



Policlinico Tor Vergata (PTV)
Dipartimento Assistenziale Integrato di Oncoematologia
Area Funzionale di Ematologia
Unit Sindromi Mielodisplastiche ed Ematologia Traslazionale
Medico responsabile: Prof.ssa Maria Teresa Voso – tel. 06-20903210 - voso@med.uniroma2.it
Viale Oxford, 81 – 00133 Roma



UMBERTO I
POLICLINICO DI ROMA

Policlinico Umberto I (PU)
Dipartimento di Medicina Traslazionale e di Precisione dell'Università degli Studi di Roma "Sapienza"
Dipartimento Assistenziale Integrato di Ematologia
Medico responsabile: Dr Roberto Latagliata, - tel. 06857951 – latagliata@bce.uniroma1.it
Via Benevento 27A, 00161 Roma



Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli, IRCCS (FPG)
Dipartimento di diagnostica per immagini, radioterapia oncologica ed ematologia
Area Ematologia
Medico responsabile: Dr.ssa Luana Fianchi - tel. 06-30154180 – luana.fianchi@policlinicogemelli.it
Largo A. Gemelli, 8- 00168 Roma



ASL Roma 2 - Ospedale S. Eugenio (OSE),
UOC Ematologia
Medico responsabile: Dr. Pasquale Niscola - tel. 0651003241 – pasquale.niscola@aslroma2.it
Piazzale dell'Umanesimo, 10 -00144 Roma

SINDROMI MIELODISPLASTICHE (RDG050) **PERCORSO DIAGNOSTICO TERAPEUTICO ASSISTENZIALE**

(elaborato nel mese di Gennaio 2019 - a cura dei Centri: Policlinico Tor Vergata, Policlinico Umberto I, Policlinico Gemelli, Ospedale S. Eugenio)

1. Inquadramento della malattia	2
2. Strumenti per la diagnosi	3
3. Terapia	4
4. Controlli di salute	5
5. Modalità di accesso al Centro e servizi offerti	6
6. Collaborazioni del Centro con altri Centri nazionali e internazionali	7
7. Rapporti con le Associazioni	8

1. Inquadramento della malattia

Le sindromi mielodisplastiche (MDS) sono malattie eterogenee, caratteristiche dell'età avanzata, con un'età mediana di insorgenza di 69 anni. La incidenza delle MDS è di 3-4 casi/anno ogni 100000 abitanti, ma aumenta a 15-20 casi/anno negli individui di età superiore a 70 anni (<https://seer.cancer.gov/faststats/selections.php?series=cancer>).

Sono caratterizzate dalla presenza di citopenie nel sangue periferico (anemia, piastrinopenia, neutropenia), aumento della percentuale di blasti nel midollo osseo, e frequenti alterazioni del cariotipo, con monosomie e cariotipi complessi. La variabile presentazione clinica si traduce in un variabile outcome. Questo ha reso necessario l'introduzione nella clinica di score prognostici che tengono in considerazione il grado delle citopenie, la percentuale di blasti midollari e il cariotipo, e classificano i pazienti in 5 diversi gruppi di rischio, con significativamente diversa probabilità di sopravvivenza ed evoluzione leucemica. Lo score attualmente utilizzato è il revised-IPSS, aggiornato nel 2013, mentre la classificazione delle MDS è stata aggiornata dalla WHO nel 2016 (1,2).

Le MDS presentano anche alterazioni caratteristiche dell'immunofenotipo, la cui caratterizzazione multiparametrica con l'Ogata score aiuta nella diagnosi differenziale fra MDS e citopenie periferiche di altra natura, quali ad esempio le forme autoimmuni o reattive (3,4). Oltre alle citate alterazioni citogenetiche, sono state recentemente evidenziate nelle MDS numerose mutazioni somatiche, alcune con caratteristiche diagnostiche (SF3B1 nelle MDS con sideroblasti ad anello) e molte altre con significato prognostico (es. TP53, ASXL1) (5). Queste mutazioni sono state incluse nei nuovi LEA e la loro implementazione nella diagnostica delle MDS potrà risultare di importanza determinante per l'utilizzo di nuovi farmaci a "bersaglio" molecolare (es. Luspatercept nelle forme SF3B1-mutate), e nella stratificazione prognostica dei pazienti, in particolare giovani e candidabili al trapianto allogenico.

