FRANCHINI††, ON BEHALF OF THE
ITALIAN ASSOCIATION OF HEMOPHILIA CENTERS¹



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Known cause of death	1980–1989 (%)	1990–1999 (%)	2000–2007 (%)	Total (%)
Haemorrhages	11 (18.6)	38 (16.9)	35 (26.7)	84 (20.2)
HIV/AIDS*	33 (55.9)	135 (60.0)	23 (17.6)	191 (46.0)
HCV infection [†]	1 (1.7)	21 (9.3)	31 (23.7)	53 (12.8)
Cancer [‡]	6 (10.2)	11 (4.9)	15 (11.4)	32 (7.7)
Cardiovascular disease	1 (1.7)	7 (3.1)	12 (9.2)	20 (4.8)
Others [§]	7 (11.9)	13 (5.8)	15 (11.4)	35 (8.5)
Total	59 (14.2)	225 (54.2)	131 (31.6)	415 (100.0)

	Patient years	Death rate	95% CI	Rate ratio	95% CI
Haemophilia A					
Mild	18 438	2.21	1.23–3.18	1	–
Moderate	6282	5.09	3.30–7.27	2.31§	1.49–3.54
Severe	24 251	8.50	7.58–10.20	3.85§	2.79–5.05
Total	48 972	5.68	5.16–6.36	1	
Haemophilia B					
Mild	3678	1.38	0.61–2.84	1	–
Moderate	2250	6.84	3.68–10.49	4.96§	2.13–11.86
Severe	3774	12.85	9.06–15.77	9.32§	5.95–18.43
Total	9703	7.14	5.12–8.75	1.26 #	0.99–1.61
Overall	58 675	5.93	4.82–7.10		

Deaths (Years 1 and 2 only)

Cause of death	Number
Liver related	25
Intracranial haemorrhage	17
Malignancy (excluding liver)	24
Cardiac	9
Bleeding (excluding intracranial)	9
Other	29
TOTAL	113

}

23%

Mortalità per malattie cardiovascolari

Table 3. Cardiac mortality in haemophilia patients. Adapted with permission [28].

Reference	Calendar period	<i>n</i>	Observed deaths	Observed deaths per 1000 patients	Expected deaths	Standard mortality ratio (SMR)
Rosendaal <i>et al.</i> [8]	1973–1986	717	1	1.4	5	0.2
Koumbarelis <i>et al.</i> [29]	1972–1993	531	1	1.9	4	0.25
Triemstra <i>et al.</i> [7]	1986–1992	919	1	1.1	5.2	0.2
Plug <i>et al.</i> [6]	1992–2001	967	6	6.2	12	0.5
Darby <i>et al.</i> [4]	1977–2000	6018	104	17.3	166.5	0.62

Dolan G et al. Haemophilia 2009, 15: 20-27

I rischi per l'accesso alle cure

- E' presente una variabilità regionale ai bisogni dei pazienti portatori di Malattie Emorragiche Congenite, come in genere per Malattie Rare: con l'eccezione di pochi esempi di *best practice*, si stanno verificando **diversità nell'accesso alle cure** ("*global care*") e nuovi casi di **pendolarismo della salute**.

	Totale	Nord Ovest	Nord Est	Centro	Sud e Isole
Fino a 100 Km	79%	76%	100%	87%	63%
Da 101 a 500 Km	14%	24%	-	13%	15%
Oltre 500 Km	7%	-	-	-	22%
Media Km	124,7 Km	69,4 Km	31,2 Km	70,9 Km	273,7 Km



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Asua conoscenza, sono stati adottati i protocolli regionali e aziendali per la gestione dell'emergenza emorragica nei pazienti affetti da MEC?

17
59%



12
41%

SI

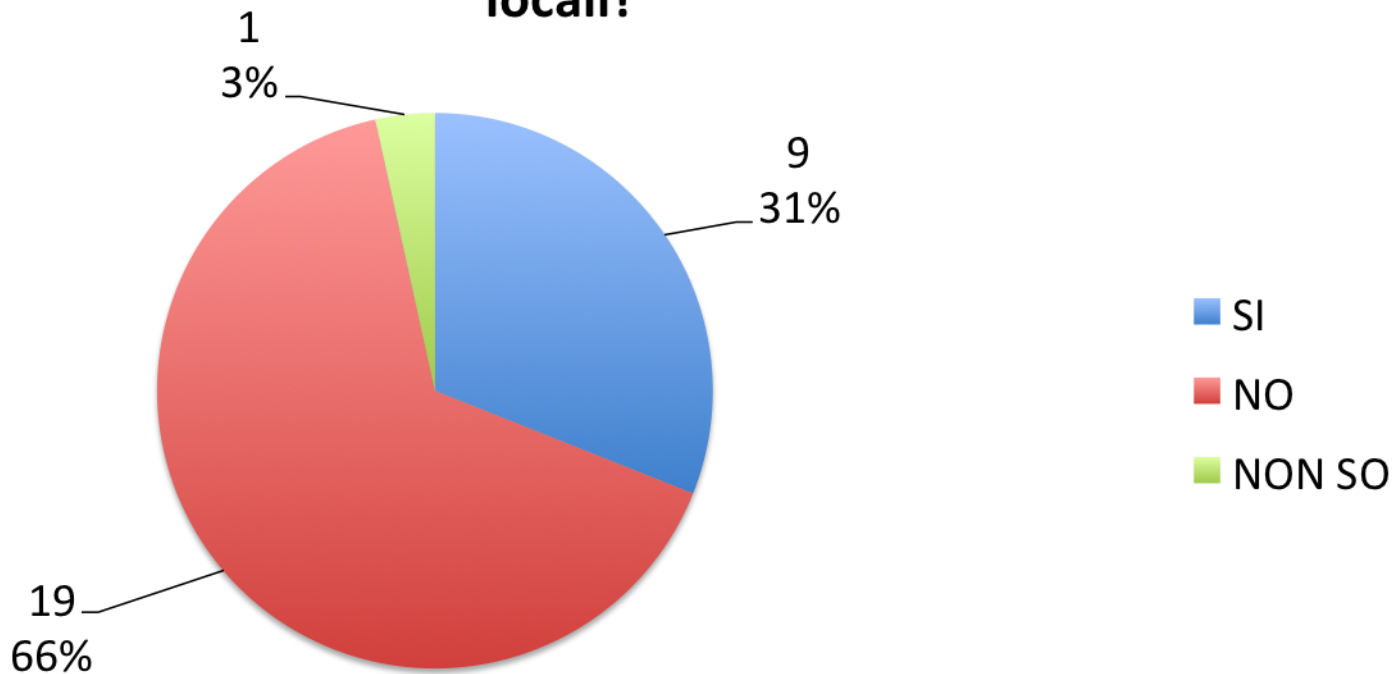
NO



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Nel corso dell'ultimo anno sono state svolte attività di formazione specifica degli operatori dei Pronto Soccorso locali?

