

## Report del meeting del Board of Directors TIF

Nei giorni 7 e 8 aprile si è svolto a Fujairah (UAE) il Board della Thalassaemia International Federation sotto gli auspici di SA Sheikha Sheikha Bint Seif Al Nahyan (membro onorario del Board).

Il Presidente Mr. Englezos durante il suo discorso di benvenuto ai membri ha ringraziato SA per l'accoglienza e l'organizzazione di questo incontro, il primo del 2019, e non ha mancato di ribadire quelle che sono le sfide che la Federazione si sta trovando ad affrontare per garantire una presa in carico certa ai pazienti di tutto il mondo. Un breve accenno anche alla non florida situazione economica ed al rischio che molte delle attività TIF possano essere ridimensionate nel prossimo futuro se non si riuscirà a cambiare questo trend negativo. Questo che anche se il bilancio del 2018 si è chiuso sostanzialmente in surplus, solo contabilmente però, grazie al contributo della Commissione Europea per il progetto Thalia. Ripercorre a grandi linee le attività della Federazione, anche quelle storiche, che hanno consentito di acquisire o mantenere le collaborazioni di alto livello con la OMS e l'ONU.

Viene approvato all'unanimità il verbale del Board precedente stilato dalla segretaria Ms. Mylona in collaborazione col TIF Office.

Secondo quanto concordato nel meeting di Londra dello scorso mese di ottobre 2018, l'attività del TIF Office, così come quella delle altre realtà internazionali, è volta ad una maggior evidenza degli obiettivi raggiunti (deliverables) che possano far immediatamente capire all'esterno cosa è stato acquisito e cosa ancora resta da fare. Tra gli obiettivi raggiunti è in corso di revisione degli specialisti il Position Paper sulla RM cardiologica ed epatica. Il nuovo indirizzo per l'organizzazione delle Conferenze regionali ed internazionali, che rappresentano un vero problema a causa dei costi necessari per svolgerle, è ormai consolidato e nel corso del meeting si parlerà del programma degli eventi per il 2019 e 2020. Stiamo cercando un maggior coinvolgimento dei pazienti del Board per la partecipazione alle Delegation Visits in quanto fino ad ora sono pochi coloro che hanno dato la disponibilità. Il Thal-e-Course è stato lanciato anche in altre lingue europee (italiano, greco, francese, tedesco) anche in indo ed in arabo, mentre nella sua versione originale in inglese è giunto alla terza edizione. Questo è uno dei programmi più importanti per i pazienti e si conta molto sulla sua diffusione a livello locale.

Si passa all'analisi del bilancio del 2018. Il Tesoriere Mr. Elbard (Canada) legge il documento dell'audit rilasciato dall'azienda cipriota di revisione che da anni si occupa di certificare il bilancio TIF. Come detto dal Presidente durante la sua prolusione introduttiva il surplus risultante è solamente apparente perché generato da contributi dati da Novartis e dall'UE, alcuni dei quali vanno restituiti a Novartis in quanto le attività per cui erano stati erogati non sono state portate a termine secondo quanto preventivato.

L'analisi dei nuovi membri per cui il Board esprime all'unanimità il proprio consenso all'iscrizione sono le associazioni di Francia, Irak ed Egitto, Ghana, Svezia e la Wellcare Foundation dell'India.

Nella valutazione del Report giunto qualche giorno prima del meeting e redatto dal TIF Office, entreranno nel merito solo delle domande al Direttore Esecutivo dr. Eleftheriou che emergono da parte dei membri del Board. Visita di delegazione in Bangladesh in cui si sta attivando in collaborazione col governo un programma di prevenzione secondo le linee guida TIF; in questo paese parliamo di circa 100 mila pazienti registrati con tassi di natalità annui molto elevati. In India

