

XIII FORUM NAZIONALE  
**AIPaSiM**

I PAZIENTI INCONTRANO I MEDICI

**AIPaSiM**

Associazione Italiana  
Pazienti Sindrome Mielodisplastica

**MDS:**

A CHE PUNTO SIAMO? \_\_\_\_\_



**FIRENZE**

# Cos'è AIPASIM Attività e rete

*Annamaria Nosari, vicepresidente AIPaSiM*

# CHI E' AIPASIM ?

## QUAL'E' LA SUA PRINCIPALE FINALITA'?

**AIPASIM** ( Associazione Italiana Pazienti con Sindrome Mielodisplastica) nasce nel 2017 da pazienti con MDS e familiari con l'intento di fornire una corretta e puntuale informazione sulla patologia, le problematiche che affrontano i pazienti, le novità sulle terapie a disposizione e di condividere le esperienze di malattia e le problematiche di vita

Tre pilastri: scienza, dati, tutela e patients empowerment

## Consiglio Direttivo 2025-2028

ing. **Giuseppe CAFIERO**, Presidente,  
dott.ssa **Annamaria NOSARI**, Vicepresidente Vicario,  
dott. **Giancarlo GIRONI**, Vicepresidente, Tesoriere,  
dott.ssa **Michela CALMASINI**, Consigliere  
avv. **Paolo RIVA**, Consigliere  
dott.ssa **Maria Paola TRIPODI**, Consigliere

## Comitato Scientifico

**Presidente:** prof. **Matteo G. Della Porta**, Milano

### Componenti:

prof. **Enrico Balleari**, Genova  
dott.ssa **Lorenza Borin**, Monza  
prof.ssa **Daniela Cilloni**, Torino  
dr.ssa **Elena Crisà**, Candiolo (TO)  
dr. **Carlo Finelli**, Bologna  
dr. **Luca Maurillo**, Roma  
dr. **Alfredo Molteni**, Cremona  
prof. **Pellegrino Musto**, Bari  
prof.ssa **Esther N. Oliva**, Reggio Calabria  
prof. **Giuseppe Palumbo**, Catania  
prof. **Francesco Passamonti**, Milano  
dr.ssa **Federica Pilo**, Cagliari  
prof.ssa **Antonella Poloni**, Ancona  
dr.ssa **Marta Riva**, Milano  
prof.ssa **Valeria Santini**, Firenze  
prof.ssa **Giorgina Specchia**, Bari  
prof.ssa **Maria Teresa Voso**, Roma

# 2019 Il Manifesto

## 2021 Censimento pazienti



## CENSIMENTO PAZIENTI CON SINDROME MIELODISPLASTICA

Conferenza Stampa, 21 aprile 2021



# FIRENZE 2019



## GIORNATA MONDIALE SINDROMI MIELODISPLASTICHE

### IV FORUM NAZIONALE AIPaSiM

# MIELODISPLASIE: DAL PERCHÉ E DAL COME ALLA TERAPIA PERSONALIZZATA

FIRENZE, 25 OTTOBRE 2019 • AIL FIRENZE - Piazza Giovanni Meyer, 2 - Firenze

Forum promosso da **AIPaSiM Onlus**  
**Associazione Italiana Pazienti Sindrome Mielodisplastica**

IN COLLABORAZIONE CON





# GLI STRUMENTI



[HOME](#) [CHI SIAMO](#) [CONTATTI](#) [ISCRIVITI](#) [DONA ORA](#) [NEWS](#) [LINK UTILI](#) [Privacy Policy](#) 



## Associazione Italiana Pazienti con Sindrome Mielodisplastica

Per riunire ed informare pazienti, loro familiari e caregiver

[CHI SIAMO - clicca per saperne di più](#)

Seguici anche su



- Il sito
- La newsletter
- I «social»

**Collegamenti veloci**

# GLI STRUMENTI: Incontri «Esperti-Pazienti»

**I SABATI DELLA MIELODISPLASIA**

**I PAZIENTI INCONTRANO I MEDICI**  
**I NUOVI FARMACI, le SPERIMENTAZIONI e il ruolo**  
**di tutela dei COMITATI ETICI ai tempi del COVID**

WEBINAR | sabato 30 gennaio 2021, dalle 10:00 alle 11:15

**I SABATI DELLA MIELODISPLASIA**

**I PAZIENTI INCONTRANO I MEDICI**  
**SINDROMI MIELODISPLASTICHE IN TEMPO DI**  
**COVID: Esperienze di vaccinazioni e problemi**