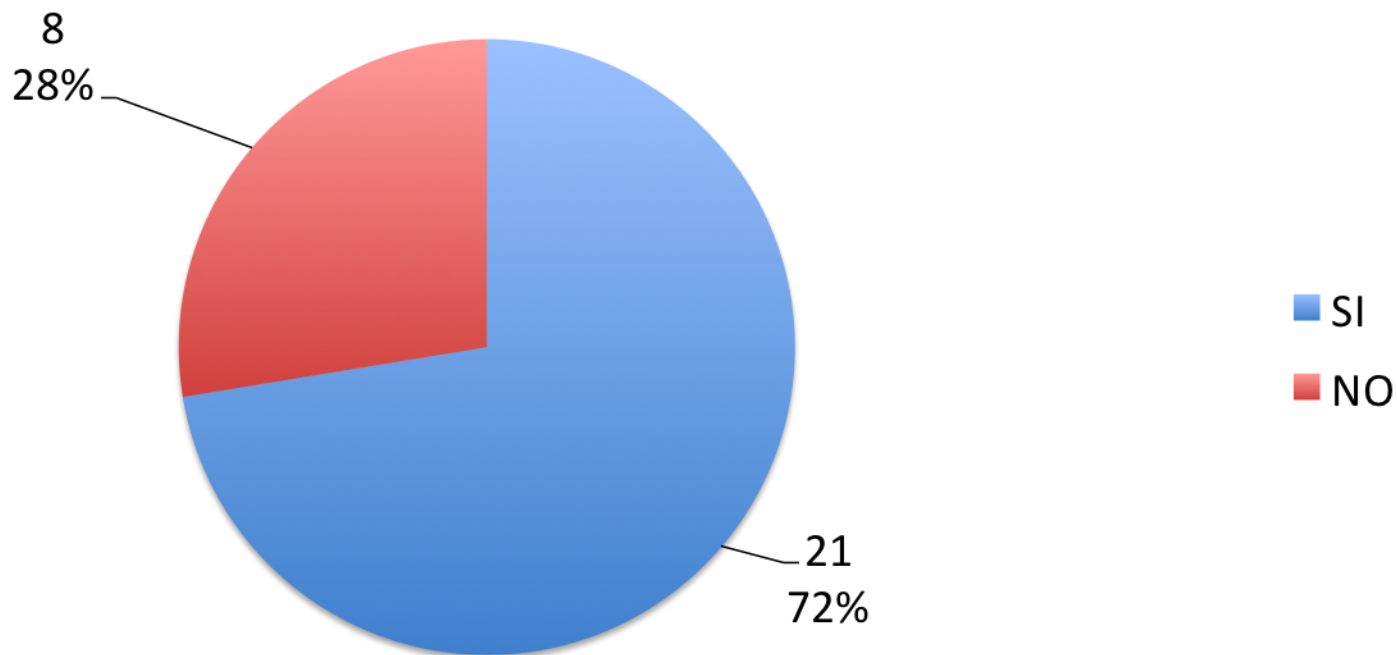




Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



**I farmaci per il trattamento dell'emofilia sono accessibili
dal PS in situazione di emergenza?**

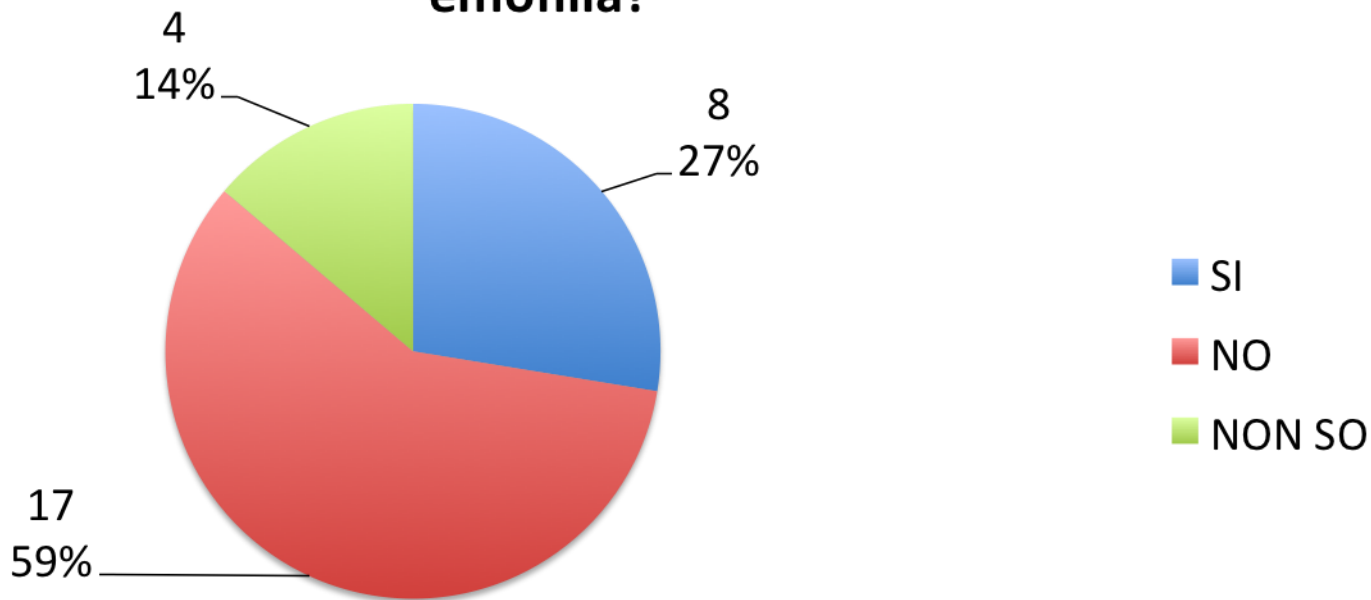




Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Nel corso dell'ultimo anno si è verificato almeno un episodio di disservizio o ritardo nella gestione di un paziente emofilico nel PS ove collocato il Centro emofilia?

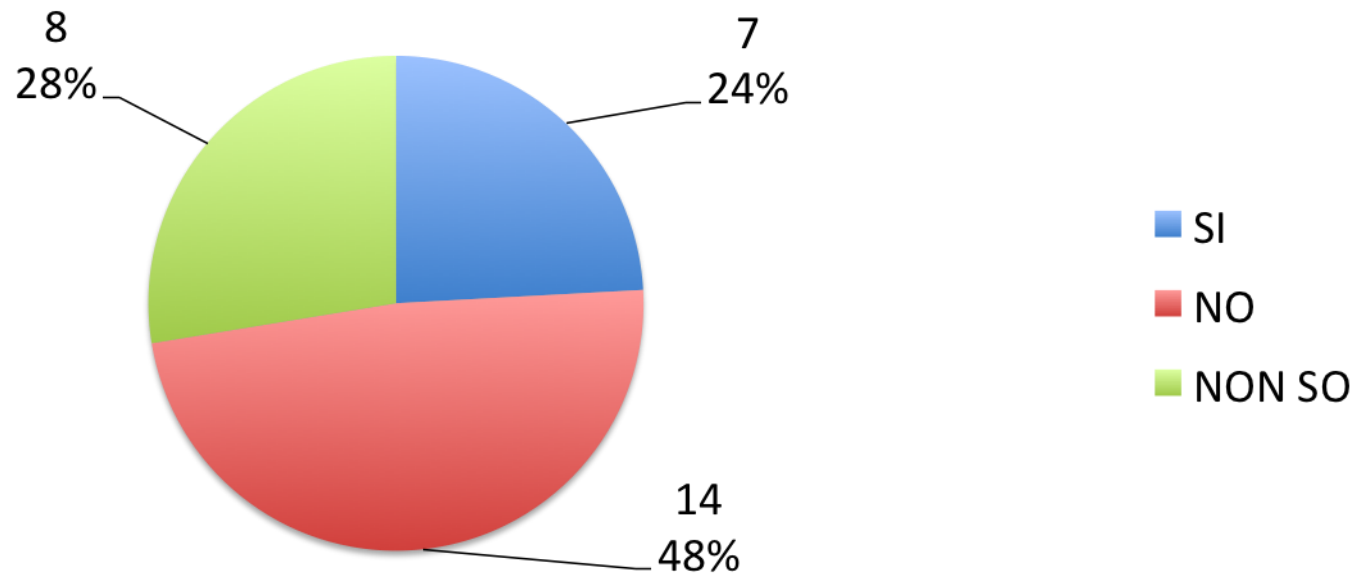




Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



Nel corso dell'ultimo anno si è verificato almeno un episodio di disservizio o ritardo nella gestione di un paziente emofilico negli altri PS della provincia o regione?

