

# **Verbale riunione GdL AIEOP Patologia del Globulo Rosso**

## **14 Febbraio 2020 - ore 14.00-17.30**

**Associazione SpazioPin - Viale Sondrio, 5 Milano**

Presenti: Francesco Arcioni, Valentina Baretta, Angelica Barone, Gianluca Boscarol, Elisa Bertoni, Simone Cesaro, Elena Chiocca, Raffaella Colombatti, Paola Corti, Daniela Cuzzubbo, Elena Facchini, Piero Farruggia, Silvia Fasoli, Giulia Maria Ferrari, Veronica Maria Folsi, Fiorina Giona, Chiara Gorio, Paolo Gorello, Saverio Ladogana, Giuseppe Lassandro, Filomena Longo, Laura Luti, Maddalena Migliavacca, Maddalena Marinoni, Antonio Marzollo, Maurizio Miano, Tommaso Mina, Vania Munaretto, Margherita Nardi, Agostino Nocerino, Lucia Dora Notarangelo, Giovanni Palazzi, Valentina Palladino, Giuseppe Palumbo, Emilia Parodi, Angelamaria Petrone, Chiara Piccolo, Maria Caterina Putti, Ugo Ramenghi, Giovanna Russo, Piera Samperi, Paola Saracco, Vincenzo Voi.

**Anemie emolitiche autoimmuni nel bambino: aggiornamento studio retrospettivo e prospettico (S.Ladogana):** presentazione della casistica totale raccolta; mancano gli ultimi dati di follow up di due centri per completare la casistica e procedere con la scrittura del manuscript per la pubblicazione. Vengono discussi collegialmente alcuni temi da evidenziare nella discussione del manuscript: dosaggio standard vs. alte dosi Ig, aderenza alle Linee Guida pubblicate, descrizione forme ipogenerative, steroidodipendenza....

**Emocromatosi: aggiornamento studio (P.Corti):** presentazione dei dati dello studio: 45 casi raccolti di cui 25 affetti (adesso si considera esclusa la emocromatosi 4). Considerare come elementi di discussione nel manuscript: studi familiari, portatori di Talassemia (quale effetto di HFE e microcitemia sull'omeostasi del ferro?), necessità di porre attenzione al fenotipo, richiedere ai centri assetto. Si considerano i dati sostanzialmente definitivi per la scrittura del manuscript.

**Anemia sideropenica: aggiornamento pubblicazione studio retrospettivo e proposta studio prospettico ferro sucrosomiale (G.Russo):** Lo studio retrospettivo sul ferro è stato pubblicato su Annals of Hematology. Viene proposto lo studio randomizzato con ferro sucrosomiale con descrizione e discussione del protocollo, criteri di inclusione ed esclusione, modalità di somministrazione dei farmaci. Il Centro di Catania presenterà lo studio al proprio CE e poi condividerà il parere del centro coordinatore e la documentazione con tutti i centri interessati.

**Splenectomia nelle anemie emolitiche escluse hpatie: proposta documento indicazioni (P.Saracco):** viene proposta la elaborazione di raccomandazioni per la splenectomia in anemie emolitiche escluse le hpatie, da confrontare con altre raccomandazioni europee esistenti (EHA). La proposta viene condivisa; da definire i dettagli della/delle persone coinvolte e le priorità/tempistiche rispetto ad altri documenti/lavori del gruppo.

**Favismo: proposta di documento per la prevenzione (P.Saracco-E.Parodi):** la gestione della diagnosi di favismo nel periodo neonatale e la comunicazione alla famiglia non sono uniformi sul territorio nazionale a causa della presenza dello screening neonatale per favismo solo in alcune regioni. La diagnosi avviene, in alcuni casi, in urgenza durante crisi emolitica e, nelle regioni senza screening neonatale, è probabilmente sottostimata. Viene proposta l'idea di svolgere una survey nazionale con codici da definire per il recupero dalle SDO (crisi emolitica, anemia, etc) e l'elaborazione di un position statement AIEOP sul percorso diagnostico in età neonatale da condividere con la SIN/SIP. Il Centro di Torino preparerà la survey. Si creerà un gruppo di lavoro per preparare il percorso diagnostico in età neonatale.

**Eritrocitosi: proposta algoritmo (P.Saracco):** Viene evidenziata la necessità di rivedere il percorso diagnostico e i valori di normalità per gli adolescenti. Le indicazioni riportate, al momento, sulla scheda malattia presente nel sito AIEOP non sembrano adeguate e vi è necessità di ridiscutere i cut-off e preparare un nuovo algoritmo diagnostico. Si concorda di coinvolgere i centri con la maggiore casistica ed esperienza a livello nazionale su questa patologia, tra cui Napoli e Padova, nella preparazione dell'algoritmo.

**Studio Asplenie: aggiornamento (M.Casale):** Viene presentato un aggiornamento dello stato del progetto. Molti centri devono ancora aggiornare la parte prospettica dello studio: la deadline per l'aggiornamento dei pazienti sickle è il 15/03/2020, mentre per le altre patologie sarà a giugno 2020. Verrà inviata email con istruzioni su come accedere al dbase nel formato aggiornato

**SCD, studio talasso-drepanocitosi "mild" (S-beta+tal): aggiornamento pubblicazione (L. Notarangelo):** Lo studio retrospettivo è stato pubblicato a fine 2019 su European Journal of Haematology gennaio 2020. Verrà preparato uno studio prospettico per iniziare la raccolta dati.

