



Connecting Our Community

# Guida all'advocacy

Per garantire la consapevolezza e  
l'accesso alle cure dei pazienti Alfa-1 di  
tutto il mondo

# Sommario

Introduzione .....	1
Come iniziare .....	2
Stabilire la strategia e gli obiettivi della vostra advocacy.....	3
Definire la strategia e gli obiettivi della vostra advocacy .....	4
Comprendere la situazione e i vostri interlocutori.....	6
Analisi SWOT.....	8
Sviluppare il vostro messaggio per l'advocacy... ..	9
Comunicare il vostro messaggio in modo efficace .....	12
Passi finali .....	13
Appendice .....	14
Esempio di lettera di supporto legislativo.....	18
Esempio di lettera di ringraziamento.....	19
Esempio di lettera di richiesta di supporto legislativo .....	20

# Introduzione

## Cos'è Alfa-1?

Il deficit di Alfa-1 Antitripsina (Alfa-1) è una rara malattia genetica che può condurre a una grave patologia polmonare negli adulti e/o a malattie epatiche nei bambini e negli adulti. Via via che le comunità Alfa-1 uniscono le forze su scala mondiale, i nostri sforzi di advocacy per ottenere un migliore accesso alle cure saranno di utilità in tutto il mondo. Per raggiungere questi obiettivi opereremo a stretto contatto con i governi, l'industria e le organizzazioni sanitarie e di ricerca di varie nazioni.

I pazienti Alfa sperimentano molti degli stessi problemi in tutto il mondo:

- Scarsa o nulla consapevolezza della propria condizione
- Diagnosi tardiva, mentre la salute peggiora
- Medici senza alcuna familiarità con gli standard terapeutici per Alfa-1
- Accesso nullo o limitato alla terapia di potenziamento, l'unica terapia specifica per Alfa-1.

Il risultato è un peggioramento significativo della qualità della vita.

Le difficoltà ad ottenere terapie mediche appropriate variano a seconda della nazione. Molte nazioni hanno già affrontato questi ostacoli e fatto progressi nelle aree della sensibilizzazione, scoperta, gestione sanitaria, accesso alla terapia e rimborso spese. Sebbene le nazioni abbiano strutture di governo e sistemi sanitari differenti che richiedono un approccio specifico all'advocacy, è possibile apprendere molto dall'esperienza delle comunità Alfa-1 che hanno affrontato queste stesse sfide e vinto alcune battaglie duramente combattute.

Lo scopo di questo documento è fornire alle organizzazioni nazionali dei pazienti alcune indicazioni pratiche per migliorare l'efficacia delle relazioni con il governo. Occorre notare che i suggerimenti possono essere molto efficaci in alcune nazioni e inappropriati e talvolta dannosi in altre. I lettori devono decidere quali suggerimenti sono utili in base al contesto politico, sociale e culturale della propria nazione.

Alpha-1 Global è disponibile a condividere le risorse ogni qualvolta sia possibile e il presente documento sarà aggiornato in base alle necessità.

Si ringraziano Alpha-1 Foundation, IPOPI, CSL Behring e Grifols per il supporto allo sviluppo di questa guida.

Gonna Gutierrez, Direttore globale Alpha-1  
Alpha-1 Global Steering Committee  
Agosto 2015

# Come iniziare

## Cos'è l'advocacy e perché è importante?

L'advocacy è la modalità con cui le persone e le organizzazioni indirizzano e influenzano il processo legislativo. I legislatori (o i membri del parlamento) spesso non sono adeguatamente informati in merito ai problemi più importanti per voi. Voi siete gli esperti, avete il diritto e la responsabilità di istruire chi prende le decisioni che hanno impatto su di voi e la vostra comunità.

Questa Guida all'advocacy ha lo scopo di aiutarvi a costruire una strategia di advocacy di successo. Troverete degli strumenti per coinvolgere e istruire i decisori nella vostra nazione o regione. Vengono forniti fogli di lavoro, suggerimenti e strumenti che vi aiuteranno a:

- Definire gli obiettivi e la strategia della vostra advocacy.
- Comprendere la situazione e gli interlocutori.
- Sviluppare il messaggio di advocacy.
- Comunicare in modo efficace il vostro messaggio ai legislatori e agli altri funzionari.
- Eseguire i passi finali per consolidare il successo.

## Stabilire la strategia e gli obiettivi della vostra advocacy.

Nessuno conosce meglio di voi l'impatto che questa malattia ha su di voi e sulla vostra famiglia. Detto ciò, è importante comprendere che sviluppare e portare avanti il vostro messaggio di advocacy è un processo.

Il primo passo consiste nel comprendere veramente quale volete sia il risultato della vostra comunicazione e le risorse necessarie per ottenerlo. Stabilire i vostri obiettivi aumenterà la vostra efficacia e la probabilità di successo.

