

EMOFILIA A e TERAPIA GENICA:

dalla trasformazione dello scenario
alla sua implementazione
nella pratica clinica

ROMA
5 giugno
2025

UNAHOTELS Decò Roma
Via Giovanni Amendola, 57 – Roma

HAEMpoint

ROMA
5 giugno
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

Giancarlo Castaman (Firenze), Raimondo De Cristofaro (Roma)

Faculty

Ernesto Borrelli (Roma), Giancarlo Castaman (Firenze), Antonio Coppola (Parma),
Raimondo De Cristofaro (Roma), Cristina Santoro (Roma)

- 09.30-10.00** Registrazione partecipanti
- 10.00-10.15** Apertura e obiettivi del corso – *R. De Cristofaro*
- 10.15-11.00** L'emofilia A oggi: dalle sfide attuali alle nuove prospettive per una mente libera dall'emofilia
R. De Cristofaro
- 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 – *C. 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** *Coffee Break*
- 12.00-12.40** Il nuovo *patient journey* nella pratica clinica – *A. Coppola*
- 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) – *G. Castaman, R. De Cristofaro*
- La gestione pratica del trattamento
- 13.30-14.15** *Light Lunch*
- 14.15-15.00** La maneggevolezza e i benefici clinici della terapia genica nella *real practice*:
condivisione delle esperienze (seconda parte) – *G. Castaman, R. De Cristofaro*
- I benefici clinici e di qualità di vita
- 15.00-15.30** Approfondimenti nella pratica clinica, aspetti epatologici, emotivi e chirurgici – *R. De Cristofaro*
- 15.30-15.50** L'approccio di *shared decision making*: il valore del modello nella terapia genica per l'emofilia A
G. Castaman
- 15.50-16.20** La voce del paziente (Tavola rotonda) – *E. Borrelli (Presidente A.E.L. Lazio), G. Castaman, A. Coppola, R. De Cristofaro, C. Santoro*
- 16.20-16.30** Conclusioni – *G. Castaman*
- 16.30** Questionario di apprendimento ECM

SEDE
UNAHOTELS Decò Roma
Via Giovanni Amendola, 57 – Roma



PER ISCRIZIONI

<https://eventi2025.webaimgroup.eu/emofiliaa/>

ECM - EDUCAZIONE CONTINUA IN MEDICINA

L'evento è inserito nel Piano formativo anno 2025 AIM Education - Provider nr. 93 (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 **Infermiere** per un numero massimo di 30 partecipanti.

Oltre tale numero e per professioni/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. 5 CREDITI FORMATIVI – ID 93-448995 Ed. 1.

Provider ECM



Aim Education S.r.l. – ID 93

Viale E. Forlanini, 23 | 20134 Milano
Tel. +39 02 56601.1 | Fax +39 02 70048585
e-mail: info.aimeducation@aimgroup.eu
www.aimeducation.it

Con la sponsorizzazione non condizionante di

B:OMARIN®