



Prot. 055/2026

Bologna, 04/06/2026

**Al Presidente  
dell'Assemblea Legislativa  
della Regione Emilia-Romagna  
SEDE**

### **INTERPELLANZA**

**Oggetto:** Individuazione dei Centri di eccellenza regionali per l'erogazione della terapia di editing genomico per pazienti affetti da beta-talassemia trasfusione-dipendente e anemia falciforme severa.

Il sottoscritto **Nicola Marcello**, Consigliere Regionale del Gruppo di Fratelli d'Italia - Giorgia Meloni,

#### **Premesso che**

- La beta-talassemia trasfusione-dipendente (TDT) e l'anemia falciforme severa (SCD) sono gravi emoglobinopatie ereditarie causate da mutazioni del gene della  $\beta$ -globina, che compromettono seriamente la qualità di vita dei pazienti. In assenza di cure adeguate, i pazienti affetti da TDT necessitano di trasfusioni di sangue periodiche per tutta la vita, mentre i pazienti con SCD sono soggetti a ricorrenti crisi vaso-occlusive potenzialmente fatali.
- La beta-talassemia trasfusione-dipendente comporta inoltre un rilevante impatto sanitario, sociale e psicologico sui pazienti e sui nuclei familiari, con frequenti accessi ospedalieri, necessità di trasfusioni periodiche e terapie continuative che incidono significativamente sulla qualità della vita, sull'attività lavorativa e sul percorso scolastico dei pazienti più giovani.



Viale Aldo Moro, 50 - 40127 Bologna

email [nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it](mailto:nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it)

WEB [www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia](http://www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia)



- In Emilia-Romagna sono storicamente presenti pazienti affetti da talassemia e drepanocitosi, con una rete regionale di strutture di presa in carico consolidata: il Day Hospital delle Talassemie ed Emoglobinopatie (DHTE) presso l’Arcispedale S. Anna di Ferrara, da anni individuato come centro Hub regionale, insieme ad ulteriori centri spoke distribuiti sul territorio provinciale (Modena, Bologna, Parma, Piacenza, Cesena-Forlì, Ravenna, Rimini, Reggio Emilia).
- La Regione Emilia-Romagna si colloca ai vertici nazionali nell’accesso alle terapie geniche avanzate (ATMP): secondo i dati 2024 dell’AIFA, presentati nell’ambito dell’VIII Report sugli ATMP, l’Emilia-Romagna risulta seconda in Italia per disponibilità di farmaci ATMP, dietro la sola Lombardia che però dispone di 14 centri a fronte dei 3 della nostra Regione.

#### Rilevato che

- Il 17 settembre 2025, con la Determina n. PRES/1249/2025, il Consiglio di Amministrazione dell’AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco – ha deliberato l’ammissione alla rimborsabilità a carico del Servizio Sanitario Nazionale della prima terapia di editing genomico basata sulla tecnologia CRISPR/Cas9 destinata al trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente e dell’anemia falciforme severa in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e fino ai 34 anni di età.
- La tecnologia CRISPR/Cas9 alla base di questa terapia è la stessa che ha valso il Premio Nobel per la Chimica 2020 alle sue ideatrici Jennifer Doudna ed Emmanuelle Charpentier. Si tratta di un approccio terapeutico radicalmente innovativo: le cellule staminali ematopoietiche vengono estratte dal paziente, modificate geneticamente mediante editing del gene BCL11A per riattivare la produzione di emoglobina fetale (HbF), e successivamente reinfuse nell’organismo dopo una fase di chemioterapia mieloablativa. L’intera procedura ha la durata di circa 6-8 mesi.
- I dati degli studi clinici dimostrano che il 91% dei pazienti affetti da TDT ha raggiunto l’indipendenza dalle trasfusioni, e il 97% dei pazienti con SCD è diventato libero dalle crisi vaso-occlusive. L’AIFA ha riconosciuto alla terapia il requisito di innovatività terapeutica, con conseguente inserimento nell’elenco dei farmaci innovativi e accesso al Fondo per i Farmaci Innovativi nazionale, ai sensi dell’art. 1, commi 402-404, della Legge 11 dicembre 2016, n. 232 e successive modificazioni.
- Già prima dell’approvazione della rimborsabilità SSN, quattro pazienti italiani erano stati trattati con successo attraverso il percorso di accesso precoce AIFA presso tre centri clinici di eccellenza italiani. Tali centri, in quanto strutture già dotate dell’accreditamento JACIE per il trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche, hanno potuto accreditarsi per la somministrazione della terapia genica.
- Con l’entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1249/2025, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 233 del 7 ottobre 2025, la terapia è divenuta pienamente rimborsabile dal SSN e il relativo onere finanziario è, in virtù del riconoscimento di piena innovatività, interamente a carico del Fondo Farmaci Innovativi nazionale, senza impatto sui budget regionali.

Viale Aldo Moro, 50 - 40127 Bologna

email [nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it](mailto:nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it)

WEB [www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia](http://www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia)



- La documentazione tecnico-scientifica ufficiale relativa alla terapia evidenzia espressamente la necessità che il trattamento venga effettuato esclusivamente presso centri autorizzati e altamente specializzati, dotati delle necessarie competenze trapiantologiche, ematologiche e organizzative per la gestione delle terapie avanzate di editing genomico.

