officinamalattierare@dossetti.it



DOTT.SSA DANIELA CONCOLINO

Responsabile Centro Regionale Pediatria Genetica e Malattie Rare, Università Magna Grecia, Catanzaro

HOME TREATMENT: UNA RISORSA NEL TRATTAMENTO CON FARMACI ORFANI

La “home treatment”, un moderno modello di assistenza domiciliare a pazienti in terapia enzimatica sostitutiva, è finalmente diventata una opportunità terapeutica applicabile anche in Italia. La terapia domiciliare per i pazienti affetti da malattie da accumulo lisosomiale per le quali è oggi disponibile un terapia enzimatica sostitutiva è, infatti, una realtà assistenziale ampiamente consolidata in vari paesi europei e diverse evidenze ne documentano i risultati sia in termini di miglioramento di qualità di vita per i pazienti e per le loro famiglie che di risparmio organizzativo ed economico per le aziende ospedaliere. Sulla base di questa premessa e supportati dall’industria abbiamo progettato e sperimentato presso la Pediatria dell’Università di Catanzaro un modello di terapia domiciliare per i pazienti affetti da Malattia di Fabry in trattamento con agalsidase A i cui risultati hanno consentito la messa a punto di un programma, “Fabry@home”, disponibile oggi in tutta Italia. Attualmente, stiamo effettuando un progetto pilota, supportato da privati per valutare la fattibilità e la sicurezza nel sistema sanitario italiano dell’home therapy nella malattia di Hunter (mucopolisaccaridosi II). Verranno riportati i primi risultati.