

BARI ...INCONTRA... MATERA

IMMUNITÀ, GENE ED EMOSTASI

**ANTICORPI MONOCLONALI, MICRORNA NELLE EMOFILIE E
MICROANGIOPATIE TROMBOTICHE**



BARI, 9 MAGGIO 2025

Villa Romanazzi Carducci

Via Giuseppe Capruzzi, 326 - Bari

BARI ⇌ *MATERA*

IN MEMORIA DI VITO PROCACCI

RAZIONALE SCIENTIFICO



XIV Risk Management su Immunità, Gene ed Emostasi

L'A.F.T. (Accademia Federiciana per la Trombosi-Matera, Fondatore e past president Andrea Sacco), l'A.P.T.E.A. (Associazione Per la Trombosi E Anticoagulati- Bari, Fondatore e presidente Nicola Ciavarella) e la Medicina di Emergenza ed Urgenza "Vito Procacci" del Policlinico-Università di Bari, promuovono nell'ambito delle iniziative scientifiche un convegno interregionale (delle 6 regioni del sud) dedicato a malattie rare, di tipo emorragico e trombotico, microangiopatie, diviso in due parti.

Prima parte:

INNOVAZIONE IN EMOSTASI. Com'è noto l'emostasi viene rappresentata da una specie di bilancia costituita da un lato, da vari attivatori della coagulazione e dall'altra da vari inibitori, per cui, c'è un equilibrio straordinario, che si può misurare con un test molto affidabile standardizzato da laboratori specialistici, che si chiama generazione della trombina (GT). Quando manca un fattore pro coagulante si altera un piatto della bilancia in senso emorragico e si ha per esempio, l'EMOFILIA. Viceversa, se per esempio manca o è difettoso un fattore anticoagulante si altera l'altro piatto della bilancia in senso trombotico. In caso di emofilia A, si previene l'emorragia infondendo il fattore coagulante mancante, che permette così la coagulazione del sangue. In questo caso, diventa importante l'attivazione del Fattore VIII, nella cascata di enzimi della coagulazione. Recentemente alcuni ricercatori sono riusciti ad attivare la coagulazione, saltando o bypassando il FVIIIa con anticorpo monoclonale bispecifico diretto al complesso fattore IX e fattore X portando, quindi, alla formazione di trombina e quindi alla coagulazione finale.

Ciò determina il ripristino della bilancia emostatica e quindi la GT .

Questo anticorpo chiamato EMICIZUMAB è ora impiegato in maniera estesa nella pratica clinica per la prevenzione delle emorragie in soggetti con emofilia A con o senza inibitori.

Altre aziende che si occupano di Emofilia, alcune delle quali hanno messo a punto e reso efficace un altro anticorpo bispecifico (mimetico del fattore VIIIa) come il MIM8.

Altri ricercatori, incoraggiati da questo risultato, hanno cercato di modificare la bilancia emostatica riducendo l'effetto inibitorio di un anticoagulante fisiologico come l'antitrombina, attraverso un meccanismo di interferenza mediato dal microRNA specifico, da utilizzare nei soggetti con Emofilia A oppure B con o senza inibitore. Il farmaco viene chiamato FITUSIRAN.

RAZIONALE SCIENTIFICO



Un altro approccio è stato avviato con un anticorpo monoclonale, diretto contro il TFPI (tissuefactorpathwayinhibitor). Esso è chiamato ALHEMO, la cui funzione è quella di legarsi al complesso fattore tissutale + fattore VII + fattore X attivato, facendo sbilanciare l'emostasi. Recentemente, la FDA ha approvato il farmaco ALHEMO per la prevenzione degli eventi emorragici nei soggetti con emofilia A e B con inibitori. Il test di laboratorio GT così risulta normale, come atteso. Infine, esiste un altro anticorpo monoclonale, il MARSTACIMAB, anti TFPI che è in corso di studio.

Seconda parte:

ANEMIE EMOLITICHE CON PREVALENZA DI MICROANGIOPATIE TROMBOTICHE (MAT): MAT

1. Sindrome emolitica-uremica (SEU) caratterizzata dalla anemia emolitica, piastrinopenia e insufficienza renale, distinta in una forma tipica secondaria ed infezioni di Escherichia coli, e una forma atipica da mutazioni della via alterna del complemento. Tale forma identificata in emergenza, può essere trattata con una terapia specifica con un anticorpo monoclonale anti-C5, come L'ECULIZUMAB o più recentemente, in maniera più efficace, con il RAVULIZUMAB. Sindrome Emolitica Uremica dell'adulto, si giova dello stesso trattamento con anticorpi anti-C5. MAT 2. Porpora Trombotica Trombocitopenica (TTP). Questa forma è una microangiopatia trombotica causata da un deficit congenito o immunomediato dell'enzima ADAMTS-13, che ha la funzione di tagliare i multimeri del fattore Von Willebrand, in maniera da impedire l'ischemia di molti organi, caratterizzata da sintomi neurologici (cefalea, attacchi epilettici, coma), anemia emolitica, trombocitopenia grave, insufficienza renale e malfunzionamento di vari organi. Il trattamento è legato a plasma Exchange, RITUXIMAB e recentemente da un anticorpo monoclonale CAPLACIZUMAB, che blocca l'interazione del Fattore von Willebrand con le piastrine e quindi riduce la formazione di trombi. Nelle forme rare, congenite, gravi il trattamento con ADAMTS-13 ricombinante è risultato efficace. MAT 3. Emoglobinuria Parossistica Notturna (EPN) è caratterizzata da emolisi intravascolare: emoglobinuria, leucopenia, trombocitopenia e soprattutto da trombosi arteriosa e venosa. Si tratta di una malattia del sangue acquisita con attivazione del complemento e trombosi. Oltre agli anticoagulanti sono utili gli anticorpi monoclonali, inibitori dell'anti-C5, come L'ECULIZUMAB e recentemente dal RAVULIZUMAB, che agisce in maniera più duratura.