è in corso un'attività di consapevolezza della popolazione grazie all'azione combinata di Thalasseemics India (Mrs. Tuli), TIF e il governo centrale. Mrs. Tuli richiede che una edizione del Report per i membri del Board (Board members' update) appositamente elaborata sia mandata al governo indiano perché in questa fase sarebbe di grande importanza per le attività in corso. Visita di delegazione nelle Mauritius che ha avuto scarso successo nonostante gli esperti medici inviati (Piga ed Angastiniotis), si valuterà in seguito come approcciare il governo che al momento non pare molto interessato mentre i medici hanno richiesto corsi di aggiornamento e formazione. Sono stati ristabiliti contatti con l'Irak, grazie alla nomina a Ministro della Sanità della dr. Alladin che è un valido collaboratore TIF da molti anni. Grazie alla sua azione abbiamo speranze che la talassemia possa diventare un focus nei prossimi anni in questo paese. Ovviamente compatibilmente con la situazione politica che al momento è molto instabile. Nell'ambito del progetto Thalia (THALassaemia In Action) sono state fatte diverse visite di delegazione [Austria, Francia, Germania, Svezia, Balcani (Romania, Serbia) e Italia] rispetto alla visita in Francia viene riferita una difficoltà di accesso ai pazienti talassemici perché l'azione principale dell'associazione è rivolta alla Sickle-Cell. Tutto è nelle mani di un medico e questo non agevola l'azione TIF. Riguardo ai rapporti con l'OMS, l'attività è sotto costante monitoraggio per il mantenimento dello status di "collaboratore". Le attività devono essere svolte e documentate secondo le regole restrittive dell'OMS e questo è un ulteriore aggravio del lavoro del TIF Office. Durante l'assemblea generale dell'OMS svoltasi a Roma lo scorso mese di settembre è venuta alla luce che mentre la risoluzione ONU per la talassemia è stata adottata (anni fa) a livello di Board dell'OMS, quella per la Sickle-Cell è stata adottata a livello di Assemblea Generale che le conferisce uno status superiore. Lavoreremo per ottenere che anche la risoluzione per la talassemia (una nuova e più aggiornata versione) venga adottata allo stesso livello. Dalla visita di delegazione in Egitto è emerso che tutti i pazienti hanno accesso alla terapia chelante ed al trattamento per l'HCV. Per ciò che riguarda i PROs (Patient Reported Outcomes) TIF ha perso un importante finanziamento per questo progetto a causa di un ritardo nell'invio dei documenti da parte dell'agenzia intermediaria. Linee guida per la RM come detto sono in revisione, va rimarcato che pochi sono i centri in cui è stata effettuata la validazione del T2\* e quindi ottenuto l'accreditamento per le misurazioni di qualità. Molti centri si accreditano per la misurazione T2\* ma i risultati che rilasciano sono del tutto inattendibili. Con la pubblicazione delle linee guida confidiamo di aumentare il numero di centri accreditati. Sicurezza del sangue: importante meeting all'ONU di cui riferisce Mr. Constantinou riguardo alle misure di prevenzione delle malattie trasmissibili in tutto il mondo. TIF sta sollecitando gli stati affinché si vieti la donazione retribuita e si adottino politiche di sicurezza a livello mondiale. Evidenziato un lieve ritardo nell'aggiornamento delle linee guida per la talassemia a causa della necessità di includere anche le nuove terapie (genetica ed eritropoiesi inefficace), non appena questa documentazione aggiuntiva sarà pronta verrà data alle stampe la nuova edizione (la quinta) delle linee guida. Viene portato all'attenzione del Board che recentemente la dr. Olivieri ha pubblicato un articolo nel quale avvisa di problemi nella somministrazione del Ferriprox nei bambini.

Come discusso per email nei mesi scorsi, è necessario procedere alla sostituzione del membro del Board in rappresentanza dell'Azerbaijan (Ms. Mustaphayeva) che non ha mai partecipato né alle attività TIF né alle riunioni del Board dal momento della sua elezione nel novembre 2017. Il solo candidato, non-paziente, che ha partecipato alle elezioni senza raggiungere il numero di voti sufficiente per la nomina è il rappresentante dell'Emirates Thalassaemia Society, Mr. Merdas, che adesso viene nominato in sostituzione di Ms Mustaphayeva. Mr. Merdas interpellato in proposito conferma la sua disponibilità e si dichiara onorato di poter dare il suo contributo alla Federazione.

