Terapia Genica per il Trattamento di Pazienti Adulti affetti da Emofilia B: Gestione ed Allestimento in Farmacia Ospedaliera

Giovanni Crucitta[1], Oscar Martinazzoli[1], Maria Teresa Chiarelli[1], Marcello Sottocorno[1]

1. Fondazione IRCCS Ca' Granda Ospedale Maggiore Policlinico Milano

atmp forum

28-29 ottobre 2026

BACKGROUND E OBIETTIVI

Etranacogene dezaparvovec è la prima terapia genica approvata per il trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti senza storia di inibitori del fattore IX[1]. L'obiettivo di questo lavoro è descrivere il modello organizzativo sviluppato dalla farmacia ospedaliera per la gestione di questo farmaco, dalla revisione del contratto alla formazione del personale coinvolto, fino alla somministrazione del prodotto.

METODI

Fase 1: accreditamento e certificazione del centro, realizzati grazie alla collaborazione di medici, infermieri, farmacisti e colleghi del dipartimento amministrativo.

Fase 2: identificazione del paziente idoneo e verifica della sua eleggibilità. Avvio delle procedure per l'approvvigionamento del prodotto e dei dispositivi medici necessari per la somministrazione.

Fase 3: formazione specifica del personale farmacista e infermieristico coinvolto nelle fasi di allestimento della terapia.

Fase 4: ricevimento del materiale, il farmacista esegue la verifica quali-quantitativa, controlla la catena del freddo tramite due distinti sistemi di data-logger in dotazione e gestisce la documentazione in conformità con l'RCP. Il farmaco viene conservato ad una temperatura di 2-8 °C e monitorato in continuo.

Fase 5: il giorno dell'infusione, il farmacista blocca il data-logger e rimuove il farmaco dalla cella frigorifera e lo trasferisce in camera bianca. Il prodotto viene diluito in soluzione di NaCl 0,9% in sacca da 500 mL. La preparazione viene controllata secondo le procedure di post-allestimento. In ogni fase si cura l'integrità del prodotto e la sicurezza del personale, nel rispetto delle GMP. I farmacisti, dopo aver consegnato la terapia al reparto, partecipano alla somministrazione per monitorare i tempi e le modalità di infusione e per svolgere attività di farmacovigilanza.

TABELLA 1 • Fasi

Fase	Attività	Figure coinvolte	Documentazione
1. Accreditamento del centro	Certificazione e collaborazione tra più figure professionali	Team Multidisciplinare	Centro accreditato
2. Paziente idoneo	Verifica dell'eleggibilità, approvvigionamento di farmaco e dispositivi	Clinici, Farmacista	Paziente eleggibile, ordine del materiale
3. Formazione	Training sulla preparazione della terapia	Farmacisti, Infermieri	Personale formato
4. Ricevimento	Verifica quali-quantitativa	Farmacista	Registrazioni secondo l'RCP
5. Giorno dell'infusione	Allestimento, consegna in reparto, monitoraggio dell'infusione	Farmacisti, Personale di Reparto	Terapia somministrata, farmacovigilanza
6. Post infusione	Follow up	Medici, Infermieri e Farmacisti	Cartella clinica

RISULTATI

Nel 2025 sono stati trattati due pazienti presso il centro. Non si sono evidenziati scostamenti nella fase procedurale. Durante la somministrazione, un paziente ha manifestato flushing; in accordo con RCP, la velocità di infusione è stata ridotta a meno di 8 ml/min e la somministrazione è stata completata.

GRAFICO 1 • Fasi del giorno dell'infusione



CONCLUSIONI

L'esperienza dimostra che etranacogene dezaparvovec può essere gestito in sicurezza in un IRCCS italiano. Il farmacista ospedaliero rappresenta una figura centrale e trasversale, non solo responsabile dell'allestimento, ma punto di riferimento imprescindibile per tutti gli attori del processo terapeutico. Il modello descritto potrebbe offrire un riferimento operativo per i centri che si apprestano a introdurre terapie geniche nella propria pratica clinica. Il farmacista ospedaliero ha contribuito anche all'attività di revisione del contratto, alla verifica della sostenibilità mediante la definizione del fabbisogno in accordo con la Regione, partecipa attivamente alla farmacovigilanza e alle attività richieste da AIFA per l'eleggibilità dei pazienti e relativo follow up.

BIBLIOGRAFIA

1. Farmadati Italia. Gallery - Compendio Farmaceutico WEB

atmp forum

PRESENTATO A: **ATMP FORUM 2026 • 28-29 ottobre 2026; Roma, Italia**