La comunità Alfa-1 ha molti punti in agenda:

- Accesso alle cure e alle terapie
- Ricerca
- Sviluppo di nuove terapie
- Consapevolezza e scoperta della malattia
- Finanziamenti
- Sicurezza dei prodotti ematici
- Formazione e assistenza
- Raccolta dei dati e registro dei pazienti

Ogni punto in agenda può essere ottenuto in modi diversi e questi percorsi vi aiuteranno a stabilire i vostri obiettivi e le strategie migliori per il successo.

Avere un obiettivo non è sufficiente per ottenere il risultato desiderato. Come molte cose nella vostra vita e nella gestione della vostra malattia, un'attenta preparazione può essere un fattore differenziante in ogni passo che farete per raggiungere un obiettivo. Conoscere la portata del vostro obiettivo, il tempo che avete per realizzarlo e le risorse necessarie per aiutarvi a sviluppare una solida strategia per raggiungerlo. Questo richiede un'attenta riflessione e le domande nella pagina successiva vi aiuteranno a definire il processo di valutazione e considerazione necessario.



# Stabilire la strategia e gli obiettivi della vostra advocacy

Qual è lo scopo principale che vi porta ad affrontare tutto ciò?

---

---

## Importanti domande da porsi

1.	Quanto tempo ho da dedicare all'advocacy ogni mese?	
2.	Quali questioni sono state importanti per me in passato?	
3.	Quali sono le uno o due più importanti questioni su cui concentrarmi nei prossimi sei mesi?	
4.	Ci sono in preparazione delle leggi di interesse per me o per la mia comunità?	
5.	La mia storia è pronta?	
6.	Ho altri rapporti con i legislatori?	
7.	Quando si riuniscono?	
8.	Ci sono prossimi incontri con la comunità a cui posso partecipare?	
9.	Ci sono prossimi incontri con la commissione a cui posso partecipare?	
10.	La mia organizzazione ha dei prossimi eventi a cui invitare il mio legislatore?	
11.	A quale iniziativa di advocacy posso partecipare tramite la mia organizzazione?	
12.	Altre domande?	

# Dettagliare la strategia e gli obiettivi della vostra advocacy

La risposta alle domande della pagina precedente vi aiuteranno a stabilire un adeguato piano di advocacy, fattibile e realistico. Raccomandiamo una pianificazione semestrale delle iniziative per essere certi che le vostre risorse e gli obiettivi siano ancora appropriati.

Sebbene questa guida all'advocacy si focalizzi su come condurre un efficace incontro di persona con i vostri interlocutori, è importante considerare molte possibilità di coinvolgimento e inserirle nella vostra strategia di advocacy semestrale.

## Esempi di opportunità di coinvolgimento

- Richiedere un incontro di persona (Esempio di lettera di richiesta di incontro).
- Seguire i propri legislatori su Facebook, Twitter, blog e altri social.
- Inviare informazioni sull'organizzazione dei pazienti e/o la propria storia personale avendo in mente un obiettivo specifico. (Newsletter, foto, storia personale)
- Scrivere una lettera di presentazione che includa la propria storia personale.
- Scrivere una lettera in merito a un motivo di preoccupazione per voi e per la vostra comunità. (Per cosa state cercando di ottenere ulteriore supporto?)
- Scrivere una lettera richiedendo un supporto legislativo che abbia impatto sui pazienti Alfa-1. (Esempio di lettera di supporto legislativo)
- Scrivere una lettera di ringraziamento per il supporto a un'iniziativa importante per voi e per la vostra comunità. (Esempio di lettera di ringraziamento)
- Invitare i legislatori a eventi della comunità e dell'organizzazione dei pazienti.
- Inviare un'e-mail contenente il sommario di articoli importanti e pertinenti al vostro gruppo di pazienti od organizzazione.
- Essere una risorsa per i legislatori su questioni in cui siete esperti.
- Partecipare a eventi comunitari e presentarsi al proprio legislatore.

Quali sono i vostri obiettivi personali o dell'organizzazione per l'advocacy?

---

---

---

---

---

# Dettagliare gli obiettivi e la strategia della vostra advocacy

Siate certi di essere ben preparati per ogni elemento di azione. Lavorare con altre persone e ottenere consigli dal Global Steering Committee (Comitato direttivo globale) di ALPHA-1 darà un contributo decisivo ai vostri sforzi per l'advocacy.

Mese	Elemento d'azione	Scopo	Risultato intermedio e
Esempio: Novembre	Seguire il mio legislatore su Facebook e Twitter per sviluppare la mia storia	Usare i social media per conoscere gli interessi del mio legislatore e i prossimi eventi.	Partecipare a un prossimo evento.

# Comprendere la situazione e i vostri interlocutori

## Comprendere la situazione e i vostri interlocutori.

È fondamentale che partecipiate ad ogni iniziativa di advocacy con una piena conoscenza della materia, dell'ambiente politico e del punto in cui si trovano i vostri interlocutori rispetto ai vostri obiettivi. È ciò che si chiama "analisi della situazione"; l'ambiente attuale di cui voi e il vostro messaggio di advocacy sarete parte.

