

## Salassoterapia: l'evidenza dell'efficacia si basa su dati scientifici

L'evidenza dell'efficacia della salassoterapia nei pazienti con emocromatosi si basa su una serie di dati che sono stati oggetto di ricerca medica negli anni passati e i cui risultati hanno dimostrato senza ombra di dubbio la validità di questa terapia.

Con una salassoterapia adeguata si ottiene la progressiva riduzione dei valori di ferritina e della percentuale di saturazione della transferrina che testimonia la graduale eliminazione del ferro in eccesso.

Nell'emocromatosi classica la diminuzione dei valori di ferritina precede quella della percentuale di saturazione della transferrina. Ciò è dovuto al fatto che prima viene rimosso il ferro depositato nei tessuti, di cui la ferritina costituisce l'indicatore, e solo successivamente comincia a diminuire il ferro circolante nel sangue e di conseguenza anche la saturazione della transferrina.

La diminuzione della ferritina sierica non è sempre lineare e talvolta accade che l'andamento proceda a gradini, con fasi di riduzione più rapida e fasi di rallentamento. Quando il valore di ferritina scende sotto i 50 µg/L e la percentuale di saturazione della transferrina sotto il 30%, si può dire che il paziente è ferro depleto e cioè che non ha più ferro depositato in eccesso nei tessuti. Raggiunti questi valori il paziente viene inserito in un regime di mantenimento variabile da individuo a individuo (da 2 salassi a 10 salassi annui) per mantenere il risultato ottenuto, regime che va continuato fino ad età avanzata.

Gli studi clinici hanno dimostrato che la salassoterapia evita lo sviluppo delle complicanze correlate alla malattia (cirrosi epatica, diabete, cardiopatia, ecc.) se queste non si sono ancora sviluppate, ma migliora anche le condizioni dei pazienti che già presentano alcune di queste complicazioni, in particolare la cardiopatia ed in parte il diabete.

Meno efficace è invece la terapia nel ridurre il rischio relativo allo sviluppo della patologia articolare che coinvolge circa il 20% dei pazienti.

L'evidenza più drammatica dell'efficacia della salassoterapia nei pazienti con emocromatosi, viene dagli studi di sopravvivenza. Dopo 10 anni di osservazione, la sopravvivenza era del 95% nei pazienti trattati contro il 10% dei pazienti non trattati (Conte et al. *Liver*; 6: 310-315, 1986) (Figura 1).

Nei pazienti senza cirrosi trattati con regolare salassoterapia, la sopravvivenza a 20 anni era del tutto sovrapponibile a quella dei soggetti normali (Niederau et al. *New England Journal of Medicine*; 313: 1256-1262, 1985) (Figura 2), a dimostrazione che una terapia adeguata è in grado di garantire ai malati di emocromatosi una normale aspettativa di vita.

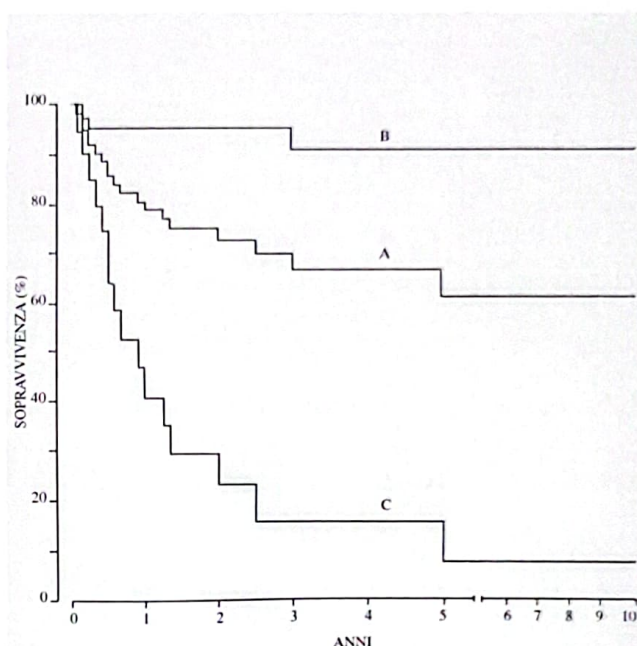


Figura 1.  
Curva di sopravvivenza in 63 pazienti con emocromatosi (A), di cui 43 trattati con salassoterapia (B) e 20 no (C).

