



RAPPORTI ISTISAN 26|14

ISSN: 1123-3117 (cartaceo) • 2384-8936 (online)

Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite. Rapporto 2024

F. Abbonizio, M. Biffoni, R. Arcieri,
Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), M. D'Angiò



EPIDEMIOLOGIA
E SANITÀ PUBBLICA

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

**Registro Nazionale
delle Coagulopatie Congenite.
Rapporto 2024**

Francesca Abbonizio (a), Mauro Biffoni (a),
Romano Arcieri (b), Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE),
Mariella D'Angiò (a)

*(a) Dipartimento di Oncologia e Medicina Molecolare
(b) Centro Nazionale della Governance ed Eccellenza delle Cure*

ISSN: 1123-3117 (cartaceo) • 2384-8936 (online)

**Rapporti ISTISAN
26/14**

Istituto Superiore di Sanità

Registro Nazionale Coagulopatie Congenite. Rapporto 2024.

Francesca Abbonizio, Mauro Biffoni, Romano Arcieri, Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), Mariella D'Angiò

2026, iii, 50 p. Rapporti ISTISAN 26/14

Il Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite raccoglie e analizza i dati relativi ai pazienti affetti da malattie emorragiche congenite (MEC), con particolare attenzione al monitoraggio delle complicanze cliniche e alla valutazione del fabbisogno dei prodotti utilizzati nelle terapie. Dal 2018, l'Istituto Superiore di Sanità acquisisce direttamente dai Centri Emofilia (CE), aderenti su base volontaria al Registro, i dati epidemiologici e quelli relativi alla prescrizione dei trattamenti. Un nuovo sistema informatico, dedicato alla raccolta e alla gestione dei dati sulle MEC, è attualmente in fase avanzata di realizzazione. Nel 2024 la metà dei CE attivi ha partecipato alla rilevazione (25/50). I pazienti registrati sono stati complessivamente 6.704: il 26,7% affetto da emofilia A, il 6,9% da emofilia B, il 26,6% da malattia di von Willebrand e il restante 39,8% da altre carenze dei fattori della coagulazione, tra le quali il difetto di Fattore VII rappresenta il 61,3% dei casi. Nel corso del 2024 sono stati identificati 107 pazienti con inibitore, dei quali l'82,2% presentava una forma grave di emofilia A. I piani terapeutici trasmessi hanno riguardato 1.728 pazienti e la profilassi si è confermata il regime terapeutico maggiormente impiegato nelle forme gravi di emofilia. Per quanto riguarda i trattamenti, 736 pazienti hanno ricevuto fattori della coagulazione a emivita prolungata (EHL); 262 soggetti sono stati trattati con emicizumab, inclusi i soggetti con inibitore. Nel 2024 sono state prescritte circa 225.900.000 Unità Internazionali (UI) di Fattore VIII e circa 30.200.000 UI di Fattore IX, prevalentemente nella formulazione ricombinante EHL.

Parole chiave: Centri Emofilia; Coagulopatie; Emofilia; Fattore VIII; Prodotti Plasmaderivati; Fattori della Coagulazione Ricombinanti, Fattori della coagulazione EHL, Emicizumab

Istituto Superiore di Sanità

National Registry of congenital bleeding disorders. Report 2024.

Francesca Abbonizio, Mauro Biffoni, Romano Arcieri, Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), Mariella D'Angiò

2026, iii, 50 p. Rapporti ISTISAN 26/14 (in Italian)

The National Registry of Congenital Coagulopathies collects and analyzes data on patients affected by congenital bleeding disorders (CBDs), with particular attention to the monitoring of clinical complications and the assessment of therapeutic product requirements. Since 2018, the Italian National Institute of Health (Istituto Superiore di Sanità, ISS) has been directly collecting epidemiological and treatment prescription data from Hemophilia Treatment Centers (HTCs) that voluntarily participate in the Registry. A new information system, dedicated to the collection and management of CBD-related data, is currently at an advanced stage of development. In 2024, half of the active HTCs participated in data collection (25/50). A total of 6,704 patients were registered: 26.7% had hemophilia A, 6.9% had hemophilia B, 26.6% had von Willebrand disease, and the remaining 39.8% had other coagulation factor deficiencies, among which Factor VII deficiency represented 61.3%. During 2024, 107 patients were registered with current inhibitors, of whom 82.2% had severe hemophilia A. Therapeutic plans were submitted for 1,728 patients, and prophylaxis remained the most frequently used treatment regimen in severe hemophilia. Patients receiving extended half-life (EHL) coagulation factors were 736; 262 patients, including those with inhibitors, were treated with emicizumab. In 2024, approximately 225,900,000 International Units (IU) of Factor VIII and 30,200,000 IU of Factor IX were prescribed, predominantly in the form of recombinant EHL products.

Key words: Hemophilia centers; Bleeding disorders; Hemophilia; Factor VIII; Plasma-derived products; Recombinant clotting factors, Coagulation factors EHL, Emicizumab

Per informazioni su questo documento scrivere a: mariella.dangio@iss.it

Si ringraziano Maria Galdo, Giuseppe Limongelli, Barbara Morgillo, Antonio Postiglione e Ugo Trama (Cabina di Regia per il Governo della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite e Centro di Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania) per il contributo nella raccolta e validazione dei dati.

Il rapporto è accessibile online dal sito di questo Istituto: www.iss.it

Citare questo documento come segue:

Abbonizio F, Biffoni M, Arcieri R, Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), D'Angiò M. *Registro Nazionale Coagulopatie Congenite. Rapporto 2024*. Roma: Istituto Superiore di Sanità; 2026. (Rapporti ISTISAN 26/14).

Legale rappresentante dell'Istituto Superiore di Sanità: *Rocco Bellantone*

Registro della Stampa - Tribunale di Roma n. 114 (cartaceo) e n. 115 (online) del 16 maggio 2014

Direttore responsabile della serie: *Antonio Mistretta*

Coordinamento redazionale: *Sandra Salinetti*. Redazione: *Sandra Salinetti, Annalisa D'Angelo*

La responsabilità dei dati scientifici e tecnici è dei singoli autori, che dichiarano di non avere conflitti di interesse.



Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE) e collaboratori

Ambaglio Chiara	<i>Ospedale Papa Giovanni XXIII, Bergamo</i>
Aru Anna Brigida	<i>Ospedale Pediatrico Microcitemico Antonio Cao, Cagliari</i>
Barillari Giovanni	<i>Azienda Ospedaliera S. Maria della Misericordia, Udine</i>
Boccagni Paola	<i>Ospedale Santa Chiara, Trento</i>
Cantori Isabella	<i>Ospedale di Macerata, Macerata</i>
Caruso Matilde	<i>Ospedale San Timoteo, Termoli</i>
Cultrera Dorina	<i>Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico, Catania</i>
D'Arena Giovanni	<i>Ospedale San Luca, Vallo della Lucania (SA)</i>
De Cinque Marianna	<i>Ospedale San Timoteo, Termoli</i>
Di Minno Matteo Nicola Dario	<i>Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II, Napoli</i>
Gandini Giorgio	<i>Ospedale Borgo Roma, Verona</i>
Giuffrida Annachiara	<i>Ospedale Borgo Roma, Verona</i>
Giuffrida Gaetano	<i>Azienda Ospedaliera Universitaria Policlinico, Catania</i>
Gorio Chiara	<i>Spedali Civili di Brescia, Brescia</i>
Graifembergh Gloria	<i>Spedali Civili di Brescia, Brescia</i>
Grippa Veronica	<i>Azienda Ospedaliera San Giovanni di Dio, Salerno</i>
Guida Anna	<i>Azienda Ospedaliera San Giovanni di Dio, Salerno</i>
Inglese Elena	<i>Ospedale di Macerata, Macerata</i>
Leotta Marzia	<i>Azienda Ospedaliera Universitaria Dulbecco, Catanzaro</i>
Luciani Matteo	<i>Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Roma</i>
Mancuso Maria Elisa	<i>Istituto Clinico Humanitas Rozzano (MI)</i>
Mura Rosamaria	<i>Ospedale Pediatrico Microcitemico Antonio Cao, Cagliari</i>
Notarangelo Lucia Dora	<i>Spedali Civili di Brescia, Brescia</i>
Paoletti Oriana	<i>Azienda Ospedaliera di Cremona, Cremona</i>
Pasca Samantha	<i>Ospedale Santa Chiara, Trento</i>
Pollio Berardino	<i>Ospedale Infantile Regina Margherita, Torino</i>
Poz Alessandra	<i>Azienda Ospedaliera S. Maria della Misericordia, Udine</i>
Preti Paola Stefania	<i>Policlinico San Matteo, Pavia</i>
Ranalli Paola	<i>Ospedale Civile dello Spirito Santo, Pescara</i>
Ricca Irene	<i>Ospedale Infantile Regina Margherita, Torino</i>
Santoro Rita Carlotta	<i>Azienda Ospedaliera Universitaria Dulbecco, Catanzaro</i>
Schiavulli Michele	<i>Ospedale Pediatrico Santobono Pausilipon, Napoli</i>
Sottilotta Gianluca	<i>Grande Ospedale Metropolitano, Reggio Calabria</i>
Testa Sophie	<i>Azienda Ospedaliera di Cremona, Cremona</i>
Villa Maria Rosaria	<i>Ospedale del Mare, Napoli</i>

INDICE

Introduzione.....	1
Raccolta dei dati	3
Risultati.....	4
Centri Emofilia e pazienti	4
Trattamento terapeutico domiciliare	4
Pazienti e opzioni terapeutiche.....	4
Quantità di farmaci prescritti.....	5
Conclusioni.....	6
Bibliografia.....	8
Appendice A	
Dati nazionali del Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite	11
Appendice B	
Dati riepilogativi del Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite, per Regione	17
Appendice C	
Elenco dei Centri di cura per l'Emofilia e delle organizzazioni presenti sul territorio nazionale.....	37

INTRODUZIONE

Il monitoraggio epidemiologico e la farmacovigilanza nelle malattie rare, da tempo raccomandati da numerosi organismi sanitari europei (1, 2), costituiscono elementi essenziali nella gestione clinico-assistenziale di queste patologie. In particolare, nell'ambito dei disordini della coagulazione, la *World Federation of Haemophilia* da anni ha promosso l'istituzione di registri nazionali dedicati (3), già presenti in diversi Paesi (4-7).

In Italia è operativo il Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite (RNCC) (8-9), istituito nel 2005 grazie alla collaborazione tra l'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e l'Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), che coordina i Centri Emofilia (CE) presenti sul territorio nazionale e favorisce l'adozione di approcci terapeutici omogenei, oltre a promuovere attività di ricerca sulle malattie emorragiche congenite. Il DPCM 3 marzo 2017, relativo all'identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, tumori e altre patologie, ha formalmente riconosciuto l'RNCC presso l'ISS (10). A partire dal 2018, in assenza dei decreti attuativi necessari a regolamentare il flusso informativo previsto nel decreto, la raccolta dei dati viene effettuata direttamente dall'ISS tramite i responsabili dei Centri Emofilia, che contribuiscono su base volontaria. Il registro consente di ottenere informazioni epidemiologiche sulle malattie emorragiche congenite in Italia, includendo complicanze terapeutiche e fabbisogni farmacologici, in relazione alla gravità clinica e alle opzioni di trattamento disponibili.

Tra le principali malattie emorragiche congenite si annoverano l'emofilia A (deficit del Fattore VIII, FVIII), l'emofilia B (deficit del Fattore IX, FIX) e la malattia di von Willebrand (VWD), la più comune, determinata da una riduzione quantitativa o da un'alterazione funzionale del fattore di von Willebrand (VWF). Le emofilie, a trasmissione recessiva legata al cromosoma X, interessano quasi esclusivamente il sesso maschile (circa 1:5.000 per l'emofilia A e 1:30.000 per l'emofilia B) (11-12), sebbene siano descritte anche manifestazioni cliniche nelle donne portatrici di emofilia A (13). La VWD, invece, presenta una trasmissione autosomica dominante nelle forme più lievi (tipi 1 e 2) e autosomica recessiva nelle forme 2N e tipo 3, colpendo quindi entrambi i sessi (14). Le carenze degli altri fattori della coagulazione (fibrinogeno, FII, FV, FVII, FX, FXI e FXIII) sono caratterizzate da una prevalenza inferiore (15).

Dal punto di vista clinico, le emofilie si manifestano principalmente con emorragie articolari (emartri), ma possono interessare qualsiasi distretto corporeo, inclusi i muscoli. L'artropatia, che coinvolge soprattutto caviglie, ginocchia e gomiti, rappresenta la principale complicanza cronica e incide in modo rilevante sulla qualità di vita dei pazienti (16-17). La malattia di von Willebrand si presenta più frequentemente con sanguinamenti cutanei e mucosali, mentre nelle forme severe possono comparire anche emartri ed emorragie gastrointestinali; nelle donne sono comuni menorragie e sanguinamenti *post-partum*. Le manifestazioni cliniche delle carenze degli altri fattori della coagulazione risultano invece eterogenee e spesso si evidenziano in occasione di procedure invasive o interventi chirurgici.