WEBINAR | sabato 10 aprile 2021, dalle 10:00 alle 11:00

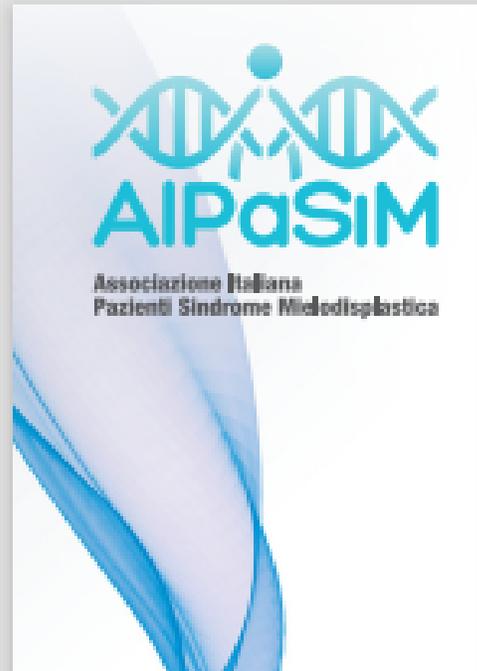
**I SABATI DELLA MIELODISPLASIA**

**I PAZIENTI INCONTRANO I MEDICI**  
**I pazienti di Mielodisplasia: I DIRITTI IN GIOCO**

WEBINAR | sabato 10 luglio 2021, dalle 11:00 alle 12:00

## I SERVIZI: «AIPASIM ti ascolta»

- Attraverso il “filo rosso” del nostro sito che risponde alle domande dei nostri pazienti e di chi li assiste , sappiamo che le problematiche possono essere molte e diverse, e non si riflettono solamente sul piano della salute, ma anche su quello psico-emotivo e sociale, collegate alla preoccupazione anche per i cambiamenti di stile di vita, dei rapporti e del coinvolgimento di chi ci sta attorno e ci aiuta



**AIPaSiM**  
**TI ASCOLTA**  
Servizio di  
**orientamento psicologico**  
**dedicato agli associati**

Se pensi che un supporto di orientamento psicologico ti possa aiutare, contattaci per un appuntamento con le nostre specialiste.

**Dal 2021.....**

# AIPASIM ti ascolta

- **Lo sportello consiste di 1-3 sedute totalmente gratuite** con una psicologa esperta prenotata telefonicamente che dovrebbe aiutare il paziente nelle scelte e nella consapevolezza che riguarda la sua patologia
- Abbiamo a disposizione **due psicologhe esperte** in malattie rare provenienti da UNIAMO che abbiamo formato sulla nostra patologia
- Perché dedicato agli associati? Perché abbiamo bisogno di Soci, che ci diano sempre più forza per sostenere le necessità dei pazienti con MDS, e più idee per aiutare sempre più persone



**AIPaSiM**  
**TI ASCOLTA**  
**Servizio di orientamento psicologico dedicato agli associati**

Se pensi che un supporto di orientamento psicologico ti possa aiutare, contattaci per un appuntamento con le nostre specialiste.

I SERVIZI

**Il questionario sulla qualità di vita**



**FOTOGRAFA I TUOI BISOGNI**

Sei un paziente e/o caregiver?

**Raccontaci la tua esperienza**

**Dal 2022.....inizia la raccolta dei dati**

# Pubblicazioni scientifiche



## EXPLORING UNMET NEEDS OF MDS PATIENTS AND CAREGIVERS IN A NATIONAL ITALIAN SURVEY



Elena Crisà<sup>1</sup>, Annamaria Nosari<sup>2</sup>, Daniela Cilloni<sup>3</sup>, Sam Salek<sup>4</sup>, Tatyana Ionova<sup>5</sup>, Matteo G. Della Porta<sup>6</sup>, Maria T. Voso<sup>7</sup>, Luca Maurillo<sup>8</sup>, Carlo Finelli<sup>9</sup>, Valeria Santini<sup>10</sup>, Enrico Balleari<sup>11</sup>, Federica Pilo<sup>12</sup>, Giuseppe A. Palumbo<sup>13</sup>, Alfredo Molteni<sup>14,15</sup>, Marta Riva<sup>16</sup>, Esther N. Oliva<sup>17</sup>

