

M.BONETTI¹, M.ALZAHRANI², A. SAU³, B. LUCIANI PASQUA⁴, A.PIERINI⁵, T.ZEI⁶, R.IACUCCI OSTINI⁶, P.GORELLO⁷, M.CANIGLIA⁸, C.CERRI⁸, G.GURDO⁸ M.A.INNOCENTE⁸, **F.ARCIONI⁸**

- 1. University of Perugia, Complex Structure of Pediatrics, Perugia, Italy; 2. King-Abdulaziz Medical City, Riyadh, Saudi Arabia; 3. Pediatric Hematology-Oncology Unit, Ospedale Civico, Pescara, Italy;
- 4. Immunotrasfusion Service, Perugia Hospital, Perugia, Italy; 5. Division of Hematology, Department of Medicine and Surgery, University of Perugia, Perugia, Italy
- 6. Hematology Section, Perugia University Hospital, Perugia, Italy; 7. Department of Chemistry, Biology and Biotechnology, Perugia University, Perugia, Italy; 8. Santa Maria della Misericordia Hospital, Pediatric Oncology-Hematology Unit, Perugia. Italy.



CONGRESSO NAZIONALE SITE



Pontificia Università Urbaniana

Disclosures of Name Surname

Company name	Research support	Employee	Consultant	Stockholder	Speakers bureau	Advisory board	Other



Questi passaggi dovranno essere ripetuti se la quantità di cellule ottenuta è inferiore al requisito minimo[‡]

Identificazione e valutazion del paziente	Pre-mo	bilizzazione	Mobilizzaz	ione e raccolta	Produzione del prodotto medicinale* e controllo qualità		amento, somm e attecchiment		> Follow-up
min. 4-6 sett.	min. 8	3 sett.	~4 giorni	~3 giorni	min. 14 sett.	4 giorni	1 giorno	~4-6 sett.	fino a 15 anni
	EJ .	\Diamond	ELICIT	Ģ		博	Kith	2	Ħ
Identificazione del paziente e valutazione diagnostica, anche in riferimento alla fertilità e alla sua preservazione nel follow-up	Inserimento e verifica dell'ordine	RBCX/ trasfusione eritrocitaria	Mobilizzazione (solo TDT)	mobilizzate e	solamento HSPC specifica specifica gene BCL11A Produzione e controllo qualità Verifica qualità e crio- conservazi one Consegna prodotto a centro, pro per l'infusi	onto	Infusione	Attecchimento	Follow-up e terapia di supporto
Ambu	Ambulatorio [§]			lificato e autorizzato	Sito produttivo	Centro Tero	apia qualificato e	autorizzato .	Ambulatorio§

	Full Analysis Set ^a N = 46
Number of mobilization cycles, median (range)	2.0 (1.00, 6.00)
Exa-cel dose: 10 ⁶ x CD34 ⁺ cells/kg, mean (range)	4.7 (2.9, 14.4)
Duration (months) of follow-up after exa-cel infusion ^b , mean (range)	28.2 (8.2, 57.4)



Patient	Gender	Age (years)	Genotype	Beta mutation (if any)	Hydroxyurea (HU)	HU dose (mg/kg)	Transfusion support	Chronic complications	VOCs/year	Concomitant medications
Patient 1	Male	30	HbS/β+	IV52-745	Yes	20	Chronic EEX every 3 months	Silent stroke, vertebral infarcts (L3-L5), osteopenia	2	N/A
) Patient 2	Male	24	ньѕѕ	N/A	Yes	30	Extemporary EEX	Avascular necrosis (femoral head), ischemic retinopathy, benign paroxysmal vertigo in left canalolithiasis	5	Ketorolac, paracetamol, morphine
Patient 3	Male	21	Hbss	N/A	No	N/A	Chronic EEX every 2-3 weeks	N/A	6	N/A
Patient 4	Female	32	HbSS	N/A	No	©/A	Chronic EEX every 2-3 weeks	N/A	12	N/A

Caratteristiche basali e storia del trattamento dei quattro pazienti

Strategie di premobilizzazio ne (EEX) e antitromboti che

Patient	Mobilization	HbS pre (%)	Anticoagulant/Antiplatelet	Days since last EEX
Patient 1	1st	12,6	Enoxaparin + Heparin	3
ratienti	2nd	11,7	En oxa pari n	3
Patient 2	1st	16,89	Enoxaparin	4
	2nd	8,34	Enoxaparin	3
THE PARTY NAMED IN	1st	7,5	Enoxaparin	3
Patient 3	2nd	6,9	Enoxaparin	5
1	3rd	4,7	Enoxaparin	3
Patient 4	1st	9,4	Apixaban + Enoxaparin	2
	2nd	4,7	Apixaban + Enoxaparin	4
	3rd	5,2	Apixaban + Enoxaparin	5
	4th	6,4	Apixaban + Enoxaparin	5

Patient ID	Apheresis #	Mobilization	Total days of ple rixafor	Total days of G-CSF	Total CD34+ yield (x10°/kg)	Fold increase from last mobilization without G-CSF (%)
	1	Plerixafor	3	N/A	16.2	N/A
Patient 1	2	Plerixa for + G-CSF	2	5	30.19	1.9 (86.35%)
Dani aut 2	1	Plerixafor	3	N/A	7.8	N/A
Pati ent 2	2	Plerixa for + G-CSF	2	6	73.3	9.4 (839.74%)
	1	Plerixafor	3	N/A	20.52	N/A
Pati ent 3	2	Plerixafor	2	N/A	9.31	N/A
	3	Plerixafor + G-CSF	2	5	33.1	3.5 (255.53%)
	1	Plerixafor	3	N/A	19.31	N/A
Pati ent 4	2	Plerixafor	2	N/A	6	N/A
	3	Plerixafor	2	N/A	6.59	N/A
	4	Plerixafor + G-CSF	2	5	30.8	4.7 (367.37%)

Questa serie di casi supporta la fattibilità e la sicurezza della combinazione di plerixafor e filgrastim per la mobilizzazione di CD34⁺ nella SCD