Si passa a parlare in maniera più dettagliata del progetto Thalia che ha visto la partecipazione principale di tre pazienti membri del Board nelle visite di delegazione. Mr. Constantinou ha visitato Francia, Germania, Svezia ed Italia (ha solo partecipato all'assemblea di UNITED), Mr. Brunetta ha visitato l'Austria e Mr. Skafi ha visitato la regione balcanica (Romania e Serbia). Della situazione in Francia si è detto, la situazione di Germania e Svezia è abbastanza sovrapponibile sia in termini di qualità dei centri di cura (elevata) sia in termini di accesso alle terapie (ottimo). I pazienti tedeschi sono veramente molto frammentati e sparsi in tutto il paese per cui hanno poco collegamento tra loro per confrontarsi nonostante abbiano fondato un'associazione nazionale qualche anno fa. In Svezia hanno invece dimostrato molta predisposizione all'organizzazione e volontà di aderire e partecipare alle iniziative TIF. In Italia si evidenzia, come ampiamente discusso in passato, un eccesso di frammentarietà fra le associazioni e diversità locali importanti. La cura è ottimale in tutto il paese anche se alcune regioni hanno qualche difficoltà a garantire ai pazienti l'accesso ad alcuni farmaci. In Austria, talassemia e sickle-cell non sono al momento un problema di salute pubblica, circa 100 pazienti in tutto tra pediatrici ed adulti. I bambini sono ottimamente curati in un centro con medici qualificati. Gli adulti sono curati in altro ospedale, in un centro di emato-oncologia, ma non secondo le linee guida perché i medici non le conoscono. Gli esami di laboratorio vengono eseguiti ma non interpretati correttamente. L'accesso alla trasfusione viene deciso direttamente dal paziente quando lo ritiene necessario, senza un appuntamento prestabilito. I pazienti che abbiamo incontrato evidenziano carenze di consapevolezza allarmanti. Si è stabilito che sia importante organizzare un workshop per medici e laboratoristi. La situazione in Serbia ed in Romania è ancora peggiore in quanto questi sono paesi di transito per i migranti per cui i governi non si occupano affatto di questi problemi.

Mr. Brunetta relaziona in merito alle attività a livello europeo non strettamente relative al progetto Thalia ma più a livello politico tra EuroBloodNet, EHA ed Eurordis. Con EuroBloodNet è in corso un grande lavoro prevalentemente sulla Sickle-Cell per dare a questi pazienti una rappresentanza effettiva. A TIF si chiede di partecipare al percorso di formazione e di selezione dei pazienti. Pur non occupandoci strettamente di Sickle-Cell dovremmo essere maggiormente in grado di intercettare anche i bisogni di questo gruppo sempre più consistente di pazienti. Altra attività del network è quella relativa al trapianto di midollo sempre per la Sickle-Cell per cui si sta definendo un protocollo d'intesa tra Irlanda e Italia, regione Veneto. A livello EHA, è praticamente pronto il programma per i pazienti al prossimo congresso EHA di Amsterdam per cui il TIF non ha chiesto una specifica sessione per i nostri pazienti. Il focus del programma sarà sulle terapie avanzate (genica e Car-T cell) per le malattie emato-oncologiche. Sempre in quest'ambito ci sarà una sessione specifica di 2 ore organizzata da EuroBloodNet. Con Eurordis grande lavoro di sinergia per implementare il network europeo. Recentemente a Mr. Brunetta è stato richiesto di entrare le Panel di esperti per "Care 2030" un nuovo progetto di Eurordis che ha lo scopo di raccogliere i pareri e le necessità in vista della revisione della legislazione europea per le malattie rare. Questo è un ottimo riconoscimento anche del lavoro della TIF.

Prossime conferenze: Nel mese di novembre 2019 si svolgerà l'annuale conferenza in India che quest'anno, in considerazione dello sforzo attuato dal TIF, sarà anche Pan-Asiatica. Dovrebbe essere nella terza settimana di novembre ma la data deve ancora essere confermata. Potrebbe anche essere sede del prossimo Board meeting. Nel 2020 si svolgerà ad Abu Dhabi, sotto il patrocinio della Fondazione di SAR, la Conferenza TIF Pan-Araba in occasione della consegna dei premi stabiliti dalla Fondazione. Di conseguenza, altri possibili eventi sono da pensarsi non prima del 2021, quando dovrà svolgersi anche la Conferenza Internazionale.

