

# Informazioni ai donatori e donatrici apparentati di cellule staminali del sangue

## Indice

1. Prefazione
2. Principi della donazione di cellule staminali del sangue
3. Tipizzazione familiare
4. Visita medica pre-donazione
5. La donazione di cellule staminali del sangue periferico
6. La donazione di midollo osseo
7. La donazione di linfociti (Donor Lymphocyte Infusion, DLI)
8. Controlli post-donazione (FollowUp)
9. Informazioni aggiuntive importanti
10. Assicurazioni e costi
11. Riceventi di cellule staminali del sangue
12. Organizzazioni e partner

# 1. Prefazione



*Prof. Dr. med. Jörg Halter*

## **Caro donatore, Cara donatrice,**

oggi, lei o suo figlio/sua figlia si trova coinvolto/a concretamente nella procedura di ricerca di un donatore / una donatrice per un membro della sua famiglia che necessita di un trapianto di cellule staminali del sangue.

Con le presenti informazioni ai donatori e alle donatrici desideriamo fornirle una panoramica dettagliata del contesto e delle modalità con cui si svolge una donazione. Al tempo stesso, vogliamo contribuire a chiarire eventuali dubbi e rispondere a domande in sospeso.

Le segnaliamo che si tratta di informazioni di carattere generale. È quindi possibile che, a seconda del centro dove avviene la donazione, la procedura sia leggermente diversa.

Per ogni domanda o richiesta supplementare in merito alla donazione di cellule staminali del sangue, non esiti a contattare il suo interlocutore medico.

PD Dr. med. Jörg Halter  
Presidente di SBST (Swiss Blood Stem Cell Transplantation and Cellular Therapy)

## 2. Principi della donazione di cellule staminali del sangue

**Che cosa sono le cellule staminali?**

Il termine «cellule staminali» si applica sia alle cellule staminali embrionali sia alle cellule staminali adulte.

**Le cellule staminali embrionali** sono cellule primitive che – come dice il loro nome – si ritrovano in ogni embrione. Sono cellule non ancora specializzate che possiedono la straordinaria capacità di differenziarsi e di trasformarsi in molti tipi diversi di cellule o di tessuti.

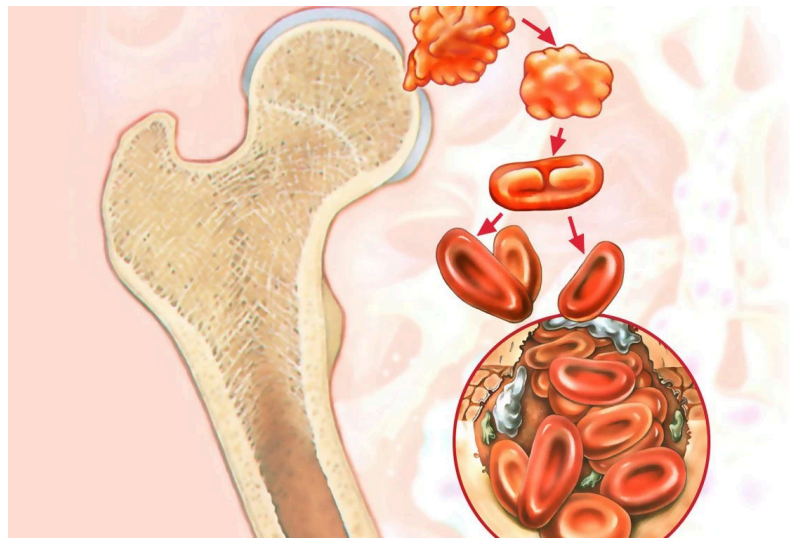
**Le cellule staminali adulte** sono quella categoria di cellule staminali che si ritrovano nel corpo di un adulto a partire dalla nascita. Esse sono potenzialmente in grado di differenziarsi in determinati tipi di tessuti specializzati.

**Che cosa sono le cellule staminali del sangue?**

Le cellule staminali del sangue, chiamate anche cellule staminali ematopoietiche, sono una forma delle cellule staminali adulte. Esse sono responsabili della produzione di tutte le cellule del sangue (globuli rossi, globuli bianchi e piastrine). Una produzione difettosa delle cellule del sangue porterà allo sviluppo di un numero eccessivo o ridotto di cellule oppure alla formazione di cellule degenerate. A seconda del tipo di difetto, quindi, le cellule del sangue non saranno probabilmente più in grado di svolgere i loro compiti specifici.

Quando si parla di donazione di cellule staminali del sangue non si intende mai la donazione di cellule embrionali, ma unicamente la donazione di cellule staminali ematopoietiche (in grado di produrre sangue).

**In quale parte del corpo si trovano le cellule staminali del sangue?**



Le cellule staminali del sangue si trovano principalmente nel midollo osseo, dove si formano le cellule del sangue vere e proprie. Una minima quantità di cellule staminali del sangue è presente anche nel sangue periferico (circolazione sanguigna). Negli adulti, il midollo osseo responsabile della formazione del sangue si trova principalmente nel cranio e nello scheletro del tronco (ossa del bacino, costole e vertebre).

**Importante:** *il midollo osseo non va confuso con il midollo spinale: una donazione di midollo osseo non causerà quindi alcun danno al midollo spinale.*

## **Che cosa sono gli antigeni HLA?**

Il termine «sistema HLA» (antigeni leucocitari umani) definisce un sistema di antigeni di superficie presenti sulle cellule di diversi tessuti e identificabili particolarmente bene sui globuli bianchi (leucociti). Questi caratteri tissutali svolgono una funzione centrale nel sistema immunitario e sono molto importanti per distinguere tra il «proprio» e l'«estraneo». Si ereditano per metà dalla madre e per metà dal padre. La ricomposizione di questi caratteri dà origine a miliardi di combinazioni diverse.

## **Perché i caratteri tissutali devono essere compatibili?**

La compatibilità dei caratteri tissutali tra il donatore e il ricevente (= paziente) è un fattore determinante per la riuscita di un trapianto di cellule staminali del sangue. Se le differenze tra i caratteri tissutali sono troppo marcate, vi è un pericolo di rigetto delle cellule trasfuse da parte del corpo del/della ricevente, con reazioni che possono essere anche violente. Questa reazione è chiamata «malattia del trapianto contro l'ospite» (dall'inglese Graft-versus-Host Disease, GvHD). Inversamente, in caso di incompatibilità vi è anche un aumento del rischio di rigetto delle cellule trapiantate da parte del corpo del ricevente.

In un trapianto di cellule staminali del sangue, le differenze di gruppo sanguigno svolgono un ruolo secondario.

Lei è stato/a selezionato/a in base alle sue caratteristiche HLA per donare le sue cellule staminali del sangue a una persona malata della sua famiglia. Le sue cellule verranno utilizzate esclusivamente nel contesto del trapianto sul/sulla paziente in questione.

## **Chi necessita di un trapianto di cellule staminali del sangue?**

Si tratta di pazienti che soffrono di una malattia del sangue mortale e la cui speranza di vita senza trapianto è molto ridotta.

*vedi capitolo [«Riceventi di cellule staminali del sangue»](#)*

## **Chi può diventare donatore o donatrice?**

Si distingue tra donatori/donatrici con o senza legami di parentela. Tra consanguinei, grazie ai fattori genetici, la probabilità di compatibilità è più alta che tra le persone senza grado di parentela. Tra membri di una stessa famiglia – soprattutto tra fratelli e sorelle – la probabilità di trovare un donatore/una donatrice identico/a si aggira attorno al 20–30%. Da alcuni anni, in certi casi è possibile che anche i membri della famiglia geneticamente semi-identici vengano presi in considerazione per i cosiddetti trapianti aploidentici.

Se non si riesce a trovare un donatore/una donatrice compatibile all'interno della famiglia, si procederà alla ricerca di un donatore/una donatrice compatibile non apparentato/a.

## Quali tipi di donazione esistono?

Per prelevare le cellule staminali del sangue, esistono due tipi diversi di prelievo:

In una **donazione di cellule staminali del sangue periferico, PBSC**, le cellule vengono prelevate dal sangue tramite un separatore cellulare. Per far sì che il numero di cellule staminali del sangue presenti nel circolo sanguigno sia sufficiente, alcuni giorni prima del prelievo vengono somministrati dei fattori di crescita.

Vedi capitolo [«La donazione di cellule staminali del sangue periferico»](#)

Nella **donazione di midollo osseo**, il midollo osseo viene prelevato direttamente dalle ossa del bacino (la cresta iliaca).

Vedi capitolo [«La donazione di midollo osseo»](#)

Oggi giorno, oltre l'90% di tutte le donazioni di cellule staminali del sangue avviene per via periferica – i prelievi di midollo osseo sono meno del 10%.

## La donazione di cellule staminali del sangue è pericolosa?

Le tecniche di prelievo utilizzate sono dei metodi molto sicuri e comprovati. In alcuni casi, la donazione può avere alcuni effetti collaterali, i quali di regola sono però di breve durata.

vedi capitoli [«La donazione di cellule staminali del sangue periferico»](#) / [«La donazione di midollo osseo»](#)

Per escludere i possibili rischi sulla salute legati a una donazione, ogni donatore viene sottoposto ad accurati accertamenti prima del prelievo.

## Quali principi etici si applicano nel caso di una donazione di cellule staminali del sangue?

La donazione di cellule staminali del sangue si basa su questi principi:

- **Non retribuzione:** in una donazione, nessuna delle parti riceve vantaggio finanziario. Le spese vengono rimborsate.
- **Volontariato:** il donatore/la donatrice può revocare il proprio consenso in ogni momento.

### 3. Tipizzazione familiare

**Come faccio a sapere se sono stata/o selezionato/a come potenziale il donatore o la donatrice?**

Quando una persona, a causa di una grave malattia, necessita di un trapianto di cellule staminali del sangue, i familiari sono contattati e viene chiesto loro se sono disposti a donare le proprie cellule staminali al parente malato. Nel caso di una donazione di cellule staminali del sangue, vale il principio della volontarietà e la sua decisione di donare deve poter venir presa senza pressioni esterne. Se, in linea di massima, lei acconsente alla donazione, le verranno poste alcune domande inerenti al suo stato di salute.

**Che cosa significa «Tipizzazione familiare»?**

Se lei è disposto/a a donare le proprie cellule staminali del sangue e il suo profilo non rientra fondamentalmente nei criteri di esclusione, verrà eseguita una tipizzazione tessutale degli antigeni HLA per lei e per ogni altro membro della famiglia che soddisfi i requisiti per una donazione. Questa cosiddetta tipizzazione familiare viene effettuata allo scopo di trovare il donatore più adatto. Le tipizzazioni vengono eseguite su campioni di sangue, di saliva o di mucosa (tampone ovattato).

**Quali sono le tappe successive se vengo selezionato/a come donatore o donatrice?**

Se, sulla base della tipizzazione HLA, il suo profilo soddisfa i requisiti richiesti per diventare donatore o donatrice, lei verrà contattato/a dal centro nel quale il/la paziente viene curato/a e seguito/a. In Svizzera, questi centri sono le Cliniche universitarie di Basilea, Ginevra e Zurigo, come pure l'Ospedale pediatrico di Zurigo (Kinderspital).

Il centro in questione la informerà in merito alle tappe successive. Tra esse, vi è anche la pianificazione delle varie visite e degli accertamenti medici necessari prima della donazione e per la donazione stessa. Nel limite del possibile, durante la fase di pianificazione verrà tenuto conto dei bisogni individuali di ogni donatore o donatrice.

