

# EMOFILIA A e TERAPIA GENICA:

dalla trasformazione dello scenario  
alla sua implementazione  
nella pratica clinica

NAPOLI  
4 aprile  
2025

Hotel Royal Continental  
Via Partenope, 38 – Napoli

HAEMpoint

NAPOLI  
4 aprile  
2025

Con la **recente approvazione della prima terapia genica per l'emofilia A grave**, lo scenario terapeutico di questa patologia genetica cronica risulta fortemente trasformato. La sua **azione diretta a ripristinare la sintesi endogena di fattore VIII**, infatti, apre la strada a un vero e proprio percorso di cura per i pazienti candidabili.

Come emerso dai **risultati a 4 anni dello studio registrativo di fase III**, una **singola infusione di valoctocogene roxaparvovec** permette di **ridurre i tassi di sanguinamento di oltre l'80%** e **l'impiego di fattore VIII di oltre il 95%**. I pazienti trattati mostrano inoltre un **miglioramento della HRQoL** già dopo 4 settimane dal trattamento, beneficio che viene mantenuto nel tempo (Leavitt AD, et al. 2024). Questi dati risultano confermati anche dalle prime esperienze di *real life* internazionali e ora anche italiane.

Alla luce di tali evidenze, è fondamentale garantire l'accesso a questa "terapia trasformativa" a tutti i pazienti candidabili e interessati.

Partendo quindi dall'aggiornamento dei risultati a lungo termine oggi disponibili e dalla condivisione delle prime esperienze di pratica clinica, **l'evento si pone l'obiettivo di accompagnare il team multidisciplinare dei Centri italiani a un'implementazione efficace e corretta della prima terapia genica per l'emofilia A grave.**

La presenza di **specialisti esperti, che hanno "toccato con mano" il trattamento** permetterà di discutere e approfondire i diversi aspetti del percorso di cura e rispondere ai dubbi dei partecipanti.

In particolare, nelle diverse sessioni verrà **analizzato il profilo di efficacia** e la **maneggevolezza del trattamento** e verranno **approfonditi gli aspetti organizzativi e gestionali**, così come il **ruolo del team multidisciplinare nel corso del patient journey**, anche alla luce delle prime esperienze condotte in Italia.

Relazioni specifiche verranno dedicate alla discussione di aspetti chiave correlati al trattamento, quali gli **aspetti epatici, chirurgici** e **l'impatto psicologico-emotivo della terapia genica** sui pazienti e sui *caregiver*.

Una sessione dell'evento sarà infine dedicata all'**approccio di shared decision making**, partendo dall'analisi del modello in un contesto altamente innovativo come questo e presentando gli strumenti utili alla sua applicazione nell'ambito specifico della terapia genica per l'emofilia A.

### Responsabili scientifici

Dario Di Minno (Napoli), Giovanni Di Minno (Napoli)

### Faculty

Dario Di Minno (Napoli), Giovanni Di Minno (Napoli)  Giuseppe Malcangi (Bari), Rita Santoro (Catanzaro)



**10.00-10.15** Apertura e obiettivi del corso – *G. Di Minno*

**10.15-11.00** L'emofilia A oggi: dalle sfide attuali alle nuove prospettive per una mente libera dall'emofilia  
*G. Di Minno*

- I bisogni terapeutici ancora insoddisfatti
- Le limitazioni sulla qualità di vita
- Il concetto di *haemophilia-free mind*

**11.00-11.45** La terapia genica, trasformazione della terapia e dell'emofilia A – *R. Santoro*

- Dal trattamento in regime di profilassi alla profilassi endogena
- I dati clinici, evidenze di *follow-up* nel lungo termine
- I benefici sulla qualità di vita

**11.45-12.00** Break

**12.00-12.40** Il nuovo *patient journey* nella pratica clinica – *G. Malcangi*

- Il paziente candidabile, parametri per la valutazione dei benefici e il *follow-up*
- Gli aspetti organizzativi dei Centri
- Ruolo del *team* multidisciplinare

**12.40-13.30** La maneggevolezza e i benefici clinici della terapia genica nella *real practice*:  
condivisione delle esperienze (prima parte) – *D. Di Minno*