<sup>1</sup> Candiolo Cancer Institute, FPO-IRCCS, Oncology Division, Candiolo, Italy <sup>2</sup> Associazione Italiana Pazienti Sindromi Mielodisplastica AIPaSiM, milano, Italy <sup>3</sup> A.O. Ordine Mauriziano di Torino, Department of Clinical and Biological Sciences, University of Turin, Turin, Italy, Torino, Italy <sup>4</sup> School of Life and Medical Sciences, University of Hertfordshire, Hatfield, United Kingdom <sup>5</sup> National Medical Surgical Centre and Multinational Center for Quality of Life Research, St Petersburg, Russia <sup>6</sup> Cancer Center - IRCCS Humanitas Research Hospital & Humanitas University, Rozzano, Italy <sup>7</sup> University of Rome Tor Vergata, Department of Biomedicine and Prevention, Roma, Italy <sup>8</sup> University of Rome Tor Vergata, Hematology Division - UOSD malattie mieloproliferative, Roma, Italy <sup>9</sup> Istituto di Ematologia "Seragnoli" - IRCCS Azienda Ospedaliero-Universitaria di Bologna, Bologna, Italy <sup>10</sup> 500 Ematologia AOU Careggi, Dipartimento Medicina Sperimentale e Clinica, Firenze, Italy <sup>11</sup> IRCCS Policlinico Ospedale San Martino, Genova, Italy <sup>12</sup> Hematology and Transplant Center, Ospedale Oncologico di Riferimento Regionale "Armando Businco", Azienda Ospedaliera Brotzu, Cagliari, Italy <sup>13</sup> Unità Operativa di Ematologia con TMO AOU "Policlinico - San Marco", Dipartimento di Scienze Mediche, Chirurgiche e Tecnologie Avanzate "G.F. Ingrassia", Catania, Italy <sup>14</sup> Hematology, ASST Cremona, Cremona, Italy <sup>15</sup> Unità Complessa di Ematologia, ASST Cremona, Cremona, Italy <sup>16</sup> Ematologia, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, Milano, Italy <sup>17</sup> Grande Ospedale Metropolitano Bianchi Melacrinò Morelli, Hematology Division, Myelodysplastic Syndromes Section, Reggio Calabria, Italy

### INTRODUCTION

One of the main goals of treatment for patients with myelodysplastic neoplasms (MDS) is maintaining/improving quality of life (QoL). It is known that transfusion dependence impacts QoL due to persistent severe anemia but also due to the burden of the frequency and time spent in hospital, the inability to travel and the dependence on hospital and staff, amongst other factors.

### OBJECTIVES

We performed a survey to explore the impact of MDS and treatment on patients and caregivers, patients' preferences and their unmet needs in Italy.

### METHODS

This ongoing survey (online and paper versions) is being promoted by Associazione Italiana Pazienti Sindromi Mielodisplastica (AIPaSiM) advocacy group. Sixty items relevant to patients and 20 relevant to caregivers were identified by hematologists and patients. The patient-reported outcome measures (PROMs), QOL-E and HM-PRO, are included in the survey. Lower scores in QOL-E reflect better outcomes while higher scores in HM-PRO represent worse outcomes.

### RESULTS

From June 2022, 179 patients (median age 73 years, females 51%) and 46 caregivers (76% females, mostly family members) completed the survey.

#### Impact of travelling to hospital on patients QoL

26% of patients lived far from the treating center and, for 47%, travelling to hospital was claimed distressful, affecting family, impacting on job, fitness or finances.

Nel 2023 poster al «International Congress on MDS»

# Publicazioni scientifiche

Nel 2024....  
Poster con i dati  
tratti dal  
questionario al  
congresso ASH



## MYELODYSPLASTIC NEOPLASMS: PATIENTS' AND CAREGIVERS' UNMET NEEDS AND THEIR IMPACT ON THEIR QUALITY OF LIFE AND SYMPTOMS

Elena Crisà<sup>1</sup>, Daniela Cillari<sup>2</sup>, Marta Riva<sup>3</sup>, Enrica Balleari<sup>4</sup>, Daniela Barracè<sup>5</sup>, Beatrice Manghi<sup>6</sup>, Lorenza Borini<sup>7</sup>, Michela Calmasini<sup>8</sup>, Anna Calisti<sup>9</sup>, Isabella Capodanno<sup>10</sup>, Matteo Della Porta<sup>11</sup>, Elisa Doral<sup>12</sup>, Bruno Fattizzo<sup>13</sup>, Susanna Fenu<sup>14</sup>, Stefania Pavlini<sup>15</sup>, Carlo Finelli<sup>16</sup>, Claudio Pozza<sup>17</sup>, Chiara Frasca<sup>18</sup>, Valentina Gai<sup>19</sup>, Mauro Turri<sup>20</sup>, Antonia Maria Isoni<sup>21</sup>, Federico Inzi<sup>22</sup>, Luca Maurillo<sup>23</sup>, Alfredda Molteni<sup>24</sup>, Giuseppe A. Palumbo<sup>25</sup>, Anna Maria Felissari<sup>26</sup>, Federica Pini<sup>27</sup>, Antonella Palani<sup>28</sup>, Costanza Basu<sup>29</sup>, Grazia Sampaolo<sup>30</sup>, Rosaria Sancesca<sup>31</sup>, Cristina Amato<sup>32</sup>, Valeria Santini<sup>33</sup>, Maria Teresa Vessa<sup>34</sup>, Sam Sales<sup>35</sup>, Tatjana Ianeva<sup>36</sup>, Annamaria Nazzari<sup>37</sup>, Esther Natalie Oliva<sup>38</sup>