**Quali sono le tappe successive se mio figlio o mia figlia viene selezionato/a come donatore o donatrice?**

In qualità di rappresentante legale di suo figlio o di sua figlia (bambino/a o adolescente al di sotto dei 18 anni), lei verrà contattato/a dal centro nel quale il/la paziente viene curato/a e seguito/a. In Svizzera, questi centri sono le Cliniche universitarie di Basilea, Ginevra e Zurigo, come pure l'Ospedale pediatrico di Zurigo (Kinderspital). Le verrà chiesto se acconsente che suo figlio o sua figlia doni le proprie cellule staminali del sangue. Suo figlio/sua figlia verrà beninteso implicato/a in modo determinante in questa decisione non appena la sua età glielo consentirà. Il principio della volontarietà vale anche nel caso di una donazione di cellule staminali del sangue da parte di un bambino o di un adolescente. Anche in questo caso, quindi, la decisione di donare deve poter venir presa senza pressioni esterne.

Se voi e vostro figlio o vostra figlia decidete di donare, sarete informati sui prossimi passi dal centro responsabile. Tra esse, vi è anche la pianificazione delle varie visite e degli accertamenti medici necessari prima della donazione e per la donazione stessa. Nel limite del possibile, verrà tenuto conto dei suoi bisogni e di quelli di suo figlio/sua figlia. In qualità di rappresentante legale, lei

accompagnerà suo figlio/sua figlia durante tutte le fasi preparatorie successive nonché durante la donazione e sarà tenuto/a a firmare tutti i documenti necessari.

**Quali indicazioni dovrò osservare da ora in poi?**

A partire da oggi, la preghiamo di osservare le seguenti disposizioni:

- informi il suo interlocutore del centro prelievi in merito a eventuali nuove malattie e/o a operazioni urgenti;
- discuta con il suo interlocutore del centro prelievi in merito ai suoi progetti di viaggio in paesi a rischio (ad es. in zone dove è presente la malaria). Gli altri tipi di soggiorno (in destinazioni non a rischio) non pongono problemi.
- non doni più il sangue.

## 4. Visita medica pre-donazione

### Dove si svolge la visita medica pre-donazione?

La visita medica che precede una donazione di cellule staminali del sangue e la donazione stessa si svolgono in uno dei centri di prelievo svizzeri, nelle Cliniche universitarie di Basilea, Ginevra e Zurigo o all'Ospedale pediatrico di Zurigo (Kinderspital). Nel caso di una donazione tra persone della stessa famiglia, gli accertamenti si svolgono in genere nello stesso ospedale nel quale si trova il centro trapianti.

Per i bambini e gli adolescenti al disotto dei 18 anni, gli accertamenti vengono effettuati in un ospedale pediatrico o in un reparto pediatrico degli ospedali menzionati in precedenza.

### Quanto tempo dura la visita medica pre-donazione?

Per gli accertamenti medici le consigliamo di prevedere una giornata intera.

### Chi è il mio interlocutore?

Durante l'intera fase di preparazione alla donazione, lei sarà seguito/a da un medico o da un'altra persona competente del centro prelievi. Gli accertamenti medici verranno effettuati da un medico che non segue contemporaneamente il/la paziente. Ciò consente di evitare i conflitti di interesse.

### Che cosa comprende la visita medica pre-donazione?

Per preservare la sua salute nonché quella del/della ricevente e per definire la sua idoneità alla donazione, è necessario un accertamento medico accurato. Esso comprende:

- un colloquio informativo dettagliato;
- un colloquio dettagliato in merito alla sua storia clinica e ai possibili fattori di rischio;
- la compilazione di un questionario medico; un esame clinico;
- una tipizzazione di controllo per confermare le sue caratteristiche HLA;
- una serie di analisi di laboratorio per identificare le principali malattie infettive trasmissibili come ad es. le epatiti B, C e E, l'HIV, la sifilide, la citomegalia;
- una determinazione del gruppo sanguigno e, nelle donne in età fertile, un test di gravidanza;
- se necessario, esami aggiuntivi come ad es. un ECG;
- un colloquio psicologico.

Lei ha beninteso il diritto di consultare in ogni momento i risultati delle analisi e degli esami.

**Di che cosa tratta il colloquio informativo?**

Nel corso di questo colloquio, lei verrà informato/a dettagliatamente in merito agli ulteriori esami necessari nonché alla preparazione e allo svolgimento di una donazione di cellule staminali del sangue. Le verranno inoltre spiegati i due tipi diversi di donazione come pure i possibili rischi ed effetti indesiderati. In linea di principio, un trapianto può venir eseguito con cellule provenienti da entrambi i tipi di prelievo (midollare o periferico). A seconda della malattia del/della ricevente, e per motivi medici, verrà scelto l'uno o l'altro tipo di prelievo.

**Perché nel corso del colloquio informativo si sottolinea l'importanza dello stress psicologico?**

Una donazione per un familiare può comportare un elevato stress psicologico. In aggiunta alle preoccupazioni riguardo allo stato di salute della persona malata, possono sorgere diverse domande, come ad es. «la mia donazione salverà la vita a mio fratello/mia sorella?», oppure «come reagirò se il mio/la mia parente dovessero sviluppare complicazioni in seguito alla mia donazione o se la sua malattia, nonostante la donazione, non riuscisse a guarire e il/la paziente dovesse addirittura morire?».

Se nota che domande del genere la preoccupano, non esiti a discuterne con il suo interlocutore del centro prelievi. In caso di bisogno, lei ha la possibilità e il diritto di beneficiare in ogni momento di un sostegno psicologico professionale.

**Perché durante la visita medica pre-donazione si svolge un colloquio psicologico?**

L'ordinanza sui trapianti prevede che la volontarietà e il carattere non retributivo di ogni donazione vengano valutati da un'istanza indipendente. Per questo motivo, è possibile che si svolga anche un colloquio con uno psicologo. Durante questo colloquio, o in occasione di una discussione con il suo interlocutore del centro prelievi, verranno specificatamente affrontate anche le questioni dello stress psicologico e delle possibili ripercussioni psicologiche di una donazione di cellule staminali del sangue a un familiare.

Nel caso di donazioni effettuate da bambini o adolescenti, viene generalmente chiamato in causa anche il comitato etico cantonale.

**Quando devo prendere una decisione vincolante in merito alla donazione? Sarà una decisione irrevocabile?**

In linea di principio, lei ha il diritto di revocare la sua disponibilità a donare le sue cellule staminali del sangue in ogni momento. Un intervento medico non può mai avvenire contro la volontà della persona interessata!

Dopo aver accertato la sua attitudine alla donazione di cellule staminali del sangue nel corso della visita medica pre-donazione, le verrà chiesto di dare il suo consenso per iscritto. Da un punto di vista giuridico, un prelievo di cellule staminali del sangue è considerato un intervento medico. Dovrà attestare con la sua firma che ha capito di che cosa si tratta e che dà il suo accordo per questo intervento. Per i minorenni è necessario un consenso scritto, firmato dai rappresentanti legali.

Se a partire da questo momento dovesse cambiare idea, non sarà svantaggiato/a in alcun modo. Tuttavia, è possibile che il/la paziente debba subire gravi danni alla salute o addirittura morire, se la chemioterapia o la radioterapia preparatoria sono già in fase avanzata o terminate e la trasfusione di cellule staminali del sangue non può essere effettuata.

È quindi importante che le ragioni a favore o contro una donazione vengano soppesate per tempo, per poter in seguito prendere una decisione (vincolante).

### **Qual è il rischio che l'équipe di trapianto annulli la donazione all'ultimo momento?**

Anche se ciò non avviene spesso, è importante che questa possibilità non venga completamente trascurata. Alcuni/e donatori o donatrici si preparano fisicamente e psicologicamente alla donazione, spesso in modo intenso, e possono reagire con delusione a un improvviso rifiuto. Un rifiuto può essere provvisorio o definitivo.

Il rifiuto al prelievo di cellule staminali del sangue può avere diverse ragioni, ad es.:

- Lo stato di salute del/della paziente è peggiorato. Al momento, non è quindi possibile eseguire il trapianto.
- Il/la paziente ha reagito sorprendentemente bene alle terapie alternative. Al momento, un trapianto risulta quindi superfluo.

### **Quando devo informare il mio datore di lavoro della probabile durata della mia incapacità di lavoro?**

Gli appuntamenti per i prelievi vengono in genere discussi e fissati nel corso del primo contatto telefonico con il centro prelievi. Dopodiché, è utile informare il proprio datore di lavoro.

La durata dell'eventuale incapacità di lavoro dipende dal tipo di donazione.

vedi capitoli «*La donazione di cellule staminali del sangue periferico*» / «*La donazione di midollo osseo*»

### **Quando e a chi devo annunciare un cambiamento del mio stato di salute che si manifesta prima della donazione?**

La trasmissione di una malattia infettiva, che potrebbe essere presente nel suo sangue, rappresenterebbe un grosso rischio per il/la ricevente. La preghiamo quindi di contattare immediatamente la sua persona di contatto del centro prelievi nei casi seguenti:

- Se deve fare un viaggio/soggiorno all'estero imprevisto prima della donazione.
- Se si ammala nei giorni che precedono la donazione (febbre, raffreddore, tosse, ecc.) e/o se deve assumere nuovi farmaci.
- Se entra in contatto con persone che soffrono di malattie infettive.
- Se nel periodo che precede la donazione di cellule staminali del sangue deve sottoporsi a interventi dentistici.

In caso di imprevisti (compresi gli incidenti), informi immediatamente la sua persona di contatto del centro prelievi. In alcuni casi, può accadere che se il donatore o la donatrice si ammala, la data del trapianto dev'essere spostata, per non nuocere né al donatore né al ricevente.

## 5. La donazione di cellule staminali del sangue periferico

**Come si svolge una donazione di cellule staminali del sangue periferico?**

Cinque giorni prima del prelievo di cellule staminali del sangue periferico (Peripheral Blood Stem Cells, PBSC) inizia la cosiddetta mobilizzazione delle sue cellule staminali del sangue, con la prima iniezione di fattori di crescita.

La donazione avviene nel centro prelievi competente: Basilea, Ginevra, Zurigo oppure, per i bambini e gli adolescenti al di sotto dei 18 anni, negli Ospedali pediatrici di Zurigo o Basilea o nel reparto pediatrico dell'Ospedale universitario di Ginevra. La donazione dura un giorno e viene di regola effettuata in ambulatorio.

Il sangue viene prelevato tramite un catetere venoso e viene in seguito inviato attraverso un separatore cellulare. In quest'apparecchio, le cellule staminali del sangue vengono prelevate dal suo sangue in modo selettivo e vengono raccolte in una sacca. Il sangue rimanente le viene in seguito restituito attraverso un secondo catetere venoso. Questa procedura viene chiamata aferesi. Essa dura da tre a sei ore – un lasso di tempo che consente di raccogliere la quantità desiderata di cellule staminali del sangue.

**Quanto tempo dovrò rimanere al centro prelievi?**

In linea di principio, lei potrà lasciare il centro prelievi subito dopo la donazione – a condizione, naturalmente, che il prelievo si sia svolto senza particolari problemi e che lei si senta bene. In generale, preveda di trascorrere una giornata intera al centro prelievi.

**Quanto durerà, all'incirca, la mia incapacità lavorativa rispettivamente per quanto tempo dovrò stare assente da scuola?**

Anche se il prelievo, come previsto, viene effettuato in ambulatorio e si svolge senza problemi, la sua capacità di lavoro dopo una donazione può essere ridotta. È possibile provare una certa stanchezza per alcuni giorni dopo la donazione. A seconda del tipo di sforzo fisico richiesto dalla sua professione, le consigliamo di prevedere un'incapacità di lavoro che va da due a tre giorni.

