

Talassemia, United Onlus: “Finalmente la terapia che aspettavamo da decenni”

Autore: Francesco Fuggetta , 09 Aprile 2019



La Federazione rappresenta 7.000 pazienti italiani con anemia mediterranea, drepanocitosi ed emoglobinopatie rare. Il presidente Valentino Orlandi racconta le loro esigenze e le loro speranze

Ferrara – I prossimi mesi, per i pazienti con **talassemia**, saranno di attesa ma anche di ottimismo. La notizia è quella che aspettavano da decenni: **la terapia genica**, che potrebbe finalmente curare definitivamente la loro malattia, **ha ricevuto il parere favorevole del Comitato per i Medicinali per Uso Umano** dell'EMA, e potrebbe presto essere disponibile. **“Abbiamo grandi aspettative per questo trattamento”**, afferma **Valentino Orlandi**, presidente di **United Onlus**, la Federazione Italiana delle Talassemie, Drepanocitosi ed Emoglobinopatie Rare.

“Certamente - prosegue Orlandi - non tutti i pazienti, per le caratteristiche della loro patologia, potranno accedere a questa cura potenzialmente risolutiva, ma siamo sicuri che riguarderà un gran numero di loro, con grandi benefici soprattutto per la fascia giovanile. **Speriamo solo che**, non appena il farmaco sarà approvato anche dalla Commissione Europea, non ci siano impedimenti e che **la procedura a livello nazionale possa essere fluida e veloce”**.

United Onlus è nata nel 2012 e riunisce 39 associazioni, alcune delle quali hanno più di quarant'anni di attività e sono state al fianco dei primi clinici

pionieri, quando ancora la talassemia era una malattia a prognosi infausta. "Abbiamo capito che dovevamo fare di più: dare voce a tutti i pazienti, dialogare con le istituzioni e soprattutto riunire le tante realtà regionali per condividere un'unica strategia a livello nazionale. Oggi la Federazione **conta 4.000 soci, che rappresentano le esigenze dei circa 7.000 pazienti italiani**", prosegue Orlandi. La regione più colpita dalla talassemia è la Sicilia con 2.500 pazienti, seguita dalla Sardegna con 1.500: i rimanenti 3.000 si dividono in tutta la penisola, con una frequenza più alta fra Emilia Romagna, delta del Po, Puglia e Calabria.

Nell'attesa della terapia genica, **la vita dei talassemici**, pur enormemente migliorata rispetto agli anni '70-'80, deve continuare a fare i conti con una serie di problemi e limitazioni: prima di tutto la **continua necessità di trasfusioni di sangue**, ogni 15-20 giorni per tutta la vita. Un impegno che necessariamente limita e condiziona molti aspetti della vita dei pazienti, dal lavoro, alla famiglia, ai viaggi. Queste regolari trasfusioni, inoltre, provocano un **sovraccarico di ferro nel sangue**, che dev'essere eliminato con un procedimento detto chelazione per non causare danni cardiaci, epatici e renali, oltre che osteoporosi e infezioni.

La malattia richiede quindi un'assistenza a livello multidisciplinare: già dieci anni fa uno [studio](#) di un'équipe di medici degli ospedali genovesi Gaslini e Galliera aveva dimostrato che il trattamento dei pazienti con talassemia *major* in centri specializzati di eccellenza gioca un ruolo importante nel migliorare la loro sopravvivenza. "L'impatto con la malattia è gravoso: la talassemia non comporta solo le trasfusioni, ma molte altre complicanze e comorbidità, sia a livello fisico che nella sfera psicologica. **La principale necessità dei talassemici è quindi proprio una corretta presa in carico**", sottolinea Orlandi. "In Italia ci sono numerosi centri d'eccellenza, ma anche diverse strutture dove i pazienti non vengono curati nel modo migliore: si sottopongono solo alla terapia trasfusionale, senza un team che possa seguirli. Occorre un potenziamento di questi centri, insieme a un ricambio generazionale dei medici e a una loro adeguata formazione".

La Federazione United Onlus riveste un ruolo importante anche nel **Registro nazionale della talassemia e delle emoglobinopatie**, istituito nel 2017: è infatti parte del direttivo, insieme a un comitato di clinici esperti. Il coordinamento tecnico del Registro è affidato al **Centro Nazionale Sangue** dell'Istituto Superiore di Sanità, guidato dal **dr. Giancarlo Maria Liunbruno**, e alla **Società Italiana Talassemie ed Emoglobinopatie (SITE)**, diretta dal **dr. Gian Luca Forni** ([qui](#) una sua recente intervista). "Si tratta di uno strumento utilissimo per capire quanti sono i talassemici, dove si curano e in che modo", conclude Orlandi. "Infine, **non bisogna dimenticare di ringraziare sempre chi con la sua generosità rende possibile le nostre cure: il donatore di sangue**".