

## L'AUTOINFUSIONE: ESPERIENZA DEL CENTRO REGIONALE DI RIFERIMENTO "EMOSTASI E TROMBOSI IN ETÀ PEDIATRICA" NELL'OSPEDALE DEI BAMBINI DI PALERMO

MARIA CRISTINA SFERRAZZA - FABIO GAGLIANO - MARIA ELENA CUFFARI - ROBERTA PARRINO - VALERIO MELI - GIACOMO MANCUSO

ARNAS Palermo - Ospedale dei Bambini G. Di Cristina - Palermo - Divisione Clinicizzata di Pediatria - Centro Regionale di Riferimento "Emostasi e Trombosi in Età Pediatrica"

*[Self-infusion: the experience of the Reference Regional Centre "Hemostasis and Thrombosis in Pediatric Age" Children's Hospital - Palermo]*

### RIASSUNTO

Gli autori affrontano l'argomento dell'autoinfusione del trattamento da parte del paziente emofilico. La loro esperienza è volta soprattutto a promuovere l'autoinfusione mediante l'organizzazione gratuita di corsi teorico-pratici al termine dei quali viene valutata l'idoneità del paziente e rilasciato un attestato. I benefici dell'autoinfusione sono essenzialmente: riduzione dei ricoveri ospedalieri nei pazienti trattati "on demand", prevenzione delle artropatie e delle emorragie maggiori grazie ai programmi di profilassi e, soprattutto, migliore qualità della vita (espressa come fiducia in se stessi) dei pazienti emofilici.

### SUMMARY

*The authors deal with the topic of the self-infusion treatment by an haemophilic patient. Their experience mainly aims to improve the self-infusion by the free organization of theoretical and practical courses, at the end of which the patient's suitability is estimated and a certification about self-infusion is issued.*

*The benefits of self-infusion especially are: less admissions to hospital for patients treated on demand, the prevention of arthropathies and greater haemophilic haemorrhages and, above all, the guarantee of a better quality of life for haemophilic patients.*

**Parole chiave:** terapia emofilia, autoinfusione, profilassi

**Key words:** treatment, haemophilia, self-infusion, prevention

### Introduzione

L'autoinfusione permette al paziente emofilico di ottenere la propria indipendenza nel trattamento di emergenza, infatti gli permette di infondersi o essere infuso al proprio domicilio o sul posto dell'incidente emorragico. A tale scopo è stata studiata, presentata ed approvata un'apposita legge regionale, ed il nostro centro organizza dei corsi teorico-pratici alla fine dei quali viene rilasciato un attestato che consente al paziente o al genitore di effettuare in tutta sicurezza l'autoinfusione.

Essa garantisce all'emofilico di partecipare senza paure, alla vita sociale e a non rinunciare a gite scolastiche o a soggiorni esteri.

Più estesamente l'autoinfusione trova applicazione nella:

- profilassi primaria
- profilassi secondaria

La profilassi primaria inizia prima dei 2 anni e prima di qualsiasi evidenza di emorragia articolare, ovvero dopo il 1° episodio emorragico articolare.

La profilassi secondaria si attiva dopo i 2 anni e/o dopo il 2° o successivo episodio emorragico articolare o/ a preparazione di eventi articolari.

I pazienti candidati alla profilassi sono i pazienti affetti da emofilia grave (F VIII o F IX <1%).

Obiettivo della profilassi primaria è mantenere il valore del fattore carente > 1% e prevenire le

emorragie e l'artropatia emofilica.

Negli ultimi anni, l'avvento dei concentrati ricombinanti, e la loro disponibilità (sono in fascia H dal 1996 ed in fascia A dal 1999) hanno influenzato positivamente la scelta della profilassi primaria nella maggior parte dei centri per l'emofilia italiani.

Per questa ragione sono stati di fondamentale importanza nell'attuazione della prevenzione primaria e secondaria i corsi di "autoinfusione" (e quindi di terapia domiciliare) organizzati dai vari centri di riferimento.

- instaurazione dell'immunotolleranza nei pazienti con inibitore: questa pratica prevede che per far scomparire l'anticorpo anti FVIII si effettuino da 2 a 3 infusioni settimanali dello stesso fattore per periodi compresi tra sei mesi ed un anno;

- terapia "on demand": fondamentale è infondere(si) il concentrato all'insorgere di un evento emorragico; ritardare l'infusione contribuisce solo a peggiorare la condizione fisica.

Con una tempestiva somministrazione dell'emoderivato, si previene il prolungamento del dolore, l'artropatia emofilica, e l'ipotrofia muscolare, dovuta alla lunga immobilizzazione necessaria al completo arresto dell'emorragia.

I benefici attesi sono la prevenzione delle artropatie e delle emorragie maggiori e la migliore qualità di vita (espressa come sicurezza e fiducia in se stessi).

## Materiali e metodi

L'educazione all'autoinfusione in Sicilia viene dunque regolata dalla L.R. 30 maggio 1983 n°46. che consente alle ASL, con divisioni di ematologia e centri dell'emofilia, che ne facciano richiesta, di svolgere corsi gratuiti di addestramento al trattamento domiciliare per gli emofilici e/o loro assistenti.