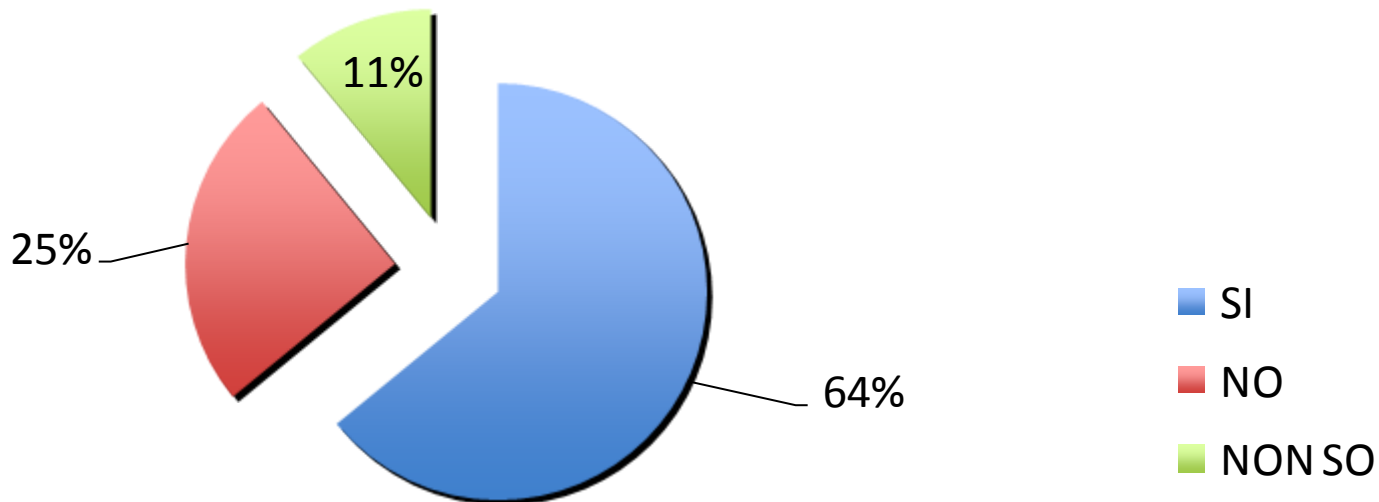




Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI



**In caso di urgenza è presente una consulenza telefonica
24 ore su 24 presso il Centro Emofilia da parte di uno
staff medico esperto in problemi delle MEC ?**



Consumo dei farmaci

- Fonte : L'uso dei farmaci in Italia. Rapporto nazionale anno 2011.

	Spesa procapite	DDD/1000 ab die	Diff % 2011-2010 spesa	Diff % 2011-2010 DDD	Diff % 2011-2010 Costo medio DDD
Fattori della coagulazione	0,3	<0,05	- 49,5	- 51,0	3,1

EVIDENZE SCIENTIFICHE

DOMANDE APERTE

Rapporti ISTISAN 10/31

Tabella A9. Pazienti che hanno sviluppato inibitore, distinti per coagulopatia (2008)

Patologia	Totale positivi	% positivi/ totale pz	High responder	Low responder
Emofilia A grave	284	17,1	189	58
Emofilia A moderata	16	3,5	7	7
Emofilia A lieve	8	0,7	2	5
Emofilia B grave	5	1,9	3	1
Malattia di von Willebrand tipo 3	6	5,3	5	-
Difetti di altri fattori della coagulazione	1	0,09	-	-
Emofilia A acquisita	44	70,9	8	16
Malattia di von Willebrand acquisita	2	14,2	1	-
Totale	366	7,5	215	87

SIPPET PROJECT

SIPPET PROJECT SURVEY OF INHIBITORS IN PLASMA-PRODUCT EXPOSED TODDLERS

HOME

THE SIPPET STUDY
THE STUDY RATIONALE

CONTACTS
PARTICIPANTS

SIPPET TRIAL: Inhibitor Development in Previously Untreated Patients (PUPs) or Minimally Blood Component-Treated Patients (MBCTPs) when exposed to von Willebrand factor-containing factor VIII concentrates and to Recombinant factor VIII concentrates: Independent, International, Multicenter, Prospective, Controlled, Randomized, Open-label

STUDY BACKGROUND:

Inhibitor development is the most challenging complication of hemophilia treatment and the highest economic burden for a chronic disease.

It is essential to know whether plasma-derived and recombinant products are associated with a different risk of inhibitor development in previously untreated patients or not.

A number of risk factors have been identified for the development of FVIII inhibitors in children with hemophilia A, including: disease severity, defects in the FVIII gene causing hemophilia in child, ethnicity and number of exposure days (EDs) to FVIII.

No randomized clinical trials are available to provide the evidence needed: it was not possible to reach definitive conclusions on the incidence of inhibitors with each of the FVIII products, because of differences in study design of safety trials.

Since it is not known whether recombinant FVIII products are more immunogenic than plasma derived, there is a need of randomized clinical trials to provide a definitive answer on the different immunogenicity of FVIII products.



Journal of Thrombosis and Haemostasis, 3: 423

EDITORIAL

Uncertain times for research on hemophilia and allied disorders

P. M. MANNUCCI and H. R. ROBERTS*

*Editor-in-Chief and *Senior Associate Editor*

”Are we witnessing a dramatic decline in the number of young physicians interested in a clinical and research career in bleeding disorders?”

IL NAUFRAGIO DEL GIGLIO

Maxiudizio a Grosseto

Schettino «sbatte» su un altro reato

Distruzione di habitat. La contestazione avanzata dal procuratore Verusio. Accuse del gip in 50 punti

Marco Dall'asta / cronista web@repubblica.it

Il maxiudizio c'è già stato, ma gli agenti non hanno ancora finito di indagare. Il procuratore Francesco Verusio ha presentato alla procura di Grosseto un maxiudizio di 50 punti contro il sindaco di Grosseto, il gip Valerio Schettino. Il maxiudizio è diviso in 10 sezioni che riguardano diversi reati di cui il gip è accusato di aver commesso o di aver fatto commettere.

Il maxiudizio è diviso in 10 sezioni che riguardano diversi reati di cui il gip è accusato di aver commesso o di aver fatto commettere. Le accuse vanno dalla distruzione di habitat alla distruzione di habitat in 50 punti.

Antipaga? I soccorsi, quando vennero inviati, furono di scarsa qualità. La distruzione di habitat in 50 punti.

In strada anti-tempo sulla fine dell'infanzia. Dal caso suo, Fav. Gilda Bolognina ha escluso la presenza della Costa spa come parte del tutto.

«Non è parte offesa, ma è parte danneggiata per la perdita della nave». In prospettiva di processo, è responsabile del danno cagionato dal naufragio.

Stato che il commissario è sospeso dal lavoro per aver violato le regole del processo. Il gip è accusato di aver commesso o di aver fatto commettere.

Costa? «Ogni mal di Pdl? Non è colpa mia se hanno mal governato. Alfano può fare bene».

la Repubblica LE SCELTE DEI PARTITI Berlusconi: "Cambierò il nome al Pdl" Difende Alfano e vuole un'intesa col Pd sulla legge elettorale contro i piccoli partiti

la Repubblica DOMENICA 4 MARZO 2012 # 12 PER SAPERNE DI PIÙ WWW.REPUBBLICA.IT WWW.DIRETTIVOFEDEMO.IT

Berlusconi: "Cambierò il nome al Pdl" Difende Alfano e vuole un'intesa col Pd sulla legge elettorale contro i piccoli partiti

ANDREA MONTANARI MILANO — Silvio Berlusconi non si è mosso dal letto, ma è stato raggiunto dal mondo politico. Il premier si è mosso dal letto, ma è stato raggiunto dal mondo politico.



Il premier Silvio Berlusconi

Pdl, ma sembra di cambiare il nome. Il segretario del Pdl, Silvio Berlusconi, ha annunciato che cambierà il nome del partito.

Il premier Silvio Berlusconi ha annunciato che cambierà il nome del partito.