Il trattamento delle malattie emorragiche congenite si fonda principalmente sulla terapia sostitutiva con prodotti derivati dal plasma umano o ottenuti tramite tecnologie ricombinanti. Per l'emofilia A e B, così come per le carenze di FVII, fibrinogeno e FXIII, sono disponibili concentrati specifici del fattore mancante, di origine plasmatica o ricombinante (FVIII, FIX), talvolta modificati per prolungarne l'emivita. Dalla seconda metà del 2018 è inoltre disponibile per l'emofilia A una terapia non sostitutiva basata su un anticorpo monoclonale bispecifico (emicizumab), che simula la funzione del FVIII favorendo il collegamento tra FIX attivato e FX (18-20).

Per la malattia di von Willebrand si utilizzano concentrati contenenti il complesso FVIII/VWF oppure preparazioni di VWF purificato. Nei difetti più rari si ricorre a concentrati di complesso protrombinico o alla trasfusione di plasma (16, 17).

Una delle principali criticità della terapia sostitutiva è lo sviluppo di anticorpi inibitori che, diretti contro il fattore infuso, ne compromettono l'efficacia terapeutica, con conseguenze negative sul controllo delle emorragie, sulla salute articolare, sulla qualità della vita e sui costi assistenziali (21, 22).

Nel presente rapporto vengono analizzati i dati relativi all'anno 2024, confrontati parzialmente con quelli della precedente elaborazione (9), con un approfondimento specifico sulle principali patologie: emofilia A, emofilia B e malattia di von Willebrand.

RACCOLTA DEI DATI

Le informazioni riportate in questo Rapporto sono state ottenute grazie alla collaborazione dei responsabili dei Centri Emofilia italiani che, su base volontaria, hanno partecipato al Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite per l'anno 2024. I dati relativi alla Regione Emilia-Romagna sono stati estratti dagli *open data* disponibili sul portale del Registro delle Malattie Emorragiche Congenite del Servizio Sanitario Regionale (<https://registroemofiliarer.cup2000.it/>). Per la Regione Campania, le informazioni sono state raccolte tramite la Cabina di Regia per il Governo della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite, in raccordo con il Centro di Coordinamento per le Malattie Rare regionale. Tutti i dati sono stati acquisiti in forma anonima e trattati nel rispetto del Regolamento Generale Europeo sulla protezione dei dati personali (23) e della normativa nazionale di recepimento (24).

Le informazioni raccolte si articolano in due sezioni principali: una “Sezione anagrafica” e una “Sezione terapeutica” (Tabella A1). La “Sezione anagrafica” include dati relativi al CE di riferimento, all'età del paziente e alla diagnosi. I pazienti sono stati distinti in adulti e pediatrici (età <18 anni). I soggetti affetti da emofilia sono stati classificati in base alla gravità della malattia, secondo i livelli residui di fattore della coagulazione circolante: forme gravi (<1%), moderate (1–5%) e lievi (6–40%). I pazienti con malattia di von Willebrand sono stati suddivisi nei tipi 1, 2 e 3, mentre quelli con difetti degli altri fattori della coagulazione sono stati raggruppati in base al fattore interessato.

La “Sezione terapeutica” comprende le informazioni relative alle prescrizioni di FVIII, FIX, agenti bypassanti ed emicizumab, basate sui piani terapeutici redatti nel corso del 2024 ai pazienti con disordini della coagulazione. Il Centro della Provincia Autonoma di Trento ha invece fornito dati riferiti ai consumi effettivi nell'anno.

Le variabili raccolte includono l'eventuale presenza di inibitori nel periodo di osservazione, la durata della copertura terapeutica, il nome commerciale del farmaco, il regime di trattamento, la posologia e il quantitativo totale di Unità Internazionali (UI) o milligrammi (mg) prescritti nell'anno per la terapia domiciliare. La stima del quantitativo di farmaci prescritti è stata effettuata per singolo paziente su base annuale, tenendo conto del regime terapeutico (profilassi, trattamento a domanda, immunotolleranza).

Inoltre, la sezione terapeutica include dati relativi alla prescrizione di:

- fattori della coagulazione, distinti in plasmaderivati, ricombinanti standard e ricombinanti a emivita prolungata (*Extended Half-Life*, EHL);
- agenti bypassanti, sia plasmaderivati sia ricombinanti;
- anticorpo monoclonale emicizumab.

Tra i prodotti EHL prescritti nel 2024 e segnalati all'ISS rientrano:

- per il deficit di FVIII (25): Adynovi® (rurioctocog alfa pegol), Elocta® (efmoroctocog alfa), Esperoct® (turoctocog alfa pegol), Jivi® (damoctocog alfa pegol);
- per il deficit di FIX (26): Alprolix® (eftrenonacog alfa), Idelvion® (albutrepenonacog alfa), Refixia® (nonacog beta pegol).

L'Appendice A contiene tabelle nazionali relative ai pazienti con coagulopatie, stratificati per patologia, fascia d'età, regime terapeutico e farmaci prescritti. L'Appendice B presenta una sintesi dei dati regionali, sia epidemiologici sia di prescrizione farmaceutica. L'Appendice C riporta l'elenco identificativo dei CE presenti sul territorio nazionale, suddivisi per Regione, insieme ai recapiti delle associazioni locali aderenti a FedEmo e della Fondazione Paracelso.

RISULTATI

Centri Emofilia e pazienti

La metà dei CE ha partecipato alla rilevazione 2024 (25/50), tutti rispondenti sia alla “Sezione anagrafica” che alla “Sezione terapeutica” (Tabella A1).

Il numero complessivo dei pazienti registrati nell’RNCC è riportato nella Tabella A2. In totale sono stati segnalati 6.704 pazienti (-25,9% rispetto al 2023). Di questi, il 26,7% è affetto da emofilia A (1.791 pazienti rispetto a 2.654 del 2023, -32,5%), il 6,9% da emofilia B (462 pazienti rispetto a 566 del 2023, -18,4%), il 26,6% da soggetti con VWD (1.783 pazienti rispetto a 2.709 del 2023, -34,2%), il restante 39,8% presenta carenze di altri fattori della coagulazione. I soggetti in età pediatrica (<18 anni) rappresentano il 16,6% del totale.

Tra i pazienti con emofilia A (n. 1.791), il 45,2% presenta una forma grave (n. 809), il 14,7% una forma moderata (n. 264) e il 40,1% una forma lieve (n. 718). Per quanto riguarda i pazienti con emofilia B (n. 462), il 30,5% dei soggetti è classificato come grave (n. 141), il 22,7% come moderato (n. 105) e il 46,8% come lieve (n. 216). I pazienti con età <18 anni corrispondono al 20,9% nel gruppo di pazienti con emofilia A e al 20,6% in quelli con emofilia B.

I pazienti affetti da malattia di von Willebrand sono complessivamente 1.783: la maggioranza presenta la forma di tipo 1 (86,5%), mentre il 2,2% è rappresentato dal tipo 3 (n. 39). I soggetti in età pediatrica costituiscono il 10,1% del totale dei pazienti con VWD (Tabella A2).

I pazienti con difetti di altri fattori della coagulazione sono 2.668 e sono descritti nel dettaglio nella Tabella A3. Tra questi, il 61,3% presenta un difetto del FVII, il 13,3% una carenza del FXI e il 12,3 una carenza del FV. La popolazione pediatrica rappresenta il 17,3% del totale dei pazienti con difetto di altri fattori della coagulazione.

Trattamento terapeutico domiciliare

Pazienti e opzioni terapeutiche

I piani terapeutici trasmessi al Registro e relativi all’anno 2024 riguardano complessivamente 1.728 pazienti, suddivisi per patologia e regime terapeutico nella Tabella A4. Rispetto al 2023, il numero di pazienti con piano terapeutico, segnalati all’RNCC, risulta diminuito del 27,6%.

Tra i pazienti affetti da emofilia A grave, l’83,4% è trattato in regime di profilassi; di questi, il 47,3% utilizza fattori della coagulazione EHL. Il trattamento a domanda interessa il 5,5% dei pazienti, mentre l’11,1% è stato notificato con la presenza dell’inibitore nel corso del 2024. Anche nell’emofilia B grave la profilassi rappresenta il regime terapeutico più utilizzato, adottato dal 90,3% dei pazienti; in particolare, il 90,2% è in trattamento profilattico con fattori EHL. La terapia a domanda riguarda il 3,2% dei soggetti, mentre il 6,5% è stato notificato con la presenza di inibitore durante l’anno di osservazione (Tabella A4).

Nelle forme moderate di emofilia, la profilassi viene utilizzata nel 56,0% dei casi di emofilia A e nel 52,6% dei casi di emofilia B. Il trattamento a domanda costituisce l’opzione terapeutica più frequentemente adottata nelle forme lievi di emofilia e nei pazienti con VWD di tipo 1 e 2. I pazienti con VWD di tipo 3 sono invece trattati prevalentemente in regime di profilassi (63,0%) (Tabella A4).

Complessivamente, 736 pazienti risultano in trattamento con fattori della coagulazione EHL, di cui 550 con emofilia A e 186 con emofilia B. I pazienti trattati con EHL sono prevalentemente

affetti da forme gravi di emofilia e presentano un'età mediana pari a 33 anni nell'emofilia A e 32 anni nell'emofilia B (Tabella A5). L'impiego di fattori EHL evidenzia un costante incremento negli anni: per l'emofilia A, 45,6% nel 2024 rispetto a 40,5% nel 2023 e a 35,6% del 2022; nell'emofilia B la percentuale sale a 71,8% nel 2024, rispetto a 68,4% nel 2023 e a 62,8% nel 2022. Questi dati confermano il progressivo aumento nell'adozione di tali prodotti già evidenziato negli anni precedenti.

I pazienti in trattamento con emicizumab, inclusi quelli con inibitore, sono complessivamente 262 e risultano tutti trattati in profilassi. La quasi totalità (95,0%) è affetta da emofilia A grave e più della metà ha un'età inferiore ai 18 anni (Tabella A6).

La presenza di inibitore nel corso del 2024 è stata segnalata in 107 pazienti, distribuiti per patologia e classe di età nella Tabella A7. L'82,2% dei casi riguarda pazienti con emofilia A grave e il 38,3% interessa soggetti di età inferiore a 18 anni.

I regimi terapeutici impiegati nei pazienti con inibitore sono riportati nella Tabella A8. L'induzione all'immunotolleranza (ITI) è stata adottata in 6 pazienti, tutti con età <18 anni. Di questi, 2 soggetti sono passati dal trattamento ITI alla terapia con l'anticorpo monoclonale emicizumab nel corso del 2024. Complessivamente, 35 pazienti sono stati trattati con agenti bypassanti: 1 con complesso protrombinico concentrato attivato (Feiba®) e 34 con fattore VII attivato ricombinante (NovoSeven®). Il 22,9% dei soggetti trattati con farmaci bypassanti ha ricevuto una terapia combinata con emicizumab.

L'emicizumab è stato utilizzato da 66 pazienti con inibitore: 56 hanno ricevuto esclusivamente questo trattamento, mentre 10 sono stati trattati con emicizumab in associazione ad altre opzioni terapeutiche, come descritto in precedenza (Tabella A8).

La distribuzione dei trattamenti nei pazienti con inibitore, distinta per patologia, è riportata nella Tabella A9. La maggior parte dei trattamenti (83,8%) è stata destinata a pazienti affetti da emofilia A grave.

Quantità di farmaci prescritti

Nel 2024, il quantitativo complessivo di FVIII prescritto e registrato nell'RNCC è stato pari a circa 225.900.000 UI (Tabella A10). La quasi totalità delle unità prescritte è stata destinata ai pazienti affetti da emofilia A (211.500.000 UI), di cui il 79,1% a soggetto con emofilia grave; il restante 6,4% è stato utilizzato nei pazienti con VWD.

Analizzando la distribuzione per tipologia di prodotto, il FVIII ricombinante EHL rappresenta il 62,3% del totale del FVIII prescritto, il FVIII ricombinante standard rappresenta il 27,7% e il FVIII plasmaderivato il 10,0% (Tabella A10). Nei pazienti con emofilia A moderata la prescrizione di fattori ricombinanti EHL ha riguardato l'85,2% del FVIII prescritto in questo gruppo.

La Tabella A11 riporta il dettaglio delle prescrizioni dei fattori della coagulazione EHL nel 2024 e il confronto con l'anno precedente. Dai piani terapeutici raccolti emerge una lieve riduzione dei pazienti che utilizzano fattori della coagulazione EHL: per il FVIII 550 pazienti nel 2024 vs. 683 nel 2023; ugualmente è diminuito il quantitativo complessivo prescritto: nel 2024 140.800.000 UI di FVIII EHL vs. 176.900.000 UI nel 2023.

Per quanto riguarda il FIX, nel 2024 sono state prescritte circa 30.200.000 UI, delle quali il 59,9% destinato a pazienti con emofilia B grave (Tabella A12). Il FIX ricombinante standard ha rappresentato il 21,6% del totale delle prescrizioni, mentre il FIX ricombinante EHL ha rappresentato il 78,1% del totale. Nello specifico, il FIX EHL è stato prescritto a 189 pazienti nel 2024 vs. 225 nel 2023. Ugualmente è diminuito il quantitativo complessivo prescritto: nel 2024 23.600.000 UI di FIX EHL vs. 28.500.000 nel 2023 (Tabella A11).

Nel corso del 2023, l'emicizumab è stato prescritto a 262 pazienti, con un quantitativo complessivo di 994.000 mg.

CONCLUSIONI

L'RNCC relativo all'anno 2024 è stato alimentato direttamente dai singoli Centri Emofilia (CE) presenti sul territorio nazionale. Fanno eccezione i dati della Regione Campania, raccolti tramite la Cabina di Regia per il Governo della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite, in raccordo con il Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare, e quelli della Regione Emilia-Romagna, estratti dagli open data pubblicati sul sito del Registro Malattie Emorragiche del Servizio Sanitario Regionale.