- La gestione pratica del trattamento

**13.30-14.15** Break

**14.15-15.00** La maneggevolezza e i benefici clinici della terapia genica nella *real practice*:  
condivisione delle esperienze (seconda parte) – *D. Di Minno*

- I benefici clinici e di qualità di vita

**15.00-15.30** Approfondimenti nella pratica clinica, aspetti epatologici, emotivi e chirurgici – *D. Di Minno*

**15.30-15.50** L'approccio di *shared decision making*: il valore del modello nella terapia genica per l'emofilia A  
*G. Di Minno*

**15.50-16.20** La voce del paziente\* (Tavola rotonda) – *Tutti*

**16.20-16.30** Conclusioni – *D. Di Minno*

**16.30-16.45** Questionario di apprendimento ECM

\* Coinvolgimento di un paziente afferente a un'associazione pazienti locale

**SEDE**  
**Hotel Royal Continental**  
Via Partenope, 38 – Napoli

# HAEMpoint

QR  
code

**PER ISCRIZIONI**

<http://web.aimgroupinternational.com/2023/xxx/>

## **ECM - EDUCAZIONE CONTINUA IN MEDICINA**

L'evento è inserito nel Piano formativo anno 2025 AIM Education - Provider nr. 93 ([www.aimeducation.it](http://www.aimeducation.it)) ed è stato accreditato presso la Commissione nazionale per la formazione continua con obiettivo formativo di processo: Documentazione clinica. Percorsi clinico-assistenziali diagnostici e riabilitativi, profili di assistenza - profili di cura (3) per la figura professionale del **Medico Chirurgo** con specializzazione in Allergologia e immunologia clinica, Angiologia, Biochimica clinica, Cardiocirurgia, Cardiologia, Chirurgia generale, Chirurgia pediatrica, Chirurgia vascolare, Continuità assistenziale, Direzione medica di presidio ospedaliero, Ematologia, Farmacologia e tossicologia clinica, Gastroenterologia, Genetica medica, Geriatria, Laboratorio di genetica medica, Malattie infettive, Malattie metaboliche e diabetologia, Medicina dello sport, Medicina e chirurgia di accettazione e di urgenza, Medicina fisica e riabilitazione, Medicina generale (medici di famiglia), Medicina interna, Medicina trasfusionale, Microbiologia e virologia, Neonatologia, Oncologia, Organizzazione dei servizi sanitari di base, Ortopedia e traumatologia, Patologia clinica (laboratorio di analisi chimico-cliniche e microbiologia), Pediatria, Pediatria (pediatri di libera scelta), Reumatologia; **Biologo** con specializzazione in Biologo; **Farmacista** con specializzazione in Farmacista pubblico del SSN, **Fisioterapista** con specializzazione in Fisioterapista, **Tecnico sanitario laboratorio biomedico** con specializzazione in Tecnico sanitario laboratorio biomedico, **Tecnico ortopedico** con specializzazione in Tecnico ortopedico; **Psicologo** con specializzazione in Psicologia, Psicoterapia e **Personale infermieristico** per un numero massimo di 40 partecipanti.

Oltre tale numero e per professionisti/discipline differenti da quelle accreditate non sarà possibile rilasciare i crediti formativi. Si precisa che i crediti verranno erogati a fronte di una partecipazione del 90% ai lavori scientifici e del superamento della prova di apprendimento con almeno il 75% delle risposte corrette. La partecipazione all'evento è gratuita.

**L'EVENTO HA OTTENUTO N. 6 CREDITI FORMATIVI – ID 93-393045 Ed. 1.**

Provider ECM

 **AIMEDUCATION**

**Aim Education S.r.l. – ID 93**

Via Ripamonti, 129 | 20141 Milano

Tel. +39 02 56601.1 | Fax +39 02 70048585

e-mail: [info.aimeducation@aimgroup.eu](mailto:info.aimeducation@aimgroup.eu)

[www.aimeducation.it](http://www.aimeducation.it)

Con la sponsorizzazione non condizionante di

**Biomarin**<sup>®</sup>