



Società Italiana di Ematologia



UNITED e le Emoglobinopatie

Dalla rappresentanza dei pazienti alla partnership nella governance

SIE incontra i pazienti — Società Italiana di Ematologia

Dario Martino

Vicepresidente UNITED ETS, delega esteri
vicepresidenza@unitedonlus.org

Perché UNITED è qui

UNITED rappresenta una **rete nazionale di 37 associazioni** attive nel campo delle emoglobinopatie. Non siamo semplici portatori di bisogni: portiamo competenza, esperienza continuativa e capacità di dialogo istituzionale strutturato.

Talassemia

Patologia cronica del sangue con gestione complessa lungo tutta la vita

Drepanocitosi

Malattia genetica con elevato burden terapeutico e complicanze multi-organo

Anemie Rare

Condizioni eterogenee che richiedono percorsi diagnostici e terapeutici personalizzati

Rari ma non troppo!



Enti più Solidi, Stakeholder Riconosciuti

Gli enti come UNITED sono soggetti del **Terzo Settore**: normati, responsabili, capaci di agire in modo organizzato. La loro presenza è oggi strutturalmente rilevante nel confronto con l'ecosistema della salute, anche se più piccoli di AIL, rappresentiamo circa 10 000 persone



Clinici e Società Scientifiche

Dialogo basato su dati, evidenza scientifica e continuità relazionale



Istituzioni

Interlocuzione con AIFA, Ministero della Salute, Regioni e organismi europei, EMA



Ricerca e Industria

Collaborazione responsabile e partnership, nel rispetto della piena indipendenza associativa

Le Emoglobinopatie: Cronicità Complessa



Per molte persone con emoglobinopatie, la cura non è un episodio isolato. È una **struttura di vita** che si costruisce dall'infanzia e accompagna la persona per decenni, richiedendo continuità assistenziale e supporto multidisciplinare.

→ **Trasfusioni e Ferrochelazione**

Cicli regolari che definiscono i ritmi quotidiani del paziente

→ **Diagnostica e Follow-up**

Monitoraggio continuo delle complicanze d'organo nel lungo periodo

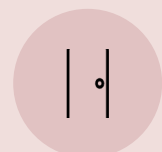
→ **Qualità di Vita**

Studio, lavoro, famiglia: dimensioni che la cura deve saper rispettare e sostenere

La presa in carico deve accompagnare la persona per decenni.

La “Rivoluzione” Terapeutica

Le terapie avanzate — tra cui approcci di modifica della malattia e nuove strategie biologiche — stanno aprendo scenari prima impensabili per i pazienti con emoglobinopatie. Si tratta di una **vera svolta**, ma che richiede governance attenta.



Accesso Equo

L'innovazione deve raggiungere tutti i pazienti eleggibili, senza disparità territoriali



Criteri Clinici Chiari

Selezione scientificamente fondata dei pazienti candidabili alle nuove terapie



Follow-up a Lungo Termine

Raccolta sistematica degli esiti nel tempo reale per validare la sicurezza



Informazione equilibrata

Materiali validati per pazienti e famiglie su benefici, rischi e alternative

L'innovazione è una grande opportunità, se accompagnata da governance.

Nota storica

2020, momento storico.

Grazie alle spalle dei giganti di Newton, grazie al **Prof Renzo Galanello**

Accesso, Sostenibilità, Candidabilità

Non tutte le innovazioni terapeutiche sono **automaticamente accessibili**, sostenibili o indicate per ogni paziente. Permangono criticità strutturali che richiedono attenzione istituzionale e partecipazione attiva delle associazioni.

Accesso Territoriale

Persistono differenze significative tra regioni nell'effettiva disponibilità delle nuove terapie

Sostenibilità Effettiva

Il costo delle terapie avanzate richiede modelli di rimborso e valutazione HTA appropriati