La metà dei Centri Emofilia presenti sul territorio nazionale ha partecipato alla rilevazione del 2024, rispetto al 71,4% del 2023. Questa diminuzione nella percentuale di risposta, unita alla mancata partecipazione di alcuni Centri Emofilia con un ampio bacino di utenza, che invece avevano contribuito alle rilevazioni precedenti, ha determinato i decrementi generali rilevati in tutte le variabili analizzate, sia nella "Sezione Anagrafica" che nella "Sezione Terapeutica". Comunque, tutti i centri rispondenti hanno compilato entrambi le sezioni, indicando una maggiore accuratezza nella trasmissione delle informazioni richieste (Tabella A1).

Nel 2024 il numero complessivo di pazienti registrati nell'RNCC è stato di 6.704, con un decremento del 25,9% rispetto al 2023: 1.791 con emofilia A, 462 con emofilia B, 1.783 con malattia di von Willebrand e 2.668 con alterazione di altri fattori della coagulazione.

Le informazioni raccolte nella "Sezione Terapeutica" riguardano 1.728 pazienti per i quali è stato trasmesso il piano terapeutico vs. 2.387 pazienti nel 2023. Nonostante questa diminuzione in valore assoluto, la copertura dei pazienti con piano terapeutico, intesa come rapporto tra pazienti segnalati nella "Sezione Anagrafica" e pazienti con piano terapeutico prescritto, è risultata pari al 97,7% nell'emofilia A grave e all'87,9% nell'emofilia B grave, entrambe aumentate rispetto alla precedente rilevazione. Analogamente, si osserva un incremento della copertura anche nelle forme moderate di emofilia, raggiungendo il 66,3% nell'emofilia A moderata e il 74,3% nell'emofilia B moderata. Questi dati evidenziano un miglioramento della completezza delle informazioni terapeutiche trasmesse al Registro.

Nei pazienti senza inibitore, la profilassi rappresenta il regime terapeutico più frequentemente adottato, interessando l'83,4% dei pazienti con emofilia A grave e il 90,3% di quelli con emofilia B grave, compresi i pazienti trattati con fattori della coagulazione a emivita prolungata.

Per il trattamento del deficit di FVIII, i farmaci EHL prescritti in Italia nel 2024 sono stati Adynovi® (rurioctocog alfa pegol), Elocta® (efmorococog alfa), Esperoct® (turoctocog alfa pegol) e Jivi® (damococog alfa pegol). Per il deficit di FIX sono stati utilizzati Alprolix® (eftrenonacog alfa), Idelvion® (albutrepenonacog alfa) e Refixia® (nonacog beta pegol).

I pazienti in trattamento con fattori della coagulazione a emivita prolungata sono stati complessivamente 736, con un decremento del 18,9% rispetto alla segnalazione del 2023. Nonostante questa diminuzione, è possibile osservare che la quota di pazienti trattati con questi prodotti continua a crescere nel tempo: nell'emofilia A è passata dal 35,6% nel 2022 al 40,5% nel 2023 al 45,6% nel 2024; nell'emofilia B dal 62,8% nel 2022 al 68,4% nel 2023, raggiungendo il 71,8% nel 2024. Tali risultati confermano il progressivo consolidamento dell'impiego dei fattori della coagulazione EHL nella pratica clinica. Il maggiore utilizzo di tali prodotti nel trattamento dell'emofilia B rispetto all'emofilia A riflette il più significativo beneficio ottenibile in termini di riduzione della frequenza delle somministrazioni.

Anche il ricorso a emicizumab ha mostrato una crescita costante negli ultimi anni. Nel 2024 i pazienti trattati sono stati 262, con una prescrizione complessiva pari a circa 1.000.000 mg. L'incremento osservato negli anni è verosimilmente correlato ai vantaggi offerti dalla somministrazione sottocutanea e alla minore frequenza di somministrazioni rispetto ad altre

opzioni terapeutiche disponibili. La quantità media prescritta per paziente nel corso dell'anno è stata pari a circa 3.800 mg.

Lo sviluppo di anticorpi inibitori diretti contro il FVIII o il FIX continua a rappresentare una delle principali complicanze della terapia dell'emofilia, poiché rende più complessa la gestione clinica del paziente e può comprometterne significativamente la qualità di vita. In presenza di inibitore, le opzioni terapeutiche comprendono, sulla base della valutazione clinica individuale, l'induzione all'immunotolleranza, l'impiego di farmaci bypassanti oppure il trattamento con l'anticorpo monoclonale emicizumab.

Nel corso del 2024 sono stati segnalati 107 pazienti con inibitore, di cui 88 con emofilia A grave, 5 con emofilia A moderata e 3 con emofilia B grave. Il rapporto di soggetti con inibitore rispetto al totale dei pazienti per i quali è stato trasmesso il piano terapeutico è rimasta sostanzialmente stabile (6,2% nel 2024 rispetto a 5,8% nel 2023). I trattamenti basati su ITI ed emicizumab risultano prevalentemente utilizzati nei pazienti di età inferiore a 18 anni.

La prescrizione complessiva di FVIII nel 2024 è stata pari a circa 225.900.000 UI, mentre quella di FIX ha raggiunto circa 28.500.000 UI. In entrambi i casi, la quota prevalente delle prescrizioni ha riguardato fattori ricombinanti a emivita prolungata. Per il FVIII EHL, la quantità media prescritta è stata di circa 256.000 UI per paziente, con valori compresi tra 236.000 UI per Elocta® e 281.000 UI per Adynovi®. Per il FIX EHL, la media è stata pari a circa 125.000 UI per paziente, con variazioni comprese tra 109.000 UI per Alprolix® e 144.000 UI per Refixia®.

La gestione delle malattie emorragiche congenite richiede un approccio multidisciplinare e l'impiego di trattamenti complessi e altamente specializzati. In questo contesto, un registro di patologia adeguatamente alimentato rappresenta uno strumento fondamentale per supportare la programmazione sanitaria, l'organizzazione dell'assistenza clinica e la definizione del fabbisogno terapeutico. Tuttavia, l'assenza di un flusso informativo strutturato come previsto dal DPCM 3 marzo 2017, che disciplini il trasferimento delle informazioni dai Centri Emofilia, alle Regioni e all'Istituto Superiore di Sanità, continua a rappresentare un elemento critico, limitando sia la quantità che la qualità dei dati trasmessi all'RNCC.

Al fine di superare tali criticità, l'ISS sta completando l'implementazione di un nuovo sistema informatico gestionale (Sistema Informatico Gestionale per le Malattie Emorragiche Congenite, SIGMEC) dedicato alla raccolta dei dati epidemiologici, clinici e terapeutici dei pazienti affetti da malattie emorragiche congenite. Il nuovo sistema, attualmente in fase di collaudo presso l'ISS, sarà reso disponibile ai Centri Emofilia nei prossimi mesi e consentirà di migliorare l'adesione dei centri al Registro, la completezza, la qualità e l'omogeneità delle informazioni raccolte.

BIBLIOGRAFIA

1. Commission of the European Communities. *Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European economic and social committee and the committee of the regions on rare diseases: Europe challenges. (COM (2008) 679 final)*. Brussels: Commission of the European Communities; 2008. Disponibile all'indirizzo: http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf; ultima consultazione 08/05/2026.
2. Europe. Council recommendation of 8 June 2009 on the action in the field of rare diseases. Official *Journal of the European Union* C 151/7, 3/7/2009. Disponibile all'indirizzo: <http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>; ultima consultazione 08/05/2026.
3. Evatt BL. *World Federation of Hemophilia Guide to Developing a National Patient Registry*. World Federation of Hemophilia; 2005. Disponibile all'indirizzo: <http://www1.wfh.org/publication/files/pdf-1288.pdf>; ultima consultazione 08/05/2026.
4. Hay CR. The UK Haemophilia Database: a tool for research, audit and healthcare planning. *Haemophilia* 2004; 10(S3):21.
5. Walker I. The Canadian Hemophilia Registry. *Haemophilia* 2004; 10:21-2.
6. Chambost H, Suzan F. Épidémiologie des maladies hémorragiques constitutionnelles: apport de la cohorte nationale, *Archives de Pédiatrie* 2010;17(6):618-619.
7. Acharya SS, Coughlin A, DiMichele DM. The North American Rare Bleeding Disorder Study Group. Rare Bleeding Disorder Registry: deficiencies of factors II, V, VII, X, XIII, fibrinogen and dysfibrinogenemias. *J Thromb Haemost* 2004;2:248-56.
8. Abbonizio F, Giampaolo A, Palmieri S, Calizzani G, Hassan HJ, Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE). *Registro nazionale delle Coagulopatie Congenite. Rapporto 2006-2007*. Roma: Istituto Superiore di Sanità; 2008. (Rapporti ISTISAN 08/46).
9. Abbonizio F, Arcieri R, Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE) e Giampaolo A. *Registro Nazionale delle Coagulopatie Congenite. Rapporto 2023*. Roma: Istituto Superiore di Sanità; 2025. (Rapporti ISTISAN 25/2).
10. Italia. Decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 03 marzo 2017. Identificazione dei sistemi di sorveglianza e dei registri di mortalità, di tumori e di altre patologie. *Gazzetta Ufficiale* n. 109 del 12 maggio 2017.
11. Stonebraker JS, Bolton-Maggs PH, Michael Soucie J *et al*. A study of variations in the reported haemophilia A prevalence around the world. *Haemophilia* 2010;16:20-32.
12. Stonebraker JS, Bolton-Maggs PH, Michael Soucie *et al*. A study of variations in the reported haemophilia B prevalence around the world. *Haemophilia* 2012;18:91-94.
13. Miller CH, Bean CJ. Genetic causes of haemophilia in women and girls. *Haemophilia* 2021;27:164-179.
14. Leebeek FW, Eikenboom JC. Von Willebrand's Disease. *N Engl J Med* 2016;375(21):2067-2080.
15. Peyvandi F, Bolton-Maggs PH, Batorova A *et al*. Rare bleeding disorders. *Haemophilia* 2012;18(4):148-53.
16. Rocino A, Coppola A, Franchini M, Castaman G, Santoro C, Zanon E, Santagostino E, Morfini M on behalf of the Italian Association of Haemophilia Centres (AICE) Working Party. Principles of treatment and update of recommendations for the management of haemophilia and congenital bleeding disorders in Italy. *Blood Transfusion* 2014;12:575-98.

17. Gruppo di Lavoro AICE. *Principi di trattamento e aggiornamento delle raccomandazioni per la terapia sostitutiva dell'emofilia A e B*. Associazione Italiana dei Centri Emofilia; 2018. Disponibile all'indirizzo: https://aiceonline.org/wp-content/uploads/2019/02/Raccomandazioni-per-la-Terapia-Sostitutiva-dell'emofilia-A-e-B-AICE-2017_approvato.pdf; ultima consultazione 20/01/2025.
18. Kitazawa T, Shima M. Emicizumab, a humanized bispecific antibody to coagulation factors IXa and X with a factor VIIIa-cofactor activity. *International Journal of Hematology* 2020;111(1):20-30.
19. Oldenburg J, Mahlangu JN, Kim B *et al.* Emicizumab prophylaxis in hemophilia a with inhibitors. *N Engl J Med.* 2017;377(9):809-818.
20. Mahlangu J, Oldenburg J, Paz-Priel I *et al.* Emicizumab prophylaxis in patients who have hemophilia A without inhibitors. *N Engl J Med.* 2018;379(9):811-822.
21. Iorio A, Fischer K and Makris M. Large scale studies assessing anti-factor VIII antibody development in previously untreated haemophilia A: what has been learned, what to believe and how to learn more. *British Journal of Haematology* 2017;178:20-31.
22. Peyvandi F, Ettingshausen CE, Goudemand J *et al.* New findings on inhibitor development: from registries to clinical studies. *Haemophilia* 2017;23(S1):4-13.
23. Europe. Regulation (EU) 2016/679 of the European Parliament and of the Council of 27 April 2016 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and on the free movement of such data, and repealing Directive 95/46/EC (General Data Protection Regulation). *Official Journal of the European Union* L 119, 4.5.2016.
24. Italia. Decreto Legislativo 10 agosto 2018, n. 101. Disposizioni per l'adeguamento della normativa nazionale alle disposizioni del regolamento (UE) 2016/679 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 27 aprile 2016, relativo alla protezione delle persone fisiche con riguardo al trattamento dei dati personali, nonché alla libera circolazione di tali dati e che abroga la direttiva 95/46/CE (regolamento generale sulla protezione dei dati). *Gazzetta Ufficiale* n. 205 del 4 settembre 2018.
25. Mahlangu J, Young G, Hermans G, *et al.* Defining extended half-life r FVIII-A critical review of the evidence. *Haemophilia* 2018;24(3):348-358.
26. Mahlangu JN. Updates in clinical trial data of extended half-life recombinant factor IX products for the treatment of haemophilia B. *Ther Adv Hematol.* 2018;9:335-46.

