

ID: 152

Area Clinica

Orale

Parole chiave: talassemia, endocrinopatie, terapia ferrochelante, deferasirox

Studio retrospettivo nazionale sulla salute endocrina e sul metabolismo osseo nei pazienti con talassemia trasfusione dipendente trattati con Deferasirox

Maria Falzarano, Maddalena Casale, Caterina Viola, Martina Caiazza, Immacolata Tartaglione, Domenico Roberti, Saverio Scianguetta, Silverio Perrotta

Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli, Italia; maria.fal@hotmail.it

Grazie all'utilizzo della risonanza magnetica e al miglioramento dei regimi ferrochelanti, la mortalità nei pazienti trasfusione- dipendenti si è ridotta notevolmente negli ultimi decenni (Dessi et al, 2015), determinando un aumento relativo nelle complicanze croniche a lungo termine, in particolare quelle legate alla funzione endocrinologica (Thuret et al, 2010).

I dati più ampi attualmente disponibili riguardano pazienti trattati cronicamente con deferoxamina (DFO) e dimostrano una prevalenza pressoché stabile dei disordini endocrinologici nelle varie casistiche, con aumento del numero di complicanze con il progredire dell'età (Vogiatzi et al, 2009).

Due studi indipendenti hanno osservato una prevalenza di disturbi endocrinologici molto bassa in pazienti trattati con DFX per un tempo variabile tra 5 e 6.5 anni, con un miglioramento significativo soprattutto sul metabolismo osseo (Casale et al, 2014; Poggi et al, 2016).

Alla luce di questi dati, è stato disegnato uno studio multicentrico nazionale per la valutazione dell'effetto della terapia con DFX su un più ampio numero di pazienti e per un periodo di osservazione più lungo rispetto a quanto finora riportato.

L'obiettivo primario è la valutazione dell'effetto del DFX sulla prevalenza delle endocrinopatie in pazienti trasfusione- dipendenti trattati in monoterapia per almeno 5anni. Inoltre saranno valutati sovraccarico di ferro cardiaco, LIC, ferritina, dosaggio giornaliero di DFX, iron intake annuo.

I dati saranno inseriti in un database elettronico, specificamente progettato, accessibile solo dopo autenticazione attraverso credenziali fornite dal centro coordinatore. Il sistema è stato realizzato secondo le specifiche del Computerized Systems Validation e prevede procedure di validazione, che garantiscono autenticità, integrità, confidenzialità, paternità e originalità dei dati inseriti.

E' previsto il coinvolgimento di almeno 30 centri, per il raggiungimento di un numero totale di 400 pazienti.

Questo studio tenta di rispondere alla necessità dell'intera comunità scientifica di ottenere dati solidi sul tasso di complicanze endocrinologiche nell'era del massiccio utilizzo dei farmaci ferrochelanti orali e l'ampio coinvolgimento dei centri di cura delle emoglobinopatie operanti sul territorio nazionale può garantire il raggiungimento di risultati affidabili.