



**5 • 6 GIUGNO 2024**

HOTEL NH COLLECTION ROMA CENTRO  
Via dei Gracchi, 324 – Roma

**TRANSFORMATION**

**CHANGING**



**IN HAEMOPHILIA A**

PROGETTO DI FORMAZIONE RESIDENZIALE (RES)

# RAZIONALE



Nel corso degli ultimi anni il **trattamento dell'emofilia A** ha registrato notevoli progressi grazie allo sviluppo di prodotti ricombinanti del fattore VIII e, più recentemente, di un anticorpo monoclonale in grado di mimare l'azione del fattore VIII. Sono tuttavia ancora **numerosi i bisogni insoddisfatti dei pazienti**, sia dal punto di vista del controllo degli episodi di sanguinamento e del dolore, sia dei diversi aspetti della qualità di vita.

In questo contesto si inserisce oggi **valoctogene roxaparvovec, prima terapia genica approvata per il trattamento dell'emofilia A grave**, in grado di ripristinare la sintesi endogena di fattore VIII e agire direttamente sulla malattia. Come emerso dallo studio registrativo di fase III, infatti, una **singola infusione** di terapia genica permette di **ridurre i tassi di sanguinamento dell'80%** e l'impiego di fattore VIII del 94%. I pazienti trattati mostrano inoltre un **miglioramento della HRQoL** già dopo 4 settimane dal trattamento, beneficio che viene mantenuto nel tempo.

La disponibilità della prima terapia genica per l'emofilia A, definita dalla comunità scientifica **"disease-transformative therapy"**, rappresenta quindi un importante **cambiamento**, non solo dal punto di vista **clinico**, ma anche **gestionale, organizzativo e di vita per i pazienti**. L'alta innovatività di questo trattamento **richiede** infatti un'**elevata competenza** da parte del **team multidisciplinare**, così come un adeguato **coinvolgimento** da parte del **paziente candidabile**.

Per i clinici l'**evento** sarà un'**occasione per approfondire** il nuovo **scenario terapeutico** dell'emofilia A alla luce della disponibilità della prima terapia genica. Partendo dai criteri di candidabilità al trattamento verrà presentato il **profilo di efficacia e sicurezza di valoctogene roxaparvovec** emerso dagli studi clinici e dalle esperienze di *real world* a oggi disponibili. **Tavole rotonde e discussioni aperte** permetteranno inoltre ai partecipanti di **analizzare le tappe** del nuovo **patient journey** e **confrontarsi** sul **ruolo del team multidisciplinare** e sugli aspetti organizzativi e gestionali correlati alle diverse fasi della terapia. Una sessione dell'evento sarà infine dedicata all'importanza del **coinvolgimento del paziente** nella scelta del trattamento attraverso un **approccio di shared decision making**, a garanzia della sua piena adesione al percorso di cura e, quindi, della possibilità di ottenere il massimo beneficio clinico.



