



## Talassemia, media tutorial su impatto gestione clinica e trattamenti

### Descrizione

(Adnkronos) ?? Evoluzione della gestione clinica della talassemia, dalle terapie trasfusionali alla chelazione del ferro, fino alle nuove opzioni terapeutiche in fase di sviluppo. Sono i temi del media tutorial ??Viaggio nella talassemia: burden, gestione clinica, cure di oggi e di domani??, promosso da Avanzanite Bioscience Bv. La talassemia ?? ricorda una nota ?? ?? una malattia genetica del sangue che comporta anemia cronica e pu?? causare complicanze gravi a carico di diversi organi. In Italia si stima che circa 7.200 persone convivano con forme severe della patologia, con una prevalenza maggiore in Sardegna, Sicilia e Calabria, e che circa 3 milioni siano portatori sani del tratto talassemico. Negli ultimi decenni i progressi nelle terapie trasfusionali e nella chelazione del ferro hanno consentito un importante aumento dell'aspettativa di vita, che oggi pu?? superare i 70 anni nei pazienti trasfusione-dipendenti. Tuttavia, il burden della malattia rimane elevato e richiede un approccio strutturato e continuo.

La patologia comprende quadri clinici diversi, definiti secondo il tipo di mutazione genetica coinvolta nella produzione dell'emoglobina: l??-talassemia, legata ad alterazioni delle catene alfa, pi?? rara nel nostro paese, e la ??-talassemia, caratterizzata da un difetto nella sintesi delle catene beta. Inoltre, a seconda della gravit?? dell'anemia ?? possibile distinguere forme trasfusione-dipendenti, in cui i pazienti necessitano di trasfusioni regolari di globuli rossi ogni 2-4 settimane per mantenere livelli adeguati di emoglobina e prevenire danni all'organo, e forme non trasfusione-dipendenti, caratterizzate da un'anemia meno severa, ma comunque associata nel tempo a complicanze cliniche legate alla ridotta ossigenazione dei tessuti e al progressivo accumulo di ferro dovuto all'eritropoiesi inefficace.

??La talassemia ?? una patologia ereditaria cronica che coinvolge non soltanto il sangue, ma numerosi organi e apparati, con un impatto clinico e psicologico significativo ?? spiega Maria Domenica Cappellini, professore onorario di Medicina interna dell'universit?? di Milano ?? La prevenzione e la diagnosi precoce hanno ridotto la nascita di nuovi casi, ma in Italia convivono con questa condizione migliaia di persone che necessitano di cure specialistiche per tutta la vita. Grazie ai progressi nella terapia trasfusionale e nella chelazione del ferro, le aspettative di vita sono notevolmente cresciute; tuttavia, nonostante il miglioramento della sopravvivenza, la qualit?? della vita deve rimanere al centro della nostra attenzione. ??impegno ?? quello di personalizzare le cure in

base allâ??etÃ , alle comorbiditÃ e alla storia clinica di ciascun paziente, garantendo una presa in carico realmente globaleâ?•.

Le trasfusioni di globuli rossi â?? prosegue la nota â?? rappresentano il cardine della terapia nella malattia trasfusione-dipendente e consentono una crescita normale nei bambini e il mantenimento delle attivitÃ fisiche e lavorative negli adulti. Tuttavia, lâ??accumulo di ferro che ne deriva comporta la necessitÃ di una terapia ferrochelante continuativa per prevenire complicanze dâ??organo talvolta severe. Anche i pazienti con forme non trasfusione-dipendenti possono andare incontro a complicanze che richiedono monitoraggio e interventi terapeutici.

â??Il burden assistenziale e psicologico rimane elevato per i pazienti e per le loro famiglie â?? sottolinea Filomena Longo, direttrice dellâ??Uoc Talassemie ed Emoglobinopatie presso lâ??Aou Arcispedale Santâ??Anna di Ferrara â?? La necessitÃ di programmare trasfusioni regolari, il controllo del sovraccarico di ferro e le frequenti sorveglianze strumentali determinano unâ??importante complessitÃ gestionale. Inoltre, lâ??allungamento della sopravvivenza ha portato alla comparsa di comorbiditÃ quali endocrinopatie, complicanze cardiovascolari e osteoporosi, che richiedono un approccio multidisciplinare costante. Per questo Ã" fondamentale una rete di centri specializzati che collabori in modo sinergico, garantendo continuitÃ assistenziale e uniformitÃ di trattamento sul territorio nazionaleâ?•.

La dipendenza dalle trasfusioni incide sulla quotidianitÃ dei piÃ¹ giovani, che devono conciliare la terapia con attivitÃ scolastiche, familiari e sociali. â??Per la maggior parte dei pazienti il sangue rappresenta il primo farmaco, un farmaco che non si compra, ma che permette di vivere â?? evidenzia Raffaella Origa, professore di Pediatria dellâ??universitÃ di Cagliari â?? Le trasfusioni hanno lo scopo di consentire una crescita adeguata, garantire unâ??ossigenazione sufficiente dei tessuti e ridurre lâ??eritropoiesi midollare inefficace, contribuendo cosÃ¬ a contenere lâ??assorbimento intestinale di ferro. Tuttavia, il trattamento deve essere affiancato da una corretta terapia ferrochelante per prevenire la tossicitÃ dâ??organo. Lâ??aderenza terapeutica, che deve essere mantenuta per tutta la vita, rappresenta un elemento cruciale e talvolta difficoltoso, soprattutto nei pazienti piÃ¹ giovani. La ricerca sta offrendo nuove opportunitÃ terapeutiche, con farmaci in grado di migliorare i livelli di emoglobina e ridurre il fabbisogno trasfusionale, favorendo una maggiore autonomia e una migliore qualitÃ di vita dei pazientiâ?•. Le innovazioni terapeutiche in corso di sviluppo â?? concludono gli esperti â?? puntano a migliorare ulteriormente il controllo dellâ??anemia e del sovraccarico di ferro, con lâ??obiettivo di rendere il percorso di cura piÃ¹ sostenibile e di accompagnare i pazienti verso una migliore qualitÃ e aspettativa di vita.

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

## Categoria

1. Comunicati

## Tag

1. Ultimora

**Data di creazione**

Novembre 12, 2025

**Autore**

redazione

*default watermark*