Grazie a questa conoscenza sarete più preparati a evitare gli ostacoli e a sfruttare le opportunità che incontrerete durante l'implementazione della vostra strategia. Infatti, questo processo vi aiuterà a rivedere e rendere la vostra strategia ancora più robusta.

Questo processo si realizza con una semplice analisi SWOT, valutando "i punti di forza (Strengths), i punti di debolezza (Weaknesses), le opportunità (Opportunities) e le minacce (Threats)". Dovete prendere in considerazione voi, gli interlocutori e l'ambiente.

L'esercizio vi aiuterà a comprendere gli aspetti positivi e negativi della vostra situazione attuale:

- A che punto vi trovate della vostra preparazione per trattare l'argomento e a che punto è il vostro coinvolgimento personale rispetto al vostro obiettivo?
- Avete bisogno di acquisire ulteriori informazioni per comprendere appieno l'argomento? In tal caso, dove le trovate?
- Prevedete delle resistenze al vostro messaggio?
- Chi sono i vostri interlocutori e a che punto si trovano del loro processo di partecipazione al vostro obiettivo?
- Quale canale di comunicazione funzionerà meglio per far giungere il vostro messaggio ai vostri interlocutori?

## Capire gli attori

Nome	Appartenenza al comitato	Decisioni precedenti su (il vostro programma)	Iniziative su cui concordano	Interessi personali o difficoltà familiari
(Persona al vertice)				
(Persona di cui si fidano)				
(Malattia/disabilità rara)				
(Sicurezza dei prodotti ematici)				
(I miei collegamenti)				
Altro				



# Comprendere la situazione e i vostri interlocutori

**Siate certi di essere ben preparati per ogni fase di azione. Lavorare con altre persone e ottenere consigli dal Global Steering Committee (Comitato direttivo globale) di ALPHA-1 darà un contributo decisivo ai vostri sforzi per l'advocacy.**

## Considerazioni importanti

1	Se la vostra nazione ha una struttura federale, quale livello di governo (nazionale, statale o municipale) ha la responsabilità di trattare la vostra richiesta?	
2	Quali sono le regole che governano il pagamento dei servizi sanitari?	
3	Quali sono i differenti sistemi, inclusi la sanità pubblica, le assicurazioni private, il settore militare e altri, che vengono sovvenzionati?	
4	Chi è la persona che può attuare il cambiamento oggetto dell'advocacy?	
5	C'è un funzionario responsabile per le decisioni relative al trattamento delle malattie rare? Disabilità? Impiego? Tasse?	
6	C'è un funzionario che si occupa dell'approvvigionamento o dell'acquisto del plasma? Della sicurezza del plasma?	
7	Su chi fanno affidamento per le informazioni? (Spesso si tratterà della persona che incontrate)	
8	Ho dei collegamenti con loro tramite persone che conosco?	

# Analisi SWOT

## Foglio di lavoro SWOT

Le informazioni raccolte prima saranno di aiuto per valutare appieno la situazione attuale, i potenziali ostacoli e le opportunità relativi al vostro obiettivo.

Il punto fondamentale è comprendere come far giungere il messaggio e qual è il miglior gruppo/individuo per farlo. È importante effettuare una valutazione attenta e realistica delle capacità interne alla vostra organizzazione e di dove risiedono (o non risiedono) le competenze necessarie. È anche vitale comprendere i fattori esterni che incontrerete nella vostra attività di advocacy. Non tutto si trova sotto il vostro controllo ma trarrete beneficio dal conoscere quali sono questi fattori e quindi come articolare il vostro messaggio in relazione ad essi.

Inserire le informazioni in un'analisi SWOT vi consentirà di articolare il vostro messaggio nel modo più appropriato a seconda del tipo di interlocutore a cui vi rivolgete.

	<b>Favorevole</b>	<b>Sfavorevole</b>
<b>Interno</b>	<b>Punti di forza</b>	<b>Punti di debolezza</b>
	Quali sono i vostri punti di forza (o dell'organizzazione)? Cosa fate meglio degli altri? Quali risorse possedete? Che cosa percepiscono gli altri quali vostri punti di forza?	Quali sono i vostri punti di debolezza (o dell'organizzazione)? Gli altri cosa fanno meglio di voi? Avete possibilità di migliorare date le attuali condizioni? Che cosa percepiscono gli altri quali vostri punti di debolezza?
<b>Esterno</b>	<b>Opportunità</b>	<b>Minacce</b>
	Quali tendenze o condizioni possono avere un impatto positivo su di voi? Quali opportunità sono a vostra disposizione?	Quali tendenze o condizioni possono avere un impatto negativo su di voi? Cosa stanno facendo gli altri che potrebbe impattarvi in modo negativo?

Dopo l'analisi fatta sopra e il fermo impegno al vostro obiettivo e alla strategia, siete ben posizionati per sviluppare un efficace messaggio di advocacy e perseguire con determinazione il vostro obiettivo.