1. Leukemia Center Padova, IRO-4825, Padova, Italy; 2. I.R.C.C.S. Ospedale Maggiore di Bologna, Department of Clinical and Biological Sciences, University of Bologna, Italy; 3. Hematology, ASST Grande Ospedale Metropolitano Spedini, Udine, Italy; 4. IRCCS Istituto Giannini, Ospedale San Martino, Genova, Italy; 5. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 6. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 7. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 8. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 9. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 10. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 11. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 12. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 13. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 14. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 15. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 16. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 17. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 18. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 19. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 20. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 21. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 22. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 23. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 24. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 25. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 26. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 27. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 28. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 29. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 30. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 31. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 32. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 33. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 34. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 35. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 36. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 37. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy; 38. Department of Hematology, ASST Spedini, Udine, Italy



### INTRODUCTION

Myelodysplastic neoplasms (MDS) prevail in the elderly and are generally incurable. Thus, maintaining/improving quality of life (QoL) is one of the main goals of treatment. There are many factors related to MDS and unmet needs that may impact QoL of patients and their caregivers.

### AIMS

The aims of this study were to explore the impact of MDS on patients and caregivers, and their preferences and unmet needs in Italy.

### METHODS

The survey (online and paper versions) was promoted by the Associazione Italiana Pazienti Sindromi Mielodisplastiche (AIPASiM) advocacy group.

- 60 items relevant to patients and 20 relevant to family caregivers were identified by hematologists and patients.
- The MDS-specific patient-reported outcome measure (PROM), QOL-E and the hematological malignancy specific PROM, HM-PRO, were included in the survey.
- Lower scores in QOL-E and higher scores in HM-PRO represent worse outcomes.

### RESULTS

259 patients (56% females) of median age 73 (IQ range 64-79) responded to the survey. MDS disease duration was >5 years in 28% (N=69) of cases.

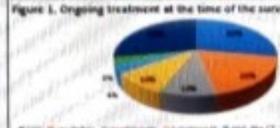
Table 1. QOL-E and HM-PRO scores of the 53 MDS patients who completed PROM surveys.

QOL-E score	Median score (IQ range)	HM-PRO score	Median score (IQ range)
Overall	43.0 (37.0-51.0)	Overall	49.0 (43.0-54.0)
Physical	43.0 (37.0-51.0)	Physical	49.0 (43.0-54.0)
Emotional	43.0 (37.0-51.0)	Emotional	49.0 (43.0-54.0)
Social	43.0 (37.0-51.0)	Social	49.0 (43.0-54.0)
Functional	43.0 (37.0-51.0)	Functional	49.0 (43.0-54.0)
Health	43.0 (37.0-51.0)	Health	49.0 (43.0-54.0)
Quality of life	43.0 (37.0-51.0)	Quality of life	49.0 (43.0-54.0)
Overall	43.0 (37.0-51.0)	Overall	49.0 (43.0-54.0)
Health	43.0 (37.0-51.0)	Health	49.0 (43.0-54.0)
Quality of life	43.0 (37.0-51.0)	Quality of life	49.0 (43.0-54.0)

Work-life  
60 patients (23%) were still working. MDS affected work life of 20% (N=53) of patients, leading to changes in job type (N=3) or working hours (N=25) or to retirement/activity stop (N=25).

Treatment  
70% of patients (N=171) were treated and 15% felt that treatment impacted negatively on everyday life.

Figure 1. Origin of treatment at the time of the survey.



Impact of distance of residence from treating center  
55 patients (21%) lived far from their treating center. For 108 patients (44%), travelling to hospital was claimed distressful particularly in case of distance from the treating center (p=0.002) or transfusion dependence (p=0.006), and was associated a negative impact on QoL, [Table 2].

Table 2. QOL-E and HM-PRO scores according to reported distress travelling to hospital.