La terapia delle MDS si differenzia in base alle caratteristiche della malattia, alle condizioni generali del paziente, all'età e comorbidità. L'eterogeneità degli aspetti clinico-biologici rende questo gruppo di patologie particolarmente complesso, con difficoltà sia nell'inquadramento diagnostico (displasia clonale verso non clonale), che nell'approccio terapeutico (terapia di supporto vs terapia con fattori di crescita vs terapia epigenetica). Inoltre, il grado di complessità assistenziale dei pazienti affetti da SMD è definito da quattro elementi: a) condizioni cliniche del paziente (comorbidità), b) gravità della citopenia (indicatore dell'insufficienza midollare), c) instabilità genetica che determina il rischio di evoluzione leucemica, d) indirizzo terapeutico e grado di assistenza sul territorio (terapie domiciliari).

Per quanto riguarda le condizioni generali, il paziente viene valutato in base al Performance status ECOG. Le comorbidità vengono generalmente classificate secondo schemi definiti a livello internazionale, quale l'HCT-CI.

In base a questi parametri, si valuta la "fitness" e, se il paziente è giudicato "fit", potrà essere avviato un trattamento attivo, altrimenti nei pazienti molto anziani e con molte comorbidità, si propende per una terapia di supporto trasfusionale.

In tutti i casi, grazie all'avanzamento delle terapie, della diagnostica e all'individuazione di anomalie molecolari potenzialmente bersaglio di farmaci mirati, i pazienti vengono studiati per l'inserimento in studi clinici controllati disponibili presso il Centri di riferimento, che garantiscono ai pazienti l'accessibilità ai farmaci e alle strategie terapeutiche più innovative.

Codici Orphanet: https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search_Simple.php?lng=IT

ORPHA:231401 - Alfa talassemia - sindrome mielodisplastica

ORPHA:86846 - Leucemia mieloide acuta e sindrome mielodisplastica, terapia-dipendenti

ORPHA:98825 - Malattia mieloproliferativa/mielodisplastica non classificabile

ORPHA:52688 - Sindrome mielodisplastica

ORPHA:86841 - Sindrome mielodisplastica associata ad anomalia cromosomica isolata del(5q)

ORPHA:98827 - Sindrome mielodisplastica non classificata

Bibliografia

1) Greenberg PL, et al. Revised international prognostic scoring system for myelodysplastic syndromes. *Blood*. 2012 Sep 20;120(12):2454-65. Epub 2012 Jun 27.

2) Arber DA, et al. The 2016 revision to the World Health Organization classification of myeloid neoplasms and acute leukemia. *Blood*. 2016 May 19;127(20):2391-405. doi: 10.1182/blood-2016-03-643544. Epub 2016 Apr 11.

3) Ogata K, et al. Diagnostic application of flow cytometric characteristics of CD34+ cells in low-grade myelodysplastic syndromes. *Blood*. 2006 Aug 1;108(3):1037-44.

4) Della Porta MG, et al. Prognostic significance of reproducible immunophenotypic markers of marrow dysplasia. *Haematologica*. 2014 Jan;99(1):e8-10. doi: 10.3324/haematol.2013.097188.

5) Papaemmanuil E, et al. Clinical and biological implications of driver mutations in myelodysplastic syndromes. *Blood*. 2013 Nov 21;122(22):3616-27; quiz 3699. doi: 10.1182/blood-2013-08-518886.