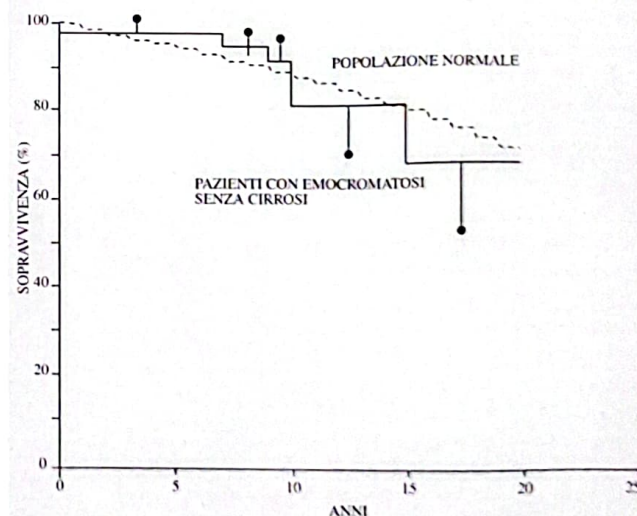


Figura 2.  
Curva di sopravvivenza in 51 pazienti non cirrotici con emocromatosi.

# Salassoterapia e donazioni: un nodo difficile da sciogliere

L'utilizzo dei pazienti con emocromatosi come possibili donatori di sangue costituisce un problema largamente dibattuto che ha visto prese di posizione opposte nei diversi paesi.

La Croce Rossa canadese (Canadian Red Cross Society Blood Transfusion Service), la Banca centrale del sangue in Svezia, alcuni centri esterni al Red Cross System (Croce Rossa Britannica), il Welsh Regional Transfusion Center nel Galles, alcuni ospedali della California, accettano soggetti sani con l'emocromatosi come donatori volontari. Altri, come l'American Red Cross Blood Service (Il servizio americano che definisce le regole per i Centri trasfusionali) e la National Academy of Medicine in Francia, hanno espresso parere sfavorevole. Questo parere sfavorevole non dipende tanto dalla sicurezza del sangue dei pazienti con emocromatosi, quanto dalla definizione di chi debba essere un donatore sano. A tutt'oggi infatti il soggetto affetto da

emocromatosi è considerato malato, anche chi non presenta alcuna delle complicanze della malattia. Un'altra ragione addotta è che la donazione di sangue deve essere un atto volontario e non un atto determinato da una necessità, come invece è per i pazienti con emocromatosi. In uno studio da noi condotto negli ultimi anni presso due centri trasfusionali del Nord-Italia, l'incidenza dell'emocromatosi è risultata pari a due casi su mille individui sani. Ciò significa che comunemente, sangue proveniente da donatori con emocromatosi omozigote, ma ignari di esserlo, viene raccolto e trasfuso. Una quota ancora maggiore di sangue viene abitualmente e inconsapevolmente raccolta da soggetti eterozigoti (portatori sani) la cui prevalenza è elevata, pari a circa uno su dodici abitanti.

L'attuale politica generale dei centri trasfusionali in Italia è che se un soggetto viene riconosciuto affetto da emocromatosi omozigote, viene escluso dal pan-

nello dei donatori. Noi suggeriamo un comportamento diverso per questi soggetti che preveda il monitoraggio dello stato del ferro in collaborazione con Centri specialistici e la raccolta del sangue da parte del Centro trasfusionale a frequenze da stabilire, fatti salvi gli usuali criteri di affidabilità del sangue raccolto.

Uno screening per la diagnosi precoce dell'emocromatosi, oltre ai vantaggi conseguenti al riconoscimento della malattia prima dello sviluppo delle complicanze (vantaggio per i pazienti, ma anche riduzione dei costi per la società), potrebbe avere un ulteriore ritorno: il paziente affetto da emocromatosi potrebbe essere a tutti gli effetti un superdonatore e contribuire, almeno in parte, a coprire le esigenze sempre crescenti di sangue, che obbligano alcuni centri trasfusionali a comprare il sangue altrove.