**Bambini e adolescenti:** la condizione psicologica è determinante per poter decidere in quale momento sia opportuno riprendere la scuola. Per una convalescenza ottimale, occorre eventualmente prevedere un periodo di riposo prolungato.

**Perché prima della donazione sono necessari dei fattori di crescita?**

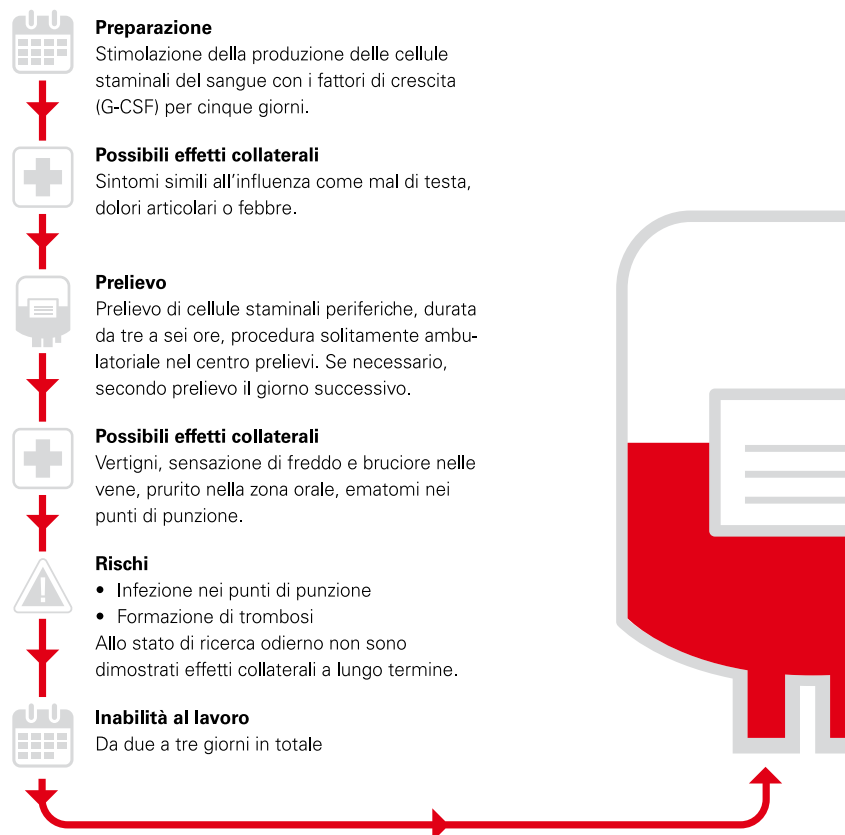
Nel sangue periferico sono presenti alcune cellule staminali del sangue, ma il loro numero non è sufficiente per una donazione. Per questo motivo, cinque giorni prima del prelievo vero e proprio si eseguono le prime iniezioni di fattori di crescita (Granulocyte Colony-Stimulating Factor, G-CSF), per stimolare la proliferazione delle cellule staminali del sangue che si trovano nel midollo osseo e per far sì che esse, in seguito, possano venir rilasciate nel sangue periferico: si tratta della cosiddetta mobilizzazione.

Il G-CSF è un medicinale che va iniettato da una a due volte al giorno nel tessuto adiposo sotto la pelle, ad es. nella coscia. Queste iniezioni non vanno necessariamente eseguite nel centro prelievi, ma possono venir effettuate dal suo medico di famiglia, dal personale di un altro istituto medico oppure direttamente da lei. Per

precauzione, la prima iniezione va però sempre eseguita sotto sorveglianza medica, in quanto in alcuni rari casi si possono verificare delle reazioni allergiche. Questa prima iniezione verrà organizzata dall'équipe del centro prelievi.

## Quali sono i possibili rischi ed effetti indesiderati dei fattori di crescita di cui devo tener conto?

### Donazione di cellule staminali del sangue periferico



I possibili effetti indesiderati possono manifestarsi sotto forma di sintomi influenzali come febbre, mal di testa, dolori articolari o spossatezza. La percezione di questi sintomi può variare da persona a persona. Questi disturbi possono venir curati grazie a dei semplici antidolorifici, che le verranno dati al centro prelievi. Questi possibili sintomi scompaiono poco tempo dopo la donazione. Nei punti di iniezione possono formarsi dei piccoli ematomi passeggeri.

Degli episodi di trombosi o di embolia non sono da escludere completamente (soprattutto in caso di predisposizione). Alcuni effetti indesiderati sono stati osservati anche in donatori/donatrici che presentano delle malattie infiammatorie croniche o autoimmuni. Queste malattie – a condizione che siano note – sono quindi considerate dei criteri di esclusione per una donazione. In alcuni casi rari, una donazione può causare la rottura della milza.

In generale, sulla base delle conoscenze attuali, si può però affermare che il rischio di effetti secondari a lungo termine è molto basso.

## Che cosa sono i medicinali biosimilari e quando vengono utilizzati?

Da alcuni anni, in Svizzera sono autorizzati anche i cosiddetti medicinali biosimilari. Si tratta di prodotti di imitazione dei medicinali originali, chiamati biologici. I farmaci biosimilari vengono impiegati sempre più spesso in sostituzione dei fattori di crescita originali.

## **Quando è necessario somministrare il Plerixafor?**

Il Plerixafor viene impiegato se, dopo una prima somministrazione di G-CSF / medicinali biosimilari, il numero di cellule staminali del sangue mobilizzate è insufficiente. Grazie a un meccanismo di azione diverso, il Plerixafor è in grado di stimolare un maggior rilascio di cellule staminali dal midollo osseo al sangue periferico.

## **Quali sono i possibili rischi ed effetti indesiderati del Plerixafor o dei medicinali biosimilari di cui devo tener conto?**

Questi medicinali hanno gli stessi possibili effetti dei prodotti G-CSF, ossia sintomi influenzali come febbre, mal di testa, dolori articolari o stanchezza. Inoltre, possono verificarsi anche nausea o diarrea.

I medicinali biosimilari e il Plerixafor sono approvati da Swissmedic (autorità svizzera di omologazione e di controllo dei medicinali) da molti anni per la mobilizzazione delle cellule staminali. La sicurezza e la qualità di questi preparati sono state dimostrate da diversi studi, sia per i/le pazienti sia per i donatori/le donatrici.

Swiss Blood Stem Cells (SBSC) di Trasfusione CRS Svizzera e Swiss Blood Stem Cell Transplantation and Cellular Therapy (SBST) si preoccupano di garantire la qualità e la sicurezza della donazione con ogni tipo di prodotto utilizzato. Per questo motivo, dopo la somministrazione di Plerixafor vengono eseguiti dei controlli post-donazione specifici e mirati.

vedi capitolo [«Controlli post-donazione»](#)

## **Quali sono i possibili rischi ed effetti indesiderati di un'afèresi di cui devo tener conto?**

Prima, durante e dopo l'afèresi lei verrà controllato/a e sorvegliato/a attentamente, per evitare il più possibile rischi e complicazioni.

I rischi possibili sono degli ematomi nel punto di iniezione, delle rare infezioni localizzate o un'inflammatione delle vene (flebite).

Durante l'afèresi, è necessario che il sangue all'interno dell'apparecchio venga diluito per un breve lasso di tempo. La sostanza utilizzata (citrato) può provocare come effetto indesiderato un formicolio alle labbra o sulla punta delle dita, e in rari casi anche dei crampi muscolari. Per prevenire questi disturbi, durante la donazione le verrà somministrato del calcio.

## **Come posso prepararmi alla donazione?**

La sua persona di contatto del centro prelievi la informerà per tempo e in modo dettagliato sui preparativi necessari.

Durante tutta la procedura di donazione, lei rimarrà sdraiato/a su un lettino per un periodo che va da tre a sei ore. Per questo motivo, è utile:

- Consumare un pasto leggero prima della donazione e bere molti liquidi nei giorni precedenti la donazione.
- Portare con sé uno smartphone, un tablet o un laptop con le cuffiette, per poter ascoltare musica o degli audiolibri, o per guardare dei video.
- Indossare vestiti comodi e non troppo stretti.

È forse possibile che un conoscente, un amico o un parente la accompagni alla donazione. Supporto e distrazione possono senz'altro essere utili.

### Quali situazioni particolari possono verificarsi?

- In alcuni casi, nonostante l'iniezione dei fattori di crescita, non si riesce a mobilitare un numero sufficiente di cellule staminali del sangue dal midollo osseo al sangue periferico. Se durante l'aferesi non si riescono a raccogliere abbastanza cellule, è necessario eseguire una nuova aferesi il giorno seguente. In rarissimi casi, è necessaria una terza aferesi o una donazione di midollo osseo.
- Uno degli esami pre-donazione consiste nell'esame delle vene delle braccia. Se esse non sono adatte a una donazione su apparecchio per aferesi, occorrerà posizionare un catetere centrale che rimarrà inserito per tutta la durata della donazione. Se ciò dovesse verificarsi, le sarà richiesta una sua previa autorizzazione. L'inserzione del catetere nella vena cava superiore viene eseguita sotto anestesia locale. Si tratta di un intervento di routine, che causa complicazioni solo raramente (ad es. un'infezione locale al punto di iniezione o un danno ai polmoni). Per verificare se il catetere è stato inserito correttamente e per escludere un danno ai polmoni, dopo l'inserzione del catetere viene eseguita una radiografia di routine.

Per poter ridurre al minimo ogni tipo di rischio, lei dovrà rimanere in ospedale per tutto il tempo in cui il catetere è inserito nella vena. Analogamente, se il catetere viene introdotto il giorno prima del prelievo, lei rimarrà in ospedale per la notte.

La raccolta delle cellule staminali del sangue tramite catetere centrale avviene allo stesso modo che il prelievo dalle vene periferiche. Dopo la raccolta delle cellule staminali del sangue, il catetere viene estratto. Per sicurezza, deve rimanere in ospedale ancora per circa una o due ore.

### Quali misure devo rispettare nei primi giorni dopo la donazione?

Non vi sono comportamenti precisi da adottare a questo riguardo. Dopo una donazione, la maggior parte dei donatori/delle donatrici si sente subito bene e non ha più alcun disturbo.

#### **Per le professioni, gli hobby o le attività sportive a rischio si applicano alcune disposizioni particolari:**

- **Professioni:** ad es. piloti, macchinisti, autisti di veicoli pesanti o di autobus, persone che devono maneggiare macchine e attrezzi, che devono arrampicarsi su scale o impalcature, conduttori di gru e sommozzatori.
- **Hobby:** ad es. immersione in acque profonde, arrampicata, parapendio, volo a vela o a motore, gare automobilistiche o motociclistiche.

Se esercita una di queste professioni o pratica una di queste attività sportive, la preghiamo di informarsi preventivamente presso il centro prelievi.

**E se dovessi sentirmi male dopo la donazione?**

Se nei primi giorni che seguono la donazione dovessero comparire sintomi inattesi o preoccupanti, la preghiamo di contattare per tempo le sue persone di contatto del centro prelievi, che metteranno in atto gli eventuali accertamenti medici necessari. In questo caso, i controlli successivi verranno presi a carico dal centro prelievi, fino alla completa guarigione.

## 6. La donazione di midollo osseo

### Come si svolge una donazione di midollo osseo?

Il prelievo di midollo osseo si svolge sotto anestesia generale e viene eseguito da medici specializzati. Il giorno prima del prelievo, lei si recherà al centro prelievi competente (adulti: Basilea, Ginevra, Zurigo; bambini e adolescenti: Ospedale pediatrico di Zurigo, Basilea o il reparto pediatrico dell'Ospedale universitario di Ginevra). L'anestesista la esaminerà e discuterà con lei dei dettagli dell'anestesia (se ciò non è già avvenuto durante la visita medica pre-donazione).