APPENDICE A
Dati nazionali del Registro Nazionale
delle Coagulopatie Congenite

Tabella A1. Centri Emofilia rispondenti (aggiornamento 2024)

Regioni	Centri presenti	Centri rispondenti alla sezione anagrafica	Centri rispondenti alla sezione terapeutica
Abruzzo	2	1	1
Basilicata	-	-	-
Calabria	3	2	2
Campania*	5	5	5
Emilia Romagna°	3	3	3
Friuli-Venezia Giulia	1	1	1
Lazio	3	1	1
Liguria	1	-	-
Lombardia	7	5	5
Marche	1	1	1
Molise	1	1	1
Piemonte	4	1	1
Provincia Autonoma di Bolzano	-	-	-
Provincia Autonoma di Trento	1	1	1
Puglia	5	-	-
Sardegna	2	1	1
Sicilia	3	1	1
Toscana	2	-	-
Umbria	1	-	-
Valle d'Aosta	-	-	-
Veneto	5	1	1
Totale Centri	50	25	25

* Dati raccolti tramite la Cabina di Regia per il Governo della rete delle MEC, in raccordo con il Centro di Coordinamento Regionale Malattie Rare della Regione Campania.

° Dati raccolti tramite *open data* del Registro Malattie Emorragiche Congenite della Regione Emilia Romagna.

Tabella A2. Numero dei pazienti inseriti nel Registro Nazionale Coagulopatie Congenite (aggiornamento 2024)

Patologia	Adulti	<18 anni	Totale
Emofilia A grave	564	245	809
Emofilia A moderata	223	41	264
Emofilia A lieve	629	89	718
Emofilia A Totale	1.416	375	1.791
Emofilia B grave	96	45	141
Emofilia B moderata	89	16	105
Emofilia B lieve	182	34	216
Emofilia B Totale	367	95	462
Malattia di von Willebrand tipo 3	32	7	39
tipo 2	173	29	202
tipo 1	1.398	144	1.542
Malattia di von Willebrand Totale	1.603	180	1.783
Difetti di altri fattori della coagulazione	2.207	461	2.668
Totale	5.593	1.111	6.704

Tabella A3. Numero dei pazienti con difetti di altri fattori della coagulazione inseriti nel Registro Nazionale Coagulopatie Congenite (aggiornamento 2024)

Patologia	Adulti	<18 anni	Totale
Fibrinogeno	176	34	210
Fattore II	2	-	2
Fattore V	294	34	328
Fattore V + VIII	11	2	13
Fattore VII	1.320	315	1.635
Fattore VII + X	4	1	5
Fattore X	66	18	84
Fattore XI	305	49	354
Fattore XIII	29	8	37
Totale	2.207	461	2.668

Tabella A4. Pazienti (pz.) con piano terapeutico nell'anno 2024

Patologia	Pz. con piano terapeutico Totale	Pz. in profilassi	% pz in profilassi con EHL	Pz. a domanda	Pz. con inibitore corrente
Emofilia A grave	790	659	47,3	43	88
Emofilia A moderata	175	98	74,5	72	5
Emofilia A lieve	242	56	62,5	183	3
Emofilia B grave	124	112	90,2	4	8
Emofilia B moderata	78	41	87,8	36	1
Emofilia B lieve	57	11	18,2	46	-
Malattia di von Willebrand					
tipo 3	27	17	-	8	2
tipo 2	46	18	-	28	-
tipo 1	189	41	-	148	-
Totale	1.728	1.053	49,0	568	107

Tabella A5. Pazienti (pz.) trattati con fattori della coagulazione ricombinanti a emivita prolungata (EHL) nell'anno 2024

Patologia	Pz. con piano terapeutico Totale	Pz. in trattamento con ricombinanti EHL	Età mediana (anni)	% anno 2022	% anno 2023	% anno 2024
Emofilia A grave	790	337	32	40,3	43,2	42,7
Emofilia A moderata	175	107	35	28,4	46,3	61,1
Emofilia A lieve	242	106	36	23,9	29,6	43,8
Emofilia A TOTALE	1.207	550	33	35,6	40,5	45,6
Emofilia B grave	124	108	27	84,0	84,4	87,1
Emofilia B moderata	78	53	33	63,0	67,5	67,9
Emofilia B lieve	57	25	52	28,3	34,2	43,9
Emofilia B TOTALE	259	186	32	62,8	68,4	71,8

Tabella A6. Pazienti (pz.) trattati con emicizumab nell'anno 2024, distinti per patologia e fascia di età

Patologia	Totale pz.	<18	18-40	41-60	>60
Emofilia A grave	249	136	50	43	20
Emofilia A moderata	12	5	4	2	1
Malattia di von Willebrand tipo 3	1	-	-	1	-
Totale	262	141	54	46	21

Tabella A7. Pazienti con inibitore durante l'anno 2024, distinti per patologia e fascia di età

Fascia di età	Emofilia A grave	Emofilia A moderata	Emofilia A lieve	Emofilia B grave	Emofilia B moderata	Malattia di von Willebrand tipo 3	Totale
<18	35	1	-	4	1	-	41
18-40	25	2	1	2	-	-	30
41-60	24	2	2	1	-	2	31
>60	4	-	-	1	-	-	5
Totale	88	5	3	8	1	2	107

Tabella A8. Regimi terapeutici dei pazienti (pz.) con inibitore durante l'anno 2024, distinti per fascia di età

Regime	Totale pz.	<18	18-40	41-60	>60
Immunotolleranza					
- Solo immunotolleranza	4	4	-	-	-
- Immunotolleranza + emicizumab	2	2	-	-	-
Totale immunotolleranza	6	6	-	-	-
Agenti bypassanti					
- Solo bypassanti	21	7	7	7	-
- Bypassanti + emicizumab	8	2	3	1	2
- Bypassanti + fattori della coagulazione	6	3	1	2	-
Totale agenti bypassanti	35	12	11	10	2
Emicizumab					
- Solo emicizumab	56	20	16	18	2
- Emicizumab + immunotolleranza	2	2	-	-	-
- Emicizumab + bypassanti	8	2	3	1	2
Totale emicizumab	66	24	19	19	4
Solo fattori della coagulazione	10	3	3	3	1

Tabella A9. Regimi terapeutici dei pazienti con inibitore durante l'anno 2024, distinti per patologia

Patologia	Totale	Emofilia A grave	Emofilia A moderata	Emofilia A lieve	Emofilia B grave	Emofilia B moderata	Malattia di von Willebrand tipo 3
ITI	6	6	-	-	-	-	-
Agenti bypassanti	35	26	-	1	7	-	1
Emicizumab	66	60	5	-	-	-	1
Solo fattori della coagulazione	10	6	-	2	1	1	-
Totale	117	98	5	3	8	1	2

Tabella A10. Fattore VIII totale (Unità Internazionali, UI) prescritto ai pazienti nell'anno 2024

Patologia	FVIII UI	% plasmaderivato	% ricombinante standard	% ricombinante EHL
Emofilia A grave	167.300.000	4,3	32,8	62,9
Emofilia A moderata	28.300.000	2,6	12,2	85,2
Emofilia A lieve	15.900.000	0,3	28,2	71,5
Malattia di von Willebrand				
tipo 3	4.400.000	100,0	-	-
tipo 2	2.500.000	100,0	-	-
tipo 1	7.500.000	100,0	-	-
Totale FVIII	225.900.000	10,0	27,7	62,3

Tabella A11. Fattori della coagulazione ricombinanti a emivita prolungata ed emicizumab prescritti nell'anno 2023 e 2024

Prodotto	Anno 2023 (UI)	Numero pz.	Anno 2024 (UI)	Numero pz.
FVIII – EHL				
Adynovi®	21.200.000	80	16.000.000	57
Elocta®	52.600.000	210	44.400.000	188
Esperoct®	57.500.000	219	44.000.000	172
Jivi®	45.600.000	174	36.400.000	133
Totale FVIII	176.900.000	683	140.800.000	550
FIX – EHL				
Alprolix®	7.700.000	50	3.800.000	35
Idelvion®	17.100.000	145	16.200.000	129
Refixia®	3.700.000	30	3.600.000	25
Totale FIX	28.500.000	225	23.600.000	189
Emicizumab	1.200.000	300	994.000	262

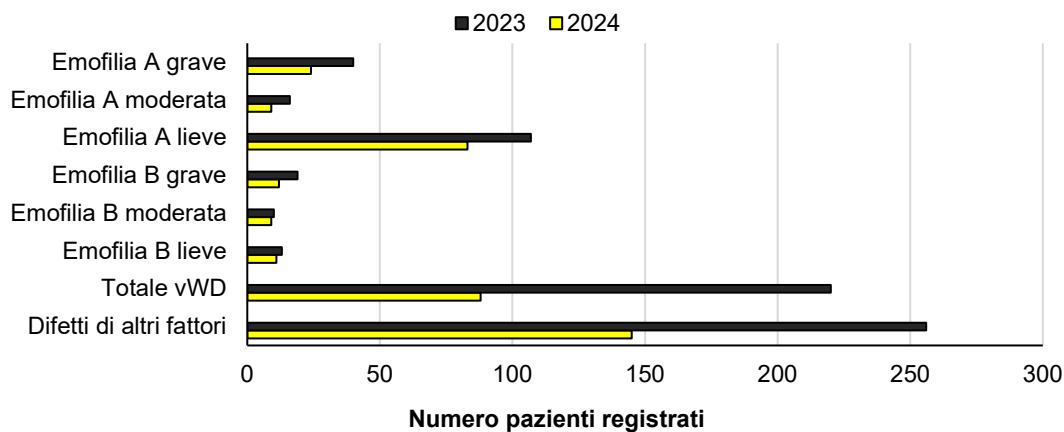
Tabella A12. Fattore IX (Unità Internazionali, UI) totale prescritto ai pazienti nell'anno 2024

Patologia	FVIII UI	% plasmaderivato	% ricombinante standard	% ricombinante EHL
Emofilia B grave	18.100.000	-	11,7	88,3
Emofilia B moderata	8.900.000	0,1	24,4	75,5
Emofilia B lieve	3.200.000	2,4	70,1	27,5
Totale FIX	30.200.000	0,3	21,6	78,1

APPENDICE B
Dati riepilogativi del Registro Nazionale
delle Coagulopatie Congenite, per Regione

REGIONE ABRUZZO

Dati epidemiologici

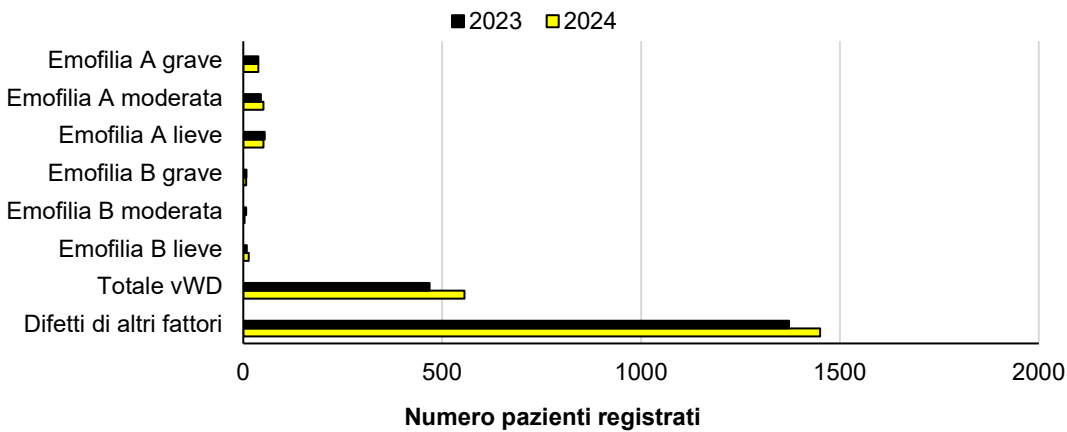


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	50,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	39	21
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	9.800.000	5.600.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	18,8	31,9
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	81,2	68,1
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	16.300.000	8.200.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	13	8
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	2.300.000	1.100.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	19,7	10,5
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	80,3	89,5
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	2.800.000	1.700.000
Emicizumab (mg)	47.100	24.700

REGIONE CALABRIA

Dati epidemiologici

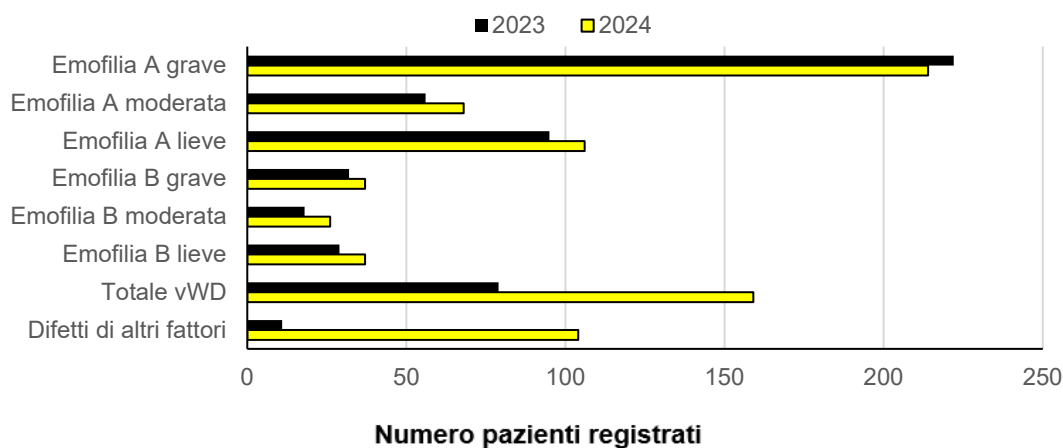


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	66,7	66,7
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	30	31
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	6.700.000	5.500.000
- Plasmaderivato (%)	4,2	5,1
- Ricombinante Standard (%)	65,9	53,5
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	29,9	41,4
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	10.600.000	10.200.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	6	6
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	760.000	738.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	0,0	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	100,0	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	900.000	900.000
Emicizumab (mg)	52.000	70.000