# RESPONSABILI SCIENTIFICI

**Flora Peyvandi** – *Milano*

**Giancarlo Castaman** – *Firenze*

**Giovanni Di Minno** – *Napoli*

**Raimondo De Cristofaro** – *Roma*

## FACULTY

**Serena Barello** – *Pavia*

**Sarah Francesca Bigi** – *Milano*

**Niccolò Bitto** – *Milano*

**Giancarlo Castaman** – *Firenze*

**Antonio Coppola** – *Parma*

**Raimondo De Cristofaro** – *Roma*

**Dario Di Minno** – *Napoli*

**Giovanni Di Minno** – *Napoli*

**Enrico Ferri Grazzi** – *Parma*

**Marco Follino** – *Milano*

**Sylvia Fong** – *San Rafael (California)*

**Roberta Gualtierotti** – *Milano*

**Robert Klamroth** – *Berlino*

**Giuseppe Malcangi** – *Bari*

**Maria Francesca Mansueto** – *Palermo*

**Wolfgang Miesbach** – *Francoforte*

**Angelo Claudio Molinari** – *Genova*

**Maria Napolitano** – *Palermo*

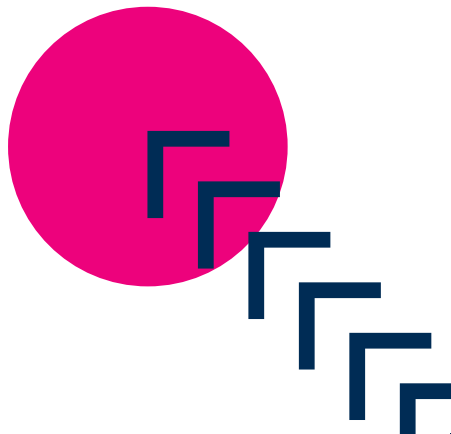
**Flora Peyvandi** – *Milano*

**Cristina Santoro** – *Roma*

**Rita Santoro** – *Catanzaro*

**Luigi Piero Solimeno** – *Milano*

**Ezio Zanon** – *Padova*



# 5 GIUGNO 2024

- 13.30 Welcome lunch
- 15.00 **Introduzione ai lavori** – F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno, R. De Cristofaro
- 15.15 **La nuova era nel trattamento dell'emofilia**  
Moderatori: F. Peyvandi, R. De Cristofaro
- 15.15–15.25 **Living with haemophilia-free mindset**  
A cura dei moderatori
- 15.25–15.45 **Haemophilia-free mindset come guida alla scelta del trattamento terapeutico** – W. Miesbach
- 15.45 **Transformative therapy, nuove prospettive per clinici e pazienti**  
Moderatori: G. Di Minno, G. Castaman
- 15.45–16.25 **Gli aspetti clinici ed emotivi dallo sguardo del medico e del paziente**  
Relazione a più voci: C. Santoro, M.F. Mansueto, E. Ferri Grazzi, M. Follino
- 16.25–16.45 **Verso la prima terapia genica per l'emofilia A: il punto di vista dei clinici** – A. Coppola
- 16.45–17.15 **L'esperienza della terapia genica: la real practice (le prime esperienze europee)**  
F. Peyvandi, R. Klamroth
- 17.15 **Transformative therapy, verso un nuovo modello organizzativo**  
Moderatori: G. Castaman, R. De Cristofaro
- 17.15–17.45 **Il valore del modello Hub-and-Spoke**  
Intervista a due voci: D. Di Minno, R. Santoro
- 17.45–18.15 **Il ruolo del team multidisciplinare**  
Tavola rotonda: M. Napolitano, L.P. Solimeno, N. Bitto, M.F. Mansueto, R. Gualtierotti
- 18.15 Chiusura giornata ECM

## Sessione non ECM

- 18.30 Viaggio all'interno della nuova era – S. Fong
- 19.00 Chiusura dei lavori – F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno, R. De Cristofaro



# 6 GIUGNO 2024

- 08.30** Apertura – F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno, R. De Cristofaro
- 08.45** **L'emofilia oggi** – Moderatori: R. De Cristofaro, G. Di Minno
- 08.45–09.00** **La complessità delle opzioni di trattamento e i bisogni terapeutici ancora insoddisfatti** – D. Di Minno
- 09.00–09.15** **Le limitazioni sulla qualità di vita** – R. De Cristofaro
- 09.15–09.45** **La realtà italiana: la voce dei clinici e dei pazienti**  
A. Coppola, M.F. Mansueto, A.C. Molinari,  
E. Ferri Grazzi, M. Follino
- 09.45** **Valoctocogene roxaparvec, il valore di una transformative therapy**  
Moderatori: F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno
- 09.45–10.05** **Dal trattamento verso la cura, il MoA** – G. Castaman
- 10.05–10.25** **I dati clinici** – F. Peyvandi
- 10.25–10.45** **I benefici sulla QoL** – G. Di Minno
- 10.45** Coffee break
- 11.00** **Valoctocogene roxaparvec, istruzioni d'uso**  
Moderatori: G. Castaman, R. De Cristofaro
- 11.00–11.55** **Il patient journey, dall'identificazione della candidabilità al follow-up** – R. Santoro, E. Zanon, G. Malcangi
- 11.55–12.15** **Gli aspetti epatologici: dai trial clinici alla gestione del rischio nella real life** – N. Bitto
- 12.15** **Valoctocogene roxaparvec, l'esperienza in Italia**  
F. Peyvandi, D. Di Minno, E. Zanon
- 13.15** Lunch
- 14.15** **L'importanza del patient engagement**  
Moderatori: G. Di Minno, G. Castaman
- 14.15–14.35** **Innovazione terapeutica e shared decision making: il caso della terapia genica in emofilia A** – S. Barello
- 14.35–14.55** **Gli strumenti verbali al servizio della decisione condivisa**  
S.F. Bigi
- 14.55–15.15** **Il modello di shared decision making applicato alla terapia genica: la messa in pratica** – G. Di Minno, G. Castaman
- 15.15** **La terapia genica in emofilia: lezioni da altre patologie** – F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno, R. De Cristofaro
- 15.30** **Chiusura dei lavori** – F. Peyvandi, G. Castaman, G. Di Minno, R. De Cristofaro
- 16.00** **Questionario ECM** (verifica di apprendimento)



## ISCRIZIONE

digitare <https://eventi2024.webaimgroup.eu/changinglife/>  
seguire le indicazioni per la registrazione completando il form con i propri dati.



## ECM – Educazione Continua in Medicina

L'evento è inserito nel Piano Formativo anno 2024 AIM Education - Provider nr. 93 ([www.aimeducation.it](http://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) esclusivamente per le seguenti professioni: **Medico Chirurgo** con disciplina 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, **Farmacista** con disciplina in Farmacista pubblico del SSN, **Psicologo** con disciplina in Psicologia, Psicoterapia, **Biologo, Fisioterapista, Tecnico Sanitario Laboratorio Biomedico, Tecnico Ortopedico** per un numero massimo di 60 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.

**L'EVENTO HA OTTENUTO N. 9 CREDITI FORMATIVI – ID n. 93-416821**



Provider ECM – ID n. 93-416821



### Aim Education

Viale E. Forlanini, 23 – 20134 Milano  
Tel. +39 02 56601.1  
[info.aimeducation@aimgroup.eu](mailto:info.aimeducation@aimgroup.eu)  
[www.aimeducation.it](http://www.aimeducation.it)

Con la sponsorizzazione non condizionante di

**BOMARIN®**