*Centro per lo studio dell'emocromatosi*

## La salassoterapia: come la vedono i pazienti

I medici considerano abitualmente la salassoterapia una terapia efficace e ben tollerata. Quest'ultima considerazione si basa sul fatto che in genere, salvo casi sporadici, i pazienti non si lamentano e molti riferiscono di stare meglio, di essere meno stanchi e «più leggeri», ma è proprio così?

Al recente Congresso internazionale sulle malattie da ferro (Bioiron, Sorrento, giugno '99) è stato presentato uno studio di un gruppo francese operante in Bretagna all'Ospedale di Rennes, il cui titolo era: *Esperienza pratica e tolleranza della salassoterapia in 353 pazienti affetti da emocromatosi* (Autori: Moirand R. et al.). I risultati dello studio, presentati in forma concisa, indicavano che solo il 54% del campione in esame (186 pazienti) considerava il trattamento come «senza alcun problema».

I problemi principali riportati dai pazienti erano: il dolore relativo alla puntura, più frequente per gli uomini (59% del campione) che nelle donne (28%); la difficoltà a trovare la vena (nel 59% delle donne e nel 35% degli uomini); una lieve e occasionale sensazione di males-

sere durante il salasso (riferita dal 31% dei soggetti), che si ripresentava più volte solo nel 7% dei casi; sensazione di capogiro al termine del salasso nel 23%; affaticamento dopo il salasso nel 65% dei pazienti, riferito di discreta entità nel 9% e importante e prolungato nel 3% dei pazienti.

Conoscere le problematiche dei pazienti è importante perché aiuta medici e infermieri a capire cosa può essere migliorato e come, o, se questo non è possibile, a condividere, almeno empaticamente le «sofferenze» dei malati.

Scrivete all'Associazione la vostra esperienza, c'è spazio per ognuno di voi.



*Per la distribuzione delle uova pasquali necessita la collaborazione di persone per le giornate del 5, 11, 12 e 13 aprile p.v.*

*Coloro che intendono aderire all'invito possono comunicare la loro disponibilità (giorno e orario) telefonando il mercoledì mattina in segreteria, ore 10-12, al n. 039 2333220, oppure al n. 039 303106 (signor Malegori).*

## Ora sono «ferrato» sull'argomento

**H**o conosciuto la parola «emocromatosi» per la prima volta un anno fa, quando il mio medico al telefono mi disse che probabilmente ne ero affetto. Appena riagganciato corsi a cercare sull'enciclopedia medica questa strana malattia, che non avevo mai sentito prima; successive ricerche su Internet mi portarono ad una conoscenza più approfondita. Ho 30 anni e sto cercando di disintossicarmi dall'enorme quantità di ferro che ho accumulato da quando sono nato (essendo piuttosto magro, viene quasi da ridere quando dico che ho un sovraccarico di ferro...).

Certo, se l'avessi scoperto prima, avrei fatto meno fatica e probabilmente avrei salvato il mio fegato che invece ora è un po' «rovinato». Buona parte della colpa è senz'altro mia: quando si sta bene, non

si vede il motivo di sostenere esami invasivi per qualche valore alterato del sangue, dimenticando la famosa frase che «prevenire è meglio che curare».

D'altra parte il mio medico precedente, già nel '93 aveva visto il mio livello di ferritina molto elevato (2400), ma non mi disse che questo era molto pericoloso e poteva provocarmi danni di vario tipo: forse, se me l'avesse detto, mi sarei convinto a sostenere gli esami.

Ora comunque non guardo più al passato, ma cerco solamente di guarire; certo, non è una passeggiata: essendo affetto anche da *talassemia minor* (meglio nota come *anemia mediterranea*), non posso sostenere salassi settimanali, ma solo quindicinali, per cui ho dovuto integrare la terapia con infusioni sottocutanee di Desferal®.

Ora sono ad un buon punto, la ferritina si è ridotta al valore 1000 e tra un po' di mesi potrò entrare nel «regime di mantenimento». Con gli amici ho cercato di sdrammatizzare, ora fanno a gara a chi trova più battute del tipo «non devi mangiare le cancellate», «attento alle calamite», «sei ferrato sull'argomento», ecc.