2. Strumenti per la diagnosi

L'identificazione del paziente affetto da SMD passa attraverso la ricerca e la verifica della presenza di segni o sintomi suggestivi delle anomalie della funzione midollare caratteristica di questa neoplasia. La maggior parte dei pazienti affetti da SMD si presentano con un'anemia (diminuzione di emoglobina al di sotto dei valori normali) e/o con altre citopenie (diminuzione dei neutrofilii e/o delle piastrine al di sotto dei valori normali).

2.1 Sintomatologia

I sintomi più frequentemente correlati sono:

- Astenia, indici di ipossimemia (tachicardia, dispnea, alterazioni del sensorio, dolore cardiaco)
- Epato-splenomegalia
- Emorragia cutanea/mucose
- Febbre resistente a terapia antibiotica
- Rash cutaneo

2.2 Diagnostica di base

Indipendentemente dalla provenienza del paziente (PS, Consulenza, DH, Ambulatorio) le indagini da effettuare in caso di sospetto di SMD sono:

- Anamnesi dettagliata (per escludere: cause infettive, precedenti trattamenti e/o neoplasie, familiarità)
- Emocromo completo e striscio di sangue venoso periferico (SVP)
- Conteggio dei reticolociti
- Assetto vitaminico (acido folico; vitamina B12)
- Assetto marziale (sideremia, ferritina, transferrina)
- Test di Coombs diretto ed indiretto
- Esami di coagulazione di base (PT, PTT, Fibrinogeno)
- Dosaggio della latticodeidrogenasi (LDH)
- Dosaggio della aptoglobina
- Esami di funzionalità renale ed epatica
- Elettroforesi proteica

2.3 Conferma diagnostica

Questi esami sono finalizzati alla conferma diagnostica definitiva ed alla classificazione prognostica. Le indagini ematologiche specialistiche richiedono l'acquisizione del consenso informato da parte del paziente. Inoltre lo studio citogenetico/FISH, citochimico e citofluorimetrico verrà eseguito su indicazione dello specialista ematologo al fine di definire lo score prognostico. Nei pazienti con patologia costituzionale (e.g. Sindrome di Down, Neurofibromatosi, etc) associata a sindrome mielodisplastica sarà necessaria la consulenza genetica.

Esami Ematologici	Screening generale (su indicazione)
<ul style="list-style-type: none"> • Aspirato midollare (esame morfologico e tipizzazione immunofenotipica dei progenitori midollari mediante citometria a flusso multiparametrica) • Colorazione citochimica Pearl's (Blu di Prussia) • Citogenetica/FISH • Biopsia osteomidollare • Ricerca del clone EPN (SVP) • Dosaggio dell'eritropoietina 	<ul style="list-style-type: none"> • RX torace • Ecografia dell'addome • Videat cardiologico • Autoimmunità • Screening virologico

2.3 Esami di approfondimento

Sono esami proposti a quella categoria di pazienti in cui l'eventuale presenza di mutazioni genetiche incluse nella definizione dei nuovi LEA (schema dei DPCM sui nuovi LEA, Allegato 4, 2016), può avere ricadute sul piano terapeutico. Al momento è incluso lo studio mutazionale mediante Next Generation Sequencing (NGS) (PTV).

3. Terapia

La terapia delle MDS si differenzia in base alla gravità della malattia, alle condizioni generali del paziente, all'età e comorbidità.

3.1 Valutazione della fragilità del paziente e delle comorbidità

L'algoritmo terapeutico nei pazienti con MDS comprende una valutazione iniziale di fitness, in particolare nelle forme a rischio più alto, in cui possono essere attuati trattamenti più aggressivi.

Per quanto riguarda le condizioni generali, il paziente viene valutato in base al Performance status ECOG. Le comorbidità vengono generalmente classificate secondo schemi definiti a livello internazionale, quale l'HCT-CI.

In base a questi parametri, si valuta la "fitness", e se il paziente è giudicato "fit", potrà essere avviato un trattamento attivo, altrimenti nei pazienti molto anziani e con molte comorbidità, si propende per una terapia di supporto trasfusionale, trattamento ferrochelante, con controlli ambulatoriali frequenti, e terapia antibiotica e antiemorragica ove necessario.