La donazione avviene tramite punzioni ripetute dalla cresta iliaca. Il prelievo dura in genere da un'ora e mezza a due ore.

Il midollo osseo rimosso si riforma completamente nel giro di qualche settimana.

### Quanto dura la degenza in ospedale?

Di regola, la degenza in ospedale dura tre giorni rispettivamente due notti. Lei si recherà in ospedale il giorno prima del prelievo e sarà dimesso/a il giorno dopo la donazione, a condizione, naturalmente, che non vengano rilevati problemi durante la visita medica di controllo e che lei si senta bene.

Durante la degenza, verrà preso/a a carico nel reparto comune.

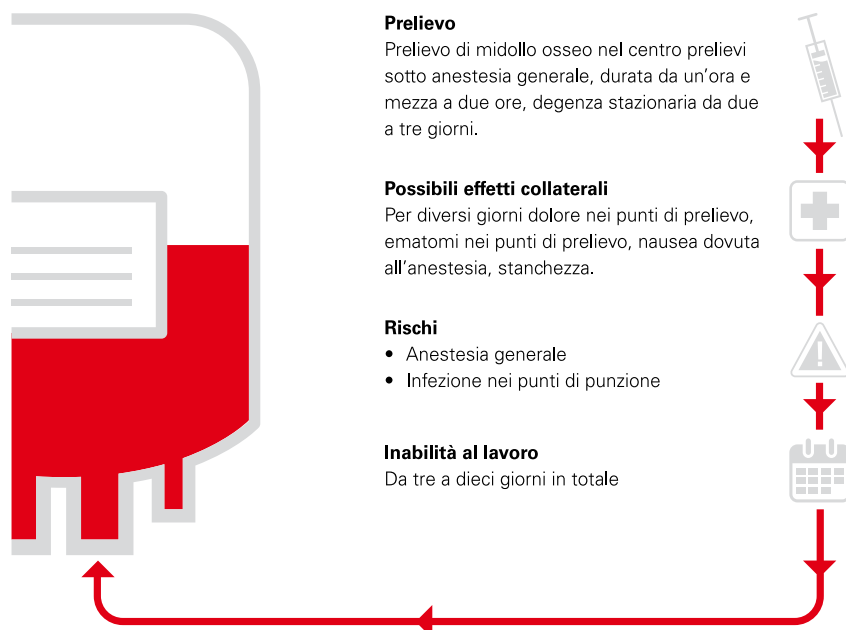
### Quanto durerà, all'incirca, la mia incapacità lavorativa rispettivamente per quanto tempo dovrò stare assente da scuola?

Se il prelievo si svolge come previsto e senza problemi, la capacità di lavoro è ridotta per alcuni giorni. La stanchezza e i dolori al sito di punzione possono durare ancora un po' di tempo. A seconda del tipo di sforzo fisico richiesto dalla sua professione, le consigliamo di prevedere un'incapacità di lavoro che va da tre a dieci giorni.

**Bambini e adolescenti:** la condizione psicologica è determinante per poter decidere in quale momento sia opportuno riprendere la scuola. Per una convalescenza ottimale, occorre eventualmente prevedere un periodo di riposo prolungato.

## Quali sono i rischi e gli effetti indesiderati di una donazione di midollo osseo?

### Donazione di midollo osseo



Prima, durante e dopo la donazione lei verrà attentamente controllato/a e sorvegliato/a, per evitare il più possibile rischi e complicazioni.

Siccome un prelievo di midollo osseo sarebbe doloroso senza narcosi, è necessaria un'anestesia generale. Oggigiorno, le complicazioni legate a un'anestesia generale sono però minime.

L'anestesia può causare una leggera nausea.

I rischi possibili sono gli ematomi ai siti di punzione. Vi è anche un piccolo rischio di infezione, come avviene generalmente per tutti i tipi di punzione.

Dopo il prelievo, ai siti di punzione avvertirà dolori stando seduto/a, salendo le scale e durante uno sforzo fisico. Questi dolori possono venir attenuati con dei semplici antidolorifici.

In caso di sforzo fisico intenso, nelle due a tre settimane seguenti si possono manifestare dei dolori simili ai reumatismi, anche se la percezione del dolore è comunque diversa da persona a persona. Anche in questo caso, se necessario le consigliamo di assumere degli antidolorifici. Si può inoltre provare stanchezza per un certo periodo.

## Perché in certi casi prima del prelievo viene eseguita una donazione autologa di sangue?

La donazione di midollo osseo causa una perdita di sangue. Viene prelevato il 10–20 % del suo volume di sangue totale, che corrisponde a una quantità che può raggiungere gli 1,3 litri circa di miscuglio di midollo osseo e sangue. In alcuni casi, quindi, prima della donazione di cellule staminali del sangue vera e propria si esegue un prelievo di sangue autologo, per poterlo ritrasfondere al donatore / alla donatrice in caso di necessità. Al giorno d'oggi, però, una trasfusione autologa è necessaria solo in rari casi.

## **Che cosa devo portare con me in ospedale?**

La sua persona di contatto del centro prelievi la informerà per tempo e in modo chiaro e dettagliato dei preparativi necessari.

Le consigliamo di portare con sé gli effetti personali abituali necessari a una breve degenza in ospedale, come ad es.:

- Gli articoli per l'igiene personale
- Uno smartphone, un tablet o un Laptop con cuffiette, per ascoltare musica o degli audiolibri, o per guardare un video
- Letture
- Per il ritorno a casa dopo la donazione, eventualmente un cuscino, per proteggere il punto di prelievo dolente a livello della cresta iliaca e vestiti larghi e comodi (eventualmente un training)
- Non è consigliabile portare con sé gioielli (anelli, ecc.) o altri oggetti di valore in ospedale.

## **A che cosa devo fare attenzione nei primi giorni dopo la donazione di midollo osseo?**

Le sue persone di contatto del centro prelievi discuteranno con lei in tempo utile le misure di comportamento più adatte. In linea di massima, valgono le seguenti raccomandazioni:

- È sconsigliato guidare appena usciti dall'ospedale e rientrare con i mezzi pubblici può essere molto faticoso. Nel limite del possibile, le consigliamo di farsi venire a prendere in automobile o in taxi. È preferibile organizzare il rientro prima del ricovero.
- Dopo la degenza, le consigliamo di riposarsi a casa per uno o due giorni. A seconda del tipo di sforzo fisico richiesto dalla sua professione, questa fase può durare più a lungo.
- In linea di principio, le consigliamo di non fare sforzi fisici eccessivi durante i primi giorni dopo la donazione!
- Durante i primi giorni dopo la donazione, tenga le gambe rialzate il più spesso possibile, si riposi ed eviti il più possibile movimenti o attività che potrebbero causare dolore (ad es. salire le scale, sporgersi o piegarsi in avanti).
- Prenda i medicinali che le vengono prescritti (ad es. le pastiglie di ferro). Gli antidolorifici vanno assunti per tempo, prima che il dolore diventi troppo forte.
- Nelle prime due settimane, si sentirà più stanco/a del solito. Ne tenga conto, ad es. se decide di guidare.
- Le consigliamo di attendere almeno cinque giorni prima di prendere l'aereo.
- Le normali attività sportive possono venir riprese normalmente alcuni giorni dopo la donazione. Gli atleti e gli sportivi di punta dovrebbero attendere almeno una settimana prima di riprendere gli allenamenti.

**Per le professioni, gli hobby o le attività sportive a rischio si applicano alcune disposizioni particolari:**

- **Professioni:** ad es. piloti, macchinisti, autisti di veicoli pesanti o di autobus, persone che devono maneggiare macchine e attrezzi, che devono arrampicarsi su scale o impalcature, conduttori di gru e sommozzatori.
- **Hobby:** ad es. immersione in acque profonde, arrampicata, parapendio, volo a vela o a motore, gare automobilistiche o motociclistiche.

Se esercita una di queste professioni o pratica una di queste attività sportive, la preghiamo di informarsi preventivamente presso il centro prelievi.

### **E se dovessi sentirmi male dopo la donazione?**

Se nei primi giorni che seguono la donazione dovessero comparire sintomi inattesi o preoccupanti, la preghiamo di contattare per tempo le sue persone di contatto del centro prelievi, che metteranno in atto gli eventuali accertamenti medici necessari. In questo caso, i controlli successivi verranno presi a carico dal centro prelievi, fino alla completa guarigione.

## 7. La donazione di linfociti (Donor Lymphocyte Infusion, DLI)

### Che cosa si intende con DLI?

I linfociti sono un sottogruppo dei globuli bianchi. La trasfusione di linfociti è una terapia efficace per i/le pazienti che presentano dei segni di ricaduta (recidiva) dopo un trapianto allogenico di cellule staminali del sangue o per i/le quali vi è un rischio di rigetto delle cellule trasfuse. I linfociti trasfusi rinforzano il sistema immunitario del ricevente e aiutano quindi a distruggere le nuove cellule cancerogene in formazione.

In alcuni casi, i donatori/le donatrici che hanno già donato midollo o cellule staminali del sangue periferico possono essere chiamati/e a donare i propri linfociti.

### Come si svolge una donazione DLI?

Prima di una donazione di linfociti, occorre verificare l'idoneità del donatore/della donatrice. Vengono quindi eseguiti gli stessi esami medici che si effettuano prima di una donazione di cellule staminali del sangue periferico.

Il prelievo di linfociti si svolge come la donazione di cellule staminali del sangue periferico, ossia per aferesi, e viene eseguito in uno dei centri di prelievo svizzeri. Vengono raccolti soprattutto i linfociti. Prima della donazione non occorre alcuna mobilizzazione medicamentosa, perché il numero di linfociti maturi che circola nel sangue periferico è sufficiente.

La raccolta delle cellule si svolge in ambulatorio e dura da due a quattro ore circa. Di regola, il donatore/la donatrice può ritornare al lavoro il giorno seguente.

I linfociti prelevati vengono per la maggior parte congelati in porzioni e somministrati progressivamente al/alla ricevente per infusione.

### Possono esserci rischi ed effetti indesiderati?

Siccome non vengono somministrati fattori di crescita, gli eventuali effetti indesiderati sono minimi e si limitano a quanto già precisato in merito alle possibili complicazioni di una puntura venosa e di un'aferesi. Dopo la donazione, ci si può eventualmente sentire un po'stanchi.

## 8. Controlli post-donazione (FollowUp)

**Come e da chi verrò seguito/a dopo la donazione?**

Secondo la legge federale sui trapianti e la sua ordinanza, ogni donatore o donatrice di cellule staminali del sangue periferico, di midollo osseo o di linfociti (DLI) deve sottoporsi a regolari controlli post-donazione in Svizzera. Dal 2017, il periodo di controllo post-donazione (FollowUp) dura fino a dieci anni. Trasfusione CRS Svizzera è l'istanza delegata per eseguire questi controlli.

Nei primi **sette a dieci giorni** dopo la donazione, il centro prelievi la contatterà per informarsi del suo stato di salute generale.

Il primo controllo medico post-donazione si svolge di solito **un mese dopo la donazione** e viene effettuato nel centro prelievi. Esso comprende delle domande mirate e un prelievo di sangue per controllare la formula sanguigna. Dopo un prelievo di midollo osseo, viene solitamente eseguito un esame medico, in primo luogo per valutare la guarigione del sito di puntura.

