



FEDERATION of Indian Thalasseemics NATIONAL THALASSEMIA BULLETIN



VOL.-24 No.-1

EDITORIAL BOARD

January, 2019

**Chief Editor :
Dr. V.P. Choudhry**

**Executive Editor :
Dr. J.S. Arora**

**Co- Editor :
Mr. Rajesh Khurana**



9th NTC Dignitaries on the dais, left to right, Dr VP Choudhry (Former professor and head department of Hematology AIIMS), Rajiv Garg (Principal LHMC), Justice Anil Dev Singh (retired Chief Justice of Rajasthan High Court), Dr Michael Angastniotis (Medical Director TIF), Km Surrender Saini (President NTWS),

Mrs Vinita Srivastava (National Senior consultant & co-ordinator Blood cell – NHM, Ministry of Health & Family Welfare GOI), Dr JS Arora (General Secretary NTWS), Dr Virendra Kumar (Director Prof. & Head Dept of Paediatric, LHMC & KSCH)

Correspondence Address :

Dr. J.S. Arora (General Secretary)

FEDERATION OF INDIAN THALASSEMICS

KG-1/97, Vikas Puri, New Delhi-110018

Mob : 9311166710, 711, 712, Tel. : 011-25507483, 25511795, 796

E-mail : drjsarora2016@gmail.com

Glimpses of 9th NTC



lightening the lamp



Release of Souvenir



Mrs Vinita Srivastava
addressing during inauguration



Mrs Vinita Srivastava receiving memento



Mr. Panos Englezos receiving memento



Justice Anil Dev Singh receiving memento



Dr Jagdish Chandra receiving memento



Dr VP Choudhry receiving memento



Mr. Shamsher Singh from Jaquar receiving memento



Mr. Sameer Bhatti from Star Imaging Path Lab receiving memento



Dr Michael Angastiniotis receiving memento



Air Marshal Bharat Kumar receiving memento



Dr Shruti Kakar receiving memento



Ms Sangeeta Wadhwa receiving memento



Late Javed Abidi honored posthumously.
Ms. Rati Mishra from NCPEDP is receiving memento



Mrs Srivastava delivered a lecture on initiatives being taken by the Government to improve the thalassemia care & control in the country. Her lecture is summarised for the benefit of thalassemic in the country.

Introduction

Hemoglobinopathies are inherited disorders of red blood cells and are one of the major public health problems in India. Hemoglobinopathies consist of Sickle Cell Anaemia (SCA). Under Jai Vigyan Science & Technology Mission Project on Community Control of Thalassemia Syndromes—Awareness, Screening, Genetic Counselling and Prevention, Government of India conducted large multi-centric study. It was observed that thalassemia (β Thalassemia) and variant Haemoglobins (HbS, HbE and HbD), India has the largest number of children with thalassemia major in the world – about 1 to 1.5 lakhs, and almost 42 million carriers of thalassemia trait. Sickle Cell disease affects tribals as well as communities in certain states, such as central part of India, Gujarat, Maharashtra and Kerala. Carrier frequency varies from 1 to 35 % and there are a huge number of people with sickle cell disease. Many compound heterozygote states can also occur, such as (HbS/ β) as one parent may be Sickle Cell carrier and the other of Thalassemia. Therefore Ministry of Health Government of India decided to support States/UT for Hemoglobinopathies and Haemophilia under National Health Mission (NHM) based on State proposals. Over the last three years, technical and financial support has been provided to 28 states for Hemoglobinopathies and 18 States for Haemophilia

INTERVENTIONS TAKEN UNDER NHM:

1. To improve the blood supply.

- Establishment of the new blood banks in districts without blood banks, and up gradation of Blood Banks in district hospitals with facility for component separation, leuko-reduced red blood cells. Around 67 blood banks has been established across 17 states and 157 component separation units has been supported. Special trainings of technicians of new blood banks for quality assurance. All blood banks are linked with Medical colleges to improve the quality and to handle trouble shooting issues.
- Roll out of e-raktosh portal for easy accessibility of blood and blood products, which has also been linked to PM portal Umang
- MOHFW has decided to develop National registry for thalassemic patients taking blood transfusion, identification & development of rare group donor registry so that these patients can get adequate blood.
- MOH has directed all states to make arrangements to provide blood free to all Thalassemia patients in all the district hospitals as per transfusion guidelines.

2. Guidelines on Management of Thalassemia

- Expert committee in Ministry of Health (MOH) has developed Comprehensive Guidelines for Prevention and Management of

Hemoglobinopathies (Thalassemia, Sickle Cell disease) in 2016 and MOH has directed all states to follow the guidelines while managing these children.

- The Expert Committee under Ministry of Health is in process of drafting the Policy for thalassemia management & control, submitted the draft policy in Dec 2018 which is being finalized.
- Day care centers with transfusion and management facilities are being developed at district hospital for thalassemia patients.
- Chelating drugs are being provided free of cost to all thalassemics with support from NHM at district hospitals.
- The Ministry, in collaboration with Coal India Limited, Ministry of Coal is coordinating for Bone Marrow Transplant (BMT), free of cost to poor Thalassemia children as Corporate Social Responsibility (CSR) Initiative. The eligibility criteria have already been developed and are being implemented in partnership with the organisations & institutions, namely- AIIMS Delhi, Tata Medical Centre- Kolkata, Rajeev Gandhi Cancer Institute Delhi, CMC Vellore, SGPGI Lucknow, & PGI Chandigarh.

3. Control of Thalassemia

- MOH has decided to increase the awareness of disease among College going students. They will be encouraged to undergo HbA2 testing to detect thalassemia carrier state. Persons with carrier state will be counselled about the disease & its controls. To prevent the risk of having an affected child, health education will be directed towards school children, colleges, in the community by health providers.
- All medical colleges are requested for the facilities for ante-natal diagnosis, counselling for the affected families and its management.

4. Inclusion of Thalassemia as Disabilities

- Ministry of Health and Family Welfare has also collaborated with Ministry of Social Justice and Empowerment for development of criteria for inclusion of Thalassemia, Sickle and Haemophilia within the purview of Right of Persons with Disabilities Act, 2016.

Conclusion:

- It is expected that the children with thalassemia & other haemoglobinopathies will have near normal life with the implementation of National guidelines for their management. Under the draft National policy on thalassemia it is expected that the thalassemia control will become effective in near future

Dr. V.P. Choudhry (MD, FIAP, FIMS, FIACM, FISHTM)
Senior Consultant Hematology

- Fortis Escorts Hospital, Neelam Bata Road, Faridabad, Haryana - 121001
- Batra Hospital & Medical Research Centre, Mehrauli Badarpur Road, Delhi - 110062
- Medical Advisor National Thalassemia Welfare Society
- Former Professor & Head Department of Hematology, AIIMS, New Delhi

थैलेसीमिया के प्रबंधन पर सरकार की पहल

श्रीमती श्रीवास्तव ने थैलेसीमिया देखभाल में सुधार और नियंत्रण के लिए सरकार द्वारा की जा रही पहल पर व्याख्यान दिया। उनके व्याख्यान को थैलेसीमिक के लाभ के लिए संक्षेप में प्रस्तुत किया गया है।

परिचय

हीमोग्लोबिनोपैथी विरासत में मिले लाल रक्त कोशिकाओं के विकार हैं और यह भारत में प्रमुख सार्वजनिक स्वास्थ्य समस्याओं में से एक है। हेमोग्लोबिनोपैथी में सिकल सेल एनीमिया (एससीए) भी शामिल हैं, जय विज्ञान, विज्ञान एवं तकनीकी मिशन प्रोजेक्ट के तहत में पाया गया कि थैलेसीमिया (बीटा) और वैरिएंट हीमोग्लोबिन्स (HbS, HbE और HbD) की दुनिया में, भारत में थैलेसीमिया पीड़ित बच्चों की संख्या सबसे अधिक है - लगभग 1 से 1.5 लाख, और लगभग 4.2 करोड़ थैलेसीमिया जीन के वाहक हैं। सिकल सेल रोग आदिवासियों के साथ-साथ भारत के मध्य भाग के कुछ राज्यों, जैसे गुजरात, महाराष्ट्र और केरल के समुदायों को प्रभावित करता है। वाहक आवृत्ति 1-35% तक है और सिकल सेल रोग वाले लोगों की एक बड़ी संख्या है। कई मिश्रित हेटोज़ाइगोट भी हो सकते हैं, जैसे (एचबीएस/बीटा) माता-पिता के रूप में एक सिकल सेल और दूसरे थैलेसीमिया के वाहक हो सकते हैं। इसलिए भारत सरकार के स्वास्थ्य मंत्रालय ने राज्यों के प्रस्तावों के आधार पर राष्ट्रीय स्वास्थ्य मिशन (NHM) के तहत हीमोग्लोबिनोपैथी और हीमोफिलिया के लिए राज्यों / केंद्र शासित प्रदेशों को समर्थन देने का फैसला किया है। पिछले तीन वर्षों में, 28 राज्यों को हीमोग्लोबिनोपैथी और 18 राज्यों को हीमोफिलिया के लिए तकनीकी और वित्तीय सहायता प्रदान की गई है।

1. रक्त की आपूर्ति में सुधार करने के लिए।

- जिन जिलों में ब्लड बैंक नहीं है वहाँ नए ब्लड बैंकों की स्थापना, और घटक पृथक्करण, ल्यूको डिप्लीटेड लाल रक्त कोशिकाओं की सुविधा के साथ जिला अस्पतालों में ब्लड बैंकों का उन्नतीकरण। 17 राज्यों में लगभग 67 ब्लड बैंक स्थापित किए गए हैं और 157 घटक पृथक्करण इकाइयों का समर्थन किया गया है। गुणवत्ता निश्चित करने के लिए नए ब्लड बैंकों के तकनीशियनों की विशेष ट्रेनिंग। सभी ब्लड बैंक गुणवत्ता में सुधार और समस्याओं को सुलझाने के लिए मेडिकल कॉलेजों के साथ जुड़े हुए हैं।
- रक्त और रक्त उत्पादों की आसान पहुंच के लिए ई-रक्तकोष पोर्टल का प्रारंभ, जो कि पीएम पोर्टल उमंग के साथ भी जुड़ा हुआ है।
- स्वास्थ्य मंत्रालय ने रक्त आधान लेने वाले थैलेसीमिक रोगियों, दुर्लभ रक्त समूह दाता की पहचान और राष्ट्रीय रजिस्ट्री विकसित करने का निर्णय लिया है ताकि इन रोगियों को पर्याप्त रक्त मिल सके।
- स्वास्थ्य मंत्रालय ने सभी राज्यों को निर्देश दिया है कि वे सभी जिला अस्पतालों में सभी थैलेसीमिया रोगियों को थैलेसीमिया के प्रबंधन पर प्रकाशित दिशानिर्देश अनुसार मुफ्त में रक्त उपलब्ध कराने की व्यवस्था करें।

2. थैलेसीमिया के प्रबंधन पर दिशानिर्देश

- स्वास्थ्य मंत्रालय में विशेषज्ञ समिति ने 2016 में हेमोग्लोबिनोपैथियों (थैलेसीमिया, सिकल सेल रोग) की रोकथाम और प्रबंधन के लिए व्यापक

दिशानिर्देश विकसित किए हैं और सभी राज्यों को इन बच्चों का प्रबंधन करने के लिए दिशानिर्देशों का पालन करने का निर्देश दिया है।

- स्वास्थ्य मंत्रालय के तहत विशेषज्ञ समिति थैलेसीमिया प्रबंधन के लिए नीति का मसौदा तैयार करने की प्रक्रिया में है, नीति मसौदा दिसंबर 2018 में अंतिम रूप देने के लिए प्रस्तुत किया गया है।
- थैलेसीमिया रोगियों के लिए जिला अस्पताल में रक्त आधान और प्रबंधन सुविधाओं के साथ डे केयर सेंटर विकसित किए जा रहे हैं।
- जिला अस्पतालों में NHM के समर्थन से सभी थैलेसीमिक्स के लिए मुफ्त में चेलटिंग ड्रग्स प्रदान की जा रही हैं।
- स्वास्थ्य मंत्रालय ने कोल इंडिया लिमिटेड के “निगम सामाजिक दायित्व” (सीएसआर) पहल के रूप में सहयोग से, गरीब थैलेसीमिया बच्चों के लिए मुफ्त बोन मैरो ट्रांसप्लांट (बीएमटी) का समन्वय किया है। पात्रता मानदंड पहले ही विकसित किए जा चुके हैं और संगठनों के साथ साझेदारी में लागू किए जा रहे हैं