REGIONE CAMPANIA

Dati epidemiologici*



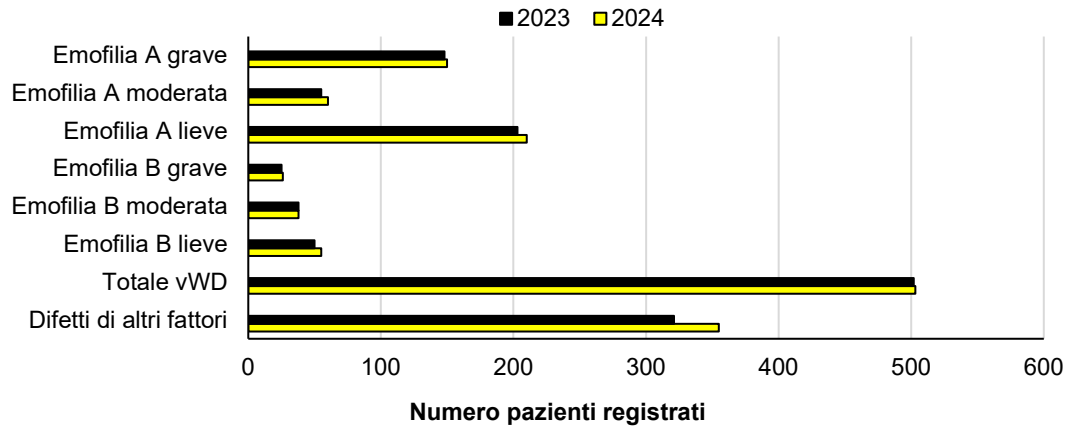
Dati di prescrizione*

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	181	196
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	44.200.000	42.000.000
- Plasmaderivato (%)	0,8	0,0
- Ricombinante Standard (%)	46,3	33,6
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	52,9	66,4
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	65.900.000	65.700.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	28	31
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	4.700.000	5.100.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	36,6	12,2
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	63,4	87,8
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	10.200.000	10.100.000
Emicizumab (mg)	231.300	313.100

* Dati raccolti tramite la Cabina di Regia per il Governo della Rete delle Malattie Emorragiche Congenite, in raccordo con il Centro di Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania.

REGIONE EMILIA ROMAGNA

Dati epidemiologici*



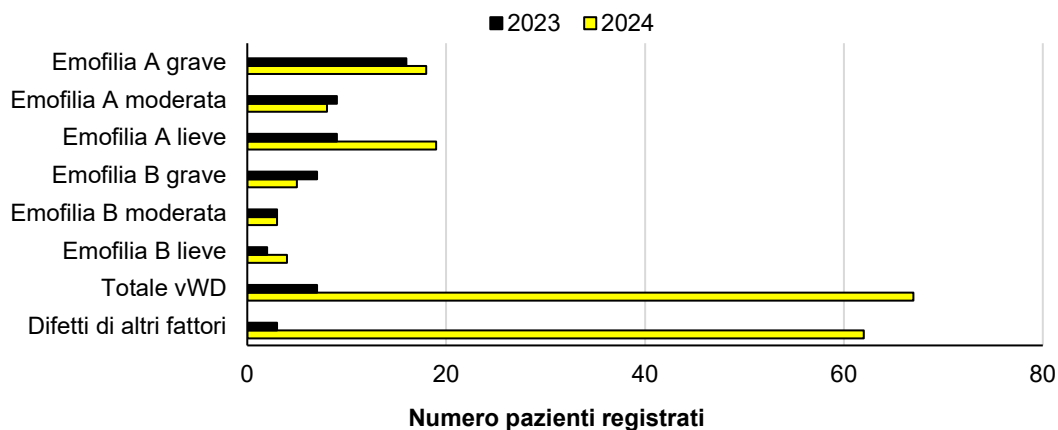
Dati di prescrizione*

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	148	150
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	36.700.000	37.600.000
- Plasmaderivato (%)	0,5	0,5
- Ricombinante Standard (%)	31,7	19,1
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	67,8	80,4
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	52.500.000	47.300.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	23	24
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	3.400.000	3.100.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	8,0	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	92,0	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	6.300.000	6.100.000
Emicizumab (mg)	126.300	138.900

* Dati raccolti tramite open data del Registro Malattie Emorragiche Congenite della Regione Emilia Romagna – Sezione Diagnosi / Numero pazienti e Sezione Consumi

REGIONE FRIULI-VENEZIA GIULIA

Dati epidemiologici

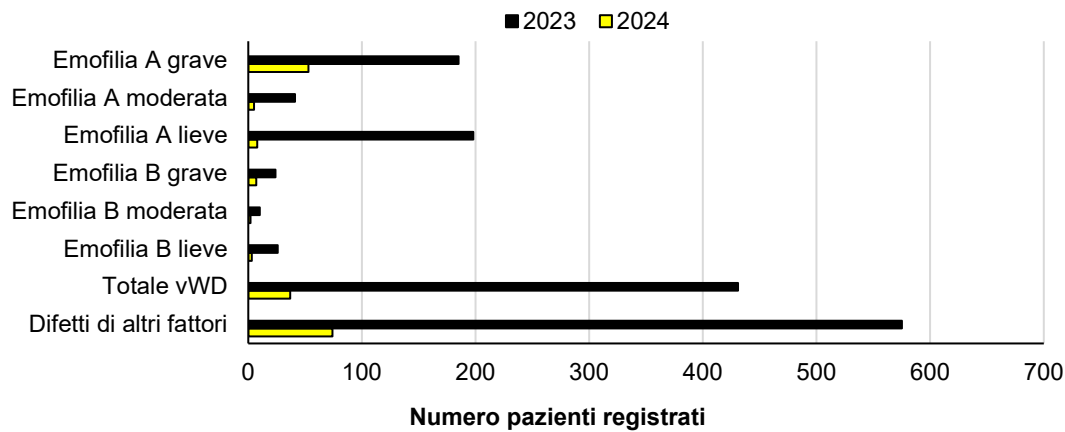


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	15	16
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	3.000.000	2.800.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	16,8	11,1
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	83,2	88,9
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	3.300.000	3.500.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	5	6
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	830.000	860.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	0,0	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	100,0	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	1.000.000	1.000.000
Emicizumab (mg)	10.300	16.200

REGIONE LAZIO

Dati epidemiologici

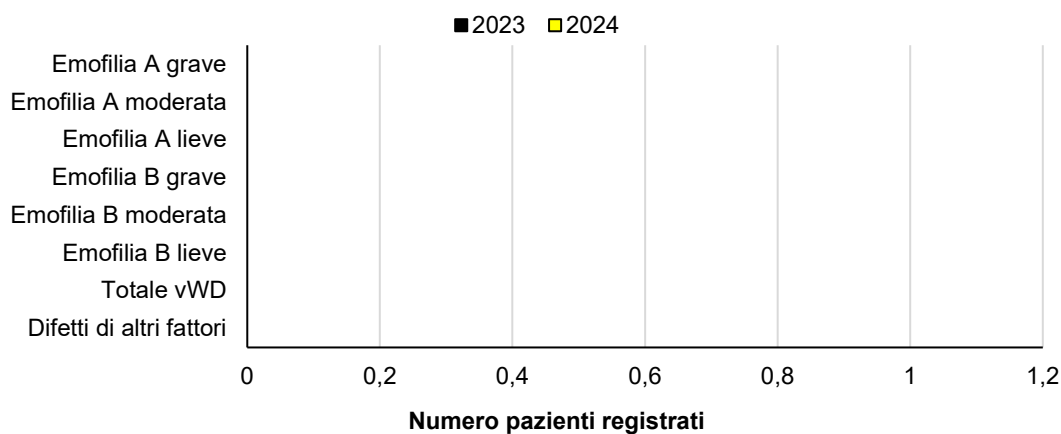


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	66,7	33,3
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	149	52
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	37.500.000	11.500.000
- Plasmaderivato (%)	2,0	0,9
- Ricombinante Standard (%)	45,0	53,5
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	53,0	45,6
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	45.700.000	12.100.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	19	7
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	2.600.000	1.200.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	26,0	4,2
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	74,0	95,8
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	2.900.000	1.300.000
Emicizumab (mg)	9.200	10.800

REGIONE LIGURIA

Dati epidemiologici

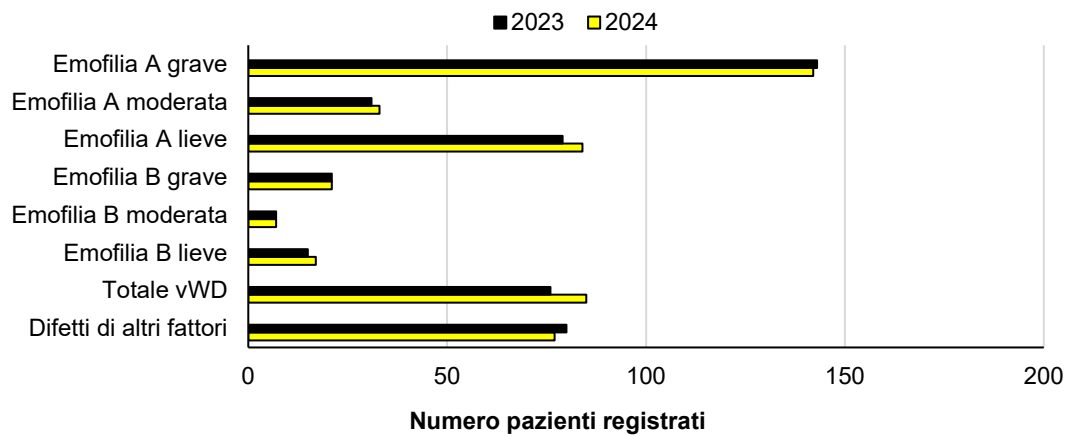


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	-	-
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	-	-
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	-	-
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	-	-
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	-	-
Emicizumab (mg)	-	-

REGIONE LOMBARDIA

Dati epidemiologici

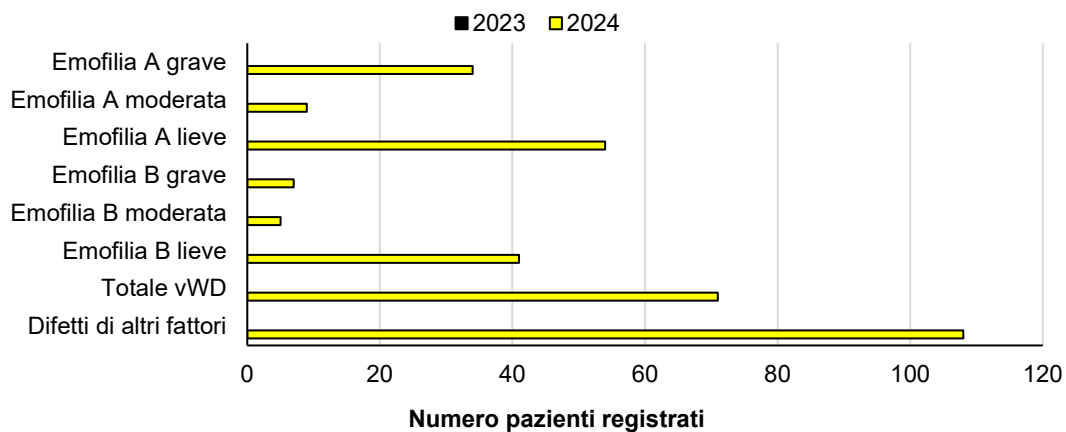


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	71,4	71,4
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	135	143
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	27.700.000	27.300.000
- Plasmaderivato (%)	8,2	5,4
- Ricombinante Standard (%)	27,4	22,4
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	64,4	72,2
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	34.700.000	38.600.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	20	18
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	3.300.000	2.700.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	0,0	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	100,0	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	4.400.000	4.400.000
Emicizumab (mg)	206.000	239.000

REGIONE MARCHE

Dati epidemiologici

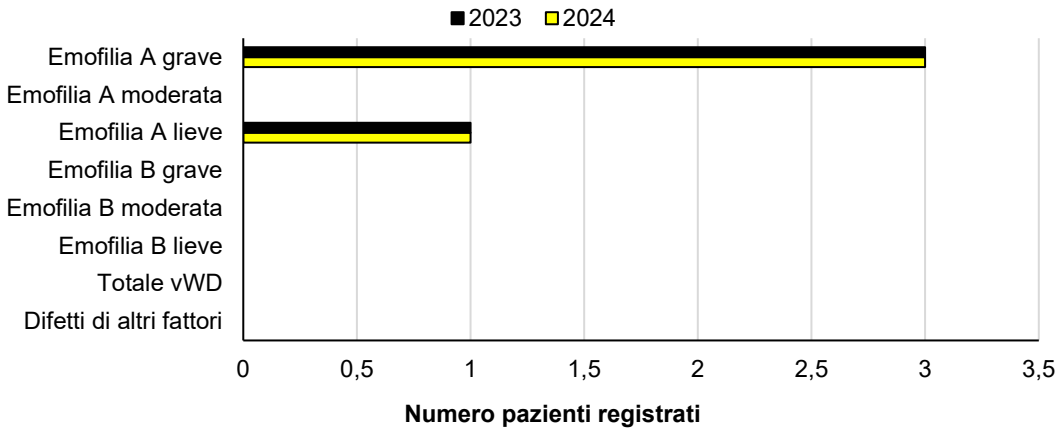


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	-	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	-	42
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	-	5.700.000
- Plasmaderivato (%)	-	0,0
- Ricombinante Standard (%)	-	27,8
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	72,2
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	-	6.900.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	-	6
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	-	1.368.000
- Plasmaderivato (%)	-	0,0
- Ricombinante Standard (%)	-	45,6
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	54,4
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	-	2.100.000
Emicizumab (mg)	-	58.200