Un anno dopo un prelievo DLI, viene eseguito un nuovo controllo dei parametri del sangue. Se per la mobilizzazione delle cellule staminali del sangue è stato utilizzato il Plerixafor, ad ogni controllo successivo vengono eseguiti dei monitoraggi della formula sanguigna.

Tutti i controlli successivi si svolgono tramite un questionario e agli intervalli seguenti:

- **sei mesi** (contatto telefonico),
- **un anno e due anni** dopo la donazione,
- in seguito ogni **due anni fino a dieci anni** dopo la donazione.

Ogni questionario le viene recapitato da Swiss Blood Stem Cells di Trasfusione CRS Svizzera. Lei ha il diritto di non più beneficiare dei controlli successivi e può annotare questa preferenza nel formulario.

I dati di questi FollowUp vengono raccolti in forma pseudonimizzata per valutazioni successive.

Dopo ogni nuova donazione, la procedura di FollowUp ricomincia da capo.

**In caso di problemi posso pretendere di fare appello a un medico esterno di mia scelta?**

A richiesta, ciò è senz'altro possibile. In questo caso, voglia rivolgersi direttamente all'équipe di FollowUp di Swiss Blood Stem Cells e ne parli con loro.

**Ho il diritto a un sostegno psicologico dopo una donazione di cellule staminali del sangue?**

Una donazione di cellule staminali del sangue – soprattutto se il ricevente è un membro della famiglia – può comportare uno stress psicologico per lei o per suo figlio/sua figlia in qualità di donatore o donatrice. Lei ha la possibilità di beneficiare di un sostegno psicologico professionale. Non esiti a discuterne con il suo interlocutore del centro prelievi.

**Sono venuto dall'estero per la donazione. Come sarà organizzato il mio FollowUp?**

Tutti i donatori che hanno donato cellule staminali del sangue in Svizzera per un membro della famiglia sono inclusi nel processo di FollowUp. Per i donatori domiciliati all'estero i controlli successivi sono organizzati di conseguenza.

## 9. Informazioni aggiuntive importanti

**Come sono protetti i miei dati personali?**

Swiss Blood Stem Cells di Trasfusione CRS Svizzera è soggetta alla legge svizzera sui trapianti, alla relativa ordinanza e alla legge federale sulla protezione dei dati. I suoi dati personali verranno trattati in modo strettamente confidenziale e utilizzati in forma pseudonimizzata (ovvero sostituendo il suo nome con una combinazione di numeri a più cifre).

**Che cosa avviene dei campioni di sangue che mi sono stati prelevati?**

Ogni campione di sangue prelevato viene conservato per un lungo periodo dopo la donazione. Se in un secondo momento dovessero emergere questioni in merito al trapianto di importanza immediata per il/la ricevente, ci si potrà servire di questi campioni.

**Che cosa significa per me il termine «test genetici»?**

Dopo il trapianto, nel/nella ricevente vengono eseguiti degli esami genetici speciali. Ciò permette di controllare la proliferazione delle nuove cellule o di identificare per tempo un'eventuale ricomparsa della malattia. Questi esami permettono di ottenere dei risultati che possono essere importanti per il donatore/la donatrice.

Il centro trapianti competente non mancherà di informarla se dovesse venire a conoscenza di questo tipo di risultati.

**Può venirmi chiesto di donare di nuovo le mie cellule staminali del sangue?**

Se dopo il trapianto di cellule staminali del sangue si manifestano delle complicazioni nel/nella ricevente, l'équipe curante deciderà probabilmente di dover ripetere il trapianto. In questo caso, è possibile che lei sia sollecitato/a per una seconda donazione – di midollo osseo o di cellule staminali del sangue periferico – oppure per una donazione di linfociti (DLI).

**Quante volte al massimo sono autorizzato/a a donare?**

Allo scopo di proteggere i donatori, un donatore/una donatrice è autorizzato/a a donare le proprie cellule staminali del sangue al massimo tre volte. Siccome oggi i rischi relativi ai due tipi di prelievo sono considerati analoghi, sono ammesse due donazioni di cellule staminali del sangue periferico e una di midollo osseo, rispettivamente due donazioni di midollo osseo e una di cellule staminali del sangue periferico.

Per la donazione di linfociti (DLI), non vi è un limite massimo al numero di donazioni.

**Può succedere che vengano raccolte troppe cellule staminali? Che cosa accade a queste cellule?**

È possibile che vengano raccolte più cellule staminali del sangue di quante ne siano necessarie per il trapianto, o che esse non possano venir trapiantate al momento previsto, ad es. a causa di improvvise complicazioni nel ricevente. In questo caso, il prodotto può venir congelato in azoto liquido per poi essere utilizzato sullo stesso ricevente in un secondo tempo (= crioconservazione).

**Che cosa avviene delle mie cellule staminali del sangue se non possono venir trapiantate?**

In alcuni rari casi può accadere che lo scopo di utilizzo previsto inizialmente – l'impiego esclusivo delle cellule staminali del sangue per la cura di un determinato paziente – venga modificato, ad es. perché la persona malata presenta gravi complicazioni che rendono impossibile il trapianto, e ciò dopo che la donazione è già stata effettuata. In questo caso, le cellule staminali del sangue devono venir eliminate, a meno che lei dia la sua esplicita autorizzazione scritta per l'utilizzo delle sue cellule a scopo di ricerca.

**Quando posso donare il sangue dopo una donazione di cellule staminali del sangue?**

Dopo una donazione di midollo osseo, di cellule staminali periferiche o dopo una DLI occorre attendere un anno prima di donare di nuovo il proprio sangue.

## 10. Assicurazioni e costi

**Devo chiedere un congedo vacanze per i giorni di ricovero all'ospedale?**

Ne parli per tempo con il suo datore di lavoro e lo informi della sua disponibilità a donare le sue cellule staminali del sangue. La scelta di dedurre o meno il periodo di assenza per donazione dalle vacanze dell'impiegato dipende dalle direttive interne di ogni impresa. Molto spesso, i datori di lavoro sono disposti a concedere questo tempo all'impiegato per solidarietà, perché considerano l'atto della donazione come un «aiuto umanitario». Se necessario, il centro prelievi è naturalmente pronto a rilasciare un certificato in questo senso. In termini di diritto del lavoro, mettersi in malattia per una donazione non è corretto.

**Chi paga la mia incapacità di guadagno, se non lo fa il mio datore di lavoro?**

Se il suo datore di lavoro non è disposto a versare l'indennità per incapacità di guadagno, lei deve chiedergli di attestare l'ammontare della perdita. In questo caso, e ciò vale anche per i lavoratori indipendenti, la perdita di salario subita viene rimborsata dalla cassa malati del/della ricevente.

**Chi paga le visite mediche, la degenza in ospedale e le mie spese?**

I costi per la sua degenza ospedaliera e per i vari accertamenti medici necessari nel contesto della donazione vengono presi a carico direttamente dalla cassa malati del/della ricevente.

Le sue varie spese dimostrabili legate alla donazione vengono prese a carico dalla cassa malati del/della ricevente, su presentazione delle ricevute. Vengono rimborsati i costi di viaggio e le eventuali spese di custodia dei figli.

**Come sono assicurato/a? In caso di complicazioni i danni vengono coperti?**

Nel contesto di una donazione di cellule staminali del sangue, le complicazioni impreviste sono molto rare. Lei è comunque assicurato/a contro le seguenti eventualità:

- Gli imprevisti che avvengono lungo il tragitto di andata e ritorno tra il domicilio e il centro prelievi sono coperti dall'assicurazione infortuni obbligatoria.
- Le ripercussioni sulla salute dovute al prelievo e le conseguenti visite mediche necessarie nel contesto della donazione vengono prese a carico da un forfait postdonazione compreso nelle prestazioni della cassa malati del/della ricevente.
- Decesso e invalidità come conseguenza del prelievo vengono presi a carico dall'ospedale dove avviene il prelievo stesso (annuncio entro i primi dodici mesi dopo la donazione).

**Posso pretendere un compenso finanziario per la donazione?**

La donazione di midollo osseo, di cellule staminali del sangue periferico e/o la donazione di linfociti e di organi sottostanno a direttive etiche internazionali che non ammettono incentivi finanziari. Ogni donazione si basa sul principio della non retribuzione e della solidarietà e non si ha quindi nessun diritto a una contropartita finanziaria.

# 11. Riceventi di cellule staminali del sangue

**Per quali malattie occorre un trapianto di cellule staminali del sangue?**

Per un trapianto di cellule staminali del sangue valgono indicazioni chiaramente regolamentate a livello nazionale e internazionale. Nella maggior parte dei casi, si tratta di malattie in cui la produzione di cellule staminali del sangue è gravemente alterata, al punto da mettere in pericolo la vita:

- **Leucemia:** chiamata anche cancro del sangue. Nelle leucemie, la regolazione della produzione di sangue è gravemente alterata. I globuli bianchi danneggiati si moltiplicano in modo incontrollato. Proliferando, questi globuli bianchi (cellule leucemiche) impediscono la moltiplicazione e la crescita dei globuli rossi e delle piastrine che si stanno sviluppando nel midollo osseo. Viene quindi prodotto un numero insufficiente di globuli rossi sani. La carenza di globuli rossi – la cosiddetta anemia – indebolisce molto i malati di leucemia. La carenza di piastrine può causare una grave tendenza alle emorragie. Siccome i globuli bianchi alterati non sono più in grado di difendere il corpo dalle infezioni, il/la paziente avrà la tendenza a contrarre malattie infettive.
- Sindrome mielodisplastica
- Linfomi (cancro delle ghiandole linfatiche)
- Gravi difetti della produzione di sangue (anemia aplastica)
- Difetti immunitari congeniti: essi comprendono una vasta categoria di malattie che interessano il sistema immunitario o la produzione di sangue, ad es. le malattie immunodeficitarie o le malattie autoimmuni.
- Altre malattie del sangue che alterano la produzione di sangue (ad es. talassemia)

oppure si tratta delle seguenti malattie:

- Alcune malattie tumorali
- Malattie congenite del metabolismo

**Qual è la probabilità che un paziente guarisca grazie alla mia donazione?**

Nel 40–80% dei pazienti trapiantati (nei bambini fino al 90 %), la terapia ha successo. La probabilità individuale di guarigione dipende, nel caso specifico, dall'età e dallo stato di salute del/della ricevente, dal momento del trapianto, dal tipo di malattia originaria e dalla comparsa di eventuali complicazioni.

**Come si svolge la preparazione del/della paziente al trapianto di cellule staminali del sangue?**

Sul piano medico, la preparazione del paziente si orienta sul tipo e sullo stadio della malattia e ha come scopo principale la distruzione delle cellule staminali del sangue malate. Ciò avviene tramite la chemioterapia e/o tramite l'irradiazione a corpo intero. Durante e dopo questa fase, il paziente non riesce più a produrre cellule del sangue funzionanti e le sue difese immunitarie sono praticamente assenti. Per questo motivo, va messo in isolamento.

## **Perché il trapianto deve venir eseguito immediatamente dopo la donazione?**

Dopo il prelievo, il fattore tempo ha un'importanza centrale. Siccome le cellule staminali del sangue hanno una durata di vita molto breve, il prelievo e il trapianto devono essere coordinati in modo che le cellule prelevate possano venir trasfuse entro 48–72 ore al massimo – anche quando, in casi eccezionali, occorre un trasporto molto lungo.

## **Come si svolge un trapianto?**

Le nuove cellule staminali del sangue vengono somministrate al paziente per via intravenosa, come avviene nel caso di una trasfusione di sangue. Le cellule trasfuse trovano poi da sole la strada dal sangue verso il midollo osseo, dove iniziano a moltiplicarsi, a maturare e a differenziarsi nelle varie cellule del sangue. Dopo due a tre settimane, nel sangue del ricevente iniziano a circolare nuovi globuli rossi e bianchi e nuove piastrine.