Attività in India: Vediamo adesso più in dettaglio i risultati dello sforzo comune TIF, Thalasseemics India e governo indiano. Il trapianto di midollo è disponibile per tutti i pazienti, il governo copre la cifra di 14000 \$. È stato predisposto un video per migliorare la consapevolezza nella popolazione che verrà tradotto in diverse lingue locali indiane. È in corso un'azione mirata al fundraising per l'organizzazione della conferenza Pan-Asiatica di novembre. Il TIF curerà gli inviti degli esperti internazionali sia pazienti che clinici. Il progetto per la RM è curato in collaborazione con il dr. Walker. Il presidente Mr. Englezos si congratula con Mrs Tuli per gli importanti passi avanti fatti anche in considerazione dell'elevato numero di pazienti che l'India ha.

Attività in Iran: l'Iran ha organizzato 6 centri di cura a livello regionale che stanno seguendo il programma TIF per ottenere l'accredito di centri di expertise. Il progetto RM è in corso in collaborazione con il Ministero della Sanità. Il trapianto di midollo è disponibile ed è stato curato in collaborazione con il Prof. Locatelli, finora sono stati eseguiti 114 trapianti su thalassemici. Nonostante l'embargo internazionale l'accesso ai farmaci è buono ma l'Exjade non è fornito gratuitamente. La prevenzione è un grosso problema, nel senso che non esistono programmi di prevenzione, ma solo massicce campagne di sensibilizzazione, quindi sono circa 220 all'anno i nuovi nati con thalassemia. Il numero totale dei pazienti è di circa 20 mila ma in rapida crescita in assenza di efficaci programmi di prevenzione. Dr. Eleftheriou richiama l'attenzione su alcune mail ricevute da parte di pazienti iraniani che lamentano gravi effetti collaterali dei farmaci, la rappresentante iraniana Mrs. Hashemi si dimostra consapevole di questo problema e comunica di aver sollevato la questione a livello ministeriale, per cui sono attese azioni ufficiali.

Attività in USA: Mr Ficarra comunica l'organizzazione in corso della prossima Patients and Family Conference che si svolgerà ad inizio luglio a S. Francisco (CA), stanno decidendo il panel di esperti internazionali da invitare ed il programma. Aggiungerà tempestivamente il Board non appena le cose saranno meglio definite. CAF ha investito 500 mila \$ sulla ricerca per l'induzione della produzione di HbF.

Attività in diversi paesi: Malaysia sta organizzando una conferenza che è di grande interesse per l'associazione. Attualmente esistono poche informazioni sul trattamento disponibile per i pazienti che non partecipano alla TPC (Thalassemia Patients Connect) su Whatsapp a causa delle difficoltà di linguaggio. A questo proposito viene evidenziato come sia necessario uno sforzo maggiore per avere le traduzioni alle conferenze anche in presenza di numeri di iscritti non particolarmente elevati. Emirates Thalassemia Society comunica che il test pre-matrimoniale è finalmente obbligatorio per tutte le coppie. Tutto ciò che è correlato alla thalassemia ha ottenuto l'accreditamento da parte del Ministero della Salute compreso il sostegno economico alle famiglie ed ai pazienti per misure di natura sociale.

Attività in Libano: Mrs. Abi Saad relazione in merito alle attività del CCC di Beirut per le malattie croniche fra cui la thalassemia che non è l'unica patologia di interesse. Molto bene i programmi di prevenzione negli ultimi anni hanno drasticamente ridotto i numeri dei nuovi nati. Il trattamento è di buona qualità, stanno lavorando per migliorare la qualità del sangue. Recentemente hanno avuto qualche problema con i chelanti (Exjade) ma risolto con l'acquisto di Jadenu (altro nome dell'Exjade venduto in USA).

Attività in UK: Purtroppo a causa della questione Brexit le attività nel Regno Unito sono molto incerte, recentemente la UKTS sta partecipando attivamente ad un tavolo tecnico presso il Parlamento per le infezioni trasfusionali con un focus particolare sull'epatite C.

A proposito di focus, su richiesta di Mr. Elbard riguardo alla thalassemia intermedia ed al suo trattamento questo argomento verrà affrontato nel contesto della nuova edizione delle linee guida per la NTDT.

Il Board si chiude a fine mattinata dell'8 aprile prima di procedere alla visita al nuovo centro di cura costruito all'ospedale di Fujairah.