3. थैलेसीमिया पर नियंत्रण

- एमओएच ने कॉलेज जाने वाले छात्रों के बीच बीमारी के बारे में जागरूकता बढ़ाने का फैसला किया है। उनको थैलेसीमिया वाहक स्थिति का पता लगाने के लिए एचबीए 2 परीक्षण के लिए प्रोत्साहित किया जाएगा। वाहक स्थिति वाले व्यक्तियों को रोग के बारे में परामर्श दिया जाएगा
- सभी मेडिकल कॉलेजों से गर्भाधान के दौरान निदान के लिए सुविधाओं, प्रभावित परिवारों के लिए परामर्श और इसके प्रबंधन के लिए अनुरोध किया गया है।

4. थैलेसीमिया को विकलांगता में शामिल करना

- स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय ने विकलांग व्यक्तियों के अधिकार अधिनियम, 2016 के दायरे में थैलेसीमिया, सिकल और हीमोफिलिया को शामिल करने के लिए मानदंड के विकास के लिए सामाजिक न्याय और अधिकारिता मंत्रालय के साथ भी सहयोग किया है।

निष्कर्ष:

- यह अपेक्षा की जाती है राष्ट्रीय प्रबंधन दिशानिर्देशों के कार्यान्वयन के साथ थैलेसीमिया तथा अन्य हेमोग्लोबिनोपैथियों से ग्रस्त बच्चों का जीवन सामान्य होगा। थैलेसीमिया पर राष्ट्रीय नीति मसौदे के तहत यह उम्मीद की जाती है कि निकट भविष्य में थैलेसीमिया नियंत्रण प्रभावी हो जाएगा

डॉ वी.पी. चौधरी, (MD, FIAP, FIMSA, FIACM, FISHTM)

सीनियर कंसल्टेंट हेमाटोलॉजी

- फोर्टिस एस्कॉर्ट्स हॉस्पिटल, नीलम बाटा रोड, फरीदाबाद, हरियाणा-121001
- बत्रा हॉस्पिटल मेडिकल रिसर्च सेंटर, मेहरौली, बंदरपुर रोड, दिल्ली-110062
- मेडिकल एडवाइजर नेशनल थैलासीमिया वेलफेयर सोसाइटी
- फॉर्मर प्रोफेसर एंड हेड डिपार्टमेंट ऑफ हेमाटोलॉजी, एम्स, नई दिल्ली



The era of genome sequencing and understanding of the HBB (Hemoglobin subunit- β) gene cluster (located on Chromosome 11p15.5) and its strict regulation and control during the transcription and synthesis of β -globin protein, has provided new insights into the pathophysiology of β -thalassemia. The complete understanding of the switch from γ -globin to β -globin production and the control of this switch by various transcription factors (TF) has provided new targets for gene-modifications. In addition, the advances in viral vector development, large scale manufacturing, transduction of human stem cells and discovery of various gene-editing nucleases (e.g. Zinc Finger Nucleases, Crispr-Cas9 nuclease complex), provide a new hope for the availability of gene-therapy based curative options for transfusion dependent β -thalassemia (TDT) in the near future.

For gene-therapy, the patient's own stem cells (autologous) are collected, gene-modified, and then re-infused back to the patient after adequate myeloablation. Therefore, this procedure is very similar to an autologous stem cell transplant, except the stem cells are gene-modified under strict laboratory (GMP) conditions prior to infusion back to the patient.

Gene-therapy is an important curative option for TDT because -

- 1) It is hoped to be a one-time treatment option (similar to stem cell transplant), but
- 2) There is no requirement of availability of an HLA-matched related/unrelated donor, and
- 3) Complications of stem cell transplant like rejection and Graft-versus-Host Disease (GVHD), are non-existent with the use of autologous stem cells.

Current clinical trials of gene-therapy in TDT can be divided into two broad groups-

A) Gene-addition, and B) Gene-editing approaches.

A) Gene-addition

This involves insertion of the whole HBB gene carried via a lentivirus vector into the genome of the human stem cells. The vector contains the whole β -(or γ) globin gene along with its regulatory elements. The new generation of vectors are 'self-inactivating', i.e. do not undergo recombination, once the HBB gene gets integrated into the human genome. Once integrated, it is expected that the HBB gene will be transcribed and lead to the synthesis of the deficient β -globin protein. Thus, the efficacy of this approach lies in inserting more copies of HBB gene into large number of stem cells.

Though conceptually easy, the field has technologically advanced only recently, where the vectors (packaged with the whole HBB gene and its regulatory elements) can now be produced at a large scale, achieve extreme purification and potency to transfect large number of human stem cells to provide clinical meaningful responses and benefit to patients. For a long lasting correction (and with the hope of one time curative treatment), the insertions are done in stem and progenitor cells (CD34+ selected population, Milteyni). In this case the globin producing genes also have to be placed under the control of an erythroid specific promoter, so that the transcription of the inserted genes can only occur in erythroid precursors, and not in white blood cells or

platelets, which are also derived from the modified stem cells.

There are multiple lentiviral vector based gene-insertion clinical trials currently in progress for β -thalassemia (NCT 02453477, NCT 02906202, NCT 02151526). Once a large enough population of stem cells have been transduced and infused back to patient, it is expected that the erythrocyte progenitors derived from these stem cells will produce enough β (or γ)-globin to combine with α -chains and reduce the α/β imbalance. This will lead to correction of ineffective erythropoiesis (IE) and improved RBC lifespan, with larger number of erythrocytes with higher Hb persisting in the peripheral blood, leading to the correction of anemia and reduction in transfusion needs.

Since the vector insertions into the stem cells occur 'semi-randomly' and remains largely an uncontrolled process, there is a small risk that some insertions into human stem cells can occur in the vicinity of proto-oncogenes and can stimulate clonal proliferation leading to leukemia/myelodysplastic syndrome (MDS). Currently, FDA requires all patients treated with gene therapy to be strictly followed for a period of 15 years to clearly establish the incidence of this risk. Fortunately to-date, none of the patients treated with the new generation of lentiviral vectors have developed any leukemia or MDS.

In the first pilot studies conducted in US and France sponsored by bluebird bio, Inc. (HGB 204 and 205 using BB305 vector), all patients treated till date have tolerated the conditioning regimen with myeloablative doses of busulfan without any unexpected toxicity and infusion reactions related to the administration of modified stem cells. All patients have engrafted, though efficacy analysis of the first few patients treated with BB305 lentiviral vector, show variable responses and total Hb production.

This variability is expected, as patients with β -thalassemia have large genetic heterogeneity due to varied mutations in the HBB cluster and presence of various genetic modifiers and therefore, the level of Hb required to become transfusion independent is also variable. The initial results from the trials show an average production of 4.5 g/dl of HbA^{T87Q} from the gene-insertions (HbA^{T87Q} is the gene insertion derived Hb that can be detected separately from transfusion derived HbA by HPLC due to presence of one AA substitution: Threonine at 87 position instead of Glutamine). An increase of Hb by ~5 g/dl is enough to lead to transfusion independence in HbE/ β -thalassemia or β^0/β^+ patients, but only led to partial improvement (transfusion reduction) in β^0/β^0 patients, where there is a need for higher levels of Hb production to become transfusion independent. Improvements in technology are in progress to improve the transduction efficiency of the stem cells in the next phase of trials, so that β^0/β^0 patients can also become transfusion independent.

B. Gene-editing

Availability of the new nucleases in the last few years is leading a rapid development of gene-editing approaches to ameliorate the anemia in thalassemia patients. Last few years have seen advances in availability of different nucleases- Zinc-Finger Nucleases (ZFN), Transcription Activator-Like Effector Nucleases (TALENs), and Clustered

Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats and Caspr-associated-nuclease 9 (Crispr-Cas9), which are all nucleases that can cut the human DNA at precise locations. Of these techniques, Caspr-Cas9 is the most appealing as it leads to precise double stranded breaks in the DNA helix and is cheap to design a 42-nucleotide guide sequence (guide-RNA), which has bases complementary to its target site of the desired break in the DNA.

BCL11a is now recognized to be an important transcription factor (TF) that controls the switch from production of HbF to HbA. After birth, as the level of BCL11a increase, the level of HbF production decreases and HbA increases. It has been known for many decades, that higher levels of Hb-F are ameliorative in thalassemia.

Therefore, BCL11a provides an excellent target for gene-editing approaches. By suppressing BCL11a, it is postulated that HbF production can be triggered again in thalassemia patients. Making specific deletions in the erythroid enhancer of the BCL11a is a promising approach that is being explored currently (Crispr Therapeutics, Inc.). Another approach to increasing HbF production by gene editing is to recreate the mutations seen in families with hereditary persistence of fetal hemoglobin (HPFH). This can be achieved by -

- i) creating small deletions e.g. in the γ - δ intergenic region leads to significant enhancement of the γ -gene expression;
- ii) creating small deletions in the area of HBB cluster where TF bind, so the effect of TF can be inhibited; and

iii) creating point mutations in the γ -globin promoter region that can also lead to overexpression of the mutated gene.

Performing these small edits in the stem cells of thalassemia patients 'ex-vivo' by Caspr-Cas9 tool, may provide an inexpensive way (compared to stem cell transplant and gene addition) in future to ameliorate the disease. The first trials of gene editing to increase HbF production in thalassemia are expected to start in early 2019. If considered efficacious, safe and durable, they will vastly improve the outcomes of thalassemia patients by providing a new curative option and obviating the need for finding donors for stem cell transplantation.

Summary

-Gene-therapy is progressing rapidly with multiple clinical trials being conducted in US and EU with the promise of commercial products to be available in the near future.

-Carefully designed studies are still needed to confirm the efficacy, toxicities and long-term durability of gene-editing approaches, but the future is promising.

- It is also important to focus on the safety of these techniques. Therefore, long-term follow-up of treated patients is very essential to confirm the safety of these genetic manipulations.

Dr. Sandeep Soni, MD

Associate Prof. of Pediatrics, Division of Stem Cell Transplant and RM
Lucile Packard Children's Hospital, Stanford University, Palo Alto, CA 94304

रक्त संचारण पर निर्भर बीटा-थैलेसीमिया के लिए जीन थेरेपी: एक नया उपचार विकल्प

डॉ. संदीप सोनी

एचबीबी (हीमोग्लोबिन उप-इकाई β) जीन गुच्छा (क्रोमोसोम 11p15.5 पर स्थित) के जीनोम अनुक्रमण और β -ग्लोबिन प्रोटीन के प्रतिलेखन और संश्लेषण के दौरान इसके सख्त विनियमन और नियंत्रण ने थैलेसीमिया पैथोफिजियोलॉजी में नई अंतर्दृष्टि प्रदान की है। γ -ग्लोबिन से β -ग्लोबिन उत्पादन में स्विच की पूरी समझ और विभिन्न प्रतिलेखन कारकों (TF) द्वारा इस स्विच के नियंत्रण ने जीन-संशोधनों के लिए नए लक्ष्य प्रदान किए हैं। इसके अतिरिक्त वायरल वेक्टर विकास, बड़े पैमाने पर निर्माण, मानव स्टेम कोशिकाओं के पारगमन और विभिन्न जीन-एडिटिंग न्यूक्लीयों (जैसे ज़िंक फिंगर न्यूक्लीज, क्रिस्प-कैस 9 न्यूक्लीज कॉम्प्लेक्स) की खोज में प्रगति से जीन-थेरेपी निकट भविष्य में आधान पर आधारित उपचारात्मक की उपलब्धता रक्त पर निर्भर β -थैलेसीमिया (TDT) के विकल्प के लिए एक नई आशा प्रदान करती है

जीन-थेरेपी के लिए, रोगी के स्वयं के स्टेम सेल (ऑटोलॉग्स) एकत्र किए जाते हैं, जीन-संशोधित करने के उपरांत फिर पर्याप्त मायलोब्लेशन के बाद रोगी में फिर से में डाला जाता है। इसलिए, यह प्रक्रिया बहुत हद तक एक ऑटोलॉग स्टेम सेल ट्रांसप्लांट के समान है, सिवाय इसके कि स्टेम सेल को मरीज को संचारण करने से पहले कठोर प्रयोगशाला (जीएमपी) स्थितियों के तहत जीन-संशोधित किया जाता है।

