



PRESS RELEASE

Al Primo Forum Nazionale dei Pazienti di Mielodisplasia

MIELODISPLASIE: FONDAMENTALE ORIENTARE I PAZIENTI

Sono malattie del sangue che derivano dalla difettosa maturazione del midollo osseo, caratterizzate da anemia e possibile carenza di tutte le cellule del sangue, e da rischio di evoluzione in leucemia acuta – Pesante l’impatto sulla vita dei pazienti e dei loro familiari, oltre che sui costi sociali – La condivisione delle conoscenze fondamentale per contrastare efficacemente la malattia – AIPaSiM Onlus, un riferimento in Italia per i pazienti e per i loro familiari anche grazie al forte collegamento con la MDS Alliance – Il ruolo centrale dell’Italia nella ricerca e nella nascita di una rete europea per lo scambio delle informazioni sulle best practice gestionali della patologia e per l’aggiornamento scientifico degli operatori sanitari

Nella popolazione italiana over 70, ogni anno 3.000 persone sono colpite da sindrome mielodisplastica (MDS).

Questo il dato al centro del Forum Nazionale dei Pazienti di Mielodisplasia tenutosi a Milano, al Palazzo della Regione Lombardia, organizzata dall’Associazione Italiana dei Pazienti con Sindrome Mielodisplastica (AIPaSiM Onlus), riferimento nel nostro Paese della MDS-Alliance, l’organismo internazionale che ha lo scopo di operare come sostegno per i pazienti colpiti dalla malattia, facilitandone l’accesso ai migliori e più avanzati percorsi diagnostico-terapeutici oggi disponibili.

Una malattia del sangue, la sindrome mielodisplastica, che ancora oggi può essere considerata rara, ma che, grazie anche al progresso delle tecniche diagnostiche, appare in preoccupante crescita. Si tratta di una patologia causata da un’alterazione delle cellule staminali del midollo osseo, dalla quale deriva una carenza di globuli rossi, bianchi e/o piastrine e che, può evolvere in leucemia mieloide acuta.

«Le complicanze più rilevanti che si manifestano all’esordio della malattia – spiega il Prof. Matteo Della Porta, professore di ematologia presso Humanitas University e Humanitas Cancer Center di Milano – sono l’anemia (che causa stanchezza, mancanza di resistenza fisica, tachicardia e crampi alle gambe e, nelle fasi più avanzate, scompenso circolatorio), la piastrinopenia (che causa emorragie) e le ricorrenti infezioni dovute alla neutropenia (che provoca abbassamento delle difese immunitarie). La severità della malattia è comunque molto diversa da caso a caso: si va da pazienti che hanno la stessa aspettativa di vita della popolazione generale della stessa età, a casi che, invece, hanno una rapidissima evoluzione in leucemia acuta nel giro di pochi mesi.»

Uno dei problemi che si accompagna all’insorgenza della malattia è il fatto che spesso, in fase iniziale, questa non produce sintomi evidenti e viene quindi diagnosticata tardivamente, o per caso, grazie ad esami del sangue effettuati per altre ragioni.

I progressi scientifici degli ultimi anni hanno consentito di conoscere i meccanismi molecolari delle sindromi mielodisplastiche che, oltre a migliorare le capacità diagnostiche, hanno reso possibile definire in modo più accurato il quadro prognostico-evolutivo della patologia in funzione delle sue diverse tipologie, oltre che sviluppare trattamenti innovativi e mirati sui casi specifici. Il recente aggiornamento dei Livelli Essenziali di Assistenza ha visto l’inserimento delle mielodisplasie tra le malattie rare esenti da ticket.



«Il contrasto alla malattia si caratterizza oggi su due livelli diversi di approccio: – spiega il Prof. Matteo della Porta – nel 60/70% dei casi il problema principale è l'insufficienza midollare e in questi pazienti l'obiettivo della terapia è migliorare l'anemia, con impatto positivo sulla qualità e aspettativa di vita dei pazienti. Per quel segmento invece del 20-25% dei casi nei quali la malattia è più aggressiva – prosegue il Prof. Della Porta – l'obiettivo è quello di eradicare la malattia con il trapianto allogenico di cellule staminali (nei pazienti eleggibili), o, nei soggetti più anziani, ridurre farmacologicamente il rischio di evoluzione della malattia.»

Nel corso del Forum è emerso anche il ruolo di primo piano che l'Italia sta giocando sul fronte scientifico del contrasto a questa patologia nell'ambito degli European Reference Networks (ERN), strutture recentemente create dalla Commissione Europea per la gestione e per la condivisione delle conoscenze, oltre che per il coordinamento delle cure nell'ambito dell'Unione per le malattie rare. In questo ambito la struttura di riferimento è *EuroBloodNet* – a fortissima componente italiana, come sottolinea con soddisfazione sempre il Prof. Della Porta – del quale alcuni istituti italiani, come l'Humanitas, sono stati i soci fondatori. Si tratta di una rete diagnostica e assistenziale molto capillare sul territorio europeo, in grado di offrire ai pazienti con malattie ematologiche rare degli standard di diagnosi e cura sufficientemente adeguati alle esigenze specifiche dei pazienti.

«Le sindromi mielodisplastiche per troppo tempo non sono state percepite adeguatamente rispetto alla loro relativamente crescente diffusione e all'impatto socio-sanitario che effettivamente generano a carico dei pazienti, dei loro familiari e della società più in generale – ha affermato l'Avv. Paolo Pasini, presidente di AIPaSiM Onlus – e questa è una delle ragioni principali per le quali nel marzo 2017, anche grazie al sostegno della Rete Ematologica Lombarda e della sua coordinatrice, la Dottoressa Enrica Morra, è stata presentata la nostra Associazione che, avvalendosi di un comitato scientifico di altissimo profilo, si prefigge di mettere a disposizione risorse umane ed organizzative in grado di consentire ai pazienti di condividere le proprie esperienze, oltre a ricevere il necessario orientamento grazie alla disponibilità di informazioni pratiche capaci di avviare verso i migliori centri specialistici che si dedicano a questo specifico ambito sanitario. Questo Forum fortemente voluta dal nostro Consiglio Direttivo, vuole contribuire a richiamare una più fattiva attenzione da parte delle istituzioni e del sistema sanitario nazionale rispetto alle problematiche dei pazienti e dei loro familiari, oltre a render noto il ruolo centrale che la nostra Associazione sta svolgendo – e sempre più svolgerà in futuro – per sostenere la comunità dei pazienti colpiti da questa malattia, diffondendo, anche grazie al sito www.aipasim.org informazioni sulle nuove opportunità di trattamento, oltre che sugli sviluppi delle attività di ricerca in questo specifico settore».

Milano 19 maggio 2018