REGIONE MOLISE

Dati epidemiologici

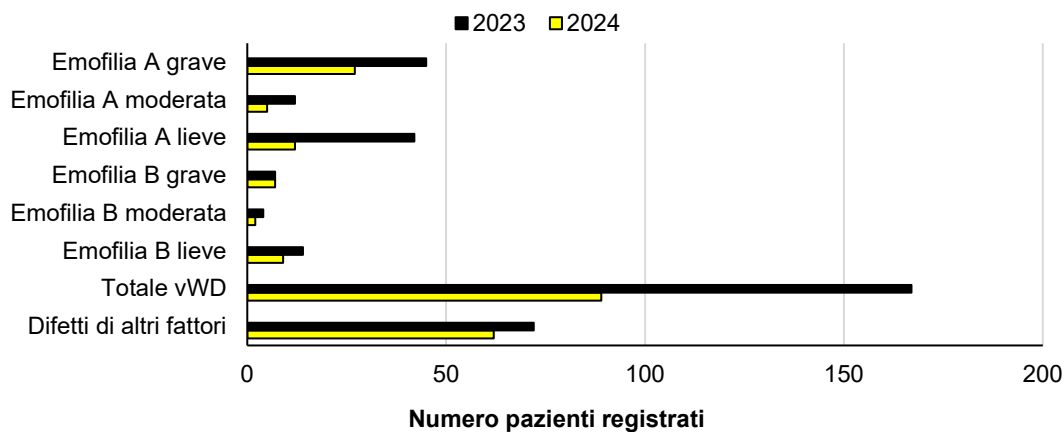


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	3	3
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	290.000	288.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	100,0	100,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	0,0	0,0
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	290.000	288.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	-	-
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	-	-
Emicizumab (mg)	11.400	11.400

REGIONE PIEMONTE

Dati epidemiologici

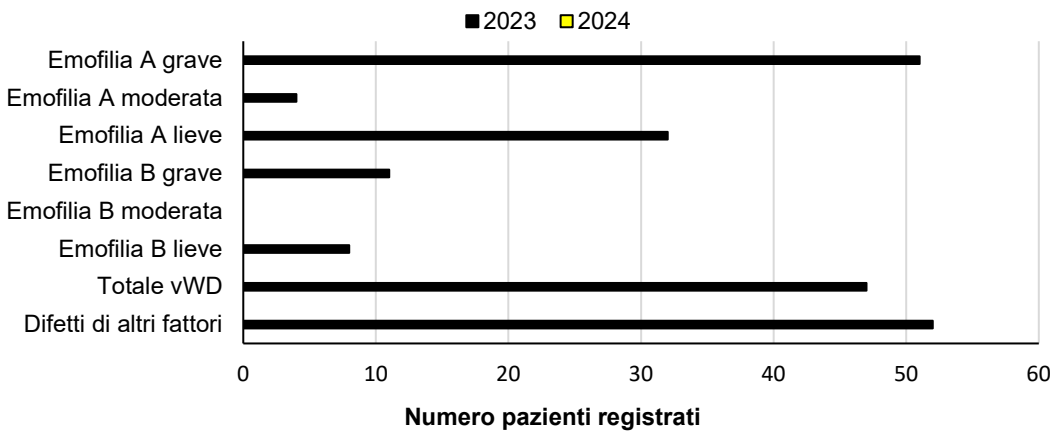


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	50,0	25,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	37	40
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	2.700.000	1.900.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	21,6	23,9
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	78,4	76,1
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	6.100.000	3.400.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	5	7
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	530.000	670.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	0,0	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	100,0	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	600.000	700.000
Emicizumab (mg)	99.400	61.400

REGIONE PUGLIA

Dati epidemiologici

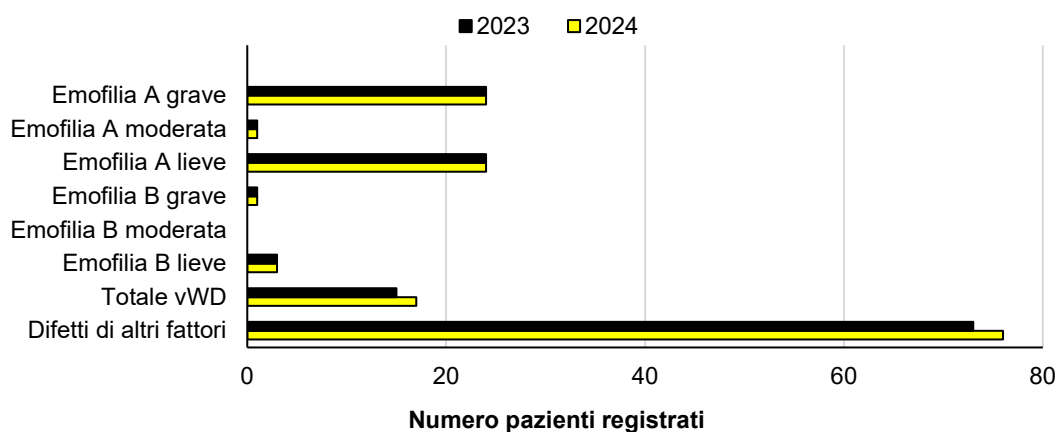


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	40,0	-
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	50	-
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	12.800.000	-
- Plasmaderivato (%)	3,7	-
- Ricombinante Standard (%)	43,5	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	52,8	-
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	14.300.000	-
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	11	-
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	1.200.000	-
- Plasmaderivato (%)	0,0	-
- Ricombinante Standard (%)	0,0	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	100,0	-
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	1.300.000	-
Emicizumab (mg)	18.900	-

REGIONE SARDEGNA

Dati epidemiologici

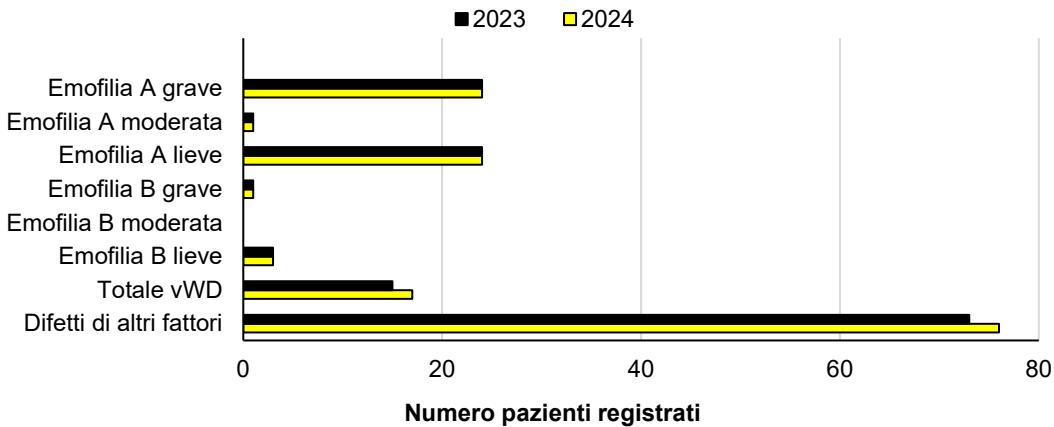


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	50,0	50,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	21	20
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	7.800.000	6.800.000
- Plasmaderivato (%)	16,5	14,1
- Ricombinante Standard (%)	53,8	52,7
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	29,7	33,2
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	8.400.000	8.100.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	1	1
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	6.000	18.000
Emicizumab (mg)	8.700	9.600

REGIONE SICILIA

Dati epidemiologici

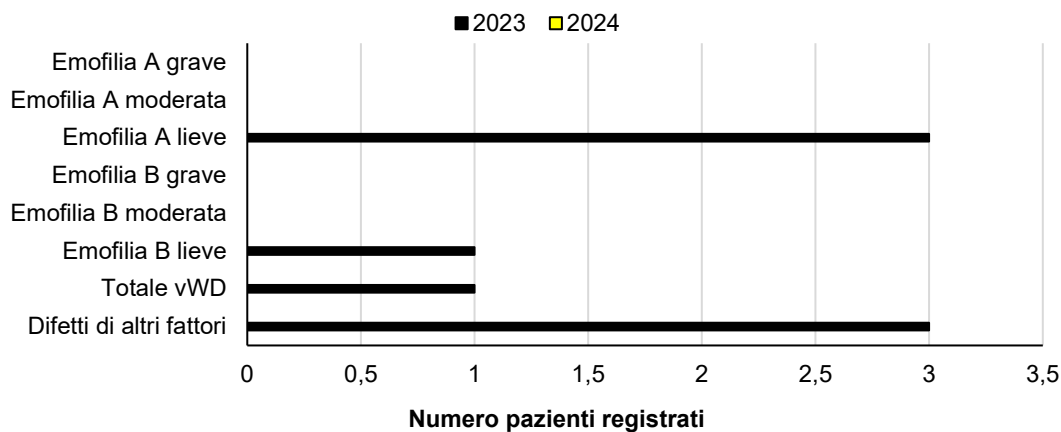


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	33,3
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	113	48
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	28.300.000	13.400.000
- Plasmaderivato (%)	1,8	3,4
- Ricombinante Standard (%)	49,5	57,7
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	48,7	38,9
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	32.300.000	15.300.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	16	4
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	3.300.000	500.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	24,0	70,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	76,0	30,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	4.100.000	600.000
Emicizumab (mg)	108.600	7.100

REGIONE TOSCANA

Dati epidemiologici

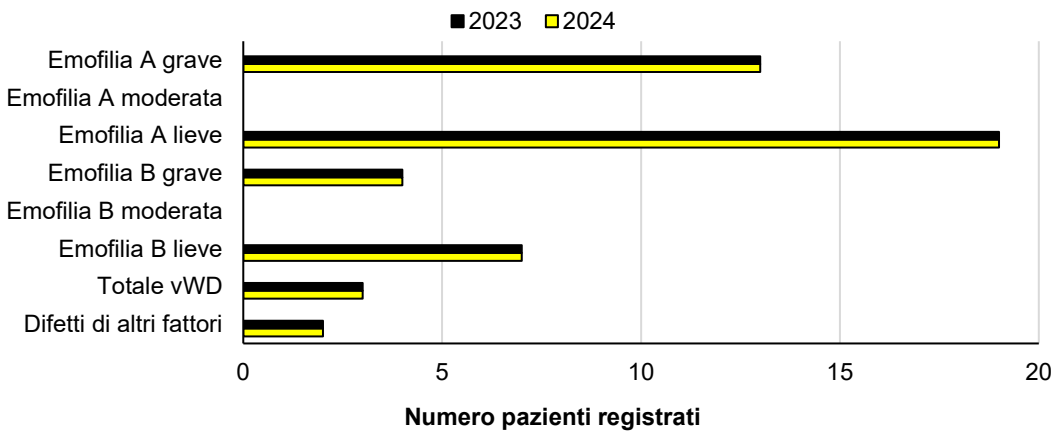


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	50,0	-
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	-	-
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	70.000	-
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	-	-
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	-	-
- Plasmaderivato (%)	-	-
- Ricombinante Standard (%)	-	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	-
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	4.000	-
Emicizumab (mg)	-	-

REGIONE TRENTINO-ALTO ADIGE

Dati epidemiologici

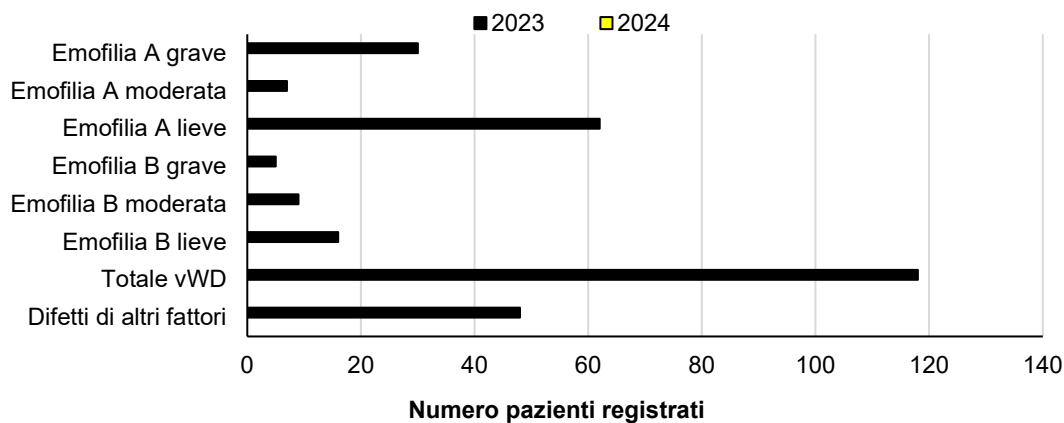


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	100,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	13	13
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	3.100.000	3.100.000
Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
Ricombinante Standard (%)	73,9	73,9
Ricombinante a emivita prolungata (%)	26,1	26,1
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	3.900.000	3.900.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	4	4
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	420.000	420.000
Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
Ricombinante Standard (%)	86,8	86,8
Ricombinante a emivita prolungata (%)	13,2	13,2
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	670.000	670.000
Emicizumab (mg)	-	-