टीडीटी के लिए जीन-थेरेपी एक महत्वपूर्ण उपचारात्मक विकल्प है क्योंकि -

- 1) यह स्टेम सेल प्रतिरोपण के समान एक समय उपचार विकल्प होने की उम्मीद है और
 - 2) एचएलए- मिलान संबंधित / असंबंधित दाता की उपलब्धता की आवश्यकता नहीं है, और
 - 3) इसमें अस्वीकृति और ग्राफ्ट-बनाम-होस्ट रोग (जीवीएचडी) जैसे स्टेम सेल ट्रांसप्लांट की जटिलताएं, ऑटोलॉग स्टेम कोशिकाओं के उपयोग के कारण नहीं होती
- टीडीटी में जीन-थेरेपी के वर्तमान नैदानिक परीक्षणों को दो व्यापक समूहों में विभाजित किया जा सकता है-
- ए) जीन-जोड़, और बी) जीन-संपादन दृष्टिकोण।

क) जीन-जोड़

इसमें मानव स्टेम कोशिकाओं के जीनोम में एक lentivirus वेक्टर के माध्यम से पूरे HBB जीन में सम्मिलन किया जाता है। वेक्टर में पूरे नियामक तत्वों के साथ बीटा या गामा ग्लोबिन जीन होता है। वेक्टर की नई पीढ़ी 'स्व-निष्क्रिय' है, यानी एचबीबी जीन मानव जीनोम में एकीकृत हो जाने के बाद, पुनर्संयोजन से नहीं गुजरता है। एक बार एकीकृत होने के बाद, यह उम्मीद की जाती है कि एचबीबी जीन अनुवादित हो जाएगा और कमी वाले β -ग्लोबिन प्रोटीन का संश्लेषण आरम्भ कर देगा। इस प्रकार, इस दृष्टिकोण की प्रभावकारिता बड़ी संख्या में स्टेम कोशिकाओं में एचबीबी जीन की अधिक प्रतियां डालने में निहित है।

हालांकि, वैचारिक रूप से यह आसान है, यह क्षेत्र केवल हाल ही में तकनीकी रूप से उन्नत हुआ है, जहां अब बड़े पैमाने पर वेक्टर (पूरे HBB जीन और इसके नियामक तत्वों के साथ पैक) का उत्पादन किया जा सकता है, बड़ी संख्या में मानव स्टेम कोशिकाओं को संक्रमित करने के लिए अत्यधिक शुद्धि और शक्ति प्राप्त करते हैं जिससे रोगियों को नैदानिक सार्थक लाभ प्रदान हो। एक लंबे समय तक चलने वाले सुधार के लिए (और एक मुफ्त के इलाज की उम्मीद के साथ), सम्मिलन स्टेम सेल और पूर्वज कोशिकाओं (CD34 चयनित जनसंख्या, Milteyni) में किया जाता है।। इस मामले में ग्लोबिन पैदा करने वाले जीन को एरिथ्रोइड विशिष्ट प्रमोटर के नियंत्रण में रखा जाना चाहिए, ताकि सम्मिलित जीन का प्रतिलेखन केवल एरिथ्रोइड अग्रदूतों में हो, न कि श्वेत रक्त कोशिकाओं या प्लेटलेट्स में, वो भी संशोधित स्टेम सेल से व्युत्पन्न हैं।

वर्तमान में बीटा थैलेसीमिया (NCT 02453477, NCT 02906202, NCT 02151526) के लिए कई लेंटिवायरल वेक्टर आधारित जीन-सम्मिलन नैदानिक परीक्षण चल रहे हैं। एक बार जब स्टेम कोशिकाओं की एक बड़ी आबादी को प्रक्रमित किया गया और रोगी को वापस भेज दिया गया, तो यह उम्मीद की जाती है कि इन स्टेम कोशिकाओं से प्राप्त एरिथ्रोसाइट प्रोगेनेटर पर्याप्त β (या γ) - ग्लोबिन का उत्पादन करेंगे और α (चेन) के साथ संयोजन करके α/β असंतुलन को कम करेंगे। इससे अप्रभावी एरिथ्रोपोएसिस का सुधार होगा और एरिथ्रोसाइट्स की बड़ी संख्या के साथ बेहतर आरबीसी जीवनकाल, रक्त में उच्च एचबी के साथ एनीमिया में सुधार और रक्त आधान की आवश्यकता में कमी आयेगी है।

चूंकि स्टेम कोशिकाओं में वेक्टर सम्मिलन 'अर्ध-बेतरतीब ढंग से' होता है और काफी हद तक एक अनियंत्रित प्रक्रिया बनी हुई है, इसलिए एक छोटा सा जोखिम है कि मानव स्टेम कोशिकाओं में कुछ सम्मिलन प्रोटो-ओन्कोजीन के आसपास के क्षेत्र में हो सकते हैं और क्लोनल प्रसार को उत्तेजित कर सकते हैं जिससे ल्यूकेमिया /माईइलॉडिसप्लास्टिक सिंड्रोम (एमडीएस) हो सकता है। वर्तमान में, एफडीए की आवश्यकता है कि जीन थेरेपी के साथ इलाज किए जाने वाले सभी रोगियों को 15 वर्षों की अवधि के लिए सख्ती से अनुकरण करने की आवश्यकता है ताकि इस जोखिम की घटना को स्पष्ट रूप से स्थापित किया जा सके। सौभाग्य से, आज तक, नई पीढ़ी के लेंटिवायरल वेक्टर के साथ इलाज किए गए रोगियों में से किसी में भी ल्यूकेमिया या एमडीएस विकसित नहीं हुआ है।

ब्लूबर्ड बायो, इंक द्वारा (HGB 204 और 205 BB305 वेक्टर का उपयोग करके) प्रायोजित अमेरिका और फ्रांस में किए गए पहले आरंभिक अध्ययनों में, अब तक इलाज किए गए सभी रोगियों ने बसप्लेन की मायलोब्लेटिव खुराक के साथ नियमानुसार अनुकूलन करने पर, संशोधित स्टेम कोशिकाओं के प्रदान से संबंधित किसी भी अप्रत्याशित विषाक्तता और संचारण प्रतिक्रियाओं को सहन किया है। सभी रोगियों में रोपण हुआ है, हालांकि BB305 lentiviral वेक्टर के साथ इलाज किए गए पहले कुछ रोगियों की प्रभाव और कुल एचबी उत्पादन विभिन्न दिखा है।

यह परिवर्तनशीलता अपेक्षित है, क्योंकि β -थैलेसीमिया के रोगियों में एचबीबी क्लस्टर में विभिन्न उत्परिवर्तन और विभिन्न आनुवंशिक संशोधक की उपस्थिति के कारण बड़ी आनुवंशिक विविधता है और इसलिए, रक्त संचारण स्वतंत्र बनने के

लिए आवश्यक एचबी का स्तर भी परिवर्तनशील है। परीक्षण के प्रारंभिक परिणाम जीन-सम्मिलन से HbAT87Q के 4.5 g/dl का औसत उत्पादन दिखाते हैं (HbAT87Q जीन सम्मिलन व्युत्पन्न एचबी है जिसे एक एए प्रतिस्थापन की उपस्थिति के कारण एचपीएलसी द्वारा आधान से प्राप्त एचबीए से अलग से पहचाना जा सकता है: ग्लूटामाइन के बजाय 87 स्थिति में थ्रेओनीन)। HbE/ β -थैलेसीमिया या $\beta 0/\beta +$ रोगियों में रक्त संचारण से स्वतंत्रता पाने के लिए Hb की ~ 5 g/dl की वृद्धि पर्याप्त है, लेकिन $\beta 0/\beta 0$ रोगियों में केवल आंशिक सुधार (आधान में कमी) संभव है, जहां ट्रांसफ्यूजन स्वतंत्र बनने के लिए एचबी उत्पादन के उच्च स्तर की आवश्यकता होती है। परीक्षण के अगले चरण में स्टेम कोशिकाओं के पारगमन क्षमता में सुधार के लिए प्रौद्योगिकी में सुधार जारी है, ताकि $\beta 0/\beta 0$ रोगियों को भी रक्त संचारण मुक्त कर सकें।

B. जीन-संपादन

पिछले कुछ वर्षों में नए न्यूक्लियरों की उपलब्धता थैलेसीमिया रोगियों में एनीमिया को कम करने के लिए जीन-संपादन दृष्टिकोणों का तेजी से विकास अग्रसर है। पिछले कुछ वर्षों में अलग-अलग न्यूक्लियर की उपलब्धता में वृद्धि देखी गई है- जिंक-फिंगर न्यूक्लीज (ZFN), ट्रांसक्रिप्शन एक्टिवेटर-जैसे एफिशिएंट न्यूक्लीज (TALENs), और क्लस्टरड रेगुलरली इंटरस्पेन्डेड शॉर्ट पैलैरोमिक रिपीट और क्रिस्प-से-न्यूक्लेस 9 (क्रिस्प-कैस 9)। ये सभी nucleases सटीक स्थानों पर मानव डीएनए में कटौती कर सकते हैं। इन तकनीकों में से, क्रिस्प-कैस 9 सबसे रोचक है क्योंकि यह डीएनए हेलिक्स में सटीक डबल फंसे हुए तंतु विच्छेद करता है और 42-न्यूक्लियोटाइड गाइड अनुक्रम (गाइड-आरएनए) को डिजाइन करने के लिए सस्ता है, जो इसके लक्ष्य स्थल डीएनए में वांछित तंतु में विच्छेद के लिए मानार्थ आधार है।

BCL11a को अब एक महत्वपूर्ण प्रतिलेखन कारक (TF) माना जाता है जो HbF से HbA के उत्पादन स्विच को नियंत्रित करता है। जन्म के बाद, बीसीएल 11 ए का स्तर बढ़ने के साथ-साथ एचबीएफ उत्पादन का स्तर घटता है और एचबीए बढ़ता है। यह कई दशकों से जाना जाता है, कि एचबी-एफ का उच्च स्तर थैलेसीमिया में सुधारक है। इसलिए, BCL11a जीन-संपादन दृष्टिकोण के लिए एक उत्कृष्ट लक्ष्य प्रदान करता है। यह माना जाता है कि BCL11a को दबाकर, थैलेसीमिया के रोगियों में एचबीएफ उत्पादन फिर से शुरू हो सकता है। BCL11a के एरिथ्रोइड बढ़ाने वाले कारक में विशिष्ट विलोपन एक आशाजनक दृष्टिकोण है जिसे वर्तमान में खोजा जा रहा है (Crispr Therapeutics, Inc.)। जीन संपादन द्वारा एचबीएफ उत्पादन बढ़ाने के लिए एक और दृष्टिकोण वंशानुगत चिर उपस्थिति भ्रूण हीमोग्लोबिन (HPFH) परिवारों में देखी गई उत्परिवर्तन को फिर से बनाना है। इसे हासिल किया जा सकता है -

- i) छोटे विलोपन बनाना जैसे γ - δ -इंटरजेनिक क्षेत्र γ -जीन अभिव्यक्ति की महत्वपूर्ण वृद्धि होती है;
- ii) एचबीबी क्लस्टर के क्षेत्र में छोटे विलोपन बनाना जहां टीएफ बाँधता है, ताकि टीएफ का प्रभाव बाधित हो सके; तथा
- iii) γ -ग्लोबिन प्रमोटर क्षेत्र में बिंदु उत्परिवर्तन पैदा करना जो उत्परिवर्तित जीन के अत्यधिक अभिव्यक्ति का कारण बन सके

क्रैस्पर-कैस 9 साधन द्वारा थैलेसीमिया के रोगियों के स्टेम सेल, "जीव" में इन छोटे संपादनों का क्रियान्वित करना, भविष्य में बीमारी को ठीक करने के लिए एक सस्ता तरीका (स्टेम सेल ट्रांसप्लांट और जीन के अतिरिक्त) प्रदान कर सकता है। थैलेसीमिया में एचबीएफ उत्पादन को बढ़ाने के लिए जीन एडिटिंग का पहला परीक्षण 2019 की शुरुआत में शुरू होने की उम्मीद है। यदि यह प्रभावी, सुरक्षित और टिकाऊ निकलता है, तो वह थैलेसीमिया रोगियों में स्टेम सेल प्रत्यारोपण के लिए दाताओं को खोजने की आवश्यकता को कम करके बदले में एक नया उपचारात्मक विकल्प प्रदान करके परिणामों में सुधार करेगा।

सारांश

-जीन-चिकित्सा अमेरिका और यूरोपीय संघ में कई चिकित्सीय परीक्षणों में तेजी

से प्रगति कर रही है, जिससे निकट भविष्य में व्यवसायिक उत्पादों के उपलब्ध होने की आशा है।

-विशेष रूप से डिजाइन किए गए अध्ययनों को अभी भी जीन-संपादन दृष्टिकोणों की प्रभावकारिता, विषाक्तता और दीर्घकालिक स्थायित्व की पुष्टि करने की आवश्यकता है, लेकिन भविष्य आशाजनक है।

जीन-थेरेपी के लिए चल रहे क्लिनिकल परीक्षण के बारे में अधिक जानकारी निम्नलिखित वेबसाइटों पर उपलब्ध है-

1. ब्लूबर्ड बायो, इंक। (Www.bluebirdbio.com)
2. क्राइसप्र थेरेप्यूटिक्स, इंक। (Www.crisprtx.com)
3. Clinicaltrials.gov (उपरोक्त पाठ में प्रदान की गई एनसीटी संख्या) आगे की पढ़ाई

F.No. 16-110/2003-DD.III

Government of India

Ministry of Social Justice & Empowerment

Department of Disability Affairs

Shastri Bhawan, New Delhi

NOTIFICATION

Dated: 26th February, 2013

**Only Persons with
Benchmark Disability
are entitled**

Subject: Guidelines for conducting written examination for persons with disabilities.

