**Mini Advisory Board Tegsedi – Quadrante Nord est**

**Razionale:**

L’amiloidosi ereditaria da transtiretina è una patologia rara che può manifestarsi, soprattutto all’esordio, con modalità molto diverse a seconda degli organi principalmente colpiti, tra cui il tessuto nervoso periferico, il cuore, i reni e l’intestino. L’estrema variabilità fenotipica rende difficoltosa la diagnosi precoce. La diagnosi tempestiva però è particolarmente importante in questa patologia che progredisce rapidamente e per la quale la prognosi è infausta, avendo una sopravvivenza dalla diagnosi che può variare tra i 3 e 15 anni a seconda della mutazione e del fenotipo. E’ quindi importante poter fare una diagnosi precoce e indirizzare i pazienti verso il più adeguato percorso terapeutico.

Lo scopo di questo board è quello di definire un percorso diagnostico e terapeutico del paziente con sospetto di amiloidosi nel quadrante NORD-EST piemontese.

 L’obbiettivo dell’incontro è quello di migliorare la diagnosi i possibili percorsi del paziente al fine di ridurre i tempi di diagnosi, implementare il monitoraggio con le più aggiornate metodiche e garantire una presa in carico e terapia ottimale.

L'incontro sarà l'occasione per coinvolgere e generare collaborazione nella rete di cardiologi e neurologi piemontesi che aiuterà rafforzare la comprensione della patologia e delle opzioni di trattamento anche alla luce delle nuove terapie che recentemente sono state approvate.

Inotersen è un nuovo oligonucleotide antisenso che inibisce alla sintesi della proteina TTR, la sua efficacia e impatto sulla QoL sono stati ampiamente valutati nel programma di sviluppo clinico.

Inotersen, indicato per pazienti adulti con segni e sintomi di FAP (1 o 2), è caratterizzato da un profilo di sicurezza favorevole. Una reazione avversa emergente dal trattamento rilevante è la riduzione della conta piastrinica. Nella maggior parte dei casi, le reazioni avverse non sono clinicamente rilevanti, ma sono stati osservati casi di trombocitopenia schietta, con conseguente necessità di monitorare rigorosamente questo parametro ematico per tutta la durata del trattamento, come ampiamente riportato nell'RCP.

**Data proposta: 22,29 Giugno o 6 Luglio ‘20**

**Chairman:** Dr. Mauro

**Relatori**: Dr.Pradotto, Dr.Correndo

**Invitati:**

1. Dr.Campini
2. Dr.ssa.Bolzani
3. Dr.ssa Vecchio
4. D.ssa Favretto
5. Dr.Forni
6. Dr.Battaglia
7. Del Signore

Ci si avvarrà del provider MCO International Group.

**Agenda:**

15.00 Introduzione (Mauro)

 15.10 Dalle neuropatie amiloidotiche famigliari alle amiloidosi TTR relata (Pradotto)

 15.40 La diagnosi: il ruolo del cardiologo (Correndo)

 16.00 La diagnosi: il ruolo della medicina nucleare (Campini)

 16.20 NEURO-TTR, OLE e sicurezza INOTERSEN (Dir.Medica AKCEA)

 16.40 Realtà del territorio: discussione sul percorso del paziente con sospetto di amiloidosi (tutti-moderatore Mauro-Pradotto)

 17:00 Conclusione