REGIONE UMBRIA

Dati epidemiologici

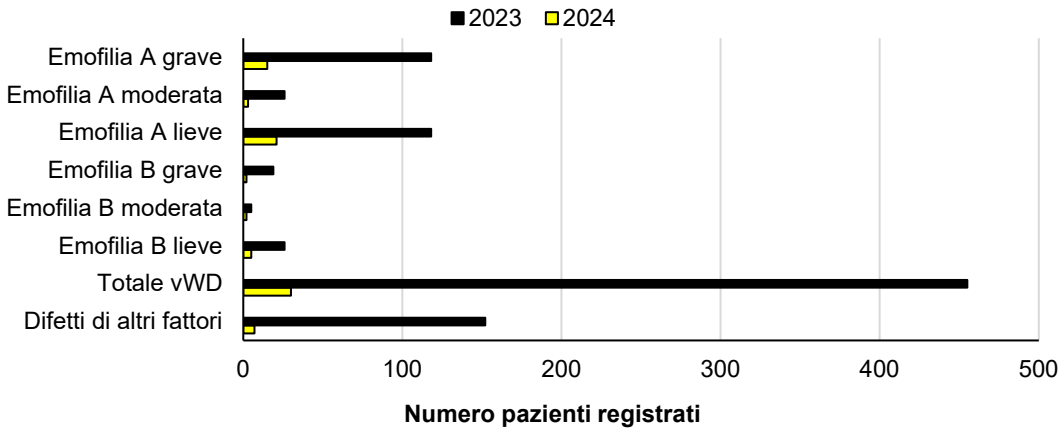


Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	100,0	-
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	19	-
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	4.400.000	-
- Plasmaderivato (%)	0,0	-
- Ricombinante Standard (%)	40,3	-
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	59,7	-
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	6.300.000	-
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	3	-
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	600.000	-
- Plasmaderivato (%)	-	26,4
- Ricombinante Standard (%)	-	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	-	73,6
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	840.000	-
Emicizumab (mg)	22.700	-

REGIONE VENETO

Dati epidemiologici



Dati di prescrizione

	2023	2024
Centri rispondenti (%)	80,0	20,0
N. di pazienti A gravi con piano terapeutico	117	15
Fattore VIII prescritto ai pazienti A gravi nei piani terapeutici (UI)	21.800.000	3.700.000
- Plasmaderivato (%)	6,4	0,0
- Ricombinante Standard (%)	14,8	27,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	78,8	73,0
Fattore VIII totale nei piani terapeutici (UI)	28.100.000	5.400.000
N. di pazienti B gravi con piano terapeutico	19	2
Fattore IX prescritto ai pazienti B gravi nei piani terapeutici (UI)	2.000.000	340.000
- Plasmaderivato (%)	0,0	0,0
- Ricombinante Standard (%)	15,6	0,0
- Ricombinante a emivita prolungata (%)	84,4	100,0
Fattore IX totale nei piani terapeutici (UI)	2.400.000	620.000
Emicizumab (mg)	204.900	33.400

APPENDICE C
Elenco dei Centri di cura per l'Emofilia
e delle organizzazioni presenti sul territorio nazionale

**DISTRIBUZIONE DEI CENTRI DI CURA PER L'EMOFILIA SUL TERRITORIO NAZIONALE
(distribuzione Nord-Ovest, Nord-Est, Centro, Sud e Isole secondo la ripartizione ISTAT)**



ABRUZZO

Chieti

Dott.ssa Sandra Verna - Dott. Raniero Malizia
Servizio di Medicina Trasfusionale Aziendale
Policlinico SS. Annunziata
Via dei Vestini - 66100 Chieti

e-mail: sandra.verna@asl2abruzzo.it; raniero.malizia@asl2abruzzo.it

Pescara

Dott.ssa Paola Ranalli
Centro Emodilia e Malattie Rare del Sangue
Ospedale Civile dello Spirito Santo
Via Fonte Romana 8 - 65124 Pescara

e-mail: ematologia.emostasi@ausl.pe.it

CALABRIA

Catanzaro

Dott.ssa Rita Carlotta Santoro
Struttura Dipartimentale Emofilia, Emostasi e Trombosi
Azienda Ospedaliera Universitaria Dulbecco
Viale Pio X - 88100 Catanzaro

e-mail: ritacarlottasantoro@gmail.com; centroemofilia@aocatanzaro.it

Cosenza

Dott.ssa Filomena Daniele
Struttura Semplice Patologie Coagulative
Ospedale Civile dell'Annunziata
Via Felice Migliori 1 - 87100 Cosenza

e-mail: fildaniele@libero.it; fildaniele@gmail.com

Reggio Calabria

Dott. Gianluca Sottilotta
Servizio Emostasi e Trombosi
Grande Ospedale Metropolitano Bianchi Melacrino Morelli
Viale Europa 21 - 89127 Reggio Calabria

e-mail: gianluca.sottilotta@virgilio.it

CAMPANIA

Napoli Federico II

Prof. Matteo Nicola Dario Di Minno
Centro di Coordinamento Regionale per le Emocoagulopatie
Malattie Emorragiche e Trombotiche
Azienda Ospedaliera Universitaria Federico II
Via S. Pansini 5 - 80131 Napoli

e-mail: matteo.diminno@unina.it

Napoli Ospedale del Mare

Dott.ssa Maria Rosaria Villa
Centro di Riferimento Regionale per le Emocoagulopatie
Ospedale del Mare
Via Enrico Russo - 80147 Napoli

e-mail: mariarosariavilla@hotmail.com

Napoli Pausilipon

Dott. Michele Schiavulli
Centro di Riferimento Regionale per Emocoagulopatie
Ospedale Pediatrico Santobono Pausilipon
Via Posillipo 226 - 80122 Napoli

e-mail: m.schiavulli@santobonopausilipon.it; mischiavulli@gmail.it

Salerno

Dott.ssa Anna Guida
Centro per le malattie emorragiche congenite e malattie trombotiche
Azienda Ospedaliera Universitaria San Giovanni di Dio e Ruggi d'Aragona
Largo città di Ippocrate 1 - 84131 Salerno

e-mail: ambulatoriomecsalerno@gmail.com

Vallo della Lucania (SA)

Dott. Giovanni D'Arena
Centro di Riferimento Regionale per le Coagulopatie
Ospedale San Luca
Via F. Cammarota - 84078 Vallo della Lucania (SA)

e-mail: g.darena@aslsalerno.it

EMILIA ROMAGNA

Centro Emofilia Bologna

Dott.ssa Lelia Valdrè
SSD Angiologia e Malattie della Coagulazione
Azienda Ospedaliera S. Orsola - Malpighi
Via Albertoni 15 - 40138 Bologna

e-mail: centromec@aosp.bo.it; lelia.valdre@aosp.bo.it

Centro Emofilia Cesena

Dott.ssa Chiara Biasoli
UOC Medicina Trasfusionale
Ospedale M. Bufalini
V.le Ghisotti 286 - 47023 Cesena (FO)

e-mail: chiara.biasoli@auslromagna.it, sit.ce@auslromagna.it

Centro Emofilia Parma

Dott. Antonio Coppola
SSD Centro Hub Emofilia e Malattie Emorragiche Congenite
Azienda Ospedaliero Universitaria di Parma
Via Gramsci 14 - 43126 Parma

e-mail: centroemofilia@ao.pr.it

FRIULI-VENEZIA GIULIA

Centro Emofilia Udine

Dott. Giovanni Barillari
SOS Malattie Emorragiche e Trombotiche
Dipartimento di Area Vasta di Medicina Trasfusionale
Azienda Ospedaliera S. Maria della Misericordia
P.zza S. Maria della Misericordia - 33100 Udine

e-mail: giovanni.barillari@asuiud.sanita.fvg.it

LAZIO

Centro Emofilia Roma Bambino Gesù

Dott. Matteo Luciani
Centro di Riferimento Emostasi e Trombosi
Dipartimento di Ematologia, Oncologia e Medicina Trasfusionale
Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
P.zza S. Onofrio 4 - 00165 Roma

e-mail: luciani@opbg.net; psp.ematologia@opbg.net

Centro Emofilia Roma Gemelli

Dott. Raimondo De Cristofaro
Servizio Malattie Emorragiche e Trombotiche
Polo di Scienze Oncologiche ed Emalogiche
Fondazione Policlinico Agostino Gemelli
Largo A. Gemelli 8 - 00168 Roma

e-mail: raimondo.decrisofaro@unicatt.it; segrsmet@policlinicogemelli.it

Centro Emofilia Roma Università La Sapienza

Dott.ssa Cristina Santoro – Dott.ssa Erminia Baldacci
Centro di riferimento e Coordinamento Regionale
per le Malattie Emorragiche Congenite
Università La Sapienza – Policlinico Umberto I
Via Benevento 6 - 00161 Roma

e-mail: santoro@bce.uniroma1.it; baldacci@bce.uniroma1.it

LIGURIA

Centro Emofilia Genova

Dott. Angelo Claudio Molinari
Centro di Riferimento Regionale per le Malattie Emorragiche
e per l'Individuazione del Rischio Trombotico Ereditario
IRCCS Giannina Gaslini
Largo G. Gaslini 5 - 16147 Genova Quarto

e-mail: emofiliaetrombosi@gaslini.org

LOMBARDIA

Centro Emofilia Bergamo

Dott.ssa Chiara Ambaglio
Ospedale Papa Giovanni XXIII
U.O.C. Servizio di Immunoematologia e Medicina Trasfusionale
Piazza OMS 1 - 24127 Bergamo

e-mail: cambaglio@asst-pg23.it

Centro Emofilia Brescia

Dott.ssa Lucia Notarangelo
UO Oncoematologia Pediatrica
Presidio Ospedale dei Bambini
Spedali Civili di Brescia
P. le Spedali Civili - 25100 Brescia

e-mail: luciadora.notarangelo@asst-spedalivicili.it

Centro Emofilia Cremona

Dott.ssa Sophie Testa
Centro Emostasi e Trombosi
Azienda Ospedaliera Cremona
Viale Concordia 1 - 26100 Cremona

e-mail: s.testa@ospedale.cremona.it; centro.trombosi@ospedale.cremona.it

Centro Emofilia Milano Niguarda

Dott.ssa Maria Teresa Caimi
Struttura Semplice di Emostasi e Trombosi
Grande Ospedale Metropolitano Niguarda
P.zza Ospedale Maggiore 3 - 20162 Milano

e-mail: emostasi@ospedaleniguarda.it

Centro Emofilia Milano Policlinico

Dott.ssa Flora Peyvandi
Centro Emofilia e Trombosi Angelo Bianchi Bonomi
Fondazione Ospedale Maggiore Policlinico
Via Pace 9 - 20122 Milano

e-mail: flora.peyvandi@policlinico.mi.it; segreteria.ambulatorioemofilia@policlinico.mi.it

Centro Emofilia Pavia

Dott.ssa Paola Stefania Preti
Centro Emofilia e Coagulopatie Congenite
Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo
Piazzale Golgi 2 - 27100 Pavia

e-mail: p.preti@smatteo.pv.it

Centro Emofilia Rozzano (MI)

Dott.ssa Elisa Mancuso
RCCS Humanitas Research Hospital
U.O.C. Centro Trombosi e Malattie Emorragiche
Via Manzoni 56 - 20089 Rozzano (MI)

e-mail: mariaelisa.mancuso@humanitas.it

MARCHE

Centro Emofilia Macerata

Dott.ssa Isabella Cantori
Centro Regionale di Diagnosi e Cura delle Malattie
Emorragiche Congenite e Trombofilia
Ospedale di Macerata
Piazza Santa Lucia 2 - 62100 Macerata

e-mail: isabella.cantori@sanita.marche.it

MOLISE

Centro Emofilia Termoli (CB)

Dott.ssa Marianna De Cinque
Ospedale San Timoteo
Via San Francesco 1 - 73025 Termoli (CB)

e-mail: marianna.decinque@asrem.org

PIEMONTE

Centro Emofilia Alessandria

Dott. Roberto Mario Santi
Emostasi e Trombosi
Azienda Ospedaliera SS. Antonio e Biagio
Via Venezia 16 - 15121 Alessandria

e-mail: rsanti@ospedale.al.it

Centro Emofilia Ivrea

Dott.ssa Grazia Delios
Struttura Complessa Servizio Trasfusionale
Ospedali Riuniti del Canavese
Piazza della Credenza 2 - 10015 Ivrea

e-mail: trasfusionale@aslto4.piemonte.it; gdelios@aslto4.piemonte.it

Centro Emofilia Torino

Dott. Berardino Pollio – Dott.ssa Irene Ricca
Centro di Riferimento Regionale per le Malattie Emorragiche
e Trombotiche Ereditarie in Età Pediatrica
Ospedale Infantile Regina Margherita
P.zza Polonia 94 - 10126 Torino

e-mail: bpollio@cittadellasalute.to.it; iricca@cittadellasalute.to.it

Centro Emofilia Torino Le Molinette

Dott.ssa Alessandra Borchellini
Centro di Riferimento Regionale Malattie Trombotiche
e Emorragiche dell'adulto
AOU Città della Scienza e della Salute
Via Genova 3 - 10126 Torino

e-mail: emofiliciadulti@acep-piemonte.it; aborchiellini@cittadellasalute.to.it

PUGLIA

Centro Emofilia Bari Policlinico

Dott. Renato Marino
SSD Centro Emofilia e Trombosi
Azienda Consorziale Policlinico
Piazza Giulio Cesare 11 - 70124 Bari

e-mail: renato.marino@policlinico.ba.it; giuseppe.malcangi@policlinico.ba.it

Centro Emofilia Bari Policlinico - Pediatrico

Prof.ssa Paola Giordano
UOC Pediatria Generale e Specialistica
Ospedale Pediatrico Giovanni XXIII
Via Amendola 207 - 70126 Bari

e-mail: paola.giordano@uniba.it; giuseppelassandro@live.com

Centro Emofilia San Giovanni Rotondo (FG)