The undersigned is directed to say that Chief Commissioner of persons with disabilities (CCPD) in its order dated 23.11.2012 in case No. 3929/2007 (in the matter of Shri Gopal Sisodia, Indian Association of the Blind vs. State Bank of India & Others) and in case No65/1041/12-13 (in the matter of Score Foundation vs. Department of Disability Affairs) had directed this Ministry to circulate guidelines for the purpose of conducting written examination for persons with disabilities for compliance by all concerned. In compliance of the above order, this Ministry hereby lays down the following uniform and comprehensive guidelines for conducting examination for the persons with disabilities as recommended by CCPD:-

- I. There should be a uniform and comprehensive policy across the country for persons with disabilities for written examination taking into account improvement in technology and new avenues opened to the persons with disabilities providing a level playing field. Policy should also have flexibility to accommodate the specific needs on case-to-case basis.
- II. There is no need for fixing separate criteria for regular and competitive examinations.
.....
.....
- X. The disability certificate issued by the competent medical authority at any place should be accepted across the country.
- XI. The word "extra time or additional time" that is being currently used should be changed to "compensatory time" and the same should not be less than 20 minutes per hour of examination for persons who are making use of scribe/reader/assistant. All the candidates with disability availing the facility of scribe may be allowed additional time of minimum of one hour for examination of 3 hour duration which could further be increased on case to case basis.

2) It is requested to ensure that the above guidelines are scrupulously followed while conducting examination for persons with disabilities. All the recruitment agencies, Academics/Examination bodies etc. under your administrative control may be advised appropriately to ensure compliance of implementing these guidelines. Action taken in this regard may be intimated to this office.

3) The above guidelines are issued with the approval of Hon'ble Minister (Social Justice & Empowerment).

Yours faithfully,

Sd/-

(Jagdish Kumar)

Deputy Secretary to the Govt. of India

Panel Discussion on BMT Gene Therapy

Q1) If a person who has undergone successful gene therapy, then what will be the risk of transmitting thalassemia in the offspring?

ANS) Risk will be same as BMT means the person has to take adequate steps for prevention same as thalassemia major.

Q2) There is a scenario that there are three children of age 3, 12 & 20 years should they go for BMT or not?

ANS) Early action is always better
✓ At the age of 3 years there will be chances of 90% success

Q3) If a patient does not have family matched donor then should the patient go for half match or haplo-transplant?

ANS) Dr Sandeep Soni replied that Doctors should tell each and every situation and should be transparent with the techniques, advantage and disadvantage but the final decision will be taken by the family.

Dr Alok Srivastava said that there can be chances of change in opinions but it should not be done

Q4) After BMT is there any problem patients have to face related to their reproductive function?

ANS) Before the age of 10 years, there is possibility that patient is fine with the reproductive function but in case of late transplant fertility may be compromised.

Q5) If a patient go for transplantation for how long patient has to stay in the hospital? And is there any risk to donor?

ANS) Normally it will take one month of stay in hospital for the patient but in case of any infection it may take more than 2, 3 months. There is no risk to donor.

Q6) How to search for unrelated donor? Does Government supports?

ANS) Firstly get high resolution HLA through an approved lab (costs 10-12 thousand)
✓ Submit to donor registry online (free)
✓ Confirmatory typing (costs 2 thousand 2.5thousand dolar) it will take 1-2 month
✓ Once the donor accepts, contact the donor. Whole process take 2-3 months sometimes 4-5 months (costs 6-8 lakh)

Q7) If Gene therapy can be done in post BMT failure or splenectomized patient?

ANS) No matter it is possible

Q8) what is the age criteria for gene therapy?

ANS) Age limit – 18 - 35 (for safety trials). After FDA approval, upper age can be extended to any age and lower age, it may be initiated from 12 years onwards.

Q1) यदि कोई व्यक्ति सफल जीन थेरेपी से गुजरा है, तो चाहिए उसकी संतान में थैलेसीमिया संचारित करने का जोखिम क्या होगा?

ANS) जोखिम बीएमटी के समान होगा अर्थात व्यक्ति को थैलेसीमिया मेजर की रोकथाम के लिए पर्याप्त कदम उठाने होंगे।

Q2) एक परिदृश्य है कि 3, 12 और 20 वर्ष की आयु के तीन बच्चे हैं उनको बीएमटी कराना चाहिए या नहीं?

ANS) प्रारंभिक कार्रवाई हमेशा बेहतर होती है। 3 वर्ष की आयु में 90% सफलता की संभावना होगी

Q3) यदि किसी मरीज के पास पारिवारिक मिलान दाता नहीं है, तो क्या मरीज को आधे मैच या हैप्लो-ट्रांसप्लांट के लिए जाना चाहिए?

ANS) डॉ। संदीप सोनी ने जवाब दिया कि डॉक्टरों को प्रत्येक स्थिति को बताना चाहिए और तकनीक के लाभ और नुकसान के साथ पारदर्शी होना चाहिए, लेकिन अंतिम निर्णय परिवार द्वारा लिया जाएगा।

डॉ। आलोक श्रीवास्तव ने कहा कि डॉक्टरों में विचार-विभिन्नता की संभावना हो सकती है लेकिन मेरे विचार से ऐसा नहीं किया जाना चाहिए।

Q4) बीएमटी के बाद मरीजों को उनके प्रजनन कार्य से संबंधित क्या कोई समस्या हो सकती है?

ANS) 10 वर्ष की आयु से पहले बीएमटी करने पर संभावना है कि रोगी में प्रजनन कार्य ठीक रहेगा, लेकिन देरी से प्रत्यारोपण के मामले में प्रजनन क्षमता से समझौता हो सकता है।

Q5) यदि कोई मरीज अस्पताल में प्रत्यारोपण के लिए जाता है तो उसे कितने समय तक अस्पताल में रहना पड़ता है? और क्या डोनर को कोई खतरा है?

ANS) आम तौर पर रोगी को अस्पताल में एक महीने का समय लगेगा लेकिन किसी भी संक्रमण के मामले में 2, 3 महीने से अधिक समय लग सकता है। डोनर को कोई खतरा नहीं है।

Q6) असंबंधित डोनर की खोज कैसे करें? क्या सरकार समर्थन करती है?

ANS) सबसे पहले अनुमोदित बैंक के माध्यम से उच्च रिजॉल्यूशन HLA प्राप्त करें (लागत 10-12 हजार)

- ✓ दाता रजिस्ट्री को ऑनलाइन जमा करें (निःशुल्क)
- ✓ पुष्टिकारक टाइपिंग (लागत 2 हजार - 2.5 हजार डॉलर) इसमें 1-2 महीने का समय लगेगा
- ✓ दाता के स्वीकार करने के बाद, दाता से संपर्क करें। संपूर्ण प्रक्रिया में 2-3 महीने लगते हैं कभी-कभी 4-5 महीने भी लग सकते हैं (लागत 6-8 लाख रूपए)

Q7) क्या जीन थेरेपी बीएमटी विफलता या तिल्ली निकलने के बाद की जा सकती है?

ANS) कोई बात नहीं यह संभव है।

Q8) जीन थेरेपी के लिए आयु मानदंड क्या है?

ANS) 18 आयु सीमा - 18 - 35 (सुरक्षा परीक्षणों के लिए)। एफडीए की मंजूरी के बाद, ऊपरी आयु को किसी भी उम्र तक बढ़ाया जा सकता है, और कम उम्र, इसे 12 साल से शुरू किया जा सकता है।

9th National Thalassemia Conference, 2018

National Thalassemia Welfare Society (NTWS) organized 9th National Thalassemia Conference in association with department of Pediatrics Lady Hardinge Medical College (LHMC) and Kalawati Saran Children's Hospital New Delhi (KSCH) on Saturday Sunday 24th & 25th November 2018.

Honorable guest Justice Anil Dev Singh (retired), Mrs Vinita Srivastava, Thalassemia International Federation (TIF) President Mr Panos Englezos, Executive Director Dr Androulla Elefethriou and Medical Advisor Michael Angastiniotis graced the occasion.

Dr Virendra Kumar Professor Director and Head Department of Pediatrics welcomed the audience on behalf of the department. NTWS President Km Surrender Saini while welcoming the delegates thanked the Doctors for caring Thalassemic Children. She said that when I saw the plight of Thalassemic children it came into my mind that these children should also get benefits available to disable persons. Since Thalassemia was not in the list of Disabilities in the Disability Act, we started sensitizing the authorities towards this. Initially there was lot of resistance from the officers. After a lot of communication, meetings, persuasion and lobbying with the parliamentarians we could get the Thalassemia, Sickle Cell Anemia and Hemophilia in the list of Disabilities in RPWD Act 2016. However these blood disorders have been left out from the purview of job reservation.

Justice Anil Dev Singh further focusing on the disability gave a live example of a brilliant B. Tech Thalassemia major girl who was offered a job on her merit but was rejected on medical grounds though she was keeping a good normal health. We took the company to the court and won the case but since by that time she got admission in M. Tech so she did not join the company.

Dr Michael Angastiniotis in his address said that TIF is committed to improve facilities for management and control of Thalassemia in India.

Dr JS Arora while giving his secretary report said that when we started the society the facilities were meager and now with support of Doctors facilities have much improved. The actions have become faster now for last three years since publishing of guidelines on prevention and management of Hemoglobinopathies and drafting of policy document. This has been possible by active interest taken by none other than Mrs Vinita Srivastava National Consultant Blood Cell National Health Mission (NHM) Ministry of Health and Family Welfare (MOHFW) under the able guidance of Mr. Manoj Jhalani Additional Secretary and Mission Director NHM, MoHFW and Dr Manohar Agnani Joint Secretary MoHFW. Dr Arora appealed to Mrs Vinita to look into proper implementation of guidelines and

policy document.

Mrs Vinita in her address said that things have started happening for the last 2-3 years. Funds have been transferred to states. Some states have started taking actions while some still need a push.

Dr Rajiv Garg Director Principal LHMC in his address said that LHMC is the first institute where adult Thalassemia unit has been established where a comprehensive care to adult Thalassemics is given.

Dr Shruti Kakar Assistant Professor Pediatric Hematology Oncology DMCH, Ludhiana welcomed the delegates and conducted the scientific session. Dr VP Choudhry stressed the need of maintaining pre transfusion haemoglobin above 10gms. He also provided solutions to maintain adequate Hb level. Dr Jagdish Chandra former director principal LHMC said that now most of the thalassemics are entering into adulthood, we need to have adult thalassemia centres. LHMC is the first adult thalassemia centre in India. He explained the challenges faced by thalassemics and steps to overcome these challenges while transferring thalassemics from paediatric to adult centre (medicine department). Dr Alok Hemal informed about measures to be taken pre and post splenectomy.