**SCD, Consapevolezza del rischio riproduttivo nelle drepanocitosi: proposta di studio (L.Notarangelo ed E.Bertoni):** Viene presentata la proposta di studio per genitori e per adolescenti per valutare la consapevolezza del rischio riproduttivo nella SCD. Viene presentata una prima bozza di questionario. Nella discussione emergono alcuni elementi: opportunità di preparare le domande in linguaggio comprensibile al livello culturale/linguistico dei pazienti con SCD e dei loro genitori; utilità di risposte quantificabili. La bozza di questionario e lo studio verranno rivisti e condivisi una volta pronti.

**SCD, Accesso all'emergenza - Survey tra i pazienti affetti da SCD Emergenze nella Drepanocitosi: aggiornamento survey conclusa e prospettive future (P.Samperi-G.Russo):** Vengono presentati i risultati preliminari della survey condotta nei PS dei centri italiani, da cui emergono molti spunti interessanti che suggeriscono la necessità di ampliare la casistica dei centri partecipanti, anche coinvolgendo la SIMEUP e la SIMEU. Quando questo sarà completato i dati verranno condivisi e pubblicati.

**SCD, TCD: risultati questionario disponibilità e TCD Training Course (da parte di L.Sainati):** Il corso è organizzato a Padova per il 18-19/06/2020 (giornata mondiale della drepanocitosi). Modalità di iscrizione e dettagli verranno forniti quanto prima.

**SCD, Sickle Cell World Assessment Survey (SWAY): aggiornamento risultati (R.Colombatti):** Vengono presentati dati preliminari della survey sul disease burden nella SCD a cui hanno partecipato 55 pazienti italiani. E' stata chiesta alla ditta promotrice dello studio (Novartis) di poter analizzare e interpretare i dati complessivi italiani per comprendere meglio come viene percepito dai pazienti il peso della malattia e quali sono gli unmet needs nel nostro territorio. La risposta e le eventuali modalità verranno condivise non appena disponibili

**EuroBloodNet: aggiornamento progetti SCD Patient Group, national meeting (R.Colombatti):** viene presentato un breve aggiornamento di alcuni progetti in corso. Viene inoltre presentato il Corso Triennale di formazione AIEOP in oncematologia pediatrica con due giornate all'anno, in occasione delle giornate di Riccione e del Congresso annuale AIEOP. I primi due moduli saranno: LMA/LLA ad aprile 2020 e Globulo Rosso (Talassemia/Sickle Cell) a ottobre 2020. Il nostro GdL è coinvolto nell'organizzazione della giornata di ottobre.

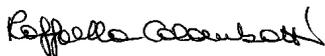
**SCD : Trials Clinici in corso e upcoming, aggiornamento (R.Colombatti)**: Vengono presentati i trial che stanno reclutando pazienti pediatrici in Italia per SCD e Thal o che apriranno a breve. In particolare per SCD: SEG101-Fase 2 Novartis con Crizanlizumab ev 1 volta al mese, aperto a Padova, Modena, Torino-Orbassano: concluso arruolamento fascia di età 12-18 (arruolati 3 pazienti in Italia), riaprirà arruolamento fascia di età 6-12 e 2-6 verosimilmente a Marzo- criterio di inclusione è 1 VOC nei 12 mesi precedenti (intesa come ACS, VOC, Sequestro Splenico o Priapismo); Global Blood Therapeutics-TCD con Voxelotor aprirà nei prossimi mesi, fase III per pazienti con TCD conditional, Firenze, Padova, Torino-Orbassano; Terapia Genica- Bluebirdbio HGB210 per paziente 2-18 anni con VOC ricorrenti (4 ricoveri negli ultimi 2 anni) e indicazione a trapianto aplo, aprirà entro fine anno a Roma BG e Padova. Per Thal: Celgene-Luspatercept fase III Pediatrica: centro coordinatore To-Orbassano, in fase di apertura. Ulteriori dettagli dei criteri di arruolamento verranno forniti a breve e si raccomanda di segnalare ai centri attivi per ciascun trial eventuali pazienti idonei che possano beneficiare delle varie sperimentazioni.

**SCD, Casi clinici “difficili” (G.Palazzi)**: Presentazione di un caso difficile seguito da discussione. Si concorda collettivamente di riservare degli spazi per la discussione di casi clinici in ogni riunione

**SCD, Meetings futuri: GSCDN-Unesco Parigi Aprile 2020, ASCAT-EHA-BSH SCD and Thal meeting Londra Ottobre 2020**: vengono presentati I due upcoming meetings nei quali si svolgeranno anche incontri per pazienti europei con SCD. Giovanna Russo presenterà a Parigi l'esperienza italiana.

**Censimento centri SITE emoglobinopatie (M.Casale)**: viene illustrato il censimento promosso dalla SITE per i centri SITE che si prendono cura dei pazienti con emoglobinopatie, aperto anche ad altri centri. La diffusione delle informazioni riguardanti il censimento è avvenuta attraverso i rappresentati SITE su base regionale e non nazionale e senza il coinvolgimento formale delle altre società scientifiche nazionali. Viene illustrata la motivazione del censimento e la possibilità di accedere al link, la cui deadline è stata prorogata. Nella discussione emerge come i canali finora utilizzati non abbiano permesso, al momento, una diffusione capillare adeguata della survey e come sarebbe auspicabile poter eventualmente integrare informazioni/dati dopo la conclusione della prima analisi preliminare da parte delle altre società scientifiche, vista la non completa copertura finora sul territorio nazionale.

La riunione termina alle 17:30



Dr.ssa Raffaella Colombatti