

# EMOFILIA A e TERAPIA GENICA:

dalla trasformazione dello scenario  
alla sua implementazione  
nella pratica clinica

MILANO  
7 maggio  
2025

Milan Hilton  
Via Luigi Galvani, 12 – Milano

HAEMpoint

MILANO  
7 maggio  
2025

Con la **recente approvazione della prima terapia genica per l'emofilia A grave**, lo scenario terapeutico di questa patologia genetica cronica risulta fortemente trasformato. La sua **azione diretta a ripristinare la sintesi endogena di fattore VIII**, infatti, apre la strada a un vero e proprio percorso di cura per i pazienti candidabili.

Come emerso dai **risultati a 4 anni dello studio registrativo di fase III**, una **singola infusione di valoctocogene roxaparvovec** permette di **ridurre i tassi di sanguinamento di oltre l'80%** e **l'impiego di fattore VIII di oltre il 95%**. I pazienti trattati mostrano inoltre un **miglioramento della HRQoL** già dopo 4 settimane dal trattamento, beneficio che viene mantenuto nel tempo (Leavitt AD, et al. 2024). Questi dati risultano confermati anche dalle prime esperienze di *real life* internazionali e ora anche italiane.

Alla luce di tali evidenze, è fondamentale garantire l'accesso a questa "terapia trasformativa" a tutti i pazienti candidabili e interessati.

Partendo quindi dall'aggiornamento dei risultati a lungo termine oggi disponibili e dalla condivisione delle prime esperienze di pratica clinica, **l'evento si pone l'obiettivo di accompagnare il team multidisciplinare dei Centri italiani a un'implementazione efficace e corretta della prima terapia genica per l'emofilia A grave.**

La presenza di **specialisti esperti, che hanno "toccato con mano" il trattamento** permetterà di discutere e approfondire i diversi aspetti del percorso di cura e rispondere ai dubbi dei partecipanti.

In particolare, nelle diverse sessioni verrà **analizzato il profilo di efficacia** e la **maneggevolezza del trattamento** e verranno **approfonditi gli aspetti organizzativi e gestionali**, così come il **ruolo del team multidisciplinare nel corso del patient journey**, anche alla luce delle prime esperienze condotte in Italia.

Relazioni specifiche verranno dedicate alla discussione di aspetti chiave correlati al trattamento, quali gli **aspetti epatici, chirurgici** e **l'impatto psicologico-emotivo della terapia genica** sui pazienti e sui *caregiver*.

Una sessione dell'evento sarà infine dedicata all'**approccio di shared decision making**, partendo dall'analisi del modello in un contesto altamente innovativo come questo e presentando gli strumenti utili alla sua applicazione nell'ambito specifico della terapia genica per l'emofilia A.

### **Responsabili scientifici**

Flora Peyvandi (Milano), Ezio Zanon (Padova)

### **Faculty**

Alessandra Borchiellini (Torino), Angelo Claudio Molinari (Genova), Flora Peyvandi (Milano), Ezio Zanon (Padova)

- 09.30-10.00** Registrazione partecipanti
- 10.00-10.15** Apertura e obiettivi del corso – *F. Peyvandi*
- 10.15-11.00** L'emofilia A oggi: dalle sfide attuali alle nuove prospettive per una mente libera dall'emofilia  
*F. Peyvandi*
- I bisogni terapeutici ancora insoddisfatti
  - Le limitazioni sulla qualità di vita
  - Il concetto di *haemophilia-free mind*
- 11.00-11.45** La terapia genica, trasformazione della terapia e dell'emofilia A – *A.C. Molinari*
- Dal trattamento in regime di profilassi alla profilassi endogena
  - I dati clinici, evidenze di *follow-up* nel lungo termine
  - I benefici sulla qualità di vita
- 11.45-12.00** *Coffee Break*
- 12.00-12.40** Il nuovo *patient journey* nella pratica clinica – *A. Borchiellini*
- Il paziente candidabile, parametri per la valutazione dei benefici e il *follow-up*
  - Gli aspetti organizzativi dei Centri
  - Ruolo del *team* multidisciplinare
- 12.40-13.30** La maneggevolezza e i benefici clinici della terapia genica nella *real practice*:  
condivisione delle esperienze (prima parte) – *F. Peyvandi, E. Zanon*
- La gestione pratica del trattamento
- 13.30-14.15** *Light Lunch*
- 14.15-15.00** La maneggevolezza e i benefici clinici della terapia genica nella *real practice*:  
condivisione delle esperienze (seconda parte) – *F. Peyvandi, E. Zanon*
- I benefici clinici e di qualità di vita
- 15.00-15.30** Approfondimenti nella pratica clinica, aspetti epatologi, emotivi e chirurgici – *F. Peyvandi, E. Zanon*
- 15.30-15.50** L'approccio di *shared decision making*: il valore del modello nella terapia genica per l'emofilia A  
*E. Zanon*
- 15.50-16.20** La voce del paziente (Tavola rotonda) – *L. Ambroso (Vicepresidente AVEC Veneto), A. Borchiellini, A.C. Molinari, F. Peyvandi, E. Zanon*
- 16.20-16.30** Conclusioni – *E. Zanon*
- 16.30** Questionario di apprendimento ECM

SEDE

Milan Hilton

Via Luigi Galvani, 12 – Milano

# HAEMpoint



PER ISCRIZIONI

<https://eventi2025.webaimgroup.eu/emofiliaa/>

## ECM - EDUCAZIONE CONTINUA IN MEDICINA

L'evento è inserito nel Piano formativo anno 2025 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) per la figura professionale del **Medico Chirurgo** con specializzazione 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; **Biologo** con specializzazione in Biologo; **Farmacista** con specializzazione in Farmacista pubblico del SSN, **Fisioterapista** con specializzazione in Fisioterapista, **Tecnico sanitario laboratorio biomedico** con specializzazione in Tecnico sanitario laboratorio biomedico, **Tecnico ortopedico** con specializzazione in Tecnico ortopedico; **Psicologo** con specializzazione in Psicologia, Psicoterapia e **Infermiere** per un numero massimo di 30 partecipanti.

Oltre tale numero e per professionisti/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.

La partecipazione all'evento è gratuita.

**L'EVENTO HA OTTENUTO N. 5 CREDITI FORMATIVI – ID 93-443587 Ed. 1.**

Provider ECM

 AIM EDUCATION

Aim Education S.r.l. – ID 93

Viale E. Forlanini, 23 | 20134 Milano

Tel. +39 02 56601.1 | Fax +39 02 70048585

e-mail: [info.aimeducation@aimgroup.eu](mailto:info.aimeducation@aimgroup.eu)

[www.aimeducation.it](http://www.aimeducation.it)

Con la sponsorizzazione non condizionante di

**Biomarin**<sup>®</sup>