

C.F.T.

Comitato Famiglie Talassemici

SPERANZA DI VIVERE

27/01/2021

A tutti i soci.

Il dott. Tommaso Casini e la dott.ssa Ilaria, mi chiedono di girarvi quanto sotto per fare un poco di chiarezza su tante domande e dare una informazione il più precisa possibile.

Un saluto a tutti.

Luigi

Carissimi, come probabilmente avete capito, per fortuna alcune cose si stanno muovendo nel mondo della talassemia, ed è giusto che siate informati.

Come Centro, stiamo aderendo allo studio con **SIROLIMUS** (farmaco immunomodulatore che pare possa ridurre apporto trasfusionale) e abbiamo la possibilità di poter richiedere **LUSPATER-CEPT** per uso compassionevole, farmaco che pure in alcuni casi determina una riduzione del numero di trasfusioni necessarie.

Per fare chiarezza per aderire al protocollo con **sirolimus** sono necessarie le seguenti condizioni:

- almeno 18 anni
- paziente in grado di firmare e comprendere consenso informato
- genotipo β^0/β^0 e β^+/β^0
- forma trasfusione dipendente (almeno 8 sacche trasfuse nell'ultimo anno)
- trasfusioni regolari negli ultimi 6 anni

Sono esclusi pazienti

- in terapia con idrossiurea (oncocarbide)
- concomitanza di farmaci che possano interferire con sirolimus (ciclosporin, bromocriptine, cimetidine, cisapride, clotrimazole, danazol, diltiazem, fluconazole, protease inhibitors (eg for HIV and hepatitis C which require pharmacological treatment with ritonavir, indinavir, boceprevir and telaprevir), metoclopramide, nicardipine, troleandomycin, verapamil). Inoltre carbamazepine, phenobarbital, phenytoin, rifapentine, St. John's wort (Hypericum perforatum);
- terapia antibiotica con macrolidi (claritromicina)
- valori transaminasi >3 volte il valore normale
- piastrine inferiori a 150.000 o superiori a 1.000.000/mm³
- scompenso cardiaco grado 3
- ipertensione arteriosa
- alterazione ECG tipo QT lungo
- aritmie che richiedano trattamento
- frazione eiezione inferiore a 50
- infarto miocardio negli ultimi 6 mesi
- HIV HCV
- globuli bianchi sotto 3000/mm³ e neutrofili sotto 1500/mm³

Via Longo,1 – c/o Croce d'Oro – 50012 PONTE A EMA (Firenze)

Mail: presidente@comitatofamiglietalassemici.it C.F.: 94050320483

PEC: comitatofamiglietalassemici@pec.it Iscrizione PRG n. 1563 del 24-10-1994

codice IBAN: IT26M0306909606100000077076

www.comitatofamiglietalassemici.it

C.F.T.

Comitato Famiglie Talassemici

SPERANZA DI VIVERE

- regime ferrochelante non cambiato negli ultimi 3 mesi (ATTENZIONE: DEFERIPRONE (FERRI-PROX) ESCLUDE DALLO STUDIO)
- colesterolo sopra 240
- trigliceridi sopra 200
- proteinuria 24/ore superiore a 1 g/die
- intervento chirurgico maggiore negli ultimi 60 giorni
- vaccino vivo negli ultimi 90 giorni
- allattamento gravidanza attuale o in programma
- malattie tumorali
- manifestazioni allergiche importanti

Per beneficiare poi del farmaco è necessario avere conferma *in vitro* che sia efficace

Per luspatercept il percorso è più complicato: viene concesso dalla ditta solo per uso compassionevole (tenete conto che a breve sarà comunque farmaco disponibile per tutti visto che ha superato tutte e 3 le fasi della sperimentazione)

- età sopra 18 anni
- beta-talassemia o HbE/beta talassemia
- trasfusione dipendenza (da 6 a 20 unità trasfuse nelle 24 settimane precedenti, senza intervalli superiori a 35 giorni)

criteri di esclusione

- HbS
- HIV e HCV
- trombosi e stroke
- ipertensione incontrollata
- danno cardiaco, ridotta funzione renale, malattie epatiche e polmonari
- trattamento con idrossiurea (oncocarbide) nelle 24 settimane precedenti
- terapia anticoagulante cronica nei 28 giorni precedenti
- steroidi cronici nelle 12 settimane precedenti
- chirurgia maggiore nelle 12 settimane precedenti
- tumori

Pertanto con Ilaria stiamo valutando per ognuno di voi le indicazioni e i criteri. E ovviamente poi siamo disponibili a chiarire ulteriori dubbi
Un saluto a tutti

Tommaso e Ilaria

Via Longo,1 – c/o Croce d'Oro – 50012 PONTE A EMA (Firenze)

Mail: presidente@comitatofamiglietalassemici.it C.F.: 94050320483

PEC: comitatofamiglietalassemici@pec.it Iscrizione PRG n. 1563 del 24-10-1994

codice IBAN: IT26M0306909606100000077076

www.comitatofamiglietalassemici.it