3.2 Algoritmo terapeutico

Pazienti con forme a basso rischio (R-IPSS molto basso, basso e intermedio) con:

- anemia: agenti stimolanti l'eritropoiesi (alfa-eritropoietina 40.000 o 80000 U /settimana, sottocute), trasfusioni di globuli rossi concentrati
- sovraccarico di ferro: ferrochelanti (deferasirox per os o deferoxamina s.c.)
- anemia Epo-resistente e anomalie del cromosoma 5q: lenalidomide 5-10 mg/die p.o. per 21 gg al mese
- piastrinopenia: trasfusioni piastriniche se PLTS < 10000/microl, o in caso di manifestazioni emorragiche in pazienti con PLTS <20000/microl

Pazienti con forme a rischio alto: (R-IPSS alto o molto alto, intermedio dopo fallimento della prima linea terapeutica):

- terapia ipometilante (azacitidina 75 mg s.c./sqm/7gg/mese) o chemioterapia intensiva
- trapianto allogenico nei pazienti eleggibili (per età e condizioni generali)

In tutti i casi, grazie all'avanzamento delle terapie, della diagnostica e all'individuazione di anomalie molecolari potenzialmente bersaglio di farmaci mirati, i pazienti consenzienti vengono studiati per l'inserimento in studi clinici controllati disponibili presso i Centri, che garantiscono ai pazienti l'accessibilità ai farmaci e alle strategie terapeutiche più innovative.

Bibliografia

- 1) Malcovati L, et al. Diagnosis and treatment of primary myelodysplastic syndromes in adults: recommendations from the European LeukemiaNet. *Blood*. 2013 Oct 24;122(17):2943-64. doi: 10.1182/blood-2013-03-492884.
- 2) Fenaux P, et al. Efficacy of azacitidine compared with that of conventional care regimens in the treatment of higher-risk myelodysplastic syndromes: a randomised, open-label, phase III study. *Lancet Oncol*. 2009 Mar;10(3):223-32.
- 3) Voso MT, et al GROM (Gruppo Romano e Laziale MDS) and Basilicata MDS Registry. Standard dose and prolonged administration of azacitidine are associated with improved efficacy in a real-world group of patients with myelodysplastic syndrome or low blast count acute myeloid leukemia. *Eur J Haematol*. 2016 Apr;96(4):344-51.
- 4) Angelucci E, et al. Deferasirox for transfusion-dependent patients with myelodysplastic syndromes: safety, efficacy, and beyond (GIMEMA MDS0306 Trial). *Eur J Haematol*. 2014 Jun;92(6):527-36
- 5) Buccisano F, et al. Real-life use of erythropoiesis-stimulating agents in myelodysplastic syndromes: a "Gruppo Romano Mielodisplasie (GROM)" multicenter study. *Ann Hematol*. 2016 Jun;95(7):1059-65.
- 6) Voso MT, et al. Feasibility of allogeneic stem-cell transplantation after azacitidine bridge in higher-risk myelodysplastic syndromes and low blast count acute myeloid leukemia: results of the BMT-AZA prospective study. *Ann Oncol*. 2017 Jul 1;28(7):1547-1553.

4. Controlli di salute

I pazienti con MDS devono sottoporsi regolarmente a follow-up.

La frequenza dei controlli dipende essenzialmente dalla gravità della patologia (rischio R-IPSS), e dal tipo di trattamento intrapreso e dovrebbe essere relativamente frequente se il trapianto allogenico di cellule staminali rappresenta un'opzione per il paziente.