Il futuro un pochino mi spaventa, perché non so quali conseguenze potrò avere da questi anni di «sovraccarico», però sono fiducioso nell'aiuto della medicina, dei medici, e soprattutto di Dio.

Nel contempo, vorrei dare il mio piccolo contributo perché non succeda ad altri quello che è successo a me, cercando cioè di far conoscere di più questa malattia. E questo è proprio uno degli scopi della nostra Associazione.

*Un paziente*

## Dal Ministero della Sanità

Abbiamo ricevuto il seguente comunicato che riportiamo come dal testo originale:

*«Si desidera informare che, con decreto del Ministro della Sanità del 14 dicembre 1999, è stata istituita una Commissione di Studio sulle Malattie Rare presso lo scrivente Dipartimento (Dipartimento della Prevenzione, ndr), in cui è prevista la partecipazione di cinque rappresentanti che saranno individuati tra quelli segnalati da codeste Associazioni. Le Associazioni che intendano prendere parte ai lavori della suddetta Commissione, sono invitate pertanto, a fornire, entro il 31 gennaio 2000, una copia del proprio Statuto associativo ed indicare il nominativo di un proprio rappresentante».*

Segue un elenco di una trentina di associazioni, tra cui la nostra. Il materiale richiesto è stato inviato entro la data richiesta via fax. Attendiamo ora ulteriori notizie nella speranza che questo sia un ulteriore passo verso il riconoscimento della malattia. I criteri con cui verranno selezionati i cinque rappresentanti non è noto.

## Ora parliamo di soldi... ringraziando i generosi sostenitori

**L'**Associazione, che non ha fini di lucro e la cui attività rientra in quella del volontariato, rende noto il suo bilancio chiuso alla data del 31 dicembre 1999.

### Situazione patrimoniale

#### ATTIVO

Cassa contanti	175.100
Cariplo	4.637.563
C/C postale	17.861.763
Macchine elettroniche	2.490.000
<b>Totale attivo</b>	<b>25.164.426</b>

#### PASSIVO

Debiti diversi	684.000
Avanzo ges. prec.	20.924.134
Avanzo di gestione	3.556.292
<b>Totale passivo</b>	<b>25.164.426</b>

### Conto economico

#### COSTI

Spese postali	1.215.480
Materiale inform.	3.927.600
Spese bancarie	162.000
Affitto sede	540.000
Diversi	7.994.000
Spese c/c postale	125.600
<b>Totale costi</b>	<b>13.964.680</b>
Avanzo di gestione	3.556.292
	<b>17.520.972</b>

#### RICAVI E PROVENTI

Versamento soci	13.685.000
Vers. sostenitori	1.000.000
Promozionali	2.766.000
Interessi attivi Cariplo	8.404
Sopravvenienze attive	61.568
<b>Totale ricavi e proventi</b>	<b>17.520.972</b>

Villa Vincenzo, Burago M. Cotta Ramusino, Monza Valpreda Angela, Cinisello Sirtori Giuseppe, Monza Voccia Anna, Napoli Cioffi Silvana, Roma Motta Eugenia, Milano Ballabio Luigi, Giussano Cesana Alessandro, Carate Tedesco Bruno, Monza Zavaglia Vincenzo, Bresso Molteni G. Vittorio, Seregno Pagliari G., S. Cesareo (Roma) Parravicini Luigi, Verano Viscardi Giulio, Camparada Piera Oreni Riva, Monza Lumaca Anna, Monza versamento da Torino Cotta R. Enrico, Monza Donghi Pier Carlo, Bresso Fumagalli Cesare, Casatenovo Galimberti Enrico, Pavia

Pitaluga Domenico, Monza Massignani Alberto, Trezzo Camesasca Renato, Monza B.C.C. di Carate Brianza Expopack, Villasanta

	Associazione per lo studio dell'Emocromatosi e delle malattie da sovraccarico di ferro
Registrazione	Tribunale di Monza N. 1245 del 19 marzo 1997
Edito da	Associazione per lo studio dell'emocromatosi e delle malattie da sovraccarico di ferro
Direzione e Redazione	Ospedale Nuovo S. Gerardo Tel. 039-2533220 (mercoledì dalle 10 alle 12)
Direttore Responsabile	Franco Ricci
Coordinatore di Redazione	Aldo Frossi
Segreteria	Antonietta Ben
Grafica	Aldo Parma
Stampa	Tipolitografia C. Verga snc Via Don Venanzio Cerri, 7 Macchero

## Siamo su Internet!

Dai primi dell'anno, anche la nostra Associazione ha un sito Internet, che può essere consultato dai soci e da quanti desiderino avere informazioni sulla sua attività.