# Sviluppare il vostro messaggio di advocacy

## Sviluppare il vostro messaggio di advocacy

Un'organizzazione Alfa-1 nazionale avrà solitamente una sola opportunità di presentare il proprio caso ai funzionari del governo. Di conseguenza, è estremamente importante avere il tempo necessario per preparare bene il proprio messaggio. Mentre i benefici di cure migliori per le persone affette da Alfa-1 sono ovvi per chi ci convive ogni giorno, ciò non avviene per i funzionari governativi che potrebbero sapere molto poco di questa condizione. Più importante, i governi si trovano ad affrontare molte sfide per migliorare il sistema sanitario. Alcuni problemi colpiscono una percentuale molto maggiore della popolazione.

Spetta a voi proporre un'argomentazione convincente per cui una migliore cura per i pazienti Alfa-1 non è di solo beneficio per le persone direttamente colpite ma genera benefici alla nazione nel suo insieme. Il risultato del vostro messaggio deve essere una situazione "win-win". Se avrete successo, i vostri obiettivi saranno visti come una soluzione a problemi sanitari, fiscali o sociali del governo.

Il seguente Strumento di sviluppo dei messaggi è progettato per aiutarvi a creare un messaggio che motiverà i vostri ascoltatori a mettere in atto le azioni da voi richieste. Lo strumento vi aiuterà a essere chiari, concisi, focalizzati sugli ascoltatori e orientati all'azione, a portare a un accordo, un'azione e in ultimo a contribuire al vostro obiettivo finale.

**SUGGERIMENTO:** credibilità, coerenza e competenza saranno fondamentali affinché il vostro messaggio venga ascoltato.

- Credibilità significa essere responsabili dei propri sentimenti e delle azioni in merito al messaggio. Raccontare la propria storia ed esprimere come ci si sente rispetto al problema crea credibilità.
- Coerenza significa essere in grado di mantenere onestà nella propria preparazione, divulgazione e interazione con le altre persone relativamente al messaggio.
- E, di certo, conoscere la materia.

**SUGGERIMENTO:** nella preparazione di una sessione di sviluppo di un messaggio occorre identificare le persone che dovrebbero partecipare. È cruciale avere le persone giuste intorno al tavolo.

Tali persone sono coloro che:

- Conoscono meglio l'argomento.
- Comunicheranno il messaggio.
- Conoscono i vostri interlocutori.

**SUGGERIMENTO:** siate certi di dare la giusta considerazione a ogni opposizione che potreste ricevere.

- Riconoscete che è un preoccupazione valida ma che pensate di poterli rassicurare.
- Focalizzatevi sui benefici e su "cosa li tiene svegli di notte".
- Rispondete con dei fatti.

Questa pianificazione vi darà la capacità di illustrare una vasta gamma di informazioni e prospettive.



# Sviluppare il vostro messaggio di advocacy

## Strumento di sviluppo del messaggio-1

### 1. Obiettivi

- Accesso alle cure e alle terapie
- Ricerca
- Sviluppo di nuove terapie
- Consapevolezza e scoperta della malattia
- Finanziamenti
- Sicurezza dei prodotti ematici
- Formazione e assistenza
- Raccolta dei dati e registro dei pazienti

### 2. Risultato desiderato

Qual è il vostro risultato desiderato (la richiesta, il percorso per raggiungere il vostro obiettivo)

### 3. Punto di vista

Qual è la vostra opinione o atteggiamento nei confronti delle vostre informazioni e perché vi sentite così - usate la vostra storia (presupponete che il funzionario non abbia informazioni in merito ad Alfa-1).

- Perché la comunità Alfa-1 è unica?

### 4. Riscontro da parte degli interlocutori

Usate la vostra analisi per identificare gli elementi per i quali è importante avere un riscontro per essere sicuri che il vostro messaggio colpisca nel segno, che tenga focalizzati gli ascoltatori.

Valutate anche:

- Le decisioni precedenti
- Le iniziative su cui concordano o di cui sono responsabili
- Le loro difficoltà personali (siate attenti su questo punto)



# Sviluppare il vostro messaggio di advocacy

## 5. Azioni successive

Azione generale: quale azione volete che l'ascoltatore intraprenda durante la vostra esposizione?

- Usate la vostra conoscenza di Alfa-1, dati regionali, dati sintetici

Azioni specifiche: quali azioni volete che i vostri ascoltatori intraprendano quale RISULTATO della vostra comunicazione (come contribuiranno in modo specifico al vostro obiettivo)

- Finanziamento, supporto, incontro a livello più alto (far riferimento ai percorsi).

## 6. Benefici

Quali sono i benefici derivanti dalla loro azione "generale" e "specifiche"?

