

**Emoglobinuria parossistica notturna:
fra diagnosi, ottimizzazione della terapia e modelli assistenziali.**

17 aprile 2026.

Sala Convegni Ospedale San Bassiano – Bassano del Grappa

Responsabile scientifico: Eros Di Bona

Evento Residenziale per 70 discenti (Medico Chirurgo; Medico di Medicina Generale)

Programma Scientifico

17 aprile:

Incontro riservato ai Medici ospedalieri e di Medicina Generale che hanno in cura pazienti con EPN

ore 14: registrazione dei Partecipanti

ore 14.30: saluti da parte delle Autorità e presentazione delle giornate

ore 15.00: Tavola Rotonda: *malattie rare, modelli organizzativi per un'assistenza ottimale*

ore 16.00: *EPN fra clonalità e autoimmunità*

Lucio Luzzatto

ore 16.30: *il complemento*

Rosario Notaro

ore 17.00: *aspetti clinici dell'EPN*

Wilma Barcellini

ore 17.30: *terapia anti complementare: oltre l'inibizione del C5?*

Simona Sica

ore 18.00: *EPN abbiamo scoperto tutto? Problematiche cliniche e terapeutiche ancora aperte*

Antonio Risitano

ore 18.30: chiusura della giornata

Razionale Scientifico

L'emoglobinuria parossistica notturna (EPN) è rara malattia genetica, acquisita e non ereditaria, clonale, non neoplastica. Nel Veneto, con una popolazione stimata nel 2023 in 4.852.216 abitanti, dovrebbero esserci circa 9 nuovi casi/anno e una prevalenza di 87 casi di EPN. A fronte di una relativa facilità tecnica nel porre la diagnosi, esiste una discrepanza fra i casi attesi e quelli osservati. Questo può dipendere dall'elevata eterogeneità clinica, difficoltà nel riconoscimento e quindi nella diagnosi.

Dal 2007, con l'introduzione di eculizumab, anticorpo che inibisce il complemento, sono enormemente cambiate la possibilità di sopravvivenza ed è migliorata la qualità di vita. Negli ultimi anni sono stati sperimentati e sono arrivati alla registrazione ben altri cinque farmaci con diversi target, capaci di migliorare anche chi non risponde completamente ad eculizumab.

Questa offerta terapeutica pone a chi si occupa di EPN la necessità di definire un percorso di terapia rivolto al singolo paziente. Inoltre diventa necessario un confronto diretto con gli Enti preposti alla regolamentazione della spesa sanitaria, visto l'alto costo di queste terapie.

Recentemente la Regione Veneto ha approvato un documento contenente le linee guida di indirizzo diagnostico terapeutico per l'EPN, nell'ambito delle Rete Ematologica Veneta (REV). Questo è solo l'inizio di un dialogo aperto fra tutte le figure coinvolte nella cura del paziente con EPN, per poter assicurare diagnosi puntuale, assegnazione della migliore terapia, monitoraggio adeguato, accesso alle urgenze e valutazione nel contesto di una rete che concretamente coinvolga centri di somministrazione con specialisti dedicate alla conoscenza dell'EPN.

ACRONIMI

EPN = emoglobinuria parossistica notturna

Complemento C5 = proteina sierica che aiuta a eliminare agenti patogeni