I programmi dei corsi, prevedono sempre una parte pratica attinente alla valutazione dell'episodio emorragico, alla preparazione degli emoderivati liofilizzati specifici e alla loro infusione.

La durata del corso è stabilita per legge, normalmente non si scende mai al di sotto delle 24 ore effettive, in Sicilia, sono previste 30 ore.

I legislatori hanno comunque previsto dei doveri da parte dei pazienti e degli assistenti.

Infatti, i pazienti e i loro "assistenti", riconosciuti idonei al termine degli appositi corsi, sono

autorizzati a eseguire a domicilio le pratiche di autoinfusione o infusione degli emoderivati e dei medicinali consentiti, nel rispetto delle istruzioni e delle tecniche apprese.

Nel più breve tempo possibile, e comunque non oltre le 24 ore dall'effettuazione del trattamento domiciliare, il paziente o l'"assistente" deve darne comunicazione, anche telefonica, alla U.O. e/o al Centro presso i quali è seguito.

L'emofilico in trattamento domiciliare deve sottoporsi a visita di controllo e a eventuali esami di laboratorio presso la U.O. o il Centro ogni qualvolta gliene venga fatta richiesta e in ogni caso con frequenza almeno quadrimestrale.

I pazienti e gli "assistenti" inoltre debbono dare segnalazione immediata ai sanitari di qualsiasi situazione che appaia anormale o di incidenti di qualsiasi entità che si dovessero verificare in occasione del trattamento domiciliare.

Ciascun emofilico in trattamento domiciliare deve sottoporsi almeno ogni 6 mesi a visita medica generale e a eventuali esami di laboratorio di controllo da eseguirsi presso la U.O. o Centro che ha rilasciato la autorizzazione al trattamento domiciliare.

E' fatto obbligo ai pazienti di attenersi scrupolosamente alle istruzioni dettate.

Al termine del corso viene valutata l'idoneità del candidato a eseguire l'autoinfusione e rilasciato un attestato contenente la autorizzazione all'esercizio della terapia domiciliare.

È anche prevista la decadenza dell'autorizzazione qualora le modalità di attuazione dello stesso possano risultare pregiudizievoli per l'emofilico.

## Risultati

L'iniziativa, nel corso del 2004 ha permesso di:

- inserire in un programma di prevenzione primaria 6 bambini con emofilia A o B grave di età compresa fra i 13 ed i 18 mesi di cui 4 gestiti con CVC

- iniziare un programma di prevenzione secondaria su 6 pazienti adolescenti;

- ottenere l'immunotolleranza in 4 pazienti con inibitore;

- ridurre del 60% il numero di ricoveri ospedalieri nei pazienti trattati on demand.

Si ottengono, così, i benefici previsti.

## Discussione

Come abbiamo visto l'autoinfusione è una tappa fondamentale del trattamento del paziente emofilico. Tuttavia, l'utilizzazione di emoderivati o comunque di sostanze proteiche di tipo ricombinante per infusione endovenosa, la gestione di CVC e/o il reperimento frequente di accessi venosi periferici, richiede una certa perizia tecnica per evitare inconvenienti che possono alla fine portare nocimento al paziente stesso.

Senza contare che comunque il paziente o il suo tutor gestiscono dei farmaci di altissimo costo il cui spreco, per imperizia nella somministrazione, sarebbe deprecabile.

Per tale motivo già da diversi anni in varie parti d'Italia le regioni hanno emanato leggi per la disciplina del trattamento domiciliare dei pazienti emofilici.

## Conclusioni

La terapia dell'emofilia, come del resto quella di molte malattie croniche, non si basa esclusivamente sulla disponibilità o fruibilità di un presidio farmacologico, ma anche e soprattutto sulla compliance che il paziente ha verso la terapia.

Più il paziente è costretto a ricorrere al medico ed alla struttura sanitaria meno si sentirà socialmente integrato e libero.

Riteniamo pertanto, alla luce della nostra esperienza che una delle vie migliori per ottenere la propria indipendenza, cioè non dover ricorrere ogni volta al medico per fare un'infusione, è quella di imparare "l'autoinfusione".

## Bibliografia

- 1) *A longitudinal study of orthopaedic outcomes for severe factor VIII-deficient hemophiliacs* – Aledort LM, Haschmeyer RH, Petterson H and The Orthopaedic Outcome Group (J Int Med 1994).
- 2) *Esprit – Evaluation Study on Prophylaxis a Randomized Italian Trial* (in corso).
- 3) *Prophylactic versus on-demand treatment strategies for severe hemophilia: a comparison of costs and long-term outcome* – Fisher K et al (Hemophilia 2002).
- 4) *Twentyfive years' experience of prophylactic treatment in severe haemophilia A and B* – Nilsson I.M., Berntorp E. et al (J Int Med 1992).

---

*Request reprints from*  
Dott. GIACOMO MANCUSO  
Osp. dei Bambini G. Di Cristina  
Via Benedettini  
90134 Palermo  
(Italy)