Al sito <http://www.emocromatosi.it> potranno infatti rivolgersi tutti coloro che desiderino sapere chi siamo, quali siano i nostri scopi, come associarsi, conoscere i possibili canali d'informazione ed avere notizie più precise sulla emocromatosi ereditaria, la malattia genetica più comune nel mondo occidentale. È stato infatti stimato che nell'Italia del Nord, su dieci milioni di persone, ci siano 25.000 malati e circa un milione di portatori.

«A tutt'oggi – si legge nel sito – nei diversi centri specialistici sono stati identificati non più di 1000 malati. Manca quindi all'appello un numero assai rilevante di persone, che ignorano il loro stato ed i rischi correlati allo sviluppo del sovraccarico di ferro».

Il sito, realizzato grazie alla collaborazione del socio Giuliano Braghetto, che ringraziamo, consente quindi di accedere ad informazioni preziose, nonché di poter leggere articoli sull'argomento o conoscere da vicino la nostra realtà associativa.

Il fatto non è passato inosservato, dato che presso la segreteria arrivano le prime richieste d'informazione e le segnalazioni di malati che comunicano alcuni valori riscontrati nel loro sangue. Chiedono ansiosi: «è una situazione preoccupante?». A tutti ovviamente sarà data una risposta in forma privata o, nei casi più gravi, scatterà un'immediata convocazione presso il reparto specializzato del San Gerardo di Monza per una visita di controllo.

Cercaci anche tu, che hai avuto la pazienza di leggerci sin qui... e annota il nome del sito nella parte più importante della tua agenda personale.

## Collaboratori cercasi

Il Consiglio Direttivo dell'Associazione, costituito da sei consiglieri e dal presidente, il dottor Alberto Piperno, nella sua ultima riunione ha evidenziato la necessità di trovare tra i soci dell'Associazione nuove persone che siano disponibili ad una più stringente collaborazione con il Consiglio stesso.

In particolare, si cercano persone disponibili ad entrare nei costituendi gruppi di lavoro che, in linea di massima, potrebbero essere identificati in tre grandi aree. Le pubbliche relazioni per sviluppare i

contatti con gli altri enti ed associazioni, il settore della diffusione e propaganda, il gruppo che si dovrebbe occupare della funzione importantissima del reperimento dei fondi, quanto mai necessari per sostenere la vita associativa e le notevoli spese per la divulgazione del notiziario «Notizie Siderali».

È opinione del Consiglio Direttivo che i nuovi gruppi debbano operare proprio sul modello del Comitato di redazione del notiziario, che lavora in stretta collaborazione con il presidente, pur godendo di una propria autonomia gestionale.

I gruppi, secondo le indicazioni del Consiglio, potrebbero pertanto sviluppare una loro specifica operatività ed un'azione propositiva nei confronti del Consiglio stesso, con i cui responsabili potrebbero poi avere occasioni d'incontro e di verifica.

L'Associazione, che attualmente conta di circa 200 soci e che tramite lo staff medico assiste non meno di 300 pazienti, ha bisogno dell'aiuto di tutti: se vuoi offrire il tuo contributo scrivici o telefona il mercoledì mattina tra le ore 10 e le 12 al numero 039-2333220.



## Per Pasqua, acquistando un uovo aiuterete l'attività dell'Associazione

Nei giorni 5, 11, 12 e 13 aprile alcuni volontari organizzeranno una vendita di uova di Pasqua finalizzata alla raccolta di fondi.

La vendita avverrà tramite una bancarella posta sotto i portici all'ingresso dell'Ospedale Nuovo S. Gerardo.

Successivamente sarà possibile acquistare le uova presso la sede dell'Associazione che si trova all'interno dell'Ospedale, piano terra, settore A, nella mattinata di mercoledì 19 aprile dalle ore 10 alle 12, telefono 039-2333220.