## **Che cosa succede se il corpo del/della ricevente rifiuta le nuove cellule staminali del sangue?**

Dopo il trapianto, il processo di guarigione può venir ritardato o addirittura ostacolato da una serie di complicazioni, come ad esempio:

- Le nuove cellule staminali del sangue non riescono a maturare e a svilupparsi nel corpo del/della paziente, o proliferano troppo poco;
- Vi è un rigetto delle cellule trapiantate;
- Le nuove cellule staminali del sangue rigettano il corpo del paziente;
- Una recidiva della malattia originaria.

Siccome nel/nella paziente il sistema immunitario deve dapprima ricostituirsi, possono verificarsi numerose altre complicazioni, soprattutto delle infezioni.

## **Quando è necessario un nuovo trapianto?**

In caso di complicazioni dopo il trapianto, l'équipe medica deciderà se eseguire un nuovo trapianto o una DLI.

## **Quali ospedali, in Svizzera, effettuano dei trapianti di cellule staminali del sangue?**

Il trapianto di cellule staminali del sangue viene effettuato sol-tanto in ospedali specializzati. In Svizzera, i trapianti allogeni di donatori e donatrici apparentati o non apparentati si svolgono negli Ospedali universitari di Basilea, Ginevra, e Zurigo, come pure all'Ospedale pediatrico di Zurigo.

# 12. Organizzazioni e partner

## Chi è Trasfusione CRS Svizzera?

Trasfusione CRS Svizzera è un'istituzione che fa capo alla Croce Rossa Svizzera (CRS). Una delle attività principali di Trasfusione CRS Svizzera è garantire un approvvigionamento sufficiente di sangue a livello nazionale.

La seconda attività principale è quella nell'ambito delle cellule staminali del sangue (Swiss Blood Stem Cells, SBSC). In questo contesto, Trasfusione CRS Svizzera ha il compito, su incarico della Confederazione, di assicurare la gestione del registro dei donatori di cellule staminali del sangue e di reclutare nuovi donatori e nuove donatrici di queste cellule. A ciò si aggiungono la ricerca e la mediazione su scala mondiale di donatori di cellule staminali del sangue per i/le pazienti residenti in Svizzera e all'estero.

Nel caso di donazioni apparentate, Trasfusione CRS Svizzera aiuta e sostiene le tipizzazioni famigliari nel caso di parenti o pazienti residenti all'estero. Dopo la donazione, la procedura di FollowUp prevista dalla legge viene condotta da Trasfusione CRS Svizzera.

## Esiste un mandato giuridico per le attività di Trasfusione CRS Svizzera?

Trasfusione CRS Svizzera ha un mandato di prestazione dell'Ufficio federale della salute pubblica (UFSP) e sottostà inoltre alla legge federale sui trapianti e alla rispettiva ordinanza.

## Quali sono le attività più importanti di Trasfusione CRS Svizzera nel settore delle cellule staminali del sangue?

Trasfusione CRS Svizzera è responsabile delle seguenti attività:

- Reclutamento a livello svizzero di donatori e di donatrici non apparentati/e di cellule staminali del sangue
- Amministrazione e gestione dei dati dei donatori/delle donatrici non apparentati/e e delle unità di sangue del cordone ombelicale nel registro dei donatori di cellule staminali del sangue
- Ricerca di donatori e donatrici apparentati/e compatibili o di unità di sangue del cordone ombelicale compatibili in caso di richiesta da parte di malati residenti in Svizzera o all'estero
- Coordinazione amministrativa delle procedure concrete in caso di prelievo/trapianto
- Assistenza e cura dei donatori e delle donatrici dopo una donazione (apparentata o non apparentata) = FollowUp
- Elaborazione di disposizioni per il settore della donazione di cellule staminali del sangue
- Trattative superiori, ad es. con le autorità e i registri esteri
- Elaborazione di mezzi di comunicazione generali, ad es. materiale informativo e pubblicitario
- Aiuto e sostegno per la tipizzazione famigliare per donatori o riceventi residenti al di fuori della Svizzera.

## Chi è SBST?

SBST (Swiss Blood Stem Cell Transplantation and Cellular Therapy) è l'organo medico-scientifico nel settore del trapianto e della donazione di cellule staminali del sangue e raggruppa tutti i professionisti del ramo a livello nazionale. SBST è integrato a Trasfusione CRS Svizzera SA. I compiti principali di SBST sono:

- L'elaborazione di direttive per tutti i centri svizzeri che effettuano trapianti di cellule staminali ematopoietiche e/o che forniscono servizi importanti in questo ambito:
  - Direttive mediche
  - Direttive nell'ambito della gestione della qualità
  - Direttive relative all'assistenza dei donatori e delle donatrici apparentati/e e non apparentati/e dopo una donazione di cellule staminali del sangue
- La qualificazione dei centri di prelievo e dei centri di trapianto in Svizzera
- La registrazione e la valutazione statistica dei dati nel contesto dei trapianti di cellule staminali del sangue (soprattutto dal lato del paziente)
- La promozione di argomenti medico-scientifici
- La collaborazione con associazioni professionali nazionali e internazionali e con organizzazioni mantello
- La coordinazione dell'attività di ricerca a livello nazionale

## Esiste un mandato legale per le attività della SBST?

Secondo l'ordinanza del Dipartimento federale degli interni sulle prestazioni dell'assicurazione obbligatoria delle cure medico-sanitarie (ordinanza sulle prestazioni, OPre; RS 832.112.31) SBST funge da organismo di qualifica per i centri di trapianto di cellule staminali del sangue in Svizzera. SBST verifica inoltre regolarmente le indicazioni per un trapianto di cellule staminali del sangue.

## Quali altre organizzazioni sono coinvolte?

**EBMT:** (European Society for Blood and Marrow Transplantation): l'EBMT è l'organizzazione mantello (dirigente) dei ricercatori europei sulle leucemie e dei centri di trapianto di cellule staminali del sangue. Essa svolge compiti importanti di natura scientifica, medica e in materia di politica sanitaria ed è responsabile dell'elaborazione di direttive terapeutiche valide a livello europeo.

**JACIE:** è il nome dell'organizzazione europea che definisce gli standard dei trapianti e dei prelievi di cellule staminali del sangue a livello europeo. Essa ispeziona i centri di trapianto e di prelievo europei e li accredita in collaborazione con le rispettive organizzazioni nazionali. In Svizzera, questa organizzazione è SBST.

# Glossario

## Accreditamento

Un accreditamento è il riconoscimento formale delle competenze specialistiche e organizzative di un'organizzazione e attesta la capacità concreta di questa organizzazione di fornire una determinata prestazione, descritta nell'ambito di applicazione dell'accREDITAMENTO. Ad esempio, Trasfusione CRS Svizzera / Swiss Blood Stem Cells è accreditata dalla World Marrow Donor Association (WMDA) per tutte le sue prestazioni fornite nell'ambito della donazione di cellule staminali del sangue.

## Adulto

Sinonimo di maggiorenne o di sessualmente maturo.

## Aferesi

È un procedimento mediante il quale si prelevano i componenti del sangue, come ad esempio cellule del sangue, attraverso la circolazione extracorporea. Il donatore / la donatrice viene collegato/a a una macchina per aferesi mediante due cateteri endovenosi inseriti in una vena delle due braccia.

Il sangue viene prelevato da un braccio e convogliato attraverso un sistema di tubi sterili nella macchina per aferesi in cui avviene, per mezzo di una centrifuga, la separazione delle cellule. Tutti i componenti del sangue non necessari vengono nuovamente infusi nel corpo. Se non è possibile un'aferesi tramite le vene periferiche, occorre eventualmente inserire un catetere venoso centrale.

## Aferesi delle cellule staminali del sangue

In questo tipo di aferesi vengono selezionate e prelevate le cellule staminali del sangue. L'intero processo dura dalle 3 alle 6 ore al massimo.

## Allogenic

Proveniente da un'altra persona.

## allogenic

Proveniente da un'altra persona.

## Allogenic

Proveniente da un'altra persona.

## Ambulatoriale

Senza ricovero in ospedale; contrario: degenza.

## Amiloidosi

Malattia delle plasmacellule, molto simile al mieloma. Provoca l'accumulo di proteine in organi quali cuore o reni, compromettendone la funzione. Se individuata in tempo, un trapianto autologo in centri esperti può comportare un decorso favorevole a lungo termine.

## **Anemia**

Carenza o mancanza di sangue. Diminuzione della concentrazione di emoglobina nel sangue, ad es. a causa di una carenza di globuli rossi.

## **Antigeni di superficie**

Gli antigeni di superficie sono strutture riconoscibili dal sistema immunitario – in particolare dai linfociti – che si trovano alla superficie delle cellule e dei microorganismi. Essi sono costituiti per la maggior parte da proteine e non svolgono un ruolo importante soltanto nella difesa immunitaria, ma anche nel riconoscimento delle proprie strutture fisiologiche. Al gruppo degli antigeni di superficie appartengono ad es. gli antigeni HLA che si trovano sulla superficie delle cellule e che sono responsabili della compatibilità tissutale (istocompatibilità). Essi costituiscono la «firma» individuale delle cellule di un individuo. → Vedi anche *Sistema HLA*

## **Autologo**

Proveniente dal proprio corpo.

## **Benigno**

Descrive la natura non invasiva di una malattia o del decorso di una malattia; contrario: maligno.

## **biologici**

I medicinali biologici sono medicinali con una struttura complessa e con un alto peso molecolare, che si ricavano da o grazie a organismi biologici. Possono essere costituiti da proteine, acidi nucleici, zuccheri o da una combinazione di queste sostanze. In generale, i medicinali biologici sono cari.

## **Booster**

Richiamo vaccinale. Si distingue dall'immunizzazione di base per il fatto che già con un'unica somministrazione del vaccino a basso dosaggio si ottiene in breve tempo una sufficiente protezione clinica del/della paziente.

## **Catetere**

Tubicino o cannula che si inserisce nel corpo per favorire il drenaggio di liquidi (ad es. catetere urinario) o per introdurre sostanze, ad es. catetere venoso centrale, catetere a doppio lume.

## **Catetere venoso**

Il termine indica un tubicino di plastica morbido, elastico e sottilissimo che viene inserito nel sistema venoso, ad esempio nel braccio.

## **CCR5**

CCR5 (recettore 5 delle chemochine) è il nome di una proteina recettoriale che, nell'essere umano, si trova sulla superficie dei linfociti (che fanno parte dei globuli bianchi). In alcuni casi, viene privilegiato/a un donatore/una donatrice con una determinata variante CCR.

## **CD34+**

Procedimento supplementare legato all'afèresi per concentrare le cellule staminali autologhe ed evitare di raccogliere anche cellule tumorali. Assicura di non reinfondere cellule tumorali al/alla paziente.

## **Cellule ematiche**

Si tra globuli rossi (trasporto di ossigeno), globuli bianchi (difesa dalle infezioni) e piastrine (emostasi, coagulazione). I globuli bianchi si suddividono, tra l'altro, in linfociti e granulociti.

## **Cellule staminali adulte**

Le cellule staminali adulte sono le cellule staminali che si trovano nel corpo umano dopo la nascita. Hanno il potenziale per svilupparsi in alcuni tipi di tessuti specializzati.

## **Cellule staminali del sangue**

Si trovano nel midollo osseo e sono le cellule da cui si formano le cellule ematiche.