	Distress in travelling to hospital			Distress in travelling to hospital		
	yes	no	P value	yes	no	P value
HM-PRO scores						
physical	50	58	<0.001	50	62	<0.001
emotional	54	57	0.003	54	59	<0.001
social	53	57	0.003	53	57	<0.001
well-being and drinking habits	54	58	0.003	54	60	<0.001
Part A	55	59	<0.001	55	59	<0.001
Part B	55	59	0.003	55	59	<0.001
Overall	55	59	<0.001	55	59	<0.001

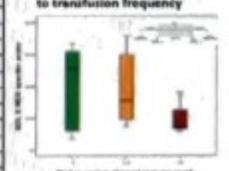
Impact of transfusion on QoL  
Only 2 patients received transfusions at home but 38% (N=30) would prefer receiving transfusions at home (77% of those with distress reaching the hospital and 20% of those far from treating center) and had worse PROM scores (Table 3).

42% of patients (N=97) were transfusion-dependent: 33% received <2, 54% 2-4 and 13% >4 units/month. Higher transfusion frequency was associated with worse PROM scores: HM-PRO (p=0.042), SB (p=0.038) and part A scores (p=0.029) and QOL-E Soc (p=0.012). Fat (p=0.034), Gen scores (p=0.049) and MOSS (p=0.002, Figure 2).

Table 3. QOL-E and HM-PRO scores according to place preferred for transfusions.

	Preferred place for transfusions		P value
	Home	Hospital	
HM-PRO scores, median (IQ range)			
physical	58	50	<0.001
emotional	59	50	0.007
social	61	59	0.017
Part A	59	59	0.001
Part B	57	56	0.008
QOL-E scores, median (IQ range)			
Functional	55	57	0.006
Relapse	57	54	0.007
MOSS specific	27	22	0.010

Figure 2. Box plot of QOL-E MDS specific scores according to transfusion frequency.



### CONCLUSIONS

- This survey has highlighted the issues related to patients with MDS and their caregivers in Italy.
- Transfusion frequency is correlated with worse QoL.
- More time should be dedicated to the communication of the diagnosis, prognosis and treatment options.
- There is an economic burden and distress in attending and waiting in hospital, both for patients and caregivers.

> These data highlight the need of treatments that reduce transfusion burden, hospital visits and allow patients to be treated at home.

> Identifying patients' and caregivers' unmet needs and their impact on QoL and symptoms can provide optimized patient care and guide hematologists and caregivers choices.

### REFERENCES

1. Steinhilber B, et al. Health-related quality of life in lower-risk MDS patients compared with age- and sex-matched reference populations: a European LeukemiaNet study. *Leukemia* 2019.
2. Oliva E et al. Development and validation of QoL-E instrument for the assessment of health-related quality of life in myelodysplastic syndromes. *Crit Care Med* 2023.
3. Giannini F et al. Development of a Novel Patient-Reported Outcome Measure in Hematological Malignancy for Use in Routine Clinical Practice from Generation. *Blood* 2024.

### ACKNOWLEDGEMENTS

Patients and caregivers who participated in the Survey  
Physicians who promoted the Survey

### CONTACT INFORMATION

Elena Crisà [elena.crisa@unipd.it](mailto:elena.crisa@unipd.it)  
Esther Natalie Oliva [enoliva@gmail.com](mailto:enoliva@gmail.com)

Nel 2025..... I dati  
vengono pubblicati  
sulla rivista scientifica  
Cancers



Article

## Unmet Needs and Their Impact on Quality of Life and Symptoms in Myelodysplastic Neoplasm Patients and Caregivers

Elena Crisà <sup>1,\*</sup>, Daniela Cilloni <sup>2</sup>, Marta Riva <sup>3</sup>, Enrico Balleari <sup>4</sup>, Daniela Barraco <sup>5</sup>, Beatrice Manghisi <sup>6</sup>, Lorenza Borin <sup>6</sup>, Michela Calmasini <sup>7</sup>, Anna Calvisi <sup>8</sup>, Isabella Capodanno <sup>9</sup>, Matteo Giovanni Della Porta <sup>10</sup>, Elisa Diral <sup>11</sup>, Bruno Fattizzo <sup>12</sup>, Susanna Fenu <sup>13</sup>, Stefania Paolini <sup>14</sup>, Carlo Finelli <sup>14</sup>, Claudio Foza <sup>15</sup>, Chiara Frairia <sup>16</sup>, Valentina Gai <sup>16</sup>, Mauro Turrini <sup>17</sup>, Maria Antonia Isoni <sup>18</sup>, Federico Itri <sup>19</sup>, Luca Maurillo <sup>20</sup>, Alfredo Molteni <sup>21</sup>, Giuseppe Alberto Palumbo <sup>22</sup>, Anna Maria Pelizzari <sup>23</sup>, Federica Pilo <sup>24</sup>, Antonella Poloni <sup>25</sup>, Costanza Bosi <sup>26</sup>, Grazia Sanpaolo <sup>27</sup>, Rosaria Sancetta <sup>28</sup>, Cristina Amato <sup>29</sup>, Valeria Santini <sup>29</sup>, Maria Teresa Voso <sup>30</sup>, Sam Salek <sup>31</sup>, Tatyana Ionova <sup>32</sup>, Annamaria Nosari <sup>7</sup> and Esther Natalie Oliva <sup>33,\*</sup>

