

## INFORMAZIONI GENERALI

### SEDE

Novotel Parma Centro – Via Trento, 9 – 43122 Parma

### ISCRIZIONE

Gratuita, ma per motivi organizzativi obbligatoria, da effettuarsi al sito [www.congressteam.com](http://www.congressteam.com)

### EVENTO ECM N. 363944 - ID PROVIDER 1147

Nr. 4 crediti formativi ECM

### DESTINATARI DELL'ATTIVITA' FORMATIVA:

MEDICO CHIRURGO - Ematologia, Farmacologia e Tossicologia Clinica, Medicina Interna, Medicina Trasfusionale, Patologia Clinica (Laboratorio di analisi chimico-cliniche e microbiologia), Pediatria;  
BIOLOGO, FARMACISTA OSPEDALIERO, INFERMIERE PROFESSIONALE, TECNICO SANITARIO DI LABORATORIO BIOMEDICO

### OBIETTIVI FORMATIVI E AREA FORMATIVA:

2 - Linee Guida – Protocolli – Procedure

**VERIFICA DI APPRENDIMENTO:** questionario a risposta multipla online

### ATTESTATO DI PARTECIPAZIONE

Al termine del Convegno verrà rilasciato un attestato di frequenza a chi ne farà richiesta.

### VARIAZIONI

La segreteria organizzativa si riserva di apportare modifiche al programma per ragioni tecnico/organizzative

### SEGRETERIA SCIENTIFICA

Antonio Coppola, Annarita Tagliaferri  
SSD Centro Hub Emofilia e Malattie Emorragiche congenite A.O.U. Parma

### RESPONSABILE SCIENTIFICO

Dott. ssa Annarita Tagliaferri  
SSD Centro Hub Emofilia e Malattie Emorragiche Congenite A.O.U. Parma

### SEGRETERIA ORGANIZZATIVA E PROVIDER ECM

Congress Team Project Srl  
Via Fratelli Cuzio, 42 - 27100 Pavia  
Tel 0382 22650- fax 0382 33822  
[eventi@congressteam.com](mailto:eventi@congressteam.com) - [www.congressteam.com](http://www.congressteam.com)

con la sponsorizzazione non condizionante di



# EMOFILIA B: SCENARI TERAPEUTICI *in evoluzione*



## PARMA

## 16 dicembre

## 2022



## PROGRAMMA

## RAZIONALE SCIENTIFICO

Nell'ultimo decennio la sperimentazione e l'introduzione nella pratica clinica dei concentrati di fattori ad emivita prolungata (EHL) ha rivoluzionato la gestione del trattamento dei pazienti con emofilia, la carenza congenita dei fattori VIII (emofilia A) o IX (emofilia B). Ciò in particolare per quelli affetti dalle forme clinicamente più rilevanti, con livelli di fattore <1% (emofilia grave) e/o con maggiore tendenza emorragica. In questi casi l'approccio terapeutico di scelta è la profilassi con i concentrati di fattore, intrapresa precocemente e protratta a lungo termine, con l'obiettivo di prevenire le emorragie, salvaguardare la salute articolare e garantire una soddisfacente qualità di vita, con il minor condizionamento possibile a causa della patologia e del suo 'peso' assistenziale e una piena partecipazione del paziente a tutte le attività. La disponibilità dei concentrati EHL ha, infatti, nettamente facilitato il perseguimento di questi obiettivi, in particolare nell'emofilia B, grazie al notevole vantaggio farmacocinetico dei concentrati di FIX EHL rispetto ai prodotti ad emivita standard. Ciò ha consentito di migliorare i livelli di protezione antiemorragica e articolare dei pazienti, nel contempo con una notevole riduzione della frequenza delle infusioni e.v. e un'ampia possibilità di personalizzare il regime di profilassi, in relazione al fenotipo emorragico, allo stato articolare e allo stile di vita e all'attività fisica del paziente. Oltre a favorire generalmente l'aderenza alla profilassi, il ricorso ai concentrati EHL, in non pochi casi, ha reso possibile intraprendere tale regime di trattamento in pazienti che non vi erano mai riusciti per problemi di accesso venoso, gestione delle infusioni o scarsa motivazione.

Le solide evidenze dai trial clinici e dagli studi di estensione dei concentrati EHL si riferiscono a popolazioni selezionate e, in particolare per l'emofilia B, numericamente limitate. Cominciano ad essere disponibili in letteratura diverse esperienze real-world, che meglio rispecchiano l'eterogeneità della pratica clinica, ma è importante continuare a raccogliere e confrontare le esperienze dell'utilizzo di questi nuovi prodotti, per ottimizzare le scelte cliniche e verificare il rapporto costo-benefici, anche in prospettiva di ulteriori novità terapeutiche all'orizzonte: nuovi prodotti EHL, agenti non sostitutivi, approcci di terapia genica. In quest'ottica si inserisce anche questo evento formativo, che si propone di analizzare lo scenario in evoluzione della terapia dell'emofilia B e di mettere a confronto le esperienze maturate in alcune regioni italiane (Emilia-Romagna, Piemonte, Veneto, Toscana e Lazio), in un'analisi globale che mira a sottolineare non solo aspetti prettamente clinici, ma anche di laboratorio, di farmacoeconomia e di politica del farmaco nelle diverse realtà italiane.

## FACULTY

**Erminia Baldacci** - Roma  
**Alessandra Borchiellini** - Torino  
**Chiara Biasoli** - Cesena  
**Giancarlo Castaman** - Firenze  
**Antonio Coppola** - Parma

**Paolo A. Cortesi** - Milano  
**Raimondo De Cristofaro** - Roma  
**Silvia Linari** - Firenze  
**Angelo Claudio Molinari** - Genova  
**Annarita Tagliaferri** - Parma  
**Ezio Zanon** - Padova

## PROGRAMMA

- 13.45** *Apertura segreteria e registrazioni*
- Moderatori: **A. Tagliaferri - C. Biasoli**
- 14.00** Introduzione ai lavori • **A. Tagliaferri**
- 14.10** Caratteristiche dei concentrati di rFIX EHL e evidenze dai trial clinici sulla profilassi in emofilia B • **A. C. Molinari**
- 14.35** Gli unmet needs del paziente affetto da emofilia B ed evidenze di trattamento real-world • **A. Coppola**
- 15.00** L'impiego di concentrati di rFIX EHL: le esperienze cliniche a confronto dai centri delle Regioni Piemonte, Veneto, Toscana e Lazio • **A. Borchiellini, E. Zanon, S. Linari, E. Baldacci**
- 16.00** Discussione
- 16.15** Break
- 16.30** Il monitoraggio di laboratorio dei rFIX EHL • **R. De Cristofaro**
- 16.50** Gli scenari terapeutici in evoluzione in emofilia B • **G. Castaman**
- 17.20** Modelling di farmacoeconomia nella valutazione del rapporto costo-efficacia dei rFIX EHL in emofilia B • **P. A. Cortesi**
- 17.45** Discussione
- 18.00** Conclusioni e take home messages • **A. Tagliaferri**
- 18.15** Chiusura lavori