La scheda Tutto quello che potrà dire la scatola nera

ALLARME CRISI ECONOMICA: RISCHI PER I MALATI DI EMOFILIA

La crisi finanziaria che coinvolge l'Europa rischia di mettere in pericolo la qualità delle cure dei pazienti, soprattutto di quelli affetti da malattie rare, come l'emofilia.

La situazione economica infatti potrebbe spingere le nostre Amministrazioni Regionali, soprattutto quelle con piani di rientro, a scegliere i farmaci basandosi esclusivamente sul criterio economico.

Un esempio ci arriva dal Regno Unito, dove circa la metà dei pazienti emofilici si è trovata nella condizione di dover cambiare terapia a seguito di una gara nazionale per l'acquisto del fattore ottavo ricombinante basata principalmente sui criteri del prezzo più basso.

Nei giorni scorsi a Roma, nell'ambito del Congresso annuale dell'European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD), sono stati presentati i risultati di uno studio effettuato sui pazienti emofilici inglesi al fine di valutare l'impatto della loro "conversione" forzata al trattamento con il medicinale più "economico".

Lo studio non sembrerebbe evidenziare un aumento del numero di complicanze, tuttavia, lo stesso ricercatore ha sottolineato l'evidenza non definitiva dei risultati, su cui influiscono molte variabili, tra cui il limite statistico intrinseco legato all'esiguità del campione.

Crediamo, come Federazione delle Associazioni dei pazienti emofilici (FedEmo), che sia auspicabile un coinvolgimento attivo e preliminare dei pazienti e delle associazioni in tutte le scelte che li coinvolgono, soprattutto quando tali scelte possono avere dirette conseguenze sulla loro salute.

Il direttore FedEmo

Federazione delle Associazioni EMOFILICI

Il direttore FedEmo



Intervista video animazione a Grosseto per la prima udienza del giudice per le indagini preliminari

La scheda Tutto quello che potrà dire la scatola nera

ALLARME CRISI ECONOMICA: RISCHI PER I MALATI DI EMOFILIA

La crisi finanziaria che coinvolge l'Europa rischia di mettere in pericolo la qualità delle cure dei pazienti, soprattutto di quelli affetti da malattie rare, come l'emofilia.

Un esempio ci arriva dal Regno Unito, dove circa la metà dei pazienti emofilici si è trovata nella condizione di dover cambiare terapia a seguito di una gara nazionale per l'acquisto del fattore ottavo ricombinante basata principalmente sui criteri del prezzo più basso.

Nei giorni scorsi a Roma, nell'ambito del Congresso annuale dell'European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD), sono stati presentati i risultati di uno studio effettuato sui pazienti emofilici inglesi al fine di valutare l'impatto della loro "conversione" forzata al trattamento con il medicinale più "economico".

Lo studio non sembrerebbe evidenziare un aumento del numero di complicanze, tuttavia, lo stesso ricercatore ha sottolineato l'evidenza non definitiva dei risultati, su cui influiscono molte variabili, tra cui il limite statistico intrinseco legato all'esiguità del campione.

Crediamo, come Federazione delle Associazioni dei pazienti emofilici (FedEmo), che sia auspicabile un coinvolgimento attivo e preliminare dei pazienti e delle associazioni in tutte le scelte che li coinvolgono, soprattutto quando tali scelte possono avere dirette conseguenze sulla loro salute.

Il direttore FedEmo

Federazione delle Associazioni EMOFILICI

Il direttore FedEmo

Debra Assunta attacca il sindaco di Roma: non lo conosco "No a Monti e Alemanno" In ventimila con la Destra

SIR PALO Debra Assunta, vedova Alemanno, al centro sul palco tra Francesco Schingo e Teodoro Buttino



ROMA — Le bandiere gruche in sfilata con le teste e i corpi riciclati verso il governo del centro-sinistra. Vedeva, nel 2008, il "banchiere" di Londra.

Non ha scelto per il sindaco Assunta. «Non mi ha scelta», ha detto il sindaco Assunta.

Il sindaco Assunta ha detto che non lo conosce.

Il sindaco Assunta ha detto che non lo conosce.

Il sindaco Assunta ha detto che non lo conosce.

Il sindaco Assunta ha detto che non lo conosce.

Il sindaco Assunta ha detto che non lo conosce.

FedEmo logo and contact information

IL TEMPO | DOMENICA 20 MAGGIO 2012

OMNIBUS SALUTE

Emofiliaci, le cure migliori sono italiane

Rimane alto il divario dei livelli di assistenza fra le regioni Al Policlinico di Roma un solo medico per mille pazienti

di **Gabriele Calzanti***

Lo spiega sciolto dalla Federazione delle Associazioni Emofiliaci (Fedemo) è «100% CURIE», per evocare l'impegno a colmare la differenza tra le regioni in modo da assicurare pari opportunità di trattamento in Italia e, nel mondo, rendere accessibili le cure al 100% dei malati emofiliaci. Per celebrare l'ottava Giornata Mondiale dell'Emofilia, si è svolta a Roma una tavola rotonda che ha riunito istituzioni, esperti, rappresentanti del mondo accademico, che hanno fatto il punto su questa malattia rara di origine genetica che in Italia colpisce circa 1.800 persone. L'evento è stato causato dalla carenza congenita, parziale o totale di una proteina del sangue coinvolta nel processo della coagulazione: il fattore VIII, nell'emofilia "A", la forma più comune e più grave, con una prevalenza di 1 caso ogni 10.000 maschi; il fattore IX, nell'emofilia "B", con il tasso ogni 30.000 maschi; il fattore von Willebrand: il fattore XI, VII, V, XII, X, e le varie forme più rare. A causa di questo deficit, gli emofiliaci sono a rischio emorragie spontanee o al seguito di traumi anche di lieve entità. Il trattamento consiste nella terapia sostitutiva, cioè nella somministrazione endovenosa del fattore carente, "a domanda" o in profilassi, sotto forma di concentrazioni del fattore della coagulazione derivati plasmatici o ricombinante, effettuata in genere dal paziente stesso da un familiare presso il proprio domicilio.



Aspettative Nasce oggi con l'emofilia significa avere una qualità di vita uguale al resto della popolazione, ma è necessario garantire pari opportunità di accesso ai trattamenti
nella foto Calzanti



A Bari Il pensionamento di uno dei medici esperti ha causato la chiusura del Centro Emofilia, vista l'impossibilità dell'Azienda sanitaria di attivare contratti di assicurazioni con giovani professionisti.
nella foto il governatore Vendola



Roma La perdita dello competenza specialistiche del Centro Emofilia (o la difficoltà come quella dell'Umberto I nella Capitale) può determinare conseguenze drammatiche
nella foto la governante Poverini

matche sia sulla salute dei pazienti sia sui costi sanitari a causa di assenza di adeguate conoscenze nella gestione appropriata di farmaci a elevato costo: nuovi fenomeni di penalizzazione della salute, inadeguato controllo della qualità e delle sue complicanze, con conseguenti ricadute in termini di disabilità e integrazione sociale. Per rompere questo circolo vizioso, bisogna promuovere la consapevolezza delle istituzioni regionali e nazionali circa l'urgenza e necessità di reclutare nuovi professionisti, anche nelle Regioni sottopopolate pian di dentro. Per questo motivo Fedemo espone, come forte suggerimento per gli impegni assunti dall'Associazione italiana Balduzzi in occasione della Giornata Mondiale a promuovere la massima solidarietà a completare l'iter delle raccomandazioni organizzative sulla programmazione regionale e sull'accrédito dei Centri emofilia, prodotte da un gruppo nazionale di esperti emofiliaci, coordinato dal Centro Nazionale Sangue. Tali raccomandazioni "contengono", secondo il Ministro «strumenti volti a dare risposte sostenibili, adeguate e omogenee su tutto il territorio nazionale ai pazienti affetti da tale patologia e, allo stesso tempo, a fornire alle Regioni strumenti per l'attuazione dei processi diagnostico-terapeutici».