Dott.ssa Elvira Grandona
Emostasi e Trombosi
Casa Sollievo della Sofferenza Giovanni Paolo II
Viale Padre Pio - 71013 San Giovanni Rotondo (FG)

Centro Emofilia Scorrano (LE)

Dott.ssa Antonella Coluccia
Unità Operativa di Medicina Interna
Ospedale Veris Delli Ponti
Via G. Veris Delli Ponti - 73025 Scorrano (LE)

e-mail: antonellacoluccia40@gmail.com

Centro Emofilia Taranto

Dott. Vincenzo Speciale
Unità Operativa di Coagulazione ed Emostasi
Ospedale SS Annunziata
Via Bruno Francesco, 1 – 74100 – Taranto

e-mail: vincenzo.speciale@asl.taranto.it

SARDEGNA

Centro Emofilia Cagliari

Dott.ssa Rosamaria Mura
Ospedale Pediatrico Microcitemico Antonio Cao
Azienda ospedaliera G. Brotzu
Via Jenner - 09121 Cagliari

e-mail: rosamaria.mura@aob.it; oncoematologia.microcitemico@aob.it

Centro Emofilia Sassari

Dott.ssa Lucia Anna Mameli
UO Malattie della Coagulazione
Azienda Ospedaliera Universitaria SS Annunziata
Via Enrico De Nicola - 07100 Sassari

e-mail: lucia.mameli@aousassari.it

SICILIA

Centro Emofilia Catania

Dott.ssa Dorina Cultrera
UOC Ematologia - Centro Regionale di Riferimento per Emofilia
Azienda Ospedaliera Universitaria Vittorio Emanuele
Via S. Sofia 78 - 95123 Catania

e-mail: doricu@tiscali.it

Centro Emofilia Palermo Azienda Universitaria

Dott.ssa Marisanta Napolitano
Centro di Riferimento Regionale per le Emocoagulopatie
Azienda Universitaria Policlinico
Via del Vespro 127 – 90127 Palermo

e-mail: mariasanta.napolitano@unipa.it; ematologia@policlinico.pa.it

TOSCANA

Centro Emofilia Arezzo

Dott.ssa Alessandra Caremani
UOS Ematologia
Ospedale San Donato
Via P. Nenni 20 - 52100 Arezzo

e-mail: alessandra.caremani@usl8.toscana.it

Centro Emofilia Firenze

Dott. Giancarlo Castaman – Dott.ssa Silvia Linari
SODc Malattie Emorragiche e della Coagulazione
Azienda Ospedaliero Universitaria Careggi
Largo G.A. Brambilla 3 - 50134 Firenze

e-mail: giancarlo.castaman@unifi.it; linaris@aou-careggi.toscana.it

TRENTINO-ALTO ADIGE

Centro Emofilia Trento

Dott.ssa Paola Boccagni – Dott.ssa Samantha Pasca
SIT Immunoematologia e Trasfusione
Ospedale S. Chiara
Largo Medaglie d'Oro 9 - 38122 Trento

e-mail: paola.boccagni@apss.tn.it

UMBRIA

Centro Emofilia Perugia

Dott.ssa Emanuela Marchesini
Medicina Vascolare e d'Urgenza
Ospedale Santa Maria della Misericordia
Piazzale Menghini 1 - 06132 Perugia

e-mail: emanuela.marchesini@ospedale.perugia.it

VENETO

Centro Emofilia Castelfranco Veneto

Dott.ssa Lucia Di Daniel
Azienda ULSS 2 Marca Trevigiana
Via dei Carpani 16z - 31033 Castelfranco Veneto (TV)

e-mail: lucia.didaniel.1@gmail.com

Centro Emofilia Padova

Dott. Ezio Zanon
Centro Regionale multidisciplinare per la prevenzione,
profilassi e trattamento avanzato dell'artropatia emofilica
Azienda Ospedaliera Universitaria di Padova
Via Giustiniani, 2 - 35129 Padova

e-mail: centro.emofilia@aopd.veneto.it

Centro Emofilia Verona

Dott. Simone Cesaro – Dott.ssa Elisa Bonetti
Oncoematologia Pediatrica
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata
Ospedale Donna Bambino
Piazzale A. Stefani - 37126 Verona

e-mail: oncoematologia.ped@aovr.veneto.it; elisa.bonetti2@aovr.veneto.it

Emofilia Verona

Dott. Giorgio Gandini – Dott.ssa Annachiara Giuffrida
UOC Medicina Trasfusionale
Ospedale Borgo Roma
Azienda Ospedaliera Universitaria Integrata
Piazzale LA Scuro 10 - 37134 Verona

e-mail: giorgio.gandini@aovr.veneto.it; annachiara.giuffrida@aovr.veneto.it

Centro Emofilia Vicenza

Dott. Alberto Tosetto
Centro Malattie Emorragiche e Trombotiche
Ospedale San Bortolo
Via Rodolfi 37 - 36100 Vicenza

e-mail: alberto.tosetto@aulss8.veneto.it; cmet@aulss8.veneto.it

Associazioni locali aderenti a FedEmo

Abruzzo

Pescara - Associazione AMARE
via Pineta di Roio 15, Pescara 65124
sito web: www.amareonlus.it
e-mail: info@amareonlus.it

Calabria

Reggio Calabria - AERC – Associazione Emofilici Reggio Calabria Onlus
Via dei Fiori 49, 89024 Polistena
sito web: www.hemonline.it
e-mail: assoemorc@virgilio.it

Catanzaro - AREA – Associazione Regionale Emofilici e Anticoagulanti

c/o Ospedale "CIACCIO" Centro Emofilia
Viale Pio X, 88100 Catanzaro
e-mail: area.giuseppe_marino@email.it

Cosenza - Associazione ICORE

c/o Studio Mussari
Corso Mazzini 292, 87100 Cosenza (CS)
e-mail: icoreonluscs@gmail.com;

Campania

Napoli - ARCE Associazione Regionale Campana Emofilici
c/o Giovanni Nicoletti
via S. Giacomo dei Capri 63/E, 80131 Napoli
sito web: www.emocampania.it
e-mail: gianni.nicoletti@emocampania.it

Salerno - Associazione Provinciale di Salerno sull'Emofilia Onlus
Via Feudo Vignone 14, 84047 Capaccio Paestum (SA)
e-mail: emofilicisalerno@tiscali.it

Emilia Romagna

Bologna - Associazione Emofilici di Bologna e Provincia
c/o Pierangela Polacchini
via Decumana 44/2, 40134 Bologna
e-mail: nicolaceresi@gmail.com

Parma - AVES
c/o Luca Montagna
viale Martinella 119, 43124 Parma
e-mail: artcafe1994@gmail.com

Ferrara - Associazione Provinciale Emofilici e Coagulopatici
Presidente: Marzia Magagnoli
e-mail: marzia.magagnoli@libero.it

Ravenna - Associazione Emofilici e Talassemici
piazza Mameli 13, 48100 Ravenna
e-mail: bruno1940@libero.it

Friuli Venezia Giulia

Udine - AET Associazione Emofilici e Trombofilici del Friuli Venezia Giulia – Onlus
Casella Postale 5, 33019 Tricesimo (UD)
sito web: www.assoemo.it
e-mail: segreteria@assoemo.it

Lazio

Roma - AEL Associazione Emofilici del Lazio
Sede Operativa
via Nomentana 133, 00198 Roma
sito web: www.aelonlus.it
e-mail: info@aelonlus.it

Liguria

Genova - ARLAFE onlus
Viale Centurione Bracelli 142-146, 16142 Genova
sito web: www.arlafeliguria.it
e-mail: info@arlafeliguria.it

Lombardia

Milano - ACE Associazione Coagulopatici ed Emofilici di Milano Onlus
c/o Centro Emofilia "A. Bianchi Bonomi", via Pace 15, 20122 Milano
sito web: www.ace-milano.it
e-mail: assoace@tiscali.it

Brescia - AEB Associazione Emofilici di Brescia "E. Ravasio Passeri" Onlus
via G. Carducci 38, 25068 Sarezzo (BS)
sito web: www.emo-aeb.it
e-mail: aeb@emo-aeb.it

Pavia - Associazione Ticinese Coagulopatici
c/o centro dell'Emofilia e coagulopatie congenite
Clinica Medica III, I.R.C.C.S. Policlinico San Matteo
Piazzale Golgi 2, 27100 PAVIA
e-mail: atc@smatteo.pv.it

Marche

Macerata - AEM Associazione Emofilici delle Marche
via Santa Lucia 2, 62100 Macerata
sito web: www.a-e-m.it
e-mail: aem.marche@gmail.com

Molise

Frosolone (IS) - Associazione ONLUS
"Amici degli Emofilici ed Emopatici Molisani"
Piazza Cottin, 7, 86095 – Frosolone (IS)
e-mail: associazioneemo@gmail.com

Piemonte

Torino - ACEP Associazione Coagulopatici ed Emofilici Piemontesi Onlus
Via Aprà, 1/19, 10090 Sangano (TO)
sito web: www.aecp-piemonte.it
e-mail: info@acep-piemonte.it

Puglia

Bari - ARPE "Teo Ripa" ONLUS – Associazione Regionale Pugliese per l'Emofilia
Via Traversa del Lago n. 8, 70013 Castellana Grotte (BA)
e-mail associazione: arpeteoripa@hotmail.com

Taranto - ABCE ONLUS – Associazione dei Bambini Coagulopatici ed Emofilici
Un nuovo raggio di sole ONLUS
Via Magna Grecia 22, 74015, Martina Franca (TA)
sito web: www.abceonlus.org
e-mail: presidente@abceonlus.org; info@abceonlus.org

Sardegna

Cagliari - ASCE Associazione Sarda Coagulopatici Emorragici Onlus
c/o Nicola Spinelli, via Nicaragua 7, 09042 Monserrato (CA)
e-mail: asce@asce.it

Sicilia

Catania - ASE ONLUS - Associazione Siciliana Emofilici
c/o Studio Anfuso
via Siena, 24, 95128 Catania
sito web : www.aseonluscatania.org
e-mail: aseonluscatania@gmail.com

Palermo - Associazione degli amici dell'emofilia di Palermo
via Tommaso Lo Cascio, 3 scala b, 90142 Palermo
e-mail: studiocelestino@virgilio.it

Toscana

Firenze - ATE Associazione Toscana Emofilici Onlus
c/o Centro Emofilici – A. O. Careggi
Viale Morgagni, 50127 Firenze
sito web: www.ateonlus.org
e-mail: info@ateonlus.org

Trentino-Alto Adige

Trento - Associazione Emofilici Trentini "G. Folgheraiter" Onlus
c/o Centro Sportivo «LIFE»
via Don A.Rizzi, 6, 38100 Trento
sito web: www.associazioneemofilicitrentini.it
e-mail: info@associazioneemofilicitrentini.it

Umbria

Perugia - AUAFE Associazione Umbra Amici Fondazione Emofilia
via Corcianese 93, 06047 S. Sabina (PG)
e-mail: auafe@emofiliaonline.it

Veneto

Padova - Associazione Emofilia e Coagulopatie Tre Venezie
via Ospedale 105, 35128 Padova
e-mail: lorianosachespi@yahoo.it

Padova - ABGEC – Associazione Bambini e Giovani con Emofilia e altre Coagulopatie
Casella postale 49
Ufficio postale di Campodarsego (PD)
sito web: www.abgec.it
e-mail: info@abgec.it

Castelfranco Veneto - LAGEV “Antonio Valiante” Onlus (Libera Associazione Genitori ed Emofiliaci Veneto)
Casella Postale 25
31033 Castelfranco V. (TV)
sito web: www.lagev.org
e-mail: info@lagev.com

Verona - Associazione Emofiliaci Veronesi
Via dei Ponti 1, 37138 Verona
e-mail: boarettimassimo@yahoo.it

Vicenza - AVEC Associazione Veneta Emofilia e Coagulopatie
c/o Associazioni di Volontariato Ospedale Civile S. Bortolo ULSS 6
via Rodolfi 37, 36100 Vicenza
sito web: www.avecveneto.it
e-mail: info@avecveneto.it; avec@associazionisanbortolo.it; avec@hemato.ven.it

Fondazione Paracelso Onlus

Via Veratti 2, 20155 Milano
sito web: www.fondazioneparacelso.it
e-mail: info@fondazioneparacelso.it

*Serie Rapporti ISTISAN
numero di luglio 2026, 2° Suppl.*

*Stampato in proprio
Servizio Comunicazione Scientifica – Istituto Superiore di Sanità*

Roma, luglio 2026