Dr Parveen Sobti stressed the need of MRI T2* annually after the age of 10 years. She added that Serum ferritin is not reliable as it rises exponentially during infections and inflammation and levels are reduced during concomitant Vitamin C deficiency. MRI T2* study assists us in measuring the iron overload in heart and liver thus helps us in choosing the chelator and deciding the dose.

Dr Veena Doda former HOD Blood Bank RML Hospital mentioned the high prevalence of transfusion transmitted infections like hepatitis B, hepatitis C and HIV in spite of mandatory screening of these viral markers in the Donors Blood. She said transmission of Hepatitis B, Hepatitis C and HIV can be drastically reduced if donor's blood is screened by NAT IDT (Nucleic Acid Testing by Individual Donor Testing Method). She informed that 3 premier institutes in the government sector in Delhi i.e. RML Hospital, AIIMS and armed forces transfusion centre all have NAT IDT facility.

Dr Jagdish Chandra Stressed the need of a comprehensive centre where all facilities including diagnosis, blood bank, transfusion, chelation, record keeping, specialist consultation, BMT, prevention and research are available at one place. Constant dialogue with support groups is helpful in improving the services for the patient. Thalassemia International Federation (TIF) medical advisor Dr Michael Angastiniotis specially came from Cyprus to enlighten Patient Perspective on Treatment adherence and quality of life and also to organize Workshop Capacity Building on 25th November

2018. The Patient Capacity Building was dedicated to motivate and strengthen the voice of Indian Thalassemics to live a quality life with self-esteem and dignity.

Dr J Sardana informed that due to complications of tendering process they are facing problem in procuring medicines at Bireilly. Mr. NN Vidyarthi said Doctors at Bihar even Patna are either not competent or not interested in treating Thalassemia patients. Mr. Gagandeep singh Chandok informed that at Bengaluru officials put the onus on us for collecting the data of patients and vendors. He said how we can collect data of all the patients however it is very easy for the government by asking blood banks to send updated information. Dr JS Arora spoke on empowerment and engagement of patients with special reference to thalassemia. He said that if patients are knowledgeable or aware of their condition and therapy then they can demand adequate treatment e.g. if patients knows that their pre-transfusion hemoglobin should be around 10 gm then they can ask their Doctors to help them in maintaining normal hemoglobin level correspondingly. If you know that 10 to 15 ml/kg of body weight, blood can be given in one day than you can ask your doctor to give 2 to 3 units of blood if it is required as per weight. Similarly knowing many other parameters will assist them in getting optimum treatment. These are more relevant in patients who are taking treatment from smaller cities

First day in the evening there was cultural programme followed by dinner. Tanu and Shobri spurred the thalassemics to sing, speak their heart and dance to forget their worries.

A parallel meeting of Federation of Indian Thalassemics (FIT) was held in the evening. 33 representatives from various societies discussed the status of thalassemia management and prevention in their states/cities. Dr JS Arora and Mrs Shobha Tuli explained them how things are changing and further steps needed for further improvement.

Dr Arora informed that some patients are insisting and getting disability certificate with disability score 80, 90 or even 100%. Higher scoring will be more harmful than beneficial in availing education or job benefits. 40-60% disability is enough to get most of the benefits under RPWD Act 2016

In the Doctors session Dr H Pati explained the diagnoses of difficult cases specially who have been transfused before making diagnosis. Dr VP Choudhry informed that allo-immunization is a major issue of transfusion reactions in leuco-depleted blood, which leads to increased blood requirement. Phenotyped blood matched for smaller groups like C, c, E, e, Kel and Duffy should be transfused.

Dr Anju Seth informed that endocrine problems can be prevented and puberty will be normal if adequate transfusion and chelation is done from the beginning. Endocrine evaluation should be started from the age of 10 years and urgent measures should be taken if puberty does not set in at the age of 13 years in girls and 14 years in boys.

Dr Vatsla Dadhwal speaking on fertility and pregnancy in thalassemia said that normal pregnancy is feasible in both thalassemia major and NTDT (non - transfusion dependent thalassemia) however many patients require intervention for conception. Dr VK Khanna in his talk said that complications in NTDT are different from those of TDT (Transfusion Dependent Thalassemia/ Thalassemia major). Thrombophilia complications and pulmonary hypertension are more common in NTDT.

Dr Dinesh Bhurani in his talk said that patients less than 5 -7 years of age are best candidate for transplant so as soon as the child is diagnosed with thalassemia major the family should be encouraged to start preparing for the transplant. However successful transplantation in thalassemia in India has been done up to the age of 25 years. Dr Sandeep Soni an expert on gene therapy who specially flew from US to enlighten us on gene therapy said that till now all the trials in gene therapy on thalassemia have been successful. Now gene editing is a new concept in gene therapy which is much easier and cost effective. It may take 5 years to introduce gene therapy in India. He said he cannot spell out the estimated cost of gene therapy in India.

Dr SK Prasad Deputy Director Disability Ministry of Social Justice and Empowerment spoke about benefits of RPWD act 2016 for Thalassemics. Mr. TD Dhariyal Commissioner Disability Delhi Government enlightened the audience on certification procedure and grievances & redressal. There were lots of question on disability from the audience. Commissioners informed that scoring of disability certification for Thalassemia and sickle cell anemia is under review, new amended scoring will be notified shortly.

Everybody left the auditorium after becoming more wise to manage thalassemia optimally with a ray of hope that soon they will be off transfusion with newer therapies like gene therapy or drugs to improve haemoglobin level. Disability was another issue on which patients and parents took more interest.

Unique inventions in Medical Sciences

CRISPR/Cas9 technology developed by Intellia has the potential to edit disease-associated genes in the human body with a single treatment course.

नेशनल थैलेसीमिया वेलफेयर सोसाइटी (NTWS) ने लेडी हार्डिंग मेडिकल कॉलेज (LHMC) बाल रोग विभाग और कलावती सरन चिल्ड्रन हॉस्पिटल नई दिल्ली (KSCH) के साथ मिलकर शनिवार और रविवार दिनांक २४ एवं २५ नवंबर २०१८ को ९वां राष्ट्रीय थैलेसीमिया सम्मेलन आयोजित किया।

माननीय अतिथि न्यायमूर्ति अनिल देव सिंह (सेवानिवृत्त), श्रीमती विनीता श्रीवास्तव (नेशनल सीनियर कंसल्टेंट एंड कोऑर्डिनेटर ब्लड सेल), थैलेसीमिया इंटरनेशनल फेडरेशन (टीआईएफ) के अध्यक्ष श्री पैनोस एंजलिजोस, कार्यकारी निदेशक डॉ। अन्डरूला एलेफथ्रिउ और चिकित्सा सलाहकार माइकल अंगस्टीनिओटिस ने इस अवसर पर विचार रखे।

डॉ। वीरेंद्र कुमार प्रोफेसर निदेशक और बाल रोग विभाग के प्रमुख ने विभाग की ओर से दर्शकों का स्वागत किया। NTWS की अध्यक्षता कुम: सुरेंद्र सैनी ने प्रतिनिधियों का स्वागत करते हुए थैलेसीमिक बच्चों की देखभाल के लिए डॉक्टरों का धन्यवाद किया। उन्होंने कहा कि जब मैंने थैलेसीमिक बच्चों की दुर्दशा देखी तो मेरे दिमाग में यह बात आई कि इन बच्चों को दिव्यांजन व्यक्तियों के समकक्ष लाभ मिलना चाहिए। चूंकि थैलेसीमिया विकलांगता अधिनियम की दिव्यांजन की सूची में नहीं था, अतः हमने इसके प्रति अधिकारियों को संवेदनशील बनाना शुरू कर दिया। शुरू में अफसरों का काफी विरोध हुआ। बहुत से संचार, बैठकों, अनुनय और सांसदों के साथ पैरवी करने के बाद, हमें RPWD अधिनियम 2016 में दिव्यांजन की सूची में थैलेसीमिया, सिकल सेल एनीमिया और हेमोफिलिया मिला। हालांकि, इन रक्त विकारों को नौकरी आरक्षण के दायरे से बाहर रखा गया है।

न्यायमूर्ति अनिल देव सिंह ने दिव्यांजन पर ध्यान केंद्रित करते हुए एक प्रतिभाशाली बी.टेक थैलेसीमिया प्रमुख लड़की का जीवंत उदाहरण दिया, जिसे उसकी योग्यता के आधार पर नौकरी की पेशकश की गई थी, लेकिन उसे चिकित्सीय परीक्षा के आधार पर अस्वीकार कर दिया गया था, हालांकि वह एक अच्छी सामान्य स्वास्थ्य रख रही थी। हम कंपनी को अदालत में ले गए और केस जीता लेकिन तब वह एम टेक में दाखिला ले चुकी थी इसलिए उसने कंपनी ज्वाइन नहीं की।

डॉ। माइकल एंगस्टिनियोटिस ने अपने संबोधन में कहा कि टीआईएफ भारत में थैलेसीमिया के प्रबंधन और नियंत्रण के लिए सुविधाओं में सुधार के लिए प्रतिबद्ध है।

डॉ। जेएस अरोड़ा ने अपनी सचिव रिपोर्ट देते हुए कहा कि जब हमने संस्था की शुरुआत की थी तब सुविधाएं बहुत कम थीं और अब डॉक्टरों की सहायता से सुविधाओं में बहुत सुधार हुआ है। हेमोग्लोबिनोपैथीज की रोकथाम और प्रबंधन के नीति दस्तावेज दिशानिर्देशों के प्रकाशन के बाद से पिछले तीन वर्षों से गतिविधियां अब तेज हो गई हैं। यह श्रीमती विनीता श्रीवास्तव नेशनल कंसल्टेंट ब्लड सेल नेशनल हेल्थ मिशन (NHM) स्वास्थ्य और परिवार कल्याण मंत्रालय (MoHFW) के द्वारा की गई सक्रिय रुचि के अलावा श्री मनोज झालानी अतिरिक्त सचिव और मिशन निदेशक NHM, MoHFW और डॉ मनोहर अगनानी संयुक्त निदेशक

MoHFW के कुशल मार्गदर्शन से संभव हुआ है डॉ। अरोड़ा ने श्रीमती विनीता से अपील की कि वे दिशानिर्देशों और नीति दस्तावेज के उचित कार्यान्वयन पर ध्यान दें।

श्रीमती विनीता ने अपने संबोधन में कहा कि पिछले 2-3 वर्षों से चीजें होने लगी हैं। राज्यों को फंड ट्रांसफर किया गया है। कुछ राज्यों ने कार्रवाई शुरू कर दी है जबकि कुछ को अभी भी जोर देने की आवश्यकता है।

डॉ। राजीव गर्ग डायरेक्टर प्रिंसिपल LHMC ने अपने संबोधन में कहा कि LHMC पहला संस्थान है जहाँ वयस्क थैलेसीमिया यूनिट की स्थापना की गई है, जहाँ वयस्क थैलेसीमिक्स की व्यापक देखभाल की जाती है।

डॉ। श्रुति कक्कर अस्सिस्टेंट प्रोफेसर पीडियाट्रिक हेमटोलॉजी ऑन्कोलॉजी डीएमसीएच, लुधियाना ने प्रतिनिधियों का स्वागत किया और वैज्ञानिक सत्र का संचालन किया। डॉ वीपी चौधरी ने हीमोग्लोबिन को ट्रांसफ्यूजन से पूर्व 10 ग्राम से ऊपर बनाए रखने की आवश्यकता पर बल दिया। उन्होंने पर्याप्त एचबी स्तर बनाए रखने के लिए समाधान भी प्रदान किए। डॉ जगदीश चंद्र पूर्व निदेशक प्रिंसिपल LHMC ने कहा कि अब ज्यादातर थैलेसीमिक्स वयस्कता में प्रवेश कर रहे हैं, हमें वयस्क थैलेसीमिया केंद्र बनाने की आवश्यकता है। उन्होंने थैलेसीमिक्स को बाल चिकित्सा से वयस्क केंद्र (चिकित्सा विभाग) में स्थानांतरित किये जाने पर थैलेसीमिक्स द्वारा सामना की जाने वाली चुनौतियों और इन चुनौतियों को दूर करने के लिए कदमों को समझाया, जबकि डॉ। आलोक हेमल ने स्प्लेनेक्टोमी पूर्व और पश्चात् के उपायों के बारे में बताया।