ARTEMISIA LAB

La Qualità in Sanità

RETE DI CENTRI CLINICI DIAGNOSTICI

Poliambulatori

Esami di Laboratorio convenzionati SSN

Esami Strumentali

Radiologia - Mammografia

Ecografie - Amniocentesi

Diagnosi Prenatale

Centro Alta Tecnologia Risonanza Magnetica e TC

le nostre sedi:

STUDIO LANGOSI - zona Policlinico
Via G.M. Lancisi, 31 - tel. **06 44 088**

ALESSANDRIA - zona Piazza Fiume
Via Pave, 78 - tel. **06 42 100**

ALESSANDRIA - zona Piazza Fiume
Via Vesent, 10 - tel. **06 841 39 90**

CHEA - zona Appia/Coll Albani
Via Sermoneta, 36/50 - tel. **06 47 178**

QUINTALIA - zona EUR Marconi
Via A. Luordo, 42 - tel. **06 55 185**

ANALUBS - zona EUR Marconi
Via A. Luordo, 42 - tel. **06 55 185**

per informazioni e prenotazioni

06 42 100

sede amministrativa: Viale Liegi, 49
numero verde: 800 300 100 - www.artemisialab.it

GAS
communication
Rassegna Stampa

Data: 17-04-12 Testata: LA REPUBBLICA Pagina: 46

la Repubblica

SALUTE LE TERAPIE PER SAPERNE DI PIÙ www.fedemo.it www.fondazioneparacelso.it

Emofilia

Nella Giornata mondiale che si celebra oggi si segnalano disuguaglianze a livello globale

Nel nostro Paese bene la Lombardia, l'Emilia-Romagna e il Veneto, ritardi in Sicilia, Calabria, Sardegna e Lazio. Le associazioni: "Servono delle linee guida"

Emofilia

Nella Giornata mondiale che si celebra oggi si segnalano disuguaglianze a livello globale

Nel nostro Paese bene la Lombardia, l'Emilia-Romagna e il Veneto, ritardi in Sicilia, Calabria, Sardegna e Lazio. Le associazioni: "Servono delle linee guida"

LA SCHEDA

I PAZIENTI
Si stimano circa 8.238 pazienti affetti da patologie della coagulazione. Di questi, 5781 sono maschi e 1'857 femmine.

I TIPI
Tre le tipologie di malattie: di emofilia A, soffre il 41,7%; di emofilia B, l'8,5 per cento e della malattia di Von Willebrand il 23,4 per cento.

GLI EMOFILIACI
In Italia 4.198 gli emofiliaci hanno carenza congenita per la cura dell'emofilia. Nel mondo solo il 25% di malati ha accesso a cure e farmaci.

I CENTRI
Circa 40 in Italia i centri specializzati per la cura dell'emofilia. Nel mondo solo il 25% di malati ha accesso a cure e farmaci.

IRMA D'ARIA

Il mappamondo del socio emofiliaco si allarga con l'obiettivo di ridurre le differenze nell'accesso alle cure non più soltanto tra le regioni italiane ma anche nei paesi del mondo dove il livello di assistenza non è ancora più basso. È questo il senso degli slogan "Close the Gap" o "100% cure" che caratterizzano l'ottava Giornata mondiale dell'emofilia celebrata oggi in 113 paesi.

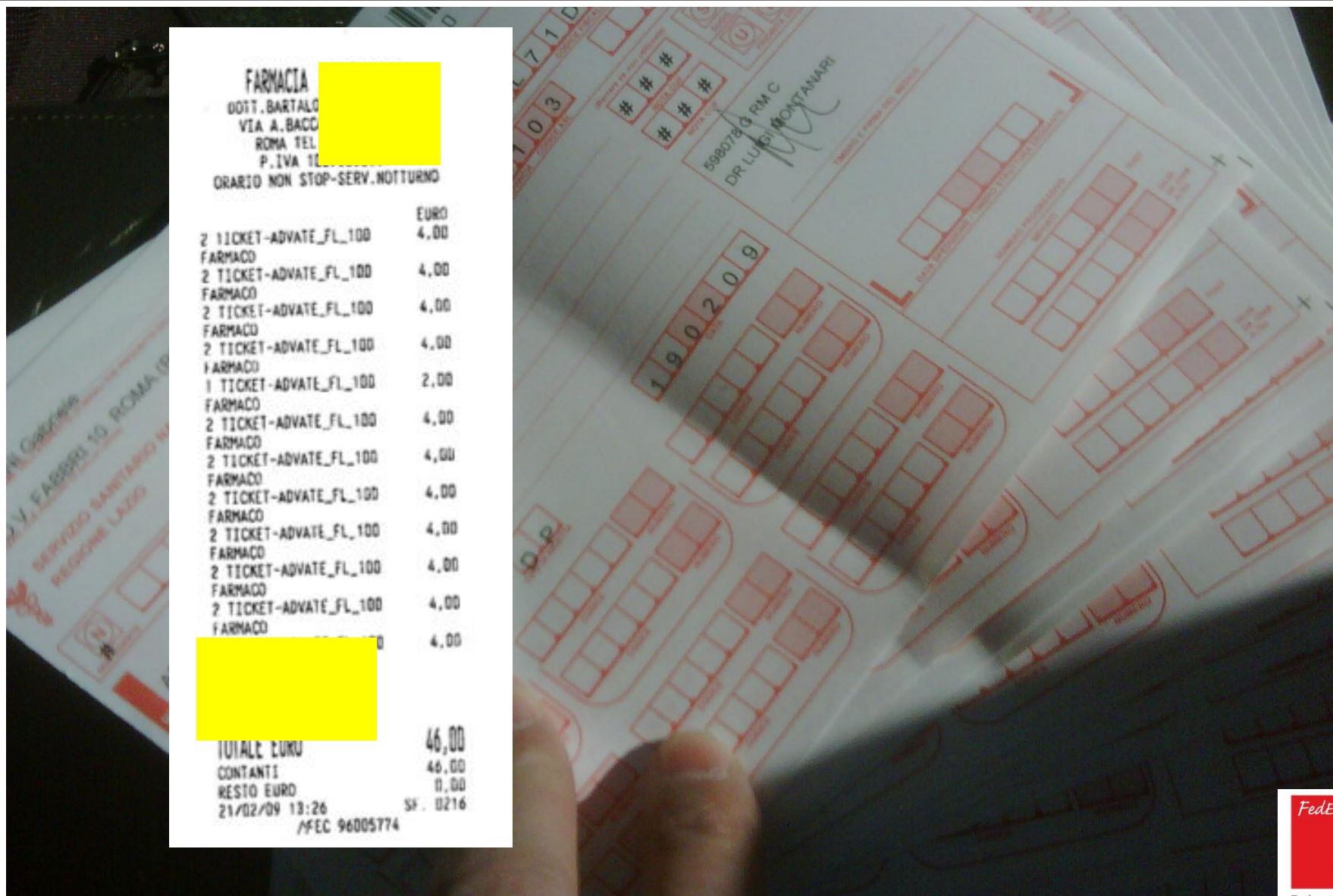
«Lo slogan ha una duplice lettura in chiave internazionale enazionale», spiega Gabriele Calligaris, presidente della Federazione delle associazioni emofiliaci (Fedemo) che proprio oggi ha organizzato a Roma una tavola rotonda sul tema delle pari opportunità di accesso ai trattamenti. «Nel mondo soltanto il 25% dei malati emofiliaci ha accesso alle cure e ai farmaci. L'obiettivo sarà quello di colmare il 75% di svantaggio». In questa direzione va il "Progetto Afghanistan" per fornire strutture ospedaliere in grado di diagnosticare e curare questa malattia emorragica. Abbiamo portato in Italia un medico e un tecnico di laboratorio e gli altri che hanno seguito per cinque mesi uno stage formativo presso il Centro emofilia del Policlinico di Milano», spiega Andrea Buzzi, presidente di Fondazione Paracelso che oggi a Milano ha organizzato una tavola rotonda sul terzo settore di cui il quale sarà anche proiettato il documentario Afghanistan. Una storia di verso giusto parte in Italia e parte a Kabul. Donazioni e solidarietà con macchinari e farmaci inviati. Un gesto reso possibile anche dal fatto che oggi non c'è un'eccezione di 20-30 milioni di Uniti Internazionali del fattore VIII da plasma nazionale (per la sopravvivenza di 2500 pazienti emofiliaci). Ma il gap va colmato anche all'elvo regionale perché le differenze sono ancora forti. «Emilia-Romagna, Lombardia e Veneto sono le regioni in cui la situazione assistenziale è migliore rispetto ad altre regioni come Sicilia, Calabria e Sardegna, ma anche il Lazio dove al momento i 1000 pazienti possono contare soltanto su un medico presso il centro del Policlinico Umberto I», dichiara Calligaris. Proprio per superare queste disparità regionali, le associazioni chiedono da tempo l'emanazione di linee guida per le malattie emorragiche congenite. «Ora finalmente il Centro Nazionale Sangue ha prodotto delle raccomandazioni di tipo organizzativo e linee guida per l'accrédito e la certificazione dei Centri di assistenza». Ora spetta al ministro della Salute vararle, auspica il presidente di Fedemo.