## **Cellule staminali ematopoietiche**

Termine tecnico che definisce le «cellule staminali in grado di produrre sangue», ossia le cellule precorritrici o progenitrici di tutte le cellule del sangue.

## **Cellule staminali embrionali**

A partire da queste cellule, che sono alla base della specializzazione cellulare, si sviluppano tutte le cellule del corpo umano. Non vanno confuse con le cellule staminali adulte che sono prelevate e reinfuse durante un trapianto autologo o allogenico.

## **Chemioterapia**

Trattamento delle malattie tumorali con farmaci che distruggono le cellule malate; di regola l'espressione si riferisce al trattamento con Citostatici. A seconda dell'obiettivo che si vuole raggiungere con la chemioterapia, si distingue tra chemioterapia curativa o palliativa. Nel primo caso l'obiettivo è ottenere la guarigione dalla malattia tumorale. Per farlo, a volte è necessaria una terapia molto intensa. Nel secondo caso l'obiettivo principale è alleviare i sintomi in un/una paziente senza ottenere la guarigione. L'intensità della terapia palliativa dipende dallo stato generale del/della paziente.

## **Chemioterapia di mobilizzazione**

Chemioterapia impiegata parallelamente al trattamento tumorale per mobilizzare le cellule staminali del sangue e farle migrare dal midollo osseo al sangue.

## **Citomegalia**

Malattia virale che svolge un ruolo importante nei/nelle pazienti trapiantati/e, ma che nelle persone sane passa di solito inosservata.

## **Citostatici**

Sostanze che inibiscono la crescita e la moltiplicazione di cellule; i citostatici sono impiegati nelle chemioterapie allo scopo di inibire la crescita delle cellule tumorali e di sopprimerle (chemioterapia).

## **Citrato**

Sali e esteri dell'acido citrico. Il citrato viene utilizzato per impedire la coagulazione del sangue, ad es. in un'aferesi. Se non venisse utilizzato, il sangue coagulerebbe nei tubi del separatore cellulare.

## **CMV**

CMV (citomegalovirus). Appartiene alla famiglia degli herpes virus. Vedi anche Citomegalia.

## **Compatibilità tissutale**

Per il trapianto di organi, parti di organi o cellule è necessaria una profonda compatibilità del sistema HLA, che varia a seconda del prodotto da trapiantare.

Prima di ogni trapianto di cellule staminali del sangue viene esaminato il sangue del donatore / della donatrice e del/della paziente, per accertarne la relativa compatibilità tissutale.

## **Condizionamento**

Una delle fasi della preparazione al trapianto. Essa è preceduta dalla distruzione del midollo osseo malato con radiazioni e/o chemioterapia. Il condizionamento ha due obiettivi importanti:

- Distruggere di nuovo il maggior numero possibile di cellule maligne ancora presenti.
- Opprimere il sistema immunitario in misura tale che non possa rigettare le cellule staminali del sangue trapiantate.

## **Cresta iliaca**

Margine superiore dell'osso del bacino.

## **Crioconservazione**

Conservazione di cellule o di tessuti tramite congelazione in azoto liquido. Questo procedimento consente di preservare la vitalità delle cellule per decenni.

## **Cronico**

Di lunga durata; contrario: acuto.

## **Degenza**

Che implica un ricovero ospedaliero; contrario: ambulatoriale.

## **DLI**

Infusione di linfociti del donatore (Donor Lymphocyte Infusion). I linfociti dei donatori / delle donatrici vengono somministrati ai/alle pazienti che hanno già ricevuto un trapianto di cellule staminali del sangue provenienti dalla stessa persona e che mostrano i segni di una ricaduta. Una DLI permette di rinforzare il sistema immunitario e quindi di eliminare le eventuali cellule cancerogene che potrebbero ricomparire. → Vedi anche Linfociti

## **Donatori di cellule staminali del sangue apparentati**

Contrariamente a quanto avviene in un trapianto tra persone non apparentate, in un trapianto «apparentato», ossia tra persone con legame familiare / di parentela, vi è una trasmissione di cellule staminali del sangue sane tra persone della stessa famiglia – in primo luogo tra fratelli e sorelle. La probabilità di trovare un donatore / una donatrice con tessuti compatibili all'interno della stessa famiglia è del 20–30 %.

## **Donatori di cellule staminali del sangue non apparentati**

In un trapianto «non apparentato» vengono trasfuse le cellule staminali del sangue sane di un donatore volontario e senza legami familiari / di parentela. Ciò avviene se all'interno della famiglia non si è riusciti a trovare nessun donatore compatibile.

## **Donazione autologa di sangue**

Donazione di sangue per sé stessi, utilizzando il proprio sangue. Viene eseguita soprattutto nei donatori / nelle donatrici prima del prelievo del midollo osseo.

## **Doppio lume**

Catetere con due tubi, o due vie, che permettono ad es. di somministrare farmaci diversi oppure, durante un'aferesi, di prelevare sangue e al contempo di reinfonderlo.

## **Effetti collaterali**

Gli effetti collaterali sono reazioni ed effetti imprevisi, e perlopiù anche indesiderati, ai medicinali o a un intervento medico.

## **Embolia**

Ostruzione parziale o completa di un vaso sanguigno dovuta a materiale sospinto al suo interno (embolo). Questo embolo può essere costituito da sostanze proprie del corpo (coaguli di sangue, liquido amniotico, goccioline di grasso) o da sostanze estranee al corpo (ad es. bolle d'aria). La forma più conosciuta di embolia è l'embolia polmonare.

## **Endovenoso**

Indica ad esempio la somministrazione diretta di un farmaco, di un liquido o di una sospensione in un vaso sanguigno venoso.

## **Epatite**

Itterizia infettiva, infiammazione del fegato. L'infiammazione può avere diverse cause: la maggior parte delle epatiti è di origine virale (epatite A, epatite B, epatite C, epatite E).

## **Fattori di crescita**

Farmaci che stimolano e accelerano la produzione di cellule staminali. La formazione e la proliferazione (maturazione) delle cellule staminali del sangue avvengono di regola nel midollo osseo. Se si formano però molte cellule staminali del sangue in poco tempo, esse giungono in massa nella circolazione sanguigna, sebbene non abbiano ancora raggiunto lo stadio finale dello sviluppo. Queste cellule possono essere separate dagli altri componenti del sangue mediante il procedimento di aferesi.

## **Flebite**

Infiammazione delle vene. Essa può manifestarsi come possibile complicazione di una donazione di cellule staminali del sangue periferico, causata dal lungo tempo di permanenza del catetere venoso.

## **Flebite**

Infiammazione delle vene. Essa può manifestarsi come possibile complicazione di una donazione di cellule staminali del sangue periferico, causata dal lungo tempo di permanenza del catetere venoso.

## FollowUp

Controllo e assistenza di un donatore / una donatrice dopo una donazione di midollo, di cellule staminali del sangue periferico (PBSC) o di linfociti (DLI). Secondo la legge sui trapianti e la sua ultima revisione (nov. 2017), il periodo di controllo post-donazione per tutti i donatori con o senza legame di parentela dura dieci anni. Trasfusione CRS Svizzera è l'istanza delegata per eseguire questi controlli.

## Fonti delle cellule staminali del sangue

Le cellule preposte alla produzione del sangue possono essere ottenute dal midollo osseo, dal sangue periferico e anche dal cordone ombelicale.

## G-CSF

Granulocyte Colony-Stimulating Factor → Vedi anche Fattori di crescita

## Graft-versus-Host-Disease, GvHD

Malattia del trapianto contro l'ospite. Complicazione che si manifesta soprattutto nel caso di un trapianto allogeno di cellule staminali del sangue. Reazione immunitaria nel corpo del ricevente originata dalle cellule trapiantate, che attaccano le cellule e i tessuti del/della ricevente.

## Gruppi sanguigni

Caratteristiche di superficie dei globuli rossi classificate per gruppi, tra cui i più importanti sono il sistema AB0 e i fattori Rhesus (Rh). I gruppi sanguigni svolgono un ruolo importante nel trapianto di organi, ma nel trapianto di cellule staminali del sangue è di secondaria importanza.

## Herpes

Infezione virale, solitamente causata da virus herpes simplex (HSV-1 o HSV-2). Provoca vesciche pruriginose e dolorose sulle labbra o sui genitali. Dopo l'infezione iniziale, il virus rimane nell'organismo e può tornare a manifestarsi in caso di stress o indebolimento del sistema immunitario.

## HIV

**Virus dell'immunodeficienza umana.** Virus che indebolisce il sistema immunitario distruggendo le cellule CD4. Se non trattato, provoca l'AIDS. Trasmissione attraverso sangue, contatti sessuali o latte materno.

## Immunosoppressione

Inibizione del sistema di difesa del corpo, ad esempio con farmaci.

## Indicazione

Il termine «indicazione» definisce il motivo o la circostanza di una misura medica. Ad esempio, i trapianti di cellule staminali del sangue sono indicati in caso di leucemia e di malattie congenite (innate).

## Infezione

Malattia dovuta all'ingresso di virus, batteri o altri microrganismi nel corpo.

## **Intravenosa**

Termine che definisce la somministrazione di un medicinale oppure di un liquido o di una sospensione all'interno di un vaso sanguigno venoso.

## **Irradiazione corporea totale**

Si tratta di una metodica di irradiazione attraverso radiazioni emesse da appositi macchinari, che si esegue prima del trapianto di cellule staminali del sangue. Nell'irradiazione corporea totale viene irradiato tutto il corpo allo scopo di ottenere una distribuzione della dose di radiazione il più uniforme possibile in tutte le parti del corpo.

## **Isolamento**

In medicina indica una misura volta a impedire un contagio con agenti patogeni.

## **Leucemia**

Nota nel linguaggio popolare come «cancro del sangue», è una malattia tumorale dei globuli bianchi (leucociti) del sistema ematopoietico, che causa una moltiplicazione incontrollata e patologica dei globuli bianchi del sangue, con la conseguente diminuzione dello spazio a disposizione delle altre cellule sane nel midollo osseo.

## **Linfociti**

I linfociti fanno parte dei globuli bianchi (leucociti). Il compito principale dei linfociti è quello di riconoscere e respingere in modo specifico le particelle estranee – ad esempio i batteri e i virus. Queste attività sono però anche rivolte contro le proprie cellule alterate, come ad es. le cellule cancerogene.

## **Linfomi**

Malattia dei linfonodi. Può essere benigna o maligna. Dopo i mielomi, i linfomi maligni sono la seconda causa più frequente all'origine di un trapianto autologo di cellule staminali. Esistono molti tipi di linfomi.

## **Malattia autoimmune**

Malattia in cui il sistema immunitario agisce contro le proprie strutture (ad es. alcune cellule o tessuti). L'origine precisa non è chiara. Spesso, vi è la formazione di autoanticorpi, in molti casi la malattia autoimmune è dovuta a una predisposizione genetica.

## **Maligno**

Descrive la natura delle cellule tumorali. Contrario: benigno.

## **Marcatore di infezione**

Proteine del sangue che rivelano una malattia acuta o passata (di origine batterica e/o virale) e che si possono individuare tramite test di laboratorio sierologici e molecolari. → vedi anche infezione

## **Medicinali biosimilari**

In Svizzera, da alcuni anni, alla scadenza del brevetto dei medicinali biologici viene autorizzato anche l'uso dei medicinali biosimilari – delle imitazioni degli originali. A differenza dei preparati generici dei medicinali di origine chimica (chiamati «generici»), i medicinali biosimilari non sono mai completamente identici al principio attivo originale, ma sono dei loro analoghi («similari»). I medicinali biosimilari non corrispondono ai generici. La loro autorizzazione necessita di procedure più complesse e di misure di sorveglianza più severe di quelle richieste per i generici.