- Sanitari
- Sociali
- Finanziari

## Struttura finale del messaggio

Benvenuto/Introduzione				
1. Benvenuto		2. Argomenti (Agenda)	3. Obiettivi	
Apertura				
4. Punto di vista	5. Riscontro da parte degli interlocutori	6. Azioni successive	7. Benefici	Punti di vista fondamentali
Corpo				
1° Punto fondamentale		Supporto (fatti)		
2° Punto fondamentale		Supporto (fatti)		
Chiusura				
Punti di vista fondamentali	4. Punto di vista	5. Riscontro da parte degli interlocutori	6. Azioni successive	7. Benefici

Dopo aver completato l'analisi e aver sviluppato un impegno fermo ai vostri obiettivi e alla strategia, siete ben posizionati per sviluppare un messaggio efficace di advocacy e far avanzare i vostri obiettivi.



# Comunicare in modo efficace il vostro messaggio

## Comunicare in modo efficace il vostro messaggio

Avete impiegato molto tempo e sforzo per sviluppare un messaggio che sarà efficace nel motivare i funzionari a supportare le vostre richieste. È vitale che sia esposto in modo efficace e ciò richiede preparazione. Ci sono delle cose importanti da "FARE e NON FARE nell'advocacy" di cui essere coscienti:

### FARE

- Prendere il controllo della riunione, se appropriato nella vostra nazione.
- Presentare il proprio dossier come pianificato.
- Far concentrare l'attenzione sui vostri obiettivi e punti fondamentali.
- Focalizzarsi sul futuro piuttosto che fissarsi sul passato.
- Essere costruttivi. Non lamentarsi solamente.
- Essere chiari e concisi nel presentare le proprie argomentazioni/benefici.
- Attenersi ai ruoli assegnati.
- Rispettare il tempo a voi riservato.
- Prendere nota dei punti più importanti discussi.
- Essere certi di cogliere le azioni concordate.
- Prendere nota di ogni eventuale informazione che avete promesso di dare in seguito.
- Essere educati ma fermi.

### NON FARE

- Non farsi distrarre da questioni minori.
- Non discutere sui fatti. Presentare i propri "benefici" come loro soluzioni.
- Se possibile, non consentire al legislatore di prendere il controllo della riunione per discutere questioni importanti solo per lui/lei.
- Non perdere la cognizione del tempo.
- Non fare promesse che non si possono mantenere.
- Come sempre, i dettagli dell'ultimo momento possono fare o compromettere la propria credibilità e la percezione degli interlocutori sulla vostra preparazione ed esperienza. Questa percezione iniziale può fare la differenza tra il successo e il fallimento degli sforzi del vostro gruppo.

Di seguito vengono riportati alcuni elementi essenziali da inserire in una check-list di preparazione alla riunione per evitare le insidie dell'ultimo momento:

- Provare, provare, provare.
- Confermare l'orario della riunione con l'ufficio del funzionario.
- Confermare il tempo che si avrà a disposizione.
- Farsi dare la lista finale dei funzionari che parteciperanno.
- Avere un'assegnazione dei posti predeterminata e strategica.
- Assicurarsi che gli esperti dell'organizzazione siano ancora disponibili.
- Stampare e confezionare un dossier e il materiale da distribuire.
- Confermare che i propri dati siano i più aggiornati disponibili.
- Verificare che la scenografia sia pronta e installata.
- Confermare i mezzi di trasporto e il luogo della riunione al proprio team.
- Scambiare le informazioni di contatto per i dettagli dell'ultimo momento, modifiche ed emergenze.

# Passi finali

## Passi finali per dare forza al vostro messaggio

Alla fine...far giungere il vostro messaggio. Siete pronti e avete costituito il gruppo migliore. Siete l'esperto di questa malattia e vi siete preparati bene. La vostra pazienza e perseveranza stanno per essere ripagate.

La riunione dal vivo è la parte più tormentata dall'ansia di ogni strategia di advocacy, ma gli sforzi non terminano lì. Dovete ricordare che i funzionari ascoltano molti casi e richieste. Dovete far risaltare il messaggio Alfa-1. I suggerimenti dati prima sulla credibilità, perseveranza e sulla conoscenza giocano qui un ruolo chiave.

Il gruppo dovrebbe avere una bozza di nota di ringraziamento da inviare ai partecipanti di ogni sessione, molto prima che la sessione reale abbia inizio. Il fattore differenziante consisterà nell'utilizzare un resoconto di gruppo per garantire che la nota continui a far riflettere i funzionari sugli obiettivi della comunità Alfa-1.

Il resoconto dovrebbe riguardare:

- Le azioni concordate.
- Le richieste di informazione.
- Le promesse fatte.
- Le opposizioni rimaste.
- Il successo della riunione (coinvolgimento, azioni decise).
- Le nuove conoscenze personali.
- Iniziative collegate che sono state discusse.

### Nota di ringraziamento

Dopo il resoconto, la nota di ringraziamento dovrebbe essere rivista aggiungendo gli argomenti pertinenti emersi nel resoconto. Il contenuto dovrebbe prevedere:

- L'apprezzamento per la riunione.
- Un riassunto dei punti principali.
- I principali punti di accordo.
- La conferma delle azioni da intraprendere da parte del vostro gruppo.
- La dichiarazione in merito alle aspettative della vostra organizzazione.
- Le informazioni su cui avete concordato per iscritto.