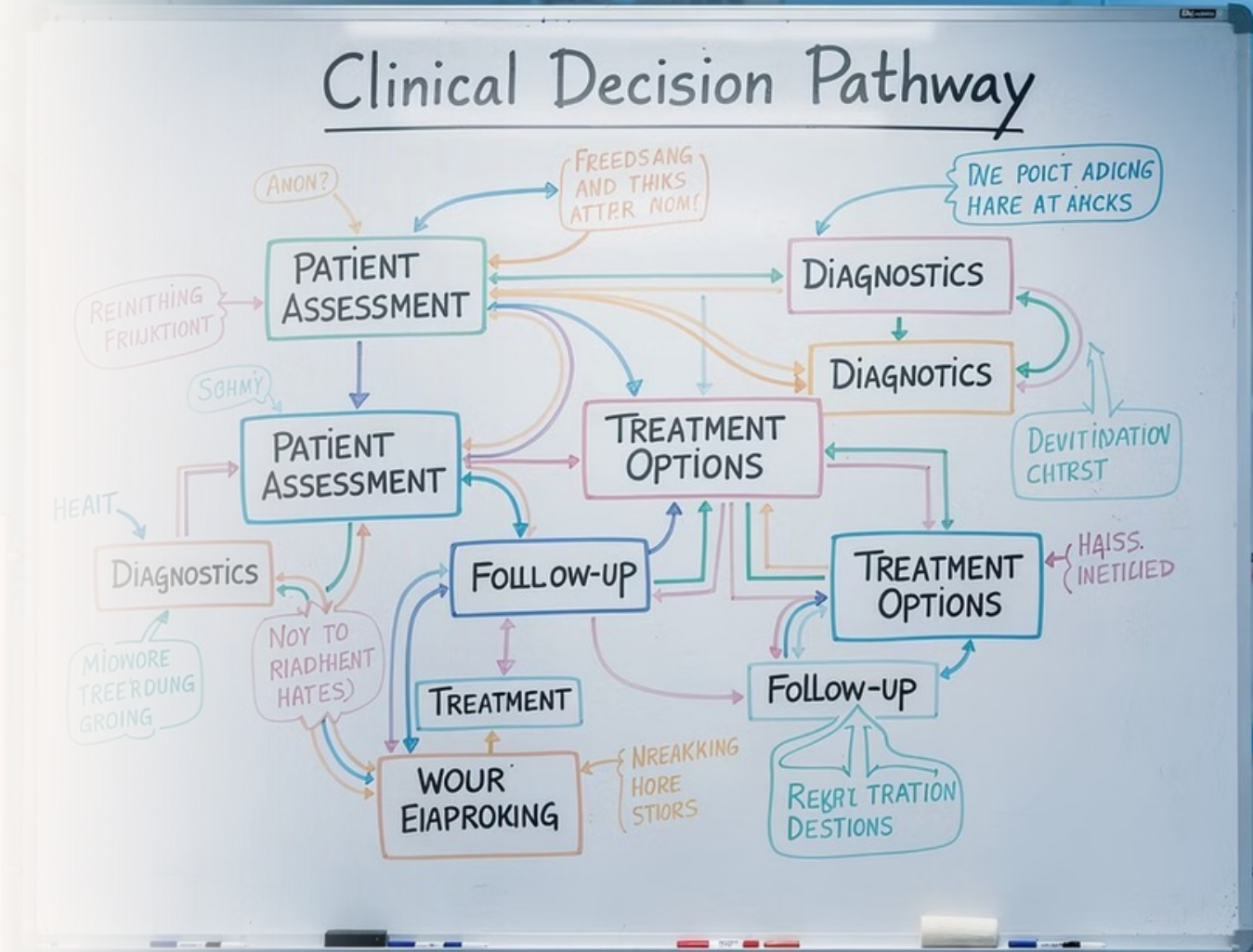
Selezione Clinica

I criteri di candidabilità devono essere trasparenti, condivisi e scientificamente rigorosi

Equità Informativa

Ogni paziente ha diritto a percorsi decisionali informati, equi e non influenzati dalla geografia

La vera innovazione arriva al paziente giusto, nel momento giusto, con criteri trasparenti.



I Pilastri della Cura Restano Fondamentali

La rivoluzione terapeutica **non può far dimenticare le basi della cura** quotidiana. Qualità e aspettativa di vita dipendono ancora oggi da un sistema assistenziale solido, che deve essere mantenuto e rafforzato parallelamente all'innovazione.

Innovare non significa dimenticare ciò che oggi garantisce vita e qualità di vita.



Trasfusioni Sicure

Qualità e disponibilità del sangue come presupposto irrinunciabile



Ferrochelazione Efficace

Gestione del sovraccarico marziale per prevenire danni d'organo



Diagnostica Appropriata

Monitoraggio strumentale e di laboratorio continuativo e aggiornato



Centri Competenti

Continuità assistenziale garantita da équipe multidisciplinari specializzate

Ricerca, GDPR e Partnership Europea

Le associazioni possono contribuire alla ricerca in modo **responsabile e strutturato**. Nel pieno rispetto del GDPR, dei ruoli e delle competenze specifiche, UNITED è in grado di partecipare attivamente alla produzione di conoscenza scientifica.

Progetti di Ricerca

Partecipazione a studi clinici, studi osservazionali e reti di ricerca italiane ed europee

Patient-Reported Outcomes

Raccolta strutturata e validata dei bisogni e degli esiti riferiti direttamente dai pazienti

Reti e Fondi Europei

Accesso a programmi europei di ricerca rara e collaborazione con reti ERN

Formazione e Informazione

Sviluppo di materiali informativi validati per pazienti, famiglie e caregiver

Il dato dei pazienti è prezioso solo se raccolto con metodo, tutela e finalità chiare.