In pazienti con forme a rischio R-IPSS basso o molto basso in **follow-up osservazionale** è previsto:

- Controllo periodico clinico ogni 3-6 mesi
- Emocromo con formula ogni 3-6 mesi (l'intervallo dipenderà dal grado delle citopenie)
- Controllo periodico di funzionalità renale, epatica, ferritina, LDH
- Rivalutazione midollare con esame morfologico e citogenetico da eseguire possibilmente ogni 12-18 mesi nel paziente stabile a seconda del giudizio clinico del curante o al peggioramento di una citopenia in particolare in pazienti considerati suscettibili per età e comorbidità di intervento terapeutico alla progressione di malattia
- Ecografia addome per valutazione degli organi ipocondriaci 1 volta all'anno

In pazienti con forme a rischio R-IPSS basso o molto basso, o nei pazienti in trattamento con eritropoietina, o che comunque necessitano di **supporto trasfusionale** è previsto:

- Controllo periodico clinico ed esami ematochimici in base alle necessità individuali e al grado delle citopenie;
- Controllo periodico di funzionalità renale, epatica, ferritina, LDH

Nei pazienti con MDS ad alto rischio in **terapia ipometilante** viene eseguito:

- Emocromo con formula mensilmente prima dell'inizio di ogni ciclo con eventuali controlli intermedi per pazienti trasfusione dipendenti.
- Funzionalità epatica e renale mensilmente prima dell'inizio di ogni ciclo
- La risposta al trattamento dopo 6 cicli di trattamento viene valutata in accordo con i criteri standardizzati dell'International Working Group (IWG) per le MDS rivisti nel 2006, mediante rivalutazione midollare ed esame emocromocitometrico.

Nei pazienti in **terapia ferrochelante** è raccomandato:

- Monitoraggio dei livelli di ferritina sierica per valutare la risposta del paziente alla terapia
- Controllo periodico della funzionalità renale.

Il follow-up dei pazienti sottoposti a **trapianto allogenico** deve essere eseguito presso il Centro Trapianti di riferimento secondo protocolli specifici per pazienti trapiantati

Bibliografia

- 1) Malcovati L, et al. Diagnosis and treatment of primary myelodysplastic syndromes in adults: recommendations from the European LeukemiaNet. Blood. 2013 Oct 24;122(17):2943-64. doi: 10.1182/blood-2013-03-492884.
- 2) Cheson BD, Greenberg PL, Bennett JM, et al. Clinical application and proposal for modification of the International Working Group (IWG) response criteria in myelodysplasia. Blood. 2006;108(2):419-425
- 3) Platzbecker U, et al. Proposals for revised IWG 2018 hematological response criteria in patients with MDS included in clinical trials. Blood. 2018 Nov 7. pii: blood-2018-06-857102.

5. Modalità di accesso al Centro e servizi offerti

5.1 Policlinico Tor Vergata (Unit sindromi mielodisplastiche e UOSD malattie mieloproliferative)

Orari ambulatorio: Lun-venerdì 8.00-14.00, Tel 0620903406, mail: gruppopblu.ematologia.ptv@gmail.com, Referenti: Prof.ssa MT Voso, Prof. F. Buccisano, Dr L. Maurillo.

Le modalità di accesso per le Sindromi Mielodisplastiche presso il Policlinico di Tor Vergata sono le seguenti:

- Pronto Soccorso e successivo appuntamento ambulatoriale presso l'Ambulatorio della UOSD malattie mieloproliferative e Unit Sindromi mielodisplastiche;
- UOSD malattie mieloproliferative o altri Reparti del PTV, dopo conferma diagnostica;
- prima visita mediante prenotazione CUP Regionale;
- invio dal Medico di Famiglia o da altri Centri ospedalieri Regionali o extra-regionali;
- invio da altri Centri ematologici regionali o extraregionali (Umbria, Abruzzo, Campania in particolare) per la disponibilità presso il Ns Centro di Protocolli clinici sperimentali, e la possibilità di un percorso diagnostico-assistenziale che comprende il trapianto allogenico, presso la UOC Trapianto Cellule Staminali.