Accesso alle cure, gap anche italiano

Quotidiano Contatti: 3.250.000



RISCHI PER LA SPESA FARMACEUTICA



Clinical and organisational aspects of haemophilia care: the patients' view

Gabriele Calizzani, Romano Arcieri

Federation of Haemophilia Associations (FedEmo), Milan, Italy

Dear Sir,

Over the last years, the life expectancy of patients with haemophilia has become ever closer to that of the general population and the patients' quality of life has improved dramatically¹. These advances have been achieved thanks to a continuous improvement in factor VIII product availability in most countries, which has allowed the use of coagulation factor replacement therapy on a larger scale, particularly in western countries.

In the early 1980s, viral infections had a dramatic impact on the haemophilia community. The improvement of methods for inactivating or removing viruses from plasma products, together with a concomitant application of stringent donor selection criteria and nucleic acid amplification testing of donations have increased the safety profile of plasma-derived products. As a result, no cases of blood-borne transmission of known viruses from these products have been observed in the last two decades.

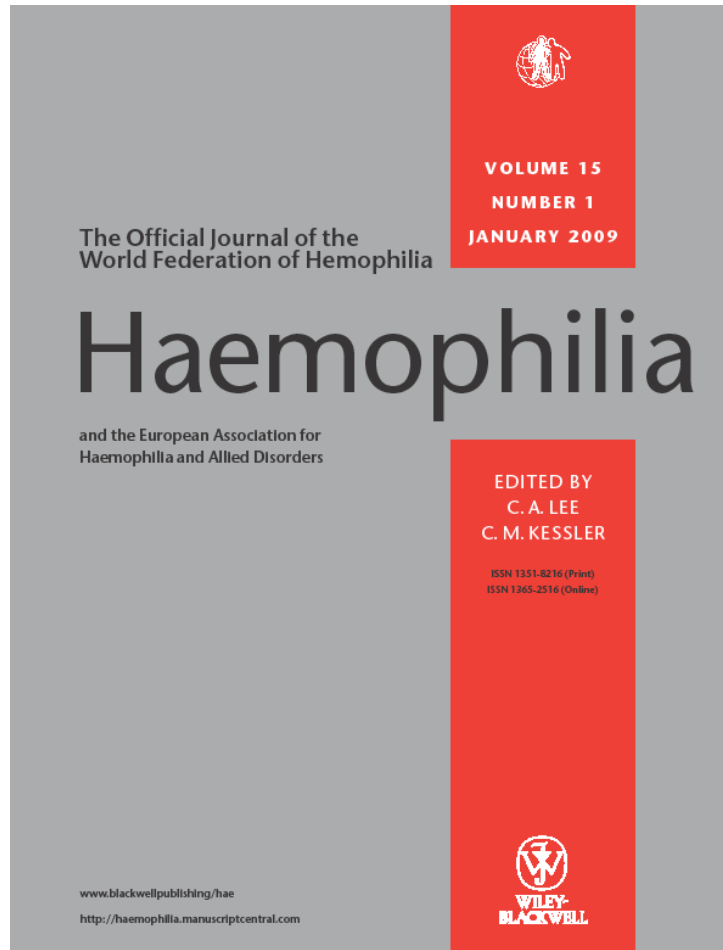
In the late 1980s, on the other hand, the advent of recombinant technology offered the possibility of

issues is lively^{2,3}. As far as concerns inhibitors, unless undisputed evidence from prospective clinical trials shows a real difference in clinical practice, it cannot be claimed that plasma-derived factor VIII products are superior to recombinant factor VIII products⁴. Even their equivalence should be scientifically demonstrated by controlled clinical trials.

Continuity of care, intended as maintenance of treatment with the product that offers the best clinical benefit to each patient, is essentially the only indisputable therapeutic approach for the community of haemophiliacs. However, in times of global recession, when financial constrictions are jeopardising the current levels of health care, governments and health-care decision-makers may be tempted to turn the clock back and, in the name of cost-saving, to adopt policies that might compromise access to the best available therapies and put the continuity of care in haemophilia management at serious risk.

In such a context, small changes in clinical guidelines, for example, those concerning the choice

European Principles of Haemophilia Care



European principles of haemophilia care

B. T. COLVIN,* J. ASTERMARK,† K. FISCHER,‡ A. GRINGERI,§ R. LASSILA,¶
W. SCHRAMM,** A. THOMAS†† and J. INGERSLEV‡‡ FOR THE INTER DISCIPLINARY
WORKING GROUP

*Barts and The London – Queen Mary's School of Medicine & Dentistry, London, UK; †Department for Haematology and Coagulation Disorders, Malmö University Hospital, Malmö, Sweden; ‡Van Creveld KLINIEK, Department of Haematology, UMC Utrecht, The Netherlands; §Centro Emofilia A. Bianchi Bonomi, Milan, Italy; ¶Department of Haematology and Coagulation Disorders, Helsinki University Hospital, Helsinki, Finland; **Abt. Hämostaseologie u. Transfusionswesen, Klinikum der Universität München, München, Germany; ††Paediatric Department, Royal Hospital for Sick Children, Edinburgh, UK; and ‡‡Centre for Haemophilia and Thrombosis, Skejby University Hospital, Aarhus, Denmark



EUROPEAN PRINCIPLES OF HAEMOPHILIA CARE

We call upon European and national healthcare policy makers to join us in taking strong and decisive action to ensure that people with haemophilia have access to safe treatments and optimum care throughout Europe. We endorse the following Principles, as elements of haemophilia care provision that should be available in each European Country:

1. A Central Haemophilia Organisation with Supporting Local Groups

In each country there should be a central organisation for haemophilia care supported by centres operating at the local level. These organisations should be responsible for accurate record keeping and the effective administration of haemophilia care. Such an approach also facilitates the exchange of best practice and the coordination of research.

2. National Haemophilia Patient Registries

Each country should have a national haemophilia patient registry administered by the central haemophilia organisation. Patient registry data can be used to facilitate resource planning and allocation, as well as provide accurate data on patient numbers, prescribing patterns, geographical spread and adverse events.

All registers should be held with suitable attention to confidentiality, national regulations and local best ethical practice.

3. Comprehensive Care Centres and Haemophilia Treatment Centres

Comprehensive Care Centres and Haemophilia Treatment Centres should be established to ensure that people with haemophilia have access to the full range of clinical specialties and appropriate laboratory services.