ERD
ERA

European **Rare Diseases**
Research Alliance



Farmacovigilanza ed Emovigilanza

Nelle emoglobinopatie, sicurezza e qualità si misurano nel tempo e nella vita reale. Le associazioni possono contribuire a intercettare segnali preziosi che sfuggono alla sola osservazione clinica.

Burden Terapeutico

Aderenza, tollerabilità e impatto sulla quotidianità dei trattamenti cronici



Criticità Trasfusionali

Segnalazione di eventi avversi percepiti e variabilità nella qualità delle sacche

Differenze Territoriali

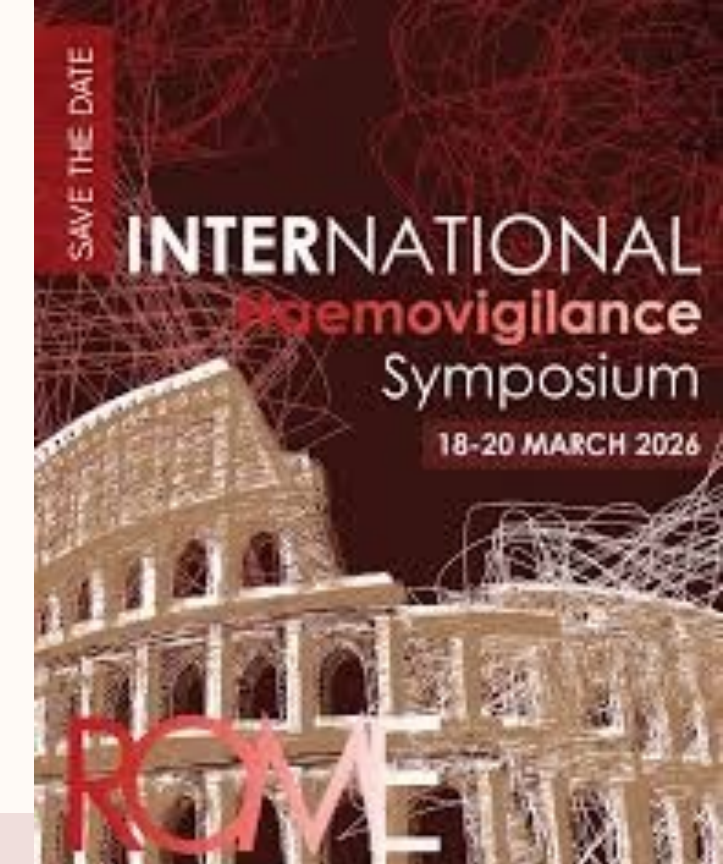
Documentazione delle diseguglianze geografiche nell'accesso e nella qualità della cura



Qualità della Comunicazione

Valutazione della chiarezza e completezza delle informazioni ricevute dai pazienti

Il paziente non sostituisce il clinico: completa la visione del sistema.



Dati, Registri nazionali e Programmazione



Senza dati solidi e strutturati non è possibile programmare cure, garantire adeguate scorte di sangue, pianificare i centri di riferimento o valutare la sostenibilità dell'innovazione. I registri e la collaborazione con le associazioni sono strumenti chiave, come il **Registo nazionale delle emoglobinopatie**

→ Fabbisogno Trasfusionale

Stima accurata del fabbisogno territoriale per garantire disponibilità continua

→ Distribuzione e Accesso

Mappatura delle disparità regionali nell'accesso alle terapie e ai centri specialistici

→ Esiti e Qualità di Vita

Integrazione degli esiti clinici con i patient-reported outcomes per una visione completa

Il dato deve diventare uno strumento di equità. **Far partire i tavoli di lavoro già costituiti è fondamentale**

Collaborazione con SIE

UNITED è promotore di **collaborazioni stabili e strutturate** con le Società Scientifiche, come la SIE, come gli altri attori del sistema. Non una consultazione occasionale, ma un modello di co-progettazione continuativa, ove opportuno, con la giusta distinzione dei ruoli.



Percorsi Condivisi

Informazione Validata

Coinvolgimento Strutturato

Dalla consultazione alla co-progettazione.

La Sfida dei Prossimi Anni

Portare nuove terapie ai pazienti è solo il primo passo. La vera sfida sarà **costruire percorsi capaci di accompagnarle nel tempo**, garantendo che l'innovazione si traduca in beneficio reale e misurabile per ogni persona.

Accesso Equo: Innovazione, ma per tutti!