Infine, se la riunione è stata un successo e ci sono state azioni positive a seguito delle vostre richieste, assicuratevi di festeggiare l'avvenimento e di porre l'attenzione sull'azione e sul funzionario interessato. La lode si ripercuote a lungo nella promozione della collaborazione e i successi attraggono altri legislatori.

Le modalità includono:

- Chiamare al telefono il funzionario e ringraziarlo personalmente
- Se appropriato, chiamare al telefono il responsabile del funzionario
- Scrivere una lettera ufficiale di ringraziamento menzionando gli esiti dell'azione.
- Riconoscere pubblicamente l'azione e il contributo del funzionario alla comunità Alfa-1
- Consegnare dei riconoscimenti durante le cerimonie (se appropriato)
- Riconoscimento pubblico sui media



# Appendice

## Informazioni sintetiche sul Deficit di Alfa-1 antitripsina

### Cos'è Alfa-1?

Il deficit di Alfa-1 antitripsina (Alfa-1) è una condizione genetica (ereditaria) passata dai genitori ai loro figli attraverso i geni. Alfa-1 può manifestarsi con importanti malattie polmonari negli adulti e/o malattie al fegato in ogni età.

Per ogni caratteristica che una persona eredita ci sono solitamente due geni, un gene arriva da ciascun genitore. Le persone con Alfa-1 hanno ricevuto due geni alfa-1 antitripsina anomali. Uno di questi geni anomali arriva dalla madre e uno arriva dal padre.

### Il gene Alfa-1 anomalo

Ci sono molti tipi di geni Alfa-1 antitripsina anomali. I geni anomali più comuni sono chiamati S e Z. Le persone identificate come Alfa-1 hanno più comunemente due geni Z (ZZ). I geni normali sono chiamati M. Una persona che non ha l'Alfa-1 ha due geni M (MM). Un'altra combinazione di geni deficiente è SZ. Le persone con questa combinazione di geni sono meno soggette ad avere problemi polmonari o epatici rispetto a quelle con due geni Z.

Alfa-1 si manifesta quando vi è la mancanza di una proteina nel sangue chiamata alfa-1 antitripsina o AAT. AAT, la proteina alfa-1, è prodotta principalmente dal fegato. La funzione principale dell'AAT è di proteggere i polmoni dalle infiammazioni causate dalle infezioni e da irritanti inalati, come il fumo del tabacco. Il basso livello di AAT avviene perché l'AAT è anomalo e non può essere rilasciato dal fegato con un livello normale. Questo porta ad un accumulo di AAT anomalo nel fegato che può causare una malattia all'organo e una riduzione di AAT nel sangue che può portare a malattie polmonari.

### I segni e i sintomi più comuni della malattia causata da Alfa-1

Sintomi correlati al polmone:

- Respiro corto
- Sibilo
- Bronchite cronica, che si manifesta con tosse e produzione di espettorato (catarro) che dura per lungo tempo
- Tracheobronchite ricorrente
- Minore resistenza allo sforzo
- Asma che non può essere completamente guarita con trattamenti medici aggressivi
- Allergie che durano tutto l'anno
- Bronchiectasia

Sintomi correlati al fegato:

- Malattia inspiegabile del fegato o elevati enzimi epatici
- Occhi e pelle giallastri (itterizia)
- Gonfiore dell'addome (ascite) o delle gambe
- Vomito di sangue (da vene allargate nell'esofago o nello stomaco)





# Appendice

## Chi contrae la malattia ai polmoni o al fegato da Alfa-1?

- Alfa-1 è stata identificata in quasi tutte le popolazioni e gruppi etnici.
- Le persone con Alfa-1 possono restare sane per tutta la vita. La diagnosi precoce e l'evitare i fattori di rischio, come il fumo di sigaretta, può aiutare a prevenire le malattie causate da Alfa-1.
- Alfa-1 può portare alla distruzione dei polmoni ed è solitamente inizialmente diagnosticata come asma o come broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) correlata al fumo.

Alfa-1 non può essere diagnosticata solo dai sintomi o da una visita medica; per essere certi occorre eseguire un esame del sangue semplice e affidabile.

- Alfa-1 è il fattore di rischio genetico più noto per l'enfisema.
- Fino al 3% di tutte le persone con diagnosi di BPCO possono avere Alfa-1 non diagnosticato.
- Alfa-1 può anche portare a malattia del fegato. Le malattie più gravi per il fegato sono la cirrosi e il cancro.
- La World Health Organization (WHO), l'American Thoracic Society (ATS), e l'European Respiratory Society (ERS) raccomandano che alle persone con BPCO venga effettuato il test per Alfa-1.

