

## **Matteo Giovanni Della Porta**

*Professore associato di Ematologia e Direttore Unità Leucemie, Cancer Center,  
Humanitas Research Hospital & Humanitas University, Rozzano Milano*

### **La fragilità dei pazienti con Sindromi Mielodisplastiche: nuove opzioni per trattare l'anemia, ma resta la dipendenza dalle trasfusioni**

#### **Cosa sono le Sindromi Mielodisplastiche? Come vengono trattate? Come è cambiata la gestione di queste patologie?**

Le Sindromi Mielodisplastiche sono malattie della cellula staminale del midollo osseo, che di norma produce globuli rossi, globuli bianchi e piastrine. Come conseguenza di questa condizione patologica, si verificano due eventi: si abbassano i valori del sangue, in particolare i valori dei globuli rossi con conseguente insorgenza di anemia, segno presente in quasi tutti i pazienti; inoltre, aumenta il rischio che la malattia evolva in una leucemia mieloide acuta. Definiamo 'Sindromi' le mielodisplasie, perché la loro caratteristica è l'eterogeneità. Il termine risale ad epoche lontane, quando si osservò che la malattia non era uguale in tutti i pazienti ma poteva variare da caso a caso. Nella tradizione medica questo termine è rimasto, sebbene oggi le conoscenze su questi tumori del sangue siano ben più avanzate. I problemi clinici che necessitano di trattamento sono due: l'anemia, che impatta negativamente sulla qualità di vita e nel paziente anziano riduce anche l'aspettativa di vita. Nei pazienti con elevato rischio leucemico, i trattamenti mirano a contrastare questa drammatica evoluzione. L'anemia purtroppo in quasi tutti i pazienti con il tempo diventa severa e costringe a trasfusioni mensili o settimanali. La trasfusione è utile perché offre al paziente quello che il suo midollo non riesce a produrre anche se, quando l'anemia è grave, le condizioni di salute generali della persona ne risentono pesantemente. Di conseguenza, l'anemia trasfusione-dipendente è una condizione molto critica per i pazienti, sovente anziani e con patologie associate. Tuttavia, la gestione di queste patologie sta cambiando. I medici pongono più attenzione alla diagnosi e i pazienti vengono sempre più spesso seguiti direttamente nei centri ematologici che hanno messo a sistema percorsi specifici per queste malattie.

#### **La maggior parte delle persone affette da queste neoplasie del sangue è anemica e necessita di trasfusioni, nonostante i progressi terapeutici che ne riducono il fabbisogno. Quali sono l'impatto e i rischi per i pazienti? Riescono a raggiungere un'accettabile qualità di vita?**

Il peso assistenziale e psicologico di un paziente affetto da Sindrome Mielodisplastica non è inferiore a quello di un paziente con una leucemia acuta. Eppure in passato questa patologia era molto sottovalutata, quasi fosse 'scontata' con la vecchiaia. La realtà è che le Sindromi Mielodisplastiche sono malattie invalidanti. Chi deve fare una trasfusione non può muoversi se non ha vicino un ospedale dove farla, l'autonomia e la funzionalità sono molto ridotte, specie quando l'anemia è di grado severo. Questa condizione finisce per pesare sulla famiglia e necessita da parte della società dell'attivazione di servizi di assistenza continua. Riguardo ai rischi, oggi i prodotti della trasfusione sono i più controllati e sicuri in assoluto. Trasfusione significa beneficio clinico, perché l'anemia migliora anche se c'è un aspetto negativo, legato all'accumulo di ferro, che a livelli elevati è tossico per il nostro organismo. Il sovraccarico di ferro va tenuto sotto controllo e trattato con farmaci chelanti. La donazione di sangue è un gesto prezioso, concetto mai scontato, che soprattutto nelle giovani generazioni andrebbe rinvigorito come messaggio di solidarietà sociale. Indipendentemente dalle terapie, l'obiettivo per tutti i pazienti è una qualità di vita accettabile. Dobbiamo offrire a tutti i pazienti una vita dignitosa e questo impegno deve essere trasversale.

#### **A che punto è la ricerca di innovazioni in grado di liberare questi pazienti dal peso delle trasfusioni?**

Le maggiori innovazioni nelle Sindromi Mielodisplastiche sono proprio quelle finalizzate al trattamento dell'anemia. Fino a poco tempo fa per l'anemia si usava solo un farmaco per tutti i pazienti, l'eritropoietina, utile e ben tollerato, al quale però risponde solo un paziente su tre. Fortunatamente in questi ultimi anni sono arrivati nuovi farmaci che si stanno aggiungendo all'armamentario per trattare l'anemia in specifici gruppi di pazienti. Dal momento che la malattia è diversa da paziente a paziente, è importante disporre di più farmaci per una scelta personalizzata. La strada giusta è capire quali sono le caratteristiche personali di ciascun paziente e trovare un farmaco per la sua anemia. La trasfusione non va demonizzata, è un salvavita. Il problema che deve essere risolto è, invece, l'anemia severa.