<sup>1</sup> Candiolo Cancer Institute, FPO-IRCCS, 10060 Candiolo, Italy

<sup>2</sup> A.O. Ordine Mauriziano di Torino, Department of Clinical and Biological Sciences, University of Turin, 10128 Turin, Italy; daniela.cilloni@unito.it

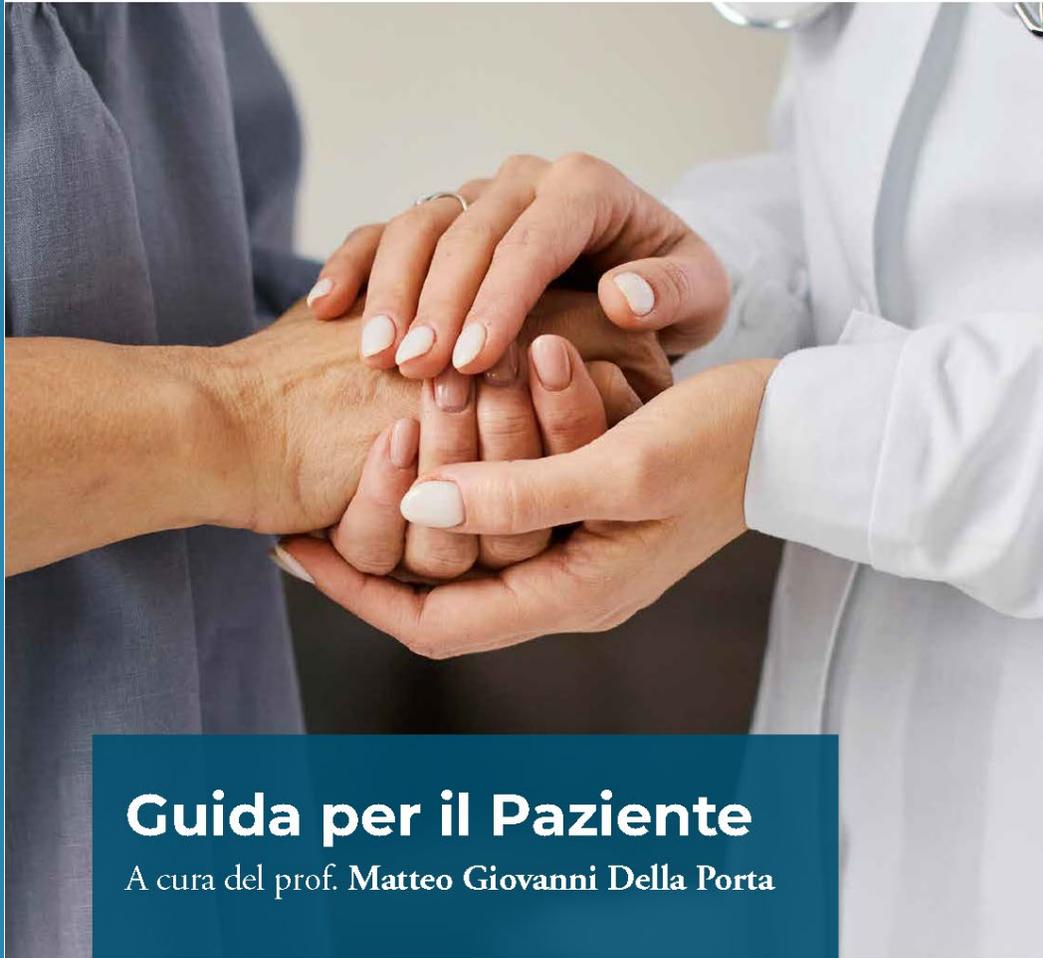
<sup>3</sup> Hematology, ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda, 20162 Milan, Italy; marta.riva@ospedaleniguarda.it

<sup>4</sup> IRCCS Policlinico Ospedale San Martino, 16132 Genoa, Italy; eballeari@gmail.com

<sup>5</sup> Dipartimento di Ematologia, ASST Sette Laghi, Ospedale di Circolo e Fondazione Macchi, 21100 Varese, Italy; daniela.barraco@asst-settelaghi.it

<sup>6</sup> Hematology, Ospedale San Gerardo, 20900 Monza, Italy; beatrice.manghisi@irccs-sangerardo.it (B.M.); lorenzamaría.borin@irccs-sangerardo.it (L.B.)

