

Strategie per migliorare gli indicatori della Malattia Drepanocitica a livello globale

La Commission di *Lancet Haematology* evidenzia molteplici criticità associate alla Malattia Drepanocitica (MD), raggruppate in cinque categorie:



Epidemiologia

Limitata disponibilità di dati epidemiologici standardizzati

Un gran numero di persone con MD viene trascurato nei paesi ad alta prevalenza



Screening e prevenzione

Mancanza di politiche e linee guida per lo screening neonatale in Paesi ad alta prevalenza

Mancanza di finanziamenti costanti e sufficienti nei paesi ad alta prevalenza

Assenza di programmi organizzati di screening neonatale nei paesi a basso e medio reddito (LMICs)



Trattamenti consolidati ed emergenti

Necessità di programmi nazionali omnicomprensivi per la MD

Gestione inadeguata delle crisi dolorose vaso-occlusive e di altri eventi acuti

Scarso accesso a trasfusioni di sangue sicure

Scarso accesso all'idrossiurea a prezzi accessibili



Terapie Cellulari

Conoscenza limitata delle terapie curative

Accesso limitato al trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche

Accesso limitato al trapianto autologo di cellule staminali ematopoietiche per la terapia genica nei paesi ad alto reddito (HICs)

Mancanza di investimenti nello sviluppo della terapia genica in vivo



Formazione e educazione di operatori sanitari

Pochi curricula stabiliti o disponibili per formare operatori sanitari nella gestione dei pazienti con MD, in particolare nei LMICs.

Mancanza di finanziamenti per la formazione e l'educazione degli operatori sanitari a livello mondiale.

La MD è una malattia trascurata da molto tempo. Migliorare gli esiti richiederà un impegno finanziario e politico significativo, ma farlo avrà un impatto positivo sulla vita di milioni di pazienti e famiglie in tutto il mondo

La Commission formula 12 raccomandazioni chiave per raggiungere questi obiettivi:



1

Consentire la raccolta routinaria di dati epidemiologici comparabili in tutti i paesi entro il 2025.

Criticità coinvolte





2

Garantire che lo screening sia disponibile per tutti i neonati in tutto il mondo entro il 2025.





3

Rendere l'idrossiurea accessibile ed economica per tutte le persone con MD entro il 2030.





4

Migliorare la fornitura e la sicurezza delle trasfusioni di sangue entro il 2030.





5

Bilanciare la partecipazione dei LMICs rispetto ai HICs nei trial clinici con nuove terapie entro il 2030.





6

Accelerare lo sviluppo di terapie efficaci ed economiche per ottenere cure sicure ed accessibili entro il 2040.





7

Dimezzare le attuali stime sul peso sanitario globale della MD entro il 2050.





8

Rendere i governi nazionali responsabili attraverso il monitoraggio dell'attuazione e del progresso degli interventi di sanità pubblica.





9

Informare le popolazioni affetta dalla MD sui rischi riproduttivi e sulle scelte disponibili. Adattare le informazioni alle diverse culture e religioni.





10

Garantire l'accesso al livello minimo di cure specialistiche a tutte le persone con MD, indipendentemente da dove vivano.





11

Educare gli operatori sanitari e il pubblico in generale sulla MD e sul suo trattamento.





12

Prioritizzare i finanziamenti per la ricerca sulla MD attraverso bandi dedicati.



Image credits: coffeekai, Goodboy Picture Company, Viorel Kurnosov, Elke Meitzel, gorodenkoff, Andrew Brookes, SDI Productions, Doug Armand, JohnnyGreig, Drazen Zigic, Ariel Skelley, PeopleImages / GETTY IMAGES