4. Partnership in the Delivery of Haemophilia Care

Clinicians and patient representatives should be part of national and/or regional haemophilia care decision making in partnership with ministries of health and social affairs, as well as those organisations that deliver haemophilia care via a formal mechanism such as a National Haemophilia Co-ordinating Group.

5. Safe and Effective Concentrates at Optimum Treatment Levels

People with haemophilia need to have access to safe and effective treatment at optimum levels. This improves physical health, life expectancy and quality of life

AISBL registered in Brussels, Belgium: No. 887.106.966
www.ehc.eu

EHC EU Representation Office:
European Haemophilia Consortium
Rue du Luxembourg, 22-24
B-1000 Brussels
Tel. +32-2-761 66 27, Fax. +32-2-777 05 10
e-Mail info@ehc.eu



and reduces the psycho-social and economic impact of this bleeding disorder on the patient and his/ her family. It also reduces the amount of long-term support needed from healthcare provider resources.

6. Home Treatment and Delivery

Home treatment and home delivery should be available in each country to facilitate immediate and effective treatment. This results in a reduction in hospital visits, prevents short and long-term disability and allows children and adults with haemophilia to have the freedom to lead lives that are as normal as possible.

7. Prophylaxis (Preventative) Treatment

Prophylaxis treatment should be available to people with haemophilia as it has been shown to prevent and improve chronic joint disease. Prophylaxis also promotes health and social well-being and reduces the burden of the condition.

8. Specialist Services and Emergency Care

Haemophilia care requires the co-ordination of a number of services to make sure that the particular needs of those with haemophilia are met.

In critical situations, people with haemophilia need immediate access to treatment as well as to skilled care through Accident & Emergency departments and to the range of specialists required to ensure their safety.

9. Management of Inhibitors

Some people with haemophilia develop "inhibitors", when their bodies inactivate the replacement clotting factor treatment. Those affected need to have immediate access to optimum treatments. Where appropriate, immune tolerance induction therapy (ITT) and the management of bleeding should be administered by clinicians with the necessary expertise, in hospitals with appropriate clinical and laboratory resources.

10. Education and Research

Recruitment and education of physicians in the area of thrombosis and haemostasis is an important task for the future to secure high quality care. Further research into haemophilia is also required, with priority areas for investigation being modified factor VIII and IX agents with longer half-life, less immunogenicity, new administration techniques, better understanding and prevention of the development of inhibitors and gene therapy. Other areas of research are required to further the development of care for patients and families, including examination of different service delivery models, outcomes and quality of life measures.

Manifesto dei "Haemophilia Principles of Care"

Roma 22 giugno 2011

PIANIFICAZIONE E ORGANIZZAZIONE DEI SERVIZI



100% CUORE
100% CURE

8^o GIORNATA MONDIALE dell'EMOFILIA

ROMA, 17 APRILE 2012
dalle ore 14.30
Biblioteca del Senato
"Giovanni Spadolini"
Sala degli Atti Parlamentari
Piazza della Minerva, 38 - Roma

FedEmo
Federazione delle Associazioni EMOFILICI
www.fedemo.it

Fondazione Paracelso
www.fondazioneparacelso.it

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
www.wfh.org

EMO-ATTIVI
www.emoattivi.it

EMO-ATTIVI per ottenere un risultato in portata di mano: eliminare la disparità nel trattamento tra persone emofiliche su tutto il territorio nazionale.

EMO-ATTIVI per raccogliere una sfida ancora più grande. Portare con il contributo italiano dal 25% al 100% la percentuale di emofilici che hanno accesso a cure e trattamenti nel mondo.

EMO-ATTIVI per la vita.

Con il contributo di:
Baxter **Novartis** **KEDRION** **ROO HEMOG** **Upisec**

- L'accesso alla diagnosi e terapia è fortemente a rischio in alcune aree del territorio nazionale
- L'appropriatezza prescrittiva può essere raggiunta solo nell'ambito di un'appropriatezza organizzativa
- Urgente e improrogabile l'adozione e implementazione delle raccomandazioni sulla programmazione regionale e accreditamento dei Centri MEC



ORIGINAL ARTICLE

Models for institutional and professional accreditation of haemophilia centres in Italy

G. CALIZZANI,* S. VAGLIO,* R. ARCIERI,† I. MENICHINI,† A. TAGLIAFERRI,‡
S. ANTONCECCHI,§ M. T. CARLONI,¶ A. BREDA,** E. SANTAGOSTINO,†† A. GHIRARDINI,‡‡
M. R. TAMBURRINI,‡‡ M. MORFINI,§§ P. M. MANNUCCI¶¶ and G. GRAZZINI*

*Italian National Blood Centre (INBC), Rome; †Italian Federation of Haemophilia Societies (FedEmo), Rome; ‡Emilia-Romagna Region, Parma; §Apulia Region, Bari; ¶Marche Region, Macerata; **Veneto Region, Treviso; ††Lombardy Region, Milan; ‡‡Ministry of Health, Rome; §§Italian Association of Haemophilia Centre Directors (AICE) and Tuscany Region, Florence; and ¶¶Italian Association of Haemophilia Centre Directors (AICE) and Scientific Direction, IRCCS Maggiore Policlinico Hospital, Milan, Italy

Summary. The Health Commission of the Conference between the Italian State and Regions recognized the need to establish an institutional accreditation model for Haemophilia Centres (HCs) to be implemented by 21 Regions in order to provide patients with haemophilia and allied inherited coagulations disorders with high and uniform standards of care. The Italian National Blood Centre, on behalf of the Commission, convened a panel of clinicians, patients, experts, representatives from Regions and Ministry of Health. The agreed methodology included: systematic literature review and best practice collection, analysis of provisions and regulations of currently available

regional policy planning, in which the following aspects of comprehensive haemophilia care should be considered for implementation: monitoring and auditing, multidisciplinary approach to clinical care, protocols for emergency management, home treatment and its monitoring, patient registries, drug availability and procurement, recruitment and training of health care professionals. The second set concerns the accreditation process and lists 23 organizational requirements for level 1 HCs and 4 additional requirements for level 2 HCs. These recommendations help to provide Italian Regional Health Authorities with an organizational framework for the provision of comprehensive care to patients with

PIANIFICAZIONE E ORGANIZZAZIONE DEI SERVIZI

9-5-2013

GAZZETTA UFFICIALE DELLA REPUBBLICA ITALIANA

Serie generale - n. 107

intermedi di lavorazione del plasma, eccedenti i fabbisogni nazionali, al fine di prevenirne la scadenza per mancato utilizzo, anche con recupero dei costi di produzione.

8. Per l'attuazione di quanto previsto nel presente atto si provvede nei limiti delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente e comunque senza nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica.

Roma, 7 febbraio 2013

Il Presidente: GEMELLI

Il Segretario: SENSICALCHI

13A03967

ACCORDO 13 marzo 2013.

Accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le Regioni e le Province autonome di Trento e Bolzano sulla definizione dei percorsi regionali e interregionali di assistenza per le persone affette da Malattie Emorragiche Congenite (MEC)². (Rap. atti n. 66/CSR).