डॉ परवीन सोबती ने 10 वर्ष की आयु के बाद प्रति वर्ष MRI T2 * की आवश्यकता पर बल दिया। उन्होंने कहा कि सीरम फेरिटिन विश्वसनीय नहीं है क्योंकि यह संक्रमण और सूजन के दौरान तेजी से बढ़ता है और सहवर्ती विटामिन सी की कमी के दौरान स्तर कम हो जाता है। एमआरआई टी 2 * अध्ययन हमें दिल और जिगर में लोहे के अधिभार को मापने में सहायता करता है और इस तरह से हमें चीलेटर चुनने और खुराक तय करने में मदद करता है।

डॉ विना डोडा पूर्व एचओडी ब्लड बैंक राम मनोहर लोहिया हॉस्पिटल ने डोनर्स ब्लड में हेपेटाइटिस बी, हेपेटाइटिस सी और एचआईवी वायरल मार्करों की अनिवार्य जांच के बावजूद इन संचरित संक्रमणों के उच्च प्रसार का उल्लेख किया। उन्होंने कहा कि हेपेटाइटिस बी, हेपेटाइटिस सी और एचआईवी का संचरण बहुत कम हो सकता है, यदि डोनर के रक्त की जांच NAT IDT (व्यक्तिगत डोनर परीक्षण विधि द्वारा न्यूक्लिक एसिड परीक्षण) द्वारा की जाती है। उन्होंने बताया कि दिल्ली में सरकारी क्षेत्र में 3 प्रमुख संस्थान आरएमएल अस्पताल, और सशस्त्र बलों के ट्रांसफ्यूजन केंद्र में NAT की सुविधा है।

डॉ। जगदीश चंद्र ने एक व्यापक केंद्र की आवश्यकता पर विचार किया, जहाँ निदान, ब्लड बैंक, रक्ताधान, चीलेशन, रिकॉर्ड कीपिंग, विशेषज्ञ परामर्श, बीएमटी, रोकथाम और अनुसंधान सहित सभी सुविधाएं एक स्थान पर उपलब्ध हों। सेवाओं को बेहतर बनाने में रोगी सहायता समूहों के साथ लगातार संवाद सहायक है।

थैलेसीमिया इंटरनेशनल फेडरेशन (TIF) के चिकित्सा सलाहकार डॉ माइकल एंगस्टिनियोटिस विशेष रूप से साइप्रस, से उपचार के पालन और जीवन की गुणवत्ता पर रोगी के दृष्टिकोण को कैसे व्यवस्थित किया जा सके पर प्रकाश डालने आए थे और 25 नवंबर 2018 को कैपेसिटी बिल्डिंग कार्यशाला का आयोजन किया जा सके। पेशेंट कैपेसिटी बिल्डिंग, भारतीय थैलेसीमिक्स की आवाज को आत्मसम्मान और गरिमा के साथ एक गुणवत्तापूर्ण जीवन जीने के लिए प्रेरित करने और मजबूत बनाने के लिए समर्पित थी। के। रोगी के लिए सेवाओं को बेहतर बनाने में सहायता समूहों के साथ लगातार संवाद सहायक है। डॉ जे सरदाना ने बताया कि निविदा प्रक्रिया की जटिलताओं के कारण उन्हें बरेली में दवाई खरीदने में समस्या का सामना करना पड़ रहा है। श्री एनएन विद्यार्थी ने कहा कि बिहार में यहाँ तक कि पटना में डॉक्टर या तो सक्षम नहीं हैं या थैलेसीमिया के रोगियों के इलाज में रुचि नहीं रखते हैं। श्री गगनदीप सिंह चंडोक ने बताया कि बेंगलुरु के अधिकारियों ने मरीजों और विक्रेताओं का डेटा एकत्र करने के लिए हम से आग्रह किया है। उन्होंने कहा कि कैसे हम सभी रोगियों का डेटा एकत्र कर सकते हैं, हालांकि ब्लड बैंकों से नवीनतम जानकारी भेजने के लिए कहना सरकार के लिए बहुत आसान है। डॉ जेएस अरोड़ा ने रोगियों के संवाद और सशक्तिकरण पर बात की विशेष रूप से थैलेसीमिया के संदर्भ में। उन्होंने कहा कि यदि मरीज अपनी स्थिति और चिकित्सा के बारे में जानकार हैं या जानते हैं तो वे पर्याप्त उपचार की मांग कर सकते हैं। यदि रोगियों को पता है कि उनका रक्तआधान पूर्व हीमोग्लोबिन लगभग 10 ग्राम होना चाहिए तब वे अपने डॉक्टरों को सामान्य हीमोग्लोबिन बनाए रखने में उनकी मदद करने के लिए कह सकते हैं। तदनुसार यदि आप जानते हैं कि शरीर के वजन के अनुसार 10 से 15 मिलीलीटर/किग्रा, रक्त एक दिन में दिया जा सकता है, तो आप अपने चिकित्सक से 2 से 3 यूनिट रक्त देने के लिए कह सकते हैं, यदि यह वजन के अनुसार आवश्यक है। इसी तरह कई अन्य मापदंडों को जानने से उन्हें सर्वोत्कृष्ट उपचार प्राप्त करने में सहायता मिलेगी। ये उन रोगियों में अधिक प्रासंगिक हैं जो छोटे शहरों से उपचार ले रहे हैं

पहले दिन शाम को सांस्कृतिक कार्यक्रम हुआ और उसके बाद रात्रि भोज। तनु और शोबरी ने थैलेसीमिक्स को गाने, अपने दिल की बात कहने और अपनी चिंताओं को भूलकर नृत्य के लिए उत्साहित किया।

शाम को फेडरेशन ऑफ इंडियन थैलेसीमिक्स (FIT) की एक समानांतर बैठक हुई। विभिन्न थैलेसीमिया संस्थाओं के 33 प्रतिनिधियों ने अपने राज्यों / शहरों में थैलेसीमिया प्रबंधन और रोकथाम की स्थिति पर चर्चा की। डॉ जेएस अरोड़ा और श्रीमती शोभा तुली ने उन्हें समझाया कि कैसे चीजें बदल रही हैं और आगे सुधार के लिए और कदमों की आवश्यकता है। डॉ अरोड़ा ने बताया कि कुछ मरीज विकलांगता स्कोर 80, 90 या 100% के साथ विकलांगता प्रमाण पत्र प्राप्त कर रहे हैं। उच्च स्कोरिंग शिक्षा या नौकरी के लाभ उठाने में लाभ से अधिक हानिकारक होगा। RPWD अधिनियम 2016 के तहत अधिकांश लाभ प्राप्त करने के लिए 40-60% विकलांगता पर्याप्त है।

डॉक्टर सेशन में डॉ एच पती ने विशेष रूप से कठिन मामलों के निदान के बारे में बताया, जिन्हें निदान करने से पहले ट्रांसफ्यूज किया गया है। डॉ वीपी चौधरी ने बताया कि उप-प्रतिरक्षण श्वेत रक्तकण रहित रक्त में

आधान प्रतिक्रियाओं का एक प्रमुख मुद्दा है, जिससे रक्त की आवश्यकता बढ़ जाती है। सी, ई, केल और डफी जैसे छोटे समूहों के लिए फेनोटाइप रक्त का मिलान किया जाना चाहिए।

डॉ अंजू सेठ ने बताया कि अंतःस्रावी समस्याओं को रोका जा सकता है और यदि शुरू से ही पर्याप्त रक्त संचारण और चीलेशन हो तो यौवन सामान्य रहेगा। अंतःस्रावी मूल्यांकन 10 साल की उम्र से शुरू किया जाना चाहिए यदि यौवन 13 साल की उम्र में लड़कियों में और 14 साल से लड़कों में आरम्भ न हो। तो जरूरी उपाय किए जाने चाहिए। डॉ वत्सला डडवाल ने थैलेसीमिया में प्रजनन और गर्भावस्था पर बात करते हुए कहा कि सामान्य गर्भावस्था थैलेसीमिया मेजर और एनटीडीटी (गैर-आधान निर्भर थैलेसीमिया) दोनों में संभव है। हालांकि कई रोगियों को गर्भाधान के लिए हस्तक्षेप की आवश्यकता होती है। डॉ वीके खन्ना ने अपनी बात में कहा कि NTD में जटिलताएं TDT (ट्रांसफ्यूजन डिपेंडेंट थैलेसीमिया / थैलेसीमिया मेजर) से भिन्न हैं। एनटीडीटी में थ्रोम्बोफिलिया जटिलताओं और फुफ्फुसीय उच्च रक्तचाप अधिक आम हैं।

डॉ दिनेश भूरानी ने अपनी बात में कहा कि 5-7 वर्ष से कम उम्र के मरीज प्रत्यारोपण के लिए सबसे अच्छे उम्मीदवार हैं, जैसे ही बच्चे को थैलेसीमिया का पता चलता है, परिवार को प्रत्यारोपण की तैयारी शुरू करने के लिए प्रोत्साहित किया जाना चाहिए। हालांकि भारत में थैलेसीमिया का सफल प्रत्यारोपण 25 वर्ष की आयु तक किया जा चुका है। डॉ संदीप सोनी जीन थेरेपी विशेषज्ञ जो विशेष रूप से अमेरिका से जीन थेरेपी पर हमें ज्ञान देने के लिए आये, ने कहा कि अब तक थैलेसीमिया पर जीन थेरेपी में सभी परीक्षण सफल रहे हैं। अब जीन थेरेपी में एक नई तकनीक है जो बहुत आसान और प्रभावी है। भारत में जीन थेरेपी शुरू करने में 5 साल लग सकते हैं। उन्होंने कहा कि वह भारत में जीन थेरेपी की अनुमानित लागत का अनुमान नहीं लगा सकते हैं।

सामाजिक न्याय और अधिकारिता मंत्रालय के उप निदेशक डॉ एसके प्रसाद ने थैलेसीमिक्स के लिए RPWD अधिनियम 2016 के लाभों के बारे में बात की। श्रीमान धरियाल आयुक्त विकलांगता विभाग दिल्ली सरकार ने दर्शकों को प्रमाणन प्रक्रिया और शिकायतों के निवारण के बारे में बताया। दर्शकों से विकलांगता पर बहुत सारे सवाल थे। आयुक्तों ने बताया कि थैलेसीमिया और सिकल सेल एनीमिया के लिए विकलांगता प्रमाणन की समीक्षा की जा रही है, नए संशोधित स्कोरिंग को शीघ्र ही अधिसूचित किया जाएगा।

हर कोई अधिक जानकारी और उम्मीद की एक किरण के साथ थैलेसीमिया का उत्कृष्ट प्रबंधन करने के लिए ऑडिटोरियम से निकला कि जल्द ही वे जीन थेरेपी या हेमोग्लोबिन स्तर में सुधार करने वाली दवाई जैसे नए उपचारों के साथ रक्त आधान से दूर हो जाएंगे। विकलांगता एक और मुद्दा था जिस पर रोगियों और अभिभावकों ने अधिक रुचि ली।

Unique inventions in Medical Sciences

Blood nanobots will soon be able to imitate human white blood cells, fighting disease and bacteria. Blood nanobots may also eventually deliver chemotherapy that is potent without side effects.

Awards

DR B.N DARA AWARD

awarded to Dr. Androulla Eleftheriou
TIF Executive Director



Dr Androulla Eleftheriou obtained her graduate and postgraduate degrees in Biochemistry, Microbiology & Virology, and Business Administration from London universities.

She has been awarded a number of scholarships by the Cyprus government, the World Health Organization and the Fulbright Commission.

Through her work with TIF, Dr Eleftheriou has carried out numerous projects of local, national, regional and international scope, working closely with international experts, local health professionals and thalassaemia associations worldwide.

Dr Eleftheriou has also published extensively in peer reviewed journals and is the Chief Editor of TIF Magazine. The author of numerous position papers, she has received a certification for Capacity Building from Harvard University and been awarded the Panos Englezos Award by TIF in 2003 for her contribution to the promotion of TIF's mission and activities.

BEST SOCIAL WORKER AWARD

awarded to Mr. Thadharam Tolani



Thadharam K. Tolani, aged 78 years is founder Chairman of Tolani Sewa Sankalp. Tolani Sewa Sankalp conducts Thalassemia Minor Checkup camps all over India and it is the only organisation in India that undertakes such camps at large scale.

He organized his first camp on 20/01/1989 in Thane and initially restricted to Thane, Ulhasnagar, Mumbai etc. till 2009. Then from August 2010 onwards he started conducting camps all over India.

