



ADVISORY BOARD HSCT-TMA

Roma, 12 Febbraio 2026

Best Western Plus Hotel Universo



RAZIONALE

La microangiopatia trombotica associata a trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT-TMA) è una complicanza sottodiagnosticata e a elevato impatto clinico, particolarmente rilevante all'interno della rete trapiantologica italiana.

Sulla base dell'ultima edizione del 2024 del libro bianco del GITMO (Gruppo Italiano per il Trapianto di Midollo Osseo, cellule staminali emopoietiche e terapia cellulare), in Italia i centri trapianti certificati sono circa 90, che eseguono ogni anno circa 3400 trapianti di tipo autologo e circa 2000 di tipo eterologo.

La letteratura e i dati epidemiologici italiani mettono in luce differenze regionali significative sia in termini di prevalenza di HSCT-TMA sia nella diagnosi e nei protocolli clinici adottati per la gestione della condizione.

Durante l'ultimo Congresso Europeo di Ematologia (EHA, 12-15 giugno 2025, Milano), Alexion ha presentato i dati del trial registrativo su ravulizumab per il trattamento di pazienti con HSCT-TMA.

Alla luce di questi risultati, l'azienda si prepara ora ad avviare tutte le attività di pre-lancio, guidate direttamente e in maniera prioritaria dal Dipartimento Medico.

In questa fase, l'azienda ha l'esigenza strategica di raccogliere insight e di mappare con precisione la realtà attuale della diagnosi e gestione clinica della HSCT-TMA su scala nazionale. Questa attività conoscitiva è essenziale per individuare bisogni clinici ancora insoddisfatti, peculiarità organizzative dei diversi centri e per identificare eventuali unmet needs sia di tipo clinico che gestionale.

La scelta di articolare l'Advisory Board in due meeting dedicati con una differenziazione geografica consente di affrontare tematiche specifiche di ciascuna area in modo mirato, facilitando la condivisione di esperienze, problematiche e soluzioni specifiche che potrebbero risultare sottorappresentate in un unico appuntamento nazionale.

OBIETTIVI

- 1 - Raccogliere insights sull'effettiva epidemiologia dell'HSCT-TMA.
- 2 - Raccogliere insights sullo stato dell'arte della gestione del paziente HSCT-TMA.
- 3 - Raccogliere insights sul ruolo degli inibitori del complemento nella terapia del paziente con HSCT-TMA.
- 4 - Raccogliere insights sul follow-up del paziente e la corretta durata della terapia.

AGENDA

10:30 – 10:45	<i>Welcome and Introductions</i>	Direzione medica Alexion
10:45 – 11:00	Le evidenze di ravulizumab nell'HSCT-TMA	Direzione medica Alexion
11:00 – 13:15	• L'epidemiologia dell'HSCT-TMA: esperienze dei centri • Lo screening del paziente per l'insorgenza della TMA: quali segni e sintomi? • Criteri diagnostici: consenso e applicabilità dei criteri modificati di Jodele • Quale ruolo per il C5b9 sierico? • Tempistiche dell'insorgenza dell'HSCT-TMA: paziente ospedalizzato o già dimesso?	Discussione - All
13:15 – 14:15	Lunch	All
14:15 – 16:30	• Gestione terapeutica dell'HSCT-TMA – Gestione del trigger vs inibitori del complemento • HSCT-TMA vs aHUS: inquadramento clinico • I challenge principali nella gestione dell'HSCT-TMA • Il ruolo della genetica • Durata del trattamento con gli inibitori del complemento	Discussione - All
16:45 – 17:00	<i>Conclusioni e take home messages</i>	Direzione medica Alexion

ADVISORS - CLINICI

Nome e Cognome	Affiliazione
Alessandra Picardi	AORN "Antonio Cardarelli", Napoli
Angelo Michele Carella	Fondazione "Casa Sollievo della Sofferenza", San Giovanni Rotondo (FG)
Anna Paola Iori	Policlinico Umberto I, Roma
Antonio Pierini	AO Perugia - Ospedale Santa Maria della Misericordia, Perugia
Chiara Nozzoli	AOU Careggi, Firenze
Eugenia Piras	ARNAS "G. Brotzu" - Ospedale Oncologico "A. Businco", Cagliari
Francesco Paolo Tambaro	AORN Santobono-Pausilipon, Napoli
Franco Locatelli	Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma
Luca Castagna	AO Ospedali Riuniti "Villa Sofia – Cervello", Palermo
Mariacristina Menconi	AOU Pisana - Ospedale Santa Chiara, Pisa
Massimo Martino	Grande Ospedale Metropolitano "Bianchi Melacrino Morelli", Reggio Calabria
Simona Sica	Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli IRCCS, Roma
Stella Santarone	PO Pescara - Ospedale Civile, Pescara
Veronica Tintori	AOU Meyer IRCCS, Firenze

PARTECIPANTI ALEXION

Federica Sottana	Senior Medical Director – Medical Department
Fabio Carini	Therapeutic Area Lead – Medical Department
Manuela Quintavalle	Medical Advisor – Medical Department

INFORMAZIONI GENERALI

Tipo di incontro: **In presenza**

Durata: **6 ore**

Quando: **12 Febbraio 2026**

Dove: **ROMA, Best Western Plus Hotel Universo**

Agenzia: **Nume Plus SRL**