## Test per Alfa-1

L'Alpha-1 Foundation offre il test per le persone a rischio di Alfa-1. In risposta alle preoccupazioni che circondano il test, la riservatezza e il beneficio di una diagnosi precoce, la Medical University del Sud Carolina (MUSC), con il supporto dell'Alpha-1 Foundation, ha sviluppato un'opportunità di effettuazione del test gratuita e confidenziale. Si tratta di uno studio di ricerca chiamato Alpha-1 Coded Testing (ACT) Study.

La Fondazione ha anche istituito l'Alpha-1 Research Registry (Registro di ricerca Alfa-1) presso il MUSC per incoraggiare la ricerca, lo sviluppo di nuovi trattamenti e la cura per l'Alfa-1. Il registro è un database confidenziale che comprende sia i malati di Alfa-1 che i portatori di Alfa-1. Anche l'Alpha-1 Genetic Counseling Center si trova presso il MUSC. È disponibile il consulente genetico per fornire supporto e informazioni ai pazienti, caregiver e professionisti sanitari.

## Effettuazione del test nella propria nazione

Per verificare se il test Alfa-1 è disponibile nella propria nazione, visitare il sito web mondiale Alpha-1: <http://www.alpha-1global.org/advocacy>. Sarà possibile trovare le informazioni ordinate per nazione in fondo alla pagina. Nell'angolo superiore sinistro della stessa pagina è possibile fare clic sulla pagina relativa alla nazione per avere ulteriori informazioni di contatto.

# Appendice

## **Promuovere lo scambio di esperienza e la formazione tra il personale sanitario**

Lavorare insieme al governo, agli specialisti medici e alle organizzazioni come: AATD, COPDF, APLUS negli Stati Uniti, PLUS in Europa e altre organizzazioni professionali nazionali o regionali per infermieri e medici coinvolti nella gestione dell'AATD per:

- fornire standard per la diagnostica di base e combinata e formazione sui trattamenti , con enfasi sulla malattia del polmone e del fegato da AATD, nell'ambito dei programmi di istruzione per medici generici e infermieri.
- Integrare la diagnostica di base e combinata e la formazione sui trattamenti nella formazione di pediatri generici e pediatri epatologi.
- Formare il personale medico di medicina interna, respiratoria e di gastroenterologia.
- Sviluppare iniziative internazionali e interregionali per consentire lo scambio di esperienza e formazione, inclusi la possibilità di costruire una rete di relazioni e il finanziamento di visite da parte di rappresentanti dell'AATD Clinical Resource Center di altre regioni/nazioni.

## **Scoperta - Focalizzazione sulla diagnosi precoce e sullo screening**

- Sviluppare protocolli di diagnostica clinica per identificare in modo affidabile tutte le forme di AATD.
- Promuovere lo sviluppo e incoraggiare l'uso di test diagnostici semplici per l'AATD a livello locale.
- Implementare un sistema per il riconoscimento dei pazienti sintomatici e per garantire misure diagnostiche appropriate.
- Assicurare che siano disponibili finanziamenti per test genetici di laboratorio a livello nazionale tramite centri di eccellenza.
- Promuovere programmi di screening neonatale per garantire la diagnosi precoce.

## **Garantire l'accesso ai trattamenti**

- Garantire un accesso soddisfacente ai trattamenti per le persone con AATD come è stato mostrato per fornire biodisponibilità sul posto.
- Garantire che sia disponibile la terapia sicura per tutti i pazienti che richiedono il potenziamento AATD.
- Garantire un accesso soddisfacente ai trattamenti per le persone con AATD come è stato mostrato per fornire biodisponibilità sul luogo di trattamento.
- Riconoscere i bisogni sociali dei pazienti AATD pediatrici e adulti e delle loro famiglie e facilitare il loro accesso a un supporto adeguato e a servizi di formazione.
- Garantire la disponibilità e la fornitura di plasma umano di alta qualità.
- Garantire il rimborso di farmaci orfani in base alla loro efficacia medica per il paziente e non in base al prezzo del prodotto.

## **Raccolta dei dati**

- Supportare un registro nazionale dei pazienti AATD. Modelli di registri nazionali sono disponibili su [www.alpha1.org](http://www.alpha1.org).
- Partecipazione e finanziamento di studi epidemiologici per stimare la diffusione e l'incidenza dell'AATD nella popolazione.

# Appendice

- Incoraggiare la creazione di una voce nei registri internazionali che consenta in futuro processi diagnostici grazie all'identificazione di: forma di manifestazione clinica di queste malattie; decorso dei vari AATD (morbosità, mortalità, complicazioni); relazioni tra forme di malattie cliniche e contesto genetico e ambiente.
- Incoraggiare la ricerca cooperativa transnazionale e test clinici multinazionali.
- Incoraggiare la fondazione di centri di ricerca clinica per promuovere le best practice in termini di classificazione delle malattie, misura dei risultati dei trattamenti e valutazione dei costi dei trattamenti.

## Benefici potenziali

Vi sono molti benefici per le nazioni che migliorano le cure per i pazienti Alfa. Eccone alcuni.