His organisation Tolani Sewa Sankalp has till now conducted a total of 265 camps in 188 cities of 8 states, Maharashtra, Gujarat, Rajasthan, Madhya Pradesh, Uttar Pradesh, Chhatisgarh, Haryana and Karnataka. They have done screened 59146 persons with Hb HPLC, of which 8294 were found Thalassemia carriers i.e 14%. Higher carrier rate may be due to most of the camps were organised in Sindhi community, which has the highest prevalence.

Dr. J.S. Arora

Dr. V. P. Choudhry Former Professor & Head, Department of Hematology, AIIMS, & Medical Advisor to National Thalassemia Welfare Society has been working consistently to improve the hematology services and specially thalassemia care in India. He has been awarded life time achievement award of Dr K.C Chaudhuri by K.C Chaudhuri Trust & Indian Journal of Pediatrics. He delivered the oration on "Evolution



of Thalassemia Care & Control in India". He has also been awarded by Professor SK Sood life time achievement award by Delhi Society of Hematology in 2018. It is a proud moments for NTWS & all thalassemics in India on his achievements. He has been very generous and he has donated award money to (a) NTWS, (b) Thalassemics India, & (c) Pahuja Trust for Blood Disorders. I on behalf of NTWS & all thalassemics in this Country convey my heartiest congratulations to Dr V.P Choudhry for these awards which he greatly deserved and sincere thanks for his generous donation for the noble cause of thalassemia.



9th NTC Distinguished Faculty

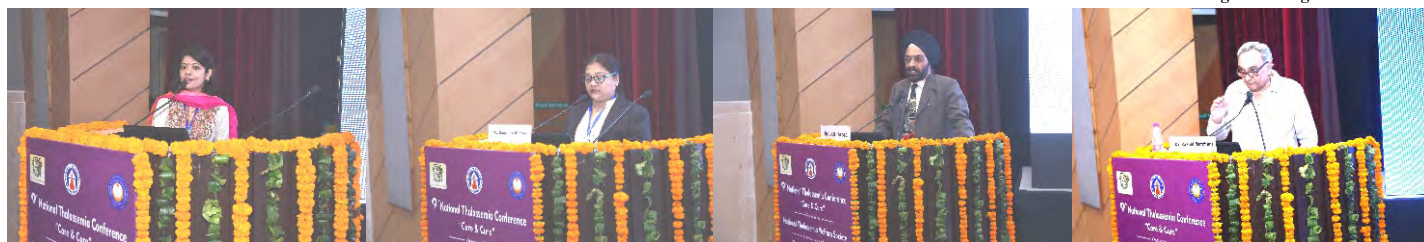


Justice Anil Dev Singh

Dr VP Choudhry

Dr Amita Mahajan

**Mrs Sreelata Rudra
conducting the inauguration**



Dr Shruti Kakar

Ms Sangeeta Wadhwa

Dr J.S. Arora

Dr Rashid Merchant



Dr Alok Hemal

Dr Alok Srivastava

Dr Anju Seth

Dr AP Dubey



Dr Brig. Ajay Sharma

Dr Dinesh Bhurani

Dr J Sardana

Dr Jagdish Chandra



Dr Maitreyee Bhattacharyya

Dr Manju Puri

Dr Michael Angastiniotis

Dr Parveen C Sobti



Dr Prantar Chakraborty

Dr Rajiv Garg

Dr Sandeep Soni

Dr Sangeeta Gupta

9th NTC Distinguished Faculty



Dr H Pati



Dr VK Khanna



Dr Veena Doda



Dr Virendra Kumar



Dr Yogesh Chawla



Mr Prabhat Sinha



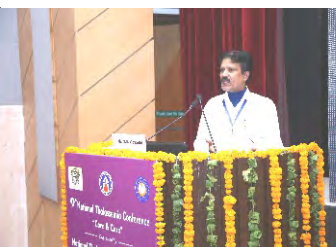
Dr Sarmila Chandra



Dr SK Prasad



Mr Gagandeep Singh Chandok



Mr NN Vidyarthi



Dr. Ravi Dhanani



Mr TD Dhariyal



Dr CB Das Gupta



**Dr Alka Mathur, Dr JM Khunger
& Dr Anil Samaria**



Dr CB Das Gupta & Dr Gaurav Kharya



**Dr CBS Dangi, Dr M Mahapatra
& Dr NK Mehra**



**Dr Kavita Juneja, Dr Bhavna Dhingra
& Dr Sunita Sharma**



**Dr Neelam Sood, Dr KK Kaul
& Dr Geetanjali Jindal**



**Dr Piali Mandal, Dr Nupur Parakh
& Dr Nitu Nigam**



**Dr Rajiv Bansal, Dr Rekha Harish
& Dr Kirti Nanal**



Dr Rajni Sharma



**Dr Ritika Sud, Dr Sanjay Choudhry
& Dr Shubha Laxmi Margekar**



Dr Sanjeev Digra & Dr Shishir Seth



Dr Suman Mendiratta & Dr AG Radhika

Doctors, Parents & Patients Participated in the Conference, 2018



Dr Vinky Rughvani



Dr Rekha Harish, Dr Kirti Nanal & Dr Nikhil Sheth



Mr Panos Englezos, Dr JS arora, Dr Ratna Devi & Mr Prabhat Sinha



Panel Discussion Dr Alok Srivastava, Dr Brig Ajay Sharma & Dr Sandeep Soni



Mr Neeraj Tripathi & Dr JS Arora Flanking Radhika Arora post BMT Patient



Thalassemia Activities



International Thalassemia Day at EOD Adventure Park, Mayur Vihar, New Delhi



Roko Thalassemia Activity



Thalassemia Screening Camp in Gurgaon Schools

Roko Thalassemia Bike Rally organized by Mahavir International in association with Artemis Hospital & NTWS

Mr. Umesh Arora & his Team from Mahavir International, Faridabad took the initiatives and organized a Bike Rally on Sunday, 7th January 2018 from Ambience Mall Gurugram to Artemis Hospital Gurugram, to create awareness on Thalassemia. It was very big rally where 250 number of Bikers from different associations participated and created a great impact among the public in chilly winter of Delhi/NCR. A group of adult Thalassemia patients also participated in this rally. After the rally a thanks giving ceremony was held where all the Bikers were given the mementos along with a healthy breakfast to all the participators. An awareness lecture was organized in the Auditorium of the Artemis hospital where Dr Gaurav Kharya, Dr. J.S Arora, IAS officer Mr. Gulari, Mr. Vinay Shetty from Think Foundation, Dr.(Col.) MS Sandhu & Mr. Mahesh Trivedi were Guest Speakers. There was a stall from Ishkon Temple Delhi where the devotees distributed Bhagavat Geeta free to the Thalassemia children who participated in the rally. The day ended with a wonderful lunch and special gifts by Mahavir International to the Thalassemics.

Roko Thalassemia Free Check-up Camp in Faridabad

A Free Medical Check-up Camp was organized at Mahavir Charitable Hospital Faridabad on 21st January 2018 by Mahavir International Faridabad in association with NTWS & Artemis Hospital. Number of Thalassemia patients visited for routine check-up and HPLC & anemia check-up test was done among the youngsters & members of the Thalassemia families.

Jalandhar Punjab visit

A free Thalassemia check-up Camp was organized by Jalandhar Thalassemia Welfare Society in association with NTWS. Dr. J.S. Arora visited from Delhi on 28th January 2018. 45 Thalassemia patients visited the camp. Defrijet & Kelfer medicines were distributed free among the patients.

Thalassemia awareness lecture in schools

NTWS Volunteers from SOIL Institute Gurgaon organized Thalassemia awareness lectures in 3 schools in Gurgaon on 31st January and first week of February 2018. Two schools were Govt. Schools & one was a private school. Dr. Pawan Singh, Hematologist Oncology Artemis Hospital & Dr. Vikas Dua Hematologist & BMT Specialist from Fortis Hospital Gurgaon visited the Schools and gave lectures on Thalassemia and its prevention. This was followed by free Thalassemia HPLC Test among the school children so that they know their Thalassemia status and save their coming generation.

Dehradun visit

On 3rd February a free Thalassemia check-up Camp was organized at Dehradun where Dr. J.S. Arora was invited.

Chittorgarh, Rajasthan visit

On Sunday 4th March Dr. J.S. Arora visited a CME at Chittorgarh Rajasthan

Bhatinda visit

Thalassemia Welfare Society Bhatinda organized a free Thalassemia check-up Camp & CME on 18th March 2018 where Dr. J. S. Arora & Dr V.P. Choudhry were invited from Delhi.

Rohtak visit

Haryana Thalassemia Welfare Society organized a free Thalassemia Check-up Camp in association with NTWS on Sunday 1st April 2018 where 60-70 patients visited the Camp. Dr. J. S. Arora, Dr. Vikas Dua visited from Delhi.

CME on Thalassemia, at Lady Harding Medical College, Delhi

On the occasion of International Thalassemia Day 2018, a Seminar was organized at Swaran Jayanti Auditorium LHMC, on 4th May. The Medical Students, Resident Doctors, Thalassemia patients & families, Doctors & Nurses of the Thalassemia Centres all participated in the Meeting. It was a day-long programme where Adult Thalassemics also participated and shared their problems & success stories. Dr. Jagdish Chander Former Director Principal, LHMC Stressed the need of adult thalassemia unit in every tertiary care hospital and medical colleges. Dr. J.S. Arora insisted that all the Govt. Blood Banks must provide NAT tested blood so that the blood disorder patients taking repeated blood transfusion does not get infected by HIV or other deadly viruses.

International Thalassemia Day observed on 5th May 2018

This year ITD 2018 was observed by NTWS on 5th May 2018 at e-o-d Adventure Park, New Delhi. Around 300 members including patients & their families gathered in the morning at Mayur Vihar e-o-d Adventure Park on Saturday 5th May. The Park has a natural environment & beauty by the side of the Sanjay Lake. There were wild adventures like Tree top climbing, underground tunnels hunting, boating in the lake, DJ Rain dance, bowling, open air dining, recreation hall for the tiny tots etc. All the Thalassemics of different age groups had a wonderful time and enjoyed a lot in the hot summer sun. Welcome drink & snacks were served at the beginning and in the afternoon all enjoyed the delicious lunch together along with ice-creams. All the children were given return gifts.

121 Thalassemia patients got their HLA Typing done through NTWS at highly subsidized rate out of which 24 patients got HLA matched with their family and went under Bone Marrow Transplant. 21 survived and engrafted