LA CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME DI TRENTO E BOLZANO

Nella odierna seduta del 13 marzo 2013:

Visti gli articoli 2, comma 2, lett. b) e 4, comma 1 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, che affidano a questa Conferenza il compito di promuovere e sancire accordi tra Governo e Regioni, in attuazione del principio di leale collaborazione, al fine di coordinare l'esercizio delle rispettive competenze e svolgere attività di interesse comune;

Vista la nota del 7 dicembre 2012 con la quale il Ministero della salute ha inviato la proposta di accordo indicata in oggetto che, in data 11 dicembre 2012, è stata diramata alle Regioni e Province autonome di Trento e di Bolzano;

Vista la lettera in data 25 febbraio 2013, portata a conoscenza del Ministero della salute in pari data, con la quale la Regione Veneto, Coordinatrice interregionale in sanità, ha avanzato talune richieste emendative dello schema di accordo nella versione di cui all'anzidetta nota del 21 febbraio 2013;

Vista la lettera del 26 febbraio 2013 con la quale il Ministero della salute ha trasmesso una definitiva versione dello schema di accordo indicato in oggetto, che tiene conto delle menzionate proposte emendative avanzate dalla Regione Veneto;

Vista la nota del 27 febbraio 2013 con la quale tale definitiva versione è stata diramata alle Regioni e alle Province autonome di Trento e di Bolzano;

Rilevato che l'argomento è stato iscritto all'ordine del giorno della seduta di questa Conferenza del 28 febbraio 2013, la quale non ha avuto luogo;

Vista la nota in data 4 marzo 2013 con la quale la Regione Veneto, Coordinatrice della Commissione salute, ha comunicato il parere tecnico favorevole sulla versione dello schema di accordo di cui trattasi diramata con la citata nota del 27 febbraio 2013;

Considerato che, nel corso dell'odierna seduta, i Presidenti delle Regioni e delle Province autonome di Trento e di Bolzano hanno espresso parere favorevole al perfezionamento dell'accordo nella versione diramata con la predetta nota del 27 febbraio 2013;

Acquisito, nel corso dell'odierna seduta, l'assenso del Governo, delle Regioni e delle Province autonome;

Sancisce accordo

tra il Governo, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, nei seguenti termini:

Considerati:

il decreto del Presidente della Repubblica 14 gennaio 1997 recante: «Approvazione dell'atto di indirizzo e coordinamento alle regioni e province autonome di Trento e Bolzano in materia di requisiti strutturali, tecnologici ed organizzativi minimi per l'esercizio delle attività sanitarie da parte delle strutture pubbliche e private», che

Criteri di idoneità
 Cause di sospensione temporanea e definitiva e gestione del donatore non idoneo
 Le responsabilità del personale medico, del personale infermieristico e del personale di supporto addetto alla raccolta
 La gestione degli eventi avversi
 Farmaci e strumenti a disposizione
 Principi di rianimazione
 Compilazione, segnalazione e conservazione della modulistica relativa
 La responsabilità medico legale

3. Modulo
 Elementi di epidemiologia e prevenzione delle malattie trasmissibili con la trasfusione
 I patogeni emergenti e riemergenti
 Algoritmi di gestione del donatore con esami sierologici positivi
 Informazioni post donazione
 Il look back

4. Modulo
 Pulizia dei locali, igiene ambientale e personale, corretto conferimento e smaltimento dei rifiuti speciali prodotti in occasione delle donazioni
 La determinazione dell'emoglobina e/o l'esecuzione dell'esame emocromocitometrico
 La venopuntura e principi di disinfezione ed asepsi
 Apparecchiature in uso in sala prelievi
 L'etichettatura
 Elementi essenziali inerenti ai requisiti qualitativi ed ai controlli di qualità degli emocomponenti
 Procedure e normative di riferimento per la identificazione e rintracciabilità delle unità di sangue ed emocomponenti

5. Modulo
 Sistemi di gestione per la qualità
 Competenze generali
 Gestione procedure operative standard
 Rilevazione e gestione non conformità
 Azioni correttive e preventive
 Metodi e strumenti di interrelazione tra Servizio Trasfusionale e Unità di Raccolta

6. Modulo
 Principi di aferesi produttiva

ACCORDO 7 febbraio 2013.

Accordo, ai sensi dell'articolo 4 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, tra il Governo, le regioni e le province autonome di Trento e Bolzano per la promozione ed attuazione di accordi di collaborazione per l'esportazione di prodotti plasmaderivati ai fini umanitari (Rep. atti n.37/CSR).

LA CONFERENZA PERMANENTE PER I RAPPORTI TRA LO STATO, LE REGIONI E LE PROVINCE AUTONOME DI TRENTO E BOLZANO

Nella odierna seduta del 7 febbraio 2013:

Visti gli articoli 2, comma 2, lett. b) e 4, comma 1 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, che affidano a questa Conferenza il compito di promuovere e sancire accordi tra Governo e Regioni, in attuazione del principio di leale collaborazione, al fine di coordinare l'esercizio delle rispettive competenze e svolgere attività di interesse comune;

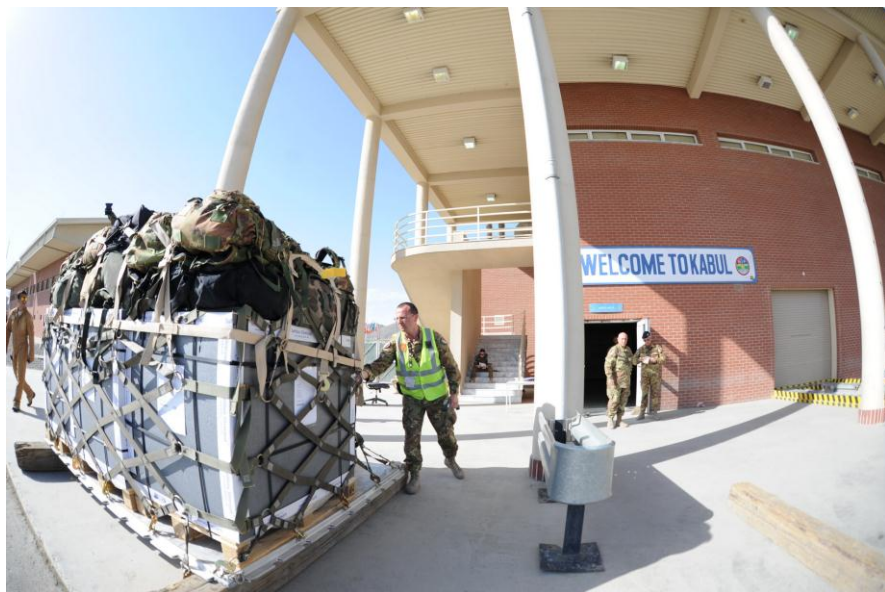
Vista la nota del 10 dicembre 2012, con la quale il Ministero della salute ha trasmesso la proposta di accordo indicata in oggetto;

Vista la nota del 12 dicembre 2012, con la quale la predetta proposta di accordo è stata diramata alle Regioni e Province autonome;

Vista la nota dell'11 gennaio 2013 con la quale, su richiesta della Regione Veneto - Coordinatrice della Commissione salute, è stata convocata una riunione tecnica per il 31 gennaio 2013;

Considerato che, nel corso del suddetto incontro, le Regioni e Province autonome hanno formulato una serie di richieste emendative:

PROGETTO AFGHANISTAN – FEDEMO , FONDAZIONE PARACELSO, FONDAZIONE CA' GRANDA DI MILANO, MIN. DELLA SALUTE, DIFESA ED ESTERI 17 APRILE 2013



conclusioni

Soprattutto in un periodo di crisi economica, è auspicabile

- la condivisione e la partecipazione alle scelte di programmazione sanitaria di tutti gli attori del sistema
- istituire un Gruppo di esperti nazionale che coinvolga anche le associazioni dei pazienti per il monitoraggio e la valutazione dei processi





100%
CUORE
100%
CURE



8^a
GIORNATA
MONDIALE
dell'EMOFILIA

ROMA, 17 APRILE 2012
dalle ore 14.30

Biblioteca del Senato
"Giovanni Spadolini"
Sala degli Atti Parlamentari

Piazza della Minerva, 38 - Roma

EMO-ATTIVI per ottenere un risultato a portata di mano: eliminare la disparità nel trattamento tra persone emofiliche su tutto il territorio nazionale.

EMO-ATTIVI per raccogliere una sfida ancora più grande. Portare con il contributo italiano dal 25% al 100% la percentuale di emofilici che hanno accesso a cure e trattamenti nel mondo.

EMO-ATTIVI per la vita.



Con il contributo di
Baxter



KEDRION



CLOSE THE GAP