### Benefici sociali:

- Minore disabilità tra gli Alfa che sono in grado di gestire in modo completo la loro malattia tramite l'accesso alle terapie, al supporto e alla gestione dello stile di vita. Vengono così evitati i costi sociali della loro cura.
- La gestione della malattia da Alfa1 migliora la capacità di contribuire alla società grazie a sistemi di formazione attiva e impiego.
- La gestione della salute dei pazienti differisce il bisogno di assistenza a tempo pieno, offrendo così ai membri della famiglia la possibilità di partecipare attivamente alla società e alla comunità.

### Benefici in campo medico:

- Mortalità ridotta.
- I significativi sforzi necessari a diagnosticare la malattia nelle persone con Alfa-1 possono essere riutilizzati in altre situazioni.
- Con diagnosi e cure adeguate è possibile ridurre i tassi di ricovero e riammissione ospedaliera.
- L'idea della cura completa sviluppata per l'Alfa-1 può essere usata come modello per il trattamento di altre malattie.
- I medici di una nazione con un piano di trattamento nazionale possono ricevere informazioni preziose da Alpha-1 Foundation/Alpha-1 Global.
- Un sistema ben sviluppato di cura per Alfa-1 può garantire che risorse preziose vengano usate in modo saggio per garantire i migliori risultati.
- La partnership tra autorità sanitarie, medici e pazienti è ben sviluppata per i pazienti Alfa-1 in alcune nazioni. Si tratta di un'idea valida che può essere applicata ad altre aree del sistema sanitario.

## Dati importanti (specifici per nazione)

I funzionari governativi hanno bisogno di dati significativi per poter prendere delle decisioni. È essenziale che tutti i rappresentanti Alfa-1 presentino i dati importanti in loro possesso. Questi dati devono essere accurati, altrimenti la propria organizzazione perderà credibilità.



# Esempio di lettera di richiesta di supporto legislativo

Data: \_

Onorevole \_

\_\_\_\_\_

Riferimento: \_\_\_\_\_

Gentile \_\_\_\_\_

**Titolo della  
questione**

**Condividere la  
propria storia**

Il mio nome è \_\_\_\_\_ e le scrivo oggi per chiederle il suo supporto per

**Spiegare la  
questione**

\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

**Spiegare  
ulteriormente  
come la legge  
impatti su di voi e  
la vostra comunità**

La ringrazio per voler prendere in considerazione questa importante legge che \_\_\_\_\_.  
Proseguendo, Le chiedo di tener presente i bisogni unici dei pazienti affetti da \_\_\_\_\_ e  
l'importanza di salvaguardare l'accesso alle cure e ai trattamenti.

**Evidenziare  
l'obiettivo  
principale della  
legge**

Nel caso avesse delle domande non esiti a contattarmi a \_\_\_\_\_. Grazie ancora per  
il suo tempo e la considerazione.

**Informazioni di  
contatto**

Cordiali  
saluti,

Il vostro nome \_\_\_\_\_

Il vostro indirizzo \_\_\_\_\_





# Esempio di lettera di ringraziamento

Data: \_\_\_\_\_

Onorevole \_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

Gentile \_\_\_\_\_,

Il mio nome è \_\_\_\_\_ e Le scrivo oggi in qualità di consulente per ringraziarLa del suo supporto alle persone affette da deficit di alfa-1 antitripsina.

---

---

---

---

**Spiegare come la legge impatti su di voi e la vostra comunità**

Grazie ancora per il suo supporto. Spero di avere ancora in futuro la possibilità di lavorare con Lei. Nel caso avesse delle domande non esiti a contattarmi a \_\_\_\_\_.

Cordiali saluti,

Il vostro nome \_\_\_\_\_

Il vostro indirizzo \_\_\_\_\_

Informazioni di contatto

# Esempio di lettera di richiesta di supporto legislativo

Data: \_\_\_\_\_

Onorevole \_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

Gentile \_\_\_\_\_,

Il mio nome è \_\_\_\_\_, Le scrivo oggi in qualità di elettore per chiederLe il suo supporto per le persone affette da deficit di alfa-1 antitripsina e per richiedere un incontro con Lei per poterne discutere.

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_

Grazie per il suo tempo nel considerare questa richiesta. La contatterò nelle prossime settimane per concordare un appuntamento compatibilmente con i suoi impegni. Non esiti a contattarmi a \_\_\_\_\_ nel caso avesse ulteriori domande.

Cordiali saluti,

Il vostro nome \_

Il vostro indirizzo \_

**Informazioni di contatto**

**Spiegare la questione o la legge che si è interessati a portare all'attenzione del legislatore**

**Spiegate il vostro stato di malattia e condividete aspetti della vostra storia personale.**

**Spiegate la questione o la legge che vorreste discutere e di come abbia impatto su di voi.**

**Includere una foto insieme alla vostra storia per aiutare a stabilire un contatto.**





Connecting Our Community

<http://www.alpha-1global.org>