#### Considerato che

- Seppur non prescritto tassativamente da AIFA, l'individuazione dei centri abilitati all'erogazione della terapia potrà seguire, analogamente a quanto avvenuto per le terapie CAR-T, il modello dell'accreditamento specifico, riservato alle strutture complesse dotate delle necessarie certificazioni per la manipolazione di medicinali per terapia avanzata (ATMP), tra cui l'accreditamento JACIE per il trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche. Tale processo richiede un'iniziativa attiva da parte delle Regioni e delle Aziende Sanitarie interessate.
- La stessa documentazione ufficiale evidenzia inoltre la necessità di un monitoraggio clinico specialistico di lungo periodo successivo al trattamento, elemento che rende particolarmente rilevante la presenza di centri regionali di prossimità per garantire continuità assistenziale ai pazienti e alle loro famiglie.
- Ad oggi, numerose Regioni italiane hanno già proceduto all'individuazione dei propri centri di riferimento per l'erogazione della terapia. Anche talune Regioni limitrofe all'Emilia-Romagna si sono attivate in tale direzione.
- Al contrario, l'Emilia-Romagna, pur vantando come sopra ricordato una posizione di eccellenza nel panorama ATMP nazionale e una rete strutturata per il trattamento delle emoglobinopatie, non ha ancora provveduto all'individuazione di propri centri di riferimento regionali per la somministrazione della terapia, né risultano avviate procedure formali in tal senso.
- Questa mancata individuazione rischia di determinare una situazione di svantaggio per i pazienti emiliano-romagnoli affetti da TDT e SCD, i quali – in assenza di un centro regionale accreditato – sarebbero costretti a rivolgersi a strutture di altre Regioni, aggravando il fenomeno della mobilità sanitaria passiva e imponendo oneri logistici, economici e psicologici significativi ai pazienti e ai loro familiari, in particolare in considerazione della durata del percorso terapeutico (6-8 mesi) e della necessità di un follow-up clinico a lungo termine.
- Risulta pertanto paradossale che una Regione storicamente considerata tra le più avanzate nell'ambito delle terapie innovative e della presa in carico delle emoglobinopatie non abbia ancora formalmente individuato propri centri autorizzati per l'accesso a una terapia già riconosciuta e rimborsata dal Servizio Sanitario Nazionale.
- La terapia ha un potenziale trasformativo per la vita dei pazienti e, di concerto, un significativo impatto positivo sulla sostenibilità del Servizio Sanitario Regionale nel lungo periodo. Infatti, l'eliminazione o la drastica riduzione della necessità di trasfusioni periodiche comporta una riduzione strutturale del fabbisogno di sangue, delle sedute

Viale Aldo Moro, 50 - 40127 Bologna

email [nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it](mailto:nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it)

WEB [www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia](http://www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia)



trasfusionali, della terapia ferrochelante e delle ospedalizzazioni ricorrenti, oltre alla riduzione delle crisi acute nei pazienti con SCD. Si tratta pertanto di una terapia che, a fronte di un investimento iniziale coperto dal Fondo Farmaci Innovativi nazionale, genera un risparmio sistemico nel tempo per il SSR.

- I dati clinici finora disponibili mostrano risultati estremamente significativi in termini di riduzione della dipendenza trasfusionale e delle crisi vaso-occlusive, aprendo prospettive concrete di miglioramento della qualità della vita dei pazienti e di riduzione del ricorso continuativo alle cure ospedaliere.
- Le associazioni di pazienti affetti da talassemia e anemia falciforme ripongono grandi attese nell'accesso a questa terapia e auspicano che le Regioni si attivino tempestivamente per garantire un accesso equo e di prossimità, evitando disparità territoriali nell'esigibilità di un diritto sancito dalla rimborsabilità SSN.

## INTERPELLA

La Giunta regionale per sapere:

- Se la Giunta regionale, e in particolare l'Assessore competente per la Sanità, sia a conoscenza dell'avvenuta approvazione da parte dell'AIFA della rimborsabilità SSN della terapia di editing genomico e del suo riconoscimento come farmaco innovativo con accesso al Fondo Farmaci Innovativi nazionale, e se abbia avviato procedure interne per la presa in carico istituzionale di questa innovazione terapeutica.
- Entro quali tempi la Giunta regionale, anche tramite la Direzione Generale Cura della Persona, Salute e Welfare e le strutture tecniche competenti, intenda procedere all'individuazione formale dei Centri regionali di eccellenza abilitati all'erogazione della terapia per i pazienti affetti da beta-talassemia trasfusione-dipendente e da anemia falciforme severa residenti in Emilia-Romagna.
- Quali strutture sanitarie regionali siano state o stiano per essere valutate ai fini dell'accreditamento come centri erogatori per il trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche.
- Quali azioni la Regione intenda intraprendere per garantire che i pazienti emiliano-romagnoli eleggibili alla terapia non siano costretti a migrare verso strutture di altre Regioni, con i conseguenti disagi e oneri aggiuntivi, e per assicurare loro un accesso equo e tempestivo a un trattamento pienamente rimborsabile dal SSN a carico del Fondo Farmaci Innovativi nazionale, senza oneri per il bilancio regionale.
- Se, più in generale, la Giunta ritenga di inserire la questione dell'accesso alle terapie di editing genomico e alle terapie avanzate (ATMP) nell'agenda programmatica regionale, valorizzando le strutture di eccellenza già presenti sul territorio e facendo dell'Emilia-Romagna un punto di riferimento per l'innovazione terapeutica in questo ambito.

Viale Aldo Moro, 50 - 40127 Bologna

email [nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it](mailto:nicola.marcello@regione.emilia-romagna.it)

WEB [www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia](http://www.assemblea.emr.it/lassemblea/istituzione/gruppi/fratelli-italia)



- Se la Giunta regionale intenda inoltre promuovere un percorso regionale strutturato dedicato alle terapie avanzate ATMP e alle tecnologie di editing genomico, valorizzando le professionalità e le strutture di eccellenza già presenti sul territorio emiliano-romagnolo.

**Il Consigliere  
Nicola Marcello**