Nessuna persona esclusa per ragioni geografiche, economiche o informative, **burocratiche**

Sicurezza

Monitoraggio continuo degli esiti nella vita reale, con il contributo delle associazioni

Sostenibilità

Modelli di governance che garantiscano la durabilità delle innovazioni nel sistema

Qualità di Vita

L'innovazione misurata sulla vita reale delle persone, all'interno di un **servizio sanitario in difficoltà**



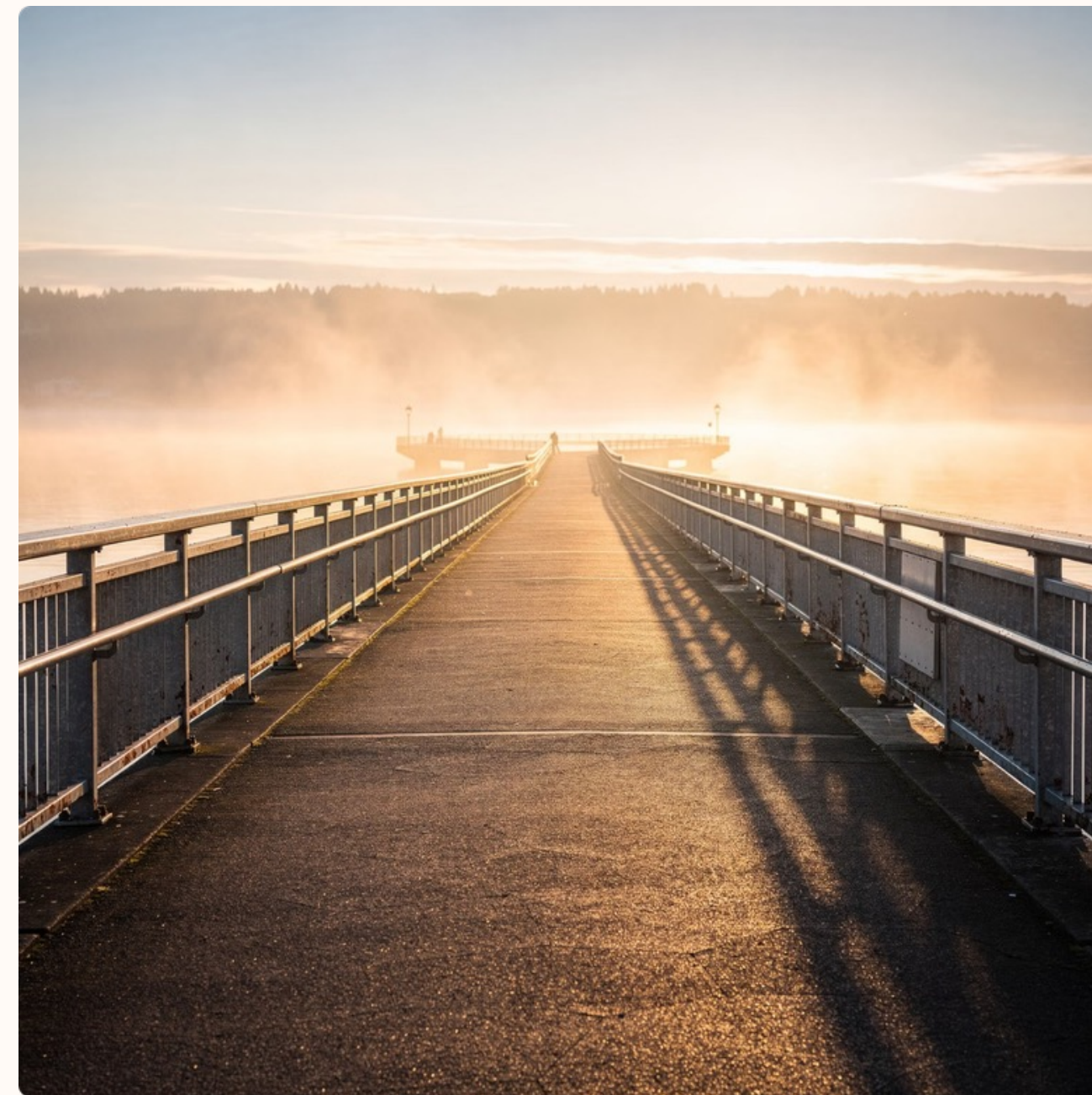
Grazie



L'innovazione deve essere misurata sulla vita reale delle persone (e portata al paziente)

“L’avenir, tu n’as point à le prévoir mais à le permettre.”
— Antoine de Saint-Exupéry, Citadelle

UNITED è disponibile a lavorare con SIE perché l'innovazione nelle malattie ematologiche rare sia scientificamente solida, clinicamente appropriata e realmente centrata sulla qualità di vita delle persone di cui ci preoccupiamo assieme.



UNITED — Unione Italiana per la Difesa delle Emoglobinopatie

Rete Nazionale di 37 Associazioni di Pazienti

SIE INCONTRA I PAZIENTI

Dario Martino
Vicepresidente UNITED ETS, delega esteri
vicepresidenza@unitedonlus.org