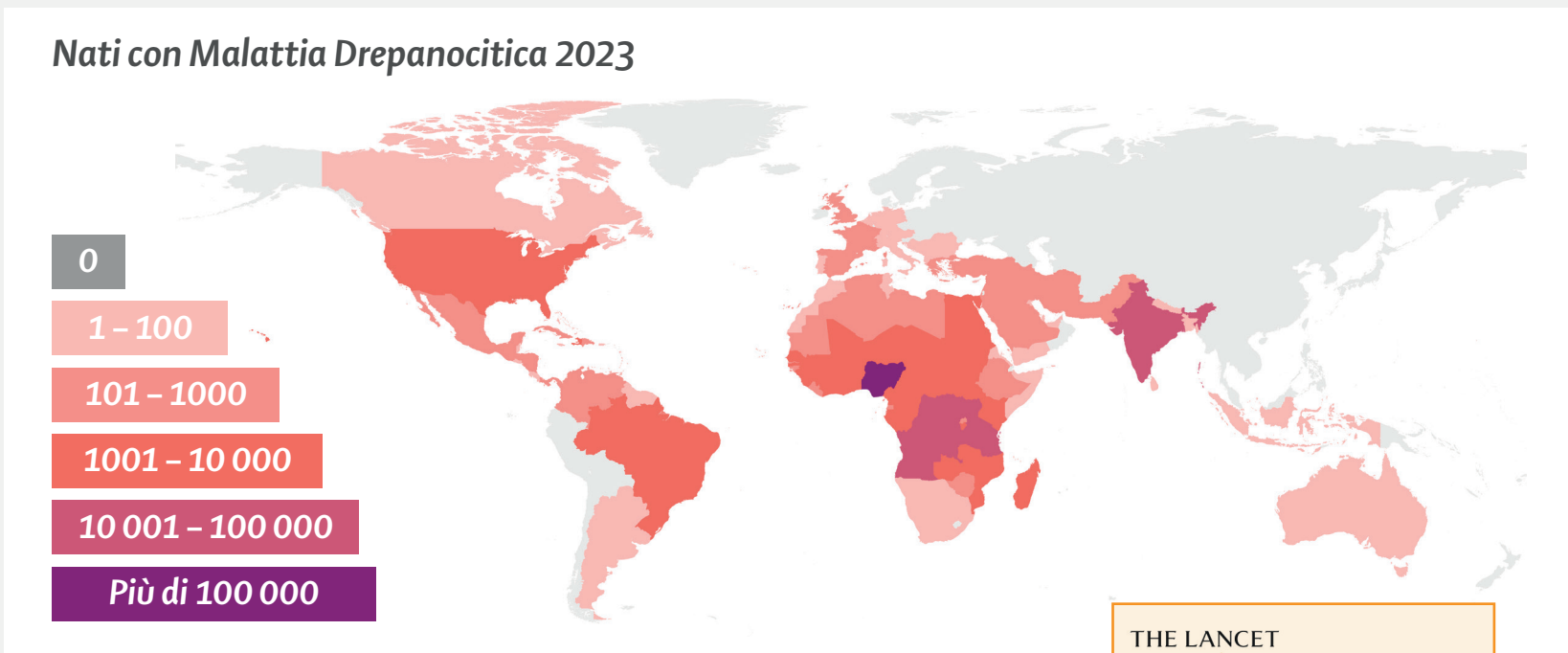
Questi obiettivi sono tutti raggiungibili, ma non sono privi di sfide:

- 

La MD è probabilmente **la più comune, grave malattia ereditaria al mondo**. È anche una delle prime 50 cause non trasmissibili di morte a livello globale.
- 

Mentre la maggioranza delle principali cause di morte sta diminuendo, **il numero di morti dovute alla MD sta aumentando**.
- 

Nonostante questo, **ci sono meno di 5 terapie efficaci disponibili**, e la maggior parte degli individui con MD non ne ha accesso.



La Commission di *Lancet Haematology* riunisce commenti, un articolo sulla voce dei pazienti, e molto ancora...

Leggi la Commission intera e tutti gli articoli correlati su thelancet.com/commissions/sickle-cell-disease

Piel FB, Rees D, DeBaun MR, Nnodu O, Ranque B, et al. Defining global strategies to improve outcomes in sickle cell disease: a *Lancet Haematology* Commission. *Lancet Haematology* 2023; published online July 11. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(23\)00096-0](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(23)00096-0)