<sup>7</sup> Associazione Italiana Pazienti Sindromi Mielodisplastica AIPASIM, 20162 Milan, Italy; calmasini@gmail.com (M.C.); annamaria.nosari@gmail.com (A.N.)



## Guida per il Paziente

A cura del prof. Matteo Giovanni Della Porta

LE SPERIMENTAZIONI  
CLINICHE NELLE  
**SINDROMI  
MIELODISPLASTICHE**

## I SERVIZI :GUIDA PER UN PAZIENTE CONSAPEVOLE

- Booklet AIPASIM-FISIM sul tema dei clinical trials "farmaci innovativi e sperimentazioni: perché sono importanti" Matteo della Porta
- .....continuando con i progetti già avviati

.....dal novembre 2023

# Le sperimentazioni cliniche

La proposta di partecipare a una sperimentazione clinica può suscitare interesse ed entusiasmo, ma anche a volte perplessità ed indecisione

La guida per il paziente, vuole assicurare la piena consapevolezza di chi è coinvolto nella sperimentazione di nuove terapie superando i timori, legati all'incertezza sui benefici e sui possibili rischi di una nuova terapia definita "sperimentale".

# Terapia sperimentale



## VANTAGGI

- Espone il paziente ad un farmaco innovativo e promettente
- Possibilità di beneficio “anticipato”  
Il paziente viene osservato da tante persone (il suo medico, altri componenti dello staff presso il centro di cure, persone esperte addette alla sperimentazione che ricevono le informazioni e monitorizzano il comportamento degli sperimentatori)

## RISCHI

- Tossicità
- Inefficacia (futilità) o risultati peggiori



La pubblicazione utilizza un linguaggio che vuole essere semplice e chiaro, ed è organizzata secondo “parole chiave” che guideranno nell’approccio e nella comprensione di questo mondo in grandissima espansione.



## I PAZIENTI SONO GLI **ESPERTI**

*Le sperimentazioni cliniche moderne si fanno non “sui” pazienti ma “con” i pazienti*

# Le sperimentazioni cliniche

- La partecipazione dei pazienti ai processi di realizzazione e approvazione di una sperimentazione clinica è preziosa ed è anche stata sancita dal Regolamento Europeo n° 536 del 2014

# LA CONOSCENZA

è il primo diritto dei pazienti riguardo alla partecipazione ad una sperimentazione clinica.

LA CONOSCENZA È IL PRIMO DIRITTO DEI PAZIENTI RIGUARDO ALLA PARTECIPAZIONE AD UNA SPERIMENTAZIONE CLINICA

## Il paziente deve

ricevere informazioni sullo **scopo** della sperimentazione clinica

ricevere informazioni su tutti i **rischi, gli effetti collaterali** o i disagi ragionevolmente prevedibili

ricevere informazioni sui **benefici** ragionevolmente **attesi**

ricevere informazioni sulle **opzioni disponibili** e su come tali opzioni possono essere migliori o peggiori rispetto all'oggetto di studio nella sperimentazione clinica

avere la **possibilità di rifiutare** la partecipazione, per qualsiasi motivo, prima e dopo l'inizio della sperimentazione

# LA SICUREZZA

## I Comitati Etici

Gli studi vengono rivisti e approvati dai Comitati Etici. Il Comitato Etico (CE) ha la funzione di proteggere i diritti e il benessere delle persone che partecipano agli studi clinici.

AIFA pubblica l'elenco dei centri autorizzati alle sperimentazioni nel sito internet dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA).

## **Le agenzie regolatorie del farmaco (EMA, FDA)**

Le agenzie regolatorie insieme a parametri obiettivi clinici quali:

- Prolungamento della sopravvivenza
- Miglioramento dei parametri clinici

richiedono la misurazione della qualità di vita e la percezione soggettiva del paziente:

- Miglioramento fisico, della fatigue e della dispnea
- Miglioramento delle aspettative e del senso di angoscia

come misure di efficacia e di sicurezza.