Blood Donation Camps Organized

NTWS organized 59 Blood donation Camps in 2018 and collected 3318 units of blood

1	14-01-18	Adarsh Yuva Sangathan, Mehchana	RML
2	01-02-18	SOIL, Gurgaon	RML
3	05-02-18	College of Vocational Studies, Delhi	AIIMS
4	15-02-18	Anarock Property Consultants, Gurgaon (PAN India Camp)	RML
5	15-02-18	Anarock Property Consultants, Noida, (PAN India Camp)	AIIMS
6	17-02-18	Oriental Bank Of Commerce, Gurgaon	RML
7	09-03-18	Bechtel India, Gurgaon	AIIMS
8	12-03-18	Godrej Oasis, Gurgaon	RML
9	21-03-18	Bharti Realty, Aerocity	RML
10	07-04-18	IBMR, Gurgaon	RML
11	07-04-18	Future Generali India Insurance, Delhi	RML
12	08-04-18	Heritage One, Gurgaon	RML
13	20-04-18	SRF Ltd, Gurgaon	LHMC
14	29-04-18	KM Shristi, Raj Nagar Extn, Ghaziabad	RML
15	11-05-18	Iris Tech Park, Gurgaon	RML
16	08-06-18	Vatika Business Park, Gurgaon	DDU
17	13-06-18	Vatika Triangle, Gurgaon	RML
18	14-06-18	IDBS Bank , ITO	GTB
19	17-06-18	Arora Polyclinic, Vikaspuri	DDU
20	18-06-18	Vatika First India Place, Gurgaon	RML
21	08-06-18	Vatika Business Park, Gurgaon	DDU
22	13-06-18	Vatika Triangle, Gurgaon	RML
23	14-06-18	IDBS Bank , ITO	GTB
24	17-06-18	Arora Polyclinic, Vikaspuri	DDU
25	18-06-18	Vatika First India Place, Gurgaon	RML
26	19-06-18	Vatika Tower, Gurgaon	RML
27	20-06-18	Vatika Atrium, Gurgaon	RML
28	21-06-18	Vatika Professional Point, Gurgaon	DDU
29	22-06-18	Vatika Mindscape, Faridabad	RML
30	27-06-18	Vatika City Point, Gurgaon	DDU
31	01-07-18	Logix City Mall, Noida	RML
32	12-07-18	Ciena, Gurgaon	DDU
33	16-07-18	Dun & Bradstreet, Okhla	DDU
34	25-08-18	Shopprix Mall, Ghaziabad	GTB
35	30-08-18	Aecom, Gurgaon	AIIMS
36	31-08-18	HDFC Ergo, Noida	RML
37	31-08-18	HDFC Ergo, Nehru Place	DDU
38	31-08-18	HDFC Ergo, Barakhamba Road	Red Cross
39	06-09-18	Awfis, Gurgaon	RML
40	10-09-18	Awfis, Vasant Kunj	RML
41	12-09-18	Awfis, Nehru Place	RML
42	13-09-18	Awfis, Mohan Co-operative	RML
43	20-09-18	Amity University, Noida	RML
44	01-10-18	DME, Noida	RML
45	05-10-18	Dimension Data, Okhla	DDU
46	06-10-18	Rastriya Hindu Mahasang, Malviya Nagar	LHMC
47	24-10-18	SRF Chemicals, Bhiwadi	RML
48	26-10-18	RBL Bank, Okhla	Red Cross
49	26-10-18	RBL Bank, Gurgaon	DDU
50	26-10-18	RBI, Bank, Barakhamba Road	Red Cross
51	28-10-18	Rajput Society, Mahavir Enclave	DDU
52	14-11-18	HSBC Bank, Noida	RML
53	15-11-18	HSBC Bank, Gurgaon	RML
54	19-11-18	Fluor Daniel, Gurgaon	AIIMS
55	19-11-18	Fluor Daniel, Gurgaon	LHMC
56	19-11-18	Fluor Daniel, Gurgaon	RML
57	19-11-18	Fluor Daniel, Gurgaon	DDU
58	28-11-18	SPM Autocomp, Manesar	RML
59	27-12-18	P&G Gillette, Bhiwadi	RML

DMCH Doctor has become first hematologist to donate stem cells donor in India

Doctors save many lives, but this example is very special where, Dr Shruti Kakkar, a Haematologist from Ludhiana (Punjab, India) donated her own Stem Cells to a five year old Thalassemic girl child and thus gave her a gift of disease free life.



Ludhiana, December 7, 2018 Donors and Recipients Special Meet was conducted by a NGO named DATRI foundation at Bengaluru. Dr Shruti Kakkar (Assistant Professor Department of Pediatrics & Incharge Thalassaemia Unit) DMCH, who had got registered herself with DATRI during the drive at DMC&H Ludhiana in May 2017 and she was found to be a perfect match for five year old Vanshika Rohra of Mumbai who was thalassemic child.

Dr Shruti said it was an emotional meeting with her recipient Vanshika. She simply said "I have a son and now I met with my daughter". She deals with 250 children with Thalassaemia major patients in DMCH. There are many children who are waiting for the donors. We should all come forward for this noble cause and save the precious life of the children.

City Air News

NATIONAL THALASSEMIA WELFARE SOCIETY (Regd.)

KG-1/97, Vikas Puri, New Delhi-110018

www.thalassemiaindia.org , E-mail : ntws2015@gmail.com

Special Subsidised Rates for Poor Thalasseemics Registered with NTWS

Medicines & Equipments

Asunra	400mg	100mg	Oleptiss	360mg	180mg	90mg
Desirox	500mg	250mg	Leucocyte filters			
Desferal	0.5g		Infusion Pumps			
Deferijet	500mg	250mg	Scalp Vein Set			
Desifer	400mg	100mg				
Kelfer	500mg	250mg				

Medicine Distribution Centre :

Shop No. 101, First Floor, Gupta Tower-I, Near Mother Dairy, Sonia PVR Commercial Area, G-Block, Vikas Puri, New Delhi-18 Mob. 9311166710 / 711 / 712, 9811420713, Ph. 011-42316079

NTWS Thalassaemia Centre

Free Thalassaemia Clinic, 2nd Sunday every month

Registration time : 9am to 12 noon

Address

NTWS Thalassaemia Centre,
2nd Floor, Community Centre, DUSIB,
Above Voter ID & Ration Card office,
Near Gurudwara Singh Sabha,
Block-12, Tilak Nagar, New Delhi-110018
Ph.: 9311166710-711-712 & 9811420713

MEMBERSHIP

Any person can become Member of the Society by filling up the requisite form and sending a DD in favour of :

National Thalassaemia Welfare Society

Form can be download from [website : www.thalassemiaindia.org](http://www.thalassemiaindia.org)

Life Member	Indian	INR	500
	NRI/Foreigner	USD	100
Donor Member	Indian	INR	5,000
	NRI/Foreigner	USD	1,000
Patron	Indian	INR	50,000
	NRI/Foreigner	USD	10,000

ADVERTISEMENT CHARGES

	INLAND	FOREIGN
Sponsorship		
Cover Page		
Inside Front	Rs. 30,000	US\$ 1,000
Inside Back	Rs. 30,000	US\$ 1,000
Inside		
Full Page (Colored)	Rs. 15,000	US\$ 500
Half Page (Black & White)	Rs. 3,000	
Back		
Full Page	Rs. 50,000	US\$ 2,000

FIT Executive :

PRESIDENT :

Mrs. Sobha Tuli (Delhi) M. 9810019950

VICE-PRESIDENTS :

Dr. Mrs. Praveen Sobti (Punjab) M. 9876130612
Dr. Suman Jain (Telangana) M. 9989706399
Dr. Tarak Nath Mukhopadhaya (W.B.) 9330962379
Dr. Vinky Rughwani (Maharashtra) M. 9373107141

GENERAL SECRETARY :

Dr. J.S. Arora (Delhi) M. 9311166711

JOINT SECRETARY :

Mr. N.N. Vidhyarthi (Bihar) M. 9431067142
Dr. Ravindra Kumar Chhabra (M.P.) M. 9098722936
Mr. Sudhir Sethi (J&K) M. 9419148991
Mr. Vinay Shetty (Maharashtra) M. 9820146448

TREASURER :

Neelam Khurana (Delhi) M. 9811083717

MEDICAL ADVISOR :

Dr. Jagdish Chandra (Delhi)
Dr. Sunil Gomber (Delhi)
Dr. Rajiv Bansal (Jaipur)
Dr. V.P. Choudhry (Delhi)
Dr. V.K. Khanna (Delhi)

EXECUTIVE MEMBERS :

Mr. Ishwar Parwani (Rajasthan) M. 0145-2621082
Mr. Kanhaiya Lal (M.P.) M. 9977478345
Mr. Pravir Arya (U.P.) M. 9415005894
Mr. Praful Joshi (Gujarat) M. 9426756265
Mr. Surrender Kumar Sitani (Pune) M. 9766511371

INTERNATIONAL CONSULTANTS :

Dr. Calogero Vullo
Div. of Paed. Centro della Micocitemia, Italy

Dr. George J. Dover
Prof. of Paed Med & Onco USA
Prof. Bernadette Modell
Prof. of Community Fenerics, London

Dr. Nancy F. Olivieri
Director-Thalassemia Program Toronto

Dr. Susan P. Perrine
Cancer Research Centre, Boston USA

Dr. Vincenzo De Sanctis
Day Hospital of Endocrinology, Italy

Published by: National Thalassemia Welfare Society (Regd.) on behalf of Federation of Indian Thalassemics. Any Reproduction of material contained in "National Thalassemia Bulletin" is welcome provided "FIT" is acknowledged. Articles, News & Views are just guidelines and not therapeutic advise. Consult your doctor before following them. The "FIT" & "NTWS" assume no responsibility for the statements and opinions advanced by contributors to the "National Thalassemia Bulletin". The "FIT" & "NTWS" reserves its right to reproduce the articles and other matter contributed in any form, as and when required in any of its official publications.

Member Societies :

Thalassemia & Sickle Cell Society of, **Ahmedabad**
Ajmer Region Thalassemia Welfare Society, **Ajmer**
Thalassemia Society of India, **Allahabad**
Amritsar Thalassemia Welfare Society, **Amritsar**
Thalassemia Welfare Society, **Bhillai**
M. P. Thalassemia Kid Care Society, **Bhopal**
Thalassemia Child Health Care Society, **Burdwan**
Thalassemia Welfare Society, **Burdwan**
Thalassemia Children Welfare Society, **Bareilly**
Thalassemia Children Welfare Association, **Chandigarh**
National Thalassemia Welfare Society, **Delhi**
Thalassemics India, **Delhi**
Pahuja Trust Centre for Blood Disorder, **Faridabad**
Thalassemia Society, **Gwalior**
Thalassemia Welfare Society of **Hisar**
Thalassemia & Sickle Cell Society of **Hyderabad**
M. P. Thalassemia Welfare Society, **Indore**
Thalassemia & Child Welfare Group, **Indore**
J & K Thalassemia Welfare Society, **Jammu**
Thalassemia Society of Jaipur & SDMH, **Jaipur**
Marwar Thalassemia Society, **Jodhpur**
Thalassemia Society of India, **Kolkata**
The Haematology Foundation, **Kolkata**
West Bengal Voluntary Blood Donors Forum, **Kolkata**
The Thalassemia Society of Kota, **Kota**
Thalassemia Society of U.P., **Lucknow**
Punjab Thalassemia Welfare Society, **Ludhiana**
Patient's Assoc. Thalassemic Unit Trust, **Mumbai**
Think Foundation, **Mumbai**
We care Trust, **Mumbai**
Citizen NGO, **Mumbai**
Thalassemia & Sickle Cell Anaemia Welfare Society, **Odisha**
Patiala Thalassemic Children Welfare Society, **Patiala**
Thalassemia Society of Pune, **Pune**
Thalassemic Children Welfare Society, **Ulhasnagar**
Haryana Thalassemic Welfare Society, **Rohtak**
Thalassemia Haemophilia Sickle Cell Anaemia
Prevention, Counselling & BT Centre, **Surat**
Varanasi Region Thalassemia Welfare Society, **Varanasi**

NATIONAL CONSULTANTS

Dr. Deepika Deka
Prof.-Dept. Of Obs. & Gynae, A.I.I.M.S.
Dr. David Dennison
Former Assoc. Prof.-C.M.C. & Hospital, Vellore
Dr. I.C. Verma
Prof. & Head-Genetic Unit, S.G.R.H.
Dr. M. B. Agarwal
Prof of Haematology-Bombay Hospital & M.R.C. Bombay
Dr. N.K. Mehra
Former Dean (Research), A.I.I.M.S., New Delhi
Dr. Nishi Madan
Former Prof. & Head – Deptt of Path., G.T.B., Hospital
Dr. Nita Munshi
Director Laboratory at Ruby Hall Clinic
Dr Prantar Chakrabarti
Professor of Haematology at IHTM, Kolkata
Dr. Renu Saxena
Prof. & Head of Haematology, A.I.I.M.S.
Dr. Reena Das
Prof. & Head Dept. of Hematology, PGIMER Chandigarh
Dr. Revathi Raj
Consultant Haematologist, Apollo, Chennai

Blood Donation Camps



Dr. JS Arora receiving 9th NCPEDP – Mphasis Universal Design Awards from Hon'ble Minister of Urban development Sh. Hardeep Puri on 14th August, 2018, at the India International Centre, New Delhi.

The award is **Instituted** by **NATIONAL CENTRE FOR PROMOTION OF EMPLOYMENT FOR DISABLED PEOPLE** New Delhi **In association** with **ACCESSABILITY** Vasant Kunj, New Delhi and **BARRIER BREAK TECHNOLOGIES** Goregoan (E), Mumbai **Supported** by **MPHASIS AN HP COMPANY** Bengaluru

The award has been awarded under the category of WORKING PROFESSIONALS. Awards in this category are given to people who work for the cause of accessibility and Universal Design

With Best Compliments From



Novartis Healthcare Pvt. Ltd.
Inspire BKC
Part of 601 and 701, Bandra- Kurla Complex Bandra (East)
Mumbai – 400 051, Maharashtra, India
Tel.:022-5024 3000 Fax : 022-5024 3010

For the use of a registered medical practitioner or a hospital or a laboratory only.