

## Interrogazione a risposta in commissione

Per sapere – premesso che:

la porpora trombotica trombocitopenica (TTP) è una patologia ultra-rara: l'incidenza della sua forma acquisita (aTTP), di origine autoimmune, che corrisponde al 95% dei casi totali, è di circa 1,2 – 6 casi per milione di persone per anno;

caratterizzata da sintomi come lieve cefalea, dolori agli arti e alle articolazioni, astenia e debolezza, ma anche da manifestazioni che possono crescere d'intensità portando a paresi parziali, dolori addominali, nausea e crisi comiziali, per arrivare a quadri severi con rischio di scompenso cardiaco, insufficienza renale e coma, la aTTP è una malattia da non sottovalutare, che merita attenta considerazione;

appare grave, dunque, che, pur essendo una patologia potenzialmente mortale, cosa che accade in circa il 20% dei casi, e certamente invalidante, chi ne è affetto non viene ancora seguito in tutta Italia in aderenza con le recenti linee guida prodotte nel 2021;

la diagnosi può arrivare in ritardo, ma anche il follow up può essere carente e soprattutto diverso da regione a regione, con esiti impattanti sulla salute e sulla qualità della vita sia di chi sviluppa questa patologia sia su chi se ne prende cura – i caregiver – che spesso sono coniugi, figli o genitori anziani;

l'età di insorgenza della patologia, infatti, è mediamente intorno ai 20-30 anni per le donne, che vengono colpite 3 volte più dei maschi, e ai 50-60 anni per gli uomini;

l'impatto è significativo su tutti i fronti, non solo sulla salute ma anche sulla vita sociale, affettiva, familiare e lavorativa. Tutto questo, inevitabilmente, va anche a generare una serie di spese e/o di diminuzione del reddito, che aggravano ulteriormente tutte le problematiche citate;

il protocollo terapeutico d'elezione da eseguire in urgenza è dato dalla plasmateresi in associazione alla terapia immunosoppressiva. La plasmateresi consente di eseguire uno scambio plasmatico, eliminando gli anticorpi anti-ADAMTS13 e rimuovendo i multimeri di fattore di Von Willebrand ad alto peso molecolare che si accumulano per effetto del deficit enzimatico. Inoltre, il plasma fresco serve a rifornire il paziente di nuovo ADAMTS13;

in aggiunta, nei centri che sono in grado di eseguire il dosaggio di questo enzima e di fornire il risultato entro le 72 ore dall'arrivo del paziente, è possibile iniziare la somministrazione di caplacizumab, un farmaco di ultima generazione, approvato due anni fa per il trattamento dell'aTTP. Proprio l'arrivo sul mercato di caplacizumab ha reso necessario un aggiornamento delle linee guida sulla patologia, aggiornamento che è stato pubblicato a marzo 2021 dalla Società Italiana di Ematologia (SIE);

un simile approccio terapeutico è fondamentale per ridurre l'impatto della aTTP e la mortalità dei pazienti ma, affinché si possa realizzare nel modo più efficace, occorre riconoscere tempestivamente i segnali della patologia e ottenere presto una conferma diagnostica. A tale scopo, appare chiara l'importanza di aumentare la conoscenza, la formazione e la sensibilizzazione su tale

patologia, così come di aumentare i centri che sul territorio nazionale possono effettuare il dosaggio dell'enzima ADAMTS13 in tempi brevi.

Se non intenda attuare un monitoraggio per l'attuazione delle linee guida volte a garantire l'equa fruizione del diritto alla salute per chi è affetto da questa patologia.

Quali iniziative intenda mettere in campo per garantire il diritto ad eseguire il test in esenzione per chi è affetto da questa patologia in maniera omogenea su tutto il territorio nazionale; un obiettivo che va perseguito con impegno per migliorare la qualità di vita di chi è affetto da questa patologia.

Malavasi, Girelli