## **QUALI DOMANDE FARE AL MEDICO SPERIMENTATORE PER UNA SCELTA CONSAPEVOLE**

- Qual è lo scopo dello studio?
- Quali sono i potenziali rischi e benefici?
- In uno studio randomizzato, quante sono le probabilità di essere assegnati al gruppo che riceve il farmaco sperimentale?
- Quali sono i possibili effetti collaterali?
- Con quale frequenza è necessario venire in ospedale per le visite?
- È necessario farsi accompagnare da qualcuno alle visite presso il centro?
- È necessario il ricovero in ospedale?
- Quanto dura lo studio?
- Se il trattamento risulta utile, si potrà continuare dopo la fine della sperimentazione?

# LA POLITICA DELLE ALLEANZE



## ÜNIAMO

Federazione Italiana Malattie Rare



**Uniamo Federazione Italiana  
Malattie Rare onlus**

@UniamoMalattieRare · Organizzazione no-profit

**FISIM**  
FONDAZIONE  
ITALIANA  
SINDROMI  
MIELODISPLAS

Promossa da

Con il supporto non condizionato di

**MAGNIFICO DONARE**

LE NOTE PER DIRLO,  
LE IMMAGINI PER RACCONTARLO

Con la partecipazione di **Chiara Galizzo**

Beta-Talassemia e Sindromi Mielodisplastiche:  
l'impatto delle trasfusioni, la voce del paziente,  
i progressi terapeutici

**INCONTRO APERTO AL PUBBLICO**

**Reggio Calabria, 24 febbraio 2020 ore 17.30**  
Palazzo San Giorgio, Sala dei Lampadari – Piazza Italia, 1

#magnificodonare

# mds foundation

the myelodysplastic syndromes foundation

## LE ALLEANZE INTERNAZIONALI



# Agosto 2025



## News

JULY / AUGUST 2025

SEPTEMBER IS BLOOD CANCER AWARENESS MONTH



Blood Cancer Awareness Month was established to increase public understanding of blood cancers and to raise awareness about the need for improved treatments, early diagnosis, and increased funding for research.

One way to raise awareness of blood cancer is to promote and participate in Blood Cancer Awareness Month within your own communities, such as in your workplace or on social media. To help you get involved, various resources are available for download from our supporters, including digital resources, posters, and social media tiles.

See how you can get involved: <https://bloodcanceraware.org/calendar/>



## News

NEWS FROM MDS ALLIANCE MEMBERS

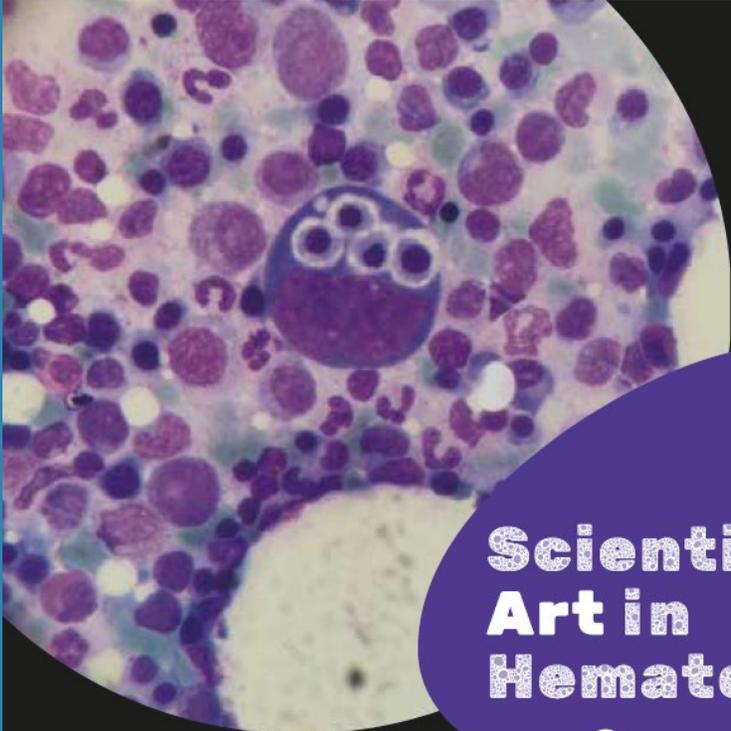
AIPASIM (ITALY)



Vai a un n

# MDSA news: il ns convegno di oggi

Grazie a tutti per  
l'attenzione



  
aipasim.org

**Scientific  
Art in  
Hematology**

Invia la tua immagine  
entro il 15 ottobre 2023 a:  
**info@aipasim.org**