## **Midollo osseo**

Il midollo osseo si trova nelle ossa lunghe e piatte dello scheletro, come le costole o il bacino, ed è responsabile della formazione delle cellule del sangue. È nel midollo rosso, contenente le cellule staminali, che viene prodotto il sangue. Nei bambini ogni osso racchiude midollo rosso, mentre negli adulti se ne trova solo in alcune ossa, come quelle del bacino, lo sterno e le costole. Le altre ossa contengono midollo giallo composto da grasso.

Il midollo osseo non deve essere confuso con il midollo spinale. Durante il prelievo non si eseguono paracentesi del midollo spinale.

## **Mieloide**

Proveniente dal midollo osseo. Spesso il termine viene però impiegato per definire una sorta di globuli bianchi (cellule mieloidi) e distinguerli dai globuli bianchi linfatici.

## **Mieloma**

Malattia maligna delle plasmacellule, una forma di cellule ematiche mature, bianche, linfatiche. È il motivo più frequente all'origine di un trapianto autologo di cellule staminali.

## **Mobilizzazione**

Le cellule staminali del sangue possono essere stimulate e indotte così a entrare nella circolazione sanguigna, ad es. attraverso la somministrazione di fattori di crescita (GCSF).

L'effetto dei GCSF è dapprima potenziato dalla somministrazione di una chemioterapia di mobilizzazione.

## **Monitoraggio terapeutico dei farmaci**

Misurazione e adeguamento della concentrazione dei farmaci nel sangue.

## **Mucosite**

Inflammatione della mucosa. Con «mucosite orale» si indica specificatamente ed esclusivamente l'inflammatione delle mucose orali causata da una chemioterapia o da una radioterapia.

## **Parenterale**

Via di somministrazione diversa da quella del tubo digerente; in caso di nutrizione parenterale, i nutrienti sono somministrati con un'infusione direttamente nella circolazione sanguigna, in modo da non sovraccaricare l'intestino con il trasporto del bolo alimentare, la digestione e l'eliminazione.

## **Patologia**

Scienza delle malattie e delle loro alterazioni.

## **Pediatrico**

Che riguarda la cura delle malattie infantili (pediatria).

## **Periferico**

Esterno, situato in periferia, lontano dal centro; descrive, nel caso delle cellule staminali da sangue periferico, quelle cellule che si trovano nella circolazione sanguigna (lontano dal midollo osseo).

## **Peripheral Blood Stem Cells, PBSC**

«Peripheral Blood Stem Cells», denominazione inglese di «cellule staminali del sangue periferico».

## **Plerixafor**

Medicinale utilizzato per la mobilitazione delle cellule staminali del sangue (di solito dopo una somministrazione inefficace di G-CSF), nel caso in cui il donatore / la donatrice non fosse riuscito/a a mobilitare un numero sufficiente di cellule staminali del sangue dal midollo osseo al circolo sanguigno.

## **Prelievo di midollo osseo**

Il midollo osseo viene prelevato tramite una siringa, praticando diverse punzioni delle ossa del bacino (cresta iliaca). Il prelievo viene eseguito sotto anestesia totale dai medici dei centri di prelievo. Nella maggior parte dei casi se ne preleva più di un litro. Di regola si viene dimesso dall'ospedale già il giorno successivo.

## **Profilassi**

Prevenzione. Per profilassi si intendono tutte le misure necessarie a prevenire un peggioramento della salute dovuto a malattie o infortuni.

## **Radiazione ionizzante**

Qualsiasi radiazione corpuscolare o elettromagnetica in grado di sottrarre elettroni agli atomi o alle molecole per far sì che rimangano ioni o frammenti molecolari con carica positiva.

## **Radioterapia**

Terapia radiante; terapia nella quale vengono usate radiazioni ionizzanti principalmente nelle malattie tumorali. Si distingue tra irradiazione dall'esterno, nella quale la radiazione è generata da un apparecchio speciale, e l'introduzione di sostanze radianti direttamente nel corpo (brachiterapia). Nel caso del trapianto di cellule staminali del sangue si procede di regola all'irradiazione corporea totale dall'esterno.

Nel caso di trapianto autologo un'irradiazione non porta alcun vantaggio e non viene più eseguita.

## **Ricovero ospedaliero**

Soggiorno nelle camere dell'ospedale.

## **Rottura della milza**

La rottura della milza è una lesione (strappo) della milza dovuta, nella maggior parte dei casi, a un trauma smussato a livello del ventre. La rottura spontanea, quindi senza subire traumi, della milza è rara e si verifica in caso di malattie infettive particolari o di malattie ematologiche accompagnate da un anormale ingrossamento della milza. Il trattamento della rottura della milza è di regola di tipo chirurgico. Le lesioni minori possono guarire anche senza operazione. In rari casi, una rottura della milza può essere una complicazione della → vedi anche mobilitazione di cellule staminali del sangue.

## **Sangue del cordone ombelicale**

Sangue proveniente dal cordone ombelicale e dalla placenta che viene raccolto dopo il parto e dopo il taglio del cordone ombelicale di un neonato. Il sangue del cordone ombelicale è ricco di cellule staminali in grado di produrre sangue, che possono svilupparsi nei diversi tipi di cellule del sangue e del sistema immunitario.

## **Separatore cellulare**

Apparecchio tecnico che serve alla separazione delle componenti cellulari all'interno di un liquido, utilizzato soprattutto per la separazione dei diversi tipi di cellule del sangue. La separazione delle varie cellule avviene per lo più tramite centrifugazione.

## **Sifilide**

Chiamata anche lue. È una malattia sessualmente trasmissibile e viene provocata dal battere *Treponema pallidum*.

## **Sindrome mielodisplastica**

Malattia del midollo osseo con ematopoiesi anomala. La produzione di un numero insufficiente di cellule del sangue, o di cellule del sangue difettose, può provocare anemia, propensione alle infezioni e tendenza alle emorragie. Può evolvere in leucemia.

## **Sintomi**

Segnale di una malattia, ad esempio febbre nel caso di un'influenza o insufficienza respiratoria nel caso di un attacco d'asma.

## **Sistema HLA**

Con il termine «sistema HLA» (HLA = antigeni leucocitari umani) si definisce un sistema di antigeni presenti sulla superficie cellulare di numerosi tessuti e identificabili particolarmente bene sui leucociti. Questi antigeni svolgono una funzione centrale nel sistema immunitario.

Si distinguono gli antigeni HLA di classe I (HLA-A, HLA-B, HLA-C) e di classe II (HLA-DR, HLA-DQ e HLA-DP). Essi vengono ereditati per metà dalla madre e per metà dal padre. Il sistema HLA è estremamente complesso e presenta una grande diversità. In totale, oggi si conoscono circa 30'000 forme di espressione (alleli) diverse degli antigeni HLA. La loro ricomposizione dà origine a miliardi di combinazioni diverse. Alcune di queste combinazioni possono ostacolare gravemente la ricerca di un donatore compatibile sia all'interno sia all'esterno della famiglia. Siccome gli antigeni HLA sono strutture importanti nella distinzione tra il «proprio» e l'«estraneo», essi svolgono un ruolo decisivo nei trapianti di cellule staminali del sangue: se le combinazioni dei gruppi di antigeni HLA più importanti non sono identiche tra donatore e ricevente, il corpo del ricevente può rigettare le cellule staminali del sangue estranee, oppure le cellule trapiantate possono rigettare il corpo estraneo. → Vedi anche Graft-versus-Host Disease

## **Sistema immunitario**

Sistema di difesa del corpo.

## **Terapia di induzione**

Somministrazione di uno o più farmaci/citostatici secondo uno schema terapeutico, che precede l'effettiva chemioterapia ad alte dosi.

## **Terapia di sostegno**

Terapia adiuvante; terapia che non mira a guarire una malattia, ma ad alleviarne i sintomi e migliorare la qualità di vita, come ad esempio il trattamento di nausea e vomito durante una chemioterapia o la terapia del dolore dopo un'operazione.

## Tipizzazione di controllo

Nuova determinazione dei gruppi tissutali che serve a confermare la tipizzazione tissutale HLA effettuata in precedenza ed eventualmente ad ampliare il risultato. Una tipizzazione di controllo viene eseguita quando un donatore entra a far parte della cerchia ristretta di donatori per un determinato ricevente.

## Tipizzazione tissutale

Procedimento mediante il quale, per mezzo di esami del sangue, si determinano i gruppi degli antigeni HLA (Human Leucocyte Antigen). Queste caratteristiche sono di grande importanza per il trapianto di cellule staminali del sangue. La tipizzazione può essere eseguita a partire dal sangue e deve essere eseguita nei pazienti e nei donatori/donatrici apparentati/e. È necessario eseguire questo esame anche per lanciare la ricerca di donatori estranei.

## Trapianti aploidentici

I caratteri HLA si ereditano per metà dal padre e per metà dalla madre. Ciò significa che, in termini di compatibilità tissutale, padre e madre sono sempre identici soltanto per metà (50 %, «aplo» = termine greco per «metà»). I fratelli e le sorelle possono essere identici, aploidentici o completamente differenti. I propri figli e genitori sono sempre identici per metà.

## Trapianto

Per trapianto si intende l'impianto di cellule, tessuti, interi organi o arti, attraverso il loro trasferimento da un donatore / una donatrice a un/una ricevente. Ad esempio trapianto di cellule staminali del sangue, trapianto di cute o trapianto di reni.

## Trapianto allogenico

Con questa forma di trapianto vengono infuse al/alla paziente cellule staminali di sangue estraneo che possono provenire da un donatore / una donatrice apparentato/a o non apparentato/a.

## Trapianto autologo

Reinfusione di cellule staminali del sangue prelevate in precedenza dallo stesso individuo. Il prelievo è eseguito durante una fase in cui è presente ancora un numero sufficiente di cellule staminali sane. Prima del trapianto autologo viene effettuata una chemioterapia ad alte dosi che permette di rimuovere, nel limite del possibile, tutte le cellule maligne.

## Trapianto di cellule staminali del sangue

In medicina, con il termine «trapianto» si indica l'impianto di cellule, tessuti, organi o parti del corpo. Prima di un trapianto di cellule staminali del sangue, i pazienti si sottopongono a una chemioterapia e/o a una radioterapia allo scopo di distruggere il midollo malato. In seguito, come nel caso di una trasfusione di sangue, a questi pazienti vengono trasfuse le cellule staminali del sangue sane di un donatore / di una donatrice, tramite un → vedi anche catetere venoso.

In oltre l'80 % dei casi, le nuove cellule staminali del sangue riescono a maturare e a svilupparsi nel midollo del/della paziente e dopo 14 giorni circa iniziano a moltiplicarsi e a formare nuove cellule del sangue.

## Trapianto «apparentato»

Al contrario del trapianto tra persone non apparentate, nel trapianto apparentato si trasferiscono cellule staminali del sangue sane di membri della famiglia, nella maggior parte dei casi di fratelli o sorelle. La possibilità di trovare un donatore / una donatrice con caratteristiche tissutali compatibili è del 20-30 per cento.

## **Trapianto «non apparentato»**

Nei «trapianti non apparentati» vengono infuse cellule staminali del sangue sane di donatori volontari, non apparentati. Ciò avviene se non si riesce a trovare un donatore / una donatrice compatibile all'interno della famiglia.

## **Trombocitopenia**

Diminuzione delle piastrine (trombociti).

## **Trombosi**

Formazione di un coagulo in un vaso sanguigno.

## **Vena**

Vaso sanguigno che trasporta il sangue povero di ossigeno al cuore.

## **Venoso**

Concernente la vena.