PROGRAMMA



08:00 Registrazione partecipanti

08:30 Saluti, Introduzione e Presentazione - **Nicola Ciavarella, Giovanni Dirienzo, Francesco Incantalupo, Andrea Sacco**

INNOVAZIONI IN EMOSTASI I - Moderatori: **Antonio Ciampa, Nicola Ciavarella, Mario Schiavoni**

08:45 Narrazione sullo sviluppo terapeutico recente dell'approccio "non sostitutivo" a quello "sostitutivo" dei fattori di coagulazione per la prevenzione degli episodi emorragici nei soggetti con EMOFILIE A e B, con o senza inibitori - **Giancarlo Castaman** – Firenze

09:15 Come scelgo la terapia sostitutiva e non sostitutiva - **Antonio Coppola** - Parma

09:45 Ribilanciare la coagulazione nei soggetti con emofilia riducendo gli inibitori fisiologici - **Mario Colucci** - Bari

SINDROMI MICROANGIOPATICHE TROMBOTICHE I - Moderatori: **Loreto Gesualdo, Musto Pellegrino, Angelo Vacca**

10:15 La sindrome emolitica uremica in età pediatrica - **Mario Giordano** - Bari

10:45 La sindrome emolitica uremica negli adulti - **Adriano Montinaro** – Bari

11:15 La porpora trombotica trombocitopenica - **Raimondo De Cristofaro** – Roma

11:45 PAUSA

PROGRAMMA



SINDROMI MICROANGIOPATICHE TROMBOTICHE II

Moderatori: **Paola Capolaretti, Clara Mannarella, Michele Pizzuti**

12:15 L'emoglobinuria parossistica notturna – **Francesco Tarantini**- Bari

12:45 Ruolo della medicina trasfusionale nella gestione delle microangiopatie trombotiche - **Angelo Ostuni** – Bari

INNOVAZIONI IN EMOSTASI II

Moderatori: **Antonio De Santis, Licia Iacoviello**

13:15 Sindrome da anticorpi anti-eparine. Diagnostica e nuovi approcci terapeutici - **Giacomo Lucarelli** - Bari

13:45 Sindrome da anticorpi antifosfolipidi - **Giuseppe Malcangi** - Bari

14:15 Discussione generale

14:30 Consegna e svolgimento questionario ECM



FACULTY

PAOLA CAPORALETTI (FOGGIA)

GIANCARLO CASTAMAN (FIRENZE)

ANTONIO CIAMPA (AVELLINO)

NICOLA CIAVARELLA (BARI)

MARIO COLUCCI (BARI)

ANTONIO COPPOLA (PARMA)

RAIMONDO DE CRISTOFARO (ROMA)

ANTONIO DE SANTIS (BARI)

GIOVANNI DIRIENZO (ALTAMURA - BA)

LORETO GESUALDO (BARI)

MARIO GIORDANO (BARI)

LICIA IACOVIELLO (CASAMASSIMA - BA)

FRANCESCO INCANTALUPO (BARI)

GIACOMO LUCARELLI (BARI)

GIUSEPPE MALCANGI (BARI)

CLARA MANNARELLA (MATERA)

ADRIANO MONTINARO (BARI)

ANGELO OSTUNI (BARI)

MUSTO PELLEGRINO (BARI)

MICHELE PIZZUTI (POTENZA)

ANDREA SACCO (MATERA)

MARIO SCHIAVONI (OTRANTO)

FRANCESCO TARANTINI (BARI)

ANGELO VACCA (BARI)

**CON IL CONTRIBUTO
NON CONDIZIONANTE DI:**



CON IL PATROCINIO DI:



Federazione
delle Associazioni
EMOFILICI

Responsabile Scientifico:

Nicola Ciavarella

Segreteria Scientifica:

Giovanni Dirienzo

Francesco Incantalupo

Andrea Sacco

INFORMAZIONI GENERALI

Evento residenziale ECM ID. 441028

Sede congressuale: Villa Romanazzi Carducci

Via Giuseppe Capruzzi, 326 – Bari

Partecipanti previsti: 80

Faculty: 26

Professioni accreditate:

Medici chirurghi (tutte le discipline), Biologi, TSLB,
Farmacisti, Assistenti Sanitari, Infermieri e
Infermieri pediatrici

Segreteria Organizzativa e Provider ID: 5467

ELLEVENTI S.R.L.

VIA MAESTRO GAETANO CAPOCCI, 11 - 00199 ROMA

TEL. 3420680078 – EMAIL: INFO@ELLEVENTI.IT

PIVA 13681261007

ISCRIZIONI AL LINK: https://www.elleventi.it/eventi/2025/immunita_gene_ed_emostasi/