I servizi offerti sono i seguenti:

- diagnostica morfologica, immunofenotipica, citogenetica e molecolare avanzata;
- follow-up e trattamento ambulatoriale o in regime di ricovero, ove indicato;
- consulenze specialistiche in Pronto Soccorso e presso i reparti non-Ematologici;
- trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti eleggibili (UOC Trapianto di Cellule staminali);
- inclusione in protocolli clinici sperimentali

5.2 Policlinico Umberto I

Orari ambulatorio Via Benevento, 27A: Lun-venerdì 8.00-14.00, Tel 06857951, Referenti: Dr R. Latagliata, Dr M. Breccia, Dr M. Mancini.

Le modalità di accesso per le Sindromi Mielodisplastiche presso il Policlinico Umberto I sono le seguenti:

- Pronto Soccorso Ematologico disponibile presso la stessa struttura, e successivo appuntamento ambulatoriale presso l'Ambulatorio gruppo M
- Reparti dell'istituto di Ematologia o altri Reparti del del Policlinico Umberto I, dopo conferma diagnostica;
- prima visita mediante prenotazione telefonica (Tel: 06-49974757 o 4758, Lun-Ven, ore 9.30-12.30);
- invio dal Medico di Famiglia o da altri Centri ospedalieri Regionali o extra-regionali;
- invio da altri Centri ematologici regionali o extraregionali per la disponibilità presso il Ns Centro di Protocolli clinici sperimentali, e la possibilità di un percorso diagnostico-assistenziale che comprende il trapianto allogenico, presso l'unità Trapianto Cellule Staminali.

I servizi offerti sono i seguenti:

- diagnostica morfologica, immunofenotipica, citogenetica e molecolare avanzata;
- follow-up e trattamento ambulatoriale o in regime di ricovero, ove indicato;
- consulenze specialistiche nel Pronto Soccorso Ematologico e presso i reparti non-Ematologici;
- trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti eleggibili (Unità Trapianto di Cellule staminali);
- inclusione in protocolli clinici sperimentali

5.3 Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS

Orari ambulatorio: Lun-venerdì 8.00-15.00, Tel 0630154344 Referenti: Dr.ssa L. Fianchi, Prof L. Pagano, Dr.ssa M. Criscuolo.

Le modalità di accesso per le Sindromi Mielodisplastiche presso la Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli sono le seguenti:

- Pronto Soccorso e appuntamento ambulatoriale presso l'Ambulatorio delle Mielodisplasie (Gruppo 2);
- Divisione di Ematologia o altri Reparti del FPG, dopo conferma diagnostica;
- Prima visita mediante prenotazione direttamente tramite;
- invio dal Medico di Famiglia o da altri Centri ospedalieri Regionali o extra-regionali;

- invio da altri Centri ematologici regionali o extraregionali per la disponibilità presso il Centro di Protocolli clinici sperimentali, e la possibilità di un percorso diagnostico-assistenziale che comprende il trapianto allogenico, presso la UOC di Trapianto Cellule Staminali.

I servizi offerti sono i seguenti:

- diagnostica morfologica, immunofenotipica, citogenetica e molecolare;
- follow-up e trattamento ambulatoriale o in regime di ricovero, ove indicato;
- consulenze specialistiche in Pronto Soccorso e presso i reparti non-Ematologici;
- trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti eleggibili (UOC Trapianto di Cellule staminali);
- inclusione in protocolli clinici sperimentali.

5.4 Ospedale S. Eugenio

Orari ambulatorio: Lun-venerdì 8.00-14.00, Tel 0651003241, mail: pasquale.niscola@aslroma2.it

Le modalità di accesso per le Sindromi Mielodisplastiche presso l'Ospedale S. Eugenio sono le seguenti:

- Pronto Soccorso e successivo appuntamento ambulatoriale presso l'Ambulatorio dell'UOC di Ematologia dedicato alle Sindromi mielodisplastiche.
- prima visita mediante prenotazione CUP;
- invio dal Medico di Famiglia o da altri Centri ospedalieri Regionali o extra-regionali..

I servizi offerti sono i seguenti:

- diagnostica morfologica, immunofenotipica, citogenetica e molecolare avanzata (anche in con altri Centri);
- follow-up e trattamento ambulatoriale o in regime di ricovero, ove indicato;
- consulenze specialistiche in Pronto Soccorso e presso i reparti non-Ematologici;
- valutazione per trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti eleggibili;
- inclusione in protocolli clinici sperimentali

6. Collaborazioni dei Centri con altri centri nazionali ed internazionali

I 4 centri di Riferimento per le MDS (PTV, ULS, PG, OSE) hanno numerose collaborazioni nazionali e internazionali:

6.1 GIMEMA (Gruppo Italiano Malattie Ematologiche Maligne dell'Adulto). Tutti i 4 centri sono membri attivi del Gimema. La Prof. Voso è co-chair del Working Party MDS, deputato al disegno e all'attuazione di studi clinici, e membro del Board Labnet MDS, che ha lo scopo di fornire le procedure diagnostiche più avanzate in questa malattia..

6.2 GROM-L (Gruppo Romano e Laziale MDS). Questa rete regionale si basa sul collegamento operativo delle strutture sanitarie e consente una presa in carico globale del paziente, una migliore accessibilità alle cure (con particolare riferimento a farmaci innovativi), e promuove la continuità dell'assistenza sanitaria attraverso l'integrazione dell'ospedale con il territorio. Il GROM ha inoltre lo scopo di diffondere a livello regionale gli standard diagnostici e terapeutici nelle MDS e di favorire lo scambio dei pazienti per competenza o disponibilità di studi clinici.

6.3 Italian MDS Network (www.italianmdsnetwork.it): una rete nazionale di patologia, che comprende il GROM-L, la FISM (Federazione Italiana MDS), le Reti Ematologica Lombarda (REL) e Pugliese (REP). Questa Rete Nazionale è nata con l'obiettivo di rafforzare l'azione di ciascuna delle Reti sul proprio territorio, e potendo contare su un elevato numero di pazienti, essere una base concreta per lo sviluppo di progetti strategici condivisi per:

- facilitare la raccolta di dati di outcome su ampie popolazioni di pazienti non selezionati, che rispecchino la "real life" di queste patologie
- migliorare i percorsi diagnostici ed assistenziali dei pazienti
- facilitare e uniformare l'accesso ai farmaci nei diversi contesti territoriali
- pianificare studi clinici innovativi e progetti di ricerca

6.4 MDS foundation: i centri del PTV e della FPG hanno la qualifica di "MDS Center of Excellence" dal 2015 (www.mds-foundation.org). Vari componenti dei Centri partecipano attivamente all'International Working Group for the Prognosis of MDS (IWG-PM), che è nato sotto l'egida della MDS foundation, al fine di migliorare gli standard diagnostici in questa patologia.

7. Rapporti con le Associazioni

Sono in corso attive collaborazioni con le seguenti associazioni di pazienti:

7.1 AIPASIM (Associazione Italiana Pazienti con Sindrome Mielodisplastica (www.aipasim.org): uno strumento fondamentale di raccordo tra pazienti, medici, mondo della ricerca e della farmacologia, autorità sanitarie. AIPASIM ha avviato un virtuoso interscambio di conoscenza e di pratiche mediche tra nord e sud Italia con l'obiettivo di creare, insieme alle Reti Ematologiche, un comune e qualificato approccio di diagnosi e di terapia al male. Tra questi l'individuazione dei Centri di eccellenza della MDS, il censimento dei pazienti in Italia, la disponibilità di farmaci innovativi, la tutela della Qualità della vita.

7.2 Associazioni attive a livello locale:

- Arcobaleno della Speranza Onlus (Policlinico Tor Vergata)
- A.PRO.T.I.O.N Onlus (Associazione per il PROgresso della terapia intensiva